

马来酸阿伐曲泊帕片

(晴安欣®)



南京正大天晴制药有限公司

2025年7月

目录:



1

基本信息

2

安全性

3

有效性

4

经济性

5

创新性

6

公平性



1、基本信息

通用名:	马来酸阿伐曲泊帕片		
规格:	20mg		
用法用量:	起始剂量 20mg(1片) ，每日 1次 。每天不要超过40mg (ITP)		
适应症:	慢性原发免疫性血小板减少症 (ITP) 成人患者 (新增适应症)；择期行诊断性操作或手术慢性肝病相关血小板减少症成年患者 (CLDT)		
注册分类:	化药4类	目前大陆地区同通用名药品上市情况	共18家 (1原研+17仿制)
中国首次上市时间:	2020年4月14日	全球首次上市时间及地区:	2018年；美国
中国首次新增适应症获批时间	2024年6月25日		
是否为OTC药品	否		

参照药品建议:

海曲泊帕乙醇胺片 (恒曲®)

选择理由:

- 同为第二代小分子非肽类TPO-RA药物，均适用于ITP成人患者。
- 国谈药品。
- 目前临床上使用最广泛。

与参照药品或已上市的同类药品相比优势:

- 参照药**易与金属阳离子发生螯合，存在潜在副作用，包括**肝酶升高、骨髓纤维化**等；具有**严格饮食限制**。
- 罗普司亭**为肽类TPO-RA，存在潜在**免疫原性风险**，容易产生交叉反应性中和抗体，导致血小板减少恶化的可能性。
- 阿伐曲泊帕**为口服小分子非肽类化学结构，几乎无肝毒性、无需饮食限制。也不具有肽类TPO- RA 的免疫原性。

1-2 基本信息

治疗疾病基本情况：

- ITP是一种获得性自身免疫性出血性疾病，以无明确诱因的孤立性外周血血小板计数减少为主要特点。该病临床表现变化较大，无症状血小板减少、皮肤黏膜出血、严重内脏出血、致命性颅内出血均可发生。
- 根据国外报道成人ITP年发病率为(2-10)/10万，60岁以上老年人是高发群体。老年患者致命性出血发生风险明显高于年轻患者。预估**我国ITP年发病人数约6.6万人。**

弥补未满足的治疗需求情况：

- ITP目前尚无根治的方法，患者往往需要经过多线、长期治疗。
- TPO受体激动剂具有强效、快速、安全性更好、依从性更佳的特点，是二线治疗中应用最广泛的升血小板药物，可提高患者生活质量。

2、安全性

说明书刊载的安全性信息

- 阿伐曲泊帕组中发生率 $\geq 3\%$ 的不良反应包括：发热、腹痛、恶心、头痛、疲劳、外周性水肿，**且发生率与安慰剂组相当。**

国内外不良反应发生情况

- **未搜集到各国家或地区药监部门5年内关于该药品的黑框警告和撤市信息。**
- 自国内上市以来，国家药品不良反应监测中心显示晴安欣®马来酸阿伐曲泊帕片两例不良反应报告，分别为疼痛和皮疹。

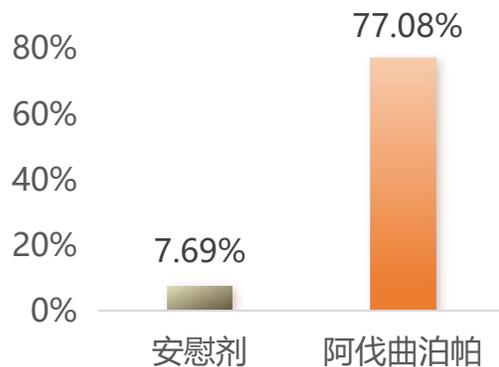
安全性优势

- 阿伐曲泊帕是**没有金属螯合基团**和肝毒性基团的TPO-RA药物，**几乎无肝毒性风险。**

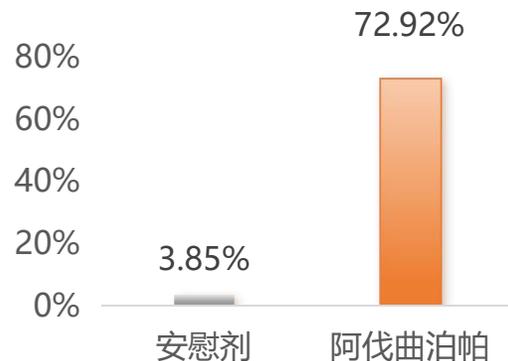
3-1 有效性

阿伐曲泊帕组血小板应答率显著高于安慰剂组

第6周血小板应答率 (%)

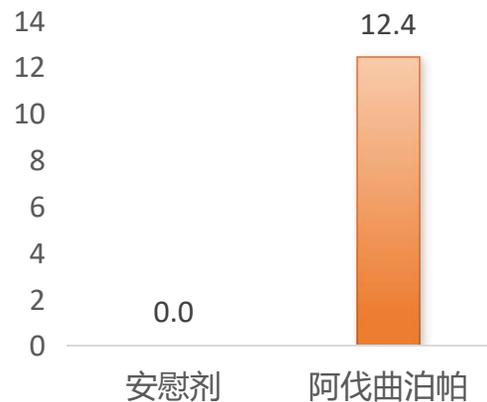


第8天血小板应答率 (%)

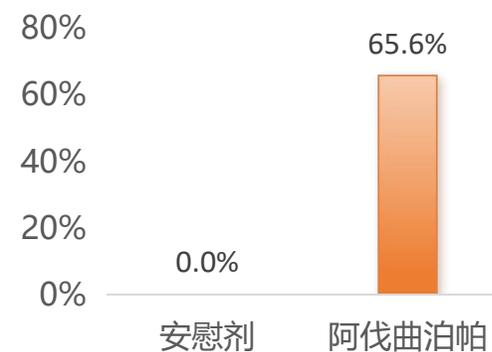


国内III期

血小板应答中位累计周数 (周)



第8天血小板应答率 (%)



国外III期

3-2 有效性

阿伐曲泊帕的治疗应答率显著高于罗普司亭和艾曲泊帕

研究目的：本研究旨在评估罗普司亭、艾曲泊帕和阿伐曲泊帕在挪威真实世界临床实践中对ITP的实际使用、有效性和安全性。

研究结果：

- ✓ TPO-RA类药物越来越多地被应用于ITP的一线 and 二线治疗；
- ✓ 罗普司亭、艾曲泊帕和**阿伐曲泊帕**在首次治疗后的应答率分别为70%、68%、**100%**，完全应答率分别为61%、56%、**100%**；



- 《2019美国血液病学会 (ASH) 指南》 (美国) : “对于ITP持续治疗3个月且皮质类固醇依赖或对皮质类固醇无应答的成人, 推荐使用TPO-RA (包括较新的药物, 如**阿伐曲泊帕**) 。”
- 《英国国家卫生和临床技优化研究所 (NICE) 临床指南 (2022) 》 (英国) : “**阿伐曲泊帕**作为其它治疗 (如皮质类固醇、免疫球蛋白) **难治性**成人原发慢性免疫性血小板减少症 (ITP) 的一种选择。”
- 《原发性肝癌诊疗指南 (2024年版) 》 (国家卫健委) : “慢性肝病引起血小板减少的患者根据病情需要使用重组人血小板生成素或血小板生成素受体激动剂**如阿伐曲泊帕**等提升血小板计数。”
- 《成人原发免疫性血小板减少症患者血液管理专家共识 (2024版) 》 (中国实用内科杂志) : “二线治疗促血小板生成药物包括罗普司亭、艾曲泊帕、海曲泊帕、**阿伐曲泊帕**等。”

5、创新性

创新程度

- 阿伐曲泊帕是新一代**小分子非肽类**PO-RA，与内源性TPO之间没有序列同源性和免疫原性，不会产生中和性抗体和交叉反应，能够提升血小板并且更持久地维持在安全水平；
- 2019年5月获得国家药品监督管理局（NMPA）**授予优先审评资格。**

应用创新

- 阿伐曲泊帕具有更强的促血小板生成作用，能够**更快速实现患者血小板应答**；
- 没有饮食限制；不产生金属螯合作用，**无潜在肝毒性基团，耐受性良好**；
- 在特殊人群中**无需调整剂量。**



6、公平性

对公共健康的影响

- ITP是一种获得性自身免疫出血性疾病，日常生活中容易因外伤导致出血发生。不仅影响患者的躯体健康，也带来很大心里危害，对患者的生活质量造成很大影响。
- 阿伐曲泊帕可全面贴合ITP的治疗目标，维持血小板计数稳定，**减少出血事件，改善患者生活质量，降低疾病负担。**

可以弥补目录短板

- ✓ 弥补目录内**无无肝毒性、无饮食限制，治疗慢性原发性血小板减少症治疗药物**的现状。

符合“保基本”原则

- ✓ 药物相互作用风险低，**合并用药限制小。**
- ✓ 口服制剂更适合基层医疗机构和定点药店使用，可进一步**提高基层百姓用药可及性和便捷性。**

无临床管理难度

- ✓ 阿伐曲泊帕ITP适应症表述清晰，限制要求明确，**医保经办审核方便。**
- ✓ 口服给药，患者服用便利。
- ✓ 特殊人群无需调整剂量。