

编码：YPSW202600070

2026年国家医保药品目录调整
申报材料（公示版）



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

药品名称： 马塔西单抗注射液

企业名称： 辉瑞投资有限公司

申报信息

申报时间	2026-06-05 16:53:05	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2021年1月1日（含，下同）至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准上市或已完成技术审评的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，适应症或功能主治发生重大变化，且针对此次变更获得药品批准证明文件的药品。
- 3.2020年1月1日后国家药监部门附条件批准上市且于2023年1月1日至2026年5月31日期间转为常规批准的新通用名药品（不含新适应症或功能主治）。
- 4.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入现行版《国家基本药物目录》的药品。
- 5.纳入《商业健康保险创新药品目录》（2025年）的药品。
- 6.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入国家卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》《第五批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》《第三批鼓励仿制药品目录》《第四批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 7.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。
- 8.2020年1月1日以后谈判准入的品种，因未能成功续约而被调出目录的，首个同通用名药品于2021年1月1日至2026年5月31日期间获批上市的，但原谈判企业品种不能申报。

药品通用名称（中文、含剂型）	马塔西单抗注射液	商品名	友瑞宁
医保药品分类与代码	XB02BXM198B002010178718	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	1类治疗用生物制品		
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2036-08
核心专利类型1	化合物专利	核心专利权期限届满日1	2036-08
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	150mg（1mL）/支		
上市许可持有人（授权企业）	Pfizer Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于患有以下疾病且体重≥35kg的12岁及以上儿童和成人患者的常规预防治疗，以防止出血或降低出血发作的频率：不存在凝血因子VIII抑制物的重型A型血友病（先天性凝血因子VIII缺乏，FVIII<1%）或，不存在凝血因子IX抑制物的重型B型血友病（先天性凝血因子IX缺乏，FIX<1%）。		
说明书用法用量	【负荷剂量】首次皮下注射300mg；【维持剂量】负荷剂量给药后1周，开始维持剂量给药，每周一次，即每周在同一天中的任意时间皮下注射150mg。【剂量调整】经专业医护人员判定当前剂量不足以控制出血事件时，可考虑将体重≥50kg的患者的剂量调整为每周皮下注射300mg（关键III期研究中有12%患者在6个月后需要调整至300mg）。		
所治疗疾病基本情况	目前我国82%成人患者主要以因子按需治疗，治疗不足导致未满足需求显著。【频繁出血】中国成人平均出血52次/年【残疾率高】频繁出血导致关节病变，30岁以上残疾率90%，成人就业率35%、结婚率16%【频繁静脉输注】年静脉注射50-100次【经济负担重】因子药品30-100万/年，根据体重、频率等多因素调整。因子预防用量高、按需治疗的用量差异大，难管理。真实世界研究，人均直接医疗成本45.5万/年。		
是否已获批上市	是，已获得注册批件		
中国大陆首次上市时间	2025-11	注册证号/批准文号	国药准字SJ20250026

该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	2024-10
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	随着非因子出现，最新《血友病治疗中国指南（2025年版）》对治疗重新定义，将替代治疗分为临时（即按需治疗）和规律替代治疗（即预防治疗），并进一步细分为因子和非因子规律替代治疗。非因子药物以皮下注射方式给药，操作便捷，避免因子静脉穿刺痛苦，提高依从性和生活质量。目前医保目录内无非因子药物，非因子药物血药浓度稳定，疗效持续，可将年均出血次数从现在因子的52次降至约3次，显著降低残疾率至0%，帮助患者回归社会。已上市的非因子包括马塔西单抗注射液、艾美赛珠单抗注射液和芬妥司兰钠注射液，均暂未纳入医保。马塔西单抗覆盖血友病A+B，是唯一无黑框警告、关键三期研究未发生血栓事件、固定剂量且无需监测的非因子药物，兼顾强效止血、安全耐受、使用便捷、医保好管理。芬妥司兰钠存在血栓相关黑框警告（原三期临床研究80mg每月给药方案因严重血栓未申报获批），且需监测抗凝血酶水平并据此调节剂量（抗凝血酶<15%会增加血栓风险、>35%会影响出血控制效果）。艾美赛珠单抗只能覆盖血友病A，存在血栓相关黑框警告，且需根据体重调整剂量，易造成剂量浪费。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书-盖章签字版.pdf		
药品最新版法定说明书（ 预申报药品请先上传提交至药监部门审批的说明书，并在规定时间内上传经药监部门审核的说明书 ）	↓ 下载文件 马塔西单抗注射液说明书20251118.pdf		
所有《药品注册证书》（国产药品）或《进口药品注册证》（进口药品），包括首次上市的批准注册证明文件和历次《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》，请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件 马塔西单抗注射液注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 马塔西单抗注射液PPT1.pptx		
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 马塔西单抗注射液PPT2.pptx		

参照药品信息

说明：

- 参照药品原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品，最终参照药品认定以专家评审意见为准。
- 中成药：一律填写日均费用。
- 西药：
 - 慢性病用药，原则上计算日费用，如有治疗周期，标注治疗周期。
 - 急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
 - 肿瘤、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用，如说明书中严格限定了治疗周期，可按治疗周期计算疗程费用，并予以说明。
 - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
 - 计算过程中如涉及以下指标，请统一按以下标准计算上述费用，如未按以下标准，请说明。
 - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
 - 成人：18周岁及以上，体重65公斤，体表面积1.68m²。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） ^①	用法用量	费用类型	金额（元） ^①	疗程/周期 ^①
空白	-	-	-	-	-	-	-

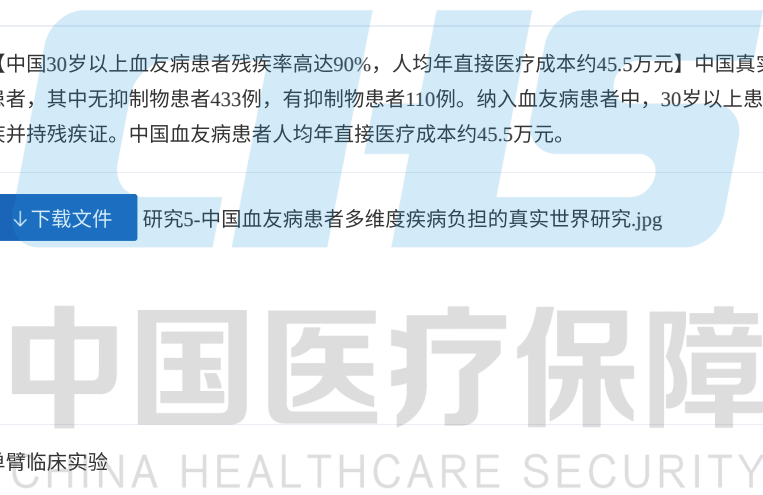
参照药品选择理由：^①【弥补空白】：医保目录内无非因子治疗药物，马塔西是创新凝血再平衡机制的非因子治疗药物，填补医保目录内非因子治疗药物空白。^②【疗效突破】：相对现有因子类药物，疗效显著提升，年均出血次数降低92%。

其他情况请说明：【伴抑制物适应症预计26年底在中国获批上市，同样强效止血】**马塔西单抗**用于12岁以上伴抑制物的血友病A/B患者的关键三期研究已完成，该适应症于2026年5月在EMA获批、中国CDE已受理上市申请，预计26年底在中国获批。伴抑制物人群关键三期研究证实，既往接受因子按需治疗而切换至**马塔西单抗**后，平均ABR降至1.39次。该适应症未来获批后，**马塔西单抗**也能覆盖抑制物患者，进一步填补抑制物患者的治疗空白。

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	因子类药物（受罕见病药品样本量和伦理挑战，实验设计为患者自身前后对照的单臂研究）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【 马塔西单抗 治疗不伴抑制物患者的经治疗年化出血率降至3.2次，未发生血栓事件】全球关键三期，包含116例不伴抑制物重型患者在既往接受因子按需/预防后，再接受为期12个月 马塔西单抗 。既往接受因子按需组，转换至 马塔西单抗 后，平均经治疗年化出血率降至3.2次、中位经治疗年化出血率降至2次、中位关节出血率降至1.5次。未发生血栓事件，治疗相关不良反应发生率12.1%，严重治疗相关不良反应发生率0%。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究1-马塔西单抗三期临床研究.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	因子类药物（受罕见病药品样本量和伦理挑战，实验设计为患者自身前后对照的单臂研究）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【伴抑制物患者三期研究，平均经治疗年化出血降至1.39次/年】基于伴抑制物人群全球三期，纳入60例≥35kg，12-75岁，伴抑制物的重型血友病A/B患者，其中51例接受12个月 马塔西单抗 治疗。研究证实，既往接受因子按需，切换至 马塔西单抗 ，平均经治疗年化出血率从19.78降至1.39次，未发生血栓事件。（此三期临床研究已发表，该适应症已在EMA获批，CDE已受理，预计2026年年底获批）
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究2-伴抑制物人群三期研究.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【中国成人患者82%接受按需治疗，成人出血次数平均52次/年，就业率仅35%、结婚比例16%】中国真实世界研究，纳入950例0-70岁中国血友病A和B男性患者，其中无抑制物患者833例。950例患者中，412例成人患者，其中16%结婚、35%有全职或兼职工作，51%未接受过任何正式教育。412例成人患者中，82%的患者接受按需治疗。成人患者平均出血次数51.92次/年、存在平均5.23个靶关节。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究3-中国RWE证实成人中位出血每年52次.pdf

试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【接受规律替代治疗，残疾率可降至0%】中国真实世界研究，共纳入373例18岁以下中重型血友病A患者，其中82例仅接受按需治疗，272例接受过短期规律替代治疗，18例长期接受规律替代治疗。研究证实，接受长期规律替代治疗的患者，残疾率为0%。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究4-中国RWE证实接受规律治疗后残疾率可降至0.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【中国30岁以上血友病患者残疾率高达90%，人均年直接医疗成本约45.5万元】中国真实世界研究，共纳入543例血友病患者，其中无抑制物患者433例，有抑制物患者110例。纳入血友病患者中，30岁以上患者接近90%都会伴有不同程度的残疾并持残疾证。中国血友病患者人均年直接医疗成本约45.5万元。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究5-中国血友病患者多维度疾病负担的真实世界研究.jpg
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	因子类药物（受罕见病药品样本量和伦理挑战，实验设计为患者自身前后对照的单臂研究）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【马塔西单抗治疗不伴抑制物患者的经治疗年化出血率降至3.2次，未发生血栓事件】全球关键三期，包含116例不伴抑制物重型患者在既往接受因子按需/预防后，再接受为期12个月马塔西单抗。既往接受因子按需组，转换至马塔西单抗后，平均经治疗年化出血率降至3.2次、中位经治疗年化出血率降至2次、中位关节出血率降至1.5次。未发生血栓事件，治疗相关不良反应发生率12.1%，严重治疗相关不良反应发生率0%。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究1-马塔西单抗三期临床研究.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	因子类药物（受罕见病药品样本量和伦理挑战，实验设计为患者自身前后对照的单臂研究）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【抑制物患者二期研究，平均经治疗年化出血降至1.26次/年】基于抑制物患者群体全球二期，纳入60例重型血友病患者，研究证实，接受马塔西单抗治疗的患者，平均经治疗年化出血率降至1.26次/年，中位经治疗年化出血率降至1.0次/年，中位关节出血率降至0.5次/年。未发生血栓事件，治疗相关不良反应发生率12.1%，严重治疗相关不良反应发生率0%。



对主要临床结局指标改善情况	【伴抑制物患者二期研究，平均经治疗年化出血率1.39次/年】基于伴抑制物人群全球二期，纳入60例≥55kg，12-73岁，伴抑制物的重型血友病A/B患者，其中51例接受12个月马塔西单抗治疗。研究证实，既往接受因子按需，切换至马塔西单抗，平均经治疗年化出血率从19.78降至1.39次，未发生血栓事件。（此三期临床研究已发表，该适应症已在EMA获批，CDE已受理，预计2026年年底获批）
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究2-伴抑制物人群三期研究.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【中国成人患者82%接受按需治疗，成人出血次数平均52次/年，就业率仅35%、结婚比例16%】中国真实世界研究，纳入950例0-70岁中国血友病A和B男性患者，其中无抑制物患者833例。950例患者中，412例成人患者，其中16%结婚、35%有全职或兼职工作，51%未接受过任何正式教育。412例成人患者中，82%的患者接受按需治疗。成人患者平均出血次数51.92次/年、存在平均5.23个靶关节。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究3-中国RWE证实成人中位出血每年52次.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【接受规律替代治疗，残疾率可降至0%】中国真实世界研究，共纳入373例18岁以下中重型血友病A患者，其中82例仅接受按需治疗，272例接受过短期规律替代治疗，18例长期接受规律替代治疗。研究证实，接受长期规律替代治疗的患者，残疾率为0%。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	↓ 下载文件 研究4-中国RWE证实接受规律治疗后残疾率可降至0.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	【中国30岁以上血友病患者残疾率高达90%，人均年直接医疗成本约45.5万元】中国真实世界研究，共纳入543例血友病患者，其中无抑制物患者433例，有抑制物患者110例。纳入血友病患者中，30岁以上患者接近90%都会伴有不同程度的残疾并持残疾证。中国血友病患者人均年直接医疗成本约45.5万元。
试验数据结果证明文件，外文资料须同时提供原文及中文翻译件	↓ 下载文件 研究5-中国血友病患者多维度疾病负担的真实世界研究.jpg

(除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中华医学会《血友病治疗中国指南（2025年版）》：①随着非因子问世，血友病进入新型治疗时代。②规律替代治疗是指规律性接受非因子，减少出血，维持正常关节和肌肉功能。③推荐所有重型患者尽早进行规律替代治疗。④非因子主要以皮下注射，避免反复静脉穿刺，提高依从性。相较因子，非因子血药浓度长期稳定，提供稳定持续疗效，有助于达到更高的减少出血目标。⑤强推荐包括马塔西单抗在内的非因子进行规律替代治疗。

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2025年版血友病治疗中国指南及官方解读.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中华医学会《儿童血友病诊疗指南（2025）》：①重型血友病患者，推荐尽早开展预防治疗。②非因子皮下给药，极大提高用药依从性，可能成为未来血友病主力产品。③马塔西单抗用于无抑制物受试者可显著降低出血率：既往按需治疗组ABR由39.86下降至3.2，下降92%；药物耐受性良好，无死亡或血栓事件。④儿童血友病治疗正迈入全新时代，已从“维持生命”迈向“接近正常生活”。

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2025年版儿童血友病诊疗指南及官方解读.pdf

中国医疗保障

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中华医学会《血友病治疗中国指南（2025年版）》：①随着非因子问世，血友病进入新型治疗时代。②规律替代治疗是指规律性接受非因子，减少出血，维持正常关节和肌肉功能。③推荐所有重型患者尽早进行规律替代治疗。④非因子主要以皮下注射，避免反复静脉穿刺，提高依从性。相较因子，非因子血药浓度长期稳定，提供稳定持续疗效，有助于达到更高的减少出血目标。⑤强推荐包括马塔西单抗在内的非因子进行规律替代治疗。

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

[↓ 下载文件](#) 2025年版血友病治疗中国指南及官方解读.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中华医学会《儿童血友病诊疗指南（2025）》：①重型血友病患者，推荐尽早开展预防治疗。②非因子皮下给药，极大提高用药依从性，可能成为未来血友病主力产品。③马塔西单抗用于无抑制物受试者可显著降低出血率：既往按需治疗组ABR由39.86下降至3.2，下降92%；药物耐受性良好，无死亡或血栓事件。④儿童血友病治疗正迈入全新时代，已从“维持生命”迈向“接近正常生活”。

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文

[↓ 下载文件](#) 2025年版儿童血友病诊疗指南及官方解读.pdf

资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述

马塔西单抗注射液于2025年11月获批，目前CDE暂未发布关于本品的《技术审评报告》。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 关于马塔西单抗注射液技术审评报告的说明已盖章.pdf

国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述

马塔西单抗注射液于2025年11月获批，目前CDE暂未发布关于本品的《技术审评报告》。

《技术审评报告》原文（可节选）

[↓ 下载文件](#) 关于马塔西单抗注射液技术审评报告的说明已盖章.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息

常见不良反应为注射部位反应（9%）、头痛（7%）、瘙痒（3%）。未发生导致剂量调整或停药的注射部位反应。

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

①无安全性警告、无黑框警告。②关键三期研究未发生死亡或血栓事件。③未观察到实验室检查相关的临床显著变化。④既往接受因子按需治疗组患者切换至马塔西单抗后，严重治疗相关不良反应发生率0%、治疗相关不良反应发生率仅12.1%。未发生因不良反应导致停药。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 安全性支持文件马塔西单抗注射液说明书20251118.pdf

四、创新性信息

创新程度

①治疗用生物制品I类。②首个且唯一获批针对血友病的抗TFPI全人源IgG1单抗，靶向抑制TFPI，直接阻断TFPI对于FXa的抑制作用，再平衡机制同时恢复凝血因子VIII和IX的止血作用，同时实现对血友病A和B的强效止血疗效，平均年化出血降低92%，超半数患者实现稳定持续0出血。关键三期研究未发生血栓事件。③是首个纳入CDE“关爱计划”药品，临床急需。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 创新性证明-马塔西单抗注射液一类新药CDE官网截图.png

应用创新

①皮下给药，每周一次固定剂量（优化分子亲和力，实现长半衰期、宽治疗窗、固定剂量给药），是唯一无需根据体重或抗凝血酶水平调节剂量的非因子药品；②获批12岁以上儿童适应症，儿童与成人疗效一致；③不经肝脏代谢，轻度肝肾损伤患者无需调整剂量；④小型外科手术围手术期无需停药。

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 应用创新证明-关于将马塔西单抗纳入CDE关爱计划项目的公示.pdf

传承性（仅中成药填写）

-

传承性证明文件

-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响

①我国成人血友病患者由于治疗不足，出血频繁（平均年出血52次）、关节损伤严重（平均年关节出血36次），残疾率高（30岁以上成人残疾率高达90%），造成失业率高（就业比例仅35%）、结婚比例低至16%，患者几乎丧失社会功能。②马塔西单抗治疗后超半数患者实现稳定持续零出血、保护关节、显著避免残疾，助力患者回归社会，助力实现《健康中国2030规划》中关于“全人群/全生命周期预防残疾”的重大战略目标。

符合“保基本”原则（仅涉及申请

①血友病纳入《第一批罕见病目录》，马塔西单抗明确仅用于不伴抑制物的重型血友病患者。②首个纳入CDE“关爱计

《基本医保目录》的药品填写)	划”的药物，获批用于12岁以上儿童和成人患者，临床急需。③纳入医保后将替代部分凝血因子药物使用，节约医保基金。
弥补目录短板	①填补医保目录内血友病非因子治疗药物空白。②弥补成人规律替代治疗不足的问题，有效衔接儿童血友病转向成人后的有效治疗，稳定降低出血、保护关节、避免残疾。③弥补目录内无同时覆盖血友病A和B的因子药物问题。
临床管理难度	①仅限重型血友病患者，临床诊断明确。②皮下注射，每周一次，固定剂量给药，药品费用可控可预期，便于医保管理（是唯一无需根据体重/凝血酶水平调节剂量的药品）。