



CSCO指南**唯一 I 级推荐**用于RET融合晚期NSCLC的一线治疗

塞普替尼胶囊

(睿妥<sup>®</sup>)

礼来 & 信达生物制药集团-江苏众煦医药有限公司

PPT2—不包含经济性信息

# 目录

+ 01 药品基本信息

+ 02 安全性

+ 03 有效性

+ 04 创新性

+ 05 公平性

# 药品基本信息：

塞普替尼是全球首个获批的高选择性RET抑制剂

通用名：**塞普替尼胶囊（独家）**

商品名：**睿妥**

注册规格：**40mg, 80 mg**

中国大陆首次上市时间：**2022年9月30日**

目前大陆地区**同通用名**药品的上市情况：**无**

全球首个上市国家/地区及上市情况：**2020年5月，美国**

是否OTC药品：**否**

**参照药：空白对照**

**理由：**

- ① 目前在中国已上市的RET抑制剂有2个，均未纳入国家医保目录；
- ② 国家医保目录内**无**相同治疗领域、相同适应症、相同作用机制的药品；

## 01

## 药品基本信息：

目前在中国已上市的RET抑制剂有2个，均未进入医保



	塞普替尼 (睿妥®)	普拉替尼 (普吉华®)
MAH	Eli Lilly Nederland B.V.	Blueprint Medicines
经销商	信达生物制药集团-江苏众煦医药有限公司	基石药业 (苏州) 有限公司
适应症	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. <b>转染重排 (RET) 基因融合阳性</b>的局部晚期或转移性<b>非小细胞肺癌 (NSCLC)</b> 成人患者的治疗。</li> <li>2. 需要系统性治疗的晚期或转移性<b>RET突变型甲状腺髓样癌 (MTC)</b> 成人和12岁及以上儿童患者的治疗，以及需要系统性治疗且放射性碘难治 (如果放射性碘适用) 的<b>晚期或转移性RET融合阳性甲状腺癌</b>成人和12岁及以上儿童患者的治疗。</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 既往接受过含铂化疗的转染重排 (RET) 基因融合阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌 (NSCLC) 成人患者的治疗。</li> <li>2. 需要系统性治疗的晚期或转移性RET突变型甲状腺髓样癌 (MTC) 成人和12岁及以上儿童患者的治疗，以及需要系统性治疗且放射性碘难治 (如果放射性碘适用) 的晚期或转移性RET融合阳性甲状腺癌成人和12岁及以上儿童患者的治疗。</li> <li>3. 一线治疗转染重排 (RET) 基因融合阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌 (NSCLC) 患者。</li> </ol>
用法用量	① 低于50 kg: 120 mg; ② 50 kg或以上: 160 mg; 口服给药, 每日2次, 除与PPI联合用药时, 本品 <b>与食物同服或不同服均可</b>	推荐剂量400mg, 每日一次, <b>空腹</b> 状态下口服



## 疾病基本情况

肺癌是**发病率和病死率第一**的恶性肿瘤，RET基因融合NSCLC的发病率为0.7-2%<sup>[1]</sup>，每年新增晚期患者约**5000**人，并且此类患者易发生脑转移，预后差，传统治疗模式疗效有限，脑转移患者的生存期约3-6个月<sup>[2][3]</sup>。目前医保目录内**暂无针对RET变异的高选择性精准靶向药**。

## 弥补未满足的治疗需求

### 1.传统方案疗效不佳

- 1) 含铂双药化疗的mPFS是7.8个月<sup>[4]</sup>；免疫治疗的mPFS是3.1个月<sup>[5]</sup>；多靶点抑制剂的mPFS是2.3个月<sup>[6]</sup>；
- 2) **肺癌脑转移患者预后差，治疗后mPFS是3-6个月，一年生存率仅14%**<sup>[2][3]</sup>

2. 塞普替尼是**指南唯一 I 级推荐**用于RET融合NSCLC一线治疗的高选择性精准靶向药，有效性、安全性**较同类产品普拉替尼均有显著优势**<sup>[7][8][9]\*</sup>，**ORR高4.3%**<sup>[7][8]\*</sup>，**PFS长近10个月**<sup>[7][8]\*</sup>，有效满足临床和患者未满足需求。

1. Chin J Lung Cancer, December 2021, Vol.24, No.12  
 2. Alexander Drilon, et al. J Thorac Oncol. 2018 Oct;13(10):1595-1601.  
 3. Chin J Lung Cancer, December 2020, Vol.23, No.12  
 4. Oliver Gautschi, et al. J Clin Oncol. 2017 May 1; 35(13): 1403-1410.

5. Mazieres J, et al. Ann Oncol. 2019 Aug 1;30(8):1321-1328.  
 6. Gautschi O et al. J Clin Oncol. 2017 May 1; 35(13): 1403-1410.  
 7. Benjamin Besse. et. al., ESMO 2022, 1170P.  
 8. Drilon A. et.al., J Clin Oncol. 2023 Jan 10;41(2):385-394.  
 9. Maxmilian H, et al. ELCC 2023. Abstract 5455  
 \* 非头对头研究

# 安全性： 整体可控，不良反应发生率显著低于普拉替尼



	塞普替尼	普拉替尼
≥3级TRAE发生率 <sup>[1][2]*</sup>	<b>38.6%</b>	62.6%
治疗相关停药率 <sup>[1][2]*</sup>	<b>3%</b>	10%
常见≥3级TRAE <sup>[1][2]*</sup> ：	高血压 13.2%，转氨酶升高 (6.3%/9%)	贫血 19.6%，高血压 13.9%，中性粒细胞减少 (13.2%)

## 药品说明书记载的安全性信息

最常见的不良反应 (≥ 25%)：水肿、腹泻、疲劳、口干、高血压、腹痛、便秘、皮疹、恶心和头痛

## 该药品在国内外不良反应发生情况

5年内发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息，如中国、美国、欧洲药监部门发布的相关信息为：至2022年12月，应美国FDA和欧盟PRAC要求，将肿瘤溶解综合征纳入说明书进行更新



# 有效性: 一线治疗, 塞普替尼明显优于普拉替尼



	塞普替尼	普拉替尼	
<b>初治人群</b> <sup>[1] [2]*</sup>	N=69	方案修改前 (N=47)	方案修改后 (N=69)
ORR (%)	<b>84.1</b>	74.4	<b>79.7</b>
mPFS (m)	<b>22.0</b>	10.9	<b>12.6</b>
<b>经铂类化疗人群</b> <sup>[1] [2]*</sup>	N=247	N=130	
ORR(%)	<b>61.1</b>	<b>63.1</b>	
mPFS (m)	<b>24.9</b>	<b>16.4</b>	
<b>脑转移疗效</b> <sup>[1] [2]*</sup>	N=26	N=15	
ORR(%)	<b>84.6%</b>	<b>53.3%</b>	
mPFS (m)	<b>19.4</b>	未公布	

## CDE《技术评审报告》中关于本药品有效性的描述

- 相比现有治疗的历史数据, 有**更优的客观缓解率和持久的缓解持续时间的疗效优势**
- 中国人群研究显示, **中国患者的获益特征与全球患者基本一致**

# 有效性： 塞普替尼，CSCO指南唯一 I 级推荐用于一线治疗



## CSCO非小细胞肺癌诊疗指南2023

IV期RET融合NSCLC一线治疗推荐塞普替尼，**唯一 I 级推荐**  
IV期RET融合NSCLC后线治疗 I级推荐塞普替尼



## NCCN非小细胞肺癌临床实践指南2023.1版

推荐塞普替尼作为RET融合阳性转移性NSCLC一线和后线治疗的**首选**



## CSCO甲状腺髓样癌诊疗指南2022

RET突变阳性复发转移性甲状腺髓样癌，有症状且疾病快速进展的患者，推荐用塞普替尼治疗，III级推荐  
(修订指南时，国内未上市)



## NCCN甲状腺癌临床实践指南2023.1版

对于不适合RAI治疗的不可切除的局部复发/持续性PTC，推荐塞普替尼用于RET基因融合的患者**的首选治疗**  
对于需要全身治疗的RET突变MTC患者，推荐塞普替尼作为**首选治疗**



### 主要创新点

- 塞普替尼获得“经取代的吡唑并[1,5-A]吡啶化合物作为RET激酶抑制剂”的发明专利;
- 塞普替尼是**全球首个**高选择性RET抑制剂  
IC50值**优于**普拉替尼<sup>[1]</sup>;
- 塞普替尼是FDA**唯一批准泛瘤种**适应症的RET抑制剂

### 创新带来的疗效及安全性更优

- 高亲和力，**塞普替尼疗效明显优于普拉替尼**；  
NSCLC中颅内疗效数据，塞普替尼更加突出；  
塞普替尼的药物治疗相关的**≥3级不良反应发生率和停药率均远低于普拉替尼**<sup>[2]</sup>。

是否为自主知识产权的创新药：是

药品注册分类：化学药品5.1类

# 公平性： 塞普替尼弥补目录空白，优势显著，医保易管理



## 弥补目录空白

- 国内获批的RET抑制剂有2个，塞普替尼和普拉替尼，均未进入医保目录；
- 本品是国内CSCO指南唯一 I 级推荐用于RET融合晚期NSCLC一线治疗的药品，**填补了临床及目录一线治疗的空白。**

## 保障患者的临床治疗的公平性

- 每年新发的晚期RET基因融合非小细胞肺癌患者约**5000**人，目前临床治疗得不到保障。大部分患者会选择化疗及免疫治疗，疗效欠佳。RET抑制剂塞普替尼纳入，将**给患者公平的选择机会。**

## 符合“保基本”原则

- 为参保患者提供接受标准一线治疗方案的可能性；
- 在12岁及以上的**儿童患者**中确定了本品的安全性和有效性；
- 塞普替尼目前已纳入全国7个省份29个地市的**37个惠民保**目录内，部分患者通过本品治疗后达到预期效果，未来希望可以纳入国家医保目录，降低治疗费用，满足更多患者的治疗需求。

## 无滥用风险，口服方便，医保易管理

- 本品适应症明确要求必须有明确的相关RET变异诊断，不易造成滥用；
- 口服剂型，用药方便，**是否与食物同服均可**，患者依从性高，临床使用易于管理，**同类产品普拉替尼需要空腹服药。**



**恳请各位专家支持塞普替尼胶囊进入国家医保目录，  
为RET突变患者提供更优的药物治疗方案**

**始于信 达于行**

Start with Integrity Succeed through Action