

施维雅 IDH1 抑制剂拓舒沃® 在中国扩展至急性髓系白血病一线治疗

中国北京，2026年6月15日——施维雅中国宣布，旗下创新靶向药物拓舒沃®（艾伏尼布片）已经正式获得国家药品监督管理局（NMPA）批准新增适应症，用于联合阿扎胞苷治疗携带易感异柠檬酸脱氢酶-1（IDH1）突变，因合并症无法使用强诱导化疗或者年龄≥75岁的新诊断急性髓系白血病（AML）患者。

拓舒沃®（艾伏尼布片）是全球首个且目前中国唯一获批¹的 IDH1 抑制剂，采用不同于传统化疗的创新作用机制，精准作用于突变的 IDH1 蛋白，抑制致癌代谢物 2-羟基戊二酸（2-HG）的产生比例达到 99.7%，有效降低原始细胞数量^{2,3}，促进造血细胞正常分化，抑制白血病发生。

此前，拓舒沃®已在中国获批用于治疗携带 IDH1 突变的复发性或难治性急性髓系白血病成人患者。此次一线适应症获批，标志着拓舒沃®联合疗法正式跨入急性髓系白血病全程管理新阶段。这一“精准联合”方案，填补了国内新诊断、不适合强化疗患者长期无特异性靶向药可用的临床空白，将为携带 IDH1 突变的高危患者群体带来生存获益提升。

生存瓶颈亟待突破，精准医疗势在必行

急性髓系白血病是成人最常见的一种急性白血病⁴，具有高度异质性，疾病进展迅速，严重威胁患者生命。研究显示，约 97.3% 的急性髓系白血病患者能够检测到基因突变⁵。其中，6%至 10% 的成年急性髓系白血病患者携带 IDH1 突变^{6,7}，而 IDH1 突变导致急性髓系白血病患者死亡风险显著增加 62%⁸，传统疗法的中位总生存期（OS）仅有 10.2 个月⁹。

¹ 中国唯一：截止 2026 年 5 月 30 日

² Okoye-Okafor UC, et al. *Nat Chem Biol.* 2015.11(11):878-886;

³ Pollyea DA. ASCO 2018. Abstract 7000;

⁴ NCCN 肿瘤临床实践指南（NCCN 指南）急性髓系白血病.2020 V3

⁵ Kayser S, Levis MJ. *Haematologica.* 2023;108(2):308-320

⁶ Guan L, et al. *PLoS One.* 2013; 8:e83334.

⁷ Zou Y, et al. *Biochem Biophys Res Commun.* 2010 Nov 12;402(2):378-83.

⁸ Qin H, et al. *Medicine (Baltimore).* 2024 Dec 6;103(49):e40565.

⁹ Pratz KW, et al. *Am J Hematol.* 2024;99(4):615-624.

在中国，急性髓系白血病每年的新发病例数呈增长趋势。数据显示，60岁及以上急性髓系白血病患者5年生存率仅为17%¹⁰。有限的治疗方案与迫切的临床需求之间存在巨大鸿沟。

显著延长生存，重塑治疗格局

此次获批基于全球多中心、随机、双盲、安慰剂对照的3期临床研究——AGILE研究^{11,12}。**AGILE研究中国区主要研究者，中国医学科学院血液病医院王建祥教授表示：**“长期以来，携带IDH1突变且不适合强化疗的老年急性髓系白血病患者缺乏有效的治疗手段。艾伏尼布在临床研究中所展现的深度缓解及对总生存期的显著改善，令人倍感鼓舞。此次获批标志着中国急性髓系白血病精准治疗迈出了关键一步，不仅填补了细分领域的特异性靶向治疗空白，更为患者带来了预后改善的新希望。我们期待该方案能尽早进入临床实践，助力中国急性髓系白血病整体治疗格局的重塑。”

AGILE研究共纳入146例不适合强化诱导化疗的新诊断IDH1突变急性髓系白血病患者，对照组为安慰剂联合阿扎胞苷。主要研究终点为无事件生存期（EFS），次要终点包括完全缓解（CR）和总生存期（OS）。研究数据显示，相比对照组，艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗组展现出卓越的临床获益：

- **无事件生存期显著延长：**艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗组的中位EFS可达22.9个月。这意味着患者能够保持无进展、无复发、持续缓解长达22.9个月。
- **生存期实现三倍延长：**艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗组的中位OS达29.3个月，相比对照组显著延长了3倍。2026年3月发表的AGILE研究中国人群亚组最新结果显示¹³，艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗组中位OS达到30.6个月，显示与全球一致的生存获益提升。
- **完全缓解得到显著提升：**艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗组有47%的患者获得完全缓解（CR），其中88%的患者随访1年仍维持完全缓解。

安全性可控，纳入多个国内外治疗指南

在安全性方面，艾伏尼布联合阿扎胞苷组的不良反应发生率更低，且安全性可控、可管理。基于AGILE相关安全性数据，艾伏尼布联合治疗组常见的不良反应包括恶心、呕吐、关节疼痛、呼吸困

¹⁰ Kantarjian H, et al. Blood Cancer J. 2021 Feb 22;11(2):41

¹¹ Montesinos P, et al. N Engl J Med. 2022;386(16):1519-1531.

¹² Montesinos P, et al. Blood Adv. 2025;9(20):5177-5189.

¹³ Wang J, et al. 2026 EBMT Annual Meeting, P255.

难、心电图 QT 延长、失眠、分化综合征、血肿等。常见的严重不良反应包括分化综合征、心电图 QT 延长等。研究结果提示，上述严重不良反应可在临床予以对应管理即可缓解。而相比对照组，艾伏尼布联合治疗组的发热性中性粒细胞减少（FN）及感染发生率更低，显著降低患者发生严重骨髓抑制和危及生命的感染风险。AGILE 研究的中国亚组人群数据表明，其耐受性与全球研究结果一致，整体安全性良好且风险可控。

目前，艾伏尼布联合阿扎胞苷治疗方案已获得美国食品药品监督管理局（FDA）以及欧盟（EMA）批准，用于治疗新诊断携带 IDH1 突变且不适合强化疗的成人急性髓系白血病患者。凭借坚实的循证医学证据，该方案已被美国国立综合癌症网络（NCCN）¹⁴、中国医学会指南（CMA）¹⁵、中国临床肿瘤学会指南（CSCO）¹⁶以及中国肿瘤整合诊治指南（CACA）¹⁷等国内外相关临床指南纳入并作为 1 级推荐或证据等级。

施维雅中国总经理 Manuel RUIZ 表示：“此次拓舒沃®在中国获批新适应症，是施维雅深耕中国肿瘤精准治疗领域的又一重要里程碑。长期以来，携带 IDH1 突变的急性髓系白血病患者面临着极为严峻的生存挑战，临床需求亟待满足。作为独特的靶向治疗药物，拓舒沃®将打破这一困境，为患者提升治疗效果的同时，减少治疗相关的不良反应。这不仅展示了施维雅在 IDH 突变肿瘤领域的卓越实力，更体现了集团以患者为中心、持续将全球创新疗法引入中国的坚定承诺。未来，我们将继续加速创新布局，并持续提升创新药物的可及性，为更多中国患者创造生命福祉。”

审批编号：M-TIBSO-CN-202606-00005

###

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。该适应症已于 2025 年底，成功纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录（2025 年）》，并于 2026 年 1 月 1 日起正式按新版医保目录执行，服务参保患者。

¹⁴ NCCN Guidelines Version 3. 2026

¹⁵ 中华医学会血液学分会白血病淋巴瘤学组. 中华血液学杂志. 2023;4(09):705-712

¹⁶ CSCO 恶性血液病诊疗指南. 2025.

¹⁷ 中国肿瘤整合诊治指南(CACA)白血病(2025 版本) .

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) 突变的复发性或难治性急性髓系白血病成人患者，以及新诊断携带 IDH1 突变的急性髓系白血病成人患者（年龄≥75 岁或伴有合并症不适合强化疗的患者）。2021 年，拓舒沃®成为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 突变的不适合强化疗的新诊断的急性髓系白血病成人患者；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) 是一种血液和骨髓癌症，主要发生在老年群体，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¹⁸。75 岁患者的两年生存率低于 10%¹⁹。

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²⁰。统计数据显示，中国每年约有 8 万例白血病新发患者²¹。急性髓系白血病发病率随着年龄的增长而增加，可能影响各个年龄段人群。急性髓系白血病发病快、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²²。

¹⁸ ESMO Guidelines 2020 - Acute myeloid leukemia in adult patients: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up

¹⁹ 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>

²⁰ By National Cancer Center, 2022 National Cancer Report (phirda.com)

²¹ 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.

²² <https://www.cancer.org/cancer/acute-myeloid-leukemia/about/key-satostat>

AML 是一种起源于骨髓的恶性肿瘤，主要影响髓系细胞的发育和增殖；其特征是异常髓系细胞在骨髓和血液中迅速增殖，导致正常血细胞的生成受到抑制，从而引发贫血、感染和出血等症状。

关于施维雅

施维雅是一家由基金会管理的国际制药集团，凭借其独特的管理模式，致力于推进治疗领域的进展，服务于患者的需求，并将患者的声音置于药物生命周期的每个阶段。

作为心血管与代谢疾病及静脉疾病领域的全球领先者，施维雅接下来将致力成为肿瘤学和神经科学领域的主要创新力量。集团专注于提供靶向治疗解决方案，尤其在罕见肿瘤与神经疾病领域，并将近 20% 的原研药销售收入投入研发。

施维雅总部位于法国，拥有逾 2 万名员工，业务遍及全球 130 多个国家和地区，2024/25 财年实现收入 69 亿欧元。

更多信息请访问集团网站：servier.com

施维雅中国联系：communication-cn@servier.com