

# 磷酸芦可替尼片（捷恪卫<sup>®</sup>）

**申请续约新增适应症：激素难治性急性移植物抗宿主病  
全球唯一获批，同时可用于成人和儿童，填补临床和目录空白**

北京诺华制药有限公司

# 申报幻灯目录

1

## 药品基本信息

- 磷酸芦可替尼片，唯一获批的激素难治性急性移植物抗宿主病药物，无参照药

2

## 有效性优势

- 对比传统疗法，显著提升各个疗效指标，获国际指南唯一且最高等级推荐

3

## 安全性优势

- 未观察到新的不良反应，真实世界的不良事件发生率远低于说明书水平

4

## 创新性优势

- 唯一阻断发病通路的革命性药物

5

## 公平性优势

- 填补临床和目录空白，为儿童血液病提供术后保障

# 磷酸芦可替尼片药品基本信息介绍

唯一获批用于**儿童**和**成人**的**激素难治性急性移植物抗宿主病**

通用名	磷酸芦可替尼片		
注册规格	5mg, 15mg, 20mg		
新增适应症	用于治疗对糖皮质激素或其他系统治疗应答不充分的 <b>12岁及以上</b> 急性移植物抗宿主病 (aGVHD) 患者 (简称: <b>激素难治性aGVHD</b> )		
用法用量	说明书: 起始剂量 <b>10mg</b> , 每日两次 临床实际: 日用药量 <b>16.8mg</b> , 一年用药时长 <b>3个月</b>		
新增适应症 中国获批时间	2023年4月11日	目前大陆地区同通用名上市情况	<b>独家药品</b>

**参照品建议: 无**

**骨髓纤维化、急性移植物抗宿主病  
均为唯一获批药物、指南唯一最高推荐**

# 急性移植物抗宿主病 (aGVHD) 直接导致患者死亡，激素难治是临床主要挑战，目录内无靶向药物可用

## 疾病背景

- 移植物抗宿主病 (GVHD) 是异基因造血干细胞移植 (allo-HSCT) 术后的主要并发症，直接**导致患者死亡，其中急性GVHD (aGVHD) 更为严重**

## 疾病负担

- 急性GVHD目前临床常用激素治疗，但每年仍存在**约2800例激素难治性患者，2年生存率不足20%**
- 对于**儿童患者，长期使用激素影响生长发育**

## 未满足需求

- 这部分**激素难治性患者暂无靶向药物可用**，存在亟待填补的临床空白和目录空白

# 唯一获批治疗儿童和成人的激素难治性aGVHD靶向药物，总缓解率提升至1.6倍，总生存期延长至约两倍，在中国人群和儿童人群中疗效更优

## 全人群研究：对比传统疗法获益显著，在中国人群疗效更优

疗效评估终点	国际多中心临床注册研究 (芦可替尼 vs. 最佳可及疗法)			真实世界中国人群meta分析	
	芦可替尼	传统疗法	改善程度	芦可替尼	
总缓解率 (ORR)	62.3%	39.4%	提升至 <b>1.6倍</b> ( $p < 0.001$ )	86%	
中位总生存期 (OS)	11.1个月	6.5个月	延长至约 <b>两倍</b> ( $p < 0.001$ )	> 12个月*	
激素减停 (患者比例)	22.1%	14.8%	提升 <b>50%</b>	81%	

## 儿童研究：在儿童患者中获益更显著

### 芦可替尼回顾性多中心研究

总缓解率 (ORR, 第41天)	72.4%
中位总生存期	> 24个月*
激素减停 (第41天, 患者比例)	65.5%

注：在临床研究中总缓解率评估为第28天，激素减停评估为第56天，meta分析里无时间节点；为最佳可及疗法包括：抗胸腺细胞球蛋白 (ATG)、体外光化学 (ECP)、间充质干细胞 (MSC)、低剂量甲氨蝶呤 (MTX)、mTOR抑制剂 (依维莫司/西罗莫司)、依那西普等\*meta分析中，一年总生存率为66%；儿童研究中2年总生存率79.3%

# 获国际权威指南唯一且最高等级推荐

国际指南唯一且最高等级推荐，中国指南在获批前就已推荐

	唯一且最高等级推荐	推荐等级
2023 美国NCCN	√	I类
2023 欧洲EBMT	√	强推荐
2020 中国aGVHD专家共识	在中国获批前已被写入指南	

# 未观察到新的不良反应，真实世界观察到的不良事件发生率远低于说明书水平

## 说明书安全性信息

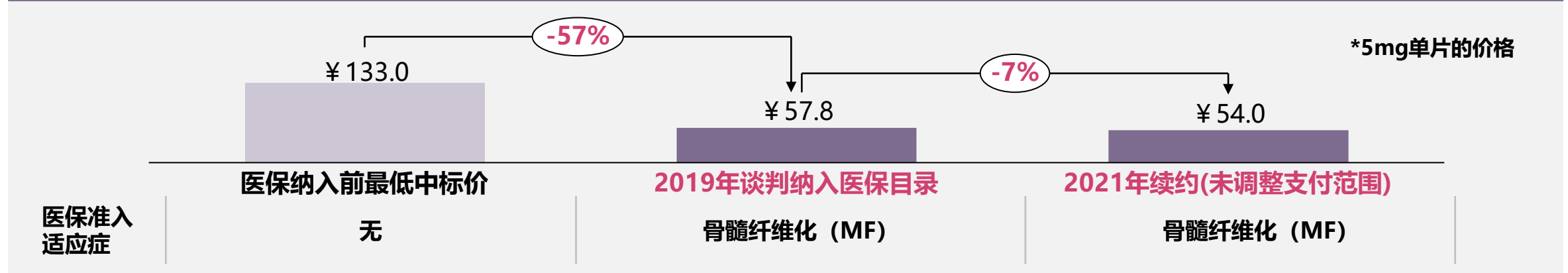
- 临床试验数据显示，芦可替尼安全性可管可控
  - 未观察到新的或非预期的安全性结果
  - 最常见的AE为血小板减少症、贫血，CMV感染/再激活，均可以通过剂量调整和对症处理进行有效控制

## 上市后安全性信息监测

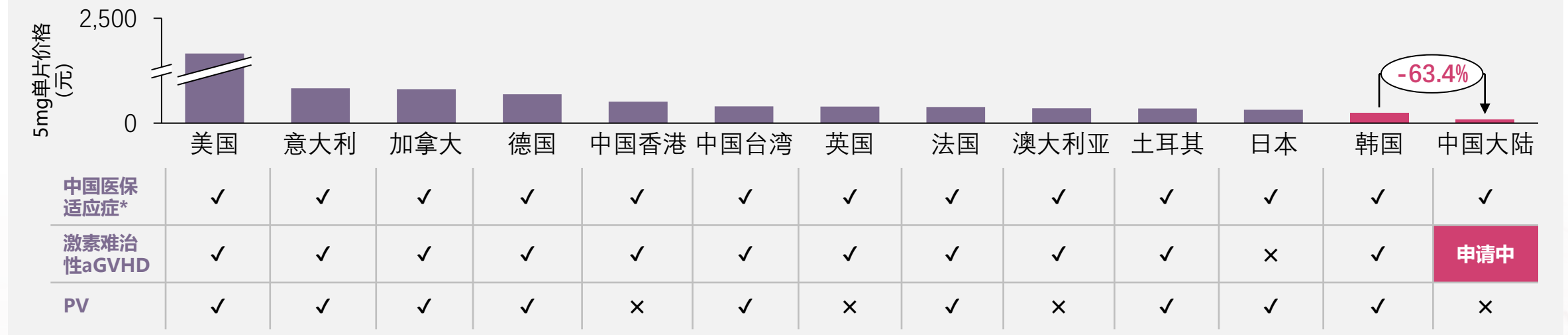
- 芦可替尼自2011年全球首次获批上市以来，各国家或地区药监部门未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息
- 真实世界中观察到的不良事件谱与说明书相似，但不良事件和严重不良事件发生率远低于说明书水平，自上市10多年来安全性获得充分验证

# 作为唯一获批药物，具有临床不可替代性也兼具经济性，两次降价累计降幅64%，低于全球次低价63%

原适应症迄今为止仍是唯一获批，已经历两次降价累计降幅64%



## 中国价格持续保持在全球最低点，比全球次低价低63%，且参照国家适应症准入范围均大于中国



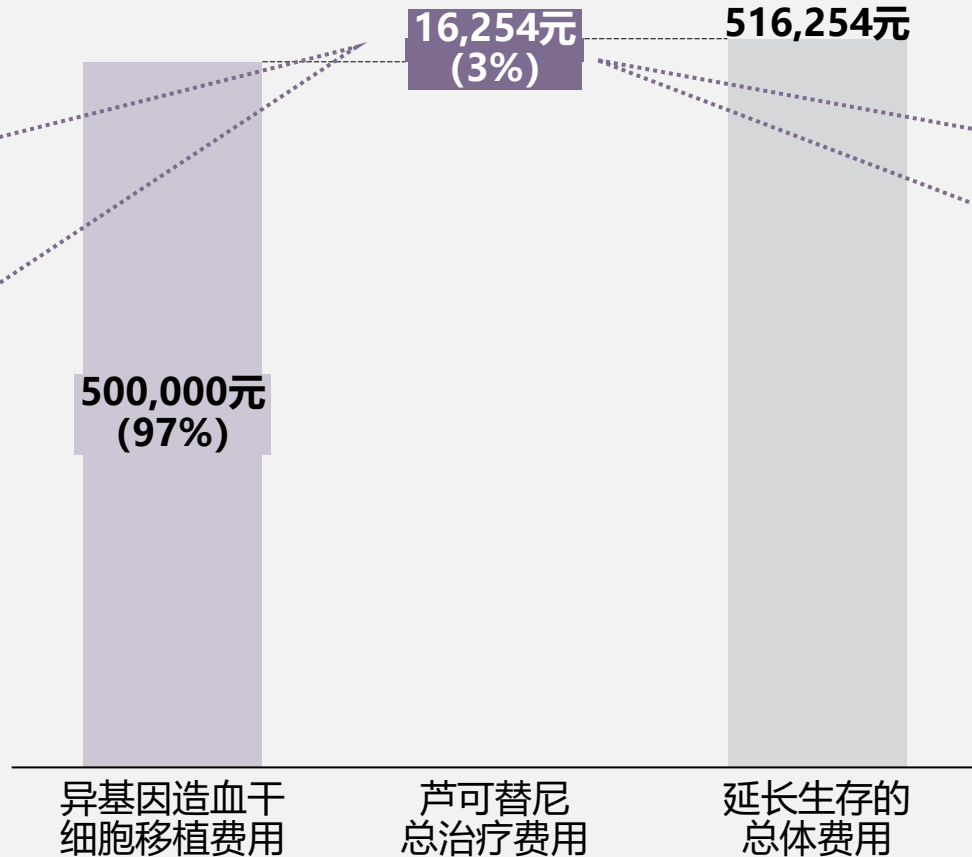
\*骨髓纤维化; PV: 真性红细胞增多症



# 作为急性病用药，疗程短，总治疗费用不足两万元，仅额外增加3%的费用，使患者生存时间翻倍，最大化移植患者获益

仅额外增加3%的成本使患者生存时间翻倍，经济性优势显著

- ✓ 急性病用药，临床用药时长约3个月
- ✓ 总治疗费用不足两万元
- ✓ 有效降低患者经济负担



- ✓ 仅额外增加移植患者3%的费用
- ✓ 使患者生存时间翻倍

移植费用：来源专家调研；芦可替尼年治疗费用计算方式：根据专家调研芦可替尼中位日用量为16.8mg，用药时长约3个月，现价格为54元/5mg，由此计算得出三个月治疗费用为16254元

# 申请零降幅续约并新增激素难治性aGVHD适应症

## 符合简易续约和零降幅新增适应症条件

条件	是否符合	简要说明
2023年12月31日协议到期的独家谈判药品	✓	无仿制药上市
比值A ≤ 110%	✓	104%，原适应症现行协议期末超量
原支付范围未来两年增幅 ≤ 100%	✓	95%，原适应症未来基金涨幅合理
比值B ≤ 10%	✓	7%，新增适应症未来基金涨幅合理
市场环境未发生重大变化	✓	中国价格全球最低价，无额外赠药计划

## 申请零降幅的其他支持理由

- ✓ 急性病用药，总治疗费用不足两万元，使移植患者生存时间翻倍，经济性优势显著
- ✓ 历经2019、2021年两次降价累计降幅64%，全球最低价，低于次低价（韩国价格）63%

# 在全适应症内均是唯一靶向药，阻断发病通路（JAK通路）的革命性药物

## 机制创新

- ✓ 在全适应症内均是**唯一靶向、阻断发病通路（JAK通路）的革命性药物**，具有里程碑意义
- ✓ 在中国拥有**多项专利**，**化合物专利保护至2026年**，**盐专利保护至2028年**

## 应用创新

全适应症均是唯一获批靶向药， 填补临床空白	填补儿童用药空白	长效期管理简便， 口服依从性好
<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ <b>原适应症骨髓纤维化</b>在全球<b>首个获批上市</b>，至今在中国仍是<b>唯一获批</b>，在美国和中国均被纳入<b>快速审评或优先审评</b></li> <li>✓ <b>新适应症</b>在全球<b>唯一获批上市</b>，被美国FDA纳入<b>优先审评</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ <b>新适应症</b>也是<b>唯一可用于儿童的治疗药物</b>，<b>填补儿童用药空白</b>，具有<b>不可替代性</b></li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>✓ <b>口服片剂</b>，对于患者尤其<b>儿童患者依从性好</b></li> <li>✓ 药品有效期长达<b>36个月</b>，<b>稳定性好</b>，可降低医院<b>管理成本</b></li> </ul>

# 填补成人和儿童激素难治性aGVHD目录空白，为儿童血液病提供术后保障，提升公平性

## 提升公共健康获益

- 总体癌症5年生存率提高15%是“健康中国2030”的目标之一，芦可替尼对比最佳可及疗法\*可显著延长OS至约2倍，对于想通过移植来获得生存希望的肿瘤患者意义重大
- 改善儿童移植患者预后生存，为国家提高儿童血液疾病供应保障的战略目标提供术后保障

## 填补目录空白

- 中国乃至全球唯一获批用于成人和儿童激素难治性aGVHD的药物，填补目录空白

## 符合“保基本”原则

- 获国际指南唯一且最高等级推荐，是aGVHD临床治疗必需药物，符合保基本原则
- 此次新增激素难治性aGVHD适应症，人群小，对医保基金影响小，纳入医保可以保障这部分小群体的用药公平性和提升用药可及性

## 临床管理难度低

- aGVHD获批适应症定义清晰，首个适应症自2011年全球上市以来已积累10多年临床合理用药经验和基础，无滥用或不合理使用的风险，不增加临床管理难度