

调整医保支付范围申报幻灯

Once daily oral therapy
REVOLADE™
(eltrombopag olamine)

艾曲泊帕乙醇胺片（瑞弗兰®）

唯一在中国获批儿童ITP适应症的TPO-RA类药物
弥补目录短板、快速升板、满足儿童ITP患者基本用药需求

北京诺华制药

申报幻灯目录

1 药品基本信息

- 药品信息介绍
- ITP疾病介绍

3 有效性优势

- 权威临床指南推荐
- 临床试验疗效显著
- 真实世界疗效优异

5 公平性优势

- 提升儿童公共健康获益
- 符合“保基本”原则
- 弥补目录短板
- 临床管理简单

2 安全性优势

- 说明书安全性良好
- 上市后安全性良好

4 创新性优势

- 全球首个上市口服小分子非肽类TPO-RA
- 填补目录内6-11岁儿童ITP药物治疗空白

艾曲泊帕乙醇胺片药品基本信息介绍

通用名	艾曲泊帕乙醇胺片
商品名	瑞弗兰®
药品类别	西药, 非OTC药品
目前大陆地区同通用名药品上市情况	独家药品, 仅1家已获批上市
剂型	口服片剂
说明书全部注册规格	25mg, 50mg
目前各省挂网最低中标价格	4,396元 (25mg*28片)
新增适应症或功能主治	本品适用于6-11岁儿童慢性免疫性 (特发性) 血小板减少症 (ITP) 患者
用法用量	起始剂量为25mg, 每日一次。 必要时调整剂量使血小板计数达到并维持 $\geq 50,000/\mu\text{L}$ 。6-11岁的儿童患者剂量不得超过每日50mg
中国上市时间	成人ITP (首个适应症): 2017年12月 12岁及以上儿童ITP: 2018年7月 6-11岁儿童ITP: 2022年5月13日
中国医保准入情况	除6-11岁ITP适应症外, 成人和12岁及以上ITP适应症均已纳入医保报销范围
全球首个上市国家/地区及时间	成人和儿童ITP: 美国, 2008年11月

ITP出血风险高，患者疾病负担沉重，需要长期规范管理，因避免出血而活动受限使ITP患儿生活质量显著降低

发病率较高，中国专家共识与欧美指南基本一致，儿童发病率约为4-5/10万

出血风险高，儿童ITP患者严重出血发生率显著高于成人患者，需要长期规范管理

因担心出血而活动受限，生活质量较差，ITP患儿照护负担重，父母生活质量甚至低于患儿

ITP患儿长期使用激素类药物会出现骨质疏松、股骨头坏死等不良反应，临床上存在较大的未满足需求



艾曲泊帕用于6-11岁儿童ITP适应症安全性良好，常见不良反应种类少，且中重度不良事件鲜有发生

药品说明书记载的安全性信息

- **不良反应：**最重要的为肝毒性和血栓形成/血栓事件
 - 对于肝毒性，一项艾曲泊帕治疗中国慢性ITP儿童患者单中心回顾性观察性数据分析研究表明，6~11岁ITP儿童患者在艾曲泊帕剂量 ≤ 50 mg/天时即能达到疗效且未报告肝转氨酶升高事件。另外一项艾曲泊帕治疗中国慢性ITP儿童患者前瞻性观察性队列研究表明，小部分患者出现AST/ALP/间接胆红素异常，但均为1级且可逆，没有患者因此降低剂量或中止治疗，大多数患者的ALP升高自行下降
 - 对于血栓形成，ITP患者血栓发病情况高于正常人，研究未证实TPO-RA与血栓发生有必然联系
- **其它常见不良反应：**上呼吸道感染、鼻咽炎、咳嗽、腹痛、发热等

上市后药品安全性信息

- 诺华最新药品不良反应监测报告显示，真实世界中观察到的安全性信息与说明书一致，艾曲泊帕的总体获益-风险比仍然有利

艾曲泊帕是唯一具有最高等级 (Ia) 证据、获得A级推荐的药物，在快速升板、提升生活质量、降低出血风险等三大儿童ITP治疗目标上均有显著改善

临床指南推荐情况

- 国内外儿童ITP诊疗指南均推荐TPO-RA作为二线ITP治疗首选，其中在2020版中国ITP诊疗指南中艾曲泊帕是**唯一具有最高等级 (Ia) 证据、获得A级推荐**的药物

临床试验疗效证据

- 国内外临床试验数据显示，艾曲泊帕在**快速升板、提升生活质量、降低出血风险**等三大儿童ITP治疗目标上均有显著改善
 - 治疗一周后**快速提升血小板**计数，其中**50%以上患者平均血小板计数较基线提升一倍多**
 - 相比其他二线治疗方式，**艾曲泊帕更能改善ITP患儿生活质量**
 - 最新Meta分析证实，较罗米司亭，艾曲泊帕治疗儿童慢性/持续性ITP，**更能降低整体出血风险和有临床意义的显著出血风险**

真实世界疗效证据

- 国内真实世界研究表明，**实际临床疗效与试验数据一致**，自2008年全球上市及2017年中国上市以来，长期疗效被充分证明并获得高度认可
- 多个国外真实世界研究显示，**30%的患者可获得长期应答**，有望实现停药，回归正常生活

艾曲泊帕是中国唯一获批儿童适应症的ITP治疗药物，满足特殊人群儿童患者的治疗需求，填补ITP儿童口服用药空白

创新程度

- **全球首个**上市的口服、小分子、非肽类促血小板生成素受体激动剂（TPO-RA），**可与内源性TPO协同促进血小板生成**，有助于提高临床疗效及安全性
- **拥有盐专利**，可提高溶解度及生物利用度

应用创新

- **国内唯一获批**儿童ITP适应症的促血小板生成素受体激动剂，此次新增6-11岁儿童ITP适应症**填补了目录中小龄儿童ITP药物治疗空白**，具有不可替代的临床价值
- **口服片剂**，患儿依从性好、顺应性高
- 患儿可居家或院内自行服用，与重组人血小板生成素（注射剂）主要在住院使用相比，**可显著节约医疗资源和医保基金支出**
- 常温贮存，无需冷链避光保存，便于医院贮存管理

填补目录内6-11岁儿童ITP药物治疗的空白，保障6-11岁儿童ITP患者用药公平性，满足儿童ITP患者基本用药需求

提升公共健康获益

ITP被纳入国家第一批儿童血液疾病医疗救治和保障管理范围，艾曲泊帕作为唯一在中国获批儿童适应症的药物可加速推进国家提高儿童血液等重特大疾病供应保障的战略目标

弥补目录短板

中国唯一获批儿童ITP适应症的ITP治疗药物，此次填补了小龄6-11岁儿童ITP药物治疗空白

符合“保基本”原则

ITP治疗中一线药物以激素为主，长期使用副作用大，约75%的患者需转换二线治疗，艾曲泊帕是国内外指南最高等级推荐的二线优选药物，此次新增6-11岁儿童ITP适应症，人群小，纳入医保内可以保障这部分小群体的用药公平性和用药可及性

临床管理难度低

ITP疾病临床诊疗路径清晰，药物治疗方案明确。艾曲泊帕获批适应症定义清晰，临床滥用风险低，易于经办机构审核