

## 全球首款 IDH 双靶点创新药在博鳌乐城实现“亚洲首用” ——Vorasidenib 落地华西乐城医院并启动筹备真实世界研究

中国海南，2024 年 11 月 24 日——由四川大学华西乐城医院、海南乐城真实世界研究院主办、施维雅中国支持的“Vorasidenib 华西乐城医院落地启动暨筹备真实世界研究会”在华西乐城医院举行，宣布华西乐城医院顺利引进 Vorasidenib 并已用于服务中国患者就诊。这意味着中国患者能够全球同步受益于这一全球首款 IDH1 和 IDH2 双靶点抑制剂 Vorasidenib。这次活动标志着 Vorasidenib 在获批上市前，作为临床急需的进口药品准予先试先行，正式落地海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区（以下简称“乐城先行区”），用于治疗 IDH 突变型弥漫性脑胶质瘤。

作为全球首款 IDH1 和 IDH2 双靶点抑制剂，Vorasidenib 是近 20 年来 IDH 突变型弥漫性脑胶质瘤治疗领域的首个创新靶向药物。继 2024 年 8 月 6 日在美国获批上市后，Vorasidenib 分别在加拿大、澳大利亚、以色列、瑞士、阿联酋获批上市。目前，该款药物已经获得中国国家药品监督管理局核准开展临床三期研究，为正式注册准备中。本次落地博鳌乐城，得益于乐城先行区“先行先试”特许政策，即加速引进已在境外上市，但未在中国批准注册上市的药品，让国人不出国门，就能享受国际前沿医疗服务，为患者赢得治疗时间。

在此次会议上，海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区管理局党委书记、局长贾宁、海南省药品监督管理局党组成员、副局长黎运达，海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区医疗药品监督管理局党委书记、局长范斌，海南乐城真实世界研究院副院长姚晨莅临现场，四川大学华西乐城医院刘毅院长，四川大学华西医院、四川大学华西乐城医院刘艳辉教授，澳大利亚 Alfred Health 神经肿瘤学负责人 Lucy GATELY 博士，递爱之家创始人孙文军，施维雅中国总经理 Manuel RUIZ 等共同出席活动。

### **Vorasidenib 突破瓶颈，为患者带来创新治疗方式**

脑胶质瘤由中枢神经系统内的胶质细胞或前体细胞生成的肿瘤，是颅内最常见的原发性恶性肿瘤，同时也是中枢神经系统最常见的肿瘤。由于胶质瘤的发病、进展及治疗副作用都可能涉及脑部功能区，因此患者往往面临致死率高、致残率高、复发率高的困境，疾病负担沉重<sup>1</sup>。

在目前针对胶质瘤有限的治疗方式中，外科手术无法完全切除肿瘤，放化疗则可能对患者身体或多个领域的神经认知功能产生长期严重副作用。即使采用手术切除、同步放化疗和辅助化疗的综合治疗，仍有 90% 以上的胶质瘤患者出现复发和进展<sup>2</sup>。

<sup>1</sup> 中国抗癌协会脑胶质瘤整合诊治指南（2022 精简版）Chin J Clin Oncol 2022. Vol. 49. No. 16.

<sup>2</sup> Wang X, et al. Cell Death and Disease. 2021 Mar 19;12(4):299.

尽管胶质瘤的发病机制尚不明确，但是已确定 IDH 突变是胶质瘤的重要致病基因，并且在胶质瘤的发生和发展中起着至关重要的作用。作为全球首款 IDH1 和 IDH2 双靶点抑制剂，Vorasidenib 是近 20 年来 IDH 突变型弥漫性脑胶质瘤治疗领域的首个创新靶向药物，为携带 IDH1 和 IDH2 突变的胶质瘤患者带来显著获益，并且填补了目前 IDH 突变型弥漫性脑胶质瘤治疗方式的空白。

Vorasidenib 于 2024 年 8 月 6 日在美国获批上市，随后在加拿大、澳大利亚、以色列、瑞士、阿联酋获批上市，用于携带 IDH1 和 IDH2 突变的 2 级星形细胞瘤或少突神经胶质瘤的 12 岁及以上成人和儿童患者的手术（包括活检、次全切除术或全切除术）后治疗。此前，Vorasidenib 已经获得 FDA 授予的优先审评资格、快速通道认定、突破性治疗认定以及孤儿药认定<sup>3</sup>，以促进和加快对重大疾病的药物研发、解决尚未满足的医疗需求。然而，中国目前尚无获批用于治疗 IDH 突变型弥漫性脑胶质瘤的靶向药物。

**四川大学华西医院、四川大学华西乐城医院刘艳辉教授**介绍：“目前我国的胶质瘤的 5 年病死率位列所有恶性肿瘤第三位，对于胶质瘤在手术、病理及分子特征等领域的认知仍需不断精进。针对不同病理类型、不同分子特征的胶质瘤，胶质瘤领域同道们也在积极探索精准化、个体化治疗。前沿创新药物的加速研发与使用，进一步为胶质瘤的精准治疗与全程管理提供了新的方案。期待以此为开端，Vorasidenib 能够为国内胶质瘤患者带来更多希望，突破现有治疗瓶颈，整体提升国内胶质瘤治疗的效果与预后，造福患者与家庭。”

**施维雅中国总经理 Manuel RUIZ** 表示：“对于 Vorasidenib 能够为患者带来的治疗突破，我们非常骄傲。施维雅始终以患者治疗亟需为首要关切，支持临床专业人士共同为提升患者治疗效果与生存质量是我们不断投入研发、探索创新疗法的目标和动力。”Manuel RUIZ 强调：“Vorasidenib 成功落地博鳌乐城让我们更加坚信，每一位患者都应该拥有接受世界前沿治疗药物的渠道和选择，而施维雅笃定在中国将这个愿景变为现实。”

### **以“先行先试”助力患者可及**

**海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区管理局党委书记、局长贾宁**介绍：“乐城先行区始终秉承‘以人民健康为中心’的初心，借助‘先行先试’特许政策，让众多患者实现不出国门，就能够与全球几乎同步获得前沿的创新治疗方案。为满足肿瘤患者的临床治疗急需，乐城先行区更进一步释放制度创新优势，与医疗、医药合作伙伴共同携手，尽一切可能优化创新药物落地乐城的工作流程与服务，切实将‘先行先试’转化为肿瘤患者获得前沿治疗的速度优势、治疗优势，让更多的肿瘤患者获得来自‘希望之城’的希望与温暖。”

<sup>3</sup> <https://www.fda.gov/drugs/resources-information-approved-drugs/fda-approves-vorasidenib-grade-2-astrocytoma-or-oligodendroglioma-susceptible-idh1-or-idh2-mutation>

**海南省药品监督管理局党组成员、副局长黎运达**表示：“为肿瘤患者临床治疗急需加速实现药物可及，不仅是患者的健康所系，更是从政府到医疗、医药所有相关方的职责所在。海南省药品监督管理局以高水平监管护航先行区高质量发展为己任。我们不仅与各方紧密配合，做好特需药物审批管理服务，将患者等待时间降至最低，同时也在与相关部门积极筹备对创新药物的真实世界研究，以期将更具临床价值的创新药物加速惠及更多患者。”

**海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区医疗药品监督管理局党委书记、局长范斌**指出：“近年来，乐城先行区发展迅速，优质医疗资源加速集聚，医疗服务能力持续提升。省卫健委、省药监局等多部门紧密配合，助力‘先行区’制度集成创新，有效打通政策落地、创新落地的关键环节。相信乐城先行区的高质量发展，不仅将持续赋能区域医疗中心建设，而且将更好地发挥国家药械审评审批制度改革‘试验田’的作用，不断满足人民群众对医疗服务的多样化需求。”

“对于癌症患者，特别是胶质瘤患者而言，时间极为宝贵，前沿治疗方案的加速可及，无疑将为患者及家庭带来更多获益。”**四川大学华西乐城医院刘毅院长**表示：“非常高兴此次迎来 Vorasidenib 首张处方落地，为国内胶质瘤患者带来了全新治疗选择。作为医务工作者，我们期待未来与各方协作，共同推动胶质瘤领域进步，以患者为中心提供更好的医疗健康服务。借助乐城先行区‘先行先试’的政策优势，华西医院整合先进的诊疗设备与技术创新优势，打造高水平前沿医疗技术创新应用平台、高水平的临床科研成果快速转化平台，专注推动包括胶质瘤在内的肿瘤领域治疗突破。”

与此同时，旨在评估 Vorasidenib 在中国人群中应用的安全性和有效性的真实世界研究即将在博鳌乐城同步开展。真实世界研究使用真实世界数据，在中国本土的医疗环境中进行，更贴近中国患者的实际情况，更具有代表性，研究结果更具参考价值。真实世界研究凭借其灵活的入组标准和创新性设计，能够更快地获得研究结果。尤其是在乐城先行区“先行先试”政策的支持下，对 Vorasidenib 开展真实世界研究，为加速药物获批上市提供更多依据和参照，让中国患者更快地受益于该款创新药物。

**海南乐城真实世界研究院副院长姚晨**介绍：“真实世界研究是国家药品监管科学行动计划的重要组成部分，也是海南自贸港的重大制度创新之一。此次即将在博鳌乐城开展的 Vorasidenib 真实世界研究，不仅可以为其临床使用提供进一步的循证医学证据支持，协助解决临床治疗难点，而且能够推动创新药物加速在国内上市，为中国药械审评贡献实践经验，从而造福广大 IDH 突变型弥漫性脑胶质瘤患者。”

## 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、胶质瘤和血液肿瘤。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](http://servier.com.cn)

**施维雅中国联系：** [communication-cn@servier.com](mailto:communication-cn@servier.com)

审批编号：M-VORAS-CN-202411-00001

