

盐酸吉卡昔替尼片 (泽普平®)

—开启骨髓纤维化 (MF) 治疗新纪元

自主研发**1类新药**，独特作用机制，显著提高有效性和安全性，全面超越现有治疗方案

升级替代目录内药品，大幅提高患者获益，减少合并用药，**降低患者和基金负担**

苏州泽璟生物制药股份有限公司

目 录

1 基本信息

骨髓纤维化 (MF) 属罕见恶性血液疾病, 临床面临治疗药物疗效与安全性的双重挑战, 特别是现有治疗方案失败或不可耐受后, 面临无药可选问题

2 有效性

吉卡昔替尼给中国MF治疗带来更优选择, 关键临床研究有效性数据突出, 获CSCO指南MF治疗1级推荐, 并推荐为伴贫血患者治疗的首选药物

3 安全性

安全性良好, 全面优于芦可替尼和羟基脲, 因不良反应导致的停药率更低

4 创新性

新一代独特作用机制, 对JAK2有选择性抑制作用, 并可抑制ACVR1活性, 可有效治疗骨髓纤维化, 并改善贫血, 获得国家重大新药创制支持, 国产1类创新药

5 公平性

弥补目录短板, 升级替换目录内药物, 提升治疗效果同时减少合并用药, 降低患者负担, 节约医保基金

骨髓纤维化属罕见恶性血液疾病，临床面临治疗药物的疗效与安全性双重困境

罕见血液肿瘤，疾病恶化程度高¹⁻²：

- 骨髓纤维化 (MF) 纳入《第二批罕见病目录》，中位生存期为5.7年，高危患者只有2.3年，10年内10%-20%发展为急性髓系白血病，常伴随**严重贫血、脾肿大及全身症状**，显著影响患者生存质量。

第一代JAK药物芦可替尼治疗局限性

贫血加重

【发生率高】 由于MF患者本身疾病原因，加上芦可替尼作用机制的抑制作用，芦可替尼治疗后61%患者发生贫血，69%贫血恶化，被迫中断治疗³

【经济负担重】 与轻度MF相比，严重贫血患者治疗总费用增加近2倍⁴，中位生存期减少近60% (仅2.1年)⁵，显著增加死亡风险⁶

疗效有限

【停药率高】 芦可替尼治疗1年内21%~47%的患者停药，中位治疗时间为6个月至2年7-8

【复发和耐药】 患者在后续治疗选择中面临重重困难

临床MF治疗的未满足需求

一线治疗

患者贫血发生率高达2/3，且中国患者较西方患者血红蛋白水平 < 100 g/L的比例更高 (66.5% vs. 35.2%)，临床迫切需要既能缩脾、改善症状，又能改善贫血的药物

二线治疗

在芦可替尼治疗失败或不可耐受后，患者面临无药可选，被迫调整剂量、停止用药或叠加大量其他合并治疗药物的困境

1. Francisco Cervantes, Brigitte Dupriez, Arturo Pereira, et al. New prognostic scoring system for primary myelofibrosis based on a study of the International Working Group for Myelofibrosis Research and Treatment. *Blood* 2009; 113 (13): 2895-2901. 4.
2. Garmezzy B, Schaefer JK, Mercer J, et al. A provider's guide to primary myelofibrosis: pathophysiology, diagnosis, and management[J]. *Blood Rev*. 2021; 45: 100691. Passamonti F, et al. Anemia in myelofibrosis: Current and emerging treatment options. *Crit Rev Oncol Hematol*. 2022 Dec;180:103862. 5.
3. Gupta V, et al. The impact of anemia on overall survival in patients with myelofibrosis treated with ruxolitinib in the COMFORT studies. *Haematologica*. 2016 Dec;101(12): 8.

Gerds, A.T. et al. *J. Manag. Care Spec. Pharm.* 2024, 30, 1395-1404.
Nicolosi M, et al. *Leukemia*. 2018;32(5):1254-8
Palandri, F. et al. *Cancer* 2023, 130, 1270-1280.
Harrison CN, Schaap N, Mesa RA. Management of myelofibrosis after ruxolitinib failure[J]. *Ann Hematol*. 2020, 99(6): 1177-1191.
Kuykendall AT, Shah S, Talati C, et al. Between a rux and a hard place: evaluating salvage treatment and outcomes in myelofibrosis after ruxolitinib discontinuation[J]. *Ann Hematol*, 2018, 97(3): 435 - 441

吉卡昔替尼作为新一代独特作用机制药物，给中国MF治疗带来突破性变革



通用名	盐酸吉卡昔替尼片
申报目录类别	基本医保目录
说明书适应症范围	中危或高危原发性骨髓纤维化（PMF）、真性红细胞增多症继发性骨髓纤维化（PPV-MF）和原发性血小板增多症继发性骨髓纤维化（PET-MF）的成人患者，治疗疾病相关脾肿大或疾病相关症状。
中国大陆首次上市时间	2025年5月27日
大陆同通用名药品上市情况	独家药品
药品注册分类	化学药品1类

建议参照药品：磷酸芦可替尼片

- 医保目录内唯一治疗骨髓纤维化的靶向药物
- 临床常用治疗骨髓纤维化药物

与参照药比较优势

1. 国家1类新药，创新程度高
2. JAK/ACVR1多靶点抑制剂
3. 疗效和安全性实现全面超越
4. 兼顾疾病治疗与贫血改善
5. 适应症更少，基金影响更小

无论初治或经治MF患者，吉卡昔替尼均显示突出疗效

- 初治患者，吉卡昔替尼既可显著缩脾和改善症状，又可改善贫血
- 经治患者，吉卡昔替尼突破无药可用困境，亦可显著获益

初治患者多重获益

缩小脾脏

改善症状

中国患者	吉卡昔替尼 ¹	芦可替尼 ²
24周脾脏响应 (SVR35)	64.8%	27.0%
24周体质性症状响应 (TSS50)	62%	52.9%

* SVR 35: 脾脏体积缩小 \geq 35%; TSS50: 总症状评分下降 \geq 50%

经治患者进一步获益

芦可替尼不耐受患者疗效突出³



芦可替尼难治/复发患者进一步提升疗效⁴



1. Zhang Y, Zhou H, Suo S, et al. Evaluation of gecacitinib vs hydroxyurea in patients with intermediate-2 or high-risk myelofibrosis: final analysis results from a randomized phase 3 study. Blood Cancer J. 2024 Dec 18;14(1):216.

2. 金洁,杜欣,周道斌,等. JAK抑制剂芦可替尼治疗中国骨髓纤维化患者的疗效和安全性: A2202随访一年结果[J]. 中华血液学杂志,2016,37(10): 858-863.

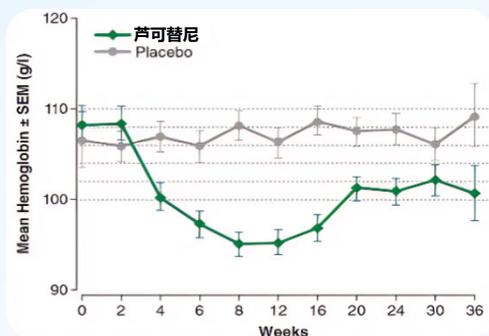
3. Zhang Y, et al. Am J Hematol. 2023 Oct;98(10):1588-1597.

4. Zhang Y, et al. Am J Hematol. 2023;98(10):1579-1587.

吉卡昔替尼独有优势，助力摆脱输血依赖、促进输血独立、改善贫血症状

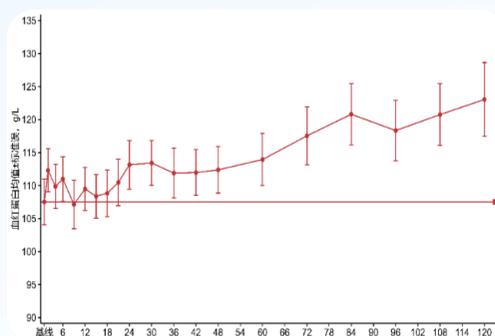
芦可替尼贫血加重，而吉卡昔替尼可有效**改善贫血**

芦可替尼



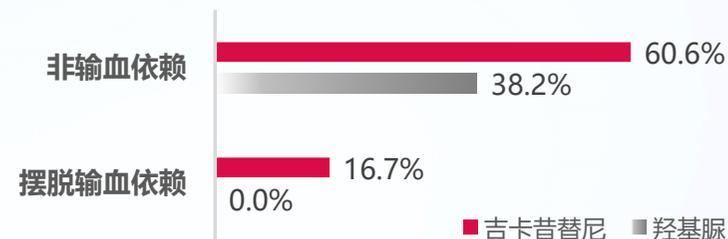
COMFORT-I 研究血红蛋白水平变化曲线

吉卡昔替尼



ZGJAK002研究长随访血红蛋白水平变化曲线

吉卡昔替尼
助力摆脱输血依赖
促进输血独立



- **芦可替尼**：治疗后**血红蛋白水平下降**¹；长期使用低于基线²
- **吉卡昔替尼**：临床研究汇总性事后分析显示，第24周内贫血缓解的患者比例达**38.2%**³；长随访数据显示**血红蛋白水平持续升高**⁴；芦可替尼不耐受、难治/复发人群换用吉卡昔替尼后，非输血依赖患者24周贫血发生改善比例分别达**42.9%**和**50.0%**⁵⁻⁶

- 24周，基线存在输血依赖的患者中，吉卡昔替尼组**16.7%的患者摆脱输血依赖**⁷
- 24周，吉卡昔替尼组的**非输血依赖率为60.6%**，比羟基脲组高22.8%⁷

1. Verstovsek S, et al. N Engl J Med. 2012;366(9):799-807.
 2. Verstovsek S, et al. J Hematol Oncol. 2017 Feb 22;10(1):55
 3. Zhang Y, et al. UNVEILING THE EFFECTIVENESS AND PREDICTIVE FACTORS OF JAKTINIB TREATMENT IN MYELOFIBROSIS PATIENTS WITH ANEMIA. 2024 EHA #P1031.
 4. Zhang Y, Zhou H, Jiang Z, et al. Efficacy, safety, and survival findings after long-term follow-up from ZGJAK002, a phase 2 study comparing jakitinib 100 mg twice daily with 200 mg once daily for myelofibrosis (MF)[J]. Blood, 2023, 142 Suppl 1: 1814-1814

5. Zhang Y, et al. Am J Hematol. 2023 Oct;98(10):1588-1597
 6. Zhang Y, et al. Am J Hematol. 2023 Oct;98(10):1579-1587
 7. Zhang Y, Zhou H, Suo S, et al. Evaluation of gecacitinib vs hydroxyurea in patients with intermediate-2 or high-risk myelofibrosis: final analysis results from a randomized phase 3 study. Blood Cancer J. 2024 Dec 18;14(1):216.

基于优越的临床数据，获CSCO指南MF治疗1级推荐，并推荐为伴贫血患者治疗的首选药物

吉卡昔替尼快速、显著、持久缩小脾脏和改善症状，改善贫血，并有效**延长中位生存期**
36个月总生存 (OS) 率为78.2%，无白血病生存 (LFS) 率为84.1%¹

基于吉卡昔替尼在骨髓纤维化患者治疗中的**多重获益和持久疗效**，
被纳入《CSCO恶性血液病诊疗指南(2025年)》

- **原发性骨髓纤维化(PMF)患者一线治疗I级推荐** ★
- **骨髓纤维化相关贫血患者一线治疗1级推荐首选药物**
- **二线及进展期治疗II级推荐** (吉卡昔替尼治疗可有效减轻芦可替尼不耐受和耐药患者的脾大，改善MF相关的症状负担，并有助于提高贫血患者的血红蛋白水平)



1. Zhang Y, et al. UNVEILING THE EFFECTIVENESS AND PREDICTIVE FACTORS OF JAKTINIB TREATMENT IN MYELOFIBROSIS PATIENTS WITH ANEMIA. 2024 EHA #P1031.

2. 中国临床肿瘤学会指南工作委员会. 中国临床肿瘤学会 (CSCO) 恶性血液病诊疗指南2025[M]. 北京: 人民卫生出版社, 2025: 4.

安全性良好，全面优于芦可替尼和羟基脲，因不良反应导致停药率更低

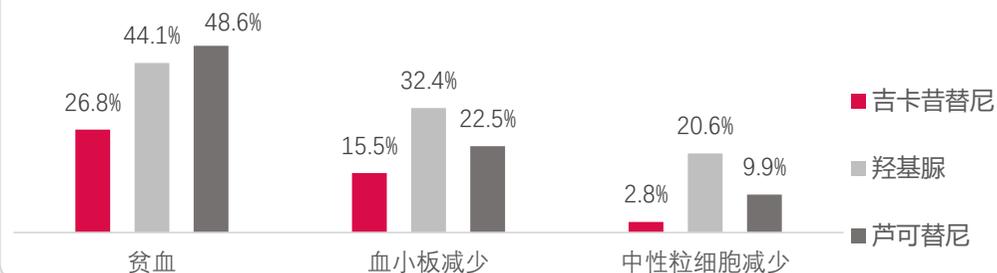
说明书记载的安全性良好

【特殊人群无需调整剂量】

- 轻、中度肝功能损伤患者无需进行剂量调整
- 轻、中度肾功能损伤患者无需调整剂量
- 本品对于老年患者（≥65岁）无需额外调整剂量

比芦可替尼安全性数据更优

- Ⅲ期研究中，吉卡昔替尼贫血、血小板减少和中性粒细胞减少发生率远低于羟基脲和芦可替尼¹⁻²



导致治疗终止的不良事件发生率更低

- 中国人群研究显示，吉卡昔替尼导致治疗终止的不良事件发生率低于羟基脲和芦可替尼
- 吉卡昔替尼发生率为7.0%；羟基脲组为11.8%¹；芦可替尼中国Ⅲ期发生率为9.5%³，随访1年后发生率为14.3%⁴

1. Blood Cancer Journal (2024) 14:216; <https://doi.org/10.1038/s41408-024-01202-8>

2. 芦可替尼说明书

3. Du X, Zhou D. Efficacy and safety of JAK inhibitor INCA24 in patients with primary and post-polycythemia vera or post-essential thrombocythemia myelofibrosis in the Chinese population[J]. Front Med, 2016, 10(4):437-443. DOI: 10.1007/s11684-016-0472-9.

4. 金洁, 杜欣, 周道斌, 等. JAK抑制剂芦可替尼治疗中国骨髓纤维化患者的疗效和安全性: A2202随访一年结果[J]. 中华血液学杂志, 2016, 37(10): 858 - 863. DOI: 10.3760/cma.j.issn.0253-2727.2016.10.007.

创新性

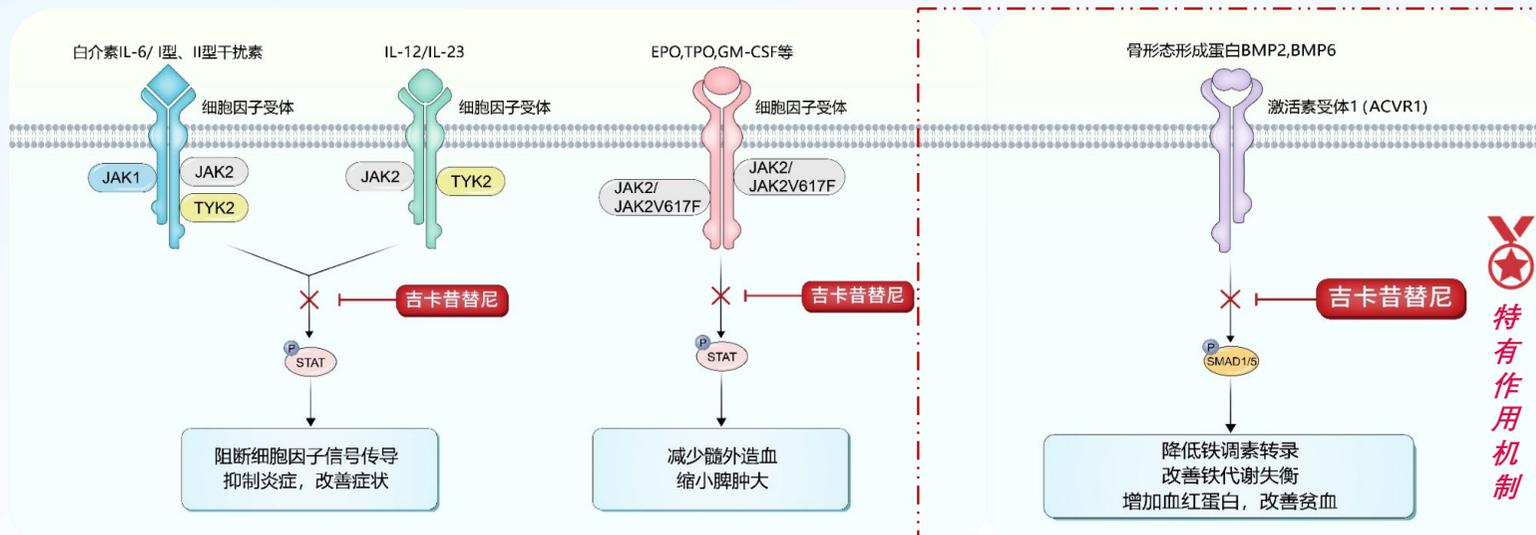


新一代独特作用机制，对JAK2具有选择性抑制作用，并可通过抑制ACVR1活性，改善贫血、减轻输血压力

- 我国自主研发，拥有完全自主知识产权的1类新药
- 十三五国家新药创制重大专项资助项目
- 多重作用机制，特有抑制ACVR1活性，有效改善贫血症状

创新机制

患者获益



抑制非受体酪氨酸Janus相关激酶JAK1、JAK2、JAK3和TYK2活性，**阻断JAK-STAT信号传导通路**

减少炎症、缩小脾脏、改善症状²：

抑制 STAT 蛋白的转录调控活性，缓解炎症和脾大症状，抑制相关疾病的发生和发展

抑制激活素受体1 (ACVR1) 活性，下调铁调素转录，提高功能性铁水平

改善贫血症状及对输血的依赖¹：

提高血液中的铁和Hb含量，促进红细胞的生成，改善贫血状况和输血依赖

1. 中国临床肿瘤学会 (CSCO) 白血病专业委员会. 吉卡昔替尼治疗骨髓纤维化临床应用指导原则 (2025年版) [J]. 白血病淋巴瘤, 2025, 34 (4): 193-200. DOI: 10.3760/cma.j.cn115356-20250305-00030.
2. 张仪, 周虎, 肖志坚, 等. 盐酸吉卡昔替尼片在骨髓纤维化治疗中的应用 [J]. 白血病淋巴瘤, 2024, 33 (7): 392-398. DOI: 10.3760/cma.j.cn115356-20240421-00054

中国自主研发多靶点抑制剂，兼顾治疗与改善贫血，弥补目录短板； 升级替换目录药品，节约医保基金

弥补医保目录短板

- 多重作用机制，兼顾疗效与改善贫血的临床治疗需求
- 解决在芦可替尼治疗失败或不可耐受后，患者面临无药可选问题，弥补目录短板

符合“保基本”原则

- 国内自主研发，实现国产升级替代，稳定供应
- 优效替代医保目录内现有治疗药物，不额外占用医保基金，降低芦可替尼耐药后预后不良带来的医疗资源消耗，节约基金总体支出

提升公共健康水平

- 中国MF患者合并贫血比例高，经济负担重，因芦可替尼治疗导致贫血加重，对患者更是雪上加霜
- 减少患者长期输血导致输血相关性反应、病毒传播等风险，降低血源紧张压力

临床管理难度低

- 适应症明确，指南推荐清晰，无滥用风险
- 临床有同适应症药物治疗经验，管理难度低

建议以芦可替尼为参照药品，医保价值评级为“改进”

吉卡昔替尼是国内首个自主研发的新型多靶点抑制剂，兼顾MF治疗与改善贫血、降低输血依赖，填补临床空白，实现国产优效替代

- **填补空白**：唯一可兼顾罕见病骨髓纤维化治疗与贫血改善的药物，解决临床在芦可替尼治疗失败或不可耐受后，患者面临无药可选的问题
- **多重获益**：有效控制疾病进程，显著改善临床症状，特别是缩脾和改善贫血疗效突出，从而明显延长生存，提高生命质量
- **创新机制**：JAK、ACVR1等多靶点抑制剂，十三五国家新药创制重大专项支持，国产1类新药
- **节约基金**：获批适应症数量更少，减少贫血相关合并用药，节约医保基金