

2025年国家医保药品目录调整  
申报材料（公示版）



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

药品名称： 艾伏尼布片

企业名称： 施维雅（天津）制药有限公司

## 申报信息

申报时间	2025-07-18 17:31:24	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2020年1月1日至2025年6月30日(含，下同)期间，经国家药监部门批准上市的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2020年1月1日至2025年6月30日期间，经国家药监部门批准，适应症或功能主治发生重大变化，且针对此次变更获得药品批准证明文件的药品。
- 3.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入国家卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》《第五批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》《第三批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委等部门《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。

药品通用名称（中文、含剂型）	艾伏尼布片	医保药品分类与代码	XL01XXA374A001010184037
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
① 药品注册分类	化药5.1类		
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2033-01
核心专利类型2	组合物专利	核心专利权期限届满日2	2035-03
核心专利类型3	用途专利	核心专利权期限届满日3	2035-03
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2033-01
核心专利类型2	组合物专利	核心专利权期限届满日2	2035-03
核心专利类型3	用途专利	核心专利权期限届满日3	2035-03
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	0.25g		
上市许可持有人（授权企业）	Servier Pharmaceuticals LLC		
说明书全部适应症/功能主治	本品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。IDH1突变的检测要求详见【用法用量】。		
说明书用法用量	本品推荐剂量为500mg，每日一次口服，直至疾病进展或出现不可接受的毒性。对未出现疾病进展或不可接受毒性的患者，需至少接受6个月治疗，以充分观察临床反应。本品可空腹或餐后口服。服药时，不要进食高脂肪餐，以免导致血药浓度增加（参见【药代动力学】）。不要掰开或碾碎本品服用。本品每天应在固定时间服用。如果服药后出现呕吐，不需补服；按照预定时间进行下一次服药。如果漏服或未在既定时间服药，应尽快补服；但如果距下一次预定服药时间小于12小时，则无需补服，第二天恢复原计划时间服药即可。12小时内不得服药2次。完整内容详见说明书。		
所治疗疾病基本情况	白血病年新发率为5.8/10万。急性髓系白血病（AML）是最常见（占58.7%）的白血病类型。约62.5%的患者会成为复发或难治性（R/R）患者，这些患者预后差，中位总生存期mOS小于6个月，3年生存率小于10%。指南建议积极寻找患者可靶向治疗的突变基因。IDH1基因是AML患者常见的基因突变位点之一，约占AML的6-10%，携带IDH1突变基因的患者对常规治疗的反应更差，亟需安全有效的靶向治疗。		
中国大陆首次上市时间	2022-01	注册证号/批准文号	国药准字HJ20220002

该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	2018-07
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	-除艾伏尼布片外，国内尚无药品获批IDH1突变R/R AML适应症。国内已获批治疗AML靶向药物为维奈克拉片和富马酸吉瑞替尼片。维奈克拉片于2020年12月在中国获批上市，并已进入医保；富马酸吉瑞替尼片于2021年1月在中国获批上市，未进入医保目录。维奈克拉片对R/R AML患者治疗效果不佳（mOS 5个月），且骨髓抑制高发。-艾伏尼布片是全球首个、中国唯一获批的IDH1抑制剂，是IDH1突变的R/R AML患者唯一可用的口服靶向疗法，填补了IDH1突变R/R AML治疗的空白。-国际多中心研究结果显示，艾伏尼布片单药治疗疗效突出（CR/CRh患者mOS为18.8个月）。中国桥接研究验证了其在中国人人群中的疗效（CR患者中位持续缓解时间为19.7个月）。艾伏尼布片可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。		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a>	1-1企业承诺书-已盖章已签字.pdf	
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a>	1-2最新说明书.pdf	
所有《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品），包括首次上市的批准注册证明文件和历次《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》，请扫描成一个文件后上传	<a href="#">↓ 下载文件</a>	1-3进口药品注册证.pdf	
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	<a href="#">↓ 下载文件</a>	艾伏尼布片PPT1.pdf	
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	<a href="#">↓ 下载文件</a>	艾伏尼布片PPT2.pdf	



### 参照药品信息

说明：

- 参照药品原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品，最终参照药品认定以专家评审意见为准。
- 中成药：一律填写日均费用。
- 西药：（1）慢性病用药，原则上计算日费用，如有治疗周期，标注治疗周期。  
（2）急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。  
（3）肿瘤、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用，如说明书中严格限定了治疗周期，可按治疗周期计算疗程费用，并予以说明。  
（4）其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。  
（5）计算过程中如涉及以下指标，请统一按以下标准计算上述费用，如未按以下标准，请说明。  
① 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m<sup>2</sup>。  
② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m<sup>2</sup>。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） <sup>①</sup>	用法用量	费用类型	金额（元） <sup>①</sup>	疗程/周期 <sup>①</sup>
维奈克拉片+注射用阿扎胞苷	是	维奈克拉片： 100mg；注射用阿扎胞苷： 100mg	1447.6	维奈克拉片： 与阿扎胞苷联用，一日一次，第1天100mg，第2天200mg，第3天及以后400mg。注射用阿扎胞苷：每4周为一个治疗	年度费用	213419	-

				周期，每个治疗周期的前7天给药，推荐起始剂量每天75mg/m <sup>2</sup> 。		
--	--	--	--	---	--	--

**参照药品选择理由：** 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+阿扎胞苷尽管无法显著改善患者预后，但在临床缺乏IDH1抑制剂的情况下是常用的替代方案

**其他情况请说明：** 上述“单价”填写的1447.6元/盒是维奈克拉片单药的最新谈判价格；注射用阿扎胞苷的国家组织集中带量采购中选最高价为346元/盒

## 二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	国际多中心临床研究共纳入179例IDH1突变R/R AML患者。结果显示，艾伏尼布组完全缓解（CR）/完全缓解伴部分血液学恢复（CRh）率为31.8%，CR/CRh的中位持续时间为8.2个月，中位随访15.3个月后，全人群中位OS为9个月，CR+CRh患者中位OS为18.8个月。患者输血依赖明显减少，38.5%和42.3%的输血依赖患者转为血小板和红细胞非输血依赖。≥3级治疗相关不良事件发生率低。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-1有效性研究1_艾伏尼布片全球研究.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国注册桥接研究共纳入30例IDH1突变的R/R AML患者，结果显示，CR 率为36.7%，中位持续时间为19.7个月。中位随访26个月，中位OS为9.1个月。50%基线输血的患者治疗后摆脱输血，未发现非预期的不良事件。艾伏尼布片在中国IDH1突变的R/R AML患者中的安全性和疗效数据与全球数据相当。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-2有效性研究2_艾伏尼布片中国人群研究.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入22例移植后复发的≥18岁IDH1突变AML或骨髓增生异常综合征患者，接受艾伏尼布治疗后，入组移植患者复发的中位时间为5.8个月。结果显示，客观缓解率40.9%，CR率为36.4%。中位缓解持续时间为18.3个月。中位随访为27.4个月，中位OS为10.3个月。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。提示应在IDH1突变R/R AML患者中使用艾伏尼布直至疾病进展。

<p>试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-3有效性研究3_艾伏尼布片回顾研究.pdf</p>
<p>试验类型4</p>	<p>其他</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>共分析了四例接受艾伏尼布治疗的IDH1突变AML患者的疗效及安全性，其中一例复发难治患者，在接受DLAAG+维奈克拉后达到不完全缓解，因出现严重感染，停止维奈克拉治疗，使用艾伏尼布单药维持治疗，患者达到CR，截止数据发表时，患者服用艾伏尼布超过65个月，未报告特殊不良事件，且从诊断AML以来，患者的生存期超过94个月。</p>
<p>试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-4有效性研究4_艾伏尼布片病例研究.pdf</p>
<p>试验类型5</p>	<p>其他</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>最近一次的抗白血病疗法</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>回顾性匹配性比较IDH1突变R/R AML患者接受艾伏尼布治疗（n=159）或其他常规疗法（法德英西真实世界研究148例患者，德国AMLWG数据库127例患者）的疗效差异，结果显示未匹配前，艾伏尼布的中位生存期为8.8个月，常规疗法组为5.4个月。在不同方法匹配后，艾伏尼布生存期优于常规疗法组，HR为0.43-0.73，即经艾伏尼布治疗，IDH1突变RR AML死亡风险降低27%-57%。</p>
<p>试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-5有效性研究5_匹配研究.pdf</p>
<p>试验类型6</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>含氟达拉滨化疗或维奈克拉+HMA</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>回顾性研究纳入19例出现IDH1/2突变的R/R AML患者。中位随访11.8个月，接受IDH抑制剂组的患者中位生存期尚未达到，显著优于（P=0.030）接受化疗或者维奈克拉组的生存期，化疗组：14.3个月，维奈克拉为基础组：9.4个月。</p>
<p>试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-6有效性研究6_IDH抑制剂研究.pdf</p>
<p>试验类型1</p>	<p>单臂临床实验</p>

试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	国际多中心临床研究共纳入179例IDH1突变R/R AML患者。结果显示，艾伏尼布组完全缓解（CR）/完全缓解伴部分血液学恢复（CRh）率为31.8%，CR/CRh的中位持续时间为8.2个月，中位随访15.3个月后，全人群中位OS为9个月，CR+CRh患者中位OS为18.8个月。患者输血依赖明显减少，38.5%和42.3%的输血依赖患者转为血小板和红细胞非输血依赖。≥3级治疗相关不良事件发生率低。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-1有效性研究1_艾伏尼布片全球研究.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国注册桥接研究共纳入30例IDH1突变的R/R AML患者，结果显示，CR 率为36.7%，中位持续时间为19.7个月。中位随访26个月，中位OS为9.1个月。50%基线输血的患者治疗后摆脱输血，未发现非预期的不良事件。艾伏尼布片在中国IDH1突变的R/R AML患者中的安全性和疗效数据与全球数据相当。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-2有效性研究2_艾伏尼布片中国人群研究.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入22例移植后复发的≥18岁IDH1突变AML或骨髓增生异常综合征患者，接受艾伏尼布治疗后，入组移植患者复发的中位时间为5.8个月。结果显示，客观缓解率40.9%，CR率为36.4%。中位缓解持续时间为18.3个月。中位随访为27.4个月，中位OS为10.3个月。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。提示应在IDH1突变R/R AML患者中使用艾伏尼布直至疾病进展。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1-3有效性研究3_艾伏尼布片回顾研究.pdf
试验类型4	其他
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	共分析了四例接受艾伏尼布治疗的IDH1突变AML患者的疗效及安全性，其中一例复发难治患者，在接受DLAAG+维奈克

拉后达到不完全缓解，因出现严重感染，停止维奈克拉治疗，使用艾伏尼布单药维持治疗，患者达到CR，截止数据发表时，患者服用艾伏尼布超过65个月，未报告特殊不良事件，且从诊断AML以来，患者的生存期超过94个月。

试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2-1-4有效性研究4\_艾伏尼布片病例研究.pdf

试验类型5

其他

试验对照药品

最近一次的抗白血病疗法

试验阶段

上市后

对主要临床结局指标改善情况

回顾性匹配性比较IDH1突变R/R AML患者接受艾伏尼布治疗（n=159）或其他常规疗法（法德英西真实世界研究148例患者，德国AML SG数据库127例患者）的疗效差异，结果显示未匹配前，艾伏尼布的中位生存期为8.8个月，常规疗法组为5.4个月。在不同方法匹配后，艾伏尼布生存期优于常规疗法组，HR为0.43-0.73，即经艾伏尼布治疗，IDH1突变RR AML死亡风险降低27%-57%。

试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2-1-5有效性研究5\_匹配研究.pdf

试验类型6

真实世界数据

试验对照药品

含氟达拉滨化疗或维奈克拉+HMA

试验阶段

上市后

对主要临床结局指标改善情况

回顾性研究纳入19例出现IDH1/2突变的R/R AML患者。中位随访11.8个月，接受IDH抑制剂组的患者中位生存期尚未达到，显著优于（P=0.030）接受化疗或者维奈克拉组的生存期，化疗组：14.3个月，维奈克拉为基础组：9.4个月。

试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2-1-6有效性研究6\_IDH抑制剂研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中国临床肿瘤学会（CSCO）《恶性血液病诊疗指南》（2025版）：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)

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2-2-1CSCO指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国抗癌协会《白血病》指南（2025版）：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

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

↓ 下载文件 2-2-2白血病指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组《中国复发难治性急性髓系白血病诊疗指南（2023年版）》：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）

↓ 下载文件 2-2-3中华医学会指南.pdf

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

临床指南/诊疗规范推荐情况4

美国国家综合癌症网络《NCCN肿瘤临床实践指南：急性髓系白血病》2025第2版：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）

↓ 下载文件 2-2-4NCCN指南.pdf

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

CHS

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中国临床肿瘤学会（CSCO）《恶性血液病诊疗指南》（2025版）：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）

↓ 下载文件 2-2-1CSCO指南.pdf

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国抗癌协会《白血病》指南（2025版）：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

↓ 下载文件 2-2-2白血病指南.pdf

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认

证，以保证涉外资料原件与翻译

件的一致性、准确性和客观性)	
临床指南/诊疗规范推荐情况3	中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组《中国复发难治性急性髓系白血病诊疗指南（2023年版）》：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)
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-3中华医学会指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	美国国家综合癌症网络《NCCN肿瘤临床实践指南：急性髓系白血病》2025第2版：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)
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-4NCCN指南.pdf
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	<p>在一项单臂研究AG120-C-001 试验中，174 名IDH1突变的R/R AML成人口服艾伏尼布500mg QD。CR或CRh达到33%（95%CI：26%-40%）；缓解持续时间为8.2个月，中位OS为9.1个月（95%可信区间为7.4-10.2个月）。37%的患者转化为输血不依赖，59%保持输血不依赖。研究表明，对于伴有IDH1突变的R/RAML的患者，本品呈现出具有临床意义的疗效。在中国研究中，疗效分析集的30例患者中，共有9例（30.0%）患者达到CR，至CR或CRh的中位时间为2.79个月，其中8例（88.9%）患者仍在持续缓解中。在各种缓解类别中均观察到与艾伏尼布治疗相关的临床获益，包括6.7%的患者在接受艾伏尼布治疗后接受了HSCT38.9%的患者实现了不依赖输血，66.7%的患者维持不依赖输血状态，以及各种血液学参数的改善。初步数据表明艾伏尼布在携带IDH1 R132位点突变的中国R/R AML患者中具有有良好的疗效，且与全球研究人群中的疗效数据基本一致。（备注：以上数据来自技术审评报告，部分数据有后续更新）</p>
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-3技术审评报告.pdf
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	<p>在一项单臂研究AG120-C-001 试验中，174 名IDH1突变的R/R AML成人口服艾伏尼布500mg QD。CR或CRh达到33%（95%CI：26%-40%）；缓解持续时间为8.2个月，中位OS为9.1个月（95%可信区间为7.4-10.2个月）。37%的患者转化为输血不依赖，59%保持输血不依赖。研究表明，对于伴有IDH1突变的R/RAML的患者，本品呈现出具有临床意义的疗效。在中国研究中，疗效分析集的30例患者中，共有9例（30.0%）患者达到CR，至CR或CRh的中位时间为2.79个月，其中8例（88.9%）患者仍在持续缓解中。在各种缓解类别中均观察到与艾伏尼布治疗相关的临床获益，包括6.7%的患者在接受艾伏尼布治疗后接受了HSCT38.9%的患者实现了不依赖输血，66.7%的患者维持不依赖输血状态，以及各种血液学参数的改善。初步数据表明艾伏尼布在携带IDH1 R132位点突变的中国R/R AML患者中具有有良好的疗效，且与全球研究人群中的疗效数据基本一致。（备注：以上数据来自技术审评报告，部分数据有后续更新）</p>
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-3技术审评报告.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	<p>【说明书中不良反应】最新说明书中，基于全球研究（AG120-C-001）艾伏尼布片最常见的导致暂停给药的不良反应为心电图QT间期延长（7%）、分化综合征（3%）、白细胞增多症（3%）和呼吸困难（3%）。179例患者中，5例患者（3%）因不良反应降低剂量。导致剂量降低的不良反应包括心电图QT间期延长（1%）、腹泻（1%）、恶心（1%）、血红蛋白降低（1%）和转氨酶升高（1%）。导致永久停药的不良反应该包括格林巴利综合征（1%）、皮疹（1%）、口腔粘膜炎（1%）和肌酐升高（1%）。【用药禁忌】对本品活性成份或任何辅料过敏者禁用。【注意事项】分化综合征，</p>
---------------	--

	QTc间期延长，格林巴利综合征，低钾血症，一旦发生应给予及时处理和救治。同时，对于孕妇及哺乳期妇女用药需谨慎。尚未确定本品在18岁以下患者中的安全性和有效性。本品在老年人用药时，无需调整。【药物相互作用】CYP3A4的强或中等抑制剂、强诱导剂、可延长QTc间期的药物对艾伏尼布治疗有一定影响；本品对CYP3A4有诱导作用，可能对CYP2C9也有诱导作用。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	广泛的临床试验和上市后经验证明了艾伏尼布的治疗价值。自2022年1月30日艾伏尼布在中国获批以来，未发现新的安全性信号。公司建立了完善的药物警戒规章制度和质量体系。说明书中分化综合征的实际发生率低，自艾伏尼布片获得全球上市至今（近7年），“分化综合征”的报告率估计为0.00045%。针对急性髓性白血病患者的分化综合征的常规药物警戒活动，以及附加药物警戒活动，足以监测、证明艾伏尼布的安全性特征。《技术审评报告》中获益与风险评估描述艾伏尼布在中国R/R AML患者中普遍耐受性良好。
相关报导文献	-

#### 四、创新性信息

创新程度	①艾伏尼布片是全球首个，中国唯一获批的IDH1抑制剂，是IDH1突变的R/R AML患者唯一可用的靶向疗法；②艾伏尼布片精准作用于mIDH1，抑制2-HG产生比例高达99.7%，阻止白血病原始细胞积累；③艾伏尼布片为诱导分化机制，可有效避免骨髓抑制，保障治疗安全；④艾伏尼布片在中国被纳入临床急需境外新药名单，获得优先审评，在美国获得快速通道、优先审评，在美国和欧洲获得孤儿药资格认定。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 4-1创新程度.pdf
应用创新	①艾伏尼布片能减少患者对输血的依赖，感染发生率低，提高患者治疗体验和生活质量，也可缓解血液供应压力；②艾伏尼布片为口服用药，且为固定剂量（一日一次，一次两片），提升了患者用药便捷性和依从性；③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。
应用创新证明文件	-
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

#### 五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	疾病负担重：R/R AML患者预后差，中位总生存期小于6个月，3年生存率小于10%；助力实现健康中国2030：艾伏尼布片是全球首个，中国唯一获批的IDH1抑制剂，可延长患者生存期（CR/CRh人群OS：18.8m）。
符合“保基本”原则描述	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2000人符合适应症，对医保基金影响有限。
弥补目录短板描述	目录内尚无治疗IDH1突变R/R AML的靶向药物，纳入医保目录可填补该治疗领域空白。
临床管理难度描述	①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；②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；③口服给药，固定剂量，便于医保经办部门及医疗机构管理。