



申请简易续约及简易新增适应症

维奈克拉片 (唯可来®)

艾伯维医药贸易（上海）有限公司

简易续约

一线不适合强诱导化疗急性髓系白血病 (unfit AML)



目录内**唯一** 一线unfit AML新型靶向药, 已成为**标准疗法**



减少输血依赖和感染发生, 实现**医保基金净节省**

简易新增

既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL



适应症**人群极小**, 仅为AML适应症人群的**3%**



唯一明确获批既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL适应症的BCL-2抑制剂



提升患合并症、肝肾功能受损等特殊人群的**用药安全**

abbvie

FOR INTERNAL USE ONLY.

目录

- 1 基础信息** 本品**主适应症为一线unfit AML**，拟**新增**既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL适应症**人群为主适应症的3%**
- 2 有效性** 治疗既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL，中位OS超5年，**入组患者更高危的情况下，疗效仍优于同机制产品**
- 3 安全性** 本品为**唯一**在**肝肾功能受损和联用CYP3A抑制剂患者中有扎实临床证据、治疗全程可使用的BCL-2抑制剂**
- 4 创新性** **First-in-class**突破性创新，且为**全球唯一同时覆盖AML和既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL适应症的BCL-2抑制剂**
- 5 公平性** **AML：一线unfit AML标准治疗**，预计未来近3年，无同机制、同适应症产品获批
CLL：唯一有证据用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL特殊人群的BCL-2用药

维奈克拉新适应症既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL人群极小，一线 unfit AML为维奈克拉主适应症

通用名(商品名)	维奈克拉片(唯可来®)
适应症	<ul style="list-style-type: none"> 本次目录调整拟新增适应症: 既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的成人慢性淋巴细胞白血病或小淋巴细胞淋巴瘤患者(CLL/SLL) 目录内适应症(医保支付限定): 限成人急性髓系白血病患者(AML), 已于2022年谈判准入医保目录
注册规格	10mg; 50mg; 100mg(前次谈判主规格)
药品/适应症全球首个上市国家及上市时间	美国, 2016年4月
中国大陆首次上市时间	<ul style="list-style-type: none"> 2025年6月30日(本次新增适应症) 2020年12月(AML适应症)
大陆地区同通用名药品上市情况	无, 独家药品
是否为OTC药品	否

用法用量¹



既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL: 本品需5周剂量爬坡给药, 第1周每天20mg, 第2周每天50mg, 第3周每天100mg, 第4周每天200mg, 第5周及以后为400mg, 本品推荐剂量为400mg, 每日一次。

一线 unfit AML: 本品第1个疗程的第1-3天为剂量爬坡期。在每个疗程的第1-7天本品需与阿扎胞苷联用。本品每日剂量: 1) 第1天100mg, 第2天200mg, 第3天400mg; 第4天及以后: 每天400mg, 一日一次, 每个疗程28天。

一线 unfit AML是维奈克拉主适应症

维奈克拉覆盖的既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL适应症仅为AML适应症人群的3%

目录内适应症

一线 unfit AML

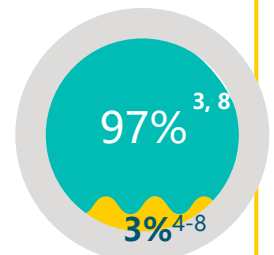
- 维奈克拉是目录内**唯一**一线 unfit AML 创新靶向药
- AML领域标准疗法, **临床处方比例接近80%²**, 市场份额大

新增适应症

既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL

- 适应症为疾病**后线且有突变限制**, 人群有限
- CLL/SLL领域**市场竞争激烈**, 考虑市场份额, 维奈克拉覆盖患者进一步缩小

维奈克拉患者组成



既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL患者属于高危群体，临床未满足需求高；医保目录内无同机制、同适应症药品，建议给予维奈克拉空白参照

临床未满足需求高，目录内暂无可替换机制

既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL患者是预后最差的高危群体

中位生存期短：仅为一般患者的 **1/3**

~10年

CLL/SLL患者¹

<3年

伴17P缺失经治的CLL/SLL²

BTKi经治耐药/复发患者，目录内无其他机制药物可用

- BTK抑制剂是CLL/SLL一线治疗或化疗进展后的首选药物
- 患者经一线BTK抑制剂治疗进展后，国内外权威指南均明确推荐换用如维奈克拉在内的其它机制药物³⁻⁴，医保目录内尚无被指南推荐的治疗选择。

新增适应症参照药建议：空白参照

医保目录内**无同机制、同适应症**药品

中国**首个且唯一**获批同时用于一线unfit AML和既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL的**BCL-2抑制剂**

《申请上市技术审评报告》-获益与风险评估

“伴17p del是CLL最重要的不良预后因素之一，此前国内尚无针对伴17p del复发或难治性CLL人群适应症的**药物**获批，**维奈克拉**作为**首个BCL-2抑制剂**，可以**填补**中国伴17p del复发或难治性CLL人群中**无药可用的空白**。”

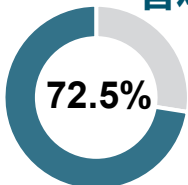
维奈克拉是唯一明确获批用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL高危患者的BCL-2抑制剂，达到高效、深度缓解，BCRi经治患者同样获益



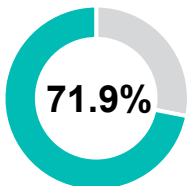
- **M14-728研究**（中国注册研究，一项中国人群为主的多中心、单臂、开放标签、II期临床试验）
- 共纳入69名伴有17P缺失的复发难治CLL/SLL成人患者，46%为既往BCRi（主要为BTK抑制剂）治疗失败的患者，25%为氟达拉滨原发耐药患者
- 干预方案：维奈克拉**单药治疗**（5周剂量爬坡，目标剂量每日400mg，持续用药直至疾病进展或无法耐受）

高效缓解¹⁻² BCRi经治人群获相同疗效

客观缓解率 (ORR)



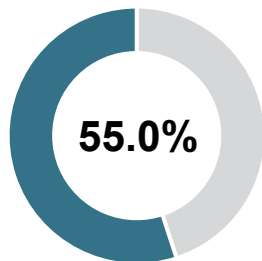
总体人群
ORR 72.5%
(50/69)



BCRi经治人群²
ORR 71.9%
(23/32)

深度缓解 外周血MRD阴性率高达55%¹

外周血微小残留病 (MRD) 阴性率



uMRD 55.0%
(38/69)

延长生存 患者中位PFS高达22.5个月¹⁻²

中位无进展生存期 (PFS)

总体人群
(n=69)

22.5个月



BCRi经治人群
(n=32)

19.0个月



唯一入组**100%伴17P缺失高危CLL患者群体**的注册研究，维奈克拉入组患者基线更差，而疗效与新上市同机制产品相比**仍保持优势**，充分体现其在“既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL”高危患者中的突破性疗效提升

国际临床试验及长期随访数据证实维奈克拉单药可为既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL高危患者带来显著生存获益，获国内外权威指南优先推荐



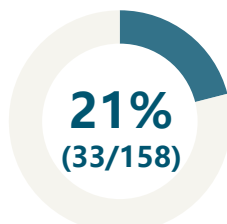
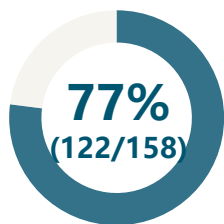
M13-982研究 (全球多中心单臂II期试验)

- 共纳入158名CLL/SLL成人患者 (其中153名为R/R CLL/SLL成人患者; 100%的患者伴17P缺失)
- 中位随访时间: 6年
- 干预方案: 维奈克拉单药治疗 (5周剂量爬坡, 目标剂量每日400mg, 持续用药直至疾病进展或无法耐受)

疗效显著¹

ORR

CRR

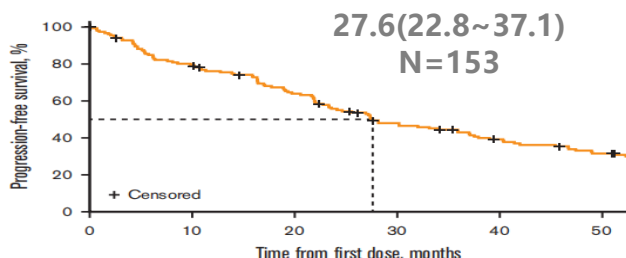


伴17P缺失的CLL/SLL患者

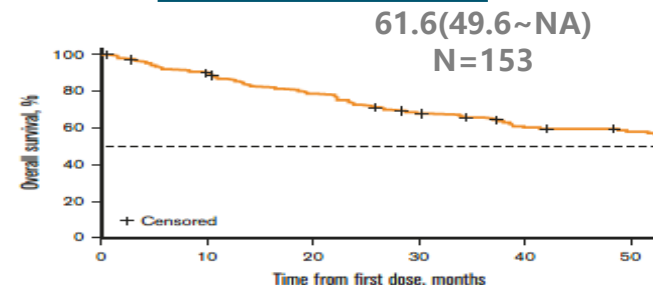
6年长期随访结果 证实维奈克拉单药治疗

既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL患者可显著延长患者生存时间¹

中位PFS长达 **27.6个月**



中位OS超过 **5年**



伴17P缺失R/R CLL/SLL患者

维奈克拉方案在既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL患者的治疗中得到国内外权威指南优先推荐



中华医学会²



中国临床肿瘤学会³⁻⁴



National
Comprehensive
Cancer
Network[®]

美国国立综合癌症网络⁵



GOOD SCIENCE
BETTER MEDICINE
BEST PRACTICE

欧洲肿瘤内科学会⁶

维奈克拉是唯一在肝肾功能受损患者中有扎实临床证据、肝肾负担最轻的BCL-2抑制剂

CLL患者合并肝肾功能受损



中老年群体肝、肾相关疾病的患病率分别为10.2%和7.4%¹，因此药物肝肾负担尤其需要关注

维奈克拉有丰富临床证据和使用经验，肝肾损伤患者用药无虞

- 维奈克拉肝脏代谢负担较小，在轻中度肝功能受损及任意级别肾功能受损患者中，**无需调整剂量**
- 同机制产品在特殊人群中**缺乏使用经验，风险更大、限制更多**

肝肾功能受损用药剂量		维奈克拉 ²	索托克拉 ³	利沙托克拉 ⁴
肝功能受损	轻度	不建议调整剂量	不建议调整剂量	不建议调整剂量
	中度	不建议调整剂量	经验有限 谨慎使用	避免使用
	重度	剂量降低50%	尚无临床研究数据	避免使用
肾功能受损	轻度	无需剂量调整	不建议调整剂量	不建议调整剂量
	中度		经验有限 谨慎使用	不建议调整剂量
	重度		尚无临床研究数据	避免使用

真实世界应用证明持续获益 TLS事件为0

86个

国家或地区批准上市既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL适应症，**无因安全性事件撤药或撤市。**

5年

中国临床使用经验，上市后监测未发现新的或显著安全性问题。


真实世界研究证明，通过规范管理，遵循5周剂量递增方案及相应预防性措施⁵：

TLS发生率为0

基于一项真实世界研究，纳入110例CLL患者，患者中位年龄62岁，低/中肿瘤负荷患者占比分别为73.6%/26.4%

联用CYP3A抑制剂时，维奈克拉是唯一治疗全程均可使用的BCL-2抑制剂，使用限制最小，可满足合并感染、慢病的CLL患者的用药需求

合并感染、慢病的CLL患者治疗需联用CYP3A抑制剂

 **感染高发：**80%的CLL患者在患病全程中会经历严重感染事件，需要联用**抗真菌药物或抗生素**

 **心脑血管疾病高发：**≥70岁居民心脑血管疾病患病率为39.11%，需联用心脑血管疾病药物



CYP3A抑制剂：

- 抗真菌药（酮康唑、氟康唑等）
- 大环内酯类抗生素（环丙沙星、克拉霉素等）
- 心脑血管疾病药物（维拉帕米、地尔硫卓、胺碘酮等）

联用CYP3A抑制剂，唯一治疗全程均可使用的BCL-2抑制剂*

- 对于需联用CYP3A抑制剂的**易感染和慢病患者**，维奈克拉是**唯一在给药爬坡期和稳定期均可使用的BCL-2抑制剂**，受CYP3A抑制剂影响小
- 同机制产品在联用CYP3A抑制剂的情况下，**无法全程使用**

联用CYP3A抑制剂 用药剂量		维奈克拉 ³ 目标剂量400mg	索托克拉 ⁴ 目标剂量320mg	利沙托克拉 ⁵ 目标剂量600mg
起始和爬坡期	中效CYP3A抑制剂	 考虑替代药物或 降低剂量至少1/2	避免使用	避免使用
	强效CYP3A抑制剂	 剂量降低至1/4 *	剂量降低至1/8	避免使用
稳定期 (爬坡期后)	中效CYP3A抑制剂	 剂量降低至少1/2	剂量降低至1/4	避免使用

*维奈克拉治疗AML时全程可用；用于伴17P缺失经治的CLL/SLL，在爬坡期联用非强效CYP3A抑制剂时可用

1. Murru R, et al., Ann Hematol. 2024; 2. 王丽敏等,中华流行病学杂志, 2019; 3. 维奈克拉说明书; 4. 索托克拉说明书; 5. 利沙托克拉说明书

首个且唯一覆盖AML和既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL的BCL-2抑制剂，以巧妙结构设计提升肝肾功能受损患者用药安全性，保证长期用药安全



全球首个
BCL-2抑制剂

5年
领先同机制产品

一线
unfit
AML

- 40余年来AML领域**首个创新靶向药¹**，维奈克拉开启AML领域靶向治疗药物新篇章
- 已成为**一线unfit AML标准疗法**

伴17P缺
失经治的
CLL/SLL

- **唯一针对既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL有明确临床证据的BCL-2抑制剂**
- 绕过由17P缺失引起的凋亡阻滞，启动肿瘤细胞凋亡，可有效治疗17P缺失高危患者人群

首个且唯一同时覆盖AML和既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL的BCL-2抑制剂

优选结构：保障肝肾功能受损患者用药安全及患者长期用药安全

7.7倍
生物利用度

生物利用度远高于同机制产品，首过效应低，肝肾代谢负担小，因此**肝肾功能受损患者使用限制更少**

	维奈克拉 ²	索托克拉 ³	利沙托克拉 ⁴
每日治疗剂量 (mg)	400	320	600
AUC/剂量(ng·h/mL/mg)	82.00	10.61	13
相对比值(索托克拉=1)	7.7	1.0	1.23

约1.0
药物积蓄比

维奈克拉足剂量给药情况下，达到稳态后血药浓度不再持续升高，**几乎无药物蓄积，支持长期用药的安全性。⁵**

维奈克拉是一线unfit AML的标准治疗，延长患者生存期达7倍 拟新增17P缺失经治的CLL适应症，保障肝肾功能受损、合并感染等特殊人群用药公平性

一线unfit AML (主适应症)

挽救生命，填补空白

- **一线unfit AML标准治疗**，有效延长患者总生存期7倍¹，大幅降低AML患者输血依赖，减轻医疗系统供血压力。
- 目录内唯一**一线unfit AML的创新靶向药物**，预计未来3年内，无同适应症、无同机制产品获批。

预算可控，净节省医保基金

- 按现行支付标准，维奈克拉纳入医保以来，用于AML治疗累计**净节省医保基金1.6个亿³**。

既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL (拟新增小适应症)

保障特殊群体用药公平性

- 唯一有充分证据用于肝肾功能受损CLL患者的BCL-2抑制剂。
- 唯一可与抗感染、慢病常用的非强效CYP3A抑制剂全程联合使用的BCL-2抑制剂。

弥补高危人群目录保障短板

- **首个明确获批用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL患者的BCL-2抑制剂**，为**高危突变患者带来全新作用机制、疗效确切**的治疗选择。

适应症明确易于管理，不增加检测费用

- 既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL适应症界定明确，无临床滥用和超支风险。
- 用于鉴别17p缺失的FISH检测费用低，CLL/SLL临床普及率已达98.6%²，用药不增加检测费用。