

2025年国家医保药品目录调整 申报材料（公示版）



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

药品名称：马来酸阿伐曲泊帕片

企业名称：复星万邦(江苏)健康发展
有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 17:50:24	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2025年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2025年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。
- 3.2020年1月1日至2025年6月30日期间，经国家药监部门批准，适应症或功能主治发生重大变化，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	马来酸阿伐曲泊帕片	药品类别	西药
① 药品注册分类	化学药品5.1类		
是否为独家	否	所属类别	常规药品
核心专利类型1	无(专利已过期)	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无(专利已过期)	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	20mg (按C ₂₉ H ₃₄ Cl ₂ N ₆ O ₃ S ₂ 计)		
上市许可持有人（授权企业）	AkaRx Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	1. 本品适用于择期行诊断性操作或者手术的慢性肝病相关血小板减少症的成年患者。慢性肝病患者不得通过服用本品来恢复正常的血小板计数。2. 本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症 (ITP)成人患者,使血小板计数升高并减少或防止出血。本品仅用于因血小板减少和临床条件导致出血风险增加的ITP患者。		
现行医保目录的医保支付范围	限择期行诊断性操作或者手术的慢性肝病相关血小板减少症的成年患者。		
所治疗疾病基本情况	ITP 领域：发病机制是免疫功能异常导致血小板破坏过多及生成不足，原发免疫性血小板减少症发病率 2-5/10 万，成人患者死亡率比普通人群高 1.3-2.2 倍。患者因出血和活动受限承受心理负担，生活质量严重受损。由于 ITP 尚无根治方法，患者需长期治疗，因此制定行之有效的长期管理方案，对改善患者预后至关重要。		
中国大陆首次上市时间	2020-04		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	瑞弗兰（艾曲泊帕乙醇胺片）北京诺华制药2017年12月获批上市，作用机理相同，适应症相同，且在医保目录范围内，已被纳入第十一批国家集采目录。截止到2025年7月马来酸阿伐曲泊帕片已有18家获批上市，被纳入第十一批国家集采目录。目前医保覆盖适应症均为慢性肝病相关血小板减少症。疗效稳定性：原研药苏可欣经过大规模、多中心临床试验验证，疗效数据更充分，针对 ITP 等血小板异常疾病的治疗效果更稳定，能更精准地维持血小板计数在安全范围。临床证据支持：拥有更全面的真实世界数据，对特殊人群（如肝肾功能不全患者）的用药指导更清晰，为临床决策提供更可靠依据。		
企业承诺书	↓ 下载文件	企业承诺书及境外药品上市许可持有人授权书.pdf	
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	↓ 下载文件	马来酸阿伐曲泊帕片说明书新适应症获批前.pdf	
药品适应症或功能主治修改后法定说明书	↓ 下载文件	马来酸阿伐曲泊帕片说明书适应症获批后最新版.pdf	

提供首次上市和最新版有效的《药品注册证书》(国产药品) / 《进口药品注册证》(进口药品)、《药品再注册批准通知书》, 以及证明适应症/功能主治变化前后的《药品补充申请批准通知书》	↓ 下载文件 马来酸阿伐曲泊帕片批件合并.pdf
申报药品摘要幻灯片 (含经济性信息)	↓ 下载文件 马来酸阿伐曲泊帕片PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片 (不含经济性信息) 将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 马来酸阿伐曲泊帕片PPT2.pdf

序号 ①	新增适应症/功能主治或医保支付范围调整部分	获批时间
1	本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症(ITP)成人患者,使血小板计数升高并减少或防止出血。本品仅用于因血小板减少和临床条件导致出血风险增加的ITP患者。	2024-06-18

新增适应症或功能主治的参照药品信息

说明:

- 参照药品原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品, 最终参照药品认定以专家评审意见为准。
- 中成药: 一律填写日均费用。
- 西药: (1) 慢性病用药, 原则上计算日费用, 如有治疗周期, 标注治疗周期。
(2) 急救、麻醉、检验等用药, 请按一个治疗周期计算次均费用。
(3) 肿瘤、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用, 如说明书中严格限定了治疗周期, 可按治疗周期计算疗程费用, 并予以说明。
(4) 其它情况请按说明书用法用量计算费用, 并详细说明。
(5) 计算过程中如涉及以下指标, 请统一按以下标准计算上述费用, 如未按以下标准, 请说明。
① 儿童: 18周岁以下, 体重20公斤, 体表面积0.8m²。
② 成人: 18周岁及以上, 体重60公斤, 体表面积1.6m²。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价 (元) ①	用法用量	费用类型	金额 (元) ①	疗程/周期 ①
艾曲泊帕乙醇胺片	是	25mg	135	本品的建议起始剂量为25mg (按C25H22N4O4计算, 以下涉及艾曲泊帕乙醇胺片剂量的部分均为按C25H22N4O4计算) 每日一次。本品治疗开始后, 必要时调整剂量使血小板计数达到并维持≥50,000/μL, 以减少出血的风险。剂量不得超过每日75mg。本品应空腹服用 (餐前间隔1小时或	日均费用	135-405(每日1-3片)	-

				餐后间隔2小时),应在以下产品使用前间隔至少2小时或使用后间隔至少4小时服用,包括抗酸药、乳制品、或含有多价阳离子(如铝、钙、铁、镁、硒和锌)的矿物质补充剂。不得将本品碾碎后混入食物或液体服用。		
--	--	--	--	---	--	--

参照药品选择理由:作用机理相同,适应症相同,且在医保目录范围内,临床应用广泛,同为国家第十一批集采药品目录内产品。

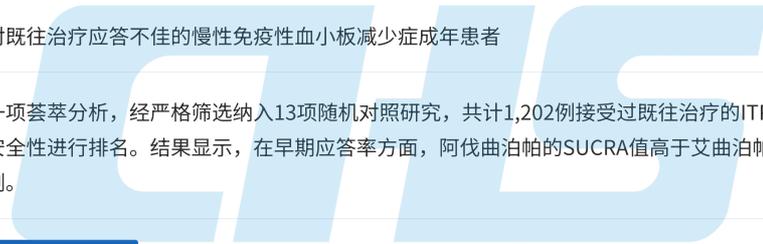
其他情况请说明:参照品有肝毒性风险警告。警告:肝毒性风险 本品可能增加出现严重及潜在威胁生命的肝毒性的风险。需对肝功能进行监测并按【注意事项】中的推荐标准确定是否需停止本品治疗

三、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	阿伐曲泊帕组治疗6周时应答率高达77.08%,显著高于安慰剂组应答率7.69%, $p < 0.001$;治疗第8天时阿伐曲泊帕组应答率72.92%,显著高于安慰剂组应答率3.85%, $p < 0.001$ 。
试验数据结果证明文件,外文资料须同时提供原文及中文翻译件(除英语之外的外文资料,中文翻译件须经专业翻译机构认证,以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	<div style="display: flex; align-items: center;"> <div style="background-color: #007bff; color: white; padding: 2px 5px; margin-right: 5px;">↓ 下载文件</div> 中国III期阿伐曲泊帕治疗成人慢性原发性免疫性血小板减少症在中国的一项随机III期试验原文及翻译.pdf </div>
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	艾曲泊帕
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	研究显示:治疗第8天,阿伐曲泊帕和艾曲泊帕组患者血小板计数中位值分别为 $40 \times 10^9/L$ 和 $25 \times 10^9/L$,两组分别有5/11和4/11位患者在治疗第7或者8天时血小板计数 $> 50 \times 10^9/L$ 。
试验数据结果证明文件,外文资料须同时提供原文及中文翻译件(除英语之外的外文资料,中文翻译件须经专业翻译机构认证,以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	<div style="display: flex; align-items: center;"> <div style="background-color: #007bff; color: white; padding: 2px 5px; margin-right: 5px;">↓ 下载文件</div> TarantinoMDITPIII期及翻译.pdf </div>

试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	艾曲泊帕、罗普司亭、利妥昔单抗与安慰剂
试验阶段	-
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	一项荟萃分析，经严格筛选纳入13项随机对照研究，共计1,202例接受过既往治疗的ITP患者，旨在对不同药物的疗效和安全性进行排名。结果显示，在早期应答率方面，阿伐曲泊帕的SUCRA值高于艾曲泊帕、罗普司亭、利妥昔单抗与安慰剂。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 有效性4ITP二线治疗meta分析及翻译.pdf
试验类型4	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	艾曲泊帕、罗普司亭、利妥昔单抗等
试验阶段	-
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	一项荟萃分析，经严格筛选后最终纳入19项ITP的随机对照研究、共计2,615例ITP患者，通过对各种治疗药物或治疗方案有效性进行了系统的分析，并列出了ITP治疗药物有效性排名。研究显示，在单药治疗中，阿伐曲泊帕的疗效最佳，优于艾曲泊帕单药治疗和罗普司亭单药治疗
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 有效性19种随机对照试验及翻译.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	阿伐曲泊帕组治疗6周时应答率高达77.08%，显著高于安慰剂组应答率7.69%， $p < 0.001$ ；治疗第8天时阿伐曲泊帕组应答率72.92%，显著高于安慰剂组应答率3.85%， $p < 0.001$ 。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 中国III期阿伐曲泊帕治疗成人慢性原发性免疫性血小板减少症在中国的一项随机III期临床试验原文及翻译.pdf
试验类型2	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析

试验对照药品	艾曲泊帕
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	研究显示：治疗第8天，阿伐曲泊帕和艾曲泊帕组患者血小板计数中位值分别为 $40 \times 10^9/L$ 和 $25 \times 10^9/L$ ，两组分别有5/11和4/11位患者在治疗第7或者8天时血小板计数 $> 50 \times 10^9/L$ 。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 TarantinoMDITPIII期及翻译.pdf
试验类型3	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	艾曲泊帕、罗普司亭、利妥昔单抗与安慰剂
试验阶段	-
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	一项荟萃分析，经严格筛选纳入13项随机对照研究，共计1,202例接受过既往治疗的ITP患者，旨在对不同药物的疗效和安全性进行排名。结果显示，在早期应答率方面，阿伐曲泊帕的SUCRA值高于艾曲泊帕、罗普司亭、利妥昔单抗与安慰剂。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 有效性4ITP二线治疗meta分析及翻译.pdf
试验类型4	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	艾曲泊帕、罗普司亭、利妥昔单抗等
试验阶段	-
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
对主要临床结局指标改善情况	一项荟萃分析，经严格筛选后最终纳入19项ITP的随机对照研究、共计2,615例ITP患者，通过对各种治疗药物或治疗方案有效性进行了系统的分析，并列出了ITP治疗药物有效性排名。研究显示，在单药治疗中，阿伐曲泊帕的疗效最佳，优于艾曲泊帕单药治疗和罗普司亭单药治疗
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 有效性19种随机对照试验及翻译.pdf



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《2019版ASH免疫性血小板减少症指南》：治疗大于等于3个月的激素依赖或无应答的成人ITP患者，指南推荐进行脾切或使用TPO-RAs。专家组认为应优先关注一些正在进行疗效比较的TPO-RAs药物研究，包括阿伐曲泊帕这种FDA已经获批的用于慢性ITP患者的新药物。
----------------	--

<p>本次新增的适应症或功能主治</p> <p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p> <p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者</p> <p>↓ 下载文件 2019ASH指南免疫性血小板减少症及翻译.pdf</p> <p>《2019版成人ITP诊治国际共识报告》：二线用药推荐使用阿伐曲泊帕（阿伐曲泊帕于2019年6月27日获得美国食品和药物管理局批准，用于对之前的治疗反应不足的成年慢性ITP患者；该药与食物或阳离子无相互作用，无需监测肝功能）。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p> <p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p> <p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者</p> <p>↓ 下载文件 2019版成人ITP诊治国际共识报告原文及译文.pdf</p> <p>《2023血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识》：既往治疗（如皮质类固醇或免疫球蛋白）不佳慢性ITP患者的首选TPO-RAs进行二线治疗，如艾曲泊帕，罗普司亭，阿伐曲泊帕；对于有特定饮食要求的ITP患者，推荐阿伐曲泊帕及罗普司亭。对于慢性ITP并伴有肝功能损伤的患者，推荐阿伐曲泊帕。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p> <p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p> <p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者</p> <p>↓ 下载文件 2023血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识原文及译文.pdf</p> <p>《促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识（2023年版）》：阿伐曲泊帕是新一代的口服 TPO-RA，在欧美国家获批用于既往治疗反应不佳的成人慢性ITP患者（体外研究显示阿伐曲泊帕促进巨核细胞增殖分化能力强于艾曲泊帕）。</p>
<p>本次新增的适应症或功能主治</p> <p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p>对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者</p> <p>↓ 下载文件 2023年促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识.pdf</p>

临床指南/诊疗规范推荐情况5	《成人原发免疫性血小板减少症患者血液管理专家共识（2024年版）》：ITP的二线治疗首选促血小板生成药物：包含rhTPO、罗普司亭、艾曲泊帕、海曲泊帕、阿伐曲泊帕及芦曲泊帕。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 24年新增共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《2019版ASH免疫性血小板减少症指南》：治疗大于等于3个月的激素依赖或无应答的成人ITP患者，指南推荐进行脾切或使用TPO-RAs。专家组认为应优先关注一些正在进行疗效比较的TPO-RAs药物研究，包括阿伐曲泊帕这种FDA已经获批的用于慢性ITP患者的新药物。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 2019ASH指南免疫性血小板减少症及翻译.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2019版成人ITP诊治国际共识报告》：二线用药推荐使用阿伐曲泊帕（阿伐曲泊帕于2019年6月27日获得美国食品和药物管理局批准，用于对之前的治疗反应不足的成年慢性ITP患者；该药与食物或阳离子无相互作用，无需监测肝功能）。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 2019版成人ITP诊治国际共识报告原文及译文.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2023血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识》：既往治疗（如皮质类固醇或免疫球蛋白）不佳慢性ITP患者的首选TPO-RAs进行二线治疗，如艾曲泊帕，罗普司亭，阿伐曲泊帕；对于有特定饮食要求的ITP患者，推荐阿伐曲泊帕及罗普司亭。对于慢性ITP并伴有肝功能损伤的患者，推荐阿伐曲泊帕。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认	↓ 下载文件 2023血小板生成素受体激动剂在成人免疫性血小板减少症中的应用中欧专家共识原文及译文.pdf

证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识（2023年版）》：阿伐曲泊帕是新一代的口服 TPO-RA，在欧美国家获批用于既往治疗反应不佳的成人慢性ITP患者（体外研究显示阿伐曲泊帕促进巨核细胞增殖分化能力强于艾曲泊帕）。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 2023年促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	《成人原发免疫性血小板减少症患者血液管理专家共识（2024年版）》：ITP的二线治疗首选促血小板生成药物：包含rhTPO、罗普司亭、艾曲泊帕、海曲泊帕、阿伐曲泊帕及芦曲泊帕。
本次新增的适应症或功能主治	对既往治疗应答不佳的慢性免疫性血小板减少症成年患者
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 24年新增共识.pdf
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	1.关键临床试验设计和结果：随机III期临床试验（E5501G000302）纳入既往已接受一种或多种针对慢性免疫性血小板减少症的治疗的患者，结果显示接受阿伐曲泊帕的患者在无补救治疗情况下，6个月治疗期内血小板计数 $\geq 50 \times 10^9/L$ 的累积周数平均达12周，安慰剂组仅0.1。此外，阿伐曲泊帕治疗组第8天血小板计数 $\geq 50 \times 10^9/L$ 的患者比例，较安慰剂显著提高；中国III期临床试验结果显示阿伐曲泊帕组治疗6周时血小板反应率显著高于安慰剂组，血小板响应累积周数高达17.6周。2.临床与统计评价：在中国AVA ITP CN301研究的ITP受试者中，PPS集结果与FAS集主要疗效终点结果基本一致，阿伐曲泊帕组6周时的血小板反应率显著高于安慰剂组，差异具有统计学意义。基于FAS集的亚组分析结果显示，无论受试者是否接受脾切除术、基线血小板计数、是否使用ITP合并用药，阿伐曲泊帕组受试者治疗6周时血小板反应率均明显高于安慰剂组，并且本品在基线水平更差的受试者中的治疗获益可能更明显。在中国ITP受试者中，阿伐曲泊帕组接受补救治疗的比例降低，综上可认为本品在中国ITP受试者中获益明确。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 马来酸阿伐曲泊帕片申请上市技术审评报告.pdf
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	1.关键临床试验设计和结果：随机III期临床试验（E5501G000302）纳入既往已接受一种或多种针对慢性免疫性血小板减少症的治疗的患者，结果显示接受阿伐曲泊帕的患者在无补救治疗情况下，6个月治疗期内血小板计数 $\geq 50 \times 10^9/L$ 的累积周数平均达12周，安慰剂组仅0.1。此外，阿伐曲泊帕治疗组第8天血小板计数 $\geq 50 \times 10^9/L$ 的患者比例，较安慰剂显著提高；中国III期临床试验结果显示阿伐曲泊帕组治疗6周时血小板反应率显著高于安慰剂组，血小板响应累积周数高达17.6周。2.临床与统计评价：在中国AVA ITP CN301研究的ITP受试者中，PPS集结果与FAS集主要疗效终点结果基本一致，阿伐曲泊帕组6周时的血小板反应率显著高于安慰剂组，差异具有统计学意义。基于FAS集的亚组分析结果显示，无论受试者是否接受脾切除术、基线血小板计数、是否使用ITP合并用药，阿伐曲泊帕组受试者治疗6周时血小板反应率均明显高于安慰剂组，并且本品在基线水平更差的受试者中的治疗获益可能更明显。在中国ITP受试者中，阿伐曲泊帕组接受补救治疗的比例降低，综上可认为本品在中国ITP受试者中获益明确。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 马来酸阿伐曲泊帕片申请上市技术审评报告.pdf

四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	中国说明书：接受阿伐曲泊帕治疗的慢性免疫性血小板减少症患者中发生率 $\geq 10\%$ 的不良反应包括：头痛、疲劳、挫伤、鼻衄、上呼吸道感染、关节痛、牙龈出血、瘀点、鼻咽炎。阿伐曲泊帕治疗组严重不良反应的发生率为9%，超过1例患者报告的严重不良反应为头痛，发生率为1.6%；超过1例患者报告的导致停药的不良反应为头痛，发生率1.6%。上市后监测到不良反应为免疫系统疾病：过敏反应，包括瘙痒、皮疹、胸闷、红斑、咽水肿、泛发性皮肤瘙痒、黄斑皮疹、面部肿胀和舌头肿胀。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	上市后监测到不良反应为免疫系统疾病：过敏反应，包括瘙痒、皮疹、胸闷、红斑、咽水肿、泛发性皮肤瘙痒、黄斑皮疹、面部肿胀和舌头肿胀。
相关报导文献	↓ 下载文件 国内外三期及说明书.pdf

五、创新性信息

创新程度	马来酸阿伐曲泊帕是新一代血小板生成素受体激动剂（TPO-RA），于2019年5月获得国家药品监督管理局（NMPA）授予优先审评资格，2020年4月被批准用于择期行诊断性操作或者手术的慢性肝病（CLD）相关血小板减少症的成年患者治疗，其用于治疗对既往治疗反应不佳的成人慢性免疫性血小板减少症（ITP）的适应症目前已在美国和欧洲获批。
创新性证明文件	-
应用创新	阿伐曲泊帕是新一代的口服血小板生成素受体激动剂，较艾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。阿伐曲泊帕为小分子非肽类药物，不会产生中和性抗体，口服方便，没有饮食限制，无潜在肝毒性基因，耐受性良好，使用更方便安全，患者依从性更佳。
应用创新证明文件	-
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	ITP是一种高度异质性的自身免疫性疾病，发病机制复杂，包括抗血小板抗体调理的血小板外周破坏、血小板生成受损和T细胞介导的血小板破坏等，ITP常伴致命性出血事件严重影响患者生存预后，40岁以下、40岁至60岁和60岁以上年龄组的年龄调整致命性出血率分别为0.004、0.012和0.130例/患者年预测的5年死亡率从40岁以下的2.2%到60岁以上的47.8%不等。本品改善患者预后，提升公平可及性。
符合“保基本”原则描述	本品优先覆盖对糖皮质激素、免疫球蛋白等既往治疗反应不佳的成人慢性ITP患者；为国内首个跨慢肝与ITP的口服TPO-RA，填补领域空白，且该药品已纳入第11批国采目录，可进一步降低医保基金支出。
弥补目录短板描述	用药便捷性：支持随餐服用，不受饮食限制，显著提升患者依从性（对比部分同类产品需空腹给药）；安全性优势：无肝毒性风险，肝功能不全患者无需调整剂量，填补现有目录产品肝毒性警示的临床空白；灵活的剂量调节：个体化给药方案可根据血小板计数动态调整，满足复杂临床需求，弥补医保支付范围内同类药品剂量调整灵活性不足的短板。
临床管理难度描述	ITP适应症发病率高，患者亟需，纳入医保支付范围后基金可控。