

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®）

中国唯一获得完全批准的难治性重型再生障碍性贫血药物
申请续约新增适应症

北京诺华制药有限公司

申报幻灯目录

1 药品基本信息

- 艾曲泊帕乙醇胺片，唯一完全获批的难治性重型再生障碍性贫血治疗药物，参照药为海曲泊帕

3 安全性优势

- 对比海曲泊帕，在肝肾功能损害患者中有研究数据和具体用药指导

5 公平性优势

- 弥补目录短板，推进临床科学合理用血，提升公平性

2 有效性优势

- 对比海曲泊帕，疗效证据更完善，总体样本量累积更多，获国际多个指南推荐

4 创新性优势

- 全球首个口服TPO-RA，中国唯一完全获批，多途径促进造血

艾曲泊帕乙醇胺片药品基本信息介绍

唯一完全获批的难治性重型再生障碍性贫血药物

通用名	艾曲泊帕乙醇胺片	参照品选择建议：海曲泊帕乙醇胺片	
注册规格	25mg, 50mg		
新增适应症	适用于既往对免疫抑制治疗缓解不充分的重型再生障碍性贫血（SAA）患者	选择理由	① 适应症一致 ，均适用于难治性SAA的治疗
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 $\geq 50,000/\mu\text{L}$ ，剂量不得超过每日150mg		② 临床应用广泛
目前大陆同通用名药品上市情况	独家药品		③ 医保目录内药品

重型再生障碍性贫血 (SAA) 2年死亡率高达80%，有效减少和脱离输血依赖是难治性SAA亟待解决的临床未满足需求

疾病背景

重型再生障碍性贫血 (SAA) 患病率低，约0.4/10万人*，但死亡率高，仅使用支持疗法2年死亡率高达80%

疾病负担

SAA患者经标准免疫抑制治疗 (IST) 后仍有部分难治性患者未能脱离感染、出血风险，仍存在血制品输血依赖，每年难治性SAA患者约1600人

未满足需求

有效减少和脱离输血依赖是难治性SAA亟待解决的临床未满足需求

*根据获得性原发性AA患病率0.9/10万人，获得性原发性AA在获得性AA中占比50%，及SAA在获得性AA中占比20%这些数据推导算出

中国唯一完全获批的难治性SAA治疗药物，相比海曲泊帕，疗效证据更完善，且无需空腹服用，同时用药管理更简便，获国内和国际外多个指南推荐

- 艾曲泊帕是**唯一获得完全批准**的难治性SAA治疗药物，相比目录内附条件获批的海曲泊帕，**疗效证据更完善、或国内和国际指南一致推荐、无用药限制、用药管理更简单**

艾曲泊帕 vs. 海曲泊帕

治疗机制	治疗方案	是否完全获批	SAA说明书适应症及获批情况	中国指南推荐	国际指南推荐	用药限制	用药管理	医保准入情况
TPO-RA	艾曲泊帕	√	<p>【完全获批】SAA适应症国外已上市使用7年，国内已发表样本量总和超过200例</p> <p>适用于对免疫抑制治疗缓解不充分的SAA患者</p>	√	√	 无需空腹 依从性改善	便于管理： 药品有效期48个月，常温贮藏，无需避光	2023年 申请新增适应症
TPO-RA	海曲泊帕 推荐参照选择	×	<p>【附条件获批】缺乏确证性临床试验结果，注册研究样本量仅55例</p> <p>适用于对免疫抑制治疗疗效不佳的SAA成人患者</p>	√	×	 需空腹服用	管理限制多： 药品有效期12个月，需25℃以下避光保存	√

对比海曲泊帕，具有延长无输血期的疗效数据，总体样本量累积更多，循证证据更坚实，有效降低输血依赖

指南推荐

- 被国内和国际外多个指南一致推荐，其中被英国BCSH指南唯一推荐，在中国获批前就已被中国指南推荐

临床试验疗效证据

艾曲泊帕 vs. 海曲泊帕：疗效数据更全面，样本量更多

艾曲泊帕（累积样本量超200例）

快速实现多系应答

- 中国临床研究显示，第26周应答率**70%**

有效降低输血依赖

- 国外临床研究显示，59%的患者脱离PLT输血依赖（28天未输注PLT），27%的患者脱离RBC输血依赖（56天未输RBC）（出自药品说明书）
- 中国临床研究显示，第26周**80%**的患者减少或脱离PLT输注，**57%**的患者减少或脱离RBC输注

有效延长无输血期

- 缓解者中位最长无PLT输注期**287天**，中位最长无RBC输注期**266天**（出自药品说明书）

海曲泊帕（样本量仅55例）

- 第24周应答率**44%**

- 第24周**8%**的患者减少或脱离PLT输注，**18%**的患者减少或脱离RBC输注

- 无数据**

真实世界疗效证据

- 艾曲泊帕首个适应症自2008年全球上市以来已累计使用15年，长期疗效被充分证明并获得高度认可

总体耐受性良好，真实世界观察到的不良事件发生率远低于说明书水平，且对比海曲泊帕，在肝肾功能损害患者中有研究数据和具体用药指导

说明书安全性信息

- SAA不良反应为轻中度且均可控，总体耐受性良好
 - 最常见（≥10%）的药物不良反应有恶心、疲劳、咳嗽、腹泻和头晕等，严重程度均为轻度至中度，发生较早，限制治疗的不良反应罕见，总体耐受性良好
- 在肝肾性功能损害患者中的应用

	艾曲泊帕	海曲泊帕
是否有临床数据	√	×
是否有肝肾功能损害患者用药指导	√	×

上市后安全性信息监测

- 自2008年全球获批上市已累计使用15年，循证证据坚实。真实世界中观察到的不良事件谱与说明书相似，但不良事件和严重不良事件发生率远低于说明书水平，总体获益-风险比仍然有利

独特作用机制多途径促进造血，降低输血需求，且无需空腹服用，管理简便

机制创新

多途径作用机制，多项专利提高药效

- ✓ **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）
- ✓ 相比海曲泊帕能从免疫调节等**更多途径促进造血**，实现快速应答，降低患者输血需求
- ✓ 拥有多项中国专利包括**盐专利**，该盐**可提高溶解度及生物利用度**

应用创新

原适应症填补目录空白、新增适应症补齐目录短板

- ✓ **原适应症**免疫性血小板减少症是**唯一可用于儿童**，具有**不可替代性**
- ✓ **新适应症是唯一完全获批**，临床疗效证据更全面，有效获益，**补齐目录短板**
- ✓ 被**全军血液学专业委员会**推荐作为**核辐射造血损伤的救治药物**

无需空腹、依从性好，且贮存条件少，管理简便

- ✓ **无需空腹服用**，患者依从性提升
- ✓ **常温贮存**，无需冷链避光保存，便于医院贮存管理
- ✓ 药品效期长达**48个月**，稳定性好，可降低医院药品管理成本

弥补难治性SAA目录短板，有效减少患者输血依赖，推进临床科学合理用血，提升目录公平性

提升公共健康获益

- 有效降低患者输血需求，帮助患者减轻疾病负担、更好地回归社会和家庭
- 有助于推进临床科学合理用血，保护血液资源，实现加强医疗机构临床用血管理的指导方针
- 纳入核辐射造血损伤救治药物，为应对核威胁、维护国家核安全提供坚实后盾

弥补目录短板

- 对比目录内附条件获批缺乏确证性临床证据的海曲泊帕，艾曲泊帕临床证据更完善，为临床提供更优的治疗选择，补齐目录短板

符合“保基本”原则

- 被国际和国内多个指南一致推荐，是难治性SAA临床治疗基本用药之一，符合保基本原则
- 此次新增难治性SAA适应症，人群小，对医保基金影响小，纳入医保可以保障这部分小群体的用药公平性和提升用药可及性

临床管理难度低

- 获批适应症定义清晰明确，自2008年全球获批上市已累积了15年临床合理用药经验，无滥用或不合理使用的风险；且能常温贮存、有效期长，不增加临床管理难度