

# 艾伏尼布片 (拓舒沃®)

全球首个, 中国唯一\*获批的IDH1抑制剂,  
突破IDH1突变 R/R AML患者无靶向治疗的困境

施维雅 (天津) 制药有限公司



\*截至申报日; IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; R/R: 复发/难治; AML: 急性髓系白血病  
本资料仅供医疗卫生专业人士作为学术参考, 而非针对一般公众, 亦非广告用途。



M-TIBSO-CN-202507-00014

# 艾伏尼布片是全球首个，中国唯一\*获批用于治疗IDH1突变的R/R AML靶向药物，申请纳入基本医保目录

## 药品信息<sup>1</sup>

- » 通用名：艾伏尼布片
- » 注册规格：0.25g
- » 注册分类：化学药品5.1类
- » 适应症：适用于采用经充分验证的检测方法诊断为携带易感异柠檬酸脱氢酶-1 (IDH1) 突变的复发性或难治性急性髓系白血病 (AML) 成人患者
- » 用法用量：推荐剂量为500mg，每日一次口服
- » 全球首个上市国家及时间：美国，2018.7
- » 中国上市时间：2022.1
- » 大陆地区同通用名药品的上市情况：无
- » 是否为 OTC 药品：否    » 申报目录类别：基本医保目录

## 参照药建议：

### **维奈克拉片 + 注射用阿扎胞苷**

目录内没有针对IDH1突变R/R AML患者的靶向药，选择“维奈克拉片+注射用阿扎胞苷”原因是按目录参照药选择规则(同治疗领域、同作用机制的目录内药品)：

- ① 维奈克拉+阿扎胞苷是目录内AML领域唯一靶向治疗方案
- ② 维奈克拉+阿扎胞苷尽管无法改善患者预后<sup>2</sup>，但在临床缺乏IDH1抑制剂的情况下是常用的替代方案

\*截至申报日 R/R: 复发/难治

1. 艾伏尼布片说明书; 2. Morsia E, et al; Am J Hematol. 2020;95:1511-1521

## IDH1突变R/R AML患者生存期短，亟需安全有效的靶向药物

当前医保目录无R/R AML靶向药物，艾伏尼布片作为唯一的口服靶向IDH1药物，可填补该治疗领域空白

### 疾病现状

- **IDH1突变R/R AML：每年新发约2,000人**
  - 白血病年新发病率为5.8/10万<sup>1</sup>；AML患者占58.7%<sup>2</sup>
  - R/R AML 患者占比估计约62.5%<sup>3</sup>；IDH突变占6-10%<sup>4</sup>
- **IDH1突变R/R AML患者生存期短**
  - R/R AML 患者中位生存期 < 6个月；3年生存率 < 10%<sup>3</sup>
  - IDH1突变患者OS显著低于非突变患者 (HR=1.17, P=0.0047)<sup>5</sup>

### 现有治疗方案未满足需求高

- **疗效有待改善**
  - 维奈克拉+去甲基化药物治疗生存期仍不足半年 (mOS: 5m)<sup>6</sup>
- **安全性不佳**
  - 维奈克拉+去甲基化药物骨髓抑制高发，需逐步调整剂量降低感染和骨髓抑制延长风险<sup>7,8</sup>
- **输血依赖高**
  - 常规治疗输血依赖比例约50%<sup>9</sup>，频繁输血带来并发症和感染风险，生存期显著缩短<sup>10</sup>

IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; R/R: 复发/难治; AML: 急性髓系白血病; mOS: 中位总生存期;

1. J Natl Cancer Cent. 2024;4(1);page; 2. 2025中国肿瘤整合诊治指南 (CACA) 白血病; 3. Xu J et al. Medicine(2018) 97:39; 4. DiNardo CD. NEJM (2018); 5. Xu Q, et al. Clin Cancer Res. 2017;23(15):4511-4522; 6. Morsia E, et al; Am J Hematol. 2020;95:1511-1521; 7. Angotzi F et al, et al. Front Oncol. 2024;14:1370405; 8. Am Soc Clin Oncol Educ Book. 2024 Apr;44(3):e438662; 9. Dinardo, C.D. et al. NEJM, 2020; 10. Cannas G et al. Ann Hematol. 2015;94(11):1797-1806



# 艾伏尼布片单药延长生存，缓解持续时间长，减少输血依赖，中国人群疗效更优

## 延长生存

R/R AML患者mOS小于6个月，  
艾伏尼布片延长生存期

## 缓解持续时间长

中国人群CR持续时间超过1年半，**疗效持久稳定**

## 减少输血依赖

减少反复输血的负担和风险，提高患者治疗  
体验和生活质量，缓解血液供应压力

全球研究<sup>1</sup>

全球  
CR/CRh人群

18.8个月

全球总人群

9.0个月



CR/CRh率

8.2个月

CR/CRh中位持续时间

38.5%

患者摆脱血小板输注

42.3%

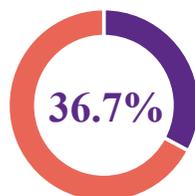
患者摆脱红细胞输注

中国桥接试验<sup>2</sup>

中国总人群

9.1个月

常规治疗<sup>\*3-5</sup>: <6个月



CR率

19.7个月

CR中位持续时间

50%

基线输血患者  
治疗后脱离输血

\*非头对头比较，常规治疗为化疗及以维奈克拉为基础的治疗方案；CR: 完全缓解；CRh: 完全缓解伴部分血液学恢复；OS: 总生存期

1. Pollyea DA. ASCO 2018. Abstract 7000; AG120-C-001研究：一项开放标签、单臂、多中心、剂量递增和扩展临床II期研究，179例R/R AML患者接受艾伏尼布500mg QD治疗，中位随访时间15.3m(0.2-39.5)
2. Sun MY. Blood Science 6(3):p e00196; CS3010-101研究：一项在中国开展的桥接研究，纳入IDH1突变成年R/R AML患者30例。Data cutoff day: 2021.5.21。
3. Xu J, et al. Medicine (2018) 97:39; 4. Morsia E, et al; Am J Hematol. 2020;95:1511-1521; 5. Paschka P, Hombret H et al. EHA (2020), EHA library.294458; EP540

## 真实世界研究证实艾伏尼布片降低死亡风险，优于常规治疗方案

一项基于法国多中心真实世界研究:

### 艾伏尼布片真实世界疗效优异<sup>1</sup>

**完全缓解率：36.4%**  
**中位生存时间：10.3m**  
 (中位随访时间：27.4个月)

包括22例接受过异基因造血干细胞移植后复发的18岁及以上AML或骨髓异常综合征患者中携带IDH1突变的患者。未出现分化综合征和观察到任何可能导致艾伏尼布停药的严重不良事件。

一项针对IDH1突变人群的回顾性研究:

### 艾伏尼布片降低死亡风险<sup>2</sup>

 **死亡风险**  
**降低27%-57%**  
 (匹配后OS HR: 0.43-0.73)

艾伏尼布片组：全球研究 (N=159)，常规治疗组：注册研究中AML研究小组 (N=127) 和来自法国、德国、英国和西班牙的真实世界研究 (N=148)。通过不同匹配方法，对比艾伏尼布片组 vs. 常规治疗组死亡风险。

一项基于美国单中心真实世界研究:

### 使用IDH抑制剂的患者生存期更长<sup>3</sup>

**中位生存时间**  
**尚未达到 vs. 9.4m**  
 (中位随访时间：11.8个月)

包括IDH1/2突变的R/R AML患者：IDH抑制剂±去甲基化药物 vs. 以维奈克拉片为基础的低强度治疗。

R/R: 复发/难治; AML: 急性髓系白血病; mIDH1: IDH1突变; mOS: 中位生存期; HR: 风险比

1. Caillot A, et al. Hemasphere (2024), 8 (3); 2. Paschka P, et al. EHA (2020), EHA library.294458; EP540; 3. Murray G, et al. ASCO (2023), Abstract number e19043.

## 艾伏尼布片获国内外权威指南推荐，作为“唯一”治疗选择



CSCO恶性血液病诊疗指南 (2025版)<sup>1</sup>

艾伏尼布±去甲基化药物作为IDH1突变R/R AML(无论早期复发者还是晚期复发者)患者治疗**唯一推荐** (II级推荐)



CACA白血病指南 (2025版)<sup>2</sup>

艾伏尼布±去甲基化药物作为IDH1突变R/R AML患者治疗**唯一推荐**



CMA中国复发难治性急性髓系白血病  
诊疗指南 (2023年版)<sup>3</sup>

艾伏尼布是IDH1突变阳性R/R AML患者**唯一推荐**的基础用药 (单药或含艾伏尼布的组合方案) (证据等级2a)



NCCN指南: AML (2025.V2)<sup>4</sup>

IDH1抑制剂作为IDH1突变的R/R AML患者治疗**唯一推荐** (证据等级2a)

CSCO: 中国临床肿瘤学会; CACA: 中国抗癌协会; CMA: 中华医学会; NCCN: 美国国家综合癌症网络; IDH1: 易感异柠檬酸脱氢酶-1; R/R: 复发难治; AML: 急性髓系白血病

1. 中国临床肿瘤学会(CSCO)恶性血液病指南2025; 2. 2025中国肿瘤整合诊治指南 (CACA) 白血病; 3. 中国复发难治性急性髓系白血病指南 (2023版); 4. NCCN急性髓系白血病 (2025.V2)

# 同类首创口服药物，突破IDH1突变R/R AML患者无靶向治疗的困境



全球首个且中国唯一获批的IDH1抑制剂，填补IDH1突变R/R AML治疗空白

在中国被纳入**临床急需境外新药(第三批)**名单，获得**优先审评**；在美国获得**快速通道**和**优先审评**；在美国和欧洲获得**孤儿药**资格认定

## 机制创新：精准靶向IDH1，有效降低白血病原始细胞数量

- 艾伏尼布片精准作用于IDH1突变，抑制2-HG产生比例高达99.7%<sup>1,2</sup>

## 应用创新：口服固定剂量，适合特殊人群，临床适用性高

- 口服固定剂量，对于轻度或中度肝功能损害、肾功能损害和老年人患者，无需调整起始剂量<sup>3</sup>

### 带来患者获益：

#### ✓ 生存期长

艾伏尼布片: 9.1m;  
维奈克拉片+去甲基化药物: 5m<sup>4,5\*</sup>

#### ✓ 缓解持续时间久

艾伏尼布片: 19.1m;  
维奈克拉片+去甲基化药物: 8m<sup>4,5\*</sup>

#### ✓ 感染率低

艾伏尼布片: 10.2%;  
维奈克拉片+去甲基化药物/LDAC: 50%<sup>6,7\*</sup>

#### ✓ 骨髓抑制轻微

≥3级FN: 艾伏尼布片<sup>\*\*</sup>: 0.6%  
维奈克拉片+去甲基化药物: 63.6%<sup>4,8\*</sup>

\*非头对头比较 \*\* 治疗相关的不良反应 IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1; R/R: 复发/难治; AML: 急性髓系白血病; 2-HG: 2-羟基戊二酸; LDAC: 低剂量阿糖胞苷; FN: 发热性中性粒细胞减少  
1. Okoye-Okafor UC, et al Nat Chem Biol. 2015.11(11):878-886; 2. DiNardo CD. NEJM (2018); 3. 艾伏尼布片说明书; 4. Sun MY. Blood Science 6(3):p e00196; 5. Morsia E, et al; Am J Hematol. 2020;95:1511-1521; 6. Pollyea DA. ASCO 2018. Abstract 7000; 7. Leuk Res. 2020 Mar;90:106314. 8. Angotzi F et al, et al. Front Oncol. 2024;14:1370405. 9. Ghayas C Issa, et al. Blood Cancer J. 2021 Jun 3;11(6):107.

## 艾伏尼布片纳入医保目录，填补治疗领域空白

### 所治疗疾病 对公共健康的影响

R/R AML疾病负担重：患者预后差，中位总生存期小于6个月，3年生存率小于10%；艾伏尼布片助力实现健康中国2030：全球首个、中国唯一\*获批的IDH1抑制剂，可延长患者生存期（CR/CRh人群mOS: 18.8m）

### 符合“保基本” 原则

艾伏尼布片满足IDH1突变R/R AML患者的基本治疗需求；  
**适应症患者人群小，预计每年约2,000人符合适应症，对医保基金影响有限**

### 弥补目录短板

目录内尚无治疗IDH1突变R/R AML靶向药物，纳入医保目录可**填补该治疗领域空白**

### 临床管理难度低

艾伏尼布片使用前需基因检测，适应症范围及使用人群精准，**无临床滥用和违规使用医保基金风险**；  
改善输血依赖，感染风险低，提高医疗机构管理效能，节约医疗资源；  
口服给药，固定剂量，便于医保经办部门及医疗机构管理

\*截至申报日

IDH1: 异柠檬酸脱氢酶-1基因; R/R: 复发/难治; AML: 急性髓系白血病; CR/CRh: 完全缓解/完全缓解伴部分血液学恢复

## 总结：建议参照药为“维奈克拉+阿扎胞苷”，建议评级为“突破”

### 参照药选择理由

目录内没有针对IDH1突变R/R AML患者的靶向药，选择“维奈克拉片+注射用阿扎胞苷”原因是按目录参照药选择规则（同治疗领域、同作用机制的目录内药品）：

① 维奈克拉+阿扎胞苷是目录内AML领域唯一靶向治疗方案

② 维奈克拉+阿扎胞苷尽管无法改善患者预后，但在临床缺乏IDH1抑制剂的情况下是常用的替代方案

### 评级建议理由

#### 同类首创

全球首个，中国唯一\*获批的靶向IDH1抑制剂，作为临床急需境外新药获优先审评，获FDA和EMA孤儿药认定

#### 延长生存

艾伏尼布片延长生存期，CR/CRh人群OS达18.8个月（R/R AML常规治疗\*\*患者mOS不足6个月）<sup>1-4</sup>

#### 安全性可控

治疗相关血液学不良反应发生率低，骨髓抑制轻微<sup>1</sup>

#### 填补空白

填补目录内IDH1突变R/R AML靶向治疗空白

\*截至申报日 \*\*常规治疗包括化疗和以维奈克拉为基础方案

R/R: 复发/难治 mOS: 中位生存期; CR/CRh: 完全缓解/完全缓解伴部分血液学恢复

1. Pollyea DA. ASCO 2018. Abstract 7000; 2. Xu J, et al. Medicine (2018) 97:39; 3. Morsia E, et al; Am J Hematol. 2020;95:1511–1521; 4. Paschka P, Hombret H et al. EHA (2020), EHA library.294458; EP540

