

康哲®

丁苯那嗪片 (Tetrabenazine Tablets)

天津康哲维盛医药科技发展有限公司

目录

content

01 基础信息

02 安全性

03 有效性

04 创新性

05 公平性

丁苯那嗪片 药品基本信息

| | |
|---------------|---|
| 药品通用名称 | 丁苯那嗪片 |
| 注册规格 | 12.5mg; 25mg |
| 说明书适应症/功能主治 | 本品用于 治疗亨廷顿病相关的舞蹈症 |
| 用法用量 | 本品长期日剂量依患者个体进行调整。以数周时间缓慢调整本品服用剂量，直到确定可以改善舞蹈症状且可耐受为止。服用本品不受饮食影响（参见【药代动力学】详细剂量见说明书）。 |
| 中国大陆首次上市时间 | 2023年5月12日 |
| 全球首个上市国及上市时间 | 美国，2008年8月15日。 |
| 是否为OTC药品 | 否 |
| 疾病基本情况与未满足需求 | 亨廷顿舞蹈病是一种罕见的常染色体显性遗传的中枢神经系统神经退行性疾病（已纳入2018年《第一批罕见病目录》），症状包括不自主舞蹈样症状、认知障碍和精神障碍。 丁苯那嗪是全球首个用于治疗亨廷顿舞蹈症的药物。 |
| 大陆地区患病率与年患病总数 | 全世界 HD 的患病率约为 2.7/10万，发病率约为每年 0.38/10万。欧洲、北美、澳大利亚的患病率约为 5.7/10万，亚洲的患病率约为 0.4/10万。 ^[1,2] |

[1] Pringsheim T, Wiltshire K, Day L, Dykeman J, Steeves T, Jette N. The incidence and prevalence of Huntington's disease: a systematic review and meta-analysis. *Mov Disord.* 2012 Aug;27(9):1083-91.

[2] 罕见病诊疗指南（2019年版）

参照药建议：氘丁苯那嗪

参照药选择原因：

氘丁苯那嗪片是目前国内**唯一获批**的治疗亨廷顿舞蹈症的药品，且在医保目录内。

药品说明书具体的说明

- **【不良反应】** 抑郁与自杀倾向、神经抑制剂恶性综合征、静坐不能、躁动与激越、帕金森症、镇静与嗜睡、QTc 间期延长、低血压与直立性低血压、高催乳素血症、与含黑色素组织的结合作用。
- **【禁忌】** 有主动自杀行为以及未接受治疗或治疗不完全的抑郁患者禁用、肝功能损害患者禁用、正在服用单胺氧化酶抑制剂的患者禁用、正在服用利血平的患者禁用, 利血平停药至少20天后才能开始服用、正在服用氘代丁苯那嗪或者valbenazine的患者禁用。
- **【特殊人群】** 肝功能损害患者禁用丁苯那嗪片、在怀孕妇女、老年、儿童中用药的安全性尚不清楚、对母乳喂养婴儿、对泌乳的影响未知。

上市后的监测数据

- **本品上市5年内各药监部门未发布相关安全信息**
- **本品说明书的警示语：抑郁与自杀倾向**
- 服用丁苯那嗪片的亨廷顿舞蹈症患者，抑郁与自杀想法/自杀行为（自杀倾向）的风险增加。
- 在本品批准后使用期间发现了其他不良反应。因为这些不良反应均来自于自发报告且报告的人群规模不确定，所以通常不能准确估计其发生率，也不能确定其与药物暴露的因果关系。
 - 神经系统疾病：震颤。
 - 精神病类：意识模糊、攻击行为加重。
 - 呼吸系统、胸及纵隔疾病：感染性肺炎。
 - 皮肤及皮下组织类疾病：多汗、皮疹。

治疗方法

一项随机、双盲、安慰剂对照多中心研究纳入84名HD患者，随机分为两组，分别接受丁苯那嗪片（n=54）或安慰剂（n=30）的治疗，为期12周。

丁苯那嗪片（12.5mg/片）初始剂量为1片/天，然后在7周内以每周增加1片/天的频率调整剂量，直到舞蹈症得到有效控制、或出现无法耐受的副作用为止；

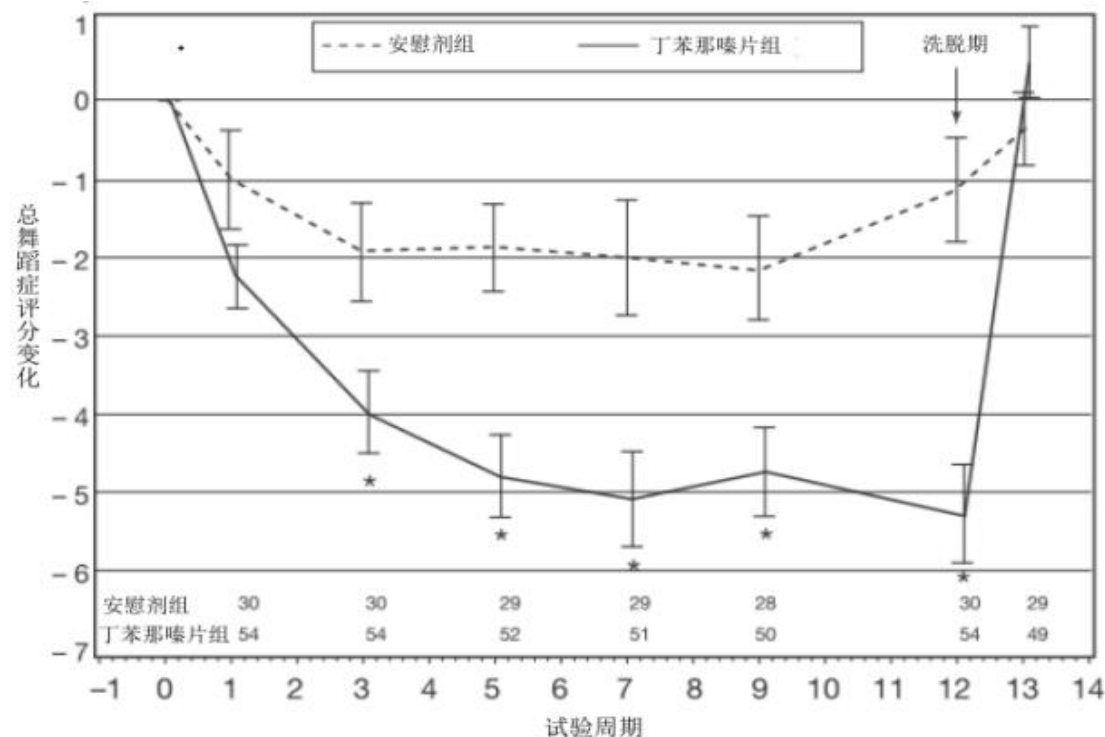
接下来5周内维持剂量，12周后停止服药，并给予1周的清洗期。

期间对受试者进行定期检查，通过UHDRS总舞蹈症评分评价治疗效果（总评分为0-28单位，0代表没有舞蹈症）。

研究结果

在剂量维持期间（第9、12周受试者评分均值相较于基线值），丁苯那嗪组总舞蹈症评分减少约5.0单位，而安慰剂组减少约1.5单位，3.5单位的治疗效果差异具有统计学意义。

丁苯那嗪可有效改善亨廷顿病相关患者的舞蹈症。



《2019亨廷顿病的国际指南》

丁苯那嗪是治疗亨廷顿舞蹈症的一线药物。
(A级推荐)

《罕见病诊疗指南2019版》

初始药物治疗建议采用丁苯那嗪。

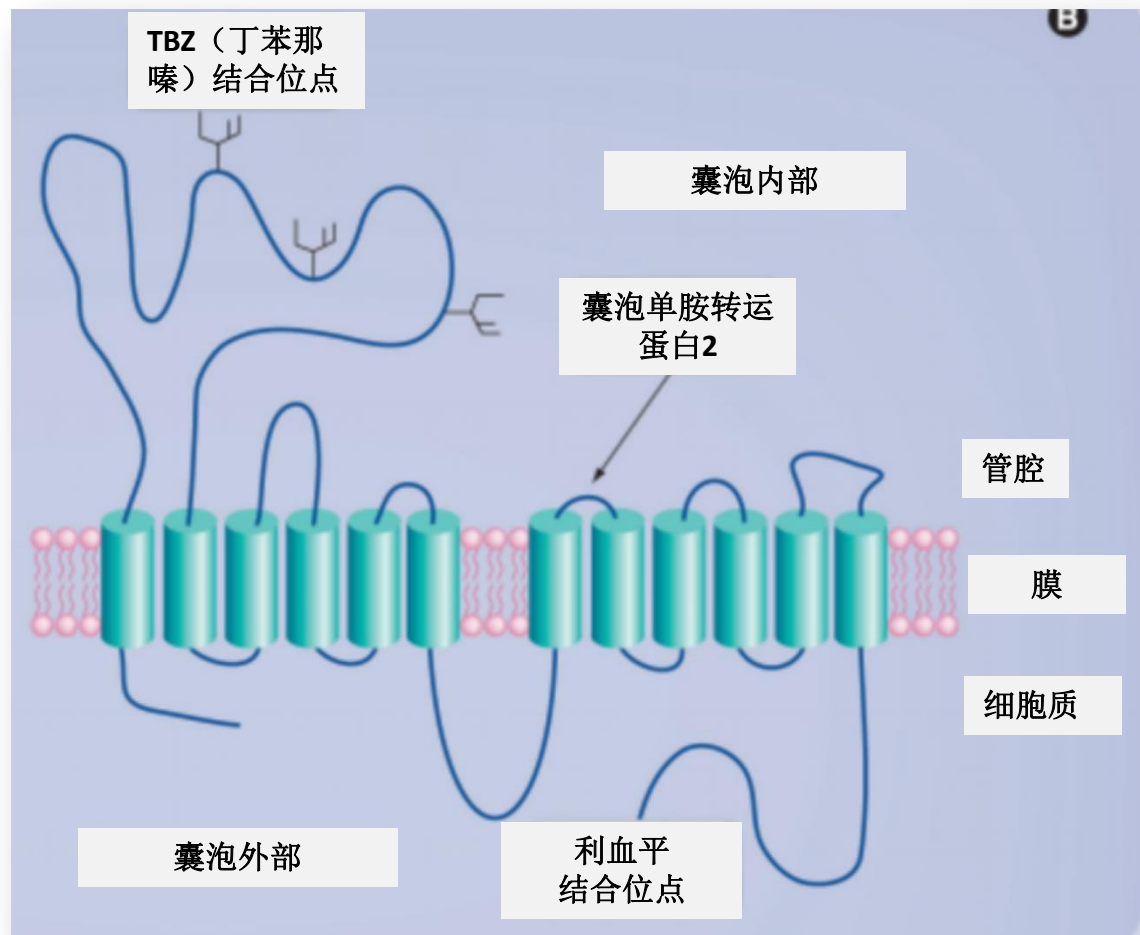


《2012AAN 亨廷顿舞蹈症药物治疗指南》

如果HD舞蹈病需要治疗，临床医师应给予丁苯那嗪治疗，可有不同程度的获益。

《2011亨廷顿病的诊断与治疗指南》

目前临床治疗舞蹈样症状，首选丁苯那嗪。



- 相较于其他亨廷顿病舞蹈症的治疗药物，**丁苯那嗪**通过可逆性的抑制中枢神经系统的**单胺转运蛋白2 (VMAT 2)**来降低单胺类化合物，如5羟色胺，多巴胺和去甲肾上腺素等的供应，从而产生药理活性，使其成为一线用药。

- 亨廷顿舞蹈症被纳入《**第一批罕见病目录**》，目前目录内仅有**氘丁苯那嗪**可供临床使用，**丁苯那嗪**为亨廷顿舞蹈症罕见病患者提供更多选择。

亨廷顿舞蹈症治疗现状

- 亨廷顿舞蹈症是一种遗传性的神经退行性疾病，患者子女，不分男女，均有50%的机会遗传到此病。一般发病年龄约为30-50岁之间，约10%的患者会在20岁之前发病，称为少年型舞蹈症，未经治疗的患者，发病后平均寿命约为15-20年。
- 由于药效、副作用、费用和购药难等现实原因，大多数患者未能坚持服药。
- 丁苯那嗪是FDA批准的首个HD治疗药物，患者可享受性价比更高的治疗体验。



丁苯那嗪经济性、适应性好

- 目录内同治疗领域**氙丁苯那嗪**治疗费用过高，最低治疗剂量的日治疗费用为78.2元，根据患者具体情况调整治疗剂量后，日治疗费用将更高。
- 本品日治疗费用为**N元**，远小于**氙丁苯那嗪**，能够为医保基金节省较大空间，为临床患者提供新的治疗选择，使患者的HD症状得到有效改善的同时，降低患者的经济负担和社会医疗成本。
- 本品说明书适应症用法用量明确，临床滥用风险或潜在超说明书用药的可能性低，临床易于管理。