

# 2024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	2024-07-11 23:51:37	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2019年1月1日至2024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。
- 2.2019年1月1日至2024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通用名药品。
- 3.2024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。
- 4.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入卫生健康委等部门《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》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。
- 5.2024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卫生健康委《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
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】。本品为临床急需品种，基于境外一项单臂临床试验的缓解率以及中国受试者药代动力学数据获得附条件批准上市，治疗中国患者的有效性和安全性尚待上市后进一步确证。		
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	我国白血病患者年新发约81900例，其中59%为AML患者；约62.5%的患者为复发/难治性(R/R)AML；IDH1基因突变患者约占6-10%；因此，适合艾伏尼布治疗的IDH1突变的R/R AML患者人数有限。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%；常规治疗对IDH1突变的患者效果较差，CR和OS显著低于野生型患者，亟需精准靶向治疗。		
中国大陆首次上市时间	2022-01	注册号/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	目前除艾伏尼布片外，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。维奈克拉片在中国获批适应症为“本品与阿扎胞苷联合用于治疗因合并症不适合接受强诱导化疗或者年龄75岁及以上的新诊断的成人急性髓系白血病患者”，于2022年谈判进入医保，医保目录适应症为“限成人急性髓系白血病患者”；富马酸吉瑞替尼片在中国获批适应症为“本品用于治疗采用经充分验证的检测方法检测到携带FMS样酪氨酸激酶3（FLT3）突变的复发性或难治性急性髓系白血病（AML）成人患者”，尚未进入医保目录。艾伏尼布片是国内首个且唯一获批的IDH1抑制剂，是IDH1突变的R/R AML患者唯一可用的精准靶向疗法。艾伏尼布片能够持续缓解（CR：36.7%，CR患者中位持续缓解时间为19.7m）、延长生存（OS：9.1m）、摆脱输血依赖（50%基线依赖输血的患者脱离输血），有助于患者提高生活质量，减轻疾病负担。		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-1企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 1-2最新版说明书.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补充注册、再注册批准证明文件，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（含经济性/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（不含经济性/价格费用信息）将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		



# 中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

## 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。
  - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m<sup>2</sup>。
  - 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) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额(元)
维奈克拉片	是	100mg*14片	1645	与阿扎胞苷联用，一日一次，每个疗程28天；第1个疗程第1天100m	年度费用	-	234108

g，第2  
天200  
mg，第  
3天400  
mg，第  
4天及以  
后400  
mg

参照药品选择理由：①目录内唯一治疗急性髓系白血病的靶向药物；②作为泛靶点药物，指南推荐维奈克拉联合阿扎胞苷可用于IDH1突变的R/R AML患者；③临床应用广泛。

其他情况请说明：维奈克拉片获批适应症为与阿扎胞苷联用，故年治疗费用以联用方案计算，阿扎胞苷年治疗费用以全国集采最高中选价计算。

## 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 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%的患者摆脱血小板和红细胞输注。≥3级治疗相关的不良事件发生率低。
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）	<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mIDH1 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%基线依赖输血的患者脱离输血，未发现非预期的不良事件。艾伏尼布在中国mIDH1 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）	<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 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%的患者摆脱血小板和红细胞输注。≥3级治疗相关的不良事件发生率低。
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）	<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mIDH1 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%基线依赖输血的患者脱离输血，未发现非预期的不良事件。艾伏尼布在中国mIDH1 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）	<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

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》（2024版）推荐①IDH1突变复发难治AML(无论早期复发者还是晚期复发者)使用艾伏尼布(II级推荐)；② < 60岁有IDH1突变的AML患者使用IDH抑制剂；③ ≥60岁有IDH1突变新诊断AML(非APL) 患者使用艾伏尼布 (I级推荐)作为诱导缓解治疗。
----------------	---

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-1CSCO指南.pdf
---	--

临床指南/诊疗规范推荐情况2	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）》推荐IDH1突变阳性复发AML患者接受艾伏尼布治疗；可联合去甲基化药物（证据等级2a），或者维奈克拉联合艾伏尼布±阿扎胞苷。
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-2中华医学会指南.pdf
---	---

临床指南/诊疗规范推荐情况3	中国抗癌协会《白血病》指南（2022版）推荐①艾伏尼布±去甲基化药物用于IDH1突变复发难治AML；② ≥60-75岁、IDH1突变适合强化疗的新诊断AML患者使用艾伏尼布联合阿扎胞苷作为诱导治疗。
----------------	---

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-3白血病指南.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）临床实践指南：急性髓系白血病（2024.V3）推荐①IDH1突变复发AML患者使用艾伏尼布；② 不耐受强诱导化疗及其诱导缓解后的IDH1突变AML的患者优先选择艾伏尼布联合阿扎胞苷(I类)或艾伏尼布(其他推荐)。
----------------	--

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-4NCCN指南.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》（2024版）推荐①IDH1突变复发难治AML(无论早期复发者还是晚期复发者)使用艾伏尼布(II级推荐)；② < 60岁有IDH1突变的AML患者使用IDH抑制剂；③ ≥60岁有IDH1突变新诊断AML(非APL) 患者使用艾伏尼布 (I级推荐)作为诱导缓解治疗。
----------------	---

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-1CSCO指南.pdf
---	--

临床指南/诊疗规范推荐情况2	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）》推荐IDH1突变阳性复发AML患者接受艾伏尼布治疗；可联合去甲基化药物（证据等级2a），或者维奈克拉联合艾伏尼布±阿扎胞苷。
----------------	--

复发AML患者接受艾伏尼布治疗；可联合去甲基化药物（证据等级2a），或有继发克隆性艾伏尼布耐药患者。

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-2中华医学会指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	中国抗癌协会《白血病》指南（2022版）推荐①艾伏尼布±去甲基化药物用于IDH1突变复发难治AML；②≥60-75岁、IDH1突变适合强化疗的新诊断AML患者使用艾伏尼布联合阿扎胞苷作为诱导治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2-3白血病指南.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）临床实践指南：急性髓系白血病（2024.V3）推荐①IDH1突变复发AML患者使用艾伏尼布；②不耐受强诱导化疗及其诱导缓解后的IDH1突变AML的患者优先选择艾伏尼布联合阿扎胞苷(I类)或艾伏尼布(其他推荐)。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<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	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/R AML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HSCT，38.9%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。
《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	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/R AML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HSCT，38.9%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。
《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，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治疗。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。</p>
---------------	---

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	本品自2022年在中国上市后，总体安全性可控。公司已建立了完善的药物警戒规章制度和质量体系。《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。基于临床研究（AG120-C-001）安全性数据，3级或以上治疗相关不良反应发生率为20.7%，3%的受试者发生了导致研究药物剂量减少的TEAE，13%的受试者发生了导致永久终止研究药物治疗的TEAE。所有患者均发生了至少1次TEAE，其中大多数严重程度为1级或2级；最常报告的TEAE、≥3级TEAE、研究药物相关的TEAE和严重TEAE多为与晚期恶性血液病相关的并发症。多数研究药物相关的TEAE经对症治疗和/或剂量调整通常可控。中国桥接研究的安全性数据与全球临床试验结果大致相符。在说明书中有关于分化综合征的黑框警告，该不良反应在境外临床研究发生率为5.0%（≥3级），中国桥接研究中，3例患者发生了分化综合征（所有级别），但无论境外研究还是中国桥接研究均没有IDH-DS导致剂量减少、永久性治疗中断或死亡的情况。
相关报导文献	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3-2不良反应情况.pdf

#### 四、创新性信息

创新程度	①艾伏尼布片是国内首个且唯一获批的IDH1抑制剂，是IDH1突变的R/R AML患者唯一可用的精准靶向疗法；②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%，有效降低原始细胞数量；③艾伏尼布片在中国被纳入临床急需境外新药名单，在美国获得快速通道、优先审评和孤儿药资格认定。
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；②艾伏尼布片能减少患者对输血的依赖，感染发生率低，提升患者生活质量，降低医疗资源使用。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 4-2应用创新.pdf
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	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%，疾病负担沉重，艾伏尼布片是国内首个且唯一获批的IDH1抑制剂，可延长患者生存期，助力实现健康中国2030。
符合“保基本”原则描述	艾伏尼布片是IDH1突变的R/R AML患者唯一可用的精准靶向疗法，适应症患者人群小，对医保基金影响有限可控。
弥补目录短板描述	目录内尚无治疗IDH1突变的R/R AML靶向药物，艾伏尼布片获得国内外权威指南一致推荐，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，疾病诊断标准明确，指南推荐清晰，适应症范围及使用人群精准，无临床滥用和超说明书使用风险；②口服用药，固定剂量，适合医疗机构和双通道的管理。