

贝泽昔替尼片 (邦瑞顺®)

国产创新1类新药·高选择性JAK2抑制剂

杭州邦顺制药股份有限公司

目录

1 基本信息

骨髓纤维化 (MF) 属罕见恶性血液疾病, 临床面临治疗药物疗效与安全性的双重困境, 现有JAK抑制剂缺乏特异性, 安全性与耐受性欠佳。

2 有效性

贝泽昔替尼在缩脾、症状改善与长期获益均显示突出的疗效, 降低JAK2 V617F 等位基因突变负荷, 为MF患者提供新的治疗选择, 获2026年CSCO指南MF治疗推荐。

3 安全性

安全性良好, 因不良反应导致停药率最低, 且因独特的化学结构, 显著降低药品不良反应发生率, 提高病人长期用药耐受性。

4 创新性

国产1类新药, 具有独家创新的化学结构, 特有的乙基磺酰基取代的哌啶环可提高与JAK2的亲合力和选择性, 降低药物相互作用风险, 提高病人用药依从性。

5 公平性

弥补医保目录短板, 兼顾疗效与安全, 降低医疗管理成本, 提升公共健康水平。

骨髓纤维化属罕见恶性血液疾病，临床面临治疗药物的疗效与安全性双重困境

罕见血液肿瘤，疾病恶化程度高¹

骨髓纤维化 (MF) 纳入《第二批罕见病目录》，患病率约为1.76-4.05/10万人¹，中位生存期为5.7年，高危患者只有2.3年，10年内10%-20%发展为急性髓系白血病，常伴随脾肿大及全身症状等，显著影响患者生存质量。

现有JAK 抑制剂的治疗局限性

【缺乏特异性】 MF的核心驱动是JAK2-STAT 通路持续激活，JAK2 V617F更是其中精准治疗的核心驱动基因²，现有药物对JAK2 V617F 突变缺乏特异性。

【安全性与耐受性不佳】 芦可替尼在亚洲人群中的II 期A2202 临床试验中，因不良反应导致永久停药的比例，芦可替尼组为14.3%³。在吉卡昔替尼关键III期临床试验中，因不良反应导致永久停药的比例，吉卡昔替尼组为7.0%⁴。

临床MF治疗的未满足需求

【缩脾和症状改善亟待提升】 MF患者有效缩脾可改善远期预后、降低死亡风险；已上市其他JAK抑制剂缩脾和症状改善效果欠佳，生存获益有限，临床需要缩脾和症状改善作用更强的靶向新药⁵。

【患者合并用药风险高】 MF患者常多病共存，需多药联用，国内已上市其他JAK抑制剂均经CYP酶代谢，药物相互作用限制联用选择，临床亟需受CYP酶影响小、相互作用少的新型JAK抑制剂。

[1] Benjamin Garmez, Jordan K. Schaefer, Jessica Mercer, et al, A provider's guide to primary myelofibrosis: pathophysiology, diagnosis, and management, Blood Reviews, Volume 45, 2021, 100691.

[2] Constantinescu SN, Vainchenker W, Pecquet C. Next-generation JAK inhibitors in the treatment of myeloproliferative neoplasms. Blood. 2026 Mar 19;147(12):1255-1266.

[3] 金洁, 杜欣, 周道斌, 等. JAK抑制剂芦可替尼治疗中国骨髓纤维化患者的疗效和安全性: A2202随访一年结果[J]. 中华血液学杂志, 2016, 37(10): 858 - 863. DOI: 10.3760/cma. j. issn. 0253 - 2727.2016.10.007.

[4] 盐酸吉卡昔替尼片说明书, 核准日期2025年5月27日

[5] Dahniel L Sastow, Hannah Goulart, Karen Bedirian, et al. Systematic Review and Meta-Analysis of Spleen Volume Reduction and Overall Survival in Myelofibrosis Patients Treated with JAK-Inhibitors. Blood 2024; 144 (Supplement 1): 6665.

贝泽昔替尼作为高选择性JAK2抑制剂，拥有独特的化学结构，实现国产药物升级

通用名/商品名	贝泽昔替尼片 (邦瑞顺®)
申报目录类别	基本医保目录 (目录外新增条件1)
说明书适应症范围	用于中危-2或高危的原发性骨髓纤维化(PMF)、真性红细胞增多症继发的骨髓纤维化(PPV-MF)或原发性血小板增多症继发的骨髓纤维化(PET-MF)成年患者的一线治疗，治疗疾病相关脾肿大或改善疾病相关症状。
规格	4mg (主规格) ; 16mg
用法用量	每次20mg，每日两次
中国大陆首次上市时间	2026年4月29日
大陆同通用名药品上市情况	独家药品
药品注册分类	化学药品1类

建议参照药品：盐酸吉卡昔替尼片

- **2026年第一批参照药预沟通指定参照药**
- 医保目录内治疗骨髓纤维化的国产靶向药物
- 临床指南推荐治疗骨髓纤维化药物

与参照药对比优势

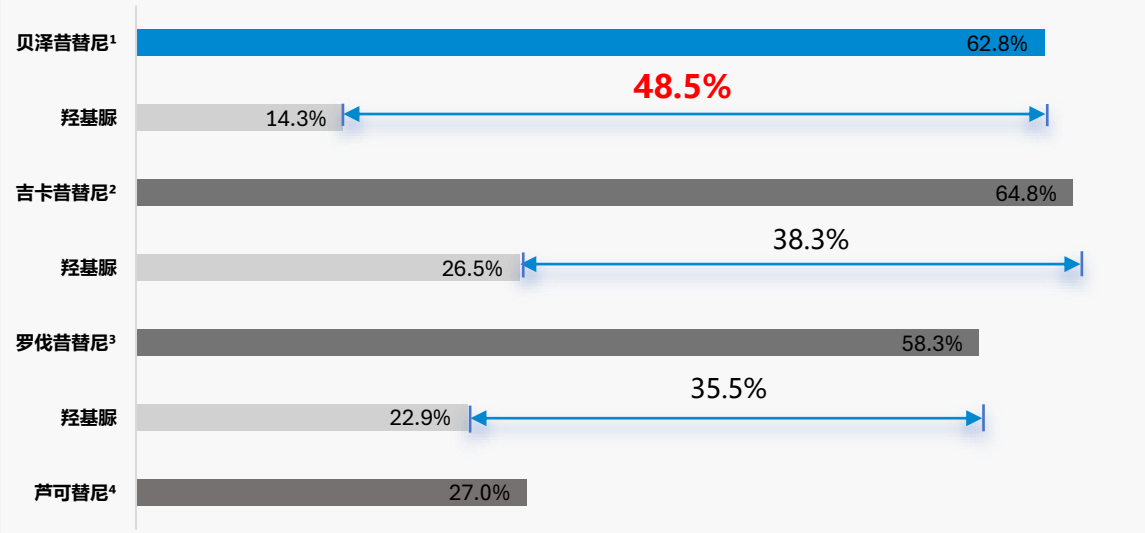
1. 国产1类新药，独家创新的化学结构
2. 高选择性JAK2抑制剂
3. 降低合并用药风险
4. 更好的缩脾疗效和症状改善
5. 长期用药安全窗更宽
6. 适应症范围小，基金影响更小

贝泽昔替尼在缩脾与症状改善中均展现出显著且突出的临床疗效，在同类药物中表现最优

与羟基脲相比，贝泽昔替尼**缩脾疗效显著**；且与其他JAK抑制剂相比，贝泽昔替尼缩脾疗效的**组间率差最大**

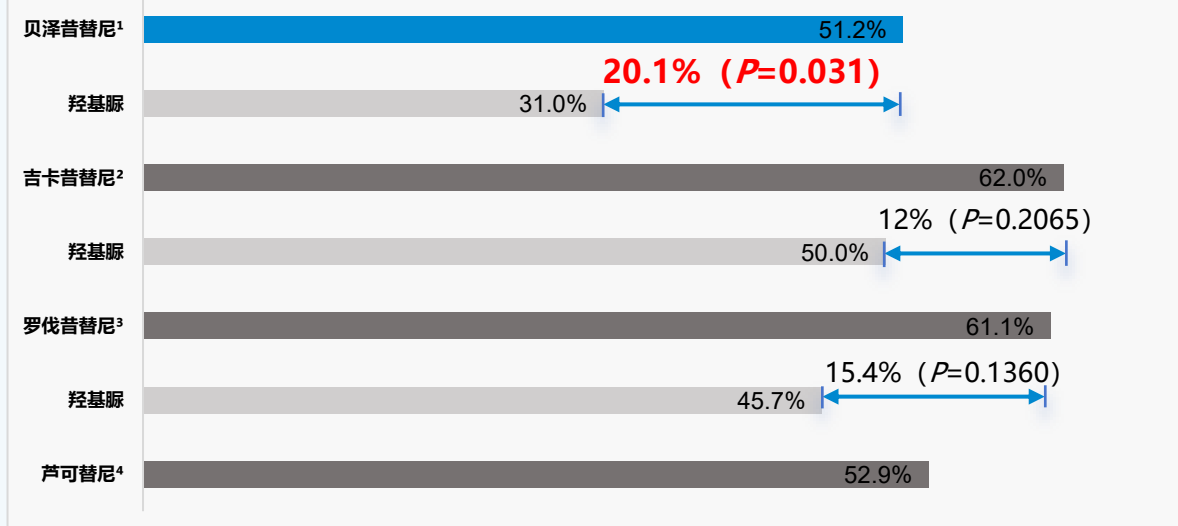
在JAK抑制剂中，仅贝泽昔替尼在**症状改善**方面较羟基脲**具有统计学差异**

各JAK抑制剂国内研究-24周脾脏响应(SVR35)



- 贝泽昔替尼组第24周的SVR35*率为**62.8%**，显著高于羟基脲组的14.3% ($P < 0.0001$)；
- 24周缩脾终点朴素分析显示，**贝泽昔替尼**对比羟基脲的率差为**48.5%**，高于吉卡昔替尼(38.3%)、和罗伐昔替尼(35.5%)。

各JAK抑制剂第24周的总症状评分较基线改善≥50% (TSS50)



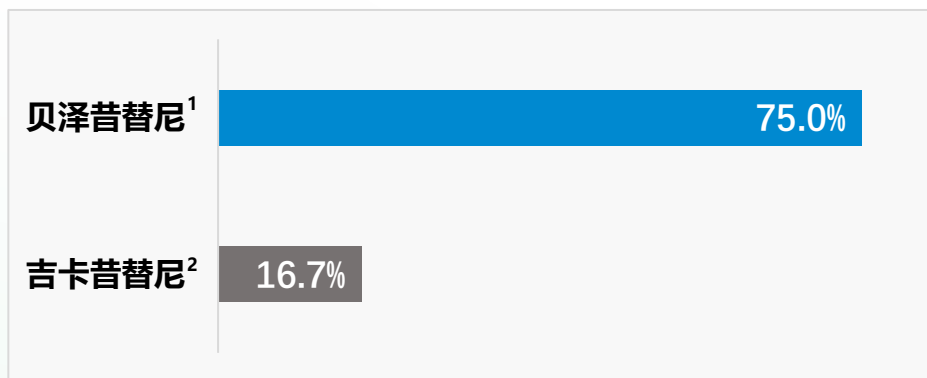
- 贝泽昔替尼组第24周的TSS50的患者比例为**51.2%**，显著高于羟基脲组的31.0% ($P = 0.031$)；
- 24周TSS50评估：**贝泽昔替尼统计学优于羟基脲**，吉卡昔替尼和罗伐昔替尼相较羟基脲的优势均无统计学意义。

[1] 索珊珊, 贡铁军, 陈玉清, 等. 贝泽昔替尼对比羟基脲治疗中高危骨髓纤维化的II/III期随机对照多中心研究终期分析[J]. 白血病淋巴瘤, 2025, 34(12): 723-731. DOI: 10.3760/cma.j.cn115356-20251127-00202.
 [2] 盐酸吉卡昔替尼片说明书, 核准日期2025年5月27日
 [3] 罗伐昔替尼片说明书, 核准日期2026年2月25日
 [4] 磷酸芦可替尼片说明书, 核准日期: 2017年3月10日

基于贝泽昔替尼在MF患者治疗中的多重获益和持久疗效，获CSCO指南MF治疗推荐

摆脱输血依赖，促进输血独立

相较吉卡昔替尼，贝泽昔替尼摆脱患者输血依赖更优



24周，基线存在输血依赖的患者中，贝泽昔替尼组有**75.0%**的患者摆脱输血依赖。

原发性骨髓纤维化(PMF)患者一线治疗推荐

被纳入《CSCO恶性血液病诊疗指南(2026年)》



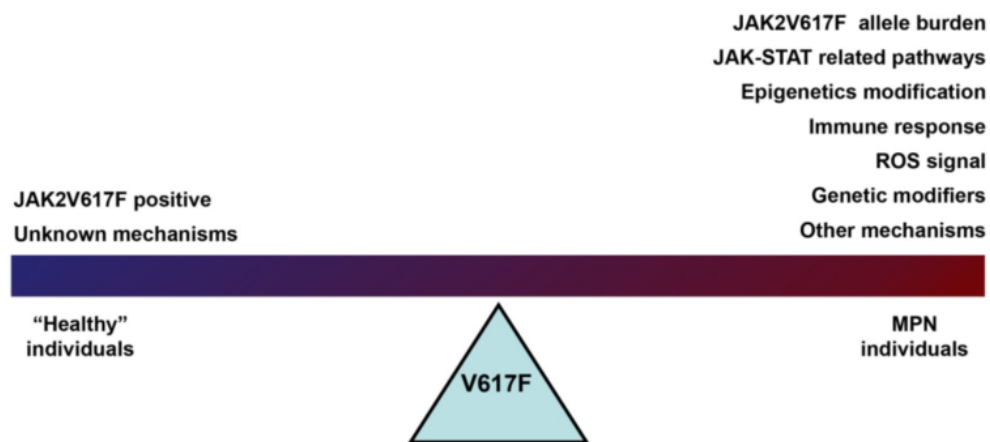
贝泽昔替尼对骨髓纤维化患者治疗具有多重获益和持久疗效。

[1] 秦珊珊, 贡铁军, 陈玉清, 等. 贝泽昔替尼对比羟基脲治疗中高危骨髓纤维化的II/III期随机对照多中心研究终期分析[J]. 白血病·淋巴瘤, 2025, 34(12): 723-731. DOI: 10.3760/cma.j.cn115356-20251127-00202.

[2] Zhang Y, Zhou H, Suo S, et al. Evaluation of gecacitinib vs hydroxyurea in patients with intermediate-2 or high-risk myelofibrosis: final analysis results from a randomized phase 3 study. Blood Cancer J. 2024 Dec 18;14(1):216..

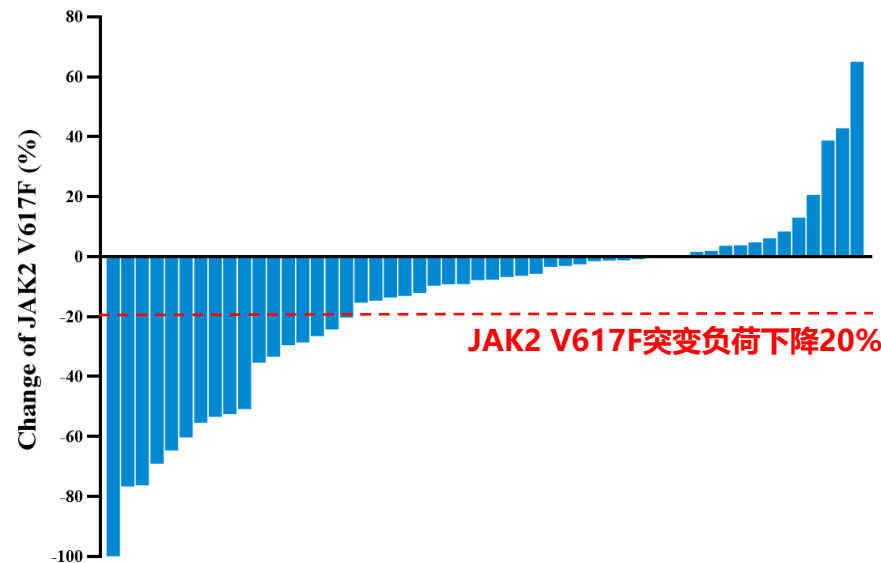
贝泽昔替尼可降低JAK2 V617F 等位基因突变率，从分子层面逆转疾病的驱动因素

基因突变负荷与疾病严重程度密切相关



JAK2 V617F等位基因突变是影响MF疾病严重程度的重要因素之一¹。JAK2 V617F 突变率高与外周血白细胞升高、脾脏显著增大相关，且会大幅提升白血病转化风险²。降低JAK2 V617F等位基因负荷，可改善疾病严重程度，达到临床获益。

贝泽昔替尼可降低MF患者驱动基因突变负荷



52例MF患者中，75%的患者经治疗后突变负荷下降，最大降幅可达100%。突变负荷下降的患者中，突变负荷下降均值为25.7%³。

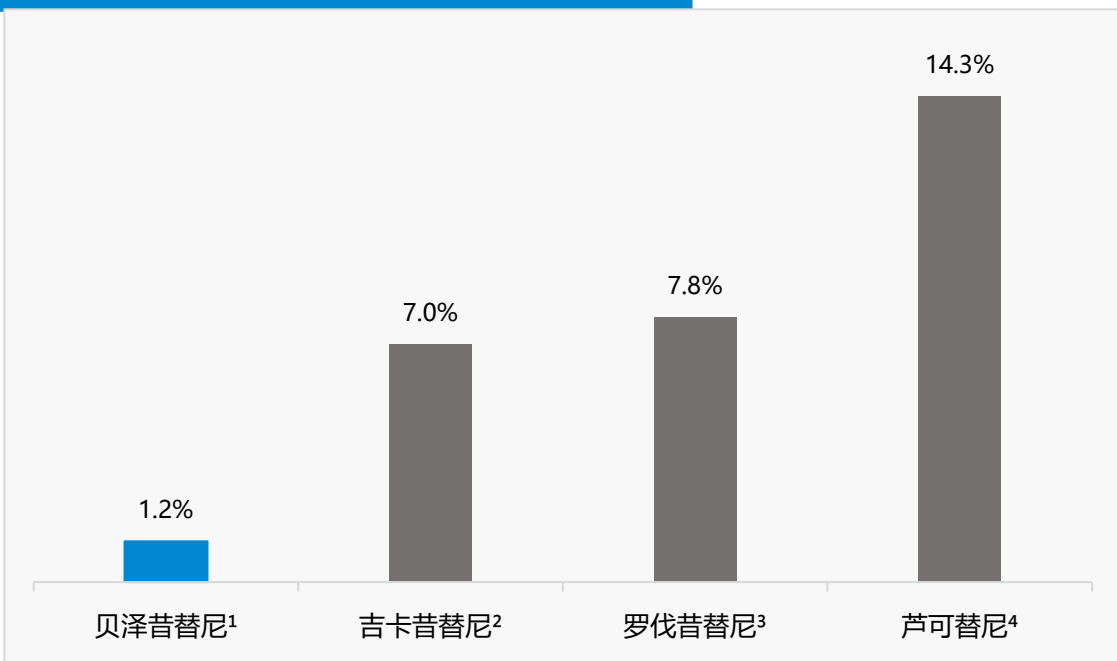
[1] Gou P, Zhang W, Giraudier S. Insights into the Potential Mechanisms of JAK2V617F Somatic Mutation Contributing Distinct Phenotypes in Myeloproliferative Neoplasms. Int J Mol Sci. 2022 Jan 18;23(3):1013.

[2] Barosi G, Bergamaschi G, Marchetti M, et al. Gruppo Italiano Malattie Ematologiche Maligne dell'Adulto (GIMEMA) Italian Registry of Myelofibrosis. JAK2 V617F mutational status predicts progression to large splenomegaly and leukemic transformation in primary myelofibrosis. Blood. 2007 Dec 1;110(12):4030-6.

[3]数据来源于HDHY-OB756-MF-101研究

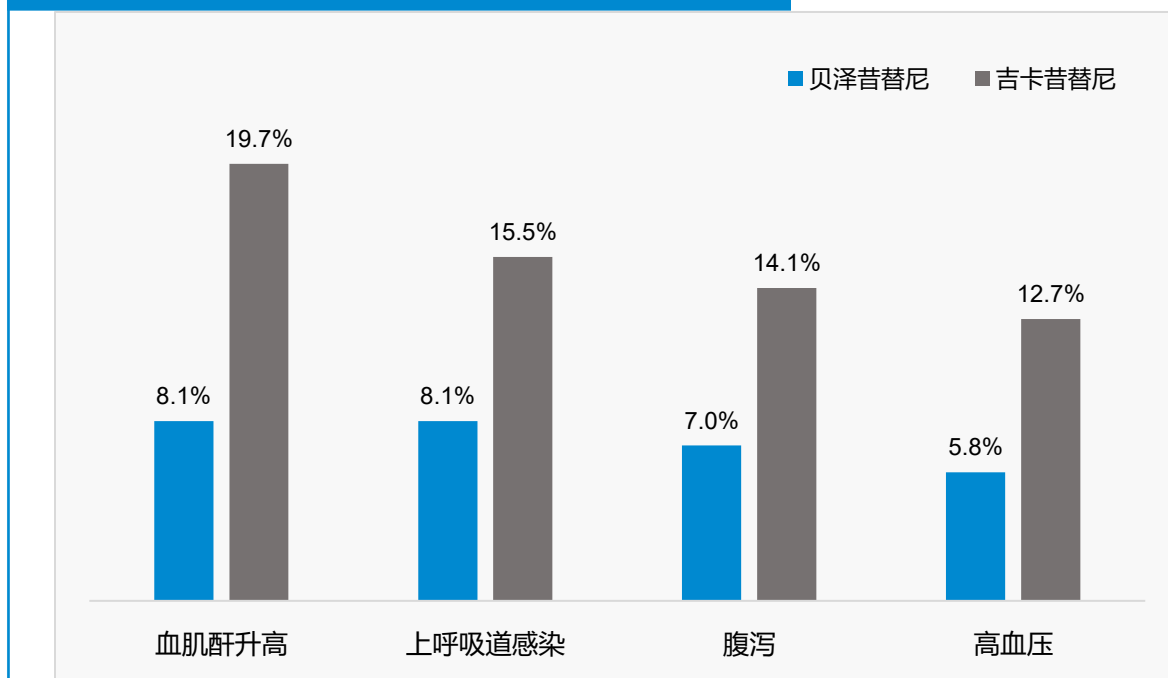
安全性良好，因不良反应导致停药率更低；且因独特的化学结构，显著降低药品不良反应发生率

贝泽昔替尼停药率最低



- 贝泽昔替尼因不良事件导致的**停药率为1.2%**，吉卡昔替尼、罗伐昔替尼和芦可替尼的停药率分别为7.0%、7.8%和14.3%。

贝泽昔替尼非血液学毒性更小



- 相较于吉卡昔替尼，贝泽昔替尼的血肌酐升高、上呼吸道感染、腹泻、高血压等非血液学**不良事件发生率更低**。

[1] 索珊珊, 贡铁军, 陈玉清, 等. 贝泽昔替尼对比羟基脲治疗中高危骨髓纤维化的II/III期随机对照多中心研究终期分析[J]. 白血病 淋巴瘤, 2025, 34(12): 723-731. DOI: 10.3760/cma.j.cn115356-20251127-00202.

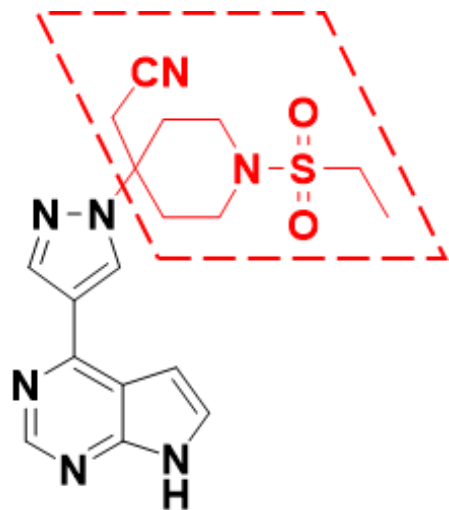
[2] Zhang, Y., Zhou, H., Suo, S., et al. Evaluation of gecacitinib vs hydroxyurea in patients with intermediate-2 or high-risk myelofibrosis: final analysis results from a randomized phase 3 study. *Blood Cancer J*, 14, 216 (2024).

[3] Pan L, Xu Z, Xu W, Shen X, Zhang Z, Jiao Z, et al. The primary results from a randomized double-blind phase II study of rovadacitinib versus hydroxyurea in patients with myelofibrosis. *Annals of Oncology*. 2024;35(Suppl_):799MO. Presented at: ESMO Congress 2024.

[4] 金洁, 杜欣, 周道斌, 等. JAK抑制剂芦可替尼治疗中国骨髓纤维化患者的疗效和安全性:A2202随访一年结果[J]. 中华血液学杂志, 2016, 37(10): 858 - 863. DOI: 10.3760/cma.j.issn.0253-2727.2016.10.007.

独特的化学结构具有靶点高选择性，提高药物耐受性和降低药物相互作用风险

贝泽昔替尼独特的化学结构

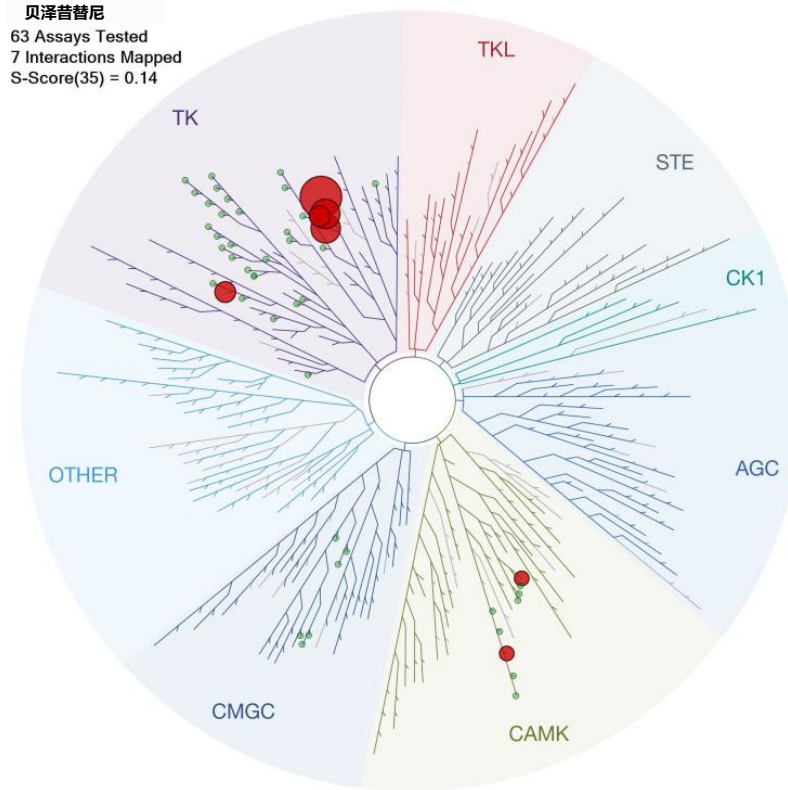


特有的乙基磺酰基取代的哌啶环**结构优势**:

- 提高了对JAK2的亲亲和性和选择性;
- 有效地减少氧化代谢;
- 有助于提高药物耐受性和降低药物相互作用风险;
- 在体内CYP酶代谢很少, 主要以原形药排出体外, 血浆中无定量代谢产物。

贝泽昔替尼更高的激酶选择性

贝泽昔替尼
63 Assays Tested
7 Interactions Mapped
S-Score(35) = 0.14



- 对JAK2和JAK2V617F激酶的抑制活性**低于1纳摩尔 (nM)** ;
- **抑制JAK2激酶活性最高;**
- 对其他相关激酶的抑制活性极低。

精准靶向JAK2 V617F突变的国产创新药：弥补医保目录短板，兼顾疗效与安全，降低管理成本，提升公共健康水平

弥补医保目录短板

- 高选择性精准靶向JAK2 V617F 突变，兼顾疗效与安全性需求；
- 解决因合并用药复杂所致的临床痛点，为既往无法使用目录内现有JAK抑制剂药物治疗的患者提供新的选择。

符合“保基础”原则

- 国内自主研发，实现国产升级替代，稳定供应，患者可及；
- 减少因药物相互作用产生的不良反应引起的医疗支出，降低联合用药管理和监测成本，节约医保基金支出。

提升公共健康水平

- 缩脾疗效显著、快速且持久，改善患者生活质量；
- 减少患者长期输血导致输血相关性反应、病毒传播等风险，降低血源紧张压力。

临床管理难度低

- 减少脱靶毒性，长期用药安全窗更宽；
- 适应症明确，指南推荐清晰，提供安全、简便、普适的治疗方案，改善长期预后。

建议以吉卡昔替尼为参照药品，医保价值评级为“改进”

- **精准靶向**：高选择性JAK2抑制剂，解决现有JAK抑制剂对JAK2 V617F突变缺乏特异性的痛点，为患者提供有效性和安全性更优的全新治疗选择。
- **多重获益**：缩脾、症状改善与摆脱输血依赖的疗效突出，降低JAK2 V617F 等位基因突变负荷，从而明显延长生存，提高生活质量。
- **创新结构**：独特的化学结构可提高药物耐受性和安全性，降低联合用药管理和监测成本。
- **节约基金**：获批适应症范围小、患者群体更聚焦，节约医保基金。