

Jakavi新适应症：真性红细胞增多症

早前诺华（Novartis）研发的口服JAK激酶抑制剂Jakavi（ruxolitinib）在欧盟收获了新适应症——用于对羟基脲（hydroxyurea）有抵抗或不耐受的真性红细胞增多症（PV，简称“真红”）成人患者的治疗，该药也成为欧盟批准的首个PV靶向治疗药物。此前，Jakavi已于2012年8月获欧盟批准用于骨纤维化的治疗。在美国，FDA分别于2011年11月和2014年12月批准Jakafi（ruxolitinib）骨纤维化和真性红细胞增多症（PV）适应症，该药也是FDA批准的首个骨纤维化和首个“真红”治疗药物。



Jakavi新适应症：真性红细胞增多症

Jakavi PV新适应症的获批，是基于关键性III期RESPONSE研究的积极数据。研究

中，222例对羟基脲有抵抗或不耐受的真性红细胞增多症（PV）患者随机接受 ruxolitinib（10mg，每日2次）或最佳疗法（研究人员选择的单药疗法或仅仅观察）。数据显示，该研究达到了维持红细胞压积（红细胞体积）受控而无需放血（phlebotomy，从身体中除去一部分血液以减少红细胞浓度）的主要终点，同时降低了PV患者脾脏大小。Jakavi治疗组有70%的患者实现了血细胞比容控制或脾脏体积缩小，而最佳支持疗法治疗组为20%。

真性红细胞增多症（polycythemia vera, PV）是一种慢性、无法治愈的血液癌症，该病与血细胞生产过剩相关，导致血液增稠，血液凝块风险增加。这些血凝块可导致严重心血管并发症，如中风和心脏病发作，从而增加病发率和死亡率。红细胞增多症患者，常有脾脏肿大及额外衰弱的症状。许多患者经常规治疗后会变得不耐受或抵抗，这与病情恶化的风险升高有关。

Jakavi（ruxolitinib）是一种口服JAK1和JAK2酪氨酸激酶抑制剂，由诺华从Incyte公司授权获得ruxolitinib在美国以外的开发和商业化权利。在欧盟，Jakavi于2012年8月获批用于治疗中级或高危骨髓纤维化，包括原发性骨髓纤维化，真性红细胞增多症后骨髓纤维化和原发性血小板增多症后骨髓纤维化。目前，Jakavi已获全球50多个国家批准。