

芦沃美替尼片（复迈宁®）

上海复星医药产业发展有限公司

获“突破性疗法”、“优先审评”、“星光计划”、“新优药械”多项权威创新认证

儿童LCH为《第一批罕见病目录》病种（目录编号：60）

芦沃美替尼为全球**首个且唯一**获批用于儿童罕见病LCH的药物

填补复发或难治LCH领域**治疗空白**，提高罕见病用药保障

申请协议期内拟新增适应症：

用于2岁及2岁以上经系统治疗后复发或难治的朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）儿童及青少年患者

目录

01

基本信息

- **全球首个且唯一**获批用于2岁及以上经系统治疗后复发或难治的朗格汉斯细胞组织细胞增生症（LCH）儿童及青少年的药物
- 协议期内拟新增适应症，医保目录内**无同适应症药品**，建议空白对照

02

安全性

- 整体安全性良好且风险可控，复发或难治LCH患儿**不良反应多为1-2级**，临床易管理，**无导致永久停药或死亡的不良反应**
- 上市以来未提示超出现行版说明书范围的新安全性信号

03

有效性

- 目前唯一经注册研究充分验证对复发或难治的儿童朗格汉斯细胞组织细胞增生症有效性的药物
- **高效持久缓解**，客观缓解率90.5%，完全代谢缓解率69%，12个月PFS率97.8%
- **广泛覆盖不同基因亚型**，患者ORR（客观缓解率）均在90%以上
- 有效**提升患儿生命质量**，PedsQL_{TM}评分随治疗较基线均呈现改善趋势

04

创新性

- 全球首个且唯一拥有儿童朗格汉斯细胞组织细胞增生症适应症的药物
- 结构三大创新，减少非特异性适配，更高效，提高安全性和代谢稳定性
- 儿童LCH适应症获得CDE**突破性治疗**认定并纳入**优先审评**，LCH被纳入CDE“**星光计划**”试点项目，被纳入上海市生物医药“**新优药械**”产品目录

05

公平性

- 儿童LCH为《**第一批罕见病目录**》病种，芦沃美替尼片可**填补**复发或难治的LCH患儿**治疗空白**，提高儿童罕见病用药保障
- 深度持续缓解，极具**儿童健康发展战略价值**，积极响应《中国儿童发展纲要（2021-2030）》
- 患儿每日仅需用药一片，简化治疗方案，用药便捷
- **改善**患者及家庭**生活质量**和心理健康，减少照护者生产力损失，极具社会意义

芦沃美替尼是全球首个且唯一获批复发或难治儿童LCH适应症的突破性靶向药物，填补临床空白；医保目录内暂无同适应症药品

药品基本信息

药品名称	通用名：芦沃美替尼片 商品名：复迈宁®
注册分类	化药1类
作用机制	MEK1/2抑制剂
剂型及规格	片剂；1mg, 4mg (主规格)
说明书适应症	朗格汉斯细胞组织细胞增生症和组织细胞肿瘤 ✓ 朗格汉斯细胞组织细胞增生症 (LCH) 和组织细胞肿瘤成人患者 (已在目录) ✓ 2岁及2岁以上经系统治疗后复发或难治的朗格汉斯细胞组织细胞增生症 (LCH) 儿童及青少年患者 (本次申请新增) 伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤的 I 型神经纤维瘤病 ✓ 2岁及2岁以上伴有症状、无法手术的丛状神经纤维瘤 (PN) 的 I 型神经纤维瘤病 (NF1) 儿童及青少年患者 (已在目录)
用法用量	1. 成人患者：推荐剂量是8mg，口服，每日一次； 2. 儿童及青少年患者：按体表面积 (BSA) 给药，单次的推荐剂量是5mg/m ² (单次最高剂量为8mg)。口服，每日一次，空腹或与食物同服均可
专利到期时间	2034年4月
上市许可持有人	上海复星医药产业发展有限公司
中国大陆首次上市时间	2025年5月
是否为独家	是

参照药品建议-空白对照

医保目录内**无**同适应症药品

- 芦沃美替尼为中国**首个且唯一**拥有复发或难治的儿童LCH适应症的药物
- 填补临床空白**，暂无同适应症产品获批或纳入医保目录

其他MEK抑制剂不适合作为参照药

目录内其他MEK抑制剂包括硫酸氢司美替尼胶囊：

- ✓ 硫酸氢司美替尼胶囊报销限定3岁及以上伴有症状、无法手术的PN的NF1

朗格汉斯细胞组织细胞增生症 (LCH) 被纳入《第一批罕见病目录》， 儿童患者治疗预后差、复发率高，二线治疗选择有限，亟需靶向治疗药物



疾病信息

疾病基本情况

朗格汉斯细胞组织细胞增生症 (LCH) 是由髓系来源的CD207阳性组织细胞克隆性扩增引起的一种**罕见炎性肿瘤性疾病**，为《**第一批罕见病目录**》病种之一。

60	朗格汉斯组织细胞增生症	Langerhans Cell Histiocytosis
----	-------------	-------------------------------

流行病学¹⁻²

LCH可见于任何年龄层，以幼儿发病率较高，15岁以下儿童的LCH年发病率为4.6例/100万，发病高峰年龄为1~4岁，且男性略多（男：女=1.2：1），由于局部疾病经常自发消退，患病率可能高于报道。

疾病负担⁴⁻⁷

长期后遗症高发，神经功能严重受损

- 约50%的LCH患儿至少报告一项长期后遗症，多系统受累患者中更为常见；
- 常见神经性病变，可导致小脑性共济失调、高级学习能力受损甚至终身卧床

内分泌系统损害，严重影响患儿生长发育

- **生长激素缺乏**：引起线性生长迟缓，最终身材矮小，病情越重影响越大
- **促性腺激素缺乏**：导致青春期不发育或发育中断

患儿及家庭生活质量严重受损

- LCH患儿普遍存在严重疲劳、长期疼痛、抑郁、注意力缺陷等问题
- 一项针对中国LCH患儿的研究结果显示21.7%的LCH患儿存在行为和情绪问题，年龄小于4岁的患儿出现此类问题的风险更高。



临床未满足需求

01 一线治疗方案复发率高，且高危患儿疗效不佳^{4,8-10}

一线治疗金标准



长春碱+糖皮质激素联合化疗
(LCH-III方案)

- ✓ **复发率高^{4,8,9}**：多项临床研究结果显示24%~39%的患儿对一线治疗反应无效，5年复发率为29.3%~47%；存在BRAF^{V600E}突变或高危器官受累的患者复发风险更高
- ✓ **疾病进展快^{4,10}**：患儿的5年无进展生存率为54.5%~67.5%；其中伴高危器官受累的患儿5年无进展生存率可低至25.0%

02 复发难治是LCH治疗的核心挑战，现有治疗选择非常有限^{10,11}

无标准治疗：对于复发难治性LCH，临床长期处于无标准治疗的艰难境地
系统化疗毒副作用明显，循证证据有限：常用阿糖胞苷+克拉屈滨联合化疗方案，普遍伴随严重的血液学毒性（如骨髓抑制），均为超适应症用药，且临床循证证据有限
复发难治患儿预后差：约40%-50%的复发难治LCH患者会至少经历一次复发

**芦沃美替尼复发或难治儿童LCH适应症的获批填补了该领域治疗空白
为患儿提供有效、安全可控的靶向药物选择**

1. Krooks J, et al. J Am Acad Dermatol. 2018 Jun;78(6):1035-1044.
2. Allen, et al. New England Journal of Medicine 379.9 (2018): 856-868.
3. Sveijer M, et al. Blood Neoplasia. 2025;2(3):100098. Published 2025 Apr 3. doi:10.1016/j.bneo.2025.100098
4. Li S, et al. BMC Pediatr. 2026;26(1):265. Published 2026 Feb 27. doi:10.1186/s12887-026-06642-8

5. 张利平,等.中国循证儿科杂志,2025,20(06):437-443.
6. Dabas A, et al. Indian J Pediatr. 2016;83(7):657-660.
7. Alexander A, et al. J Paediatr Child Health. 2024;60(1):24-27

8. Cui L, et al. Am J Hematol. 2023;98(4):598-607. doi:10.1002/ajh.26829
9. Rigaud C, et al. Br J Haematol. 2016;174(6):887-898. doi:10.1111/bjh.14140
10. 唐文静,等.儿科药理学杂志,2022,28(10):52-56.DOI:10.13407/j.cnki.jpj.1672-108X.2022.10.015
11. Monsereenusorn C, et al. Asian Pac J Cancer Prev. 2024 May 1; 25(5): 1831-1839.

芦沃美替尼整体安全性良好，常见不良反应大多为1/2级，临床易管理，无导致永久停药或死亡的不良反应

芦沃美替尼片整体安全性良好且风险可控

1 说明书收载的安全性信息¹均为常见易处理的不良反应

- ✓ 最常见的任何级别的不良反应（发生率≥25%）为：皮疹、血肌酸磷酸激酶升高、甲沟炎、天门冬氨酸氨基转移酶升高和贫血，**经过剂量调整和暂停用药后可有效管理**
- ✓ 无发生率≥5%的3级以上不良反应
- ✓ 无患者发生导致永久停药的不良事件

2 上市以来未提示超出现行版说明书范围的新安全性信号

- ✓ 上市近1年以来**未收到**国家药品监管部门发出的**黑框警告**或**撤市等监管通知**
- ✓ 在持续进行的常规药物安全监测中，**未提示超出其现行版说明书范围的新的药物安全性信号**；持有人将持续监测与芦沃美替尼相关的安全性信息

复发或难治性儿童LCH患者三级以上TRAE发生率低

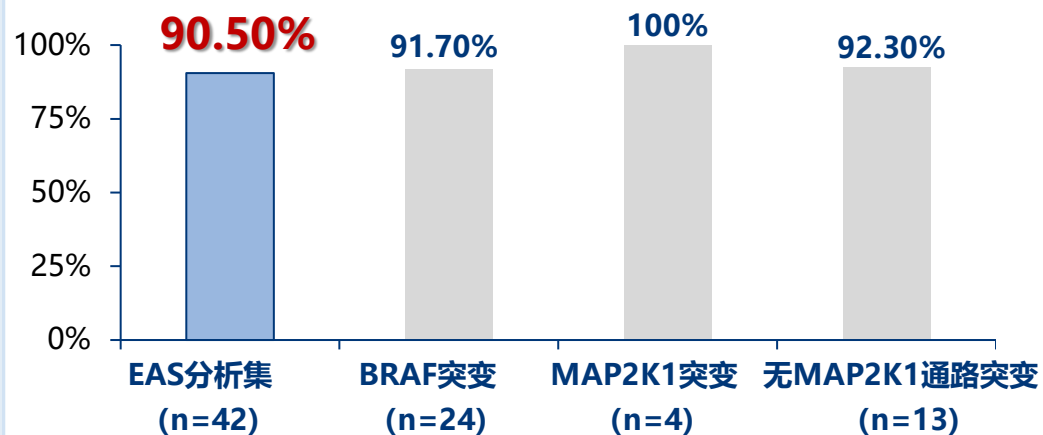
中国II期临床试验^{2,3}不良反应发生情况

- 与研究药物相关的相关不良事件（TRAE）大多为1/2级，3级及以上TRAE比例仅8.7%，仅1例患者发生与研究药物相关的4级TRAE，无5级TRAE发生
- 无导致永久停药的TRAE；无患者发生导致死亡的TRAE

安全性结果	芦沃美替尼儿童LCH II期研究 (N=46)
≥3级TRAE	4 (8.7%)
血肌酸磷酸激酶升高	2 (4.3%)
天门冬氨酸氨基转移酶升高	1 (2.2%)
皮疹	1 (2.2%)
淋巴结病	1 (2.2%)
导致剂量降低的TRAE	5 (10.9%)
导致终止给药的TRAE	0
导致死亡的TRAE	0

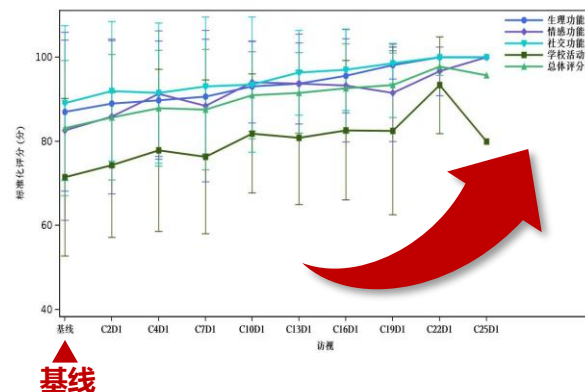
中国人群II期研究显示复发或难治儿童LCH使用芦沃美替尼后起效迅速、ORR高达90.5%，各基因型亚组均获深度缓解，生命质量明显改善

由IRC评估的ORR

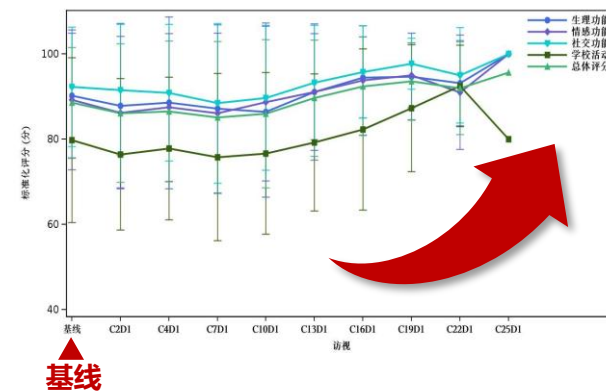


生活质量评分

PedsQL™ 生活质量评分曲线图 (儿童自评)



PedsQL™ 生活质量评分曲线图 (家长代评)



起效迅速

- ✓ 中位至应答时间 (mTTR) 为1.018个月 (范围 0.85-8.51)

明显改善患儿生命质量

- ✓ ITT分析集PedsQL™分析结果显示, 经治疗后儿童评估和家长评估的各评估子项 (包括生理功能、情感功能、社交功能、学校活动和总体评分) 较基线均呈现改善趋势

有效控制疾病进展

- ✓ ITT分析集 (n=46) 中12个月PFS率达97.8% (95% CI 85.6%, 99.7%)

应答显著, 且各基因型亚组疗效表现一致

- ✓ 由IRC评估的**客观缓解率 (ORR) 为90.50%** (95%CI 77.4%, 97.3%), 其中69.0%的患者获得完全代谢缓解 (CMR)
- ✓ **BRAF/MAP2K1突变及野生型亚组患者均获深度缓解**, ORR 91.7%-100%

国内外权威指南共识均推荐使用MEK抑制剂用于治疗复发或难治LCH患儿

有效性
②

朗格汉斯细胞组织细胞增生症 (LCH) 收录于国家卫生健康委员会发布的《第一批罕见病目录》 (目录编号: 60)

- 针对复发难治LCH患儿**暂无标准治疗方案**, 且**循证依据有限**, 临床多使用克拉屈滨联合阿糖胞苷方案
- 克拉屈滨+阿糖胞苷联合化疗方案的反应率为76.9%~90.0%, 5年无事件生存率为52.9%-88.9%¹
- 中国**此前暂无获批可用于治疗复发或难治儿童LCH的靶向药物**

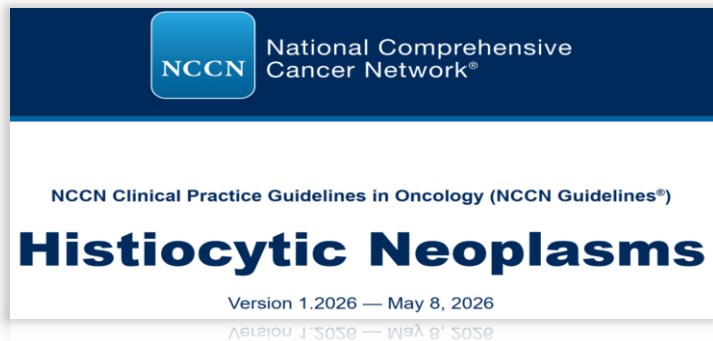
国际及国内权威指南一致推荐MEK抑制剂用于复发或难治性LCH患儿



美国国家综合癌症网络临床实践指南 (NCCN) 2026V1²

多系统或单系统肺受累LCH: 推荐使用**MEK抑制剂**用于一线及后线治疗 (2A)

存在中枢神经系统病变的LCH: 推荐使用**MEK抑制剂**用于一线及后线治疗 (2A)



儿童朗格罕细胞组织细胞增生症诊断及治疗指南 (2026) ¹

推荐意见12: “可考虑使用BRAF V600E 抑制剂或 **MEK1/2 抑制剂**治疗携带BRAF基因V600E变异或其他MAPK通路相关基因变异的难治或复发性LCH 患儿, 但需注意停药后复发率较高的问题 (*证据等级2b, 推荐强度B*) ”



资料来源:

1. 中华医学会儿科学分会血液学组. 儿童朗格罕细胞组织细胞增生症诊断及治疗指南 (2026) [J]. 中华儿科杂志, 2026.
2. Histiocytic Neoplasms NCCN guidelines 2026.V1

全球首个且唯一获批复发或难治儿童LCH适应症的药物，荣获多项权威创新认证，三重创新结构多线提升药物性能，口服剂型患儿给药便捷

芦沃美替尼片已获多项权威创新认证

1 儿童LCH适应症获得 CDE突破性治疗认定，并被纳入优先审评审批程序

受理号	CXHL2300081	药品名称	FCN-159片
药品类型	化药	注册分类	1
申请日期	2025-03-27	承办日期	2023-01-15
公示日期	2025-04-29	公示截止日期	2025-05-09
是否为罕见病药物	是		
适应症(或功能主治)	儿童树胶状细胞组织细胞增生症 (Langerhans cell histiocytosis, LCH)		
理由及依据	经审查，本申请符合《药品注册管理办法》和《国家药监局关于发布突破性治疗药物审评工作程序（试行）等三个文件的公告》（2020年第82号），同意纳入突破性治疗的程序。		

突破性治疗

受理号	CXHL2500140	药品名称	芦沃美替尼片
剂型	片剂		
申请人	上海复星医药产业发展有限公司	申报日期	2025-10-31
中心承办日期		公示日期	2025-11-04
是否为罕见病药物	是		
适应症(或功能主治)	本品适用于7岁及以下或以上年龄的儿童树胶状细胞组织细胞增生症 (LCH) 儿童患者		
推荐理由	经审查，本申请符合《药品注册管理办法》和《国家药监局关于发布突破性治疗药物审评工作程序（试行）等三个文件的公告》（2020年第82号）有关规定，同意纳入优先审评审批程序。		
备注	本品为罕见病药物		
机构	FDA		

优先审评审批

2 芦沃美替尼的儿童LCH及低级别脑胶质瘤适应症纳入 CDE“星光计划”试点项目



即“儿童抗肿瘤药物研发鼓励试点计划”

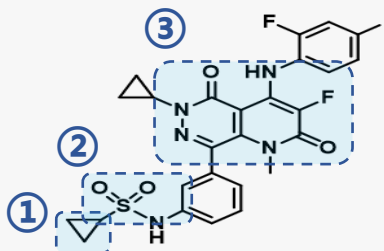
3 芦沃美替尼入选上海市生物医药“新优药械”产品目录

《上海市生物医药“新优药械”产品目录》
(第六批)

序号	产品名称	批准文号/注册证编号	企业名称	产品属性
2	芦沃美替尼片	国药准字 H20250025 国药准字 H20250026	上海复星医药产业发展有限公司	药品

该目录聚焦创新性强、技术含量高、临床价值显著、市场前景广阔的生物医药产品

三大结构创新



芦沃美替尼分子结构

- ① **双环丙基结构**: 增加空间位阻，稳固化学结构
- ② **磺酰胺键**: 减少有害代谢产物，改善口服吸收度
- ③ **咪唑类结构**: 增强其他药效团活性

选择性



安全性



代谢稳定性



创新点带来的患者获益

- ✓ 三大创新结构协同提升药物选择性、安全性和代谢稳定性
- ✓ 不经CYP酶代谢，经葡萄糖醛酸化代谢，代谢途径单一，合并用药禁忌少
- ✓ 半衰期长，儿童患者每日仅需用药一片，无需掰分或特殊操作，临床给药便捷

芦沃美替尼可填补国家医保目录空白，符合“保基本”原则，同时提高罕见病患儿用药保障，帮助患儿回归正常生活，减少经济和社会负担



提升公共健康水平

- 儿童朗格汉斯细胞组织细胞增生症属于 **《第一批罕见病目录》** 病种（目录编号：60）
- 朗格汉斯细胞组织细胞增生症患儿常因缺乏有效治疗手段而面临预后差、遗留多项长期后遗症的困境，传统放化疗及骨髓移植的疗效有限
- 芦沃美替尼可实现**高效持久缓解**，**有效控制疾病进展**，**改善患儿生活质量**，助力患儿及家庭回归正常生活
- **推动复发难治LCH规范性诊疗**发展的同时，让患儿群体得到更好的获益



填补医保目录空白

- 国内外暂**无**针对复发或难治LCH儿童的标准疗法，全球此前**无**获批复发或难治儿童LCH适应症的药物
- 目前**首个且唯一**拥有儿童LCH适应症的药物，有效填补现有医保目录空白
- 国际及中国权威指南均推荐MEK抑制剂用于复发或难治的LCH患儿



符合“保基本”原则

- 芦沃美替尼起效迅速，客观缓解率高，不同基因亚型患者客观缓解率均在90%以上，且安全性良好可控，有效**弥补**复发难治性LCH儿童**临床治疗领域空白**
- 芦沃美替尼纳入国家医保目录可丰富临床治疗选择，**弥补儿童专用药少的短板**，改善药物可及性
- 复发或难治的儿童LCH患者**人群小**，医保基金影响较为有限



临床管理难度低

- 适应症明确，说明书中对用法用量、监测及剂量调整要求规定明确，**临床管理难度低**
- 口服平片剂型，儿童患者每日**仅需用药一片**，无需掰分或特殊操作，服药依从性高，临床**给药便捷**