

注射用罗特西普 (利布洛泽®)

目录内已纳入适应症:

- 用于治疗需要定期输注红细胞且红细胞输注 ≤ 15 单位/24周的 β -地中海贫血成人患者

申请续约新增适应症:

- 用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征(MDS)*引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者

填补空白:

- 二十年来国内唯一明确获批适应症治疗较低危 MDS 患者贫血的创新药物

直击病因:

- 全球首创且目前唯一获批的红细胞成熟剂(First-in-Class), 有效改善MDS患者无效造血

获益突破:

- 全面实现临床治疗目标, 帮助患者长期脱离输血, 并持续减少输血负担
- 有效缓解临床“血荒”困境, 带来血源资源节省的重大社会价值

- 按照修订的国际预后积分系统 (IPSS-R, MDS 预后评估的金标准), “极低危、低危和中危(≤ 3.5)” 的患者统称为较低危组, 临床占比约 70%

目录

利布洛泽[®]

(注射用罗特西普)



01 疾病基本情况与未满足需求

02 药品基本信息及创新性

03 有效性

04 安全性

05 公平性

骨髓增生异常综合征 (MDS) 是一种恶性血液肿瘤，患者可因无效造血导致贫血甚至发展为急性髓系白血病 (AML)；患者长期缺乏有效药物治疗，未满足需求极大

MDS 是一种恶性血液肿瘤

- MDS 是一组起源于造血干细胞的异质性髓系克隆性疾病，特点是造血细胞发育异常。表现为**无效造血**、难治性血细胞减少和高风险向急性髓系白血病(AML)转化¹
- 2025年新版 WHO 造血与淋巴组织肿瘤分类中，**将骨髓异常综合征正式更名为骨髓增生异常肿瘤 (Myelodysplastic neoplasm)**²
- **临床诊断具有挑战性**，患者需通过骨髓活检和染色体核型检验以及相关鉴别诊断后来确诊¹，过程复杂，周期漫长

患者疾病负担严重

- **患者大多预后不佳、生活质量差：**
 - 一项大型队列研究 (n=1,914)显示：32%的低危 MDS 患者会进展至较高危或AML³
 - 另一项大样本研究 (n= 856)显示：79%的较低危 MDS 患者中位生存期不超过3年，84%死于 MDS 相关疾病⁴
- **MDS患者中近一半(42.3%)伴输血依赖⁵**，需要定期输血维持血红蛋白水平，这部分患者预后更差：
 - 输血依赖的患者死亡风险显著增加约 50% (HR=1.548 p=0.01)⁶

长期缺乏有效治疗，未满足需求极高

- **较低危 MDS 一线治疗选择极为有限：**
 - 红细胞生成刺激剂 (ESA)、免疫调节剂和免疫抑制剂**均是超适应症使用**；
 - 尤其是 ESA, 疗效十分有限⁷。患者应答率仅~30%，患者可能仍需定期输血治疗。长期使用安全性不佳⁸
- 目前**输血和祛铁**仍是患者重要的支持治疗，尤其是输血依赖的患者，然而，
 - **血源极为稀缺，无法保证持续治疗**；
 - 输血还可造成多种**并发症⁹⁻¹⁰**：同种免疫、过敏反应、感染、自身免疫性溶血性贫血等。

**临床亟待创新药物全面实现治疗目标：
改善贫血，减少输血，提高生活质量，延缓疾病进展和延长生存**

1. 骨髓增生异常综合征中国诊断与治疗指南 (2019年版)
2. 《骨髓增生异常综合征肖志坚2025观点》
3. Jain, Akriti G et al. Haematologica. 2024;109(7):2157-2164.
4. Garcia-Manero G, et al. Leukemia, 2008, 22(3): 538-543.
5. Sevoyan, Anna et al, European journal of haematology vol. 112,2 (2024): 296-300.

6. Falantes, Jose F et al.. Clin Lymphoma Myeloma Leuk. 2013;13(2):144-152.
7. Kaphan E, et al. Blood Rev 2020; 41:100649;
8. Epogen® (epoetin alfa) PRESCRIBING INFORMATION
9. Goldberg SL, et al. J Clin Oncol 2010; 28(17):2847-52;
10. McQuilten ZK, et al. Transfusion 2013; 53(8):1714-21.

骨髓增生异常综合征在多个国家和地区属于罕见病；经测算，我国可明确诊断的较低危 MDS 伴贫血患者人数不足 1 万

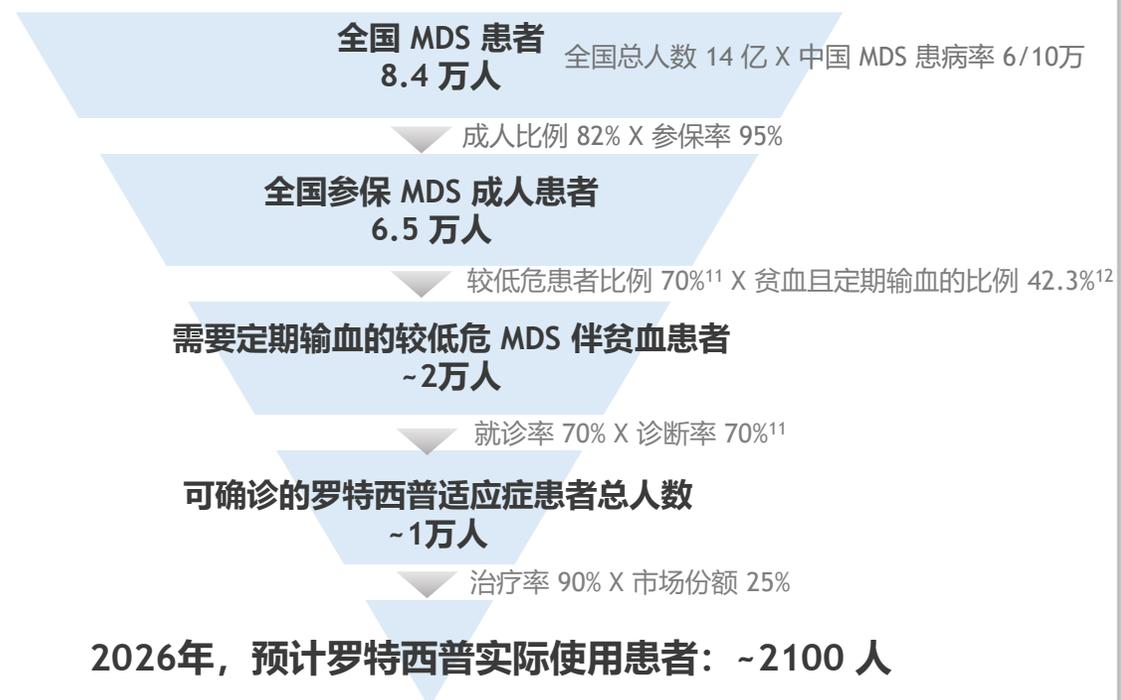
MDS 发病率低，在多个国家和地区属罕见病范畴

- **发病率：**
 1. 目前唯一发表数据显示，**中国 MDS 发病率为 1.51/10万¹**。在2022年和2024年中国 MDS 临床指南均引用该数据作为发病率来源²⁻³
 2. 该数据与亚洲其他国家数据接近：
 - 日本 (2008) : 0.8-1.6/10万⁴
 - 韩国 (2012) : 1.13/10万⁵
- **患病率：**
 1. 目前未有中国及亚洲其他国家 MDS 患病率数据发表。结合发病率(1.51/10万) 和2025年3月中国血研所 (肖志坚等) 发表的MDS患者中位生存时长 (48个月) ⁶ 预估，**中国 MDS患病率约 6/10 万**
 2. 该结果与其他国家已发表的流行病学研究数据相当：
 - 欧洲 MDS 患病率约 5-7/10万⁷⁻⁸
- **MDS 在多个国家属罕见病范畴：**
 1. 在美国、欧盟等国家和地区，MDS 属于罕见病⁹
 2. 在中国，MDS 被纳入2017年中国罕见病参考名录¹⁰

可确诊的较低危 MDS 伴贫血患者人数不足 1 万

充分考虑流行病学数据、患者就诊率、诊断率、适应症人群及纳入医保后市场份额等诸多因素，预估2026年（新适应症纳入医保第一年）

- **适应症人群**（确诊的较低危 MDS 伴贫血的成人患者）**不足一万人**
- **临床实际使用的患者**约占适应症适用人数的25%，**约2100人**



1. Wang W, et al. Ann Hematol. 2012;
 2. 《中国老年骨髓增生异常性肿瘤诊断和治疗专家共识(2024版)》
 3. 《骨髓增生异常综合征伴原始细胞增多 (MDS-EB) 诊疗指南 (2022 年版)》
 4. Chihara, Dai et al. J Epidemiol 2014;24(6):469-473
 5. Park, Eun-Hye et al. Blood research vol. 50,4 (2015): 204-17.
 6. 《中西方骨髓增生异常肿瘤临床和实验室特征及生存的比较研究》
 7. Cogle CR. Curr Hematol Malig Rep (2015) 10:272-281
 8. Visser, O et al, European Journal of Cancer 48 (2012) 3257-3266
 9. US,EU 罕见病
 10. 《罕见病参考名录》2017 修订版
 11. Data on file, 市场调研数据
 12. Sevoyan, Anna et al, European journal of haematology vol. 112,2 (2024): 296-300.

罗特西普是我国目前唯一明确获批适应症，用以治疗较低危 MDS 患者贫血的针对无效造血病因的突破创新药物，填补临床空白，医保目录内无参照药品

药物基本信息

药品通用名称	注射用罗特西普
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，专利至2030年
全球首个上市国家 / 地区及上市时间	美国，2019年11月08日
中国大陆首次上市时间	2022年1月25日
医保内现有适应症（协议期2024-2026年）	用于治疗需要定期输注红细胞且红细胞输注 \leq 15单位/24周的 β -地中海贫血成人患者
新增适应症（协议期内新增）	用于治疗极低危、低危和中危骨髓增生异常综合征引起的贫血且需要定期输注红细胞的成人患者
说明书全部注册规格	25mg (主规格) 75mg (该规格未在中国地区商业化供应)
用法用量	1mg/kg, 每 3 周皮下注射一次

创新性

- **结构创新**：罗特西普是**全球首创且目前唯一的红细胞成熟剂 (First-in-Class)**，其活性成分（重组融合蛋白）具有**100项专利授权**¹
- **应用创新**：TGF- β /Smad2/3 通路过度激活是MDS无效造血的重要原因之一，罗特西普可与特定的TGF- β 超家族配体结合，进而抑制异常增强的Smad2/3 信号传导，**改善无效造血，恢复红细胞成熟**²⁻³

参照品建议及评级建议

无参照药物

罗特西普是**目前我国唯一明确获批**用于治疗较低危骨髓增生异常综合征患者贫血的创新药物，有效填补临床治疗和医保用药目录的空白

突破

- **填补治疗空白**：现有临床使用的红细胞生成刺激剂（ESA）、免疫调节剂和免疫抑制剂均为超适应症使用。
- **直击MDS病因**：罗特西普是目前首个针对 MDS无效造血病因的的治疗药物（first-in-class）
- **突破性获益和价值**：罗特西普显著改善患者贫血，使患者长期脱离输血，并持续减少输血负担⁴，全面实现指南提出的治疗目标；节省宝贵血资源，有效缓解“血荒”困境

1. Attie KM, et al. Am J Hematol. 2014; 89:766-70;

2. Feld J, et al. Leuk Res. 2020 Oct;97:106430.

3. Fenaux P, et al. Blood 2019;133:790-4.

4. Della Porta MG, et al. Lancet Haematol. 2024

罗特西普显著改善患者贫血，长期脱离输血，持续降低输血负担，全面实现指南提出的治疗目标，获 CSCO 指南高级别推荐

临床治疗指南	目标	罗特西普全面体现治疗优势
优先治疗目标	显著改善贫血	罗特西普治疗 24 周， 75% (亚洲人群) 脱离输血≥12周 且平均血红蛋白 (Hb) 提升≥1.5g/dL ¹
	长期脱离输血	经罗特西普治疗实现脱离输血≥12周的患者， 维持脱离输血中位时长达近 2.5年² (126.6周)
	持续降低输血负担	无论基线输血负担如何，使用罗特西普治疗12周后， 83% 的患者红细胞输血量减少超过一半，且中位持续时间长达近2.5年³ (130周)
其他治疗目标	提高生活质量	在 EORTC QLQ-C30 的 8 项评估阈中 (包括呼吸困难、认知功能、角色功能、疼痛、失眠、食欲丧失、便秘和经济困难方面) 罗特西普组均体现出更好的改善优势， 提升患者健康相关生命质量⁴
	有望延缓恶化至 AML	进展至 AML 的中位时间 罗特西普组 61.7 个月 vs 安慰剂组 32.7个月⁵
	潜在生存获益	罗特西普应答者的 OS 显著高于无应答者 (OR=0.319; P=0.0003) ⁶

- 罗特西普 MDS 适应症在中国尚未获批上市时，即被纳入《2025年 CSCO 恶性血液病诊疗指南》**I 级推荐**，用于治疗较低危 MDS 患者*的贫血⁷

1. Guillermo Garcia-Manero, et al. CSH 2024. Poster 3028.

2. Della Porta MG, et al. Lancet Haematol. 2024;

3. Santini V et al. Poster presentation at the 29th EHA Annual Congress; June 13-16, 2024; Madrid, Spain. Poster P785.;

4. Oliva EN, et al. ASH 2023 [Abstract #4596]

5. Fenaux P et al. Oral Presentation at ASH 2021. Poster 1524

6. Santini V, et al. Oral and Poster Abstracts at ASH 2022. Abstract 1774,

7. 2025版CSCO恶性血液病诊疗指南

*RS+或者RS-且EPO≤500 U/L

罗特西普长期治疗的安全性良好，未观察到新的安全性事件

临床试验结果显示¹：罗特西普整体安全性良好

临床试验汇报的治疗相关 AE 事件 (TEAE)	罗特西普
≥ 1 疑似治疗相关的严重 TEAE, n (%)	仅 1 例 (0.5%)
常见 (发生率大于15%) 的 TEAE	腹泻 (17.6%) 和疲劳 (17.6%)
<ul style="list-style-type: none"> • 临床研究数据显示¹，随着治疗时间的延长，治疗相关 AE 发生率逐渐降低。 • 因不良反应导致的停药率低。 	

真实世界证据显示：未观察到新的安全性事件

- 注射用罗特西普自2019年11月8日在美国首次获批上市至今 (~ 5 年)，未发生各国家或地区药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息。
- 截止至 2024 年 6 月 24 日，全球已累计约 44,200 名患者在上市后接受过本品的各类治疗。公司根据所收到的安全性报告分析，目前尚未发现新的重大安全问题。基于信号及风险评估，罗特西普的获益-风险特征仍是有利的。

罗特西普是二十年来唯一获批可修复较低危 MDS 患者无效造血的对症治疗创新药物，填补了该治疗领域的长期临床空白，带来突破的患者价值和社会价值

全球首创，填补临床空白

- 全球首创且目前唯一获批的红细胞成熟剂
- 我国目前唯一明确获批的，治疗较低危骨髓增生异常综合征患者贫血的创新药物，填补临床治疗和医保用药空白，市场环境无任何重大变化

基金影响小，符合“保基本”

- 年新增人数仅约2100人，药品基金支出有限、可控
- 帮助患者长时间摆脱输血并显著减少输血负担，节省宝贵的血资源，具有显著的社会价值
- 已历经两次谈判，价格已在合理区间，中国大陆价格相比全球次低价中国台湾省还低 70%

突破

罕见恶性血液肿瘤，促进公共健康

- MDS 曾被纳入 2017 年中国罕见病参考名录，在全球其他国家和地区也列名为罕见病
- 患者长期缺乏有效治疗，罗特西普为中国较低危 MDS 患者带来了全新的生活质量和生命希望

适应症明确，无临床滥用风险

- MDS 诊断标准明确，罗特西普是目前唯一一个明确获批较低危 MDS 患者贫血治疗适应症的药物，进一步促进 MDS 患者的临床规范诊疗
- 使用便捷，每3周1次皮下注射。有望提高治疗依从性，降低患者管理的难度，提高诊疗结局