

马立巴韦片

新增儿童适应症 (12岁及以上)

全球首个且唯一*获批儿童患者移植后难治性/耐药性巨细胞病毒感染/疾病的治疗药物

武田（中国）国际贸易有限公司

目录

1. 基本信息

全球**首个且唯一*****获批儿童患者****移植后**难治性/耐药性**CMV感染/疾病的药物

2. 安全性

儿童用药安全性良好，药物相关的骨髓抑制与肾毒性罕见

3. 有效性

儿童用药疗效特征与成人一致，可实现病毒血症清除率翻倍，降低移植后患者死亡率

4. 创新性

创新机制、口服给药**全面提升儿童治疗获益**

5. 公平性

填补目录内儿童患者移植后难治性/耐药性CMV感染/疾病治疗空白，基金影响极小

* 截至2026年06月；当前首仿获批，但是其未获批儿童适应症

** 儿童患者特指为12岁-18岁（不含）患者，下文同

CMV：巨细胞病毒

新增儿童适应症：移植后难治性/耐药性CMV感染/疾病的儿童患者（12岁及以上）



马立巴韦片基本信息¹

通用名	马立巴韦片		
注册规格	0.2g		
适应症	治疗造血干细胞移植或实体器官移植后巨细胞病毒（CMV）感染和/或疾病，且对一种或多种既往治疗（更昔洛韦、缙更昔洛韦、西多福韦或膦甲酸钠）难治（伴或不伴基因型耐药）的 成人和儿童患者（12岁及以上，且体重至少35kg）		
用法用量	口服给药；推荐剂量为每次0.4g（2片0.2g片剂），每日两次； 推荐给药8周		
儿童适应症获批时间	2025年12月	中国大陆首次上市时间	2023年12月
全球首次上市时间及国家/地区	美国，2021年	独家品种	否 （仿制药未获批儿童适应症）
药品注册分类	化学药品5.1类	是否为OTC药物	否

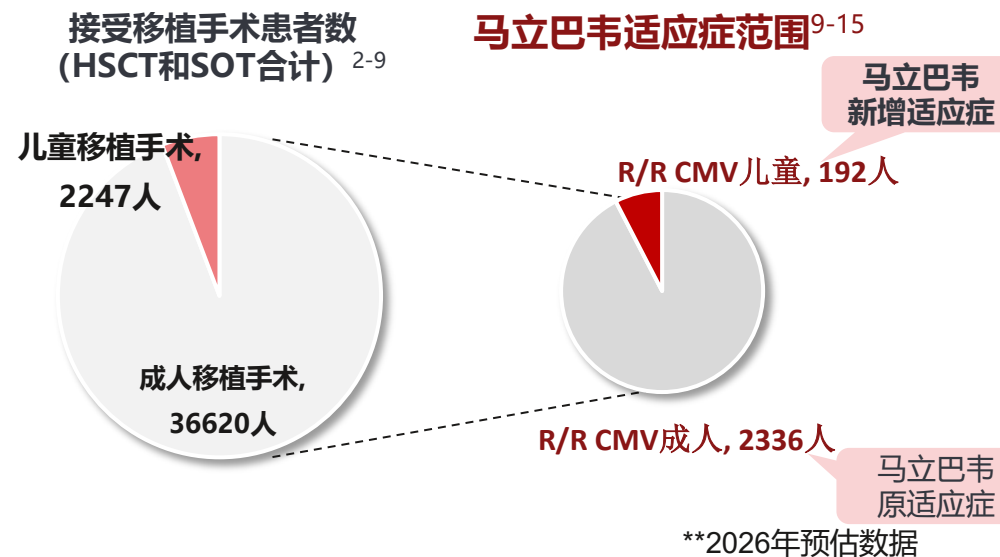


建议**无参照药品**

全球首个且唯一*获批儿童患者移植后难治性/耐药性CMV感染/疾病的治疗药物



**儿童患者每年仅约 192人
（不到成人1/10）**



*以药监部门审批为准，截至2026年06月

1. 马立巴韦说明书
 2. http://www.szkid.com.cn/wy/gk/vyxw/content/post_1138098.html
 3. <https://news.xinmin.cn/2024/09/21/32741207.html#:~:text=%E8%BF%91%E5%B9%B4%E6%9D%A5%EF%BC%8C%E6%88%91%E5%9B%BD%E9%AA%A8%E9%AB%93,%E8%80%85%E6%95%B0%E4%B9%9F%E5%BE%97%E4%BB%A5%E5%89%A7%E5%A2%9E%E3%80%82>
 4. 任汉云. 异基因造血干细胞移植治疗恶性血液病的现状及展望 [J]. 中国临床新医学, 2023, 16 (11): 1105-1109.
 5. Chang YJ, et al. Lancet Haematol. 2022 Dec;9(12):e919-e929.

6. 中国器官移植发展报告2023
 7. 中国器官移植发展报告2022, 根据心肺肝肾移植患者比例加权计算18岁以上人群
 8. 王少发, 陈孝平. 中国器官移植发展历程与器官捐献[J]. 中华器官移植杂志, 2023, 44(11): 689-693
 9. 第七次人口普查数据
 10. P351 EBMT 2024 China scoping review and meta-analysis
 11. Marty FM. Letermovir Prophylaxis for Cytomegalovirus in Hematopoietic-Cell Transplantation. N Engl J Med. 2017 Dec 21;377(25):2433-2444.

12. Kim DJ, et al. Sci Rep. 2023 Feb 13;13(1):2551.
 13. Epidemiology, clinical outcomes and treatment patterns of cytomegalovirus infection after organ transplant in China: a scoping review and meta-analysis
 14. 专家咨询
 15. Epidemiology of Resistant and Refractory Cytomegalovirus Infection Following Solid Organ or Hematopoietic Stem Cell Transplant: A Systematic Review. EBMT.P120

儿童移植后难治性/耐药性CMV病死率高；缺标准疗法，超说明书用药毒副大，未满足需求迫切

CMV感染可导致患儿死亡，移植后难治性/耐药性CMV死亡率更高

- CMV感染是儿童患者移植后的**常见并发症**¹
 - 我国**儿童HSCT**受者即使采用来特莫韦预防，仍有超**40%**的患儿发生**CMV感染**²
 - **儿童SOT**受者即使接受预防治疗，仍有**23%**的患儿发生**CMV感染**³
- CMV感染可累及肺部、胃肠道、神经系统等，其中**最常见的CMV肺炎病死率高达70%**⁴
- 相比于非难治患者，**难治性CMV感染患者非复发死亡率、CMV相关死亡率、全因死亡率显著更高**^{5,6}

传统药物超说明书用药存在严重骨髓抑制和肾毒性等毒副作用，且交叉耐药风险高

传统治疗方案主要包括更昔洛韦、缬更昔洛韦、膦甲酸钠，**局限明显**：

- ✘ **无儿童难治性/耐药性CMV感染/疾病适应症**
- ✘ **难以清除病毒血症，增加移植物失败风险**⁷⁻¹¹
- ✘ **毒副作用严重**，如骨髓抑制、肾损伤等^{12,13}
- ✘ 机制相似，部分耐药位点相同，易出现**交叉耐药**
- ✘ 影响免疫抑制剂的使用，可导致**排斥反应加重**，增加疾病管理难度¹⁴⁻¹⁶

1. Li, XS., Wang, ZT., Wu, B. et al.. World J Pediatr 21, 597–612 (2025)
 2. Xu Z, et al. Front Cell Infect Microbiol. 2025 Jun 3;15:1558637
 3. Valencia KG, et al. Am J Transplant. 2022 Jan;22(1):187-198
 4. 中华医学会血液学分会干细胞应用学组.中华血液学杂志,2022,43(8):617-623
 5. Liu J, et al. Clin Microbiol Infect 2015;21 1121.e9–
 6. Karantoni E, et al. Transplant Cell Ther. 2022 Jul;28(7):403.e1-403.e7

7. Demirhan S, et al. Am J Transplant. 2023 Dec;23(12):1961-1971.
 8. Liverman R, et al. Pediatr Transplant. 2023 Jun;27(4):e14493.
 9. Galar A, et al. Antibiotics (Basel). 2021 Jan 15;10(1):77.
 10. Razonable RR, et al. Clin Transplant. 2019;33(9):e13512
 11. Dobrer S, et al. Front Immunol . 2024 Jan 31;14:1302627
 12. Takahata M, et al. Transpl Infect Dis. 2015 Dec;17(6):810-5

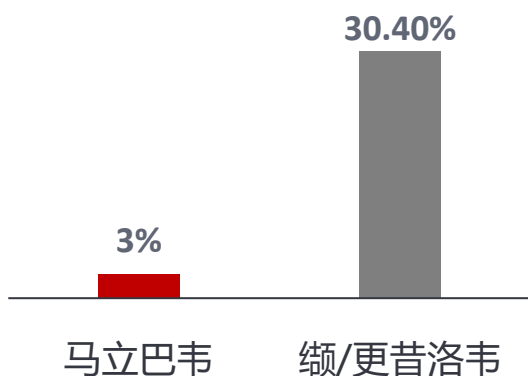
13. Avery RK, et a. Transplantation. 2016 Oct;100(10):e74-80
 14. 中华医学会器官移植学分会等. 中国肾移植受者巨细胞病毒感染临床诊疗指南（2023版）
 15. Baek CH et al. Ann Transplant. 2018 Oct 9;23:704–712.
 16. Kranz B, et al. Pediatr Transplant. 2008 Jun;12(4):474-8.

儿童用药安全性突出：骨髓抑制与肾毒性罕见

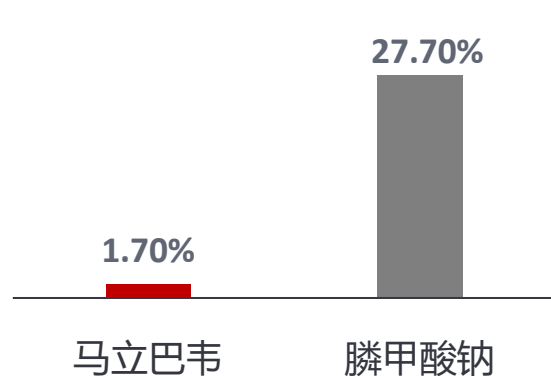
PopPK 模型外推：儿童用药安全性与成人相当

基于成人数据建立的群体药代动力学 (PopPK) 模型外推结果显示：体重 ≥ 35 kg **青少年** (≥ 12 岁) 采用马立巴韦400 mg每日两次的给药方案**预期安全性与成人三期临床研究相当**^{1,2}

马立巴韦治疗相关的骨髓抑制发生率**不到缙/更昔洛韦1/10**



马立巴韦治疗相关的肾毒性发生率**不到磷甲酸钠的1/16**



^a骨髓抑制包括贫血、白细胞减少症、中性粒细胞减少症、发热性中性粒细胞减少症和血小板减少症

^b肾毒性包括急性肾损伤、肾功能损害、中毒性肾病和肾衰竭

真实世界数据：儿童用药安全性良好

美国多中心儿童用药回顾性研究证实 (n=23)：儿童用药耐受性良好，无严重骨髓抑制/肾毒性³

✓ 骨髓抑制停药率：0/23

✓ 肾毒性停药率：0/23

上市后安全性信息

马立巴韦已在多国获批 (美国、加拿大、欧洲等)，全球药监部门未发布过任何安全性警告，全球无黑框警告

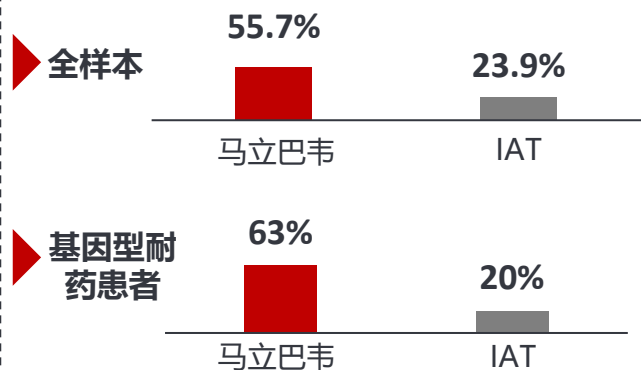
儿童疗效比肩成人：CMV清除率翻倍（耐药患者≥3倍），降低移植后死亡率

PopPK 模型外推：儿童用药疗效与成人相当

基于成人数据建立的群体药代动力学（PopPK）模型外推结果显示：体重 ≥ 35 kg **青少年** (≥ 12 岁) 采用马立巴韦400 mg每日两次的给药方案**疗效特征和成人三期临床研究相当**^{1,2}

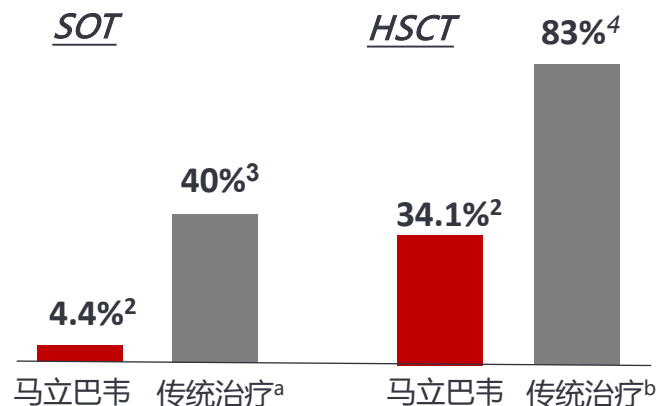
马立巴韦病毒血症清除率翻倍，耐药患者中高达3倍以上

CMV病毒血症清除的患者比例 (第8周)



IAT: 研究者分配的治疗, 包括更昔洛韦、缙更昔洛韦、膦甲酸钠、西多福韦及剂量调整/换药

马立巴韦组12个月死亡率低于既往报道#



非直接比较

^a 西多福韦治疗难治性/耐药性CMV感染/疾病患者

^b 膦甲酸钠治疗更昔洛韦耐药或难治性的CMV感染/疾病患者

真实世界数据：实践验证疗效

- 马立巴韦自2021年11月在美国获批12岁及以上适应症，疗效被充分验证
- 美国多中心儿童用药回顾性研究证实 (n=23)⁵:

56.5% 儿童患者CMV病毒血症完全消退⁵

马立巴韦作为移植后难治性/耐药性CMV儿童患者唯一获批用药，已获国内外权威指南一致推荐

HSCT 指南推荐



血液恶性肿瘤患者巨细胞病毒感染管理
中国专家共识（2026年版）¹

针对**儿童R/R CMV感染**，**马立巴韦为首选治疗药物**



2025意大利儿童异基因造血干细胞移植中
巨细胞病毒感染管理的专家共识²



2025 ASTCT指南：造血细胞移植和细胞治
疗受者巨细胞病毒的管理³



2025欧洲白血病感染会议关于血液系统恶
性肿瘤患者和干细胞移植后巨细胞病毒感染
的管理指南⁴

SOT 指南推荐

《第四版实体器官移植中巨细胞病毒管理国际共识指南》
(2025)⁵

建议将**马立巴韦**作为治疗方案，适用于**12岁及以上、体重≥35千克**
且对常规治疗产生**耐药性/难治性**的**儿童器官移植受者**中的巨细胞病
毒感染/疾病（推荐强度：强）

2023《中国肾移植受者巨细胞病毒感染临床诊疗指南》⁶

马立巴韦被美国FDA批准用于治疗患有移植后CMV感染或CMV病，
且对更昔洛韦、缬更昔洛韦、西多福韦或膦甲酸钠耐药或治疗无效的
成人和**儿童受者（12岁及以上，体质量至少35 kg）**

创新机制全面提升儿童治疗获益，破解移植后难治性/耐药性CMV儿童治疗难题



创新机制提升儿童获益

新靶点

首个靶向并抑制CMV pUL97蛋白激酶的药物，**安全性更优**（传统药物均作用CMV DNA聚合酶，可影响正常细胞导致骨髓抑制等多种不良反应）

新机制

三重作用机制发挥**强效抗病毒**活性作用
(传统药物仅抑制病毒DNA合成)

新代谢途径

首个通过肝代谢的CMV治疗药物，可**减少对于肾脏的损害**（传统药物均通过肾代谢）

新应用

口服给药，对于吞咽障碍的儿童人群，通过鼻胃或口胃管给予分散片剂

- ✓ **安全高效清除病毒**，降低患儿死亡率
- ✓ **提升儿童用药便利性和依从性**，易于临床管理
- ✓ **减少住院和输注治疗**，降低患儿家庭医疗支出和照护负担



获国内外创新认证



获得我国CDE **突破性治疗品种** 认定



获得美国FDA**突破性疗法**，First-in-class，孤儿药认定

马立巴韦填补儿童患者治疗空白，弥补医保目录短板，契合国家鼓励完善儿童用药供应保障的导向

弥补医保目录短板

- 马立巴韦为目前**首个且唯一获批***的针对**儿童患者**移植后难治性/耐药性CMV感染/疾病的治疗药物，**填补临床和医保药品目录该治疗领域空白**

降低临床管理难度

- 马立巴韦适应症及**用药指征明确，无药物滥用风险**
- 马立巴韦疗效卓越，安全性良好，可减少移植患者术后严重并发症（如CMV肺炎）和死亡事件的发生，**降低移植患儿临床管理难度**
- 口服给药**，减少住院和输注治疗，降低临床用药管理难度

促进公共健康

- 移植后难治性/耐药性CMV感染患者疾病负担沉重，存在移植失败乃至死亡的风险；马立巴韦可帮助**改善移植患者术后结局，降低移植失败率和死亡风险**
- 本品新增儿童适应症，可进一步**提升儿童用药保障水平**，促进儿童群体健康公平

符合“保基本”原则

- 难治性/耐药性CMV**儿童患者死亡率极高**，马立巴韦可提高CMV病毒清除率，挽救更多患儿生命
- 预计2026年移植后难治/耐药儿童患者**仅约192人，人群极其有限，医保基金影响可控**；并可降低患者的住院率及住院时间，节约医疗费用