



# 戈利昔替尼胶囊（高瑞哲®）

全球首个且唯一靶向JAK-STAT通路治疗PTCL的药物

深缓解、长生存、广获益

迪哲（江苏）医药股份有限公司



1

基本信息

本土自主研发 I 类新药，打破外周T细胞淋巴瘤**全球10年无创新药**困局

---

2

有效性

深缓解、长生存、广获益，**填补外周T细胞淋巴瘤多个亚型的治疗空白**

---

3

安全性

**停药率低**，对比现有治疗患者耐受性更好

---

4

创新性

**全球首个且唯一**靶向JAK-STAT通路治疗外周T细胞淋巴瘤的药物

---

5

公平性

目录内**尚缺乏**为外周T细胞淋巴瘤**各亚型**带来全面获益的药物

# 基本信息(1/3): 戈利昔替尼胶囊, 全球首创, 中国首发

## 基本信息

有效性

安全性

创新性

公平性

通用名	戈利昔替尼胶囊	注册分类	化学药品1类
注册规格	0.15g		
适应症	适用于既往至少接受过一线系统性治疗的复发或难治的外周T细胞淋巴瘤 (r/r PTCL) 成人患者		
用法用量	推荐剂量为150mg/次, 每日口服一次, 直至疾病进展或出现无法耐受的不良反应		
中国大陆首次上市时间	2024年6月18日	目前大陆地区同通用名药品的上市情况	无
全球首次上市国家及上市时间	中国, 2024年6月18日	是否为OTC药品	否
海外上市计划	即将在美国和欧盟申报上市		

## 参照药品选择：西达本胺

参照药品选择依据：

1. 相似程度高	①适应症一致	同为 <b>既往至少接受过一次系统性治疗的复发难治性外周T细胞淋巴瘤 (PTCL)</b>
	②给药途径一致	医保目录内同适应症药物中 <b>唯一</b> 口服给药
2. 标准治疗药物		西达本胺为CSCO指南 <b>唯一 I 级1A类推荐</b> ，临床应用 <b>最为广泛</b> （使用比例超过40%*）
3. III期临床试验对照		西达本胺为中国III期临床试验的 <b>阳性对照药品</b>

基本信息

有效性

安全性

创新性

公平性

## 基本信息

有效性

安全性

创新性

公平性

## 恶性程度极高

- ✓ 生存率低：复发难治性PTCL侵袭性强，恶性程度极高

**5.8** 个月 中位生存期<sup>[1]</sup>

**23%** 3年生存率<sup>[1]</sup>

- ✓ 发病率低：药物研发动力不足，领域治疗进展缓慢

**~1** 万人 中国每年新发复发难治性PTCL患者数<sup>[2]</sup>

## 治疗选择少而差

- ✓ 化疗以外的药物仅有西达本胺

化疗	传统化疗	ICE, DHAP, GDP等
靶向药	HDAC抑制剂	西达本胺 (1类)

- ✓ 现有药物治疗效果不佳
  - 有效率低：西达本胺ORR仅为28%<sup>[3]</sup>
  - 生存期短：西达本胺中位PFS仅为2.1月，中位OS仅为21.4月<sup>[3]</sup>
  - 安全性差：现有药物停药率高达16.9%<sup>[3]</sup>，患者难以持续安全治疗

# 有效性(1/3): 更深缓解、更长生存

基本信息

有效性

安全性

创新性

公平性

	西达本胺 [1]	戈利昔替尼 [2]
试验类型	中国, II期单臂	全球, II期单臂
患者既往治疗 (系统治疗除外)	NA	西达本胺 50% 维布妥昔单抗 10%
给药途径	口服	口服
客观缓解率(ORR)	28%	44.3% ↑ +58%
完全缓解率(CRR)	14%	23.9% ↑ +71%
缓解持续时间(DoR), 月	9.9	20.7 ↑ +109%
中位PFS, 月	2.1	5.6 ↑ +167%
中位OS, 月	21.4 (真实世界15.1)	24.3 ↑ +14-61%

患者入组  
基线更差

- ✓ 全球多中心临床试验, 刊登在顶级国际期刊《柳叶刀·肿瘤学》(影响因子: 54.4)
- ✓ 即使患者入组基线更差, 与其他治疗方案相比戈利昔替尼的所有临床疗效指标均更优

# 有效性(2/3): 广获益, 填补PTCL多个亚型的治疗空白

基本信息

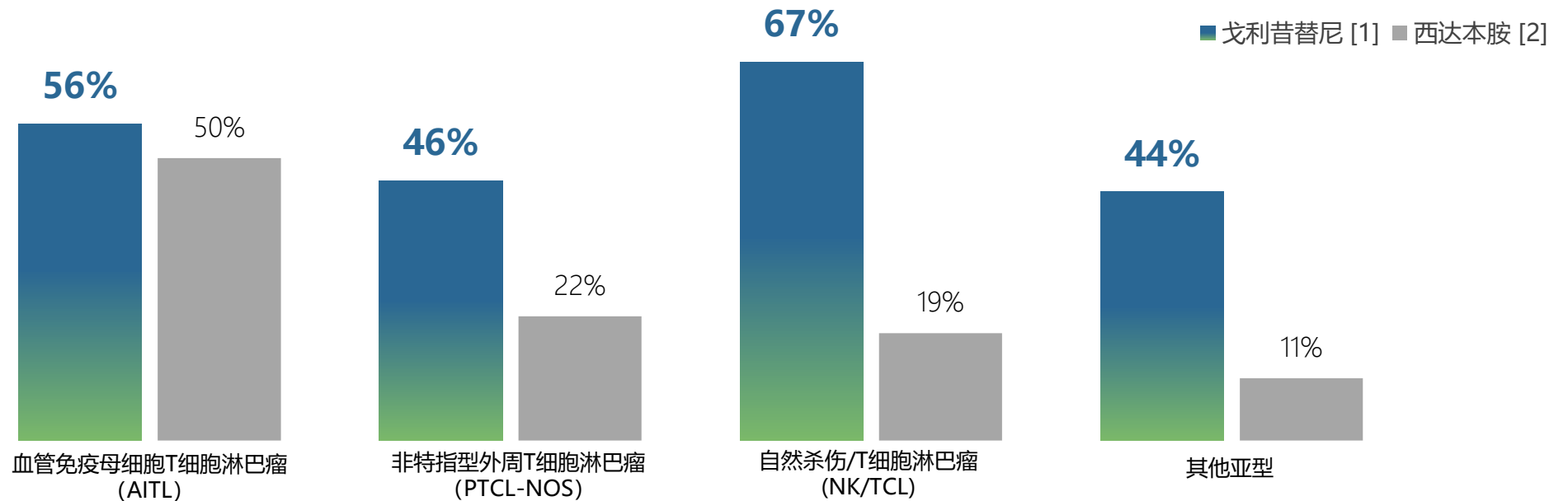
有效性

安全性

创新性

公平性

### 不同亚型PTCL的客观缓解率



- ✓ 对于PTCL-NOS等大多数尚无有效治疗手段的亚型, 戈利昔替尼疗效优异
- ✓ 西达本胺仅针对AITL亚型(仅占12.4%)有较好疗效, 戈利昔替尼治疗AITL的疗效更优

# 有效性(3/3): 创造治愈的可能, 获批前即被指南推荐

基本信息

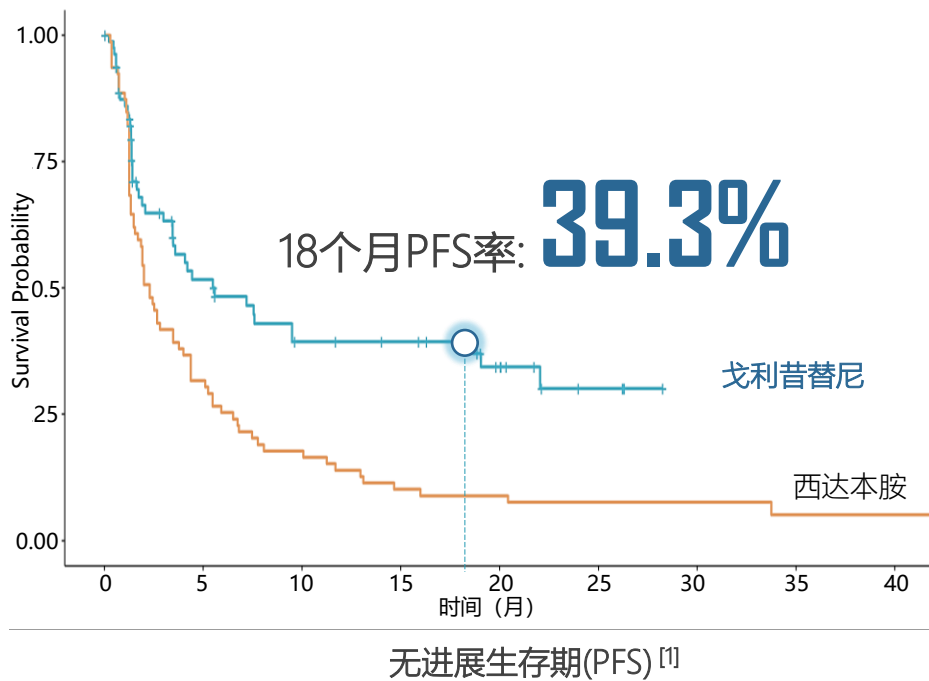
有效性

安全性

创新性

公平性

- ✓ 戈利昔替尼的PFS存在“拖尾效应”，18个月的PFS率接近40%，为患者创造治愈的可能



- ✓ 戈利昔替尼在2024年6月获批上市，在4月份即因突破性的疗效，破格获得《CSCO淋巴瘤诊疗指南(2024)》推荐 (II级)

2024年4月 ○ CSCO指南破格推荐



2024年6月 ○ NMPA获批





# 安全性：停药率仅有7.3%，总体耐受性更好

基本信息

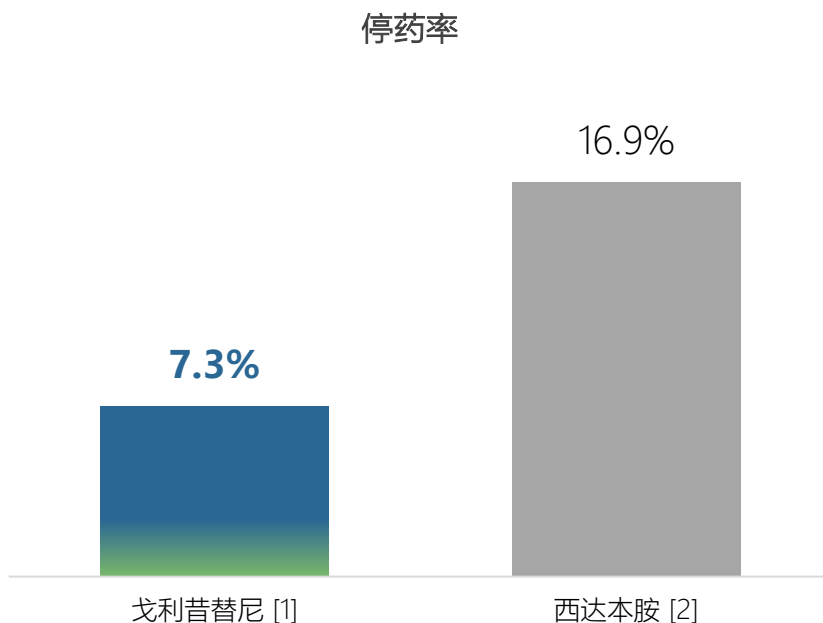
有效性

安全性

创新性

公平性

## ✓ 与西达本胺相比，患者的耐受性更好



## ✓ 整体安全性良好，不良事件可控易管理

- 主要为血液学不良反应，不良反应发生谱与其他血液肿瘤药物类似，临床已有丰富处理经验
- 适用于特殊人群，轻度肝功能不全、轻中度肾功能不全及老年患者无需调整剂量
- 药物相互作用风险低，与胃酸抑制剂、CYP3A4敏感底物(如辛伐他汀、咪达唑仑)、BCRP底物(如瑞舒伐他汀)等均可联合使用

# 创新性: 开创新机制, 破解“全球10年无创新药”困局

基本信息

创新分子结构,  
全球首个且唯一  
靶向JAK-STAT通路治疗PTCL的新药

本土自主研发1类新药  
完全自主知识产权  
CDE优先审评, 中国首发上市

FDA “快速通道认定”  
和“孤儿药资格认定”

有效性

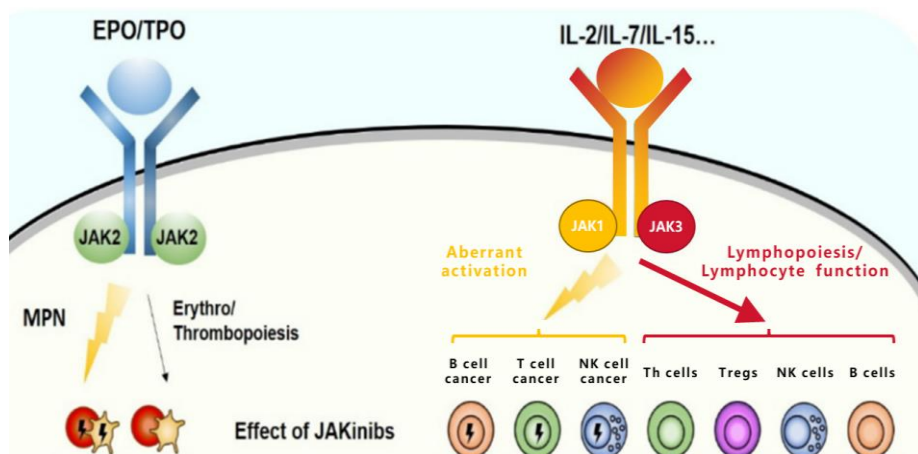
安全性

创新性

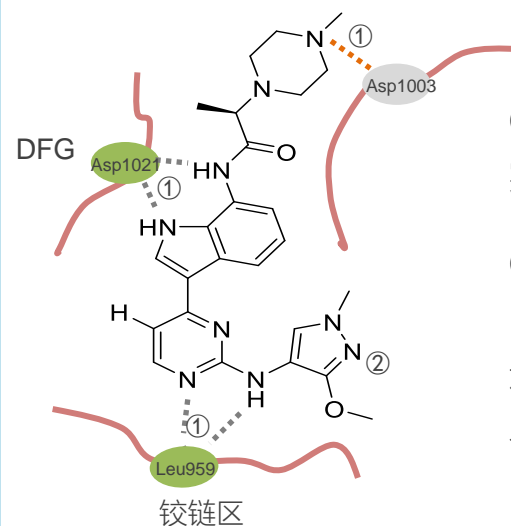
公平性

## ✓ 新机制—实现全亚型覆盖

### JAK-STAT通路



## ✓ 新结构—实现对肿瘤持续强抑制



①: 独特的“两氢键—盐桥”  
实现对JAK1的**高选择性**

①&②: 引入吡唑和哌嗪基  
团, 使戈利昔替尼**半衰期长**  
达约50小时(其他JAK抑制剂仅  
为数小时)

红色线示意JAK1激酶ATP结合口袋的重要组成部分; 绿色圆示意与戈利昔替尼形成氢键的JAK1氨基酸残基; 灰色圆示意与戈利昔替尼形成盐桥的JAK1氨基酸残基

基本信息

有效性

安全性

创新性

公平性



## 对公共健康的影响

- ✓ 戈利昔替尼显著**延长患者生存**，提升整体健康水平
- ✓ 更高的完全缓解率和缓解持续时间，为更多患者**创造治愈的可能**，回归生活与工作



## 符合“保基本”原则

- ✓ 戈利昔替尼可覆盖所有亚型，**让不同PTCL亚型患者均有药可治**，纳入医保目录后将**替代**目录内PTCL治疗药物的使用
- ✓ 复发难治性PTCL人群数量较少，**对医保基金影响小**



## 弥补目录短板

- ✓ 目录已覆盖众多B细胞淋巴瘤治疗药物，戈利昔替尼纳入医保可**提升T细胞淋巴瘤患者药物选择的公平性**



## 便于临床管理

- ✓ **一天一次，一次一粒口服**，临床易管理
- ✓ **无需按照体重或体表面积给药**，降低医保经办难度