

# 盐酸匹米替尼胶囊（贝捷迈®）

适用于手术切除可能会导致功能受限或出现较严重并发症的症状性腱鞘巨细胞瘤（TGCT）成年患者

- 国内首个且唯一高选择性CSF-1R抑制剂，填补临床和目录双空白
- 中国自主研发，全球首报首批1类新药，获国内外突破性治疗药物认定、优先审评资格
- 精准靶向，对因治疗，起效迅速，安全可控，缩瘤疗效显著持久，全面改善患者身体功能与生活质量

申报企业：默克雪兰诺有限公司

2026年

# 目录

## 01

### 疾病信息

- 腱鞘巨细胞瘤 (TGCT) 已纳入我国第二批罕见病目录, 患者人数有限
- 高复发、高致残、侵袭性强, 疾病负担严重, 严重影响生活质量
- 临床无获批TGCT药物, 填补临床空白

## 02

### 药品信息

- **First-In-Class**: 国内首个且唯一高选择性CSF-1R抑制剂
- 全球首报首批1类新药
- 参照药: 空白参照; 建议分级: 突破

## 03

### 创新性

- 中国自主研发, 首个且唯一全新高选择性CSF-1R抑制剂
- 获得中国大陆、欧美、加拿大等\*多项权威认证:
  - NMPA: 1类新药, 突破性疗法认证、优先审评
  - FDA: 突破性疗法认证
  - EMA: 优先药物资格、孤儿药认定

## 04

### 有效性

- 起效迅速, 缩瘤疗效显著持久, 临床获益显著, 全面改善身体功能及生活质量
- 获得权威指南CSCO2026、中国腱鞘巨细胞瘤临床诊疗专家共识一级推荐

## 05

### 安全性

- 不良事件级别低、长期安全可控
- 无黑框警告
- 无胆汁淤积肝毒性或药物性肝损伤

## 06

### 公平性

- 填补临床及医保目录双空白
- 罕见病诊断清晰, 患者人数有限, 基金影响可控
- 临床管理难度小

# 腱鞘巨细胞瘤 (TGCT) 是一种局部侵袭性强、高复发、高致残的罕见软组织肿瘤，好发于青壮年，已纳入我国第二批罕见病目录

## 第二批罕见病目录<sup>1</sup>病种

- 腱鞘巨细胞瘤 (TGCT) 是一种**罕见、局部侵袭性强的软组织肿瘤**，可累及**膝关节、踝关节和腕关节**
- 纳入《**第二批罕见病目录**》(编号: **77**)

TGCT临床症状显著，复发率高达55%，可导致关节置换乃至截肢

局部侵袭性强，高复发<sup>3-7</sup>

高致残<sup>8</sup>

**86%**  
肿胀



**82%**  
疼痛

**64%**  
关节活动受限

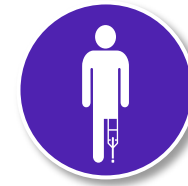
**73%**  
僵硬

TGCT复发风险高达55%

若无及时治疗，可能导致**不可逆骨损伤、继发性骨关节炎**，进而发展为**关节置换或截肢**。



**9%**  
关节置换



**4.2%**  
截肢

## TGCT 高发于青壮年群体<sup>2</sup>

- 多发于**20~40岁**青壮年劳动人群
- 女性多于男性，男女发病比例约为 1:1.5

长期严重损害患者活动能力和生活质量，带来沉重社会负担

- **严重损害生活质量<sup>9</sup>:**

**70%**患者活动困难，**66%**日常活动受影响，**39%**经历焦虑或抑郁，**25%**难以自我照护

- **严重损害社会生产力<sup>8</sup>:**

**23%**的患者因病更换职业或无法工作；在接受2次以上手术的患者中，该比例上升至**39%**

# 特定TGCT患者难以从手术中获益，临床长期缺乏有效的治疗药物，存在极高未满足需求



盐酸匹米替尼胶囊的出现满足了特定患者的治疗需求，填补了TGCT无药可用的临床与医保目录双空白

手术是TGCT的主要治疗手段，但特定患者难以从手术中获益

中国参保人群：13亿<sup>1</sup>

TGCT发病率<sup>2</sup>：12/百万  
TGCT患病率<sup>2</sup>：70/百万

TGCT患者：10.9万

诊断率<sup>3</sup>：50%  
治疗率<sup>3</sup>：70%

确诊且接受治疗的  
TGCT患者：38,191

难以从手术中获益且  
伴有症状率\*：10%

不可手术的特定  
TGCT患者：  
(匹米替尼适应症患者) **3,819人**

不可手术的特定患者<sup>^</sup>，长期缺乏有效治疗方案

<sup>^</sup>手术切除可能会导致功能受限或出现较严重并发症的症状性TGCT患者

CSCO指南<sup>4</sup>明确定义3类不可手术患者：



## 1 难以完整切除

- 肿瘤呈弥漫性生长、边界不清，广泛累及关节滑膜及周围软组织，难以实现完整切除
- 包绕重要结构或侵及骨质时，可能严重致残

## 2 手术预期功能损失显著

- 肿瘤大小或解剖位置特殊，手术将造成明显关节功能不可逆损害
- 50%患者术后持续伴有症状<sup>5</sup>

## 3 高复发风险或其他不适宜手术

- 高复发风险：术后复发风险约为15%~55%<sup>6</sup>
- 多次术后复发：弥漫型患者平均手术次数约2.8次(1~13)<sup>7</sup>
- 高合并症、围术期风险：34.3%患者存在并发症风险<sup>8</sup>

备注：\*约10%计算方法如下：结节型TGCT在总TGCT中占比(80%~90%) \*结节型TGCT复发率(15%) \*伴有症状率(50%) +弥漫型TGCT在总TGCT中占比(20%~10%) \*弥漫型TGCT复发率为(55%) \*伴有症状率(50%) =9.5%~11.5%

来源：1.国家统计局.中华人民共和国2025年国民经济和社会发展统计公报 2. Tgier I data on file 3. 企业内部数据 4. 2026CSCO骨与软组织肿瘤诊疗指南 5. 中华医学会骨科学分会骨肿瘤学组.中华骨与关节外科杂志,2025,18(09):769-780. 6. Verspoor FG, et al. Future Oncol. 2013;9(10):1515-1531. 7. Stern S, et al. Future Oncol. 2025 May;21(12):1501-1510. 8. Liu et al., BMC cancer, 2023. 23:1062.

# 匹米替尼是中国独立自主研发并生产的国内首个且唯一高选择性CSF-1R抑制剂，是中国首创且国内首个唯一获批的TGCT靶向药，填补临床空白

药品基本信息 <sup>1</sup>	
药品通用名 (商品名)	盐酸匹米替尼胶囊 (贝捷迈®)
申报目录类别	基本医保目录
药品注册规格	化学药品1类
注册规格	25 mg (按C <sub>22</sub> H <sub>24</sub> N <sub>6</sub> O <sub>3</sub> 计), 30粒/瓶; 1瓶/盒
说明书适应症	适用于手术切除可能会导致功能受限或出现较严重并发症的症状性腱鞘巨细胞瘤 (TGCT) 成年患者
用法用量	50 mg (2粒25 mg胶囊) 一天一次, 口服给药
作用机制	<b>中国首个且唯一高选择性CSF-1R抑制剂</b> 通过精准抑制CSF-1R, 阻断非肿瘤细胞的聚集, 优化肿瘤微环境, 实现肿瘤的持续缩小
中国大陆首次上市时间	2025年12月16日
全球首个上市国家地区	<b>中国 (全球首报首批)</b>
目前大陆地区同通用名药品上市情况	无
是否为OTC药品	否

## 参照药品及分级建议

经医保局预沟通确认参照药选取为：空白参照

**空白参照，建议突破分级**

理由如下：

**1【罕见病用药】**

腱鞘巨细胞瘤 (TGCT) 已纳入**第二批罕见病目录**

**2【极高未满足需求】**

不可手术的特定患者长期**无药可用**，饱受疾病困扰

**3【填补临床和医保目录空白】**

**国内唯一获批**治疗TGCT的药物，**无任何同适应症、同作用机制的药物**

**4【突破创新】**

**中国自主研发生产的1类新药**

中国**首个且唯一**的全新高选择性CSF-1R抑制剂

# 匹米替尼是中国自主研发的1类新药，全球首报首批，国内唯一全新高选择性CSF-1R抑制剂，靶向病因，获得中国及欧美权威认证

## 中国原研，领跑全球



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

1类新药，全球首报首批

突破性治疗药物

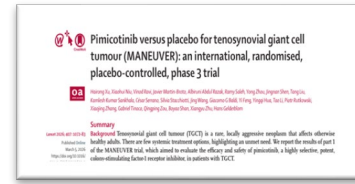
优先评审

中国核心专利有效期至2038年



## 首登顶刊，原研破局

中国骨肿瘤领域首个发布于国际顶级医学期刊  
《The Lancet》的中国原研创新药



## 国际权威，多重认证^



FDA: 突破性疗法认证

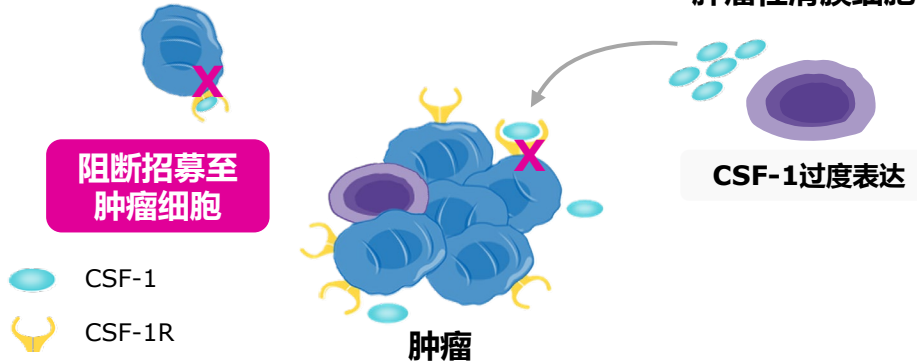


EMA: 优先药物资格、孤儿药认定

## 匹米替尼靶向核心致病机制CSF-1R，阻断非肿瘤细胞的聚集，对因实现肿瘤持续缩小<sup>1-6</sup>

非肿瘤性炎症细胞  
包括单核细胞和各类巨噬细胞

肿瘤性滑膜细胞



阻断招募至  
肿瘤细胞

CSF-1过度表达

肿瘤

CSF-1

CSF-1R

X 匹米替尼抑制CSF-1R

TGCT: 腱鞘巨细胞瘤; CSF-1: 集落刺激因子-1; CSF-1R: 集落刺激因子-1受体

TGCT由集落刺激因子-1 (CSF-1) 过表达驱动  
通过诱导炎症性巨噬细胞的局部募集和累积，促进肿瘤生长

匹米替尼能精准抑制CSF-1R，阻断非肿瘤细胞聚集  
优化肿瘤微环境，实现肿瘤持续缩小

较其它抑制剂，匹米替尼对CSF-1R具有：  
高选择性 (40倍以上)，最大程度降低脱靶毒性  
强抑制性 (约20倍)，确保疗效基础

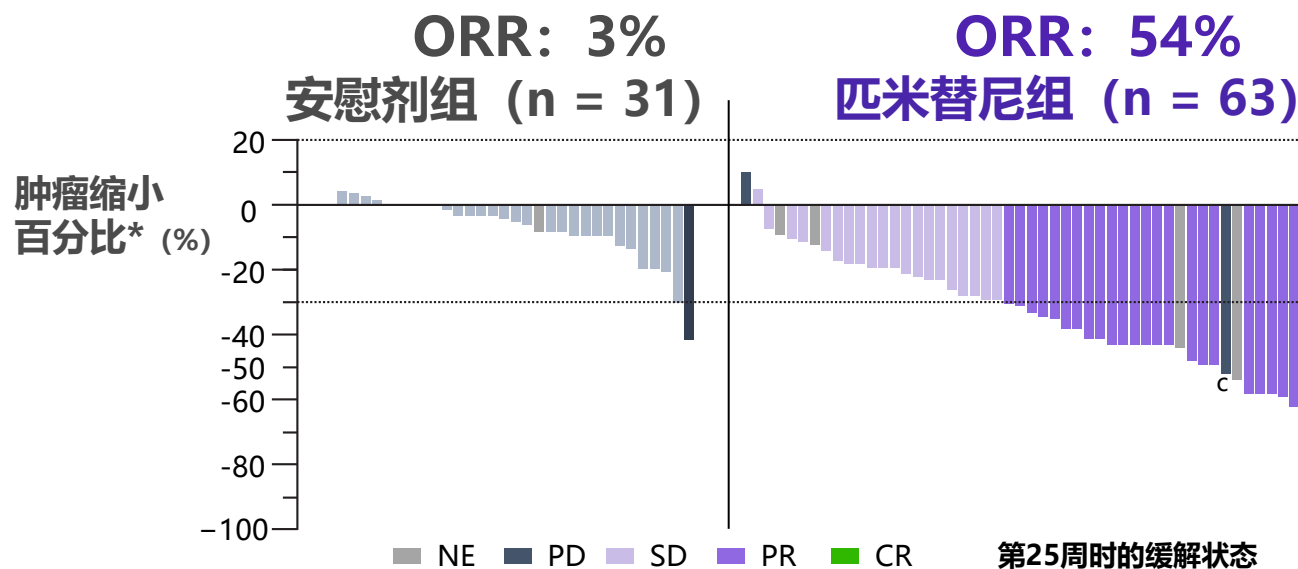
备注: ^除获得中国大陆、欧美认证外，匹米替尼还获得了加拿大卫生部优先审评、日本、瑞士和韩国孤儿药认定。

来源: 1.Merck Data on File: 1.Pimicotinib Lexicon Development\_D2\_v3 NS GB 2.Spiereburg G, et al. Expert Opin Ther Targets. 2022;26(4):333-345 3.Robert M, et al. Front Immunol. 2022;13:820046 4.West RB, et al. Proc Natl Acad Sci USA. 2006;103:690-695 5.Yang S et al. AACR 2018 [P.LB-288] 6. Xu H et al. ASCO 2023 [P.11559]

# TGCT领域首个由中国研究者牵头的国际III期研究显示：匹米替尼疗效显著，可带来持续获益，ORR持续提升至76.2%，94%患者实现肿瘤缩小

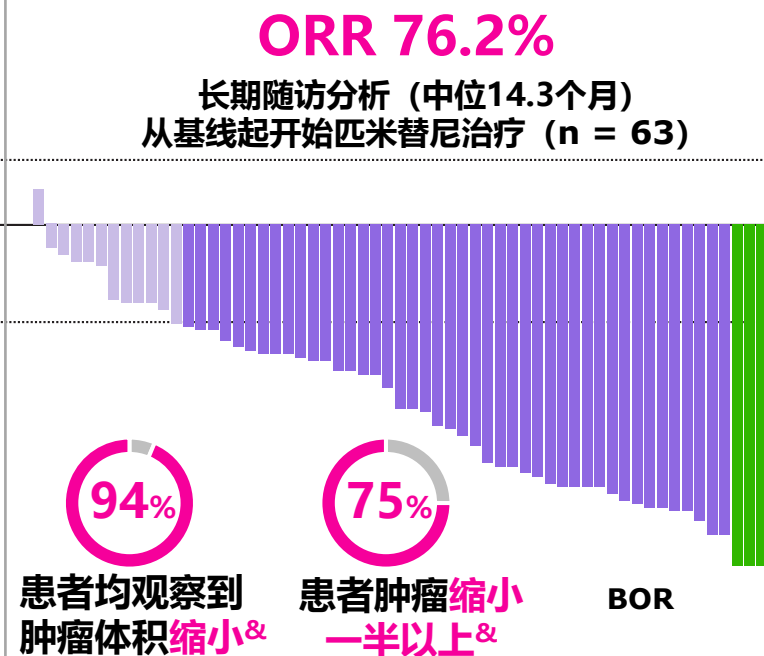
MANEUVER试验：TGCT领域首个由中国研究者牵头的一项全球、多中心、随机、双盲、安慰剂对照的III期研究入组患者近半数为中国患者，主要临床终点为ORR，其结果已发表于《The Lancet》柳叶刀杂志<sup>1</sup>

起效快、疗效显著，25周ORR达54%，安慰剂仅为3%<sup>1^</sup>



\*定义：BIRC根据RECIST v1.1评估的靶病灶直径总和较基线的最佳百分比变化

患者持续获益<sup>2</sup>



同时，匹米替尼已计划开展全球多中心（含中国）的上市后前瞻性研究以收集强有力的真实世界证据

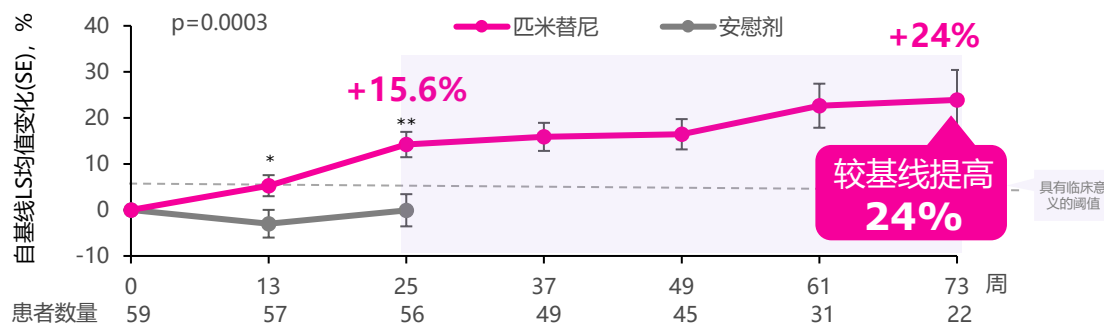
备注：<sup>^</sup>主分析结果。数据截止日期：2025年3月12日；c：一名患者最初在第13周时肿瘤大小减少52%（部分缓解），随后在第25周时增加38%（疾病进展）；然而，到第37周时，肿瘤大小已减少62%（部分缓解），且该患者仍在接受治疗。  
<sup>&</sup>基于TVS（肿瘤体积评分）评估。缩写：ORR：客观缓解率（含CR和PR）；BIRC：盲态独立评审委员会；RECIST：实体瘤疗效评价标准；NE：无法评估；CR：完全缓解；PR：部分缓解；SD：疾病稳定；PD：疾病进展；BOR：最佳总体疗效  
 来源：1. Xu H, et al. Lancet. 2026 Mar 14;407(10533)1072-1083；2. Niu X, et al. 2025 ESMO. 2690MO.

# 匹米替尼起效迅速，治疗5周时即可改善症状，且可持续改善患者的关节活动度和身体功能，显著提升患者生活质量，使患者回归正常生活

根据最新《CSCO骨与软组织肿瘤诊疗指南》<sup>1</sup>：TGCT的疗效评估需要考虑患者的症状和生活质量改善程度，推荐使用  
 1) 关节活动度 (ROM)；2) PROMIS躯体功能量表；3) 最僵硬NRS评分；4) BPI最疼痛NRS

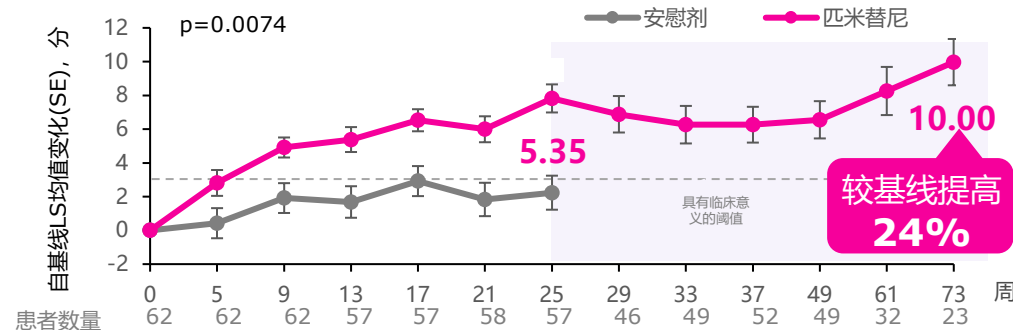
## 关节活动度提升，恢复日常基本动作能力

相对关节活动度 (ROM) 评分变化<sup>2</sup>



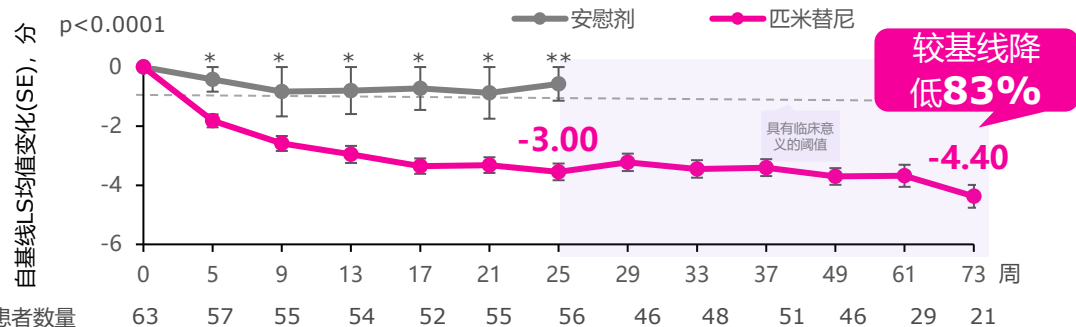
## 躯体功能改善，提升生活自理能力和社会参与度

身体功能PROMIS-PF 评分变化<sup>2</sup>



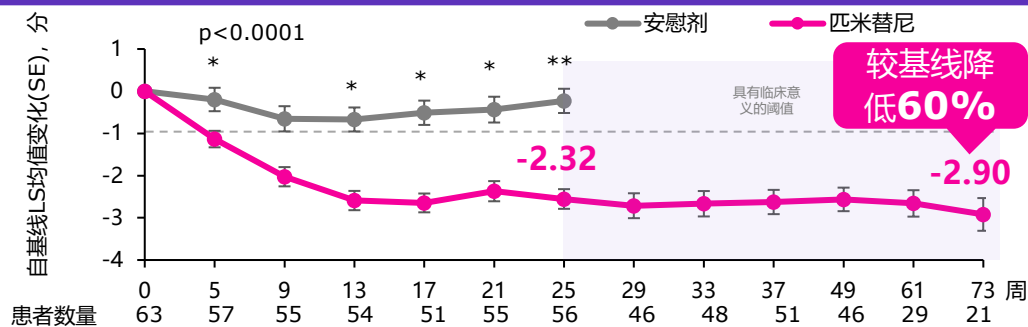
## 关节僵硬改善，提升肢体活动灵活性

最僵硬NRS评分变化<sup>2</sup>



## 疼痛显著缓解，提升生活质量

BPI最疼痛NRS评分变化<sup>2</sup>



备注: \*p<0.05: 表示该时间点两组LS均值差异具有统计学意义; p值为名义性; \*\*p<0.05: 表示第25周两组LS均值差异具有统计学意义; p值经分层(层级)检验, 为正式统计学显著  
 缩写: BPI: 简明疼痛量表; NRS: 数字评分量表; PROMIS-PF: 患者报告结局测量信息系统身体功能评分; LS: 最小二乘; SE: 标准误; ROM: 关节活动度  
 来源: 1. 2026 CSCO骨与软组织肿瘤诊疗指南 2. Niu X, et al. 2025 ESMO. 2690MO.

# 匹米替尼获批后迅速被纳入最新2026 CSCO权威指南，高级别、强推荐； 国际指南推荐CSF-1R抑制剂治疗TGCT，国内权威指南/共识推荐匹米替尼



2026年《CSCO骨与软组织肿瘤诊疗指南》<sup>^1</sup>



对于有症状且不可切除的TGCT患者，推荐采用**匹米替尼**

**I级推荐，1A类证据**



2025年《中国腱鞘巨细胞瘤临床诊疗专家共识》<sup>2</sup>



对于不可切除的TGCT，推荐采用**匹米替尼**等**CSF-1/CSF-1R通路抑制剂**进行治疗

**1级推荐，A级证据**



2025年《86个罕见病病种诊疗指南（2025年版）》<sup>3</sup>

国家卫生健康委办公厅发布的《关于印发软骨发育不全等86个罕见病病种诊疗指南(2025年版)的通知》中明确指出：

对于TGCT**系统治疗**的选择推荐**CSF1R抑制剂**等药物



中华人民共和国国家卫生健康委员会  
National Health Commission of the People's Republic of China



2025年《NCCN软组织肉瘤指南》<sup>4</sup>



对于TGCT，  
推荐将**CSF-1R抑制剂**作为1类系统治疗方案

**1类推荐**



2023年《TGCT最佳临床治疗：专家共识\*》<sup>5</sup>



对于有症状、特别是伴有功能损伤，且手术会带来显著并发症的TGCT患者，**CSF-1R抑制剂**被视为**标准药物**

**A级推荐，II级证据**

备注：<sup>^</sup>基于优越的临床试验数据，匹米替尼在获批前已被纳入2025年版CSCO指南

缩写：TGCT：腱鞘巨细胞瘤；CSF-1：集落刺激因子-1；CSF-1R：集落刺激因子受体-1；CSCO：中国临床肿瘤学会；NCCN：美国国家综合癌症网络；\*：由国际多学科肉瘤专家组成的团体与肉瘤患者权益倡导全球网络(SPAGN)的患者代表合作共同制定  
来源：1. 2026CSCO骨与软组织肿瘤诊疗指南 2. 中华医学会骨科学分会骨肿瘤学组,等.中华骨与关节外科杂志,2025,18(9): 769-780. 3.国家卫生健康委办公厅.《印发软骨发育不全等86个罕见病病种诊疗指南(2025年版)的通知》.4.NCCN.Clinical Practice Guidelines in Soft Tissue Sarcoma. v1. 2025. 5. Stacchiotti S,et al.Cancer Treat Rev . 2023 Jan;112: 102491.

# 匹米替尼安全可控，3-4级不良事件发生率低，未观察到胆汁淤积肝毒性或药物性肝损伤

## 匹米替尼长期随访结果<sup>1</sup>

≥30%的最常见的临床*TEAEs, n (%)	全部不良反应	3/4 级不良反应
	从基线起开始匹米替尼治疗 (n = 63)	
皮疹	24 (38.1%)	4 (6.3%)
瘙痒	38 (60.3%)	2 (3.2%)
面部水肿	31 (49.2%)	0 (0%)
眼周水肿	23 (36.5%)	0 (0%)

## 匹米替尼安全性良好



匹米替尼安全可控，不良反应多为1-2级，**3-4级不良事件发生率低**



长期随访未观察到新的安全性信号，且**无证据表明存在胆汁淤积肝毒性或药物性肝损伤**



**无黑框警告**



TEAE导致剂量降低比例 (25.4%) 和**停药率 (6.3%) 均处于可接受范围<sup>1</sup>**



特殊人群安全性良好，**老年患者无需调整剂量**

# 匹米替尼填补罕见病TGCT临床及目录双空白，患者数量明确有限，基金影响可控，临床管理难度小

## 罕见肿瘤，提升公共健康水平

- TGCT 已被纳入《**第二批罕见病目录**》
- TGCT高发于青壮年劳动人群，匹米替尼助力患者回归工作，**提升社会生产力水平**
- 已纳入“儿童抗肿瘤药物研发鼓励试点计划（星光计划）”，正积极开发TGCT的**青少年/儿童适应症**

## 基金影响小，符合“保基本”，且可节省医疗资源

- TGCT 人群有限，**医保基金影响小**，符合“保基本”原则
- **节省医疗资源浪费，减少患者反复就医成本**
- **降低因疾病反复复发所致的医疗资源支出与劳动力损失**

## 全球首创，填补临床和目录双空白

- 我国**首个且唯一**获批用于**TGCT治疗**的药物，全球首创全新高选择性CSF-1R抑制剂
- 目前**无TGCT治疗药物**，填补**临床和医保目录双空白**
- **本土生产，供应稳定**

## 临床管理难度小

- TGCT诊断标准清晰、**临床路径规范统一，无滥用风险<sup>1</sup>**
- 口服胶囊，每日一次给药，无饮食限制，可常温储存，**临床管理便捷**