

罗伐昔替尼片

国产创新：自主研发1类新药，拟出海拓展国际市场

独特机制：全球首创JAK/ROCK双靶点抑制剂

突破疗效：逆转/阻断纤维化进展

适应症：

中危-2或高危骨髓纤维化（MF）成人患者的一线治疗

Science for a healthier world
健康科技 温暖更多生命

目录

01 基本信息

骨髓纤维化是**罕见**恶性血液肿瘤，以**进行性骨髓纤维化**为特征

02 有效性

兼具抗炎与抗纤维化作用，实现强效缩脾、**逆转纤维化**、减少输血

03 安全性

安全性良好，血液学毒性和感染风险低，耐受性优

04 创新性

国产1类新药，全球首创JAK/ROCK抑制剂，**唯一有逆转纤维化机制**

05 公平性

有效逆转疾病进展，**替代**医保目录内现有药品，临床管理难度小
目标患者人群少，低输血率和低感染风险**节省血液资源和基金支出**

罗伐昔替尼片是国产自主研发的1类新药，全球首创且唯一JAK/ROCK双靶点抑制剂

药品基本信息

【通用名】罗伐昔替尼片

【注册分类】化药1类，**国产1类新药**（常规批准）

【全球首个上市国家及上市时间】**中国**，2026年2月

【适应症】本品用于**中危-2或高危的原发性骨髓纤维化（PMF）、真性红细胞增多症后骨髓纤维化（PPV-MF）或原发性血小板增多症后骨髓纤维化（PET-MF）**成人患者的一**线治疗**，治疗疾病相关脾肿大或疾病相关症状

【规格】5mg

【用法用量】推荐起始剂量为每次15mg（5mg/片×3片），每日两次。本品为口服给药，空腹服用。（详见说明书）

【目前大陆地区同通用名药品上市情况】**无（独家）**

【是否为OTC药品】否

建议参照药品：吉卡昔替尼片

- 1 同为双靶点
- 2 同为MF单适应症
- 3 同为国产1类新药
- 4 相似用法用量
- 5 临床研究方案相似

建议价值评级

突破

- 👍 全球首个且唯一JAK/ROCK双靶点抑制剂
- 👍 国产创新 出海国际
- 👍 MF领域唯一有逆转纤维化机制
- 👍 近九成患者逆转/阻断纤维化

骨髓纤维化 (MF) 是以进展性骨髓纤维化为特征的罕见恶性血液肿瘤，表现为进行性脾肿大及严重贫血，现有一线治疗无法完全阻止疾病进展

MF 受 JAK-STAT 和 ROCK 通路的双重驱动

- ❑ **PMF 已纳入《第二批罕见病目录》¹**，暂无中国流行病学数据，原发性MF亚洲发病率约 **0.3-0.5/10万²**，占全部 MF 的 **69%³**，中危-2或高危患者占 **49%-74%⁴⁻⁵**，5年死亡率约 **47%²**
- ❑ 中国中危-2及高危MF患者预估每年新发仅 **2000-5000 例⁶**
- ❑ JAK-STAT通路是MF的核心发病机制，**ROCK通路是MF纤维化进程的关键靶点**

MF 疾病恶性程度高，患者疾病负担沉重

- MF 常表现为进行性脾肿大、严重贫血及全身症状⁷，随着疾病进展，患者可逐渐出现输血依赖等严重疾病负担
- **中危-2及高危患者预后更差**，中位生存期显著缩短，还有更高的白血病转化风险⁸⁻⁹
- MF 治疗除改善症状外，还需**以阻止疾病进展及逆转骨髓纤维化为治疗目标¹⁰**

当前以 JAK 抑制剂为一线标准方案，仍存在较多局限

机制局限

- 现有 JAK 抑制剂仅能部分阻断上游信号，**均无法干预 ROCK 靶点和直接阻断纤维化进程¹¹**

疗效局限

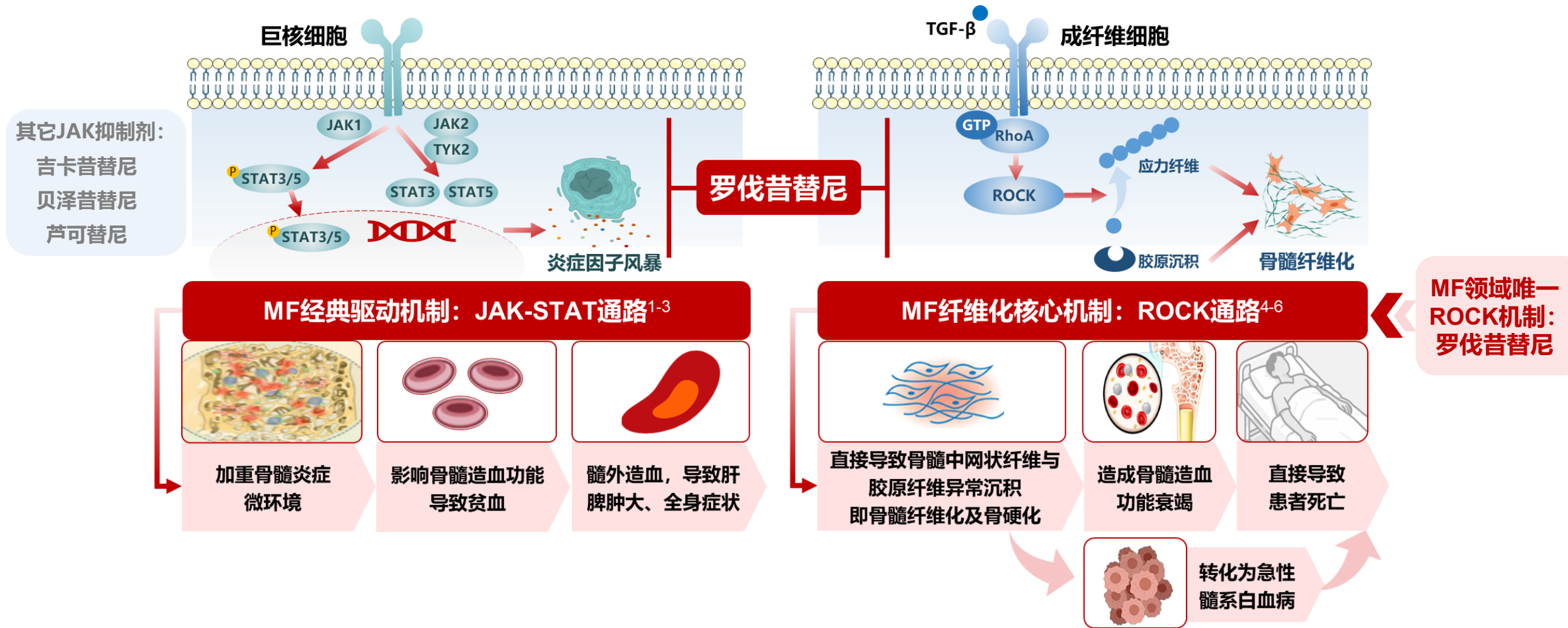
- 现有 JAK 抑制剂起效滞后，**无法快速纠正贫血**

安全性局限

- **单靶点 JAK 抑制剂易损伤正常造血功能，血液学毒性和感染风险高**

来源：1. 国家卫生健康委员会. 第二批罕见病目录, 2023. 2. Massino Breccia, et al., Frontiers in Oncology, 2024. 3. Masarova L, et al., Leuk Res, 2017. 4. Cervantes F, et al. Blood. 2009;113(13):2895-2901. 5. Tefferi A et, al., Mayo Clin Proc. January 2012;87(1):25-33. 6. 中国中危-2及高危MF年新发人数基于PMF发病率、PMF占比及中高危比例估算. 7. 原发性骨髓纤维化诊断与治疗中国指南 (2019年版). 8. Passamonti F, et al., Blood. 2010;115(9):1703-1708. 9. Gangat N, et al. J Clin Oncol. 2011 Feb 1;29(4):392-7. 10. Pemmaraju N, et al. Cancer . 2022 Jul 1;128(13):2420-2432. 11. GG. Loscocco, et al., Am J of Hematology, 2025; 100(Suppl. 4):30-50.

其它JAK抑制剂仅能缓解症状，而ROCK通路抑制后可直接阻断甚至逆转纤维化，改善患者转白或死亡等不良结局



来源: 1. Morris R, et al. Protein Sci. 2018 Dec;27(12):1984-2009. 2. Chen W, et al. Sci Rep, 2018, 8:16636. 3. Zanin-Zhorov A, et al. Clin Immunol, 2021, 230:108823. 4. Perner F, et al. Leukemia. 2025;39(5):1011-1030. 5. Ghosh K, et al. J Transl Med. 2023 Oct 9;21(1):703. 6. Tremblay D, et al. Cells. 2021 Apr 27;10(5):1034.
缩写: JAK: Janus 激酶; ROCK: Rho 相关卷曲螺旋蛋白激酶; STAT: 信号转导及转录激活蛋白; TYK2: 酪氨酸激酶 2; CALR: 钙网蛋白; MPL: 血小板生成素受体基因

相比其它JAK抑制剂，罗伐昔替尼独有的ROCK通路，从源头抑制骨髓纤维化进程，阻止疾病进展



*芦可替尼已纳入医保常规目录管理

罗伐昔替尼具有唯一逆转纤维化机制，经临床研究的骨髓活检显示，近90%患者治疗后实现纤维化逆转/阻断，带来突破性治疗选择

ROCK机制



罗伐昔替尼



吉卡昔替尼



芦可替尼



贝泽昔替尼



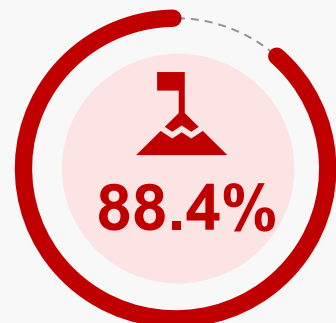
ACVR1通路主要调节铁调素改善红细胞生成¹，无法干预纤维化进程

唯一逆转纤维化机制：独特的直接抗纤维化作用，进而改善造血功能，实现有效缩脾与纠贫

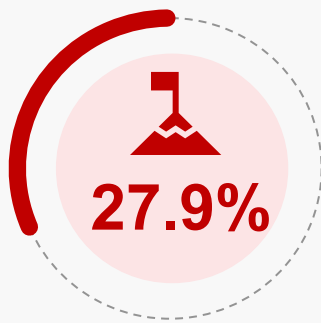
直接逆转纤维化，阻止疾病进展

罗伐昔替尼临床研究显示²

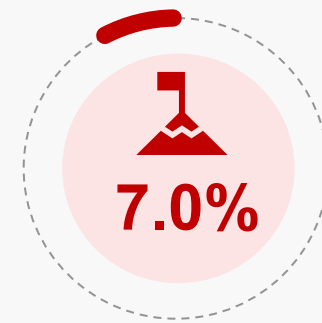
✓ 经骨髓穿刺/活检验证



88.4%患者实现纤维化逆转/阻断



27.9%患者实现纤维化分级改善



7.0%患者实现改善至无纤维化 (MF-0级)

罗伐昔替尼研究期间OS/PFS/LFS中位值均未达到³，提示整体生存获益较好

来源：1. 中国临床肿瘤学会（CSCO）白血病专家委员会. 吉卡昔替尼治疗骨髓纤维化临床应用指导原则（2025年版）. 白血病·淋巴瘤, 2025. 2. 徐泽锋等. 治疗骨髓增殖性肿瘤I期临床研究. 中国医师协会第二十二届血液科医师年会暨2026年中国血液病大会, 2026. 3. 徐泽锋等. AK抑制剂初治骨髓纤维化II期临床研究. 中国医师协会第二十二届血液科医师年会暨2026年中国血液病大会, 2026

罗伐昔替尼实现强效、持久缩脾和快速、显著纠贫并降低输血； 获CSCO指南MF患者一线治疗I级推荐



指南推荐



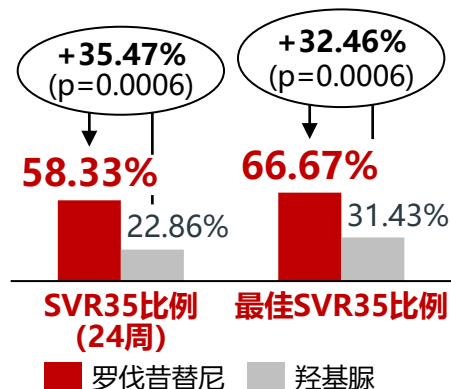
基于显著的临床获益, 《CSCO恶性血液病诊疗指南(2026年)》¹推荐罗伐昔替尼用于骨髓纤维化患者一线治疗【I级推荐】

强效缩脾、改善症状

1

显著缩脾

第24周脾脏体积缩小 $\geq 35\%$ (SVR35, 主要终点) 患者比例达**58.33%**, 最佳SVR35比例达**66.67%**^{2,3}



2

持久缩脾

持续缩脾长达**18.10个月**, 且随访结束时仍未达中位缩脾时间³

3

改善症状

显著改善最佳总症状评分, 改善 $\geq 50\%$ (TSS50) 率高达**81.94%**³

本研究为随机、双盲II期临床研究, 在2021年11月11日-2023年4月27日期间入组了107例JAK抑制剂初治的骨髓纤维化患者, 其中试验组(罗伐昔替尼)72例和对照组(羟基脲)35例, 旨在评估罗伐昔替尼对比羟基脲, 治疗中危-2或高危骨髓纤维化患者的有效性与安全性。主要终点为独立评审委员会(IRC)评估的24周脾体积较基线缩小 $\geq 35\%$ (SVR35), 次要终点包括脾应答、MF相关症状、无进展生存期(PFS)等, 采用ITT人群进行主要统计分析⁴。

快速纠贫, 降低输血

4

快速纠贫

罗伐昔替尼用药**2周后**对比基线的血红蛋白均值**提高5.16g/L**^{2,3}

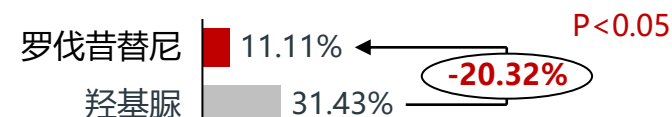
+5.16g/L
罗伐昔替尼^{2,3}

+3.63g/L
吉卡昔替尼⁴

5

降低输血

罗伐昔替尼用药24周内需输血患者比例**显著降低**^{2,3}



吉卡昔替尼摆脱输血依赖患者比例与对照组**无显著性差异** ($P=0.4386$)⁵

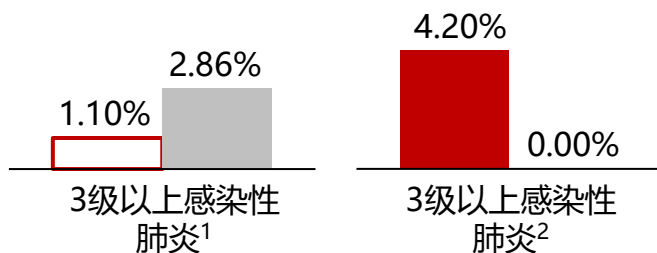
缩写: SVR35: 脾脏体积较基线缩小 $\geq 35\%$; TSS50: 最佳总症状评分改善 $\geq 50\%$

来源: 1. CSCO恶性血液病诊疗指南(2026年) 2.罗伐昔替尼药品说明书, 2026. 3徐泽锋等. AK抑制剂初治骨髓纤维化II期临床研究. 中国医师协会第二十届血液科医师年会暨2026年中国血液病大会, 2026. 4. 吉卡昔替尼片说明书. 5. Zhang et al. Blood Cancer J 2024;14:216.

罗伐昔替尼安全性良好，血液学毒性和感染风险可控，耐受性优，无治疗药物相关死亡，获益风险平衡有利

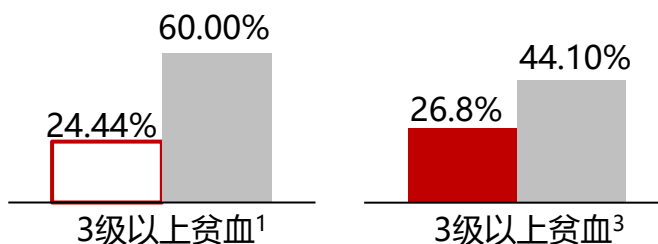
感染风险低

□ 罗伐昔替尼 ■ 吉卡昔替尼
■ 羟基脲 ■ 羟基脲



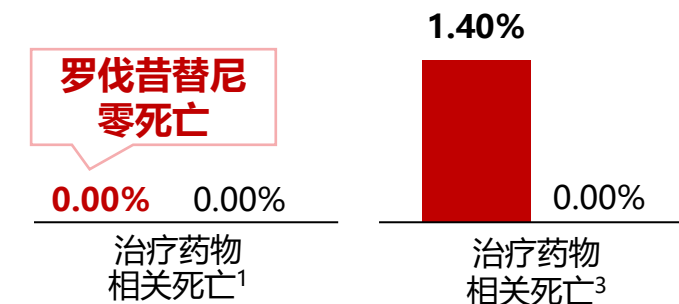
血液学毒性风险可控

□ 罗伐昔替尼 ■ 吉卡昔替尼
■ 羟基脲 ■ 羟基脲



无治疗药物相关死亡

□ 罗伐昔替尼 ■ 吉卡昔替尼
■ 羟基脲 ■ 羟基脲



罗伐昔替尼自中国获批以来，未出现安全性警告或黑框警告，无撤市信息。

罗伐昔替尼为国产1类新药，将成为首款中国原研、出海国际市场的JAK/ROCK双靶点抑制剂

国产自主研发 1类新药
首个JAK/ROCK双靶点 创新药



国产创新加速出海
布局国际市场开发与注册



国家药品监督管理局药品审评中心
CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA



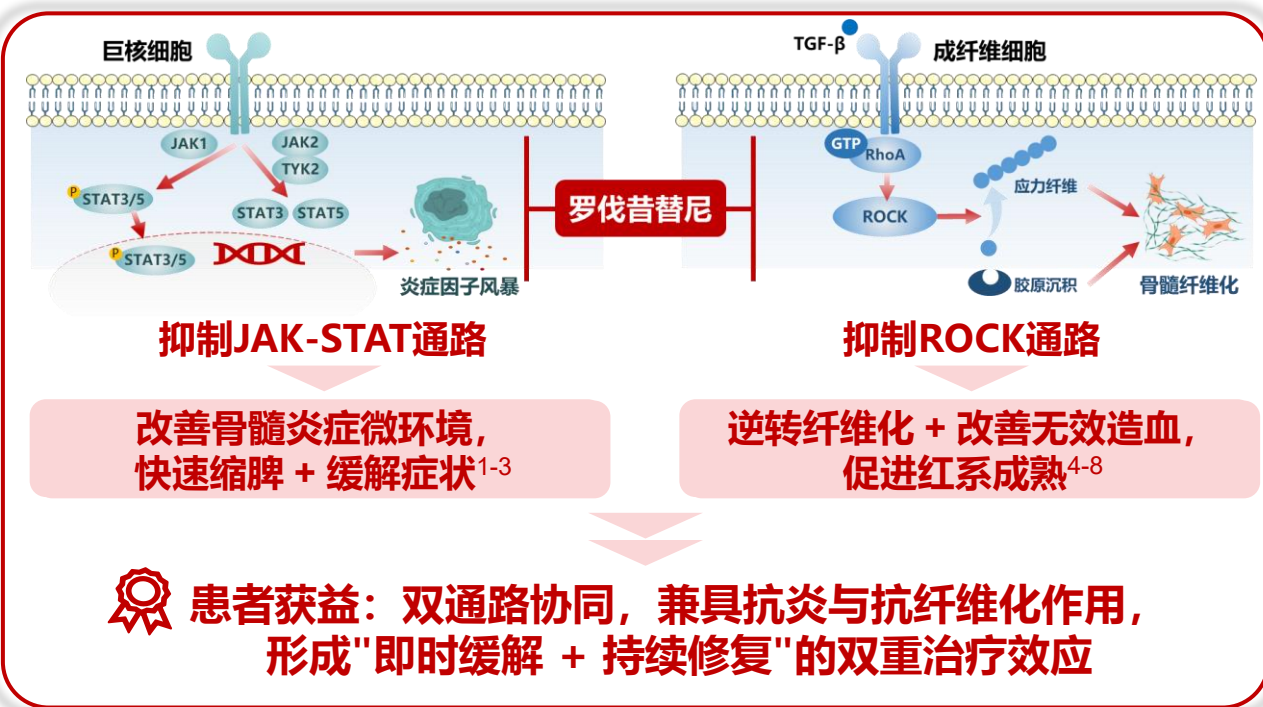
U.S. FOOD & DRUG
ADMINISTRATION



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

ROCK机制创新

应用创新



- **覆盖特殊人群:** >65岁老年患者无需调整剂量⁷
- **依从性好:** 口服片剂, 每日两次, 给药便利⁷
- **药品管理难度小:** 贮藏条件 ≤30°C, 有效期36个月⁷, 降低贮存与转运成本
- **优于吉卡昔替尼**(≤20°C, 18个月⁸)和芦可替尼(≤25°C⁹)

来源: 1. Morris R, et al. Protein Sci. 2018 Dec;27(12):1984-2009. 2. Chen W, et al. Sci Rep, 2018, 8:16636. 3. Zanin-Zhorov A, et al. Clin Immunol, 2021, 230:108823. 4. Perner F, et al. Leukemia. 2025;39(5):1011-1030. 5. Ghosh K, et al. J Transl Med. 2023 Oct 9;21(1):703. 6. Tremblay D, et al. Cells. 2021 Apr 27;10(5):1034. 7. Bai Y, et al. Cell Commun Signal. 2026 Feb 7;24(1):137. 8. Vachhani P, et al. Haematologica. 2026 Apr 1;111(4):1179-1197. 9. 罗伐昔替尼片说明书. 10. 吉卡昔替尼片说明书. 11. 磷酸芦可替尼片说明书.

罗伐昔替尼作为罕见病的一线治疗，目标人群有限，替代现有药品，对医保基金影响可控，临床管理难度小

靶向治疗罕见病，促进公共健康与公平

- PMF已被纳入《第二批**罕见病目录**》¹
- 罗伐昔替尼能够**真正阻断甚至逆转纤维化进程**，为中危-2及高危MF患者争取更多治疗时间和生存机会，体现对罕见病患者的保障价值

国产1类新药，填补目录空白，出海国际

- **国产自主研发1类新药，加速出海，布局国际市场开发与注册**
- **全球首创JAK/ROCK双靶点抑制剂**，新型口服小分子
- MF治疗领域**唯一逆转纤维化机制**

突破治疗

整体医保基金影响小，且可带来其他医疗资源节约

- **罕见病人群有限**，医保基金影响小；罗伐昔替尼限中危-2和高危MF患者的一线治疗²，**目标人群比吉卡昔替尼更少，替代现有药品，无额外基金增量**
- 用药后需**输血患者仅11.11%**²，**节省血液资源**；相关不良事件发生率低，感染风险低，**节省相关预后支出**

临床管理难度小，适宜性优

- MF**诊断标准明确**，**用药监测指标严格**，临床滥用风险低
- 合并症用药**相互作用风险低**，**耐受性好**，整体更安全
- **口服药物**，**贮藏条件宽松**，不超过30°C保存即可，有效期36个月²，适宜性优

来源：1. 《关于公布第二批罕见病目录的通知》国卫医政发〔2023〕26号；2. 罗伐昔替尼片说明书