

# 艾伏尼布片 (拓舒沃®)

全球首个, 中国唯一\*获批的IDH1抑制剂,  
协议期内申请简易新增适应症 “新诊断的IDH1突变的不适合强化疗(Unfit)的AML患者”

施维雅 (天津) 制药有限公司



\*截至申报日; IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; AML: 急性髓系白血病

本资料仅供医疗卫生专业人士作为学术参考, 而非针对一般公众, 亦非广告用途。



# 协议期内申请简易新增适应症

通用名	艾伏尼布片 <sup>1</sup>	注册规格	0.25g
适应症	<p><b>协议期内拟新增</b></p> <p><b>本品联合阿扎胞苷用于携带易感异柠檬酸脱氢酶-1 (IDH1) 突变, 因合并症无法使用强诱导化疗或者年龄≥75岁的新诊断急性髓系白血病 (AML) 患者</b>  <i>根据中华医学会指南定义<sup>2</sup>, 在本ppt中此适应症简化表述为“新诊断的IDH1突变的不适合强化疗(Unfit)的AML患者”</i></p> <p><b>目录内</b></p> <p>限诊断为携带易感异柠檬酸脱氢酶1(IDH1)突变的复发性或难治性急性髓系白血病(AML)成人患者</p>		
用法用量	推荐剂量为500mg, 每日一次口服		
中国上市时间	2022.1	全球首个上市国家及时间	美国, 2018.7
是否为独家药品	是	是否为OTC药品	否
参照药建议	<p><b>维奈克拉片 + 注射用阿扎胞苷</b></p> <p>目录内没有针对新诊断的IDH1突变AML患者的靶向药, 按目录参照药选择规则 (同治疗领域、同作用机制的目录内药品), 选择理由为:</p> <p>① 维奈克拉+阿扎胞苷是目录内新诊断AML患者唯一靶向治疗方案</p> <p>② 维奈克拉+阿扎胞苷治疗生存期短 (中位10.2个月)<sup>3</sup>, 但在临床缺乏IDH1抑制剂的情况下仍是常用的替代方案</p>		

1. 艾伏尼布片说明书; 2. 中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组成人急性髓系白血病 (非急性早幼粒细胞白血病) 中国诊疗指南 (2023年版) 3. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624

# 新诊断的IDH1突变的Unfit AML诊断标准清晰，患者人群更小，传统治疗疗效有限，亟需安全有效的靶向药物

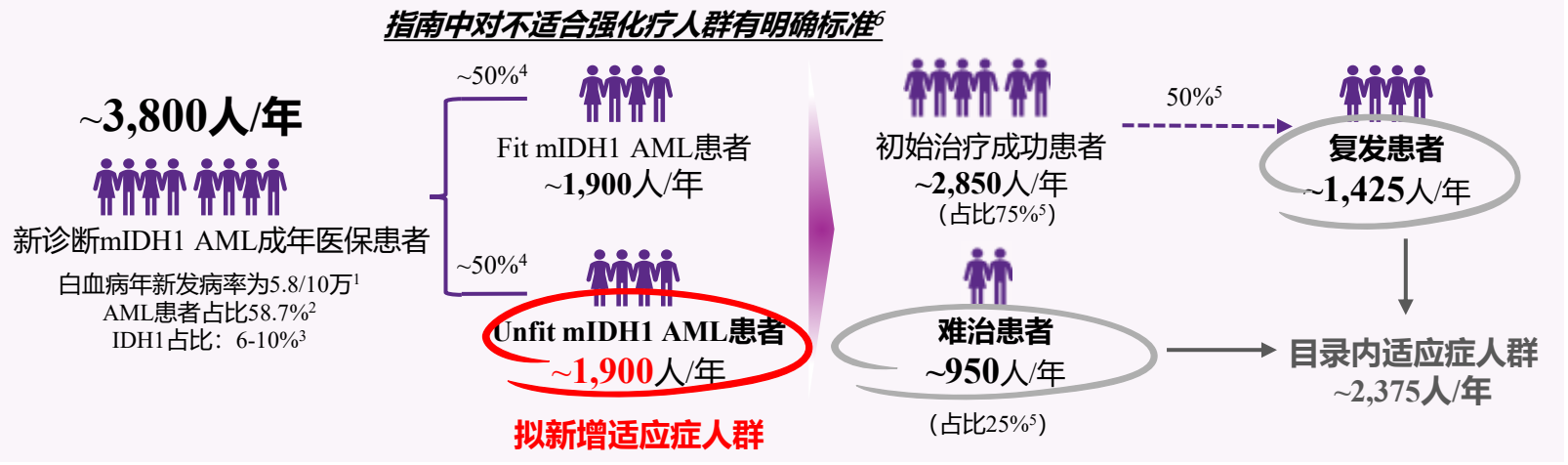
## 新增适应症患者人群更小

拟新增适应症：  
新诊断Unfit mIDH1 AML

~1,900人/年

目录内适应症：  
复发难治性mIDH1 AML

~2,375人/年



## AML疾病负担重，IDH1突变患者预后更差

- AML死亡率远高于其他类型的血液肿瘤 (5年生存率: AML: 23.9%; CLL/SLL: 89.6%; CML: 71.1%)<sup>7,8</sup>
- IDH1突变是影响患者预后的重要因素，患者死亡风险增加62% (HR=1.62, P<0.001)<sup>9</sup>
- Unfit患者因高龄、基础病多且体能差，生存期短，且治疗选择有限，**目录内尚无新诊断mIDH1 AML靶向药物**

## 传统治疗对mIDH1 Unfit AML患者疗效不佳

- 低强度治疗 (不含维奈克拉) 的mOS仅5.96个月<sup>10</sup>
- 维奈克拉+阿扎胞苷治疗的mOS为10.2个月，疗效仍有待改善<sup>11</sup>
- 维奈克拉治疗中，需要关注骨髓抑制和感染等毒性 (治疗后≥3级感染率达67%)<sup>11</sup>

mIDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因突变; fit: 适合强化疗; Unfit: 不适合强化疗; AML: 急性髓系白血病; mOS: 中位总生存期; CLL/SLL: 慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤; CML: 慢性髓系白血病

1. J Natl Cancer Cent. 2024;4(1);page; 2. 2025中国肿瘤整合诊治指南 (CACA) 白血病; 3. DiNardo CD. NEJM; 2018; 378:25; 2386-2398; 4. Servier市场调研; 5. Xu J et al. Medicine(2015) 97:39; 6. 中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组成人急性髓系白血病 (非急性早幼粒细胞白血病) 中国诊疗指南 (2023年版); 7. Yin W et al. Lancet Haematol 2025; 12: e808-22; 8. NIH SEER. Cancer Stat Facts. 9. Medicine (Baltimore). 2024 Dec 6;103(49):e40565; 10. Am J Hematol. 2022 Nov;97(11):1443-1452. 11. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624

# 艾伏尼布片安全性可控， $\geq 3$ 级不良反应发生率低

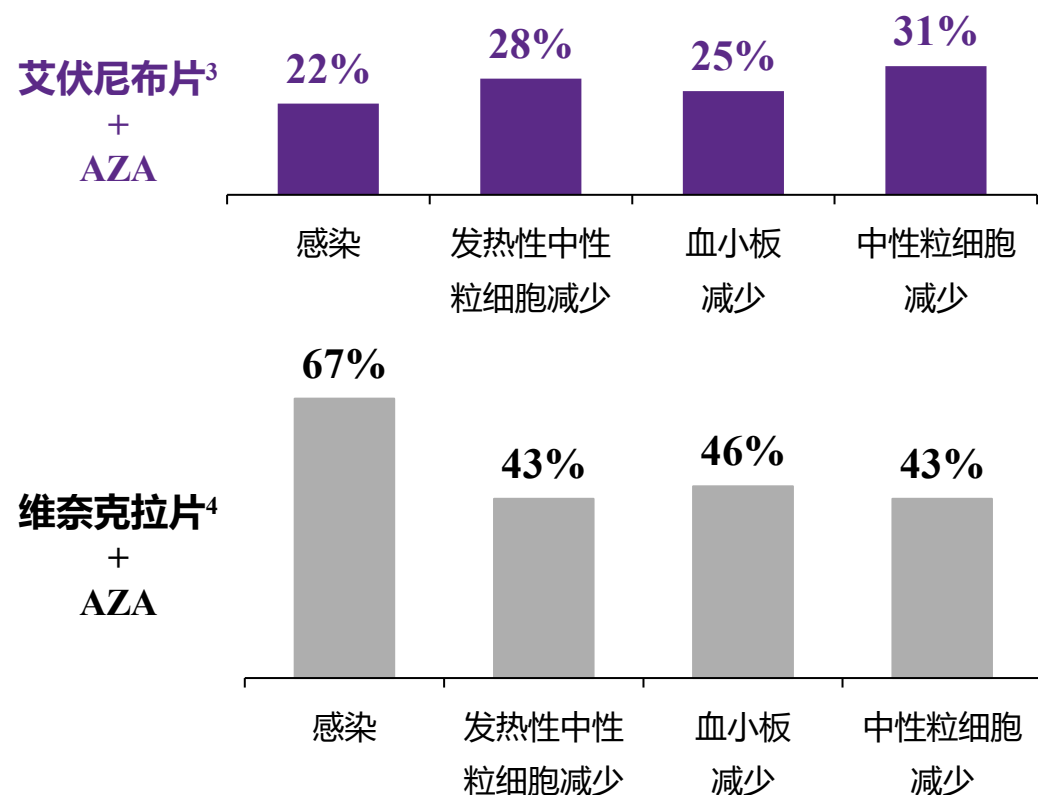
## 说明书显示艾伏尼布片安全性可控<sup>1</sup>

“在新诊断的AML安全性人群中，最常见的不良反应包括恶心、呕吐、心电图QT延长、失眠、分化综合征、白细胞增多症、血肿、高血压、关节疼痛、呼吸困难、头痛；治疗中需密切监测分化综合征、QTc间期延长、格林巴利综合征，针对出现的异常发现均需及时处理。”

## 全球上市近8年，具有良好的获益-风险<sup>2</sup>

- 自艾伏尼布片2018年在美国获批至今，已在全球48个国家或地区获批，未发现新的安全性信号；
- 艾伏尼布片的广泛临床和上市后经验证明其总体耐受性良好；
- 公司密切监测安全事件，治疗中分化综合征的实际报告率低（估计为0.00046%），临床有标准化的应对方式。

## 艾伏尼布片 $\geq 3$ 级不良反应发生率低\*

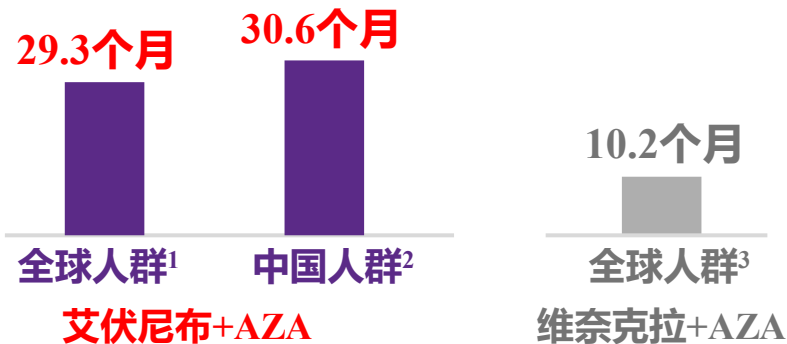


\*非头对头比较；AML：急性髓系白血病；AZA：阿扎胞苷

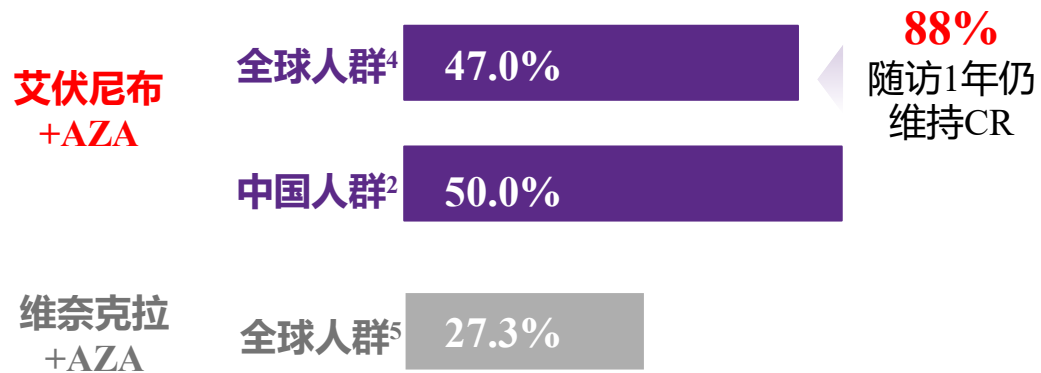
1.艾伏尼布片说明书；2.定期获益风险评估报告2025.7.10；3. Montesinos P, et al. Blood Adv. 2025 Oct 28;9(20):5177-5189；4. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624

# 全球多中心临床研究表明：艾伏尼布片延长患者生存期至30.6个月，疗效持久稳定，且减少输血依赖，中国人群疗效更优

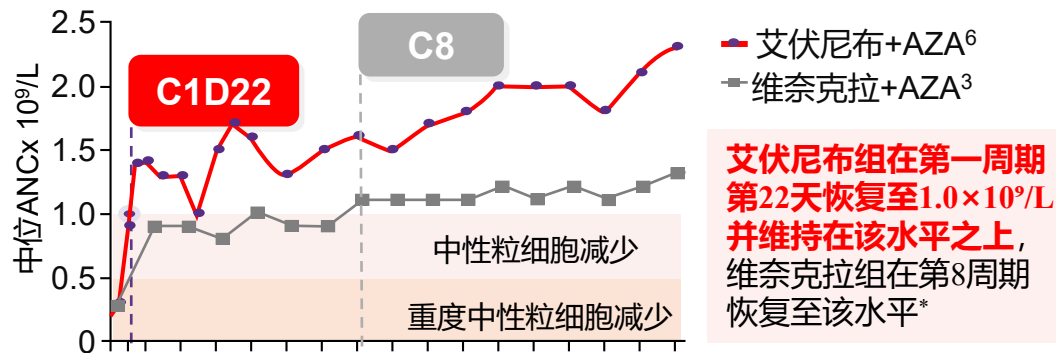
## 中位OS达30.6个月



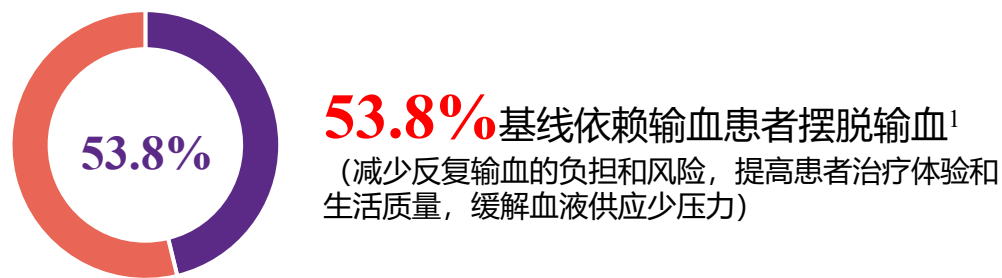
## 完全缓解率达50%



## 中性粒细胞水平快速且持久恢复



## 超过一半患者摆脱输血



\*非头对头比较 OS:总生存期; AZA: 阿扎胞苷

- Montesinos P, et al. Blood Adv. 2025 Oct 28;9(20):5177-5189; AGILE研究：国际、双盲、随机、安慰剂对照临床研究，纳入意向治疗人群包括146例患者，以1:1的比例随机分配至拓舒沃®+AZA(72例)或安慰剂+AZA治疗(74例)，中位随访时间28.6个月。
- Wang JX, et al. EBMT 2026. P255; 3. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624.; 4. Montesinos P, et al. N Engl J Med. 2022;386(16):1519-1531; 5. Pollyea et al. Clin Cancer Res. 2022. 28(13): 2753-2761; 6. Fathi AT, et al. Leuk Res. 2025 Aug 7;157:107925.

# 真实世界研究证实艾伏尼布片疗效稳健，多维度指标显著优于维奈克拉

## 艾伏尼布片真实世界疗效显著优于维奈克拉

美国一项真实世界研究<sup>1</sup>，共纳入280例新诊断的IDH1突变的AML患者，对比艾伏尼布联合HMA（181例）和维奈克拉联合HMA（99例）有效性，结果显示：

	艾伏尼布 +HMA	维奈克拉 +HMA	P值
CR	<b>42.5%</b> <span style="border: 1px solid black; border-radius: 50%; padding: 2px;">提升至 1.6倍</span>	26.3%	0.007
CR+CRi	<b>63.0%</b>	48.5%	0.019
桥接移植率	<b>11%</b>	3%	0.028
6个月无事件生存期	<b>55.8%</b>	38.4%	0.006
前12周的紧急护理 (急诊或者住院)	<b>38.6%</b>	70.7%	<0.001

## 艾伏尼布片真实世界研究再现临床试验结果

美国一项多中心真实世界研究<sup>2</sup>，共纳入25例接受艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗的新诊断的IDH突变AML患者，结果显示：

**完全缓解率**

**52%**

**中位生存时间**

**31.9个月**

法国一项多中心真实世界研究<sup>3</sup>，共纳入33例接受艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗的新诊断的IDH突变AML患者，结果显示：

**完全缓解率**

**55%**

**复合完全缓解率**

**73%**

**2年生存率**

**52%**

AML: 急性髓系白血病; IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; HMA: 去甲基化药物, 包括阿扎胞苷和地西他滨; CR: 完全缓解率; CRi: 完全缓解率伴血小板计数恢复不完全

1. Lachowicz CA. et al. Blood Neoplasia. 2025 Nov. 2(4):100152

2. Lin C et al. 2025 ASH. SAT-1614

3. Peterlin P. et al. 2025 ASH. SAT-1658

# 艾伏尼布片获国内外权威指南最高级别推荐

 <p><b>CMA成人急性髓系白血病（非急性早幼粒细胞白血病）诊疗指南(2023年版)<sup>1</sup></b></p>	<p>不耐受强化疗的AML的诱导治疗中，IDH1突变AML患者推荐艾伏尼布片（500mg，第1~28天）联合阿扎胞苷，每28天1个周期 <b>(证据等级1a)</b></p>
 <p><b>CSCO恶性血液病诊疗指南 (2026版)<sup>2</sup></b></p>	<p>新诊断的成人（≥60岁）急性髓系白血病（非APL），不适合强化疗患者存在IDH1突变，推荐艾伏尼布片联合阿扎胞苷 <b>(I级推荐)</b></p>
 <p><b>CACA白血病指南 (2025版)<sup>3</sup></b></p>	<p>不能耐受强化疗AML诱导治疗方案，IDH1突变AML患者推荐艾伏尼布片联合阿扎胞苷 <b>(证据等级1a)</b></p>
 <p><b>NCCN指南：AML (2026.V3)<sup>4</sup></b></p>	<p>不适合强化诱导治疗的AML，合并IDH1突变，优先推荐艾伏尼布联合阿扎胞苷 <b>(1类推荐)</b></p>

CMA: 中华医学会; CSCO: 中国临床肿瘤学会; CACA: 中国抗癌协会; NCCN: 美国国家综合癌症网络; IDH1: 易感异柠檬酸脱氢酶-1; AML: 急性髓系白血病  
 1. 中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组成人急性髓系白血病（非急性早幼粒细胞白血病）中国诊疗指南(2023年版); 2. 中国临床肿瘤学会(CSCO)恶性血液病指南2026; 3. 2025中国肿瘤整合诊治指南（CACA）白血病; 4. NCCN急性髓系白血病（2026.V3）

# 同类首创口服药物，突破IDH1突变AML患者无靶向治疗的困境



全球首个且中国唯一\*获批的IDH1抑制剂，填补IDH1突变AML领域治疗空白

在中国被纳入**临床急需境外新药(第三批)**名单，获得**优先审评**；在美国获得**突破性疗法认定**并通过**快速通道**和**优先审评**获批；在美国和欧洲获得**孤儿药**资格认定

## 机制创新：精准靶向IDH1，有效降低白血病原始细胞数量

- 艾伏尼布片精准作用于IDH1突变，抑制2-HG产生比例高达99.7%<sup>1,2</sup>

## 应用创新：给药便利，临床适用性高

- 口服固定剂量，对于轻度或中度肝功能损害、肾功能损害和老年人患者，无需调整起始剂量<sup>3</sup>

**带来患者获益<sup>4,5,6\*\*</sup>**

- ✓ **生存期长**  
艾伏尼布片+AZA: 30.6m;  
维奈克拉片+AZA: 10.2m

✓ **完全缓解率高**  
艾伏尼布片+AZA: 50.0%  
维奈克拉片+AZA: 27.3%

✓ **感染率低**  
艾伏尼布片+AZA: 22%;  
维奈克拉片+AZA: 67%

✓ **骨髓抑制轻微**  
≥3级FN: 艾伏尼布片+AZA: 28%  
维奈克拉片+AZA: 43%

\*截至申报日 \*\*非头对头比较 IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1; AML: 急性髓系白血病; 2-HG: 2-羟基戊二酸; AZA: 阿扎胞苷; FN: 发热性中性粒细胞减少

1. Okoye-Okafor UC, et al Nat Chem Biol. 2015.11(11):878-886; 2. DiNardo CD. NEJM (2018); 3. 艾伏尼布片说明书; 4. Wang JX, et al. EBMT 2026. P255; 5. Pratz KW, et al. Am J Hematol 2024;99(4):615-624; 6. Pollyea et al. Clin Cancer Res. 2022. 28(13): 2753-2761; 7. Ghayas C Issa, et al. Blood Cancer J. 2021 Jun 3;11(6):107.

# 艾伏尼布片此次新增适应症可填补目录空白，该适应症人群小，对医保基金影响有限

## 所治疗疾病 对公共健康的影响

疾病负担重：AML是死亡率极高的恶性肿瘤，5年生存率仅23.9%<sup>1</sup>，IDH突变导致更差预后；Unfit IDH1突变AML治疗难度更大，治疗选择有限，维奈克拉联合阿扎胞苷方案mOS为10.2个月<sup>2</sup>；  
助力实现健康中国2030：艾伏尼布片提升患者生存期（mOS: 30.6个月）<sup>3</sup>，改善输血依赖，提高患者生活质量

## 符合“保基本” 原则

艾伏尼布片2025年进入医保目录后，价格已远低于全球最低价格，患者负担已大幅减轻；  
本次新增适应症人群预计约1,900人/年，比目录内适应症人群更小，且能替代目录内价格相近的治疗方案，对医保基金影响有限

## 弥补目录短板

目录内尚无治疗新诊断的IDH1突变的Unfit AML精准靶向药物，纳入医保目录可**填补该治疗领域空白**

## 临床管理难度低

艾伏尼布片使用前需基因检测，指南中对Unfit AML有明确的诊断标准，适应症范围及使用人群精准，无临床滥用和违规使用医保基金风险；  
口服给药，固定剂量，便于医保经办部门及医疗机构管理；  
降低感染风险，提高医疗机构管理效能，节约医疗资源

IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; AML: 急性髓系白血病; Unfit: 不适合强化疗

1. Yin W et al. Lancet Haematol 2025; 12: e808–22; 2. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624; 3. Wang JX, et al. EBMT 2026. P255

# 协议期内申请简易新增：联合阿扎胞苷用于IDH1突变，因合并症无法使用强诱导化疗或者年龄 $\geq 75$ 岁的新诊断AML患者

## ➤ 临床亟需，填补治疗空白：

- IDH1突变患者死亡风险增加62%<sup>1</sup>，既往治疗对IDH1突变Unfit AML患者疗效不佳<sup>2,3</sup>，且治疗选择有限。艾伏尼布片是全球首个，中国唯一\*获批的IDH1抑制剂

## ➤ 大幅改善预后，疗效持久稳定<sup>4-8</sup>：

- 艾伏尼布+AZA方案mOS达30.6个月，CR率达50%； $\geq 3$ 级不良反应发生率低；真实世界研究显示艾伏尼布+AZA疗效优于维奈克拉+AZA治疗方案

## ➤ 新增人群小，基金风险可控：

- 本次新增适应症人群预计约1,900人/年，比目录内适应症人群更小，且能替代目录内价格相近的治疗方案，对医保基金影响有限

## ➤ 人群精准，易管理：

- 新诊断Unfit IDH1突变AML患者诊断标准清晰<sup>9</sup>，人群精准，临床管理难度低

\*截至申报日期

IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; Unfit: 不适合强诱导化疗; AML: 急性髓系白血病; AZA: 阿扎胞苷; mOS: 中位生存期; CR: 完全缓解

1. Medicine (Baltimore). 2024 Dec 6;103(49):e40565; 2. Am J Hematol. 2022 Nov;97(11):1443-1452. 3. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624; 4. Wang JX, et al. EBMT 2026. P255; 5. Pratz KW, et al. Am J Hematol. 2024;99(4):615-624; 6. Lachowicz CA, et al. Blood Neoplasia. 2025 Nov. 2(4):100152; 7. Lin C et al. 2025 ASH. SAT-1614; 8. Peterlin P, et al. 2025 ASH. SAT-1658; 9. 中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组成人急性髓系白血病（非急性早幼粒细胞白血病）中国诊疗指南（2023年版）