



珍爱生命 · 关注生存 · 创造生活
CHERISH LIFE CARE FOR LIFE CREATE LIFE

艾曲泊帕乙醇胺干混悬剂

(特艾升®)

适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的
成人和6岁及以上儿童慢性免疫性血小板减少症(ITP)患者

沈阳三生制药有限责任公司





一、基本信息

二、安全性

三、有效性

四、创新性

五、公平性



药品基本信息 (1/2)

药品基本信息¹

【申报目录类别】 基本医保目录
【通用名】 艾曲泊帕乙醇胺干混悬剂
【注册规格】 25mg (按C₂₅H₂₂N₄O₄计)

【适应症】

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**成人和6岁及以上儿童**慢性免疫性（特发性）血小板减少症（**ITP**）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

【用法用量】

本品的建议起始剂量为**25mg，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 $\geq 50 \times 10^9/L$ ，以减少出血的风险。成人患者和12-17岁儿童患者的剂量不得超过每日75mg，6-11岁儿童患者的剂量不得超过每日50mg。具体详见说明书

药品基本信息¹

【中国大陆首次上市时间】 2024/12
【大陆同通用名药品上市情况】 **独家药品**
【全球首次上市时间及国家】 2015/8，美国
【是否为OTC药品】 否
【药品注册分类】 化药3类

参照药品

【建议参照药品】 **艾曲泊帕乙醇胺片（瑞弗兰®）**
【参照药品选择理由】

- ①有效成分一致，均为艾曲泊帕
- ②适应症一致，且为医保目录内药品



药品基本信息 (2/2)

疾病基本情况

老人儿童患者多

- 发病率为**1.9~3.9/10万**¹
- 多为老人、儿童等吞咽困难患者

儿童发病率更高

- 儿童发病率约为**4~5/10万**²

疾病负担重

- **20~25%**³患儿病情反复，需长期治疗，经济压力大
- 父母生活质量甚至低于患儿

临床未满足的需求

现有治疗手段 存在局限性⁵

• 多数儿童服药吞咽困难

- 约**70%**的5~9岁和**30%**的10~14岁儿童不易吞服药片⁴，是影响用药依从性的**核心危险因素**之一（OR=2.425）⁵

• 剂量调整灵活

- 片剂存在掰碎药片等做法，导致用药过量或不足；而**干混悬剂**，医生可以根据临床经验**灵活调整**用药剂量
- 儿童各器官发育未成熟，用药剂量错误造成的药物性损害更严重
- 我国儿童药物不良反应率为**12.5%**，是成人的**2倍**⁶



安全性

艾曲泊帕**安全性良好**，常见不良反应种类少，且中重度不良事件鲜有发生

说明书刊载的安全性信息

- 最严重的为肝毒性和血栓形成/血栓事件

对于肝毒性，大多为**轻度**（1-2级），具有**可逆性**，无提示肝功能损害的显著临床症状¹

对于血栓，ITP患者血栓发病情况高于正常人，多项**真实世界研究**结果均显示无患者发生血栓事件²⁻⁴

- 其它常见不良反应：上呼吸道感染、鼻咽炎、咳嗽、腹痛、发热等

药品不良反应监测情况

- 艾曲泊帕已在国内外获批上市，**未收到相关药监部门发布的撤市信息**
- 艾曲泊帕的**总体获益-风险比有利**

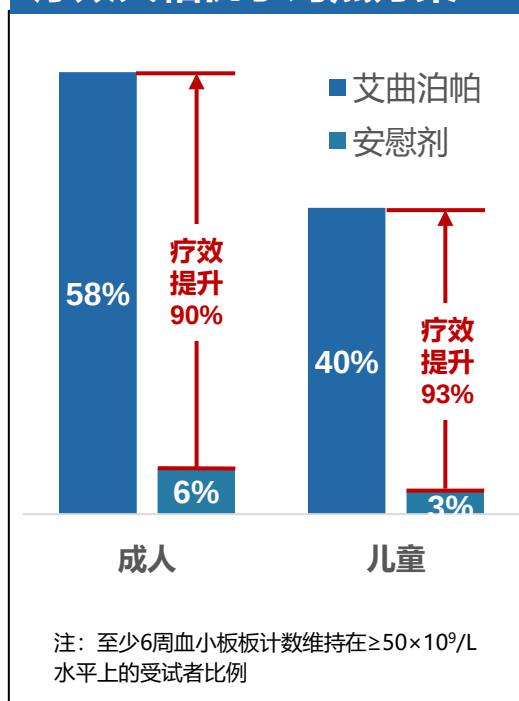


有效性

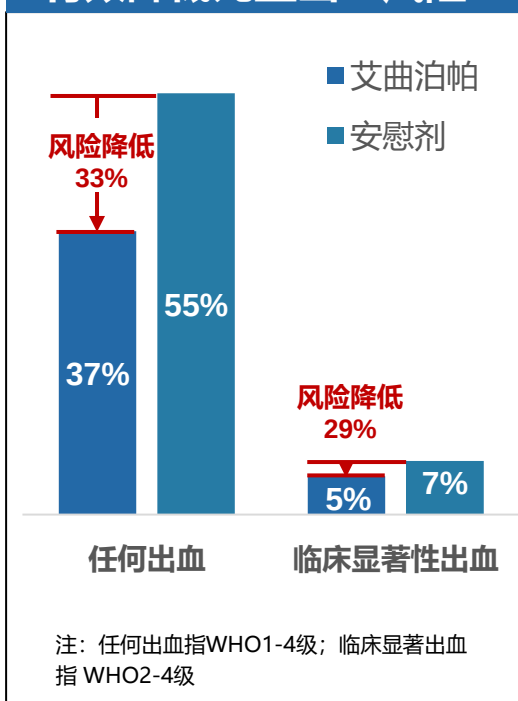
儿童与成人疗效可靠，降低患儿出血风险，获得国内外权威指南多年一致推荐

临床显著

疗效大幅优于对照方案¹⁻²



有效降低儿童出血风险²



指南推荐

中国儿童原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗改编指南（2021版）³

TRAS（艾曲泊帕等）被推荐为二线治疗**首选**

儿童原发性免疫性血小板减少症诊疗规范（2019年版）⁴

推荐ITP的二线治疗使用促血小板生成类药物：包括艾曲泊帕等

促血小板生成药物临床应用管理中国专家共识（2023年版）⁵

艾曲泊帕可**有效提高**血小板计数、改善ITP患者的生活质量

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（2023）⁶

既往治疗不佳的慢性ITP患者**首选**TPO-RAs进行二线治疗，如艾曲泊帕

成人原发免疫性血小板减少症诊断与治疗中国指南（2020年版）⁷

二线治疗推荐rhTPO、**艾曲泊帕（A级Ia）**等，此类药物1~2周起效有效率60%以上



创新性

国内**首款**治疗ITP的TPO-RA类干混悬剂，满足儿童等人群的治疗需求

创新程度：

- 以**儿童用药**身份获得CDE**优先审评审批**资格，国内**首个**申报上市和获批的TPO-RA类的干混悬剂型药物



创新工艺剂型

应用创新：

- 优化**给药途径**，实现速溶、易服，可常温冲兑
- 克服**片剂吞服困难**缺点



改善用药依从



公平性

对公共健康的影响

- **ITP被纳入国家第一批儿童血液疾病医疗救治和保障管理范围**，有助于完善儿童血液病药品供应和综合保障
- 唯一获批用于儿童与成人ITP的干混悬剂，提升患儿及吞咽困难患者用药适口性和依从性

符合“保基本”原则

- 是**唯一获批**用于治疗儿童ITP的TPO-RA干混悬改良剂型药物，满足患儿用药需求
- 干混悬剂主要患者人群为**儿童及吞咽困难**患者，用药患者**人群小**，对医保**基金影响有限且可控**

弥补目录短板

- **唯一干混悬剂，更适用于儿童**，保障儿童用药安全，守护每个儿童和家庭

临床管理难度

- 诊疗路径与适应症范围明确，**易于经办审核**，临床**滥用风险低**



艾曲泊帕乙醇胺干混悬剂（特艾升®）总结

中国首款且唯一艾曲泊帕乙醇胺干混悬剂，更适用于儿童的口服制剂

- ✓ **儿童多发：**ITP多发于儿童群体，发病率可达4-5/10万，远高于成人1.9-3.9/10万
- ✓ **提高用药依从性：**约**70%**的5~9岁和**30%**的10~14岁儿童不易吞服药片，是影响用药依从性的核心危险因素之一
- ✓ **剂量调整灵活：**医生可以根据临床经验灵活调整用药剂量，减少药物不良反应