

匹妥布替尼片（捷帕力[®]）

匹妥布替尼片是全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂

中国获批适应症



本品**单药**适用于**既往接受过**至少两种系统性治疗（含布鲁顿氏酪氨酸激酶[BTK]抑制剂）的**复发或难治性套细胞淋巴瘤（MCL）**成人患者



匹妥布替尼由礼来公司研发，在中国大陆由信达生物负责商业化运营，双方携手致力于让创新药物加速造福中国患者

目录

1

基本信息

- **匹妥布替尼片**是全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂。
- **唯一获批**用于既往接受过BTK抑制剂治疗的复发或难治性套细胞淋巴瘤成人患者的靶向药物。

2

创新性

- **机制创新**：匹妥布替尼是一种口服、非共价、高选择性的BTK抑制剂。
- 当共价BTK抑制剂不再适用时，能够**重新建立对BTK的抑制作用**。

3

有效性

- 对于既往接受过共价BTK抑制剂治疗的MCL患者，匹妥布替尼能够实现**高缓解率**，改善患者总生存（**中位OS长达近2年**），且获得**国内外指南推荐**

4

安全性

- 匹妥布替尼**总体耐受性良好**，无黑框警告，大多数AE为1/2级

5

公平性

- 目前BTK经治MCL患者无标准治疗方案，匹妥布替尼**可有效填补这一临床未满足需求**
- **基金支出可控**：患者人群小；单药治疗，无联合用药费用；口服用药，节约住院费用

匹妥布替尼片是全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂

药品基本信息

| | |
|--------------------|---|
| 通用名 (商品名) | 匹妥布替尼片 (捷帕力®) |
| 注册规格 | 100mg(主谈判规格), 50mg |
| 适应症 | 单药适用于 既往接受过 至少两种系统性治疗 (含布鲁顿氏酪氨酸激酶 [BTK]抑制剂) 的复发或难治性套细胞淋巴瘤 (MCL) 成人患者 |
| 用法用量 | 200mg, 每日一次, 口服 |
| 作用机制 | 非共价 BTK抑制剂 |
| 中国大陆首次上市时间 | 2024年10月 优先审评 |
| 全球首个上市国家 (上市时间) | 美国 (2023年1月) 优先审评 & 快速通道 & 孤儿药认定 |
| 目前中国大陆地区同通用名药品上市情况 | 无 (独家) |
| 是否为OTC药物 | 否 |

参照药品建议: **无参照药**

- **医保目录内无合适的参照药**
 - 匹妥布替尼是全球**首个且唯一非共价**BTK抑制剂
 - 匹妥布替尼是**首个且唯一**获批用于既往接受过BTK抑制剂治疗的复发或难治性MCL患者的靶向药物
- **共价BTK抑制剂单药不适合作为参照药**
 - 匹妥布替尼与共价BTK抑制剂单药针对MCL的适用人群不同
 - 共价BTK单药并不是治疗既往接受过BTK抑制剂的复发或难治性MCL患者的常用治疗药物
- **NCCN指南仅推荐匹妥布替尼和CAR-T用于既往接受过BTK治疗的复发或难治性套细胞淋巴瘤患者**

共价BTK抑制剂包括: 伊布替尼、泽布替尼、奥布替尼、阿可替尼

价值分类建议: **突破**

- 匹妥布替尼单药治疗 ——
- **唯一有中国注册临床研究证实在共价BTK抑制剂治疗失败后的MCL患者中的**疗效和安全性**的已获批的靶向药物**
 - **唯一获批用于既往接受过BTK抑制剂治疗的复发或难治性MCL成人患者的靶向药物**

套细胞淋巴瘤(MCL)具有侵袭性较高、预后差的特点；当共价BTK抑制剂治疗失效后，患者的治疗选择有限且预后不佳（中位OS<1年），存在巨大的临床未满足需求

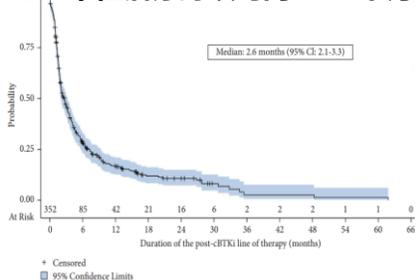


- 大部分套细胞淋巴瘤兼具侵袭性和难治愈性特征，容易反复复发，是B细胞淋巴瘤中预后较差的亚型之一¹。
- 在中国，MCL约占非霍奇金淋巴瘤的5%²。
- MCL在中国的发病率约0.29/10万人/年^{2,3}。
- 对于复发/难治性MCL患者，BTK抑制剂作为优选治疗被广泛使用。然而，共价BTK抑制剂治疗后，大部分患者仍然会复发。

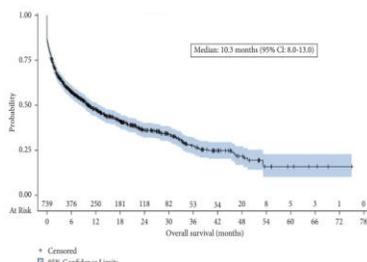
多项回顾性真实世界研究结果显示，经共价BTK抑制剂(cBTKi)治疗出现疾病进展后，目前有限的治疗方案通常疗效不佳

美国真实世界研究⁴：共价BTKi经治的MCL患者，后续治疗预后不良

共价BTK抑制剂后续治疗
中位治疗持续时间：2.6个月



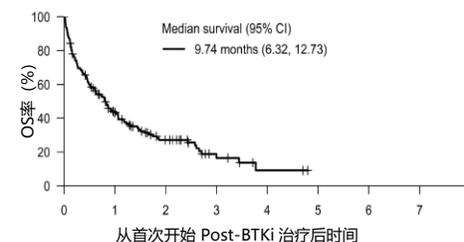
共价BTK抑制剂停药后的
中位总生存期：10.3个月



本研究利用了一个大型的、去识别化的美国电子病历 (EMR) 肿瘤学数据库 (ConcertAI)，包含其中2011年1月至2021年7月的数据。符合条件的患者为至少接受过一种共价BTK抑制剂的MCL成人患者。包含共946例患者在1-5线治疗期间接受一种共价BTKi (伊布替尼、阿可替尼或泽布替尼) 治疗。

欧洲真实世界研究⁵：共价BTKi经治的MCL患者，中位OS仅为10个月左右

在149例接受共价BTK抑制剂后续治疗的患者中，Post-BTKi治疗*后的中位OS为9.7个月



SCHOLAR-2研究为欧洲一项多中心回顾性研究，纳入2012.7-2018.7期间240例接受基于BTKi (伊布替尼、阿可替尼) 治疗的复发/难治性 MCL 患者，在共价BTK抑制剂治疗期间出现疾病进展或因共价BTK抑制剂不耐受停止治疗。其中149例患者接受共价BTK抑制剂后续治疗，91例未接受后续治疗。

* 特指共价BTK抑制剂终止后首次开始后续治疗。

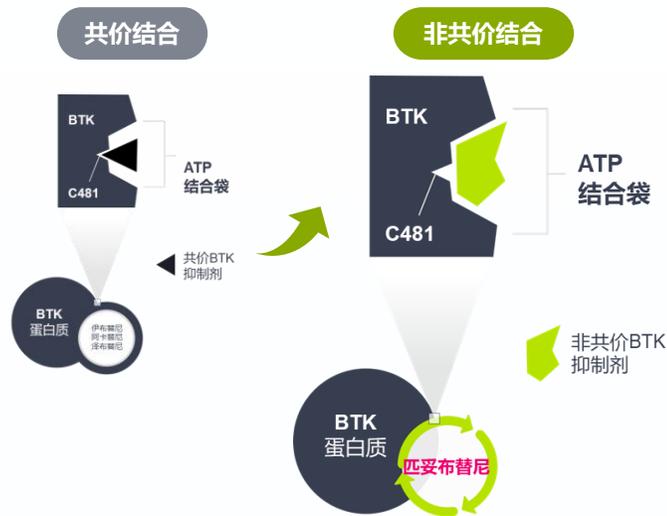
共价BTK抑制剂包括：伊布替尼、泽布替尼、奥布替尼、阿可替尼

1. Chin J Hematol, July 2022, Vol.43, No.7; 2. Chin J Clin Oncol Rehabil, April 2023, Vol 30, No.1; 3. Han B, et al. Journal of the National Cancer Center, 2024; 4. Lisa M Hess, et al. Adv Hematol. 2022 Dec 28;2022:8262787; 5. Georg Hess, et al. Br J Haematol. 2023 Aug;202(4):749-759.

机制创新：匹妥布替尼是一种口服、非共价、高选择性的BTK抑制剂

非共价结合¹

可在先前使用共价BTK抑制剂治疗失效的MCL患者中重建BTK抑制，延长靶向BTK通路的获益



- 匹妥布替尼与野生型BTK和携带C481突变的BTK均可结合，从而抑制BTK激酶活性²。
- 匹妥布替尼与BTK的ATP结合区域有广泛的相互作用，不依赖C481即可发挥BTK抑制作用³

匹妥布替尼是目前唯一获批的非共价BTK抑制剂
当共价BTK抑制剂不再适用时，能够重新建立对BTK的抑制作用

| | 匹妥布替尼 ² | 伊布替尼 ⁴ | 泽布替尼 ⁵ | 奥布替尼 ⁷ | 阿可替尼 ⁸ |
|------------|--------------------|-------------------|---------------------|----------------------|-------------------|
| 结合方式 | 非共价 | 共价 | 共价 | 共价 | 共价 |
| BTK结合位点 | ATP结合袋 | C481 | C481 | C481 | C481 |
| 用法用量 (MCL) | 每日1次 每次2片 | 每日1次 每次4粒 | 每日2次 每次2粒 | 每日1次 每次3片 | 每日2次 每次1粒 |
| 绝对生物利用度 | 85.5% | <10% ⁶ | 45-50% ⁶ | ~20-80% ⁶ | 25% |
| 半衰期 | ~19小时 | 4-6小时 | 2-4小时 | ~4.41小时 | 0.9小时 |

C481: Cysteine 481(C481半胱氨酸)是一种氨基酸，共价BTK的抑制通常依赖于在BTK蛋白的C481半胱氨酸残基处形成不可逆的共价键。接受共价BTK抑制剂治疗后，C481可能发生突变，从而影响共价BTK抑制剂与靶点的结合，而导致治疗失败。

1. <https://jaypirca.lilly.com/hcp/moa>; 2. 匹妥布替尼说明书 (2024年10月22日版); 3. Eliana B. Gomez, et al. Blood 2023;142(1):62-72; 4. 伊布替尼说明书; 5. 泽布替尼说明书; 6. Shirley, M. (2021). Bruton Tyrosine Kinase Inhibitors in B-Cell Malignancies: Their Use and Differential Features. Adis Disease Management, 17, 69-84; 7. 奥布替尼说明书; 8. 阿可替尼说明书

对于既往接受过共价BTK抑制剂治疗的MCL患者，匹妥布替尼能够实现高缓解率，且获得国内外指南推荐

全球人群和中国人群中均能够实现高缓解率

针对既往接受过共价BTK抑制剂治疗的MCL患者，匹妥布替尼单药治疗：

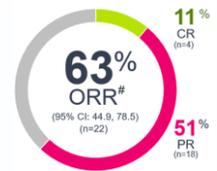
全球人群数据 (ORR: 57%)



全球多中心1/2期临床试验BRUIN研究 (单臂试验) 结果显示,

- 57%的患者达到疾病缓解¹
- 19%的患者达到完全缓解¹

中国人群数据 (ORR: 63%)



中国2期临床试验JZNJ研究 (单臂试验) 结果显示,

- 63%的患者达到疾病缓解²
- 11%的患者达到完全缓解²

采用单臂试验支持注册的原因：

单臂试验适用于在严重危及生命且缺乏标准治疗手段的难治疾病背景下，疗效突出的单药治疗³。

对于共价BTK抑制剂治疗后发生疾病进展而治疗失败的患者，目前尚无经前瞻性研究验证，获批准可及的（研究申请时CAR-T尚未获批）有效的治疗方式。目前有限的治疗方案中位PFS约3个月，总生存期仅10个月左右，预后差，迫切需要新的有效且安全的治疗方式，存在极大的未被满足的临床需求，故符合单臂试验支持注册。

指南推荐

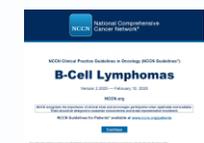
中国临床肿瘤学会 (CSCO) 淋巴瘤指南 2025版⁴



推荐用于复发/难治MCL

- 指南中特别提到，“对于免疫化疗及**共价BTK抑制剂**治疗后复发/难治患者，可以**考虑非共价BTK抑制剂匹妥布替尼**”

NCCN指南：B细胞淋巴瘤 (2025.V2)⁵



推荐用于经共价BTK抑制剂治疗后复发/难治的MCL患者

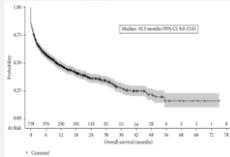
#ORR (总体缓解率) 是BRUIN研究和JZNJ研究的主要临床终点，包括最佳缓解获得 (CR或PR) 的患者比例，并由IRC(Independent Review Committee, 独立评审委员会)评估
共价BTK抑制剂：伊布替尼、泽布替尼、奥布替尼、阿可替尼

1. Shah NN, et al. Poster presented at: American Society of Clinical Oncology 59th Annual Meeting; 2-6 June 2023; Chicago, IL. Poster 7514;
2. Yuqin Song, et al. Poster presented at: 65th ASH Annual Meeting and Exposition, San Diego, California; 9-12 December 2023; Poster 3636.
3. 国家药监局药审中心.《单臂试验支持上市的抗肿瘤药进入关键试验前临床方面沟通交流技术指导原则》.2020年12月.
4. 中国临床肿瘤学会 (CSCO) 淋巴瘤指南 2025版
5. NCCN B-cell Lymphomas Guideline Version 2.2025

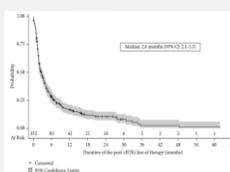
对于既往接受过共价BTK抑制剂治疗的MCL患者，中位OS长达近2年，中位DoR近18个月

对于BTK经治的MCL患者，目前有限的治疗方案通常疗效不佳

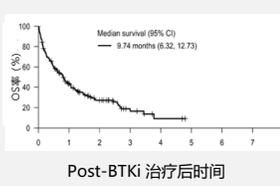
美国真实世界研究¹ (946例患者)：
共价BTK抑制剂停药后的中位总生存期：10.3个月



共价BTK抑制剂治疗后中位治疗持续时间：2.6个月



欧洲真实世界研究² (240例患者)：
Post-BTKi 治疗后的中位OS为9.7个月



匹妥布替尼单药治疗中位OS长达近2年

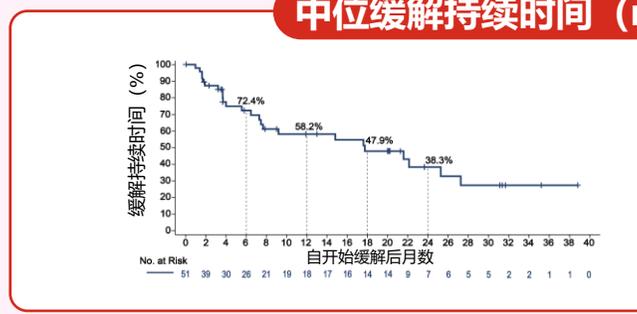
针对既往接受过共价BTK抑制剂治疗的MCL患者，匹妥布替尼单药治疗：

中位总生存期 (mOS) : 23.5个月³



中位OS: 23.5月
95% CI: 15.9-NE
中位随访时间: 27.3月
事件/总数: 40/90

中位缓解持续时间 (mDoR) : 17.7个月³

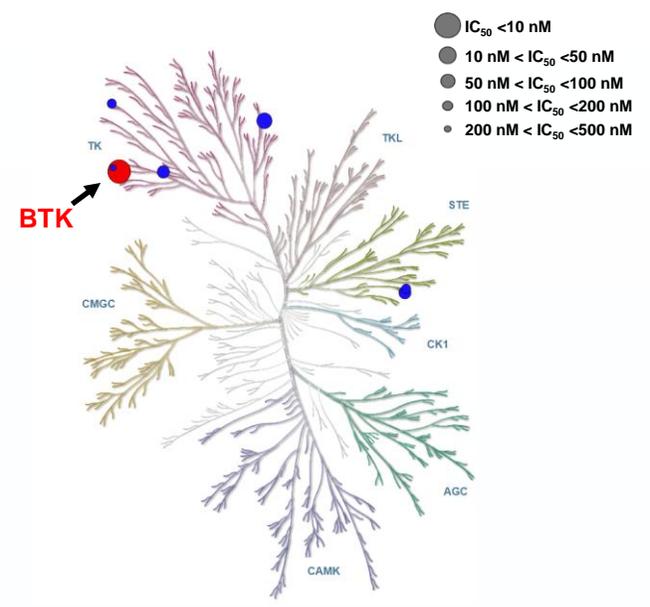


中位DoR: 17.7月
95% CI: 7.5-27.2
中位随访时间: 20.1月
事件/总数: 24/51

1. Lisa M Hess, et al. Adv Hematol. 2022 Dec 28;2022:8262787; 2. Georg Hess, et al. Br J Haematol. 2023 Aug;202(4):749-759; 3. Shah NN, et al. Poster presented at: American Society of Clinical Oncology 59th Annual Meeting; 2-6 June 2023; Chicago, IL. Poster 7514;

匹妥布替尼**总体耐受性良好**，**无黑框警告**，**大多数AE为1/2级** 具有**高选择性**，**极大程度地减少了可能导致毒性作用的脱靶抑制**

高选择性



• 匹妥布替尼**具有高选择性**，这可能与匹妥布替尼与BTK的大量相互作用相关¹，**极大程度地减少了可能导致毒性作用的脱靶抑制**

说明书刊载的安全性信息²

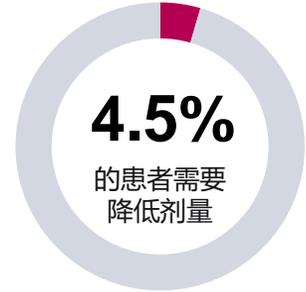
- 匹妥布替尼**总体安全性良好**，说明书中列出的最常见 (≥20%) 的不良反应 (包括实验室检查结果异常) 为中性粒细胞计数降低、血红蛋白降低、血小板计数降低、疲劳、骨骼肌肉疼痛、淋巴细胞计数降低、瘀伤和腹泻，**主要为1-2级**

国内外不良反应发生情况

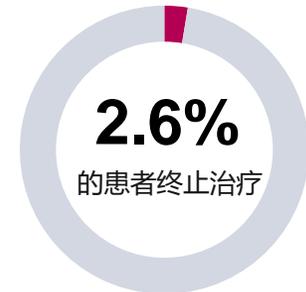
- 自全球首次上市 (2023年1月) 以来，各国家或地区药监部门**未发布**任何安全性警告、黑框警告、撤市信息
- 中国2期临床试验JZNJ研究结果表明，匹妥布替尼在**中国人群中展示出与全球人群一致的良好耐受性³**

因治疗相关不良反应导致的减量或停药率低⁴

因TRAE导致剂量降低的发生率



因TRAE导致停药的发生率



TRAE: Treatment Related Adverse Event 治疗相关不良反应

1.Eliana B. Gomez, et al. Blood 2023;142(1):62-72; 2. 匹妥布替尼说明书 (2024年10月22日版) ; 3. Yuqin Song, et al. Poster presented at: 65th ASH Annual Meeting and Exposition, San Diego, California; 9-12 December 2023; Poster 3636; 4. Nirav N. Shah, et al. Poster presented at: 64th ASH Annual Meeting and Exposition, New Orleans, LA; December 10-13. Poster 1797.

匹妥布替尼是全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂，**填补**BTK经治MCL患者目前无有效标准治疗的**临床未满足需求**

促进目录优化，填补临床未满足需求

- 匹妥布替尼是全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂
- 匹妥布替尼为共价BTK抑制剂治疗失效的MCL患者提供了**全新的临床选择**
- **目前BTK经治MCL患者无标准治疗方案，匹妥布替尼可有效填补这一临床未满足需求，优化医保目录**

基金影响可控

- **特定患者人群**：适用于既往接受过至少两种系统性治疗（含共价BTK抑制剂）的MCL患者
- **基金支出可控**：（1）患者人群小（2）单药治疗，无联合用药费用（3）口服用药，节约住院费用

临床管理难度小

- **口服给药**：每日1次口服，固定剂量，适合医疗机构和双通道管理
- **无临床滥用风险**：适应症范围明确，不需要额外检测手段

匹妥布替尼是全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂，获益明确，**有效填补临床未满足需求**

机制创新

- 全球**首个且唯一**获批的**非共价**BTK抑制剂，高选择性，长半衰期¹⁻³
- **共价**BTK抑制剂治疗**失效后**，能**继续**和BTK结合**抑制肿瘤细胞生长**

获益明确

- 对于共价BTK抑制剂经治的MCL患者，匹妥布替尼能够实现**高缓解率**，**改善患者总生存（中位OS长达近2年）**⁴
- 总体**耐受性良好**，无黑框警告，大多数AE为1/2级^{2,5,6}
- 已获CSCO和NCCN**指南推荐**⁷⁻⁸

优化目录

- 目前BTK经治MCL患者无标准治疗方案，匹妥布替尼可**有效填补这一临床未满足需求**，优化医保目录

1. <https://jaypirca.lilly.com/hcp/moa>; 2. 匹妥布替尼说明书（2024年10月22日版）； 3. Eliana B. Gomez, et al. Blood 2023;142(1):62-72; 4. Shah NN, et al. Poster presented at: American Society of Clinical Oncology 59th Annual Meeting; 2-6 June 2023; Chicago, IL. Poster 7514; 5. Yuqin Song, et al. Poster presented at: 65th ASH Annual Meeting and Exposition, San Diego, California; 9-12 December 2023; Poster 3636; 6. Nirav N. Shah, et al. Poster presented at: 64th ASH Annual Meeting and Exposition, New Orleans, LA; December 10-13. Poster 1797; 7. 中国临床肿瘤学会（CSCO）淋巴瘤指南 2025版; 8. NCCN B-Cell Lymphomas Guideline (2024.V2)