

# 非肽类血小板生成素受体激动剂治疗血小板减少症的快速遴选综合评价<sup>△</sup>

郭雁翔<sup>1\*</sup>, 贺兰芝<sup>2</sup>, 颜潇旖<sup>1</sup>, 黄明媚<sup>1</sup>, 梁珂源<sup>1</sup>, 罗鲜丹<sup>1</sup>, 陆艳丽<sup>1</sup>, 张宏亮<sup>1#</sup> (1. 广西医科大学第一附属医院药学部, 南宁 530021; 2. 广西壮族自治区江滨医院药学部, 南宁 530021)

中图分类号 R973 文献标志码 A 文章编号 1672-2124(2026)04-0476-06  
DOI 10.14009/j.issn.1672-2124.2026.04.019



**摘要** 目的: 基于《中国医疗机构药品评价与遴选快速指南(第二版)》, 对非肽类血小板生成素受体激动剂(TPO-RA)开展多维度临床综合评价, 旨在通过量化评分体系, 为患者提供循证用药依据, 指导医院药品采购决策, 同时探索仿制药一致性评价对临床选择的影响, 助力药学服务高质量发展。方法: 系统收集参评药物的临床实践指南、专家共识、药品说明书、系统综述/Meta分析、随机对照试验(RCT)及真实世界研究数据, 依据参智药品临床综合评价系统标准化流程, 对药学特性、有效性、安全性、经济性及其他属性进行评分。结果: 参评药物综合得分排序为艾曲泊帕乙醇胺片(78.60分)>艾曲泊帕乙醇胺片(进口, 74.32分)>芦曲泊帕片(74.00分)>马来酸阿伐曲泊帕片(73.72分)>海曲泊帕乙醇胺片(67.03分)。艾曲泊帕乙醇胺片作为通过一致性评价的仿制药, 其药学特性得分领先, 且长期安全性数据完备, 经济性优势显著; 马来酸阿伐曲泊帕片因无需剂量调整而安全性评分更高, 芦曲泊帕片在经济性维度表现突出; 海曲泊帕乙醇胺片受限于上市时间短, RCT样本量不足, 真实世界用药数据匮乏, 导致循证证据评分较低。结论: 本研究证实, 艾曲泊帕乙醇胺片因药学特性优异、通过仿制药一致性评价及成本优势, 成为非肽类TPO-RA中的优选品种, 可为医疗机构集中带量采购决策提供核心依据。芦曲泊帕片与马来酸阿伐曲泊帕片的差异化优势提示临床需根据患者个体特征(如肝功能状态、支付能力)进行精准选择。海曲泊帕乙醇胺片的低评分则凸显了创新药上市后证据积累的重要性, 建议通过药物警戒系统加强其安全性监测。综合评价结果不仅推动了TPO-RA的合理使用, 也为医院药学信息化管理中的药品遴选模块提供了数据支撑。

**关键词** 血小板生成素受体激动剂; 艾曲泊帕; 阿伐曲泊帕; 芦曲泊帕; 海曲泊帕; 综合评价

## Rapid Selection and Comprehensive Evaluation of Non-Peptide Thrombopoietin Receptor Agonists for the Treatment of Thrombocytopenia<sup>△</sup>

GUO Yanxiang<sup>1</sup>, HE Lanzhi<sup>2</sup>, YAN Xiaoyi<sup>1</sup>, HUANG Mingmei<sup>1</sup>, LIANG Keyuan<sup>1</sup>, LUO Xiandan<sup>1</sup>, LU Yanli<sup>1</sup>, ZHANG Hongliang<sup>1</sup> (1. Dept. of Pharmacy, the First Affiliated Hospital of Guangxi Medical University, Nanning 530021, China; 2. Dept. of Pharmacy, Jiangbin Hospital, Guangxi Zhuang Autonomous Region, Nanning 530021, China)

**ABSTRACT** **OBJECTIVE:** Based on *A Quick Guideline for Drug Evaluation and Selection in Chinese Medical Institutions (the Second Edition)*, to perform a multi-dimensional clinical comprehensive evaluation of non-peptide thrombopoietin receptor agonists (TPO-RA) by using the quantitative scoring system, so as to provide evidence-based medication references for patients, guide hospital drug procurement decisions, explore the impact of generic drug consistency evaluation on clinical selection, and facilitate high-quality development of pharmaceutical services. **METHODS:** Clinical practice guidelines, expert consensus, drug instructions, systematic reviews/Meta-analyses, randomized controlled trials (RCT), and real-world research data for the evaluated drugs were systematically collected. According to the standardized process of Sanzhi Pharmaceutical Clinical Comprehensive Evaluation System, evaluation was constructed covering five dimensions, namely pharmaceutical properties, efficacy, safety, economy, and other attributes. **RESULTS:** The ranking of comprehensive scores of the evaluated drugs was as follows: eltrombopag olamine tablets (78.60 points) > eltrombopag olamine tablets (imported, 74.32 points) > lusutrombopag tablets (74.00 points) > avatrombopag maleate tablets (73.72 points) > hetrombopag olamine tablets (67.03 points). As a generic drug passing the consistency evaluation, eltrombopag olamine tablets led in pharmaceutical properties scores, with complete long-term safety data and significant economic advantages. For avatrombopag maleate tablets and lusutrombopag tablets, the former achieved a higher safety score due to no need for dose adjustment, while

△ 基金项目: 国家卫生健康委医院管理研究所医疗质量(循证)管理研究项目资助(No. YLZLXZ23K004)

\* 药师。研究方向: 循证药学与药品临床综合评价。E-mail: 1738896762@qq.com

# 通信作者: 主任药师。研究方向: 循证药学、药物经济学、药品综合评价与数据挖掘。E-mail: 277749097@qq.com

the latter performed prominently in the economic dimension. Hetrombopag olamine tablets received a lower evidence-based score due to its short market availability, insufficient RCT sample size, and limited real-world medication data. **CONCLUSIONS:** This study confirms that eltrombopag olamine tablets, with excellent pharmaceutical properties, passing the generic drug consistency evaluation, and cost advantages, is the preferred non-peptide TPO-RA, providing core evidence for national centralized drug procurement decisions in medical institutions. The differentiated advantages of lusutrombopag tablets and avatrombopag maleate tablets suggest that clinical selection should be tailored to individual patient characteristics (liver function status, payment capacity). The low score of hetrombopag olamine tablets highlights the importance of evidence accumulation for innovative drugs after marketing, and it is recommended to strengthen safety monitoring through pharmacovigilance system. The comprehensive evaluation results not only promote the rational use of TPO-RA but provide data support for the drug selection module in hospital pharmaceutical information management.

**KEYWORDS** Thrombopoietin receptor agonist; Eltrombopag; Avatrombopag; Lusutrombopag; Hetrombopag; Comprehensive evaluation

血小板减少症可作为多种病症的主要表现或常见并发症。依据《中国成人血小板减少症诊疗专家共识》(2020年),我国将血小板计数(PLT) $<100 \times 10^9/L$  划定为血小板减少症的判定标准<sup>[1]</sup>。针对重症病例,《中国成人重症患者血小板减少症诊疗专家共识》(2020年)进一步明确,PLT $<50 \times 10^9/L$  属于重度血小板减少<sup>[2]</sup>。原发免疫性血小板减少症(primary immune thrombocytopenia, ITP)是一类获得性自身免疫性出血病,约占出血性疾病总数的1/3,成人年发病率为2/10 000~10/10 000<sup>[3-4]</sup>。肝病相关性血小板减少症(hepatopathy-related thrombocytopenia, HRT)特指由肝病或肝病治疗引发的血小板减少症<sup>[5]</sup>。血小板生成素(TPO)能够调控巨核细胞分化及血小板生成,是血小板生成过程中的关键调控因子<sup>[6]</sup>。目前,临床主要用于治疗血小板减少症的TPO类药物包括重组人血小板生成素和血小板生成素受体激动剂(thrombopoietin receptor agonist, TPO-RA)<sup>[7]</sup>。非肽类TPO-RA通过与人TPO受体的C-mpl跨膜结构域相互作用并启动信号级联反应,从而诱导骨髓祖细胞的增殖和分化<sup>[8]</sup>。目前,美国食品药品监督管理局

(FDA)已经批准3种非肽类TPO-RA,即艾曲泊帕、阿伐曲泊帕、芦曲泊帕用于治疗多种血小板减少性疾病;此外,还有1种非肽类TPO-RA海曲泊帕已在我国上市,于2021年6月被批准用于治疗慢性ITP<sup>[7]</sup>。经过近年来的临床使用,非肽类TPO-RA在适应证、超说明书用药、指南推荐和临床研究等方面有了新的进展。为科学评价目前非肽类TPO-RA的药品综合属性,本研究结合2家医疗机构药品遴选采购现状,应用叁智药品临床综合评价系统,参照《中国医疗机构药品评价与遴选快速指南(第二版)》<sup>[9]</sup>(以下简称《遴选指南》)进行评价,旨在为临床合理用药与医院采购提供参考。

## 1 资料与方法

### 1.1 评价药物

主要参评药物为广西医科大学第一附属医院以及广西壮族自治区江滨医院正常采购及临时采购的5种非肽类TPO-RA:马来酸阿伐曲泊帕片、芦曲泊帕片、海曲泊帕乙醇胺片、艾曲泊帕乙醇胺片(进口)、艾曲泊帕乙醇胺片,其基本信息见表1。

表1 纳入评价的5种非肽类TPO-RA的基本信息

药品名称	批准文号	生产企业	规格	采购情况	价格/(元/盒)*
马来酸阿伐曲泊帕片	国药准字HJ20200005	美国 Alcami Carolinas 公司	20 mg×10片	正常采购	4 760.00
芦曲泊帕片	国药准字HJ20230086	美国 Quotient Sciences-Philadelphia 公司	3 mg×7片	临时采购	4 053.00
海曲泊帕乙醇胺片	国药准字H20110021	江苏恒瑞医药股份有限公司	2.5 mg×14片	正常采购	1 631.98
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	国药准字HJ20170387	西班牙 Siegfried Barbera 公司	25 mg×28片	临时采购	3 780.00
艾曲泊帕乙醇胺片	国药准字H20243006	正大天晴药业集团股份有限公司	25 mg×28片	临时采购	2 579.00

注:“\*”表示价格来源于广西医科大学第一附属医院实际采购价格。

### 1.2 证据收集

收集非肽类TPO-RA的相关资料,具体包括权威机构近5年发布的高质量指南、专家共识、系统综述/Meta分析、药品说明书、随机对照试验(RCT),以及药智网药品中标价格、国家医保信息数据库、国家药监局(NMPA)药品审评中心等权威医疗相关信息查询平台<sup>[10]</sup>。

### 1.3 评价方法

由2家医疗机构使用叁智药品临床综合评价系统完成大部分证据搜集,在此基础上查漏补缺,进行系统评分汇总。

## 2 结果

### 2.1 药学特性

2.1.1 药理作用:5种非肽类TPO-RA疗效确切,作用机制明

确,但作用机制和作用靶点缺乏创新性,评分均为4.00分。

2.1.2 体内过程:5种非肽类TPO-RA的体内过程相关参数均较为完整,评分均为5.00分,见表2。

2.1.3 药剂学、使用方法和贮藏条件:海曲泊帕乙醇胺片、艾曲泊帕乙醇胺片(进口)、艾曲泊帕乙醇胺片均有治疗ITP的推荐起始剂量,以及升血小板疗效不佳或与其他药物联合应用时的改变剂量;而马来酸阿伐曲泊帕片和芦曲泊帕片为每日固定剂量。5种非肽类TPO-RA的药剂学、使用方法和贮藏条件根据相应临床使用指南进行评价,见表3。

综上,药学特性评价维度中,马来酸阿伐曲泊帕片评分为26.00分,芦曲泊帕片为26.50分,海曲泊帕乙醇胺片为23.00分,艾曲泊帕乙醇胺片(进口)为25.00分,艾曲泊帕乙醇胺片为26.00分。

表 2 5 种非肽类 TPO-RA 的药动学参数

药品名称	给药途径	达峰时间/h	血浆蛋白结合率/%	表观分布容积/L	半衰期/h	代谢途径	排泄
马来酸阿伐曲泊帕片	口服	5~6	>96	180	19	CYP2C9 和 CYP3A4	粪便(88%)、原型排泄(34%)、尿液(6%)
芦曲泊帕片	口服	6~8	>99.9	39.5	27	CYP4 酶(包括 CYP4A11)	粪便(83.3%)、原型排泄(16%)、尿液(1%)
海曲泊帕乙醇胺片	口服	7~8	>99	—	11.9~40.1	胍键裂解、葡萄糖醛酸结合、乙酰化和丙酰化	粪便(89.05%)、尿液(8.62%)
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	口服	2~6	>99.9	—	21~32	裂解、氧化,以及与葡萄糖醛酸、谷胱甘肽或半胱氨酸结合	粪便(59%)、尿液(31%)
艾曲泊帕乙醇胺片	口服	2~6	>99.9	—	21~32	裂解、氧化,以及与葡萄糖醛酸、谷胱甘肽或半胱氨酸结合	粪便(59%)、尿液(31%)

注:“—”表示无相关数据。

表 3 5 种非肽类 TPO-RA 的药剂学、使用方法和贮藏条件评分

药品名称	主要成分与辅料(分)	规格与包装(分)	剂型(分)	给药剂量(分)	给药频次(分)	使用方便(分)	贮藏条件(分)	药品有效期(分)	总分/分
马来酸阿伐曲泊帕片	主要成分:马来酸阿伐曲泊帕(1.00)	均适宜临床应用/剂量调整(2.00)	片剂(2.00)	固定剂量(2.00)	1日1次(2.00)	无需辅助,可自行给药(2.00)	25℃以下保存(4.00)	60个月(2.00)	17.00
芦曲泊帕片	主要成分:芦曲泊帕;辅料:D-甘露醇、微晶纤维素等(2.00)	均适宜临床应用/剂量调整(2.00)	片剂(2.00)	固定剂量(2.00)	1日1次(2.00)	无需辅助,可自行给药(2.00)	密封,不超过25℃保存(4.00)	48个月(1.50)	17.50
海曲泊帕乙醇胺片	主要成分:海曲泊帕乙醇胺(1.00)	均适宜临床应用/剂量调整(2.00)	片剂(2.00)	使用过程中需调整用药剂量(1.50)	1日1次(2.00)	无需辅助,可自行给药(2.00)	遮光,密封,25℃以下保存(3.00)	12个月(0.50)	14.00
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	主要成分:艾曲泊帕乙醇胺(1.00)	均适宜临床应用/剂量调整(2.00)	片剂(2.00)	使用过程中需调整用药剂量(1.50)	1日1次(2.00)	无需辅助,可自行给药(2.00)	30℃以下保存,避免儿童接触(4.00)	36个月(1.50)	16.00
艾曲泊帕乙醇胺片	主要成分:艾曲泊帕乙醇胺;辅料:甘露醇、微晶纤维素等(2.00)	均适宜临床应用/剂量调整(2.00)	片剂(2.00)	使用过程中需调整用药剂量(1.50)	1日1次(2.00)	无需辅助,可自行给药(2.00)	30℃以下保存,避免儿童接触(4.00)	36个月(1.50)	17.00

2.2 有效性

2.2.1 适应证: TPO-RA 为 ITP 和重型再生障碍性贫血(severe aplastic anemia, SAA)的二线治疗药物,海曲泊帕乙醇胺片具有上述 2 个适应证,只能用于成人患者;艾曲泊帕乙醇

胺片(进口)、艾曲泊帕乙醇胺片只有 ITP 1 个适应证,可以用于儿童;马来酸阿伐曲泊帕片和芦曲泊帕片均可用于 HRT 患者,见表 4。5 种药品各有优缺点,评分均为 3.00 分。

2.2.2 指南推荐: TPO-RA 为 ITP 及 HRT 的二线治疗方式。

表 4 5 种非肽类 TPO-RA 的适应证

药品名称	药品说明书版本	适应证
马来酸阿伐曲泊帕片	2021 年 1 月 11 日	本品适用于择期行诊断性操作或者手术的慢性 HRT 的成年患者
芦曲泊帕片	2023 年 6 月 27 日	本品适用于计划接受手术(含诊断性操作)的慢性肝病伴血小板减少症的成年患者
海曲泊帕乙醇胺片	2022 年 4 月 29 日	1. 本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性 ITP 成人患者,使 PLT 升高并减少或防止出血;2. 本品适用于对免疫抑制治疗疗效不佳的 SAA 成人患者
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	2022 年 11 月 4 日	本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的成人和 >12 岁儿童慢性免疫性(特发性)血小板减少症患者,使 PLT 升高并减少或防止出血
艾曲泊帕乙醇胺片	2024 年 2 月 26 日	本品适用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的成人和 ≥6 岁儿童慢性免疫性(特发性)血小板减少症患者,使 PLT 升高并减少或防止出血

2019 年,《美国血液学会 2019 年免疫性血小板减少症指南》建议对于皮质类固醇依赖或对皮质类固醇无应答的 ITP 成人患者使用艾曲泊帕或罗普司亭治疗<sup>[11]</sup>。2020 年,《成人原发免疫性血小板减少症诊断与治疗中国指南》<sup>[3]</sup>提到二线治疗方案中,促血小板生成类药物包含重组人血小板生成素、艾曲泊帕等。2021 年,《中国儿童原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗改编指南(2021 版)》建议选择促血小板生成类药物常规二线治疗<sup>[12]</sup>。艾曲泊帕乙醇胺片(进口)、艾曲泊帕乙醇胺片为指南 I 级推荐、A 级证据,评分为 12.00 分。2024 年,《肝硬化血小板减少症临床管理实用指南》中提到阿伐曲泊帕与芦曲泊帕已获准用于治疗需择期接受侵入性手术的成人慢性 HRT<sup>[5]</sup>;针对择期行侵入性操作且 PLT<50×10<sup>9</sup>/L 的肝硬化患者,口服阿伐曲泊帕 40~60 mg/d、疗程 5 d,或芦曲泊帕 3 mg/d、疗程 7 d,可有效提升 PLT,降低出血可能性<sup>[13-14]</sup>。马来酸阿伐曲泊帕片和芦曲泊帕片为指南 I 级推荐、C 级证据,评分均为 10.00 分。基于 Qin 等<sup>[15]</sup>的研究结果,《中国临床肿瘤学会(CSCO)肿瘤治疗所致血小板减少症诊疗指南(2025)》治疗和二级

预防 II 级推荐海曲泊帕乙醇胺片<sup>[16]</sup>,故该药的评分为 9.00 分。

2.2.3 临床疗效:吴亦航等<sup>[17]</sup>的网状 Meta 分析研究以总体血小板反应率作为评价 TPO-RA 临床效果的主要疗效指标,次要疗效指标为持久血小板反应率,主要疗效指标满分为 6 分,次要疗效指标满分为 4 分,结果显示,艾曲泊帕、阿伐曲泊帕和海曲泊帕均能有效提高血小板总体反应率,艾曲泊帕和阿伐曲泊帕还能有效提高持久血小板反应率;未有关于海曲泊帕对持久血小板反应率的 RCT 文献。对于芦曲泊帕片,在 L-PLUS1 研究中,79.2%的患者无需术前输注血小板<sup>[18]</sup>;L-PLUS2 研究中,64.8%的患者既无需输注血小板也未因出血抢救<sup>[19]</sup>;针对我国慢性肝病合并严重血小板减少症患者的研究亦显示,其第 8 日应答率(43.2%)及术前血小板达标率(72.7%)均显著高于安慰剂组<sup>[20]</sup>。阿伐曲泊帕、艾曲泊帕和芦曲泊帕在主要和次要指标方面均疗效确切,评分均为 10.00 分;海曲泊帕在次要指标方面疗效不明,评分为 9.00 分。

综上,有效性评价维度中,艾曲泊帕乙醇胺片(进口)、艾曲泊帕乙醇胺片评分均为 25.00 分,马来酸阿伐曲泊帕片和芦

曲泊帕片均为 23.00 分,海曲泊帕乙醇胺片为 21.00 分。

## 2.3 安全性

2.3.1 不良反应:TPO-RA 常见的短期不良反应包括头痛、腹泻、关节和下肢疼痛等<sup>[8]</sup>;严重不良事件有血栓、骨髓纤维化和肝功能异常等<sup>[6,21]</sup>。依据相应药品说明书,5 种非肽类 TPO-RA 的不良反应发生率及评分见表 5。

2.3.2 特殊人群:艾曲泊帕乙醇胺片(进口)可用于>12 岁儿童,艾曲泊帕乙醇胺片可用于≥6 岁儿童;所有参评药物均不

表 5 5 种非肽类 TPO-RA 的不良反应发生率及评分

药品名称	不良反应发生率/%	评分/分
马来酸阿伐曲泊帕片	中度:1~10;重度:1~10	4.00
芦曲泊帕片	中度:1~10;重度:1~10	4.00
海曲泊帕乙醇胺片	中度:1~10;重度:1~10	4.00
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	中度:≥10;重度:1~10	3.00
艾曲泊帕乙醇胺片	中度:≥10;重度:1~10	3.00

建议用于妊娠期及哺乳期妇女。5 种非肽类 TPO-RA 的特殊人群评分见表 6。

表 6 5 种非肽类 TPO-RA 的特殊人群评分(分)

药品名称	儿童	老人	妊娠期妇女	哺乳期妇女	肝功能异常	肾功能异常	总评分
马来酸阿伐曲泊帕片	0	0	0	0	3.00	2.00	5.00
芦曲泊帕片	0	0.50	0	0	0	0	0.50
海曲泊帕乙醇胺片	0	1.00	0	0	0	0	1.00
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	0.50	0.50	0	0	2.00	3.00	6.00
艾曲泊帕乙醇胺片	1.10	0.50	0	0	2.00	3.00	6.60

2.3.3 药物相互作用及其他安全性:芦曲泊帕的突出优势在于无需限制饮食,其主要经 CYP4A11 酶代谢,与常规药物无明显相互影响<sup>[22]</sup>。其他 4 种非肽类 TPO-RA 均需空腹服用,且乳制品或含多价阳离子的矿物质补充剂可能干扰其吸收。艾曲泊帕类药物评分较低,主要与肝毒性风险相关,美国 FDA 和我国 NMPA 均对其肝毒性给予黑框警告,这一安全隐患直接影响了其评分结果<sup>[23]</sup>。因此该项评价中,马来酸阿伐曲泊帕片为 5.00 分,芦曲泊帕片为 6.00 分,海曲泊帕乙醇胺片为 5.00 分,艾曲泊帕乙醇胺片(进口)为 4.00 分,艾曲泊帕乙醇胺片为 4.00 分。

综上,安全性评价维度中,评分最高为马来酸阿伐曲泊帕片,为 14.00 分;芦曲泊帕片为 10.50 分;艾曲泊帕乙醇胺片为 13.60 分,艾曲泊帕乙醇胺片(进口)为 13.00 分,二者均有黑框警告;海曲泊帕乙醇胺片为 10.00 分,评分最低,主要为肝肾功能异常患者不能使用该药。安全性评分结果客观反映了各药在不良反应控制、药物相互作用及特殊风险方面的差异,可

为临床根据患者个体情况(如肝功能状态、联合用药情况)选择药物提供参考。

## 2.4 经济性

依据世界卫生组织药品的解剖学、治疗学、化学分类索引及规定日剂量(ATC/DDD Index 值)确定限定日剂量(DDD),新药则通过药品说明书推荐的初始推荐剂量确定。从 2021 年至今,广西壮族自治区新中标的各厂家生产的马来酸阿伐曲泊帕片(20 mg)的最小制剂单位中标价:最高价为 396 元,最低价为 390.18 元;海曲泊帕乙醇胺片[2.5 mg(按 C<sub>25</sub>H<sub>22</sub>N<sub>4</sub>O<sub>5</sub> 计)]的最小制剂单位中标价:最高价为 409.71 元,最低价为 409.71 元;芦曲泊帕片(3 mg)的最小制剂单位中标价:最高价为 1 425.71 元,最低价为 1 425.71 元。同一通用名药品的评分=最低日均治疗费用/该药日均治疗费用×3,主要适应证可替代药品同理。经济性评价维度中,评分最高的为芦曲泊帕片和艾曲泊帕乙醇胺片,均为 10.00 分,见表 7。日均治疗费用最高的是马来酸阿伐曲泊帕片,为 6.72 分。

表 7 5 种非肽类 TPO-RA 的经济性评分

药品名称	规格	价格/(元/盒)	每片价格/元	DDD/mg	日均治疗费用/元	同通用名药品评分(3分)/分	主要适应证可替代药品评分(7分)/分	总评分(10分)/分
马来酸阿伐曲泊帕片	20 mg×10 片	4 760.00	476.00	40.0	952.00	2.46	4.26	6.72
芦曲泊帕片	3 mg×7 片	4 053.00	579.00	3.0	579.00	3.00	7.00	10.00
海曲泊帕乙醇胺片	2.5 mg×14 片	1 631.98	116.57	2.5	116.57	3.00	5.53	8.53
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	25 mg×28 片	3 780.00	135.00	25.0	135.00	2.04	4.78	6.82
艾曲泊帕乙醇胺片	25 mg×28 片	2 579.00	92.11	25.0	92.11	3.00	7.00	10.00

## 2.5 其他属性

按照《遴选指南》的标准对 5 种非肽类 TPO-RA 的其他属性进行评价,评分见表 8。

## 2.6 综合评分

通过系统标准化流程评分汇总,本次纳入评价的 5 种非肽类 TPO-RA 的综合评分见表 9。

## 3 讨论

非肽类 TPO-RA 作为血小板减少症二线治疗的重要选择,已在临床得到广泛应用,其在提升患者生活质量方面的价值得到了充分证实。然而,不同 TPO-RA 在临床疗效和治疗成本方面存在显著差异,亟需通过系统评价为临床用药和药品管理提供依据。本研究依据《遴选指南》,使用叁智药品临床综合评价系统,从 5 个维度对非肽类 TPO-RA 进行量化评估,不仅全

面揭示了各药的临床效用差异,更为医疗机构药品遴选和集采决策提供了客观数据支撑。叁智药品临床综合评价系统的应用通过标准化流程和加权计算方法,提升了评价的准确性与全面性,使研究方法和操作流程更具科学性。

从评价结果来看,艾曲泊帕乙醇胺片以综合得分 78.60 分居首位,其优势源于通过仿制药一致性评价后的优异药学特性、完备的长期安全性数据及显著的经济性,印证了其作为非肽类 TPO-RA 优选品种的地位。马来酸阿伐曲泊帕片与芦曲泊帕片则展现出差异化优势:前者因无需剂量调整在安全性维度表现突出,后者在经济性方面更具竞争力,提示临床需结合患者个体特征(如肝功能状态、支付能力)精准选择药品。海曲泊帕乙醇胺片以 67.03 分居末位,主要受限于上市时间短、RCT 样本量不足及真实世界数据匮乏,导致循证证据评分较

表 8 5 种非肽类 TPO-RA 的其他属性评分

药品名称	医保(分)	基本药物(分)	国家集中带量采购(简称“集采”)药品(分)	原研/参比/一致性评价(分)	生产企业状况(全球五十强排行榜)(分)	全球使用情况(分)	总分/分
马来酸阿伐曲泊帕片	国家医保乙类,有支付限制条件(1.50)	非基本药物(1.00)	非集采(0)	原研药品(1.00)	未在世界销量前 50 名的制药企业、工业和信息化部医药工业百强榜单内(0)	在中国、美国、日本已上市(0.50)	4.00
芦曲泊帕片	国家医保乙类,有支付限制条件(1.50)	非基本药物(1.00)	非集采(0)	原研药品(1.00)	未在世界销量前 50 名的制药企业、工业和信息化部医药工业百强榜单内(0)	在中国、美国、日本已上市(0.50)	4.00
海曲泊帕乙醇胺片	国家医保乙类,有支付限制条件(1.50)	非基本药物(1.00)	非集采(0)	原研药品(1.00)	在 2024 年度工业和信息化部医药工业百强榜内,排名第 8 位(1.00)	仅在中国上市(0)	4.50
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	国家医保乙类,有支付限制条件(1.50)	非基本药物(1.00)	非集采(0)	原研药品(1.00)	未在世界销量前 50 名的制药企业、工业和信息化部医药工业百强榜单内(0)	中国、美国、欧洲、日本均已上市(1.00)	4.50
艾曲泊帕乙醇胺片	国家医保乙类,有支付限制条件(1.50)	非基本药物(1.00)	非集采(0)	通过一致性评价仿制药品(0.50)	在 2024 年度工业和信息化部医药工业百强榜内,排名第 9 位(1.00)	仅在中国上市(0)	4.00

表 9 5 种非肽类 TPO-RA 的综合评分(分)

药品名称	药性特性(28 分)	有效性(27 分)	安全性(25 分)	经济学(10 分)	其他属性(10 分)	总分(100 分)
马来酸阿伐曲泊帕片	26.00	23.00	14.00	6.72	4.00	73.72
芦曲泊帕片	26.50	23.00	10.50	10.00	4.00	74.00
海曲泊帕乙醇胺片	23.00	21.00	10.00	8.53	4.50	67.03
艾曲泊帕乙醇胺片(进口)	25.00	25.00	13.00	6.82	4.50	74.32
艾曲泊帕乙醇胺片	26.00	25.00	13.60	10.00	4.00	78.60

低,这也凸显了创新药上市后持续积累临床证据的重要性。此外,本研究仅针对药品说明书获批适应证进行评价,而临床中超说明书用药现象较为普遍,建议医疗机构结合实际诊疗需求和药物特性,动态调整采购策略。

本研究仍存在一定局限性:(1)评价范围限于 2 家医疗机构已采购及临时采购的 5 种药品,未能覆盖国内已上市的全部非肽类 TPO-RA,可能影响结果的全面性,但不影响结果的正确性;(2)纳入的药品以进口品种为主,仅包含 1 个同规格国产药品,而不同厂家生产的药品在药剂学特性、经济性 & 政策适配性方面存在差异,可能导致评分结果无法完全外推至其他产品,临床参考时需结合具体药品特性进行调整;(3)非肽类 TPO-RA 在国内上市时间较短,部分药品的适应证拓展、指南推荐级别及医保报销政策仍待完善,且循证证据和价格信息均处于动态变化中,现有评价结果的时效性需进一步提升。

展望未来,需从多维度推进研究深化:(1)扩大评价范围,纳入广西壮族自治区内不同生产企业的非肽类 TPO-RA,通过形成区域专家共识提升结果的代表性和推广价值;(2)建立动态评价机制,持续追踪新循证医学证据、医保政策调整及市场价格波动,确保评价结果的时效性和准确性,为医疗机构药品管理提供实时参考;(3)聚焦药物的个体化应用,探索不同 TPO-RA 在特殊人群中的疗效和安全性差异,推动治疗方案的精准化优化;(4)强化创新药上市后证据积累,通过药物警戒系统和真实世界研究网络,补充海曲泊帕乙醇胺片等新药的循证数据,为其临床定位提供依据。

综上所述,本研究通过标准化评价为非肽类 TPO-RA 的合理使用奠定了基础,未来需通过持续优化评价体系、拓展研究维度,进一步推动“数智化转型”在医院药学管理中的实践,助力医疗资源的高效配置和患者治疗效益的最大化。

(利益冲突:所有作者均声明不存在利益冲突)

参考文献

[1] 中华医学会内科学分会,王建祥,张奉春,等. 中国成人血小板减少症诊疗专家共识[J]. 中华内科杂志, 2020, 59(7): 498-510.

[2] 全军重症医学专业委员会,中华医学会检验医学分会. 中国成人重症患者血小板减少诊疗专家共识[J]. 解放军医学杂志, 2020, 45(5): 457-474.

[3] 中华医学会血液学分会血栓与止血学组. 成人原发性血小板减少症诊断与治疗中国指南(2020 年版)[J]. 中华血液学杂志, 2020, 41(8): 617-623.

[4] MOULIS G, PALMARE A, MONTASTRUC J L, et al. Epidemiology of incident immune thrombocytopenia: a nationwide population-based study in France[J]. Blood, 2014, 124(22): 3308-3315.

[5] 中华医学会肝病学会肝纤维化、肝硬化及门静脉高压学组. 肝硬化血小板减少症临床管理实用指南[J]. 中华肝脏病杂志, 2024, 32(10): 865-871.

[6] 刘明霞,韩凤生,刘延珍,等. 血小板生成素受体激动剂研发进展及安全性特征[J]. 药学研究, 2024, 43(2): 184-188, 193.

[7] 施美,乔彤彤,籍祥瑞,等. 血小板生成素受体激动剂治疗原发性免疫性血小板减少症的研究现状[J]. 中国现代医生, 2024, 62(17): 111-114, 117.

[8] GHANIMA W, COOPER N, RODEGHIERO F, et al. Thrombopoietin receptor agonists: ten years later[J]. Haematologica, 2019, 104(6): 1112-1123.

[9] 赵志刚,董占军,刘建平. 中国医疗机构药品评价与遴选快速指南(第二版)[J]. 医药导报, 2023, 42(4): 447-456.

[10] 计成,周兵,朱鹏里,等. 基于《中国医疗机构药品评价与遴选快速指南(第二版)》的原研纳-葡萄糖协同转运蛋白 2 抑制剂综合评价[J]. 医药导报, 2025, 44(2): 251-258.

[11] NEUNERT C, TERRELL D R, ARNOLD D M, et al. American Society of Hematology 2019 guidelines for immune thrombocytopenia [J]. Blood Adv, 2019, 3(23): 3829-3866.

[12] 中国儿童原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗指南改编工作组,中华医学会儿科学分会血液学组,中华儿科杂志编辑委员会. 中国儿童原发性免疫性血小板减少症诊断与治疗改编指南(2021 版)[J]. 中华儿科杂志, 2021, 59(10): 810-819.

[13] MEI H, ZHOU H, HOU M, et al. Avatrombopag for adult chronic primary immune thrombocytopenia: a randomized phase 3 trial in China[J]. Res Pract Thromb Haemost, 2023, 7(6): 102158.

(下转第 485 页)