

申报类别：基本医保目录-目录外新通用名药品



盐酸阿思尼布片 (信倍立®)

慢性髓细胞白血病 (CML) 新机制靶向治疗药物

北京诺华制药有限公司

目录

C O N T E N T S

1

基本信息

2

作用机制与创新特点

3

临床疗效与证据概览

4

安全性与用药连续性

5

公平性与价值总结（不含经济性）

基本信息 (1/3) :

全球首个且目前唯一获批靶向“肉豆蔻酰口袋”的新一代CML创新药¹

基本信息

通用名称	盐酸阿思尼布片 (信倍立®)
注册规格	40mg (按C ₂₀ H ₁₈ ClF ₂ N ₅ O ₃ 计)
说明书适应症	新诊断的费城染色体阳性的慢性髓细胞白血病 (Ph+ CML) 慢性期 (CP) 成人患者
用法用量	推荐剂量为80mg, 每日一次
中国大陆首次上市时间	2025年5月, 递交10个月即获CDE快速批准
大陆同通用名药品上市情况	独家药品, 化合物专利保护至2033年

1. 首个且目前唯一指截至该材料递交前国内外获批产品情况

基本信息 (2/3) :

建议以氟马替尼作为参照药物

建议参照药	甲磺酸氟马替尼片
适应症相似	<ul style="list-style-type: none"> • 均可用于一线新诊断慢性期Ph+CML患者的治疗
同生命周期	<ul style="list-style-type: none"> • 均处于专利期内 • 氟马替尼为目录内同适应症下最新代际的二代产品
临床应用广泛	<p>氟马替尼在二代产品中:</p> <ul style="list-style-type: none"> • 最新准入医保目录, 可反映最新专家评审结果 • 市场份额最大 (60.02%), 临床应用广泛¹
指南推荐	<ul style="list-style-type: none"> • CSCO指南 (2026年版) 获得慢性期CML一线治疗I级推荐² • CACA指南 (2025年版) 推荐为慢性期CML一线治疗首选方案³ • CML中国诊断与治疗指南 (2025年版) 推荐用药⁴

1.数据来源: IQVIA CHPA数据库 (数据截至2026年3月) 2.2026中国临床肿瘤学会 (CSCO) 诊疗指南 3.中国肿瘤整合诊治CACA指南 (2025年版)
4.慢性髓细胞性白血病中国诊断与治疗指南 (2025年版)

基本信息 (3/3) :

现有TKI*分子学达标率有待提升、AE耐受性欠佳，特殊人群未满足需求仍需关注

在现有治疗方案下，多数患者可获得疾病控制，但仍存在以下未满足需求

分子学达标率有待提升，中高危、育龄患者需求更强

AE耐受性欠佳，共病患者选择受限



- 指南指出¹：**达到并维持主要分子学反应(MMR)与降低疾病进展风险相关**
- 在现有TKI*治疗下，约**50%**新诊断患者在治疗早期及随访过程中难以及时达到并稳定维持MMR^{2,6,15}

- **研究发现⁸**：AE相关耐受性问题会影响治疗持续性，从而导致**疗效受损**，MMR显著下降
- 现有TKI*安全性有待提高，因不耐受AE停止治疗比例较高^{7,15}，尤其二代TKI中尼洛替尼**心血管风险（黑框警告）**¹⁰、氟马替尼**腹泻⁹及肾损¹¹**等AE问题突出

中高危患者
(占比约30%³)

治疗失败率更高，约**70%**患者在3年随访时未能稳定维持MMR，更高疾病进展风险⁴

育龄患者
(占比约10%)

中国患者较国外**年轻15-20岁**，生育需求更高。但现有TKI***深度缓解不足**，迟迟无法停药而**错过生育时机**^{5,6,7,15}

合并症患者
(占比约27%¹⁴)

- 合并症人群（如**合并肾损、肝损、胃肠道疾病、糖尿病**等）可能无法耐受现有TKI相应AE，指南**不推荐使用一代/二代TKI***，患者**治疗选择受限**¹²
- 中断或减量导致**长期疗效受损**，合并症患者MMR显著下降约10-20%¹³

* “现有TKI” 以及 “一代/二代TKI” 主要指：III期ASC4FIRST临床试验纳入且在中国获批一线新诊断CML适应症的伊马替尼、尼洛替尼，以及建议参照药氟马替尼
 1.欧洲白血病网络ELN指南. MMR指标: BCR-ABL≤0.1%，达到MMR的患者疾病进展风险显著降低. 2. Poster presentation #6583 at 2026 ASCO 3. Zhang X, et al. Blood, 2024, 144(18): 1951-1961. 4. Oral presentation S160 at 2026EHA 5.慢性髓细胞性白血病中国诊断与治疗指南 (2025年版) 6 Hochhaus A, et al. New England Journal of Medicine, 2024, 391(10): 885-898 7. Poster presentation #6583 at 2026 ASCO 8. Marin D, et al. JOURNAL OF CLINICAL ONCOLOGY. 2010, 28(14): 2381-2388 . 9. 《中国慢性髓系白血病个体化全程管理专家共识 (2026年版)》 10. 尼洛替尼说明书 11. 2026中国CSCO指南 12. 中国肿瘤整合诊治 CACA指南 (2025年版) 13. Rosti G, et al. Leukemia, 2024, 38: 126-135. 14. 于露等. 中华血液学杂志, 2018, 39(7): 533-539. 15. Zhang L, et al. Clin Cancer Res, 2021, 27(1): 70-77.

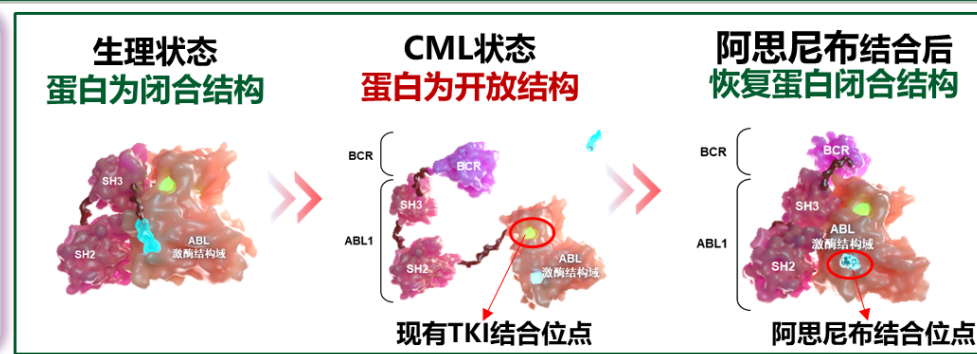


创新性:

阿思尼布恢复致病蛋白自抑制构象，双重效应提疗效、高选择性增安全

全新靶点和独特的作用机制

	阿思尼布	vs.	现有TKI
全新靶点	肉豆蔻酰口袋		ATP
全新机制	✓ 改变致病蛋白空间结构		⚠ 不可改变空间结构



实现独特作用机制

- **恢复自抑制构象:** 阿思尼布结合“肉豆蔻酰口袋”，诱导 BCR-ABL1 蛋白重新形成类似于自抑制的“闭合状态”，这种构象具有**双重效应**¹:
 - 1 抑制 BCR-ABL1 的**激酶**活性
 - 2 有效阻断了**非激酶**依赖通路的信号传导
- **减少脱靶效应:** 阿思尼布对 BCR-ABL1 具有**高度选择性**，不影响其他正常蛋白功能，低脏器毒性²

相关性

疗效维度

在随机、头对头 III 期研究中，该机制特征与其在新诊断患者中观察到的**关键研究终点 (MMR, DMR) 改善结果呈现一致性**^{3,4}

安全维度

III 期研究显示**良好的耐受性和治疗连续性**，相关安全性结果与其作用机制特征相符合⁴

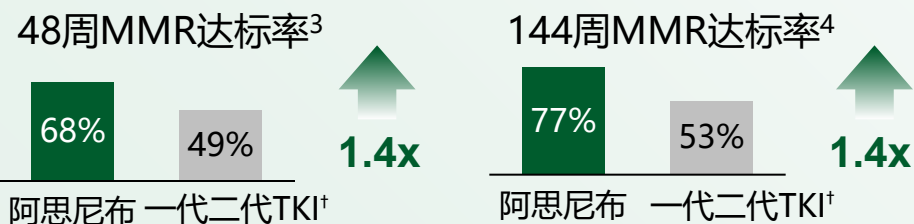
有效性 (1/2) —

阿思尼布在MMR¹等关键终点上持续获益且优于传统TKI*

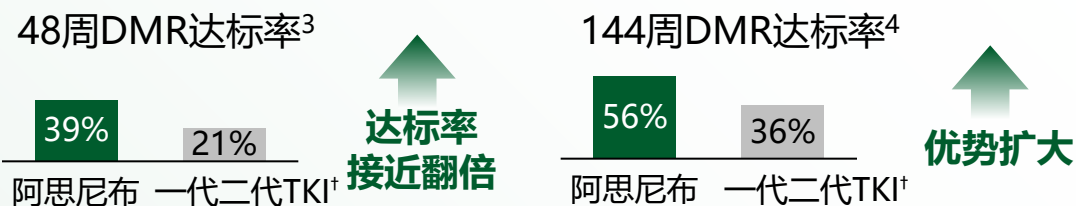
■ 与一代二代TKI[†]相比，大型III期临床试验证实阿思尼布MMR显著更优，深度缓解DMR接近翻倍

ASC4FIRST研究：近10年唯一被《新英格兰杂志(NEJM)》接收的新诊断CML研究，阿思尼布(n=201) vs. 对照组(n=204)

主要研究终点MMR显著提升至1.4倍(p<0.001)，
降低疾病进展风险^{3,4}



次要研究终点DMR接近翻倍，缓解程度更深，
夯实临床停药实现基础^{2,3,4}



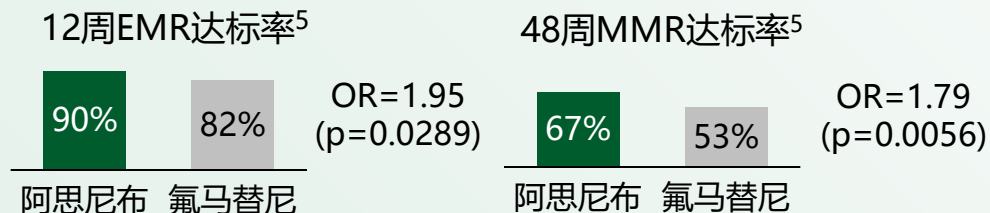
[†]对照组包括伊马替尼、尼洛替尼、达沙替尼(中国仅获批后线)、Bosutinib (中国未获批)，简称一代二代TKI

更新144周 (约3年) 长期随访数据 新

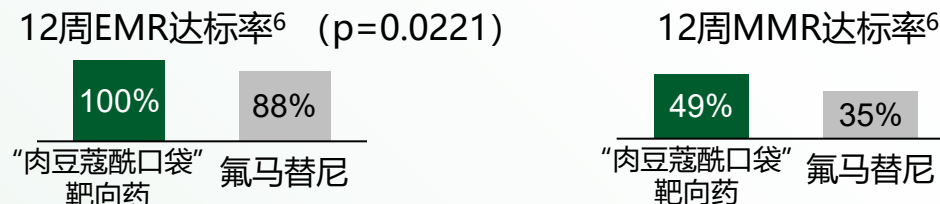
■ 与建议参照药氟马替尼相比，MMR达标概率提升至1.79倍，早期疗效EMR同样显著更优

氟马替尼未在海外上市尚未纳入上述全球III期研究，因此通过间接比较及RWE多来源证据进行对比；氟马替尼注册研究仅公布1年数据，未披露更长随访数据⁸

锚定间接比较MAIC⁵：EMR、MMR达标概率显著提升



中国多中心真实世界研究⁶：早期疗效显著优于氟马替尼



间接比较+中国上市后RWE 新

✓ 积极响应国家医保政策要求，启动药品真实世界医保综合价值评价研究试点，持续关注真实世界患者获益⁷

*传统TKI指的是：III期ASC4FIRST临床试验纳入的伊马替尼、尼洛替尼、达沙替尼(中国仅获批后线)、Bosutinib (中国未获批)，以及建议参照药氟马替尼

1. MMR指标：BCR-ABL \leq 0.1%，达到MMR的患者疾病进展风险显著降低；2. DMR指标：深度分子学反应，代表更深缓解，BCR-ABLIS \leq 0.01%；持续获得深度缓解DMR是临床停药的关键条件；3. Hochhaus A, et al. New England Journal of Medicine, 2024, 391(10): 885-898 4. Poster presentation #6583 at 2026 ASCO 5. Wang Y et al. ISPOR Europe 2025 (Poster MSR143), 其中EMR指标：早期分子学反应，代表BCR-ABL \leq 10%；MMR指标：代表BCR-ABL $<$ 0.1% 7. 摘要已被“2026年欧洲血液学协会(EHA)年会”接收，编号是EHA-3536 8. Zhang L, et al. Clin Cancer Res, 2021, 27(1): 70-77.

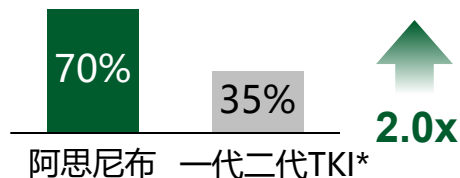
有效性 (2/2) ——

针对中高危¹、育龄患者特殊人群，阿思尼布的临床获益更为突出

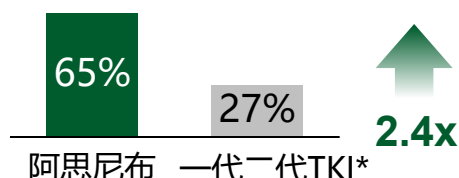
(1) 治疗失败率高的中高危患者：MMR可提升至2倍以上，降低疾病进展风险^{2,3}

III期研究中高危亚组分析：较对照治疗呈现更高的达标水平²

中危患者144周MMR达标率²

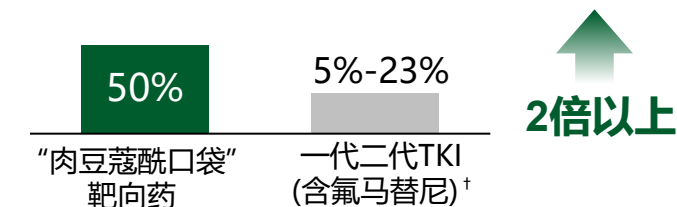


高危患者144周MMR达标率²



中国多中心RWE研究：与左侧RCT获益趋势一致³

中高危患者12周MMR达标率³



《中国CSCO指南 (2026年)》⁴：推荐阿思尼布用于中高危患者 (I级推荐，最高等级)

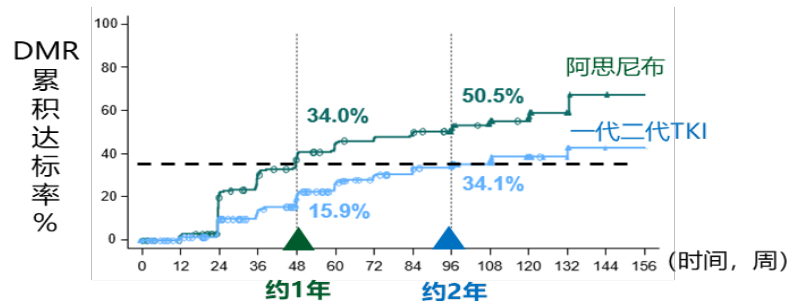
*中高危人群新证据

新*

(2) 育龄患者：触达DMR时间缩短半年-1年，有望更早实现临床停药，惠及有生育需求的患者⁵

有望更早实现临床停药⁵：

- 一代二代TKI*需96周触达34%DMR (~2年)
- 阿思尼布触达34%DMR仅需48周(~1年)



《CML个体化管理共识》⁶：建议尽早达到临床停药后妊娠，推荐一线选择阿思尼布

*最新中国共识推荐

新*

*一代二代TKI指的是：III期ASC4FIRST临床试验纳入的伊马替尼、尼洛替尼、达沙替尼(中国仅获批后线)、Bosutinib (中国未获批)；†一代二代TKI (含氟马替尼)指的是：已在中国获批一线新诊断CML适应症的伊马替尼、尼洛替尼、氟马替尼 1.中高危指的是经ELTS风险评估体系评估的中高危人群，主要基于年龄、脾脏大小、外周血原始细胞、血小板指标进行计算而得。ELTS是指南推荐的优选风险评估体系，在预测CML患者治疗反应及生存结局上优于其他预后积分系统 2. Oral presentation S160 at 2026EHA.其中MMR指标：BCR-ABL \leq 0.1%，达到MMR的患者疾病进展风险显著降低 3.oral presentation at 2026CAH(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)。其中MMR指标：BCR-ABL $<$ 0.1%。4.2026中国临床肿瘤学会 (CSCO) 诊疗指南。5.Oral presentation #475 at ASH 2024. 其中DMR指标：深度分子学反应，代表更深缓解，BCR-ABLIS \leq 0.01%；持续获得深度缓解DMR是临床停药的关键条件 6.中国慢性髓系白血病个体化全程管理专家共识 (2026年版)

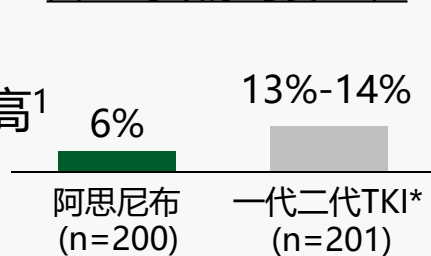
安全性:

III期研究证实阿思尼布因AE停药减半，治疗持续性更佳，合并症患者使用不受限

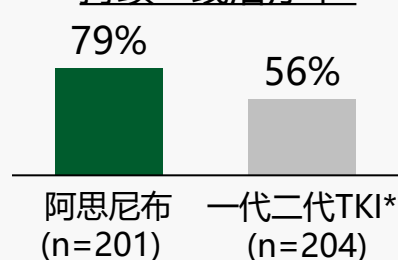
新诊断人群

相较一代二代TKI*，III期研究长达约3年随访结果显示，阿思尼布因AE停药减半，持续一线治疗的患者比例更高¹

因AE导致停药发生率¹



持续一线治疗率¹



合并症患者

相较氟马替尼，锚定间接比较证实²，阿思尼布因AE停药同样减半，与III期研究结果呈现一致趋势

- 因AE停药发生率5.5%vs.10.2%；因AE停药风险显著降低71% (RR 0.29, p=0.0231)²

在合并症人群中，现有中国指南基于安全性和耐受性证据，推荐安全性佳的阿思尼布^{3,4}

合并症	指南推荐阿思尼布	未推荐一代/二代TKI
肾损	√	伊马替尼、氟马替尼 ⁵
肝损	√	氟马替尼
胃肠道疾病	√	伊马替尼、氟马替尼
糖尿病	√	尼洛替尼

*一代二代TKI指的是：III期ASC4FIRST临床试验纳入的伊马替尼、尼洛替尼、达沙替尼(中国仅获批后线)、Bosutinib (中国未获批)；

1. Poster presentation #6583 at 2026 ASCO 2.Wang Y et al. ISPOR Europe 2025 (Poster MSR143).3.中国肿瘤整合诊治CACA指南 (2025年版) 4.慢性髓细胞性白血病中国诊断与治疗指南 (2025年版) 5.2026中国CSCO指南：合并中重度肾功能不全的患者慎用氟马替尼

***合并症患者新证据**

新*

公平性:

阿思尼布在人群覆盖与公共健康层面的相关考量

弥补目录短板

- 具有全新靶点和新机制的新一代CML靶向药，疗效与安全均体现显著优势，**具备明确的目录升级价值**^{1,2,3}
- 同时，**中高危**患者获益更优，指南明确推荐**合并症**患者使用安全性佳的阿思尼布，为重点人群提供更适宜的治疗方案^{4,5}

提升公共健康水平

- 中国患者**更年轻**（较国外年轻15-20岁），生育需求更高，阿思尼布更深缓解有望提高临床停药可及性，惠及处于**生育年龄的患者**，符合国家对**生育健康、人口结构优化**等重要政策导向^{1,2,5}
- 同时，其后续**儿童适应症**：已纳入CDE药审中心**重点关注项目“星光计划”**（儿童抗肿瘤药物研发鼓励试点计划）⁶

临床管理难度低

- 新诊断患者的**诊断标准明确***，目录内同领域药物上市多年，诊治经验丰富，临床和医保管理难度低

*阿思尼布新诊断人群临床试验入组标准¹：

诊断3个月内，且未经过TKI治疗或TKI治疗2周内

符合“保基本”原则

- **诚意准入**医保，**升级**目录内品种
- **基金影响程度有限**，新诊断患者预计每年约**1万人**，仅占总体CML患者的**10%**⁷

1.Hochhaus A, et al. New England Journal of Medicine, 2024, 391(10): 885-898 2. Poster presentation #6583 at 2026 ASCO 3. Wang Y et al. ISPOR Europe 2025 (Poster MSR143) 4. Oral presentation S160 at 2026EHA 5. 慢性髓细胞性白血病中国诊断与治疗指南（2025年版） 6. 关于将盐酸阿思尼布片/胶囊装微片纳入《儿童抗肿瘤药物研发鼓励试点计划（星光计划）》试点项目的公示<https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/12b43d2d7d1deed05af0340baba8fe28> 7. 新诊断患者人数基于国癌中心2024年中国发病率数据测算，文献来源：孙可欣等. 中华肿瘤杂志, 2026, 48(3): 400-412.

阿思尼布综合临床价值总结

建议参照药：氟马替尼

□ 选择原因

适应症相似

- 均可用于**一线新诊断**慢性期Ph+CML患者的治疗

同生命周期

- 均处于**专利期**内
- 氟马替尼为目录内同适应症下**最新代际的二代产品**

临床应用广泛

氟马替尼在二代产品中：

- **最新准入**医保目录，可反映最新专家评审结果
- **市场份额最大** (60.02%)¹³

指南推荐

- 被多个中国指南**推荐**用于慢性期CML**一线治疗**^{10,11,14}

自评临床价值为“改进”

■ 创新性

- **新靶点**：全球首个且目前唯一**获批**靶向“肉豆蔻酰口袋”的创新药¹
- **新机制**：抑制致病**双通路**活性，对致病蛋白具有高度选择性**减少脱靶**^{2,3}

■ 有效性

- **III期研究**：主要终点MMR**显著**高于一代二代TKI*，**中高危患者**MMR可提升至2倍以上^{4,5,6}
- **与氟马替尼比**：锚定间接比较结果显示MMR达标概率显著提升至**1.79倍**，**中国真实世界**早期疗效**显著更优**^{7,8}
- 启动**药品真实世界医保综合价值评价研究试点**，持续关注真实世界患者获益⁹

■ 安全性

- **III期研究**：**AE导致停药率减半**，治疗连续性较好，保障长期稳定疗效⁵
- **通过锚定间接比较与氟马替尼相比**：**AE导致停药率同样减半**，停药风险显著降低**71%**⁷
- 低脏器毒性，指南推荐**合并症患者**使用安全性佳的阿思尼布^{10,11}

■ 公平性

- **诚意准入**医保，有效安全双提升可升级目录内品种
- 适应症界定清晰，新诊断患者**人群有限**^{4,12}

*一代二代TKI指的是：III期ASC4FIRST临床试验纳入的伊马替尼、尼洛替尼、达沙替尼(中国仅获批后线)、Bosutinib(中国未获批)

1.首个且目前唯一指截至该材料递交前国内外获批产品情况 2.房正轩等. 中华医学会第十九次血液学学术会议. 2025. 3. Réa D, et al. Critical Reviews in Oncology/Hematology, 2022, 171: 103580. 4.Hochhaus A, et al. New England Journal of Medicine, 2024, 391(10): 885-898 5. Poster presentation #6583 at 2026 ASCO. 6. Oral presentation S160 at 2026EHA 7.Wang Y et al. ISPOR Europe 2025 (Poster MSR143) 8. oral presentation at 2026CAH(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) 9.摘要已被“2026年欧洲血液学协会(EHA)年会”接收, 编号是EHA-3536. 10.中国肿瘤整合诊治CACA指南(2025年版) 11.慢性髓细胞性白血病中国诊断与治疗指南(2025年版) 12.新诊断患者人数基于国癌中心2024年中国发病率数据测算, 文献来源: 孙可欣等. 中华肿瘤杂志, 2026, 48(3): 400-412. 13.数据来源: IQVIA CHPA数据库(数据截至2026年3月) 14.2026中国临床肿瘤学会(CSCO)诊疗指南