



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

重组人血小板生成素注射液

(特比澳®) 申请续约新增适应症

适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳但未接受脾切除治疗的 **6岁及以上儿童慢性原发性免疫性血小板减少症** 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 (1/3)

药品基本信息¹

【通用名】 重组人血小板生成素注射液

【注册规格】 7500U/1ml, 15000U/1ml

【新增适应症】

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但未接受脾切除治疗的**6岁及以上儿童慢性原发免疫性血小板减少症 (ITP)** 患者，使血小板计数升高并减少或防止出血。

【用法用量】

糖皮质激素治疗≥6岁儿童及成人原发免疫性血小板减少症患者 (ITP) 无效时可皮下注射本品，**剂量为每日每公斤体重300U，每日一次，连续应用14天**；若不足14天血小板计数已经升至 $\geq 100 \times 10^9/L$ 时则停止使用本品。

【新增适应症获批时间】 **2024/4**

药品基本信息¹

【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】 2005/5, 中国

【是否为OTC药品】 否

【药品注册分类】 治疗用生物制品2.2类

【中国大陆首次上市时间】 2005/5

参照药品

【建议参照药品】 **艾曲泊帕乙醇胺片**

【参照药品选择理由】

- ①适应症一致，均适用儿童慢性ITP
- ②艾曲泊帕临床使用广泛
- ③医保目录内药品



药品基本信息 (2/3)

疾病基本情况

儿童发病率高

- 儿童发病率约为**1.6~5.3/10万**¹

出血风险高

- 严重出血发生率约为**9.5%**²
- 儿童ITP患者严重出血发生率高于成人³

疾病负担重

- **20%~25%**⁴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

- 一线治疗以糖皮质激素为主，易出现**骨质疏松、股骨头坏死等不良反应**
- 二线治疗常用血小板生成素受体激动剂 (TPO-RA)，易造成**严重肝损伤**
- 促血小板生成药物 (rhTPO) 皮下注射，**起效快，不良反应少且轻微**



药品基本信息 (3/3)

与艾曲泊帕相比，安全性更高、起效更快、患儿可及性更高

皮下注射，无肝毒性

不良反应	重组人血小板生成素	艾曲泊帕乙醇胺片
肝脏毒性	无	FDA黑框警告²
药物相互作用风险	尚不清楚 ¹	177种药物³

迅速起效，使用便利

- 能**快速升高**血小板，降低患儿出血风险，有助于患儿尽快**摆脱出血风险区**
- 使用便利，**无需考虑用药与食物的间隔**，对呕吐、反胃的患儿更为友好

广泛进院，可及性高

- 已覆盖市县数量超**1500**个，覆盖终端数量超**18000**个，确保患儿**用药可及**



安全性

重组人血小板生成素注射液不良反应轻微，上市19年安全性经充分验证

说明书记载的安全性信息¹

- 在 ≥ 6 岁儿童ITP的Ⅲ期临床试验中，**未报告严重不良反应**。rhTPO的不良反应较少且轻微，不良反应**发生率与安慰剂相当**

药品不良反应监测情况

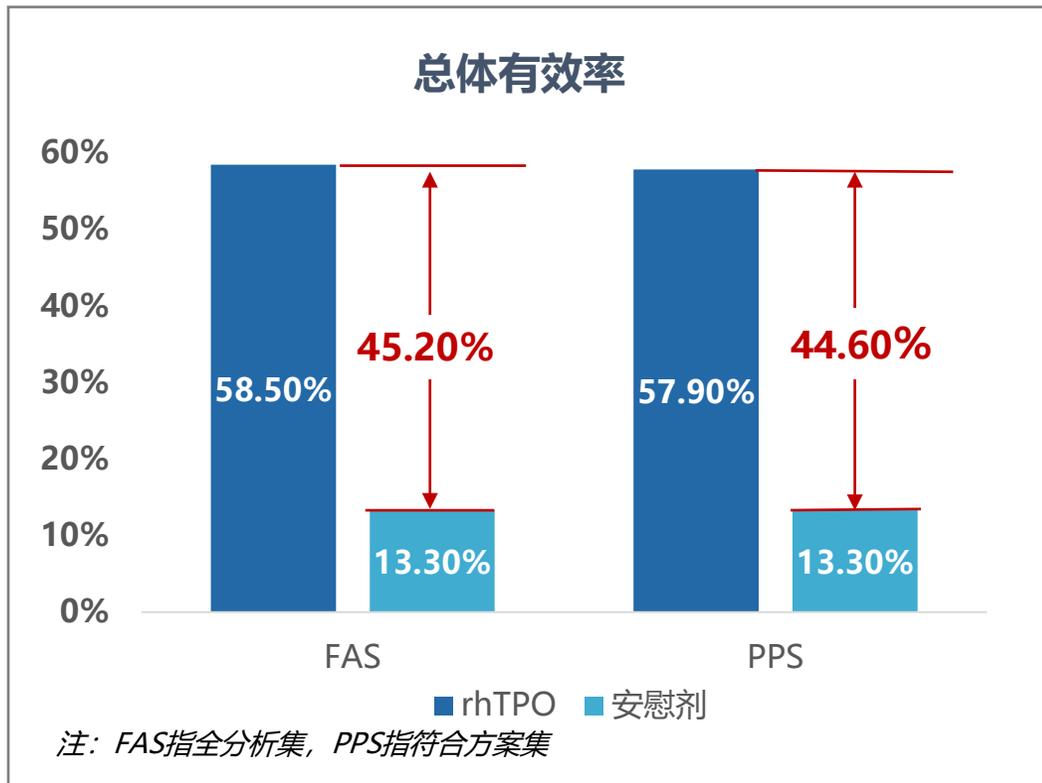
- 未收到**相关药监部门发布的安全性警告、黑框警告、撤市信息



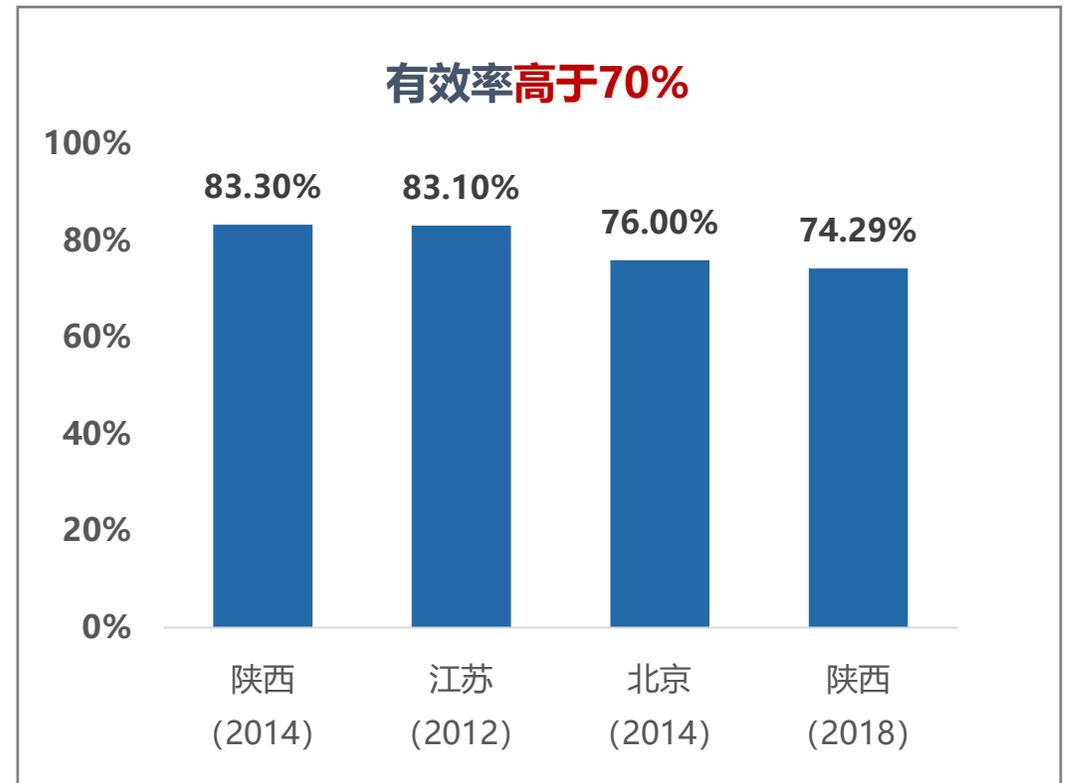
有效性 (1/2)

III期临床试验有效率高，多地回顾性研究验证卓越疗效

① III期临床试验疗效显著，有效率高¹



②多地回顾性临床研究验证疗效²⁻⁵



数据来源：1. 重组人血小板生成素注射液说明书；2. 王永初等. 中国实用儿科杂志,2012,27 (12) : 942-943.; 3. 郑杰等. 中国实验血液学杂志,2014,22 (2) : 393-398.; 4. 高文瑾等. 吉林医学,2014,35 (20) : 4459-4460.; 5. 王华等. 中国妇幼健康研究,2018,29 (12) : 1585-1588.



有效性 (2/2)

获得儿童ITP权威指南多年一致推荐

儿童ITP临床指南**推荐**¹⁻³

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)

建议选择促血小板生成类药物**常规二线治疗**
(I b级证据, A级推荐)

儿童原发性免疫性血小板减少症诊疗规范
(2019)

二线ITP治疗**首选药物**。重组人血小板生成素
(rhTPO) : 剂量300 IU/(kg·d), 皮下注射

儿童原发性免疫性血小板减少症诊疗建议
(2013)

推荐用于儿童ITP的**二线治疗**



创新性

三生制药**自主研发**，全球独家上市国家一类新药，三次获得国家863计划支持

机制创新：

- **全球唯一**商业化重组人血小板生成素，与内源性TPO结构一致，具有临床有效性与安全性
- **唯一**拥有全程激活胞内**通路**能力，**唯一**对于巨核细胞有全程**作用**能力，**唯一**对于巨核细胞有全程**保护**能力



临床更安全

应用创新：

- 国内**唯一获批**儿童ITP适应症的rhTPO类药物，新增6岁及以上**儿童ITP**适应症，为临床提供新的治疗方案
- 皮下注射，起效快，避免胃肠吸收影响，适用于出血较重患儿



治疗更有效



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
- 提供了新的治疗选择，提升患儿及其家属生活质量

符合“保基本”原则

- 是**唯一获批**用于治疗儿童ITP的rhTPO类药物，**不良反应少且轻**，可满足患儿用药需求
- 中国儿童ITP指南推荐**首选二线治疗**药物，用药患儿**人群小**，对医保**基金影响有限且可控**

弥补目录短板

- 目录内儿童ITP二线治疗**方案有限**，可提供新且可靠的**首选治疗方案**，弥补目录内儿童二线ITP治疗的单一性，**增加临床用药选择**
- 皮下注射**起效迅速**，可为**出血较重**患儿提供有效方案

临床管理难度

- 儿童ITP临床诊断路径清晰，治疗方案与流程明确，**易于经办审核**，临床**滥用风险低**



重组人血小板生成素注射液(特比澳[®])总结

- ✓ **安全性高**：无肝脏毒性，不良反应轻微，患儿用药风险小
- ✓ **起效迅速**：皮下注射，快速升高血小板，降低患儿出血风险
- ✓ **可及性高**：特比澳[®]临床应用多年，进院率高，患儿易于获药