

施维雅获得拓舒沃®大中华区及新加坡商业化权益 推进急性髓系白血病（AML）治疗，加磅落实肿瘤治疗 领域发展蓝图

中国北京，2023年12月21日——全球独立制药集团施维雅（Servier）今日宣布与基石药业（CStone）达成一项协议。根据协议，施维雅从基石药业获得在大中华区（中国内地、香港、澳门及台湾地区）和新加坡开发和商业化拓舒沃®（艾伏尼布片）的独家权利。在中国，拓舒沃®已获批上市，用于治疗携带 IDH1 易感突变的复发或难治性急性髓系白血病（AML）成人患者。

拓舒沃®是目前首个且唯一获批治疗携带 IDH1 易感突变的复发或难治性 AML 成人患者的靶向疗法。拓舒沃®于 2013 年 12 月获得 FDA 快速通道认定，2015 年 6 月获得孤儿药资格认定（ODD），2018 年 7 月首次获得 FDA 批准。¹在中国，基于迫切的临床需求，拓舒沃®被纳入“临床急需境外新药名单（第三批）”。2022 年 1 月，拓舒沃®通过优先审评审批程序附条件获得中国国家药品监督管理局（NMPA）批准。

AML 是一种进展迅速的血液和骨髓癌症。在全球临床实践中，老年和复发或难治性患者的预后较差，且治疗方案有限。伴随着人口老龄化，中国 AML 发病率呈逐年上升趋势。据估计，中国每年有 4.5 万 AML 新发病例。²AML 在每年癌症新发病例中的占比为 1%，在白血病新发病例中的占比约为一半，每年导致 2.2 万人死亡。³

天津血液学研究所王建祥教授表示：“急性髓系白血病患者容易复发，且对后续其他线的治疗反应欠佳，因此改善预后已成为当务之急。我欣喜地看到，拓舒沃®在 AML 治疗领域实现重大突破，且已被证实是一种能够满足临床迫切需求的出色治疗方案。我们有理由相信，未来几年内，拓舒沃®将惠及更多中国 AML 患者。”

拓舒沃®的疗效评估基于一项单臂临床试验中 174 名携带 IDH1 突变的复发或难治性 AML 成人患者的数据。该试验评估中位随访时间为 8.3 个月，其中，32.8%的患者在 8.2 个月的中位持续时间达到了完全缓解或部分血液学恢复的完全缓解（CR 或 CRh）。在试验开始时因罹患 AML 而需要输血或血小板的 110 名患者中，37%的患者在接受拓舒沃®治疗后至少 56 天不再依赖输血。⁴

¹ FDA News Release: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-targeted-treatment-patients-relapsed-or-refractory-acute-myeloid-leukemia-who>

² 根据国家癌症中心《2016 年中国癌症发病率和死亡率》统计数据

³ 李雅,陈瑜,李军民.老年急性髓系白血病的治疗进展[J].内科理论与实践,2019,14(06): 391-394.

⁴ 新英格兰医学杂志, 2018 年, 378 (25): 2386-2398

作为一种新型靶向疗法，拓舒沃®的作用机制与传统化疗不同，它为患者提供了一种创新治疗选择，可延长患者生存期并改善患者生活质量。自 2022 年获批在中国大陆上市以来，拓舒沃®已面向全国近 80 家医院和院外 DTP 药房供药，并已被纳入约 100 个城市的商业保险计划。此外，拓舒沃®指定患者药物使用计划（NPP）已在中国香港特别行政区、中国台湾地区和新加坡实施。

施维雅中国区总经理 Manuel RUIZ 表示：“我们对于将拓舒沃®纳入施维雅中国的产品管线感到骄傲和兴奋。作为首个且唯一获批的靶向疗法，拓舒沃®将为携带 IDH1 突变的复发或难治性急性髓系白血病（AML）患者带来新的解决方案，强化施维雅在 IDH1 突变方面的领先优势，并进一步夯实我们为中国难治性癌症患者提供创新治疗方案的承诺。”

###

关于拓舒沃®（艾伏尼布片）

拓舒沃®是一种针对 IDH1 突变酶的口服靶向抑制剂。拓舒沃®已经获得中国国家药品监督管理局批准，用于治疗携带 IDH1 易感突变的复发或难治性急性髓系白血病成人患者。

目前，拓舒沃®已在美国获批，用于单药治疗携带异柠檬酸脱氢酶 1（IDH1）突变的复发或难治性 AML 成人患者，以及经 FDA 批准的试验检测出的新诊断携带 IDH1 突变的 AML 成人患者（年龄≥75 岁或伴有合并症无法接受强化诱导化疗的患者）。2021 年，拓舒沃®成为目前首个且唯一获准的靶向疗法，用于治疗既往接受过治疗的、经 FDA 批准的试验检测出的携带 IDH1 突变的局部晚期或转移性胆管癌成人患者。2023 年，美国 FDA 批准拓舒沃®联合阿扎胞苷用于治疗 IDH1 易感突变的复发或难治性骨髓增生异常综合征（MDS）成人患者。

拓舒沃®在欧洲获批作为两项适应症的靶向治疗药物：联合阿扎胞苷用于治疗携带 IDH1 R132 突变的不适合接受标准诱导化疗的新诊断的 AML 成人患者；以及单药治疗已接受过至少一种系统疗法的携带 IDH1 R132 突变的局部晚期或转移性胆管癌成人患者。

施维雅拥有拓舒沃®在全球范围内的所有权利。

关于急性髓系白血病

急性髓系白血病（AML）是一种罕见疾病，主要发生在老年群体。AML 是一种血液和骨髓癌症，如不及时治疗，病情会迅速恶化。

AML 是成人急性白血病中最常见的类型，欧洲年发病率约为 5/100,000 人，即每年有超过 2 万例新发病例⁵。75 岁患者的两年生存率低于 10%⁶。

在中国，AML 在每年新诊断癌症病例中占 1%，约占所有白血病诊断病例的一半，每年导致 22000 人死亡。⁷

根据中国国家癌症中心发布的《2022 年全国癌症报告》，2000-2016 年期间，白血病是中国男性发病率呈上升趋势的三大癌症之一，仅次于前列腺癌和结直肠癌⁸。统计数据显示，中国每年约有 8 万例白血病新发患者⁹。AML 发病率随着年龄的增长而增加，可能影响各个年龄段人群。AML 发病快、进展快、生存率低。平均发病年龄为 68 岁，45 岁以下人群少见，可能见于儿童¹⁰。

这种癌症由一种未成熟细胞的异常增殖导致，这些细胞没有完全发育，因此无法发挥其正常作用。这些癌细胞存在于血液中，因此被称为“白血病”；而因为它们起源于骨髓，因此被称为“髓系”。骨髓是人体骨骼中的一种组织，是产生血细胞（称为“母细胞”）的重要组织。

关于施维雅中国

施维雅是一家由基金会管理的全球性制药集团，以服务人类健康为宗旨，期望为患者和世界可持续发展带来意义深远的社会影响。作为首批进入中国的跨国制药企业之一，施维雅已深耕中国市场 45 年。经过几十年的积累沉淀，施维雅中国已经成为一家充满活力的公司，在心血管疾病、糖尿病、静脉疾病管理方面居于领先地位的同时，积极拓展肿瘤学领域，如结直肠癌、胶质瘤和液体肿瘤。施维雅致力于为更多中国患者提供靶向治疗药物和解决方案。施维雅中国总部位于北京，拥有一支超过 1000 人的强大专业团队。

欲了解更多信息，请访问 servier.com.cn

施维雅中国联系：communication-cn@servier.com

⁵ ESMO Guidelines 2020 - Acute myeloid leukemia in adult patients: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up

⁶ National Cancer Institute. Surveillance, Epidemiology, and End Results (SEER) Program. Cancer Stat Facts: Acute Myeloid Leukemia (AML). <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/amyl.html>

⁷ 李雅,陈瑜,李军民.老年急性髓系白血病的治疗进展[J].内科理论与实践,2019,14(06): 391-394.

⁸ By National Cancer Center, 2022 National Cancer Report (phirda.com)

⁹ GLOBOCAN Cancer Today Database, International Agency for Research on Cancer, World Health Organisation. Population Fact Sheets in 2018. Available at: <http://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/populations/160-china-factsheets.pdf>. Last accessed March 2020.

¹⁰ <https://www.cancer.org/cancer/acute-myeloid-leukemia/about/key-statist>