

注射用索特西普（欣瑞来®）

——用于WHO功能分级II-III级的肺动脉高压
(PAH, WHO第1组) 成人患者

- 全球首创且唯一（First-in-Class）治疗PAH的激活素信号传导抑制剂（重组人源融合蛋白）
- 填补医保目录PAH“治本”用药空白，治疗格局跃迁
- 显著降低死亡/临床恶化事件风险84%
- 近30年首个且唯一大幅降低全因死亡风险的PAH药物，达51%*

目录

01 基本信息

PAH 严重危及生命，超20%PAH患者生存期<5年，近70%患者疗效未达标，42%中断治疗，依从性差

02 创新性

全球首创且唯一治疗PAH的激活素信号传导抑制剂（重组人源融合蛋白），填补“治本”用药空白，逆转肺血管重构

03 有效性

显著降低死亡或临床恶化事件风险84%，患者多维度获益，全因死亡风险显著降低51%

04 安全性

99.4%患者可达到目标剂量，AE导致的停药率仅1.5%

05 公平性

目标患者明确且有限，对医保影响可控，减少85%住院次数、避免4次/千人肺/心肺移植

索特西普是**全球首创且唯一***针对PAH核心病理生理机制的**激活素信号传导抑制剂**， **逆转肺血管壁增厚与重构，填补治本用药空白**

药品通用名	注射用索特西普																
申报目录类别	基本医保目录																
注册规格	<p>45mg/瓶 (主谈判规格, 说明书明确可用于67.4kg及以下患者治疗, 见下图)</p> <p>60mg/瓶</p> <p style="text-align: center;">表 2. 0.7 mg/kg 剂量的注射量</p> <table border="1" style="margin-left: auto; margin-right: auto;"> <thead> <tr> <th>患者体重范围 (kg)</th> <th>注射量 (mL)</th> <th>装量规格</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>30.0 - 31.7</td> <td>0.4</td> <td rowspan="6" style="vertical-align: middle;">45 mg, 1 瓶</td> </tr> <tr> <td>31.8 - 38.9</td> <td>0.5</td> </tr> <tr> <td>39.0 - 46.0</td> <td>0.6</td> </tr> <tr> <td>46.1 - 53.2</td> <td>0.7</td> </tr> <tr> <td>53.3 - 60.3</td> <td>0.8</td> </tr> <tr> <td>60.4 - 67.4</td> <td>0.9</td> </tr> </tbody> </table>	患者体重范围 (kg)	注射量 (mL)	装量规格	30.0 - 31.7	0.4	45 mg, 1 瓶	31.8 - 38.9	0.5	39.0 - 46.0	0.6	46.1 - 53.2	0.7	53.3 - 60.3	0.8	60.4 - 67.4	0.9
患者体重范围 (kg)	注射量 (mL)	装量规格															
30.0 - 31.7	0.4	45 mg, 1 瓶															
31.8 - 38.9	0.5																
39.0 - 46.0	0.6																
46.1 - 53.2	0.7																
53.3 - 60.3	0.8																
60.4 - 67.4	0.9																
注册分类	治疗用生物制品3.1																
用法用量	<p>每3周一次皮下注射</p> <p>起始剂量为0.3mg/kg, 3周后剂量上调至推荐目标剂量0.7mg/kg</p>																
说明书适应症	适用于治疗WHO功能分级 (FC) II-III级的肺动脉高压 (PAH, WHO第1组) 成年患者, 以改善患者的运动能力和WHO功能分级																
全球首个上市国家地区及上市时间	美国, 2024年3月																
中国大陆首次上市时间	2025年12月																
黑框警告	无																

参照药建议-突破分级

司来帕格片

- 适应症一致**, 均用于WHO功能II-III级的PAH (WHO第1组) 患者, 且已纳入医保
- 临床使用场景类似**, 指南推荐且临床应用最广泛的用于中低风险患者添加治疗

相比参照药的优势

- 治本用药**: 相比司来帕格扩张肺血管, 索特西普**逆转肺血管重构**
- 疗效更优**: 死亡或发生临床病情恶化的风险较司来帕格风险**降低55%**²
- 安全性良好**: AE导致停药率更低 (索特西普**1.5%** vs. 司来帕格**14.3%**)^{3,4}
- 给药方式便捷**: 3周一次皮下注射, 依从性高, 药物滴定次数少

缩写: PAH: 动脉型肺动脉高压; WHO: 世界卫生组织; FC: 功能分级; AE: 不良事件
 来源: 1. 欣瑞来® (注射用索特西普) 中国说明书; 2. Messori, Andrea, et al., Cureus 18.3 (2026): c411.; 3. Sitbon, Olivier, et al., New England Journal of Medicine 373.26 (2015): 2522-2533.; 4. Preston IR, et al., presented at: European Respiratory Society (ERS) International Congress. 2023.
 备注: *, 截止到2026年6月



PAH 严重危及生命，被称为“心血管疾病中的癌症”，现有治疗存在临床未满足需求，索特西普精准解决临床痛点，将开启PAH药物治疗新时代

现有治疗存在疗效天花板，治疗负担大



索特西普开启PAH药物治疗新时代

存在扩血管
疗效天花板

- PAH靶向药物多为小分子化药，主要通过**缓解血管收缩/扩张血管改善临床症状，存在疗效天花板**¹⁻³，包括：
 - ✓ 一氧化氮通路药物
 - ✓ 内皮素通路药物
 - ✓ 前列环素通路药物

- 首个**激活素信号传导抑制剂，针对PAH核心病理机制，**阻止**血管壁异常**增厚，逆转肺血管重构**

患者疗效远
未达标

- 接受现有药物**联合**治疗的患者中，近**70%**⁴随访时仍被归为**中、高危，死亡风险增加**⁵，亟需考虑升级治疗⁶

- 添加索特西普治疗24周达到**“低风险”**目标的患者，**超过**标准治疗**一倍**⁵

耐受性差，
给药负担大，
依从性差

- 停药率高**：**42%**患者治疗期间曾经**间断治疗或停药**⁷
- 无法耐受**：**75%**患者无法**达到/耐受**推荐剂量⁸
- 给药负担大**：前列环素类药物需进行**多次剂量滴定**；输注类药物患者需**带泵生活（24小时）**

- 停药率低**：AE导致停药率仅**1.5%**⁹
- 患者耐受**：**99.4%**患者达**标准剂量**⁵
- 给药便捷**：**3周1次**皮下注射
- 调药方便**：**第2针**即达到目标剂量

缩写：PAH：动脉型肺动脉高压；AE：不良事件
 来源：1. Humbert, Marc, et al. Eur Respir J 61.1 (2023): 2200879.; 2. Ruopp, Nicole F., and Barbara A. Cockrill., Jama 327.14 (2022): 1379-1391.; 3. Hassoun, Paul M., New England Journal of Medicine 385.25 (2021): 2361-2376.; 4. Gong, Su-Gang, et al., Frontiers in Cardiovascular Medicine 8 (2021): 745578.; 5. Hoepfer, Marius M., et al., New England Journal of Medicine 388.16 (2023): 1478-1490.; 6. 路丹,张洁馨,程春燕等. 科学通报,2024,69(13):1715-1724.; 7. Qadus, Sami, et al., American Journal of Cardiovascular Drugs 23.1 (2023): 19-33.; 8. Watzker A, et al., presented at: CHEST, 2023.; 9. Preston IR, et al., presented at: European Respiratory Society (ERS) International Congress. 2023.;



全球首创且唯一针对肺动脉高压**核心病理机制肺血管重构**的全人源生物制剂， PAH领域唯一**突破性疗法**，填补“**治本**”用药空白，从根源逆转疾病进程

全球新机制

- 全球治疗格局中，PAH **20年**无新作用机制药物#
- 索特西普（**重组人源融合蛋白**）是**首个**激活素信号传导抑制剂，**逆转肺血管重构**

美国FDA

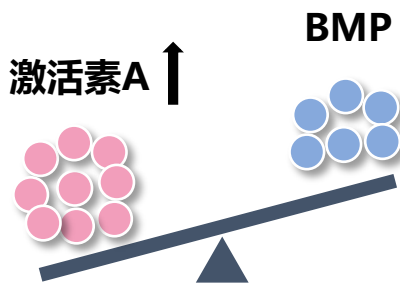
- First-in-Class认定¹
- 突破性疗法
- 孤儿药认定
- 优先审评

欧洲药品管理局

- 优先药物 (PRIME)认定
- 孤儿药认定

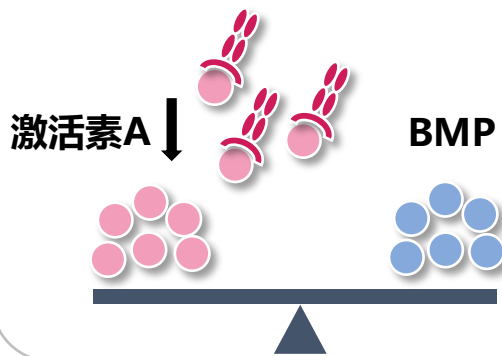
PAH发病机制*：失平衡

激活素A水平升高，血管细胞过度增殖，肺动脉血管壁病理性重构²⁻⁴，引发肺动脉压升高

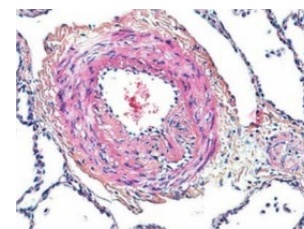


索特西普机制：抗增殖、促平衡、逆转肺血管重构

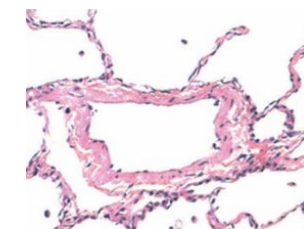
- 精准捕获过量激活素A（清除“坏配体”）
- 恢复促增殖和抗增殖通路间平衡⁵（天平回归稳态）



- 阻止肺血管内皮细胞和平滑肌细胞的增殖⁶，逆转肺血管重构



PAH肺血管增厚



恢复正常肺血管内膜厚度

- “**治本**”机制获益：改善氧输送，显著降低血流阻力、减轻右心负荷进而缓解心衰，带来病理学层面改善⁷⁻⁸

缩写：PAH：动脉型肺动脉高压；BMP：骨形态发生蛋白；6MWD：6分钟步行距离

来源：1. U.S. FDA. Approved prescribing information for PAH therapies. 2005–2025; 2. Ryanto, Gusty RT, et al., Nature communications 12.1 (2021): 1720; 3. Cahill, Edwina, et al., Circulation 125.7 (2012): 920-930; 4. RoI, Nina, et al., International journal of molecular sciences 19.9 (2018): 2585; 5. Humbert, Marc, et al., New England Journal of Medicine 384.13 (2021): 1204-1215; 6. 注射用索特西普说明书; 7. Waxman, Aaron B., et al., Circulation: Heart Failure 17.5 (2024): e011227; 8. Souza, Rogerio, et al., European Respiratory Journal 62.3 (2023).

备注：*，PAH发病机制之一。#，索特西普上市前，所有PAH治疗药物的作用机制均为扩张肺血管。

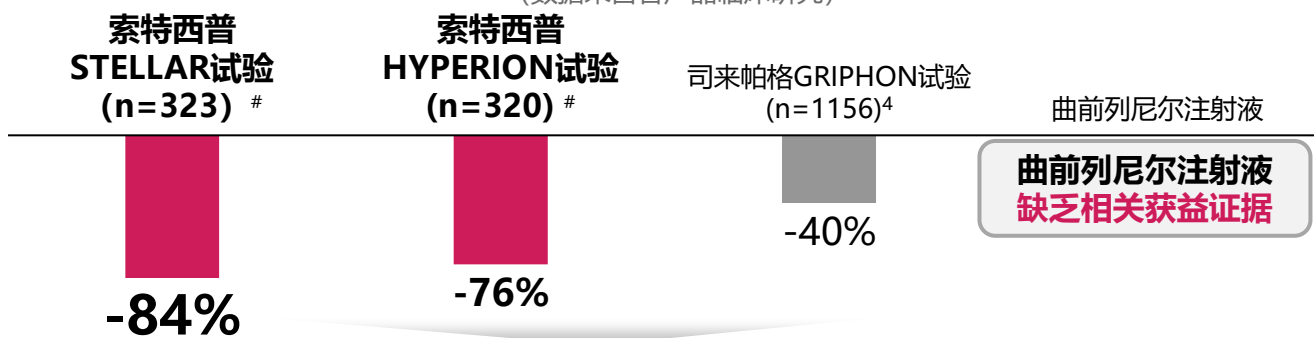
索特西普显著降低PAH患者死亡或临床恶化事件风险**84%**↓，降低全因死亡风险**51%**↓，助力实现“低风险”的治疗目标，患者总生存期达**16.5**生命年

索特西普在降低死亡/临床恶化事件风险上显著优于其他方案

- 在PAH充分背景治疗基础上，降低死亡或临床恶化的风险*达**84%**
- PULSAR、STELLAR和ZENITH汇总分析¹，全因死亡风险降低**51%**

临床试验中各治疗药物相较安慰剂降低死亡/临床恶化的风险程度

(数据来自各产品临床研究)



降低55%

HR=0.45
(95% CI: 0.29, 0.70)
P=0.00036

- 间接比较结果显示，索特西普 vs. 司来帕格降低死亡或临床恶化的风险⁵

助力实现“低风险”目标，并显示出显著生存获益

- 索特西普达到“低风险”治疗目标的患者达**39.5%**，超过安慰剂一倍 (18.2%, p<0.001)²

- 对III期临床试验的长期模拟结果显示，加用索特西普可**延长患者总生存期**，达**16.5**生命年 (vs. 5.1生命年)⁶

- 由于索特西普的**压倒性疗效优势**，ZENITH和HYPERION试验**提前终止**^{3,7}
(继续临床研究不符合伦理要求)

备注：*，死亡或临床恶化事件包括：何原因导致的死亡；因肺动脉高压加重而发生的且持续至少 24 小时的非计划住院、房间隔造口术、肺移植；或因肺动脉高压导致的运动试验表现下降。#，STELLAR 试验纳入患者为 WHO 功能分级 II 或 III 级的成人患者；HYPERION 试验纳入患者为 12 个月内新诊断 PAH，WHO 功能分级 II 或 III 级，具有中危或高危疾病进展风险的成人患者
来源：1. McLaughlin V, et al. AHA Scientific Sessions 2025. Abstract ID 4387511; 2. Hoeper, Marius M., et al., New England Journal of Medicine 388.16 (2023): 1478-1490; 3. McLaughlin, Vallerie V., et al., New England Journal of Medicine 393.16 (2025): 1599-1611; 4. Sitbon, Olivier, et al., New England Journal of Medicine 373.26 (2015): 2522-2533; 5. Messori, Andrea, et al., Cureus 18.3 (2026): c411; 6. McLaughlin, Vallerie, et al., Advances in Therapy 41.1 (2024): 130-151; 7. Humbert, Marc, et al., New England Journal of Medicine 392.20 (2025): 1987-2000.

索特西普4篇研究荣登顶刊《新英格兰医学杂志》，主要终点和8个次要终点均显著改善，体现出多维度一致性获益；真实世界使用证实一致的疗效获益，临床需求强烈

疗效指标		索特西普联合背景治疗 ¹	司来帕格联合背景治疗 ³	曲前列尼尔联合背景治疗 ⁴
运动耐量提升	六分钟步行距离 (6MWD) 相比安慰剂变化 (米) (主要终点) <small>*6MWD差异超过33米可认为具有临床重要意义⁵</small>	+40.8米 (p<0.001)	+12.0米 (p=0.003)	+16.0米 (p=0.006)
心功能负荷改善	N末端B型钠尿肽原 (NT-proBNP) 相比安慰剂变化 (pg/mL)	-441.6 (p<0.001)	-123.0 (p<0.001)	未汇报
功能分级改善	世界卫生组织功能分级 (WHO FC) 患者改善比例 (%)	29.4% (p<0.001)	13.1%	未汇报
血流动力学指标改善	平均肺动脉压 (mPAP) 相比安慰剂变化 (mmHg)	-13.9 (p<0.001) ²	未汇报	-3.0 (p=0.0003)

已在国内多地作为临床亟需罕见病药物先行先试，**≥20例**患者真实世界使用反馈好，需求强烈





“换了新的治疗方案之后，每一次随访指标都有改善，**从高危的状态慢慢降到了低危**。
最严重的时候，6分钟里连100米都走不到，**现在6分钟能走500多米**，爬三四层楼也不成问题。
—博鳌乐城患者”

• **早期临床疗效**：不仅能**迅速缓解**患者的临床症状，还能在**短期内改善心脏功能指标及运动耐量**；
• **安全性**：患者对索特西普**耐受性良好**，**未观察到**严重的不良事件。
—2026.6.2《河南省首批索特西普治疗病例分析结果》⁶

来源: 1. Hoepfer, Marius M., et al., New England Journal of Medicine 388.16 (2023): 1478-1490.; 2. Souza Rogerio, et al. European Respiratory Journal 62.3: 2301107.; 3. Sitbon, Olivier, et al., New England Journal of Medicine 373.26 (2015): 2522-2533.; 4. Simonneau, Gerald, et al., American journal of respiratory and critical care medicine 165.6 (2002): 800-804.; 5. Moutchia, Jude, et al., American journal of respiratory and critical care medicine 207.8 (2023): 1070-1079.; 6. 李岳,王羽,李鹏飞,等.医药论坛杂志,1-4, <https://link.cnki.net/urlid/11.5479.r.20260601.1138.002>, [2026-06-04].

基于创新机制带来的显著疗效，索特西普获国内外权威指南及专家共识的一致积极推荐，推动PAH治疗模式更新

索特西普被多个国际指南推荐用于中低-中高-高危PAH患者，应用场景与前列环素类药物相同，可替代前列环素

年份	指南/共识名称	推荐意见及推荐等级
2025	 动脉型肺动脉高压所致右心衰竭诊治的中国专家共识 2025 ¹	<ul style="list-style-type: none"> 推荐高危/中高危及PAH患者的治疗方案应包括静脉/皮下应用前列环素通路类药物或皮下应用激活素通路类药物 (索特西普) (I类推荐; A级证据)
2026	 成人先天性心脏病相关肺动脉高压诊断与治疗指南 ²	<ul style="list-style-type: none"> PAH-ACHD患者应考虑其他ERA、PDE5抑制剂、利奥西呱、前列环素类似物和前列环素受体激动剂、索特西普等靶向药物 (IIa类推荐; C级证据)
2024	 第七届世界肺动脉高压研讨会 (WSPH) 肺动脉高压治疗原则 2024 ³ (自1973年以来, WSPH一直是推动肺动脉高压研究进展的重要交流平台)	<ul style="list-style-type: none"> 随访中-低危PAH患者应考虑添加或转换治疗, 包括添加索特西普或口服/吸入PPAs, 或替换PDE5抑制剂为sGCS 随访中-高危或高危患者应添加肠外PPAs (高危一线选择如无) 或索特西普
2024	 现代PAH治疗美国专家观点 ⁴	<ul style="list-style-type: none"> 随访中-低危PAH患者考虑索特西普、或非胃肠外PPAs, 或sGCS替代PDE5i 随访中-高危和高危PAH患者应添加索特西普 (或) 和把胃肠外PPAs滴定到最大耐受剂量, 并进行肺移植评估 如患者存在耐受性问题应尽早使用索特西普



缩写: PAH-ACHD: 成人先天性心脏病肺动脉高压; ERA: 内皮素受体拮抗剂; PDE5i: 磷酸二酯酶-5抑制剂; PPA: 前列环素途径药物; sGCS: 可溶性鸟苷酸环化酶激动剂; IV: 静脉注射; SC: 皮下注射; PAH: 动脉型肺动脉高压
 来源: 1. 国家心血管病中心肺动脉高压专科联盟. 中国循环杂志. 2025; 2. 中华医学会心血管病学分会. 中华心血管病杂志. 2026; 3. Chin, Kelly M., et al., European Respiratory Journal 64.4 (2024); 4. Sahay, Sandeep, et al., American journal of respiratory and critical care medicine 210.5 (2024): 581-592.

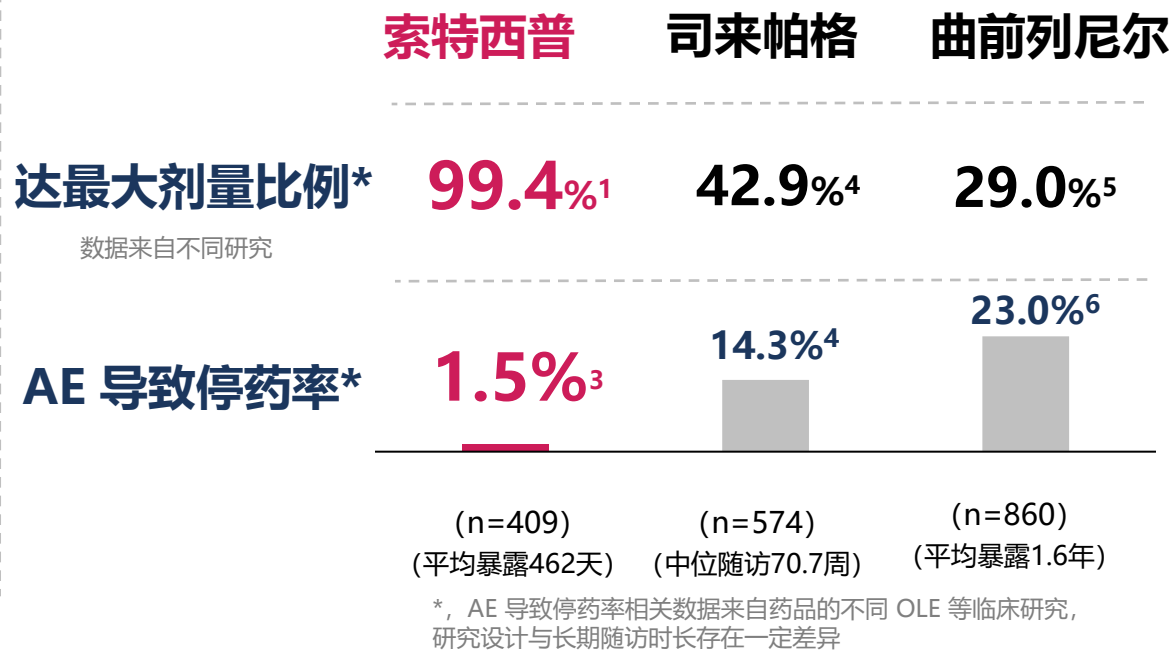


索特西普作为全人源融合蛋白，免疫原性风险少，安全性良好，常见不良反应为轻中度，患者耐受性高，依从性好，易于长期临床管理

常见不良反应以轻至中度为主，整体可管理

- 安全性良好，均为轻度或中度的可预期事件**
 包括：头痛、腹泻、鼻出血、皮疹、毛细血管扩张等¹
- 治疗相关严重不良事件发生率极低（1.2%），与安慰剂相当（1.2%）¹**
 包括：PAH进展、心衰、房颤、感染等
- 无黑框警告**
- 全球用药≥2年，未出现有临床意义的新安全性信号^{1,2}**

耐受性强，易达到有效剂量，AE 导致的停药罕见



几乎全部患者均可达到目标剂量，且AE导致的停药率低，依从性良好利于长期用药

缩写： PAH： 动脉型肺动脉高压； AE： 不良事件

备注： *AE 导致停药率相关数据来自药品的不同 OLE 等临床研究， 研究设计与长期随访时长存在一定差异。

来源： 1. Hoepfer, Marius M., et al., New England Journal of Medicine 388.16 (2023): 1478-1490.; 2. Klein HE, Am J Manag Care. 2025. 3. Preston IR, et al., presented at: European Respiratory Society (ERS) International Congress. 2023. 4. Sitbon, Olivier, et al., New England Journal of Medicine 373.26 (2015): 2522-2533.; 5. 曲前列尼尔注射液中国说明书; 6.Barst, Robyn J., et al., European Respiratory Journal 28.6 (2006): 1195-1203.;

索特西普填补PAH“治本”用药空白，患者数量明确有限，基金影响可控，提升管理效率

PAH人数有限、育龄女性为主

- 中国WHO功能分级II-III级PAH患病人数约**2.5万人**¹
- PAH中**39%为IPAH**（第一批罕见病目录，编号**54**）^{2,3}
- PAH患者**青年占比64%，女性占比70%**^{3,4}

PAH生存期短，生命质量低，治疗负担重

- **20%**的患者生存期**<5年**³，患者生命质量**仅和肿瘤患者相当**⁵
- **71%**患者**住院**≥1次/年⁶，14%为3-5次/年⁶，**2.6万元/次**⁷
- 治疗后处于中高危/高危患者需评估**移植**，费用达**35-100万**^{8,9}



治疗罕见心血管疾病， 促进公共健康

- 索特西普的注册临床研究中，纳入IPAH患者**高达58.5%**¹⁰
- **本品可显著延长生存达16.5生命年**¹¹，减轻家庭社会双重负担，提升社会生产力



基金影响小， 符合“保基本”

- 预计纳入医保目录后接受索特西普患者人数**平均每年 < 2000人**；应用场景与前列环素类药物相同，可**替代前列环素**
- **本品显著降低死亡或临床恶化风险达84%**¹⁰，**减少85%住院次数、4次/千人肺/心肺移植**¹¹



全球首创， 填补临床空白

- 唯一针对PAH核心病理生理机制肺血管重构的药物，**逆转肺血管重构，填补PAH潜在“治本”用药空白**，提高达到**“低风险”**治疗目标的比率
- 已在多地作为**临床亟需**罕见病药物先行先试，**≥20例患者真实世界使用反馈好，需求强烈**



适应症明确，便于 临床和医保管理

- 适应症及用法用量明确，安全性良好
- **3周一次皮下注射**，给药便捷，药物滴定次数少，临床易管理；**提升患者依从性**

缩写：IPAH：特发性肺动脉高压

来源：1. Xu, Zhehao, et al., Frontiers in medicine 11 (2025): 1502916; 2. 第一批罕见病目录; 3. Quan, Ruilin, et al., Respirology 27.7 (2022): 517-528; 4. 罗勤, 柳志红, 奚群英, 等. 中国循环杂志, 2022, 37(11): 1111-1115.; 6. 国家心血管病中心. 中国肺动脉高压患者白皮书. 2021; 7. 何娟, 孙楠楠, 杨凌志, 等. 重庆医学, 2023, 52(17): 2685-2689; 8. Zhang, Xin, et al., International journal of environmental research and public health 14.3 (2017): 308; 9. 百度健康; 10. Hooper, Marius M., et al., New England Journal of Medicine 388.16 (2023): 1478-1490; 11. McLaughlin, Vallerie, et al., Advances in Therapy 41.1 (2024): 130-151.;

总结：全球首创，PAH“治本”用药新突破—临床获益与医保价值双提升

填补PAH“治本”用药临床空白，全球首创且唯一治疗PAH的激活素信号传导抑制剂（全人源融合蛋白），逆转肺血管重构，有望实现治疗范式跃迁

人群明确且数量有限，IPAH已纳入我国第一批罕见病目录，惠及罕见病患者

4项临床研究荣登顶刊《新英格兰医学杂志》，显著降低死亡或临床恶化风险**84%**，全因死亡风险降低**51%**，压倒性临床获益提前终止研究

几乎全部患者均可达到索特西普目标剂量，且AE导致的停药率仅**1.5%**

减少**85%**住院次数、**4次/千人**肺/心肺移植，节约医疗资源，提高基金使用效率