

适应症：在饮食控制基础上，用于降低家族性乳糜微粒血症综合征（FCS）
成人患者的甘油三酯水平

sanofi

普乐司兰钠注射液

1类新药，中美双突破，全球首个且目前唯一
靶向APOC3 siRNA药物，填补中国FCS百年治疗空白

甘油三酯（TG）水平较基线显著降低85.7%；硬终点急性胰腺炎（AP）复发风险显著降低83%

【大陆同通用名药品上市情况】无

赛诺菲（北京）制药有限公司

目录

01 基本信息

- **全球首个且目前唯一的精准靶向APOC3小干扰RNA (siRNA) 药物，填补国内FCS治疗空白**
- **反复发作的急性胰腺炎 (AP) 是FCS主要并发症，带来沉重的疾病、经济负担**

02 有效性

- **甘油三酯 (TG) 水平较基线显著降低85.7%；硬终点急性胰腺炎 (AP) 复发风险显著降低83%**

03 安全性

- **安全性与耐受性良好**：说明书无黑框警告，无用药禁忌；不良事件发生率与安慰剂组相似

04 创新性

- **当前唯一获得中美双突破认定、1类新药、填补我国FCS治疗空白、所治疗疾病致死致残率高、临床意义重大的药品**
- **机制首创，硬终点改善**

05 公平性

- **罕见病用药，成人患者仅约2,200人，基金影响有限，节约并发症管理费用**
- **FCS人群定义清晰，无滥用风险。每3个月给药一次，可自行皮下注射，适合长期疾病管理**

普乐司兰钠注射液是家族性乳糜微粒血症综合征(FCS)领域的“突破性创新药物”，填补中国近百年治疗空白；参照药为无参照，价值评级建议“突破”

药品基本信息

通用名	普乐司兰钠注射液
注册规格	0.5 ml : 25 mg (按 $C_{493}H_{654}F_{11}N_{164}O_{311}P_{43}S_7$ 计)
申报目录	基本医保目录
注册分类	化学药品1类
说明书适应症	在饮食控制基础上，用于降低家族性乳糜微粒血症综合征(FCS)成人患者的甘油三酯水平
用法用量	推荐剂量为25mg皮下注射，每3个月给药1次(详见说明书) ¹
中国大陆首次上市时间	2026年1月
上市状态/专利	独家，专利至2039年1月25日
药品类别	西药，非OTC药品

使用科室：心血管内科

疾病管理匹配： FCS属罕见脂质疾病，患者多因血脂异常就诊心内科，与指南推荐临床路径一致²；心内科具备完善脂质疾病管理体系，满足FCS长期规范管理需求。

学术权威： FCS权威指南及普乐司兰国内外III期临床试验均由心内科专家牵头²⁻⁴，证实心内科在FCS诊疗领域的主导地位。

建议参照药：无参照（空白）

- 中国当前唯一获批用于FCS的治疗药物，医保目录内尚无FCS治疗药物
- 目前无替代疗法，传统降脂药物对FCS患者基本无效²，均为超适应症使用，既无法有效降低FCS患者TG水平，也无法降低急性胰腺炎(AP)风险。III期临床研究显示，基线患者大多已使用传统降脂药物，基线TG仍在2000mg/dL左右³。
- 临床试验空白对照：全球及中国III期临床研究均采用安慰剂（空白）对照^{3,4}

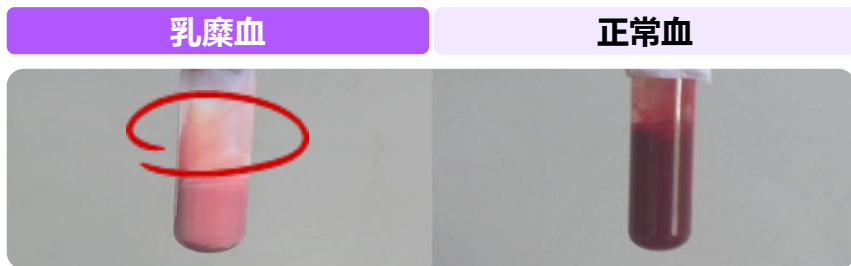
建议价值评级：突破

- 中国唯一获批治疗药物，填补国内FCS百年治疗空白
- 全球首创机制，直击核心致病机理：全球首个且目前唯一精准靶向APOC3的siRNA药物，作用机制与递送系统双创新
- FCS患者因极高TG导致的AP重症率和病死率高，普乐司兰通过显著降低核心致病因素TG水平及AP风险（硬终点），有助于挽救患者生命
- 当前唯一同时获得中美双突破认定、1类新药、填补治疗空白、所治疗疾病致死致残率高、临床意义重大等条件的药品（2025年7月1日-2026年5月31日，129个新获批独家通用名中筛选）

家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS) 是一种罕见的严重遗传疾病，在国际上被认定为罕见病，多在儿童、青少年期及成年早期发病

FCS为基因突变导致的罕见脂质疾病¹，发病年龄早

- **核心病因**：由于脂蛋白脂肪酶 (LPL) 或LPL相关蛋白基因突变，导致LPL功能缺陷，引起乳糜微粒积累及TG严重升高²⁻⁴
 - **LPL**：将富含TG的乳糜微粒水解，是**TG代谢关键酶**，其功能缺失后，乳糜微粒无法被有效分解，导致乳糜微粒累积及TG严重升高
 - **APOC3**：乳糜微粒代谢重要调控因子。通过LPL依赖途径来抑制乳糜微粒和TG分解；并通过非LPL依赖途径，阻碍乳糜微粒残粒被肝脏清除，进一步加重高乳糜微粒血症。



- **发病早但诊断滞后**：儿童期发病年龄平均为10.8岁，确诊年龄平均为15.6岁，存在明显延迟^{1, 5-6}

FCS患者人数极少，在全球被认定为罕见病



中国成人^{7*}患者预估仅约**2,200人**

- 根据《中国血脂管理指南2023》，**FCS患病率~2/100万**⁸
- **FCS患病率远小于中国罕见病流行病学定义**(患病率<1/万)⁹，
- 已纳入上海、中国台湾地区罕见病目录^{10,11}
- **符合我国罕见病目录遴选标准**：患病率低；对患者和家庭危害大；有明确诊断方法；可治疗/管理或纳入国家科研专项¹²



FCS是全球范围内公认的罕见病：

- **美国FDA**认定其为罕见病，治疗药物获孤儿药认定^{13,14}
- **欧盟EMA**认定其为罕见病，治疗药物获孤儿药认定^{15,16}
- **Orphanet** (国际罕见病和孤儿药权威数据库)认定为罕见病¹⁷
- **血脂领域权威指南**(ACC/AHA血脂异常管理指南)认为FCS为罕见病¹⁸

缩写：FCS: Familial Chylomicronemia Syndrome, 家族性乳糜微粒血症综合征；LPL: Lipoprotein Lipase, 脂蛋白脂肪酶；TG: Triglyceride, 甘油三酯；APOC3: Apolipoprotein C-III, 载脂蛋白 C-III；EMA: European Medicines Agency, 欧洲药品管理局；FDA: Food and Drug Administration, 美国食品药品监督管理局；ACC: American College of Cardiology, 美国心脏病学会；AHA: American Heart Association, 美国心脏协会；注：*人数按照中国人口14亿，国家统计局2021年数据成人比例78.89%估算

来源：1. 梁美娟, 等. 中国心血管杂志, 2024; 2. Falko JM, et al. Endocr Pract. 2018; 3. Brahm A, et al. Nutrients, 2013; 4. Saadatagah S, et al. J Clin Lipidol. 2025; 5. Fiza Javed et al. J Clin Lipidol. 2025; 6. Asia Sikora Kessler et al. J Clin Lipidol. 2025; 7. 国家统计局2021年数据; 8. 中国血脂管理指南修订联合专家委员会. 中华心血管病杂志, 2023; 9. 《中国罕见病定义研究报告2021》; 10. 上海市卫生健康委等5部门, 《上海市主要罕见病名录 (2025版)》; 11. 卫生福利部国民健康署. 《罕见疾病名单暨ICD-10-CM编码一览表》; 12. 关于印发罕见病目录制订工作程序的通知, 国卫办医发〔2018〕11号; 13. U.S. Food and Drug Administration (FDA). Rare Diseases. Rare Diseases at FDA. FDA; 14. FDA approves drug to reduce triglycerides in adults with familial chylomicronemia syndrome. FDA; 15. European Commission. Rare diseases. Rare diseases - Public Health - European Commission; 16. European Medicines Agency (EMA). Redempho (plozasiran) – EPAR. Redempho | European Medicines Agency (EMA); 17. Orphanet : Diseases; 18. Blumenthal RS, et al. J Am Coll Cardiol. 2026

FCS疾病症状累及多系统，反复发作的急性胰腺炎（AP）是FCS最主要的并发症，疾病与经济负担沉重；目录内尚无治疗药物，未满足需求突出

反复发作的AP是高TG的最主要并发症，疾病与经济负担沉重

- 高TG带来的多种并发症*，反复发作的AP是最主要的并发症¹⁻⁵，84%-94%的FCS患者合并AP⁶⁻⁷
- 与其他病因引起的AP相比，高TG相关的AP更严重，临床结局更差，复发率、重症比例、死亡风险更高

50.45%

AP重症率⁸

36%-50%

重症AP病死率⁹

- FCS患者重症AP率高且医疗费用高昂，易造成家庭灾难性支出^{10**}



AP年均发生~2.5次¹¹ × 次均医疗费用8.2万¹³ ≈ 21万/年

一生累计发作中位数约34次¹²

次均住院天数44天¹³

注：*除急性胰腺炎外，其他并发症包括：视网膜脂血症（40%）、肝、脾肿大（10%-50%）、进食障碍（23%）、糖尿病（26%-44%）、慢性胰腺炎（11%）、高血压（10%）、周围神经病变（7%）等，至少1/3的患者报告有2种或2种以上合并症^{1,2,4,5}

医保目录内尚无FCS治疗药物

- 由于中国FCS患者*缺乏针对性治疗药物，患者治疗需求长期未得到有效解决
- FCS疾病管理仍存在TG水平难以控制、AP反复发生导致的疾病负担沉重等突出的未满足需求

注：

*FCS诊断标准¹⁴⁻¹⁵：

1. 标准降脂治疗后空腹TG≥10mmol/L；
2. 至少合并下述一项：① FCS基因检测阳性；② 高甘油三酯血症胰腺炎（HTGP）家族史；③ 青少年胰腺炎病史或成年HTGP病史；④ 不明原因反复腹痛住院病史

缩写：FCS：Familial Chylomicronemia Syndrome，家族性乳糜微粒血症综合征；AP：Acute Pancreatitis，急性胰腺炎；TG：Triglyceride，甘油三酯；ICU：Intensive Care Unit，重症监护室；HTGP：Hypertriglyceridemia Pancreatitis，高甘油三酯血症胰腺炎

注：**灾难性卫生支出定义：家庭自付医疗费用占其支付能力的比例超过40%（世界卫生组织（WHO））；TG指标 1 mmol/L = 88.5 mg/dL

来源：1. Okazaki H, et al. J Atheroscler Thromb. 2021; 2. Davidson M, et al. J Clin Lipidol. 2018; 3. 梁美萌, 等. 中国心血管杂志, 2024; 4. Stroes ESG, et al. N Engl J Med. 2024; 5. Watts F. N Engl J Med. 2025; 6. Bashir, B., et al. Arterioscler Thromb Vasc Biol, 2024; 7. Williams, K., et al. Orphanet J Rare Dis, 2023; 8. Xiao-Li Zhang et al. Chin Med J (Engl). 2015; 9. 高甘油三酯血症急性胰腺炎诊治急诊专家共识.《中国全科医学》2021; 10. 张仲芳, 等. 中国卫生政策研究, 2022; 11. T Michelle Brown et al. Patient Relat Outcome Meas.2024; 12. Andres Gelrud et al. Expert Rev Cardiovasc Ther; 13. 冯飞灵, 等.《中华肝胆外科杂志》2006.; 14. 谢坤等, 中国循环杂志, 2024; 15. 家族性乳糜微粒血症综合征诊断与管理专家共识组. FCS诊断与管理专家共识简报. presented at the 20th Oriental Congress of Cardiology.

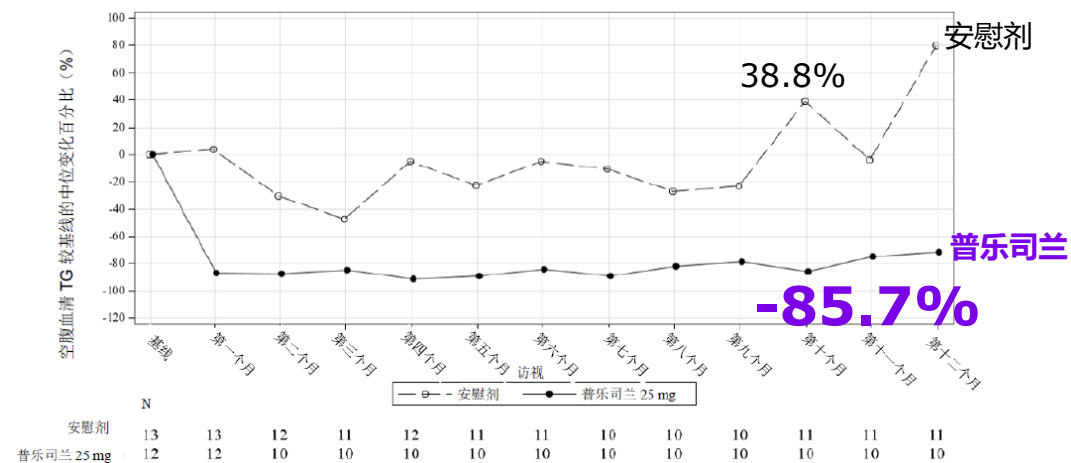
中国和全球的III期临床试验均证实，普乐司兰可强效降低患者空腹TG水平，起效快速，疗效持久

FCS患者接受普乐司兰治疗，TG水平获得强效、快速、持久改善



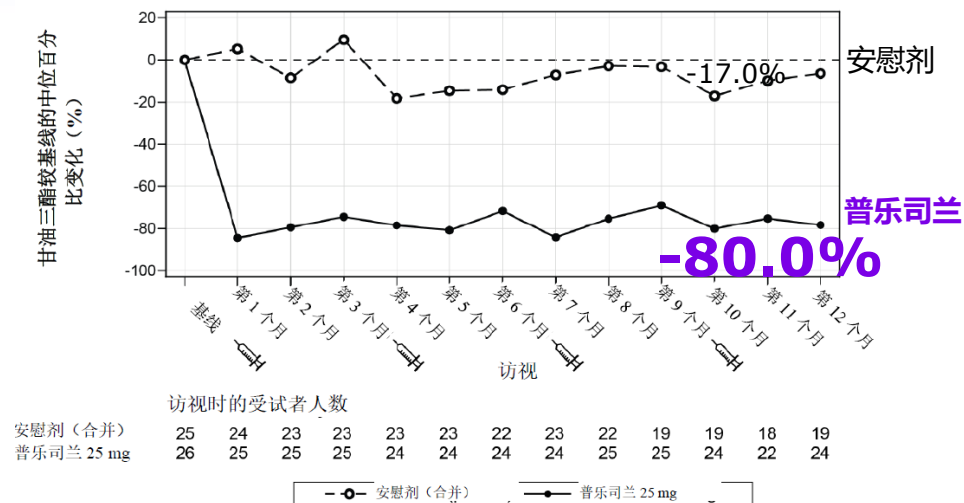
中国III期临床 (VSA001-3001试验)¹: 随机、双盲、安慰剂对照的多中心临床试验，纳入37例中国FCS患者

- 普乐司兰治疗第10个月，空腹TG水平较基线降低**85.7%** (p=0.0022)



全球III期临床 (PALISADE试验)²: 随机、双盲、安慰剂对照的多中心临床试验，纳入75例FCS患者

- 普乐司兰治疗第10个月，空腹TG水平较基线显著降低**80%** (p < 0.001)



起效快速、持久

- 全球和中国III期研究证实，普乐司兰首次给药后**1个月**，即观察到TG水平显著下降，疗效稳定持续至**12个月**¹⁻²
- 全球III期研究的**长期开放标签研究**1年结果（持续治疗组接受普乐司兰治疗达2年）显示，普乐司兰降低TG的疗效**长期持续稳定**³

缩写: FCS: Familial Chylomicronemia Syndrome, 家族性乳糜微粒血症综合征; TG: Triglyceride, 甘油三酯

来源: 1. Yong Li, et al. Efficacy and Safety of Plazasiran in Chinese Patients with Familial Chylomicronemia Syndrome: A Randomized, Double-Blind, Placebo-controlled Phase III Clinical Trial. SCC 2026.

2. Watts GF, et al. Plazasiran for Managing Persistent Chylomicronemia and Pancreatitis Risk. N Engl J Med. 2025;392(2):127-137. 3. Watts GF, et al. A Randomized, Placebo-controlled Phase 3 Study of Plazasiran in Patients With FCS: Interim Analysis of Open Label Extension of PALISADE at 1 Year. ESC. 2025

中国和全球III期临床试验和长期开放标签研究均证实，普乐司兰显著降低患者的AP风险（硬终点改善）



中国III期试验¹

0例

所有接受普乐司兰治疗的患者
随访1年期间：未发生AP事件

显著降低AP发生风险

- 普乐司兰治疗第10个月时，**90%**患者达到 TG < 500 mg/dL (AP风险阈值以下)

90% 普乐司兰 **VS** **9.1%** 安慰剂

10个月时TG水平低于胰腺炎高风险阈值的比例



全球III期试验²



83%

显著降低AP复发风险：

对于既往发生过AP的患者，普乐司兰AP复发风险相比安慰剂组**显著降低83%** (P<0.017)

全球III期试验开放标签研究³

长期开放标签研究中，持续接受普乐司兰治疗的患者**未发生AP事件**

缩写：FCS: Familial Chylomicronemia Syndrome, 家族性乳糜微粒血症综合征; TG: Triglyceride, 甘油三酯; AP: Acute Pancreatitis, 急性胰腺炎

来源：1. Yong Li, et al. Efficacy and Safety of Plozasiran in Chinese Patients with Familial Chylomicronemia Syndrome: A Randomized, Double-Blind, Placebo-controlled Phase III Clinical Trial. SCC 2026; 2. Loomba R, et al. Clinical Trial: Plozasiran Prevents Recurrent Pancreatitis in Adults With Very Severe Hypertriglyceridemia—Results of a Post Hoc Analysis of the Phase 3 PALISADE Study Alimant Pharmacol Ther. 2026 Apr 1; 3. Watts GF, et al. A Randomized, Placebo-controlled Phase 3 Study of Plozasiran in Patients With FCS: Interim Analysis of Open Label Extension of PALISADE at 1 Year. ESC. 2025

APOC3抑制剂的问世，终结了FCS长期无药可治的困境，已被国际权威指南推荐，为这一罕见病正式建立规范化的治疗标准



2026 ACC/AHA血脂异常管理指南¹

- **I级推荐：**对于FCS和空腹TG \geq 1000mg/dL (11.3mmol/L)的成人患者，在饮食治疗基础上**推荐使用APOC3抑制剂***，以降低TG水平并减少胰腺炎风险



2025 ESC/EAS血脂异常管理指南（更新版）²

- **IIa级推荐：**对于FCS导致的重度高甘油三酯血症 (TG > 8.5mmol/L)，**可使用APOC3抑制剂*以降低TG水平并减少胰腺炎风险**



中国血脂管理指南（2023）³

- **APOC3抑制剂作为新型降脂药物被提及：**APOC3是通过抑制LPL和肝脂酶活性而调控乳糜微粒与极低密度脂蛋白代谢的关键载脂蛋白



非HDL-C与心血管疾病风险关系及临床管理专家共识⁴

- **靶向APOC3的小干扰RNA制剂普乐司兰作为新型降TG药物被提及：**可显著降低TG及非HDL-C

缩写：FCS，家族性乳糜微粒血症综合征；APOC3，载脂蛋白 C-III；TG，甘油三酯；LPL，脂蛋白脂肪酶；HDL-C，高密度脂蛋白胆固醇；ACC，美国心脏病学会；AHA，美国心脏协会；ESC，欧洲心脏病学会；EAS，欧洲动脉粥样硬化学会；注* 此处原文推荐为olezarsen（2026 ACC/AHA指南），volanesorsen(2025 ESC/EAS指南)，并在指南中明确其这两种药物是作用于APOC3靶点的药物，olezarsen 和 volanesorsen未在中国获批；

来源：1. Blumenthal RS, et al. J Am Coll Cardiol. 2026.; 2. Mach F, et al. Atherosclerosis. 2025; 3. 中国血脂管理指南修订联合专家委员会. 中华心血管病杂志. 2023; 4. 中华医学会心血管病学分会, 中华心血管病杂志编辑委员会. 中华心血管病杂志, 2026

普乐司兰安全性与耐受性良好，不良事件发生率与安慰剂组相似

中国III期临床试验：无治疗相关严重不良事件¹

- 不良事件发生率与安慰剂组相似，大多数不良事件为轻度、一过性，可自行缓解
- 严重不良事件发生率**低于安慰剂组**，**无患者**因不良反应导致暂时或永久性停药
- 未观察到临床显著肝毒性或血糖恶化

无过敏 / 严重过敏

无因TEAE永久停药



无因治疗相关不良事件 (TEAE) 暂时停药

无死亡

全球III期临床试验：不良事件总体与安慰剂组相似

▶ 全球III期²:

- 不良事件总体与安慰剂组相似，最常见的不良事件包括腹痛、鼻咽炎、头痛等
- 严重不良事件 (SAE) 发生率、提前停药率均低于安慰剂

▶ 全球III期试验开放标签研究³:

- 全球III期试验**1年开放标签研究**显示³，不良事件类型与随机临床阶段一致，且总体发生率更低

药品说明书⁴

- 无黑框警告，无禁忌
- 普乐司兰不是肝脏 CYP450 酶或药物转运蛋白的底物、抑制剂或诱导剂，机制上**预计不会通过相关机制引起相关药物相互作用**

缩写：FCS: Familial Chylomicronemia Syndrome, 家族性乳糜微粒血症综合征; TEAE: Treatment-Emergent Adverse Event, 治疗相关不良事件; SAE: Serious Adverse Event, 严重不良事件; 来源：1. Yong Li, et al. Efficacy and Safety of Plozasiran in Chinese Patients with Familial Chylomicronemia Syndrome: A Randomized, Double-Blind, Placebo-controlled Phase III Clinical Trial. SCC 2026. 2. Watts GF, et al. Plozasiran for Managing Persistent Chylomicronemia and Pancreatitis Risk. N Engl J Med. 2025;392(2):127-137. 3. Watts GF, et al. A Randomized, Placebo-controlled Phase 3 Study of Plozasiran in Patients With FCS: Interim Analysis of Open Label Extension of PALISADE at 1 Year. ESC. 2025. 4. 普乐司兰注射液药品说明书, 修改日期: 2026年02月13日

普乐司兰钠注射液是1类新药，突破创新，全球首个且目前唯一精准靶向APOC3小干扰RNA药物，填补国内FCS百年治疗空白，带来疗效及安全性的显著获益

机制突破创新

- **机制创新：**精准靶向抑制肝脏 APOC3 mRNA 表达，双途径降低血浆乳糜微粒/TG水平：
 - ✓ **LPL 依赖性途径：**解除APOC3对LPL活性抑制导致的乳糜微粒分解异常，从而**加速TG水解**
 - ✓ **LPL 非依赖性途径：**解除APOC3对TRL残粒肝脏清除的干扰，**加速肝脏对TRL残粒的摄取清除**
- **设计创新：**应用GalNAc与siRNA的偶联技术，采用先进递送系统，实现**高效、精准的肝脏靶向与长效抑制**

疗效显著获益

- **疗效显著：**强效、快速、持久降低TG水平，降低**急性胰腺炎发生风险（硬终点改善）**^{1,2}
- **安全性良好：**不良事件发生率与安慰剂组相似^{1,2}
- **持久药效：**先进的递送体系，**仅需每3个月一次皮下注射**，提供便捷、高依从治疗选择



- ✓ **1类新药**
- ✓ **中美突破性疗法**
- ✓ **中美优先审评**
- ✓ **填补治疗空白**

普乐司兰是当前唯一获得中美双突破认定，填补国内FCS治疗空白，所治疗疾病致死致残率高，临床意义重大的药品，占新获批独家通用名药品的**0.8% (1/129)**

2025年7月1日-2026年5月31日
CDE批准上市的独家通用名药品 (**129**)³

中美突破性疗法双认定 (**9**) *

1类新药 (**7**)

填补空白 (**3**)

疾病致死致残性高 (**1**)

缩写：FCS: Familial Chylomicronemia Syndrome, 家族性乳糜微粒血症综合征; APOC3: Apolipoprotein C-III, 载脂蛋白 C-III; mRNA: Messenger Ribonucleic Acid, 信使 RNA; TG: Triglyceride, 甘油三酯; LPL: Lipoprotein Lipase, 脂蛋白脂肪酶; TRL: Triglyceride-Rich Lipoprotein, 富含甘油三酯脂蛋白; siRNA: Small Interfering RNA, 小干扰 RNA; GalNAc: N-Acetylgalactosamine, N-乙酰半乳糖胺; CYP450: Cytochrome P450, 细胞色素 P450 酶; CDE: Center for Drug Evaluation, 国家药品监督管理局药品审评中心; FDA: Food and Drug Administration, 美国食品药品监督管理局; 注: *相同适应症中美双认定; 来源: 1. Watts GF, et al. NEJM. 2025. 2. Yong Li, et al. SCC. 2026; 3. 医药魔方&CDE公开数据

普乐司兰钠注射液是突破创新药物，填补中国FCS治疗领域及目录空白，作为罕见疾病用药，基金影响有限，纳入医保将有助提升健康公平

弥补医保目录短板

- 全球首个且目前唯一获批治疗FCS的靶向APOC3的siRNA药物，有效填补我国FCS治疗领域和医保目录空白

提升公共健康获益

- 将普乐司兰钠注射液纳入医保目录可带来：1) 降低AP反复住院导致的患者家庭灾难性支出，减轻照护与误工误学负担，增强社会生产力与家庭稳定；2) 提升医疗可及性；3) 推动“诊断—随访—用药—事件预防”的规范管理闭环，减少无效治疗与资源浪费。
- FCS多始发于**儿童、青少年及成年早期**¹，患者治疗后可回归社会和家庭，对患者和社会具有重要意义

符合保基本原则

- 罕见疾病用药，适应症患者人数少**（中国FCS成人患者人数约2,200人^{2-3*}），医保基金支出有限
- 可节省AP等相关并发症的医疗资源使用，**节约医保基金支出**

临床管理难度

- FCS患者人群定义清晰，诊断标准明确⁴⁻⁵，无临床滥用风险
- 安全性与耐受性良好，**每3个月给药1次，患者可自行皮下注射**^{6**}，有助于提升依从性，**适合长期用药与规范慢病化管理**

缩写: FCS, 家族性乳糜微粒血症综合征; AP, 急性胰腺炎 **注:** *根据《中国血脂管理指南2023》, FCS患病率~2/100万; 人数按照中国人口14亿, 国家统计局2021年数据成人比例78.89%估算; **患者可选择大腿或腹部(肚脐周围2英寸区域除外)自行注射, 上臂外侧区域需医疗保健人员或护理人员注射
来源: 1. 梁芙蓉, 等. 中国心血管杂志, 2024; 2. 中国血脂管理指南修订联合专家委员会. 中华心血管病杂志, 2023; 3. 国家统计局2021年数据; 4. 谢坤等, 中国循环杂志, 2024; 5. 家族性乳糜微粒血症综合征诊断与管理专家共识组. FCS诊断与管理专家共识简报. presented at the 20th Oriental Congress of Cardiology. 6. 普乐司兰钠注射液药品说明书, 修改日期: 2026年02月13日;