

海曲泊帕乙醇胺片（恒曲®）

国产1类新药，第二十五届中国专利金奖

中国首个且唯一*获批用于一线SAA的TPO-RA，填补临床空白

一线SAA人群小，对医保基金影响十分有限

江苏恒瑞医药股份有限公司

目录

CONTENTS



01 药品基本信息

申请新增适应症：是中国**首个且唯一**获批一线SAA的TPO-RA，**填补临床空白**

02 创新性

国产1类创新药，**中国专利金奖**，更优结构增效减毒

03 有效性

本品联合IST6个月CR较标准IST提高2倍以上，可更早实现血液学缓解，有效减少输血依赖

04 安全性

安全性良好可控，无肝毒性黑框警告，血栓发生风险极低

05 公平性

填补目录空白，SAA**人群小**，对医保基金影响**十分有限**

中国首个且唯一获批一线SAA的TPO-RA，填补临床空白

药品名称	海曲泊帕乙醇胺片		
注册规格	2.5mg; 3.75mg; 5mg		
注册类别	化药1类		
适应症	<p>医保目录内适应症：</p> <p>①本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症（ITP）成人患者，使血小板计数升高并减少或防止出血。</p> <p>②本品适用于对免疫抑制治疗（IST）疗效不佳的重型再生障碍性贫血（SAA）成人患者。</p> <p>本次拟新增适应症：</p> <p>③本品联合免疫抑制治疗适用于15岁及以上初治重型再生障碍性贫血（SAA）患者。</p>		
用法用量	<p>适应症①：建议初始剂量为2.5mg，每日一次。根据PLT计数调整剂量，最高不可超过每日7.5mg。</p> <p>适应症②：建议初始剂量为7.5mg，每日一次，根据PLT计数调整剂量，最高不可超过每日15mg。</p> <p>适应症③：建议初始剂量为15mg，每天一次。根据PLT计数调整剂量。</p>		
中国大陆首次上市时间	2021/06	目前大陆地区同通用名药品的上市情况	独家药品
全球首次上市国家及时间	中国	是否为OTC药品	否
参照药品建议	<p>空白参照，本品为中国首个且唯一*获批用于一线SAA的TPO-RA类药物，目录内无获批同适应症的TPO-RA。艾曲泊帕未获批一线用药，无法作为本品参照药。</p>		

*截止2026年6月

说明：PLT 血小板；TPO-RA 血小板生成素受体激动剂；用法用量基于说明书简写

此资料仅用于“2026年国家医保目录调整”申报工作

一线SAA每年**仅约2000人**，IST标准治疗下初始应答率仍较低 本品联合IST可显著提高血液学缓解率，有效减少和脱离输血依赖

疾病基本情况

- 再生障碍性贫血 (AA) 是一种骨髓造血衰竭 (BMF) 综合征，**年发病率0.74/10万人¹**，病种罕见，其中重型AA (SAA) 约占20%，**每年患者仅约2000人，适应症人群小。**
- SAA疾病负担严峻，患者起病急、病程进展快，且病死率高，严重影响患者生活质量。
- 一项中国RWS研究显示²，在当前治疗模式下，**SAA 5年生存率仅66.6%**，面临长期预后不佳的困局。

弥补未满足的临床治疗需求

- IST (ATG/ALG联合CsA) 是SAA患者一线最常用药物治疗方案。
- IST初始应答率仍相对较低，**30%以上**患者在治疗后无法恢复造血功能³。部分患者未能脱离感染、出血风险，**仍存在血制品输血依赖⁴**。
- 国内外指南推荐SAA一线非移植治疗**首选IST+TPO-RA¹**，现仅海曲泊帕为**明确获批一线SAA**的TPO-RA。

本品作为中国首个且唯一*获批一线SAA的TPO-RA，**填补临床空白**

SAA人群小，医保基金影响十分有限，纳入医保可保障这部分小群体用药公平性及可及性

说明: SAA: 重型再生障碍性贫血; IST: 免疫抑制治疗; ATG/ALG: 抗胸腺/淋巴细胞球蛋白; CsA: 环孢素A; *截止2026年6月

文献来源: [1] 中华医学会. 再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南 (2022年版); [2] Zhang XT, et al. Hematology. 2021 Dec;26(1):1025-1030. [3] Yang W, et al. Ther Adv Hematol. 2023 Jan 12;14:20406207221146031. [4]张凤奎. 中华血液学杂志. 2020;41(9):705-709

此资料仅用于“2026年国家医保目录调整”申报工作

国产1类新药，中国专利金奖，更优结构增效减毒，填补临床空白

国产**1类**创新药
优先审评品种

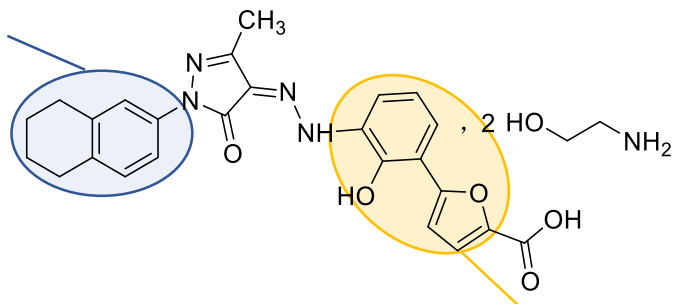
第二十五届
中国专利金奖

重大新药创制

FDA**孤儿药**资格认定
欧美出海战略*

更优结构：改构升级，增效减毒

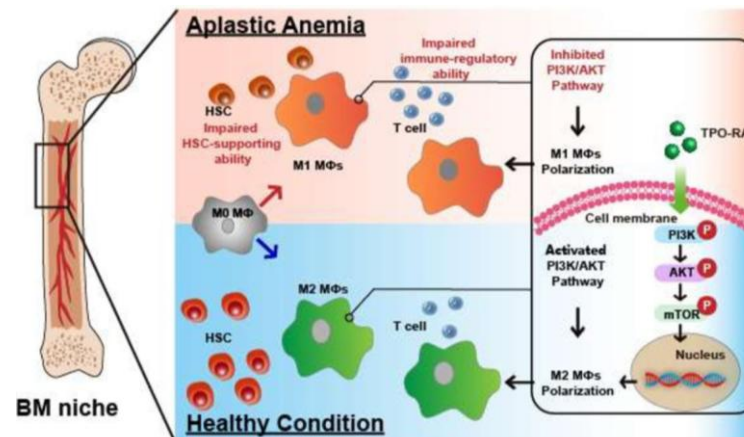
更高有效率：用苯并饱和碳环取代二甲苯，**增强亲脂性，提高药效。**



更低毒性：用杂环羧基取代联苯结构基团，**降低肝脏毒性。**

机制及应用创新：唯一获批一线SAA的TPO-RA

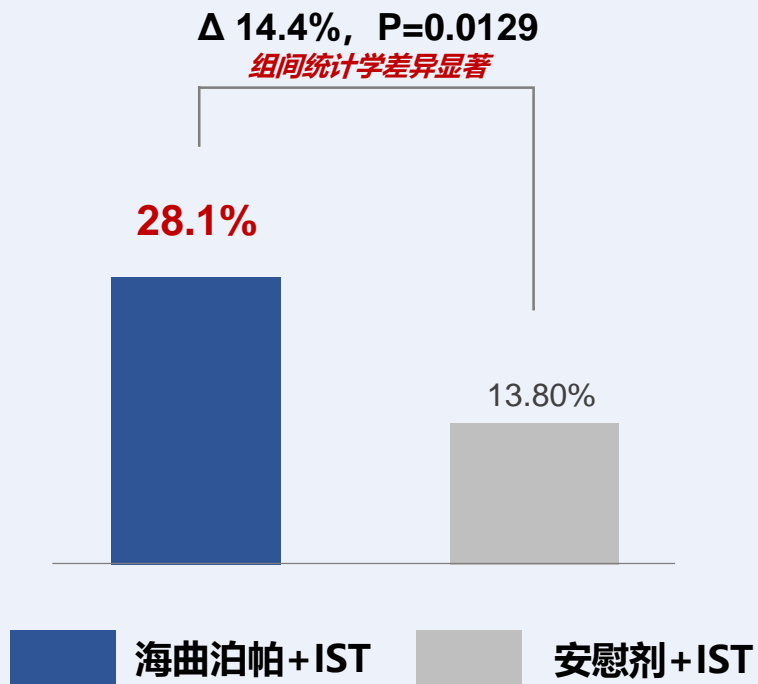
- **机制创新：**海曲泊帕可通过激活PI3K/AKT通路重塑骨髓巨噬细胞极化，恢复AA患者的造血和免疫稳态¹。
- **应用创新：**本品是国内**首个且唯一**获批一线SAA的TPO-RA，也是中国**唯一同时获批**一线、二线SAA治疗的TPO-RA类药物，助力SAA全线治疗。



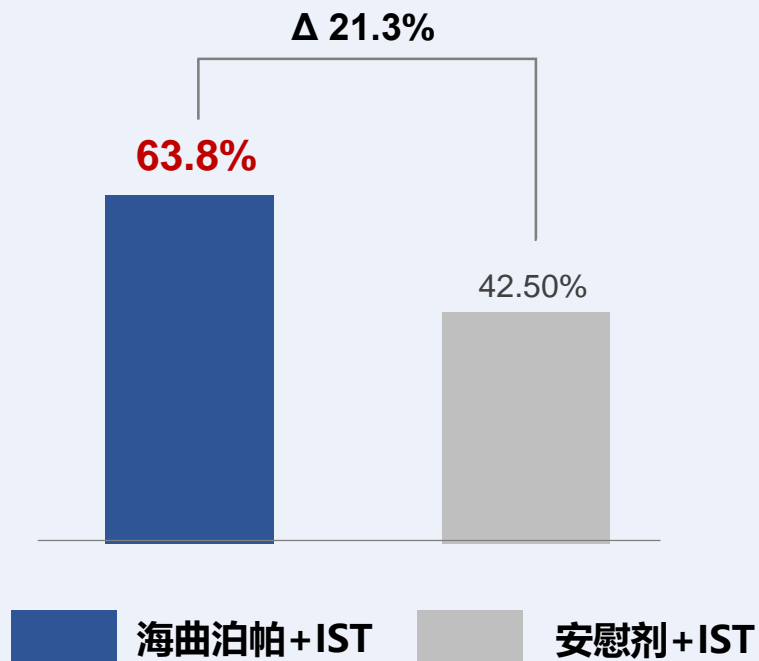
说明：*本品用于CIT的美国和欧洲国际多中心已在III期临床试验阶段；SAA：重型再生障碍性贫血；TPO-RA 血小板生成素受体激动剂；参考文献：[1] Chenyuan Li, et al. 2025 EHA #PF655.

关键III期临床数据显示，本品联合IST治疗6个月显著提升CR率及ORR率，CR率提高约2倍以上

海曲泊帕组6个月CR率显著更优



海曲泊帕组6个月ORR率显著更优

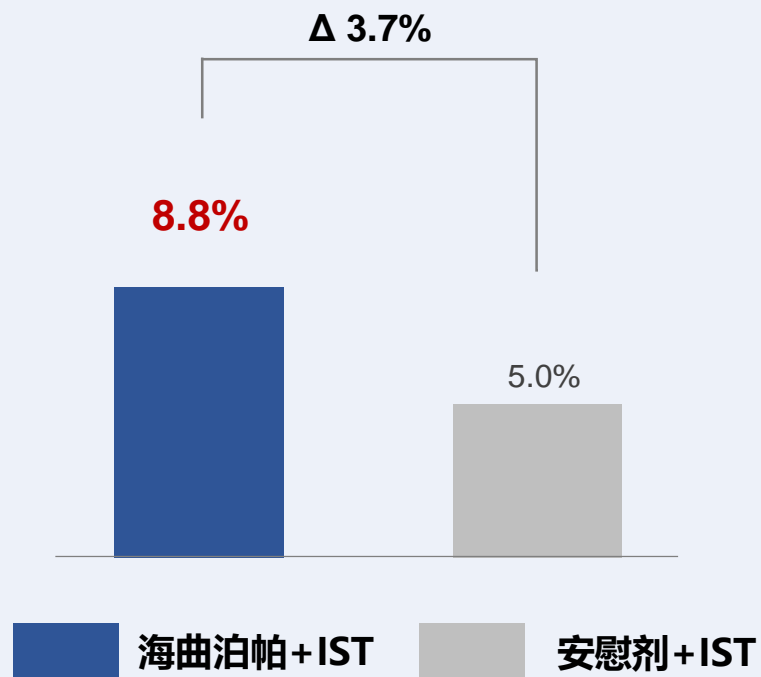


说明：CR：血液学完全缓解率；ORR：血液学总缓解率；IST：免疫抑制治疗

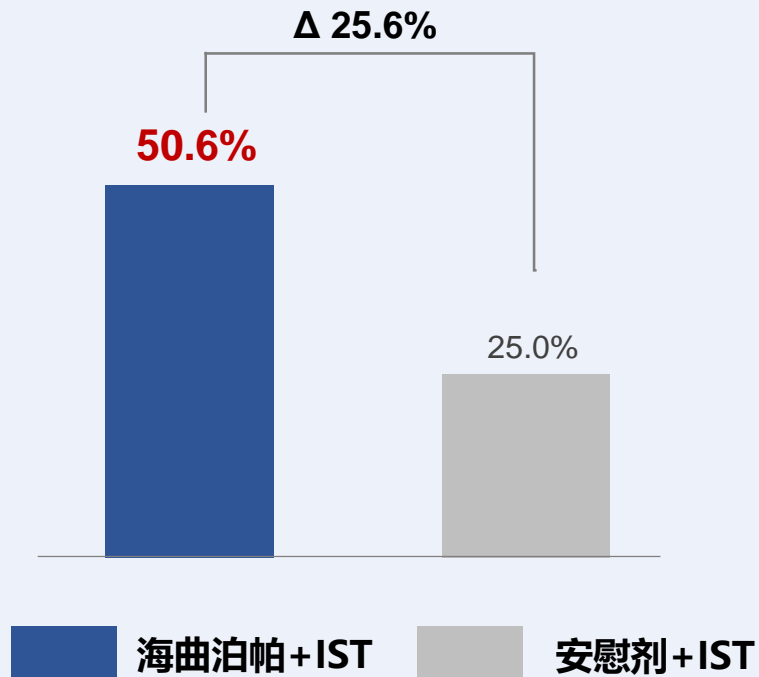
数据来源：一项随机、双盲、安慰剂对照的III期临床研究，评估海曲泊帕联合标准IST方案用于SAA患者一线治疗的疗效与安全性 Zhang FK, et al. Hemrombopag Added to Immunosuppressive Therapy in First-Line Treatment of Severe Aplastic Anemia: A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Phase 3 Trial. ASH 2024. Abstract 304

本品联合IST治疗3个月CR率及ORR率即显著优于标准IST治疗组

海曲泊帕组3个月CR率显著更优



海曲泊帕组3个月ORR率显著更优

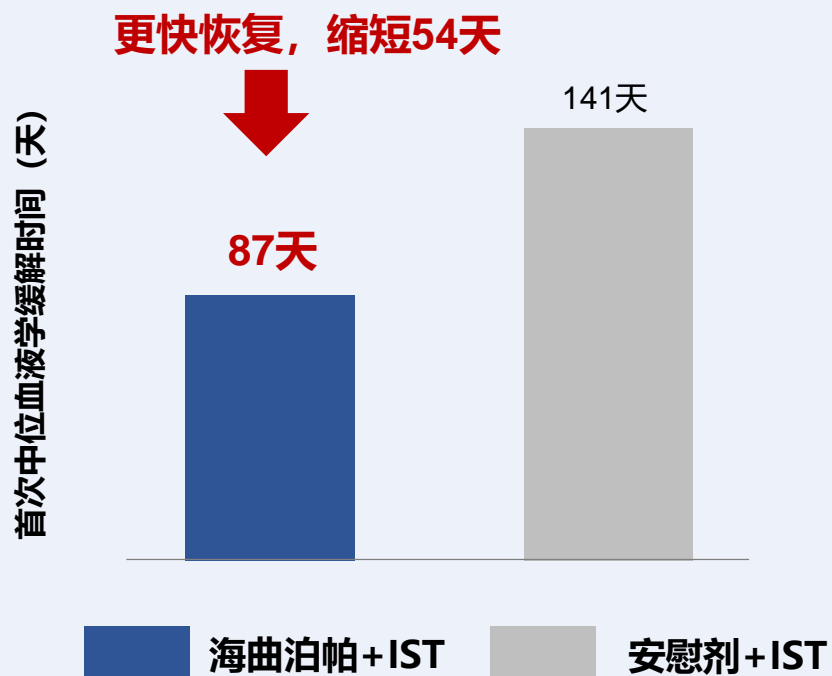


说明：CR：血液学完全缓解率；ORR：血液学总缓解率；IST：免疫抑制治疗

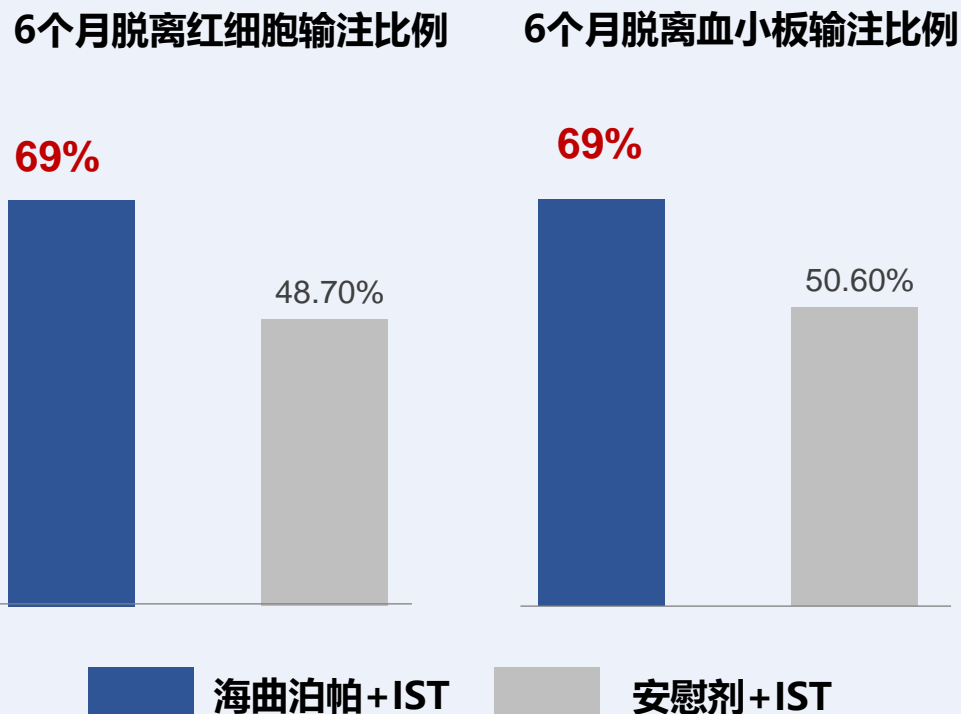
数据来源：一项随机、双盲、安慰剂对照的III期临床研究，评估海曲泊帕联合标准IST方案用于SAA患者一线治疗的疗效与安全性 Zhang FK, et al. Hectopip Added to Immunosuppressive Therapy in First-Line Treatment of Severe Aplastic Anemia: A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Phase 3 Trial. ASH 2024. Abstract 304

本品联合IST可**更早实现**血液学缓解，可**有效减少输血依赖**，从而节省医疗资源及医保基金支出

海曲泊帕组显著**缩短**血液学缓解中位时间



海曲泊帕组**脱离输血输注**患者比例更高



说明：IST：免疫抑制治疗

数据来源：一项随机、双盲、安慰剂对照的III期临床研究，评估海曲泊帕联合标准IST方案用于SAA患者一线治疗的疗效与安全性 Zhang FK, et al. Hetrombopag Added to Immunosuppressive Therapy in First-Line Treatment of Severe Aplastic Anemia: A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled Phase 3 Trial. ASH 2024. Abstract 304

本品安全性良好可控，无肝毒性黑框警告，血栓发生风险极低

说明书收载的安全性信息¹

说明书显示：本品研究中所报告的大多数不良反应的严重程度**均为轻中度**。

常见不良反应（发生率≥3%）包括：丙氨酸氨基转移酶升高，血胆红素升高，天门冬氨酸氨基转移酶升高，血乳酸脱氢酶升高，血小板计数升高和高尿酸血症，肝功能异常，γ谷氨酰转移酶升高，血碱性磷酸酶升高和头痛。

药品不良反应监测情况

自2021年6月在中国获批上市以来，药监部门未发布安全性警告、黑框警告、撤市等信息。

特别关注的药物不良反应

肝肾毒性低：

- 本品**无肝毒性黑框警告**¹，较艾曲泊帕肝毒性黑框警告安全性更优。
- 两项一线SAA研究共纳入279位患者^{2,3}，证实海曲**肝脏安全性**较艾曲更好。
- 本品仅8.62%经尿液代谢¹，对肾功能影响较小。

血栓风险低：

- 说明书报道：本品血栓发生率**仅0.4%**^{1*}，远低于艾曲泊帕5.5%⁴，阿伐曲泊帕7%⁵，芦曲泊帕1%⁶。
- 一项Meta分析⁷显示在接受TAs治疗的成人ITP患者中海曲泊帕**血栓风险最低**，且是唯一未增加血栓风险的TPO-RA类药物，血栓发生率仅0.3%。

SAE：

- 一项Meta分析⁸显示在接受TAs治疗的成人ITP患者中海曲泊帕**SAE发生率最低**。

文献来源：TAs, 促血小板生成药物 *基于说明书5项临床试报告血栓类不良事件计算所得；[1] 海曲泊帕乙醇胺片最新说明书；[2] Jingnan Sun, et al. 2025 EHA abstract#PS1660; [3] Baohang Zhang, Wenrui Yang et al. 28 October 2024, PREPRINT (Version 1) available at Research Square .[4] 艾曲泊帕乙醇胺片说明书；[5] 马来酸阿伐曲泊帕片说明书；[6] 芦曲泊帕片说明书；[7] Dong Y et al. Thrombosis Journal. 2023 Jun;21(1):69. [8] Zhou, X., et al. Expert Review of Hematology, 19(1), 33-45.

填补目录空白，SAA人群小，对医保基金影响十分有限

促进公共健康

- SAA疾病负担严峻，患者起病急、病程进展快，且病死率高。
- 本品可帮助患者减轻疾病负担、有效减少和脱离输血依赖，从而**节省医疗资源及医保基金支出**。

填补目录空白

- **填补目录空白**：本品是中国**首个且唯一***获批一线SAA的TPO-RA。
- 本品为**唯一同时获批**一线、二线SAA治疗的TPO-RA类药物，二线SAA已由附条件批准转常规批准，助力SAA患者全线治疗。

符合“保基本”原则

- 国内外指南均推荐SAA一线非移植治疗首选IST+TPO-RA，仅本品为**明确获批**一线SAA的TPO-RA药物，符合保基本原则。
- SAA**人群小**，对医保基金**影响极小**，纳入医保可保障小群体用药公平性及可及性。

临床管理难度低

- **已纳入医保目录四年**，临床及医保管理经验丰富
- **临床管理难度小**：适应症明确，优化临床治疗选择；无临床滥用风险，口服剂型，临床使用更便捷。



国内首个且唯一*获批一线SAA的TPO-RA，填补临床空白

血液学缓解率显著优于标准IST，安全性良好

一线SAA每年仅约2000人，对医保基金影响极小

江苏恒瑞医药股份有限公司

*截止2026年6月
此资料仅用于“2026年国家医保目录调整”申报工作