

## 新药速递

2024年7月5日,由药华医药自主研发用于治疗真性红细胞增多症(Polycythemia Vera, PV)的罗培干扰素(百斯锐明®)正式获得国家药品监督管理局(NMPA)批准,并且适应症已被列入国家《第二批罕见病目录》。这是全球首个也是唯一一个获批用于真性红细胞增多症的干扰素,填补了PV治疗领域的空白。

罗培干扰素(百斯锐明®)采用全球特异性专利技术,是单一异构体超长效干扰素,纯度高,因此可采用目标剂量500μg持续用药,且耐受性良好。经过多项临床研究显示,罗培干扰素可快速有效的控制血细胞的过度增殖、并显著降低致病基因的突变负荷,从而有效降低血栓栓塞并发症及其所导致的死亡风险[1]。

中国PV患者经过1年治疗的血液学完全缓解率达71.43%,并有91.3%患者呈现JAK2基因负荷下降,最高降幅80.7%,2位患者的JAK2基因负荷降低至检测限以下,实现了深度的分子学缓解,这为进一步探索治愈和最终实现治愈提供了扎实的研究基础[2]。

真性红细胞增多症(PV)是造血干细胞恶性肿瘤,JAK2基因突变在PV发病过程中扮演重要作用。PV主要特征为红细胞过度增殖,可伴有白细胞,血小板过度增殖,通常伴肝、脾肿大,血栓栓塞与出血的形成。疾病可以进展为骨髓纤维化(MF),或转化为急性髓系白血病(AML),严重危害患者生命[3]。既往的治疗方案多为临床经验用药,均未经过系统的临床研究验证,罗培干扰素是唯一一个经过长达7.5年临床研究验证并获得全球多个国家和地区监管机构批准用于PV治疗的干扰素,截至目前,已获得40多个国家和地区的上市许可。

罗培干扰素最早于2019年在欧洲上市、2021年美国上市,并获得美国FDA三个第一的高度认可和2024年NCCN指南的优先推荐[4]:

- ◆ 罗培干扰素是FDA批准的首选PV治疗药物;
- ◆ 罗培干扰素是第一个、也是唯一一个批准用于PV治疗的干扰素;

◆ 罗培干扰素是唯一一个适用于所有 PV 疾病阶段和治疗阶段的降细胞药物:可用于低危、高危患者,并且无论既往接受过何种治疗方案均可使用罗培干扰素进行治疗;

此外,罗培干扰素也获得了 2024 年新版《CSCO 真性红细胞增多症 (PV) 诊疗指南》的 I 级推荐[5]。

药华医药执行长林国钟表示:药华医药于 2014 年即在中国创立子公司,于当地推动临床试验、进行药证申请及行销活动,布局中国市场。感谢团队的努力和中国医师们的支持,历经十年的耕耘,我们方能达成获得中国 PV 药证的重大里程碑,让 Ropeg (罗培干扰素 a-2b) 的全球布局更加完整。药华医药致力与各方合作,拓展 Ropeg 中国市场,造福广大 PV 病患;也会持续多元发展,拓展 Ropeg 的治疗领域。

药华医药中国区董事总经理申维宏表示:药华致力于骨髓增殖性肿瘤 (MPN) 药物的开发,以高质量、开创性的解决方案满足不断增长的医疗健康需求,推动在 MPN 治疗领域建立新的治疗标准和规范,旨在让真性红细胞增多症患者得到良好治疗,并有机会实现疾病的治愈。除此之外,罗培干扰素也在原发性血小板增多症 (ET) 及早期骨髓纤维化 (PMF) 等多种 MPN 疾病的临床研究中显示了良好的疗效。未来,我们将继续聚焦于 MPN 领域,以科学创新领拓学科发展,全力推动 MPN 全生命周期管理,确保我们的突破性研究成果能够惠及更多患者。

#### 参考文献

[1] Jean-Jacques Kiladjian et al. Long-term outcomes of polycythemia vera patients treated with ropeginterferon Alfa-2b. *Leukemia* (2022) 36:1408-1411

[2] Shan Shan Suo et al. Effective management of polycythemia vera with ropeginterferon Alfa-2b treatment. *J Hematol.* 2024;13(1-2):12-22

[3] 肖志坚,中华血液学杂志 2022 年 7 月第 43 卷第 7 期 *Chin J Hematol*, July 2022,

Vol. 43, No. 7

[4] 2024 NCCN Guideline (Dec 21st, 2023)

[5] 2024 版《CSCO 真性红细胞增多症 (PV) 诊疗指南》