

协议期内申请简易新增适应症

“单药用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的成人慢性淋巴细胞白血病或小淋巴细胞淋巴瘤患者（CLL/SLL）”



维奈克拉片（唯可来®）

艾伯维医药贸易（上海）有限公司

abbvie

FOR INTERNAL USE ONLY.

目录

01 药品基本信息

02 有效性

03 安全性

04 创新性

05 公平性

01 药品基本信息 (1/3)

协议期内申请简易新增 单药用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的成人慢性淋巴细胞 白血病或小淋巴细胞淋巴瘤患者 (CLL/SLL)

通用名 (商品名) 维奈克拉片 (唯可来®)

说明书适应症 本次目录调整 (协议期内) 拟新增适应症: 单药用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的成人慢性淋巴细胞白血病或小淋巴细胞淋巴瘤患者 (CLL/SLL)

现行医保支付范围: 限成人急性髓系白血病患者 (AML), 已于2022年谈判准入医保目录

注册规格 10mg; 50mg; 100mg (前次谈判主规格)

药品/适应症全球首个上市国家及上市时间 美国, 2016年4月

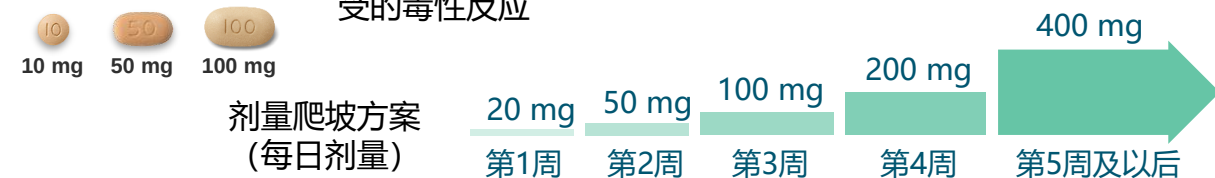
中国大陆首次上市时间

- 2025年6月30日 (本次新增CLL/SLL适应症)
- 2020年12月 (AML适应症)

大陆地区同通用名药品上市情况 无, 独家药品

是否为OTC药品 否

用法用量 (CLL/SLL适应症) 需5周剂量爬坡给药, 完成5周剂量爬坡给药计划后, 本品推荐剂量为400mg, 每日一次, 持续给药至疾病进展或发生不可耐受的毒性反应



参照药建议: 空白参照

临床无
统一有效疗法

伴17P缺失的复发/难治 (R/R) CLL/SLL患者目前治疗选择十分有限, 临床无统一、有效的治疗方案

医保目录内
无同作用机制
药品

中国首个且唯一获批用于“既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的CLL/SLL患者”的BCL-2抑制剂

指南推荐

国内外权威指南均推荐伴17P缺失R/R CLL/SLL应用维奈克拉治疗方案

突破性治疗
品种

FDA突破性疗法认证



盖伦奖
“最佳药品”



来源: 1. 艾伯维. 维奈克拉片 (唯可来) 药品使用说明书

伴17P缺失的患者人群小， 是复发/难治 (R/R) CLL/SLL中预后最差的患者群体

伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者人群小

我国基本医保参保
成人人口



CLL/SLL发病率



CLL/SLL一线治疗率



新发患者一线进展率+
既往患者5年内进展率



R/R患者治疗率



R/R患者中伴17P
缺失的患者比例



R/R CLL/SLL 患者
中伴17P缺失的人数

发病率: 0.39/10万¹

78.6%²

- 新发一线治疗进展率 15.1%³
- 既往5年内进展率 7.1%-20.1%²

90%⁴

30%^{5,6}

每年患者预估不超过**1000人**

伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者预后差

中位生存期短: 仅为一般患者的**1/3**

~10年

CLL/SLL患者⁸

<3年

伴17P缺失的R/R CLL/SLL⁹

伴17P缺失是
已被**明确证实且为临床公认的影响预后的高危因素**
这类患者治疗后更易复发，复发后疾病进展迅速，预后极差

- 目前国内FISH检测率已达98.6%⁷
- **17P缺失** (基于FISH组合检查) 是CLL/SLL临床实践中的常规检测项目, 费用较低, 不会额外增加患者费用
- 伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者在临床中已被充分识别

伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者缺乏有效治疗手段，未满足需求大，亟需创新机制药物填补治疗空白

伴17P缺失的CLL/SLL患者进展后对现有免疫化疗及BTK抑制剂治疗反应不佳，患者面临“**无药可用**”的困境

1

免疫化疗

对伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者治疗效果差，指南不推荐使用

- 伴17P缺失的CLL/SLL患者易对化疗耐药¹
- 国内外权威指南均**不推荐免疫化疗**用于伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者^{1,2,3}

2

BTK抑制剂

治疗伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者疗效有限且存在心血管毒性、感染、出血风险

- 伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者在BTK抑制剂治疗下PFS和OS**获益小**，且大部分患者**无法实现深度缓解**，患者疾病进展较快^{1,4}
- 目前该类患者一线治疗已广泛使用BTK抑制剂，**患者治疗进展后，指南明确建议换用其他机制药物（如BCL-2抑制剂）**^{2,3}
- **BTK抑制剂存在心血管毒性、感染、出血风险**，CLL/SLL患者多为中老年人，常合并心血管疾病或需抗凝治疗，**对药物安全性要求较高**：
 - **BTK抑制剂治疗中断率和停药比例较高**，影响患者长期预后：因房颤或出血导致中断或停药的患者分别高达71%和52%⁵

维奈克拉凭借靶向BCL-2的创新性，为患者带来**全新作用机制的创新治疗方案**，精准填补伴17P缺失的R/R CLL/SLL这一高危、预后恶劣的患者群体的治疗空白

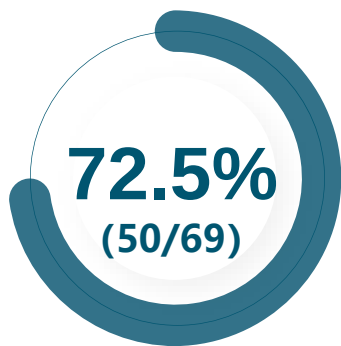
02 有效性 (1/3)

伴17P缺失的 R/R CLL/SLL中国患者经维奈克拉单药治疗达到**高效、深度缓解**



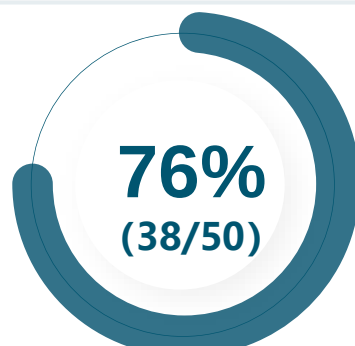
- **M14-728研究** (中国注册研究, 一项**中国人群**为主的多中心、单臂、开放标签、II期临床试验)
- 共纳入69名**伴有17P缺失的R/R CLL/SLL成人患者**, 46%为既往BCRi (主要为BTK抑制剂) 治疗失败的患者, 25%为氟达拉滨原发耐药患者
- 干预方案: 维奈克拉**单药治疗** (5周剂量爬坡, 目标剂量每日400mg, 持续用药直至疾病进展或无法耐受)

高效缓解: ORR达72.5%¹



客观缓解率 (ORR)

**深度缓解: 缓解患者中
外周血MRD阴性率高达76%^{1,2}**



外周血微小残留病 (MRD) 阴性率

**延长生存:
患者中位PFS高达22.5个月¹**

22.5 个月



中位无进展生存期 (PFS)

维奈克拉基于一项以中国人群为主的多中心II期单臂研究及全球多项研究数据获得NMPA完全上市批准, 充分体现其在“伴17P缺失的R/R CLL/SLL”高危患者中的突破性疗效与临床急需价值

来源: 1. M14-728研究, 艾伯维. 维奈克拉片 (唯可来) 药品使用说明书 2. Data on file

慢性淋巴细胞白血病微小残留病检测与临床解读中国专家共识 (2023年版) 指出: 治疗后的MRD水平可预测PFS, MRD阴性患者的PFS时间显著延长, 提示长期预后更好

BCRi治疗失败: B细胞受体通路抑制剂 (主要为BTK抑制剂) 经治患者, 包括BCRi治疗进展及BCRi治疗不耐受患者

02 有效性 (2/3)

国际临床试验及长期随访数据证实维奈克拉单药可为伴17P缺失的 R/R CLL/SLL 患者带来显著生存获益

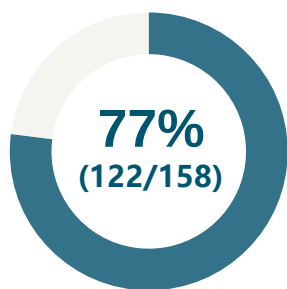


M13-982研究 (全球多中心单臂II期试验)

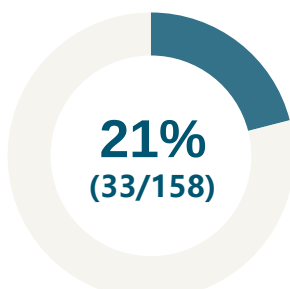
- 共纳入158名CLL/SLL成人患者 (其中153名为R/R CLL/SLL成人患者; 100%的患者伴17P缺失)
- 中位随访时间: **6年**
- 干预方案: 维奈克拉**单药治疗** (5周剂量爬坡, 目标剂量每日400mg, 持续用药直至疾病进展或无法耐受)

疗效显著¹

客观缓解率
(ORR)



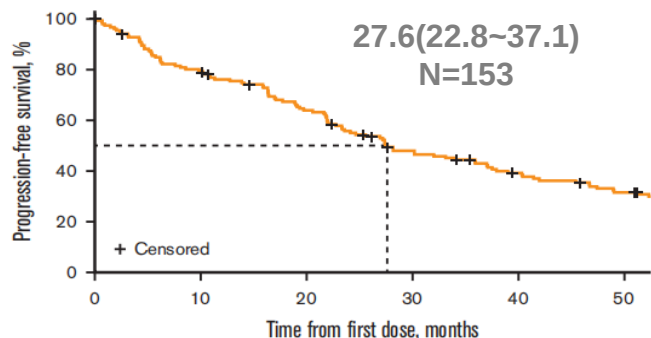
完全缓解率
(CR)



伴17P缺失的 CLL/SLL患者

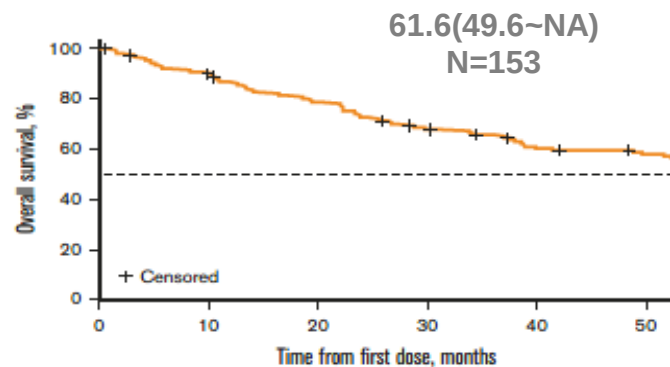
6年长期随访结果 证实维奈克拉单药治疗 伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者可显著延长患者生存时间¹

中位PFS长达 **27.6个月**



伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者

中位OS超过 **5年**



02 有效性 (3/3)

维奈克拉获得多项国内外权威指南推荐， 并获得多个国家HTA机构积极评估结果

获国内外多项指南推荐

维奈克拉方案在伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者的治疗中得到国内外权威指南优先推荐



中华医学会

《中国慢性淋巴细胞白血病/
小淋巴细胞淋巴瘤的诊断
与治疗指南 (2025年)》¹



中国临床肿瘤学会

《淋巴瘤诊疗指南(2025年)》²
《恶性血液病诊疗指南(2025年)》³



National
Comprehensive
Cancer
Network®

美国国立综合癌症网络 (NCCN)

《慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细
胞淋巴瘤指南 (2025年版)》⁴



GOOD SCIENCE
BETTER MEDICINE
BEST PRACTICE

欧洲肿瘤内科学会 (ESMO)

《慢性淋巴细胞白血病一线治
疗及复发后新型靶向治疗临床
实践指南 (2024年版)》⁵

获多个国家HTA机构积极评估结果

维奈克拉单药治疗伴17P缺失的R/R CLL/SLL患者具有明确显著的临床获益，可有效填补临床治疗空白，
英国、加拿大、德国、法国等多个国家的HTA机构均给予积极评估结果并准予报销

来源：1.中国慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤的诊断与治疗指南(2025年版)》 2. 2025 CSCO淋巴瘤诊疗指南 3. 2025 CSCO恶性血液病诊疗指南
4. NCCN指南 (2025V3)：慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤 5. Eichhorst B, et al. Ann Oncol. 2024;35(9):762-768.

CDE药品审评报告暂未公开

说明书显示特殊人群临床适用性好

药品说明书刊载的安全性信息¹：

在CLL/SLL安全性人群中，最常见的不良反应为中性粒细胞减少症、血小板减少症、贫血、腹泻、恶心、上呼吸道感染、咳嗽、骨骼肌肉疼痛、疲乏及水肿；基于临床试验数据的肿瘤负荷结果，本品治疗期间针对肿瘤溶解综合症（TLS）需要进行恰当的预防和监测措施；治疗中须密切监测血生化指标，并对异常进行及时管理；本品有胎儿毒性，治疗期间及末次给药后30天内应避孕，以及末次给药后1周内停止母乳喂养。

适用于肝肾功能损害及老年CLL/SLL患者¹：

- 轻度、中度和重度肾功能损害患者无需剂量调整
- 轻度、中度肝功能损害患者无需剂量调整
- 老年患者和年轻患者在安全性和有效性方面无差异

临床试验证实本品安全耐受

- 国际II期临床试验²显示，六年的长期随访未观察到新的安全信号，提示长期用药安全性良好
- 中国注册关键研究^{1,3}显示本品≥3级不良事件可控：
 - 常见不良反应为血液学不良反应，并未致较高减药或停药；
 - 经过恰当的预防和监测措施，研究中发生的TLS事件均可控可管理并都缓解，未导致停药；
 - 感染风险低；未发生任何药品相关心血管毒性事件

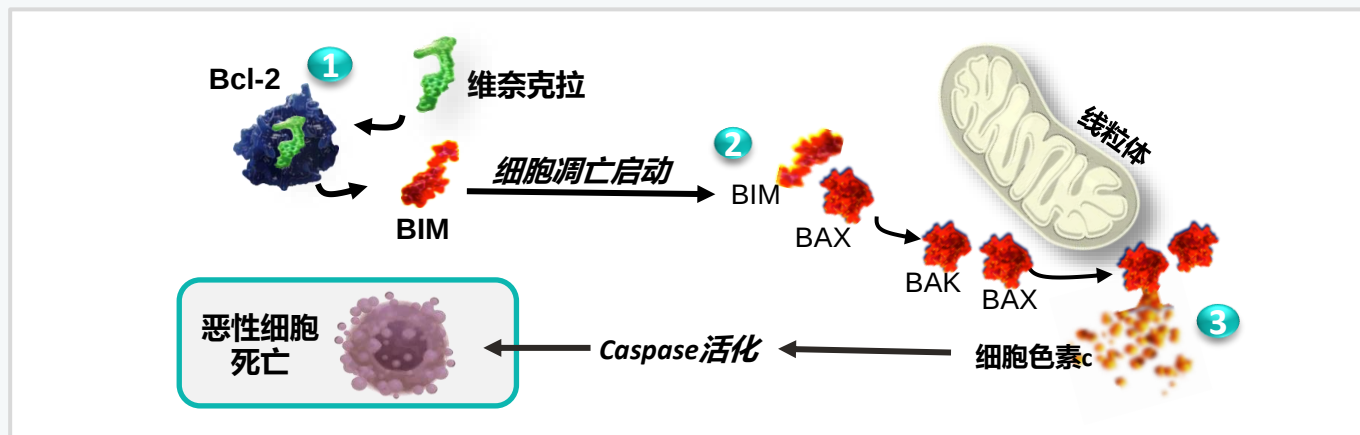
真实世界应用：中国临床应用经验近5年，全球CLL/SLL适应症上市近10年，安全性经过长期验证

- 本品于2016年4月首次在美国获批上市至今，已在全球84个国家或地区批准上市伴17P缺失R/R CLL/SLL适应症，无因安全性事件撤药或撤市，无黑框警告
- 上市后监测未发现新的或显著安全性问题

维奈克拉是中国首个且唯一获批用于治疗伴17P缺失的R/R CLL/SLL的BCL-2抑制剂

高选择性BCL-2抑制剂：创新机制有效治疗17P缺失的CLL/SLL患者

- **BCL-2（抗凋亡蛋白）** 高表达出现在**95%以上的CLL病例**中，促使肿瘤细胞逃避凋亡¹⁻³
- **维奈克拉**作为高选择性的**BCL-2抑制剂**，可直接拮抗**BCL-2**的功能，绕过由17P缺失引起的凋亡阻滞，恢复肿瘤细胞凋亡，**可有效治疗17P缺失这一高危患者人群**



全球First-in class药品 中国首个获批BCL-2抑制剂



盖伦奖 “最佳药品”

“医药界诺贝尔奖”
褒奖维奈克拉在改善难治患者生存状况方面的显著疗效和突破性价值



ACS Awards
Heroes of Chemistry

化学英雄奖

“表彰维奈克拉这一首创药物的开发”



针对CLL适应症 连续3次获FDA授予的 突破性疗法认证

来源：1. Certo M, et al. Cancer Cell. 2006;9(5):351-365. 2. Souers AJ, et al. Nat Med. 2013;19(2):202-208. 3. Hanada M. Blood. 1993;82(6):1820-1828.

*维奈克拉获批适应症为单药用于既往至少经过一种治疗的伴17P缺失的成人慢性淋巴细胞白血病或小淋巴细胞淋巴瘤患者

17P缺失CLL/SLL患者缺乏精准有效治疗方案，维奈克拉创新BCL-2机制填补空白，新增适应症人群小，预算有限

患者生存获益显著，提升公共健康水平

- CLL/SLL多发于老年人群，其生存质量受到严重影响
- 伴有17P缺失的R/R CLL/SLL患者预后极差，生存期远低于一般患者^{1,2}
- 本品显著提升17P缺失的R/R CLL/SLL患者生存获益，中位PFS达27.6个月，中位总生存期超过5年³

维奈克拉创新机制，填补目录空白

- 17P缺失R/R CLL/SLL患者缺乏精准有效治疗方案。对于BTK抑制剂经治进展的CLL/SLL患者，临床治疗选择也十分有限
- 维奈克拉作为中国首个获批用于CLL/SLL患者的BCL-2抑制剂，为患者带来全新作用机制的治疗选择，填补医保目录空白

目标人群有限，符合“保基本”原则

- 伴17p缺失的R/R CLL/SLL患者人群较小，新增患者非常有限，对医保基金影响较小
- 本品自2022年首次谈判准入医保目录，目前医保支付标准远低于全球其他市场价格水平，价格可负担

填补 治疗空白

17p缺失患者诊断明确，临床管理难度低

- 伴17P缺失的R/R CLL/SLL诊断明确，不存在临床滥用风险；FISH检测已是目前临床常规检测项目，费用较低，不增加患者额外费用；且患者已经被充分识别，不会导致人群显著增长
- 中国临床应用经验近5年，全球CLL/SLL适应症上市近10年，管理流程明确且成熟
- 口服每日一次给药，使用便利，患者依从性好，特殊人群可安全使用⁴，不增加临床管理难度