

sanofi

芬妥司兰钠注射液

(赛菲因®)

1类新药，年仅6针，减少出血，精准监测

填补重型成人和伴抑制物血友病患者规律替代治疗（预防治疗）医保保障空白

赛诺菲（中国）投资有限公司上海分公司

目录

基本信息

- 全球**唯一**获批“伴或不伴抑制物的重型A型或B型血友病”适应症的小干扰RNA药物
- **参照药：无**（目录内无同适应症或机制的药品）

创新性

- 1类新药，**唯一小干扰RNA药物**，**靶向AT再平衡止血**，**年仅6针皮下注射***，革新治疗模式

有效性

- 较目录内治疗（因子和旁路制剂临时替代（按需）治疗），**显著降低平均年化出血率超过70%**
- 获国内外权威指南一致推荐



安全性

- **唯一**根据指南要求**建立用药监测**的非因子药物，保障安全用药，总体安全性良好

公平性

- **填补**重型血友病成人和伴抑制物患者规律替代治疗（预防治疗）的**医保保障空白**

芬妥司兰是全球唯一获批“伴或不伴抑制物的重型A型或B型血友病”适应症的小干扰RNA药物，填补临床空白

通用名	芬妥司兰钠注射液 ¹										
注册规格	0.2ml: 20mg (西林瓶)	0.5ml: 50mg (预充式注射笔)									
											
适应症	<p>本品适用于患有以下疾病的12岁及以上儿童和成人患者的常规预防治疗（即规律性替代治疗），以防止出血或降低出血发作的频率：</p> <ul style="list-style-type: none"> 存在或不存在抑制物的重型A型血友病 存在或不存在抑制物的重型B型血友病 										
用法用量	<p>本品为皮下注射。起始剂量为50 mg，每两个月皮下给药一次。如果需要，调整剂量和/或给药间隔，将抗凝血酶（AT）活性维持在15%-35%之间，直至达到目标剂量。</p> <p>临床试验中98.1%的中国受试者仅需0或1次剂量调整，其中53.7%受试者最终剂量为20mg每两月一次（主剂量）</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th>50mg Q2M*</th> <th>20mg Q2M</th> <th>50mg QM</th> <th>20mg QM</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>42.6%</td> <td>53.7%</td> <td>3.7%</td> <td>0%</td> </tr> </tbody> </table>			50mg Q2M*	20mg Q2M	50mg QM	20mg QM	42.6%	53.7%	3.7%	0%
50mg Q2M*	20mg Q2M	50mg QM	20mg QM								
42.6%	53.7%	3.7%	0%								
中国获批	2025年12月9日（中美同步上市）	专利到期	2033年5月								
认可度	<ul style="list-style-type: none"> 第一批罕见病目录品种，CDE中国1类新药认证 FDA突破性疗法，FDA和EMA孤儿药，华山奖最佳技术突破药品奖²⁻⁵ 										

参照药：无（空白参照）

- 目录内无同适应症或机制的药品
- 芬妥司兰是**全球唯一**适用于伴或不伴抑制物重型A型或B型血友病的小干扰RNA药物

价值评级：突破

- **填补医保保障空白：重型成人和伴抑制物血友病患者规律替代（预防）治疗**
- **96.3%**中国患者**年仅6针皮下注射**，降低就医负担
- **不基于体重调整剂量**的血友病药物，易监管
- **建立用药监测的非因子药物**，保障安全合理用药

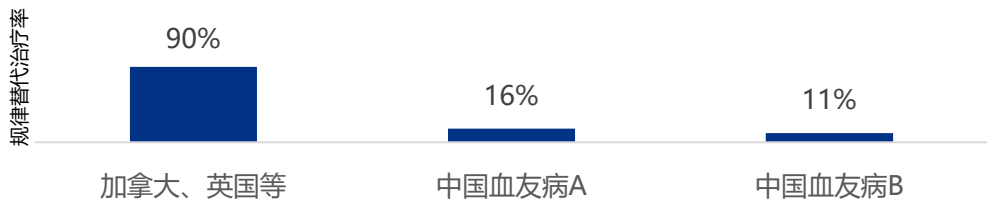
*Q2M: 每两个月给药一次; QM: 每月给药一次; ABR: 年化出血率; 指截至2026年5月
 1. 芬妥司兰钠注射液说明书 (核准日期: 2025年12月09日) 2. US FDA breakthrough designation letter 3. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/opa/detailedIndex.cfm?cfgridkey=402813>;
<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/opa/detailedIndex.cfm?cfgridkey=402913> 4. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1298#list-of-opinions>; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1297> 5. https://www.sohu.com/a/977197329_121118803

血友病是导致患者出血的致残致死性罕见病，规律替代治疗（预防治疗）为标准治疗。我国成人预防治疗未纳入医保，重型和伴抑制物患者疾病负担和经济负担沉重

- 血友病纳入《第一批罕见病目录》。我国血友病患病率约2.73/10万，其中A型约占80%，B型约占20%¹
- 指南推荐**规律替代治疗（预防治疗）**为血友病标准治疗，中重型血友病患者应尽早开始规律替代（预防）治疗^{2,3}

规律替代治疗（预防治疗）★	临时替代治疗（按需治疗）
<ul style="list-style-type: none"> • 血友病标准治疗 • 规律性使用因子或非因子药物，以减少出血发生 • 维持正常的关节和肌肉功能 	<ul style="list-style-type: none"> • 有出血、外伤后有出血风险、围手术期等过程中给予的临时/短期替代治疗 • 无法阻止反复出血，导致关节残疾

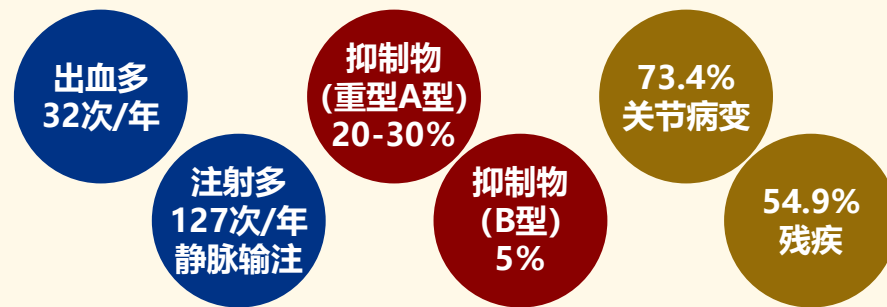
- 我国成人规律替代（预防）治疗及伴抑制物患者规律替代（预防）治疗药物**未纳入医保，患者规律替代（预防）治疗率很低**^{4,5}



疾病负担和经济负担沉重

疾病负担

- 重型血友病**仅占**整体患者约**30%**⁶，**出血风险更高**
- **抑制物**是因子治疗常见并发症¹，**无规律替代（预防）治疗药物**
- 患者**残疾比例高**，造成巨大劳动力损失⁷



经济负担

- 目录内因子（青少年规律替代(预防)治疗、成人临时替代(按需)治疗）按说明书剂量费用高达**22-79万/年**^a
- **真实世界人均因子年费用28万**⁷

a 目录内青少年因子预防治疗年费用计算：以目录内最新准入且单价最低的培妥罗凝血素α进行计算，次均用量为45kg*50IU/kg=2250IU；年用药次数为365天/4天=91.25次；每IU价格为1.4346元（以1000IU/支计），年费用为2250IU/次*91.25次*1.4346元/IU=294,541.31元；以重组八因子为例，1.5元/IU（安佳因），按照40IU/kg，每周3次，年费用为40IU/kg*45kg*156次*1.5元/IU=421,200元。目录内成人因子按需治疗年费用计算：以目录内最新准入且单价最低的培妥罗凝血素α进行计算，中位次均用量为65kg*50IU/kg*1.5=4875IU（指南）；年治疗次数为32次；每IU价格为1.4346元（以1000IU/支计），年费用为4875IU/次*32次*1.4346元/IU=223,798元；以目录内的重组IX因子的进行计算，中位次均用量为65kg*50IU/kg*1.5=4875IU；年治疗次数为32次；每IU价格为5.05元（以1000IU/支计），年费用为4875IU/次*32次*5.05元/IU=787,800元

目前因子治疗存在“费用高、监管难，保障短板，出血频、注射多”的问题； 芬妥司兰依说明书纳入保障，将以技术创新解决未满足需求

目前因子治疗的未满足需求

费用高、监管难

- 重组因子成人规律替代（预防）治疗**费用高**（43-165万/年）^a；**临床评估标准模糊，易滥用，监管难度大**



尚未纳入医保

- 重组因子**成人规律替代（预防）治疗尚无医保保障**
- 目录内**无伴抑制物规律替代（预防）治疗药物**



出血频、注射多

真实世界研究显示我国患者¹

- **出血频（32次/年）、注射多（127次/年静脉输注）**



芬妥司兰解决未满足需求

费用可控，易于监管

- 通过**监测AT**确定剂量，**患者个体剂量和给药次数明确，费用明确可控，易监管**²

填补空白，保障公平

- **唯一**获批伴/不伴抑制物重型A/B型血友病的小干扰RNA药物
- **填补**重型成人和伴抑制物规律替代（预防）治疗**医保保障空白**

最少注射，减少出血

- **96.3%**中国患者**年仅6针皮下注射**²
- **显著减少出血**：较因子按需平均年化出血率降低**71%**³

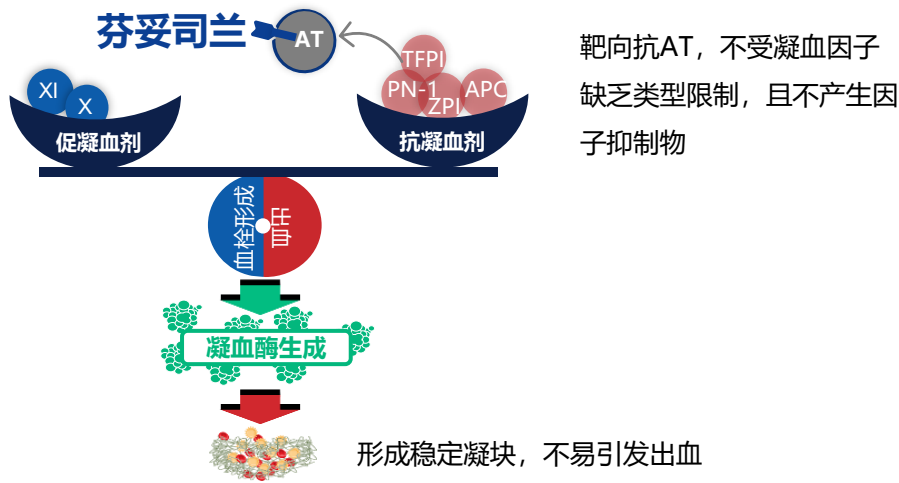
AT: 抗凝血酶

a成人因子预防治疗年费用计算：A型血友病以目录内最新准入且单价最低的培罗凝血素α进行计算，次均用量为65kg*50IU/kg=3250IU；年用药次数为365天/4天=91.25次；每IU价格为1.4346元（以1000IU/支计），年费用为3250IU/次*91.25次*1.4346元/IU=43万；B型血友病以注射用重组人凝血因子IX（贝赋）进行计算，次均用量为65kg*40IU/kg=2600IU；年用药次数为365天/3.5天=104.29次；每IU价格为6.08元（市场份额加权均价）；年费用为2600IU/次*104.29*6.08元=165万

芬妥司兰为1类新药，血友病领域唯一小干扰RNA药物，以创新机制再平衡止血，填补临床空白，年仅6针皮下注射，革新治疗模式

创新作用机制

- 精准靶向抗凝血酶（AT），长效降低AT水平，凝血酶生成充足，恢复凝血再平衡¹



- 小干扰RNA药物，一次注射持续降低AT水平长达数周²

填补临床空白，最小注射负担

- 唯一获批“伴或不伴抑制物的重型A型或B型血友病”适应症的小干扰RNA药物

- 96.3%中国患者年仅6针皮下注射，降低就医负担

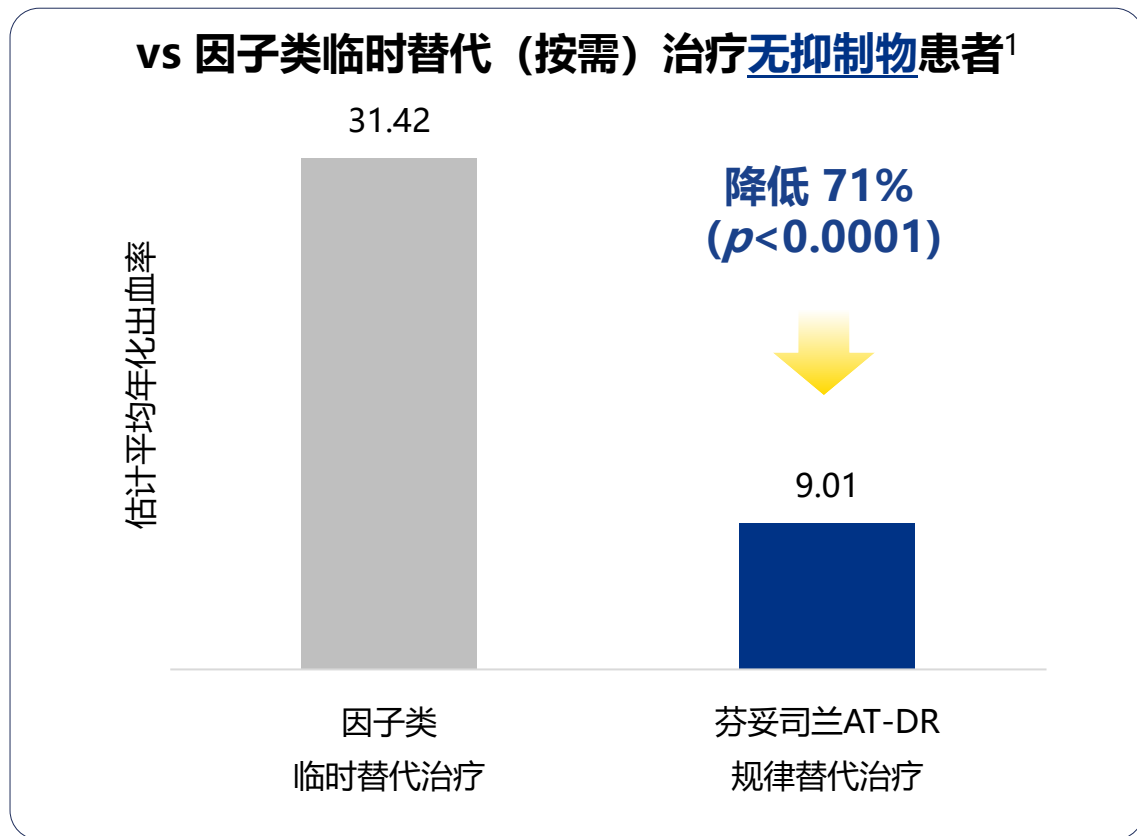
CDE 1类新药；FDA突破性疗法；FDA/EMA 孤儿药；华山奖最佳技术突破药品奖³⁻⁴

AT: 抗凝血酶; TFPI: 组织因子途径抑制物; APC: 活化蛋白C; PN-1: 蛋白酶连接素-1; ZPI: Z-依赖性蛋白酶抑制剂; 唯一指截至2026年5月

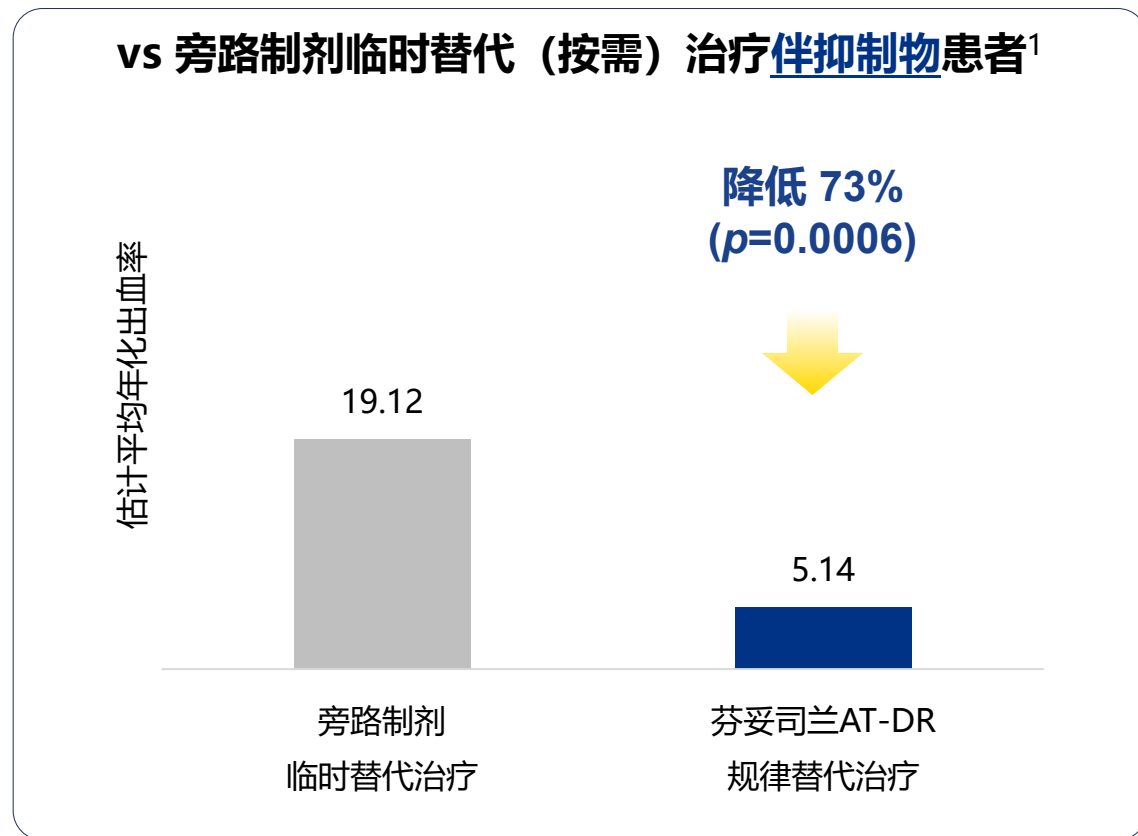
1. 芬妥司兰钠注射液说明书 (核准日期: 2025年12月09日) 2. Butterfield JSS, et al. Mol Ther. 2020 Apr 8;28(4):997-1015. 3. https://www.sohu.com/a/977197329_121118803 4. US FDA breakthrough designation letter, <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oodp/detailedIndex.cfm?cfgridkey=402813>; <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oodp/detailedIndex.cfm?cfgridkey=402913>; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1298#list-of-opinions>; <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-14-1297>

全球多中心临床试验证实：较目录内治疗（因子和旁路制剂临时替代（按需）治疗），芬妥司兰显著降低平均年化出血率超过70%

较因子按需，芬妥司兰平均ABR显著降低71%



较旁路制剂按需，芬妥司兰平均ABR显著降低73%



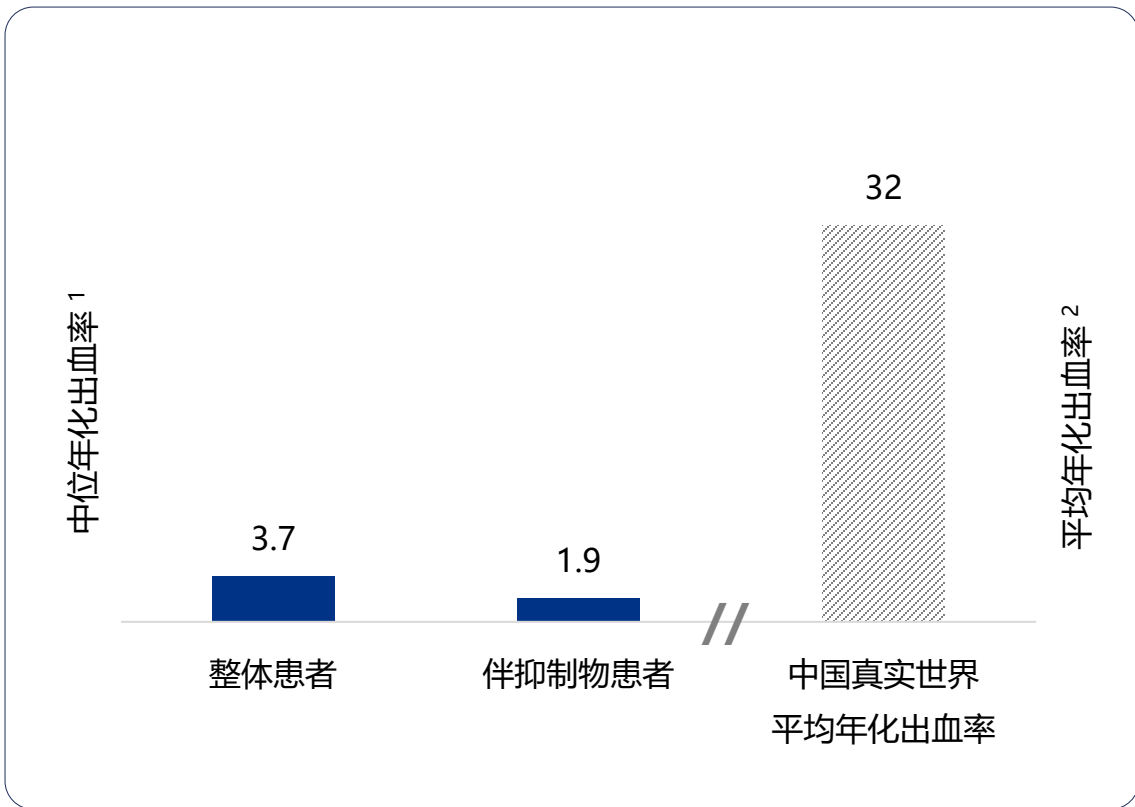
芬妥司兰的有效性和安全性在四项全球 III 期研究中进行了评估，包括三项对照母研究（ATLAS-INH、ATLAS-A/B和 ATLAS-PPX）以及一项开放标签延伸研究（ATLAS-OLE），涵盖 8 个不同人群，包括患有血友病 A/B 的青少年和成人，无论是否存在抑制物

ABR：年化出血率；AT：抗凝血酶；AT-DR：基于抗凝血酶的剂量方案；无抑制物的因子治疗药品为：重组人凝血因子（八因子、九因子，rFVIII、rFIX）；有抑制物的旁路制剂为：活化凝血酶原复合物浓缩物(aPCC) 或重组人凝血因子VIIa

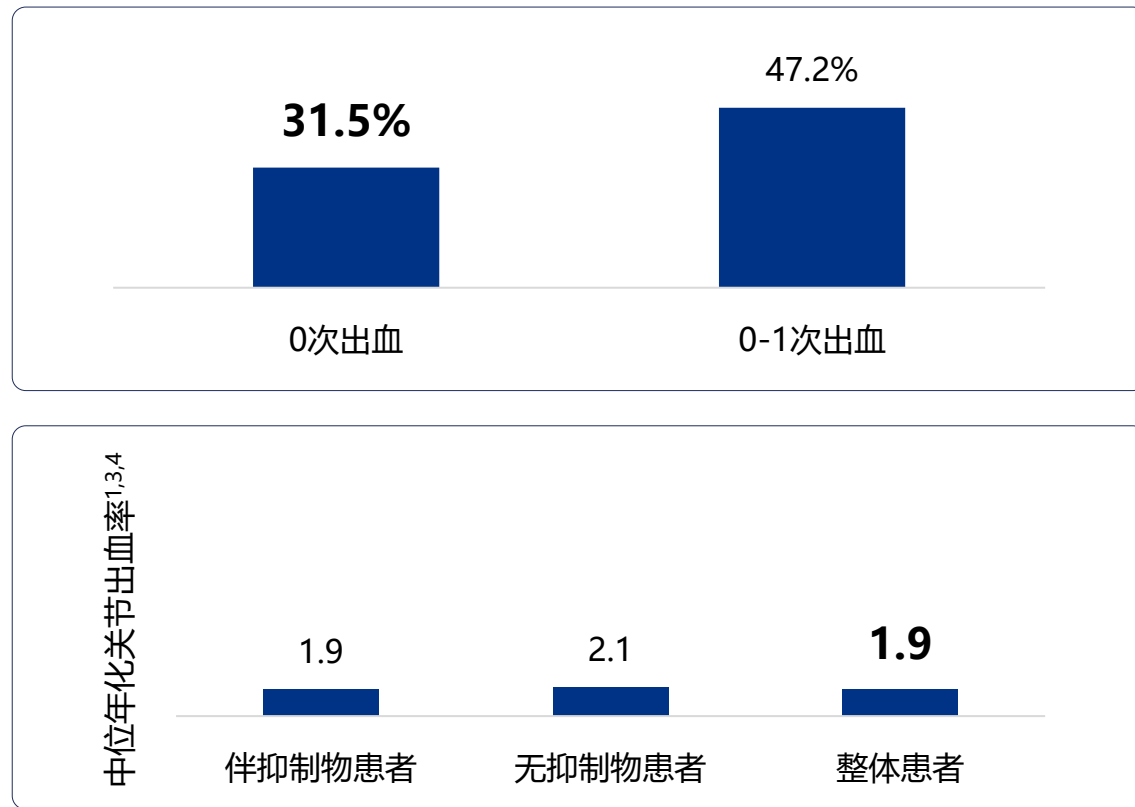
1. Young G et al. Safety and efficacy of a fitusiran antithrombin-based dose regimen in people with hemophilia A or B: the ATLAS-OLE study

全球多中心临床试验证实：芬妥司兰显著减少出血，较我国现状平均年出血32次大幅改善；近1/3患者0出血；中位年化关节出血率仅1.9，降低致残风险

整体患者中位ABR为3.7，伴抑制物患者为1.9



近1/3患者0出血；中位年化关节出血率仅1.9



芬妥司兰的有效性和安全性在四项全球 III 期研究中进行了评估，包括三项对照母研究（ATLAS-INH、ATLAS-A/B和 ATLAS-PPX）以及一项开放标签延伸研究（ATLAS-OLE），涵盖 8 个不同人群，包括患有血友病 A/B 的青少年和成人，无论是否存在抑制物

ABR：年化出血率；AT：抗凝血酶；AT-DR：基于抗凝血酶的剂量方案；无抑制物的因子治疗药品为：重组人凝血因子（八因子、九因子，rFVIII、rFIX）；有抑制物的旁路制剂为：活化凝血酶原复合物浓缩物(aPCC) 或重组人凝血因子VIIa

1. Young G et al. Safety and efficacy of a fitusiran antithrombin-based dose regimen in people with hemophilia A or B: the ATLAS-OLE study 2. 2024 中国血友病患者治疗模式与疾病负担研究 3. Presentation in 2024 European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD) 4. Fitusiran ATLAS-OLE Clinical Study

国内外指南一致推荐重型血友病患者应尽早开始规律替代治疗（预防治疗），推荐芬妥司兰用于A型和B型血友病的规律替代治疗（预防治疗）

获国内外众多权威指南一致推荐



血友病治疗中国指南 (2025)

- 建议**所有重型血友病患者接受规律替代治疗**，药物可选**非因子药物**
- **芬妥司兰**减少出血效果良好，年化出血率明显低于凝血因子按需治疗（**强推荐：100%**）



中国血友病管理指南 (2024)

- **所有重型血友病患者都应该尽早开始预防治疗**
- **芬妥司兰**皮下给药、作用时间长，用于HA/B，伴/不伴抑制物患者



儿童血友病诊疗指南 (2025)

- 推荐**重型血友病患儿尽早开始预防治疗**
- 推荐**芬妥司兰**用于不伴或伴抑制物患儿规律替代治疗



血友病合并抑制物诊断 与治疗中国指南 (2023)

- **芬妥司兰**在HA/HB伴抑制物患者预防治疗中取得良好疗效
- 皮下注射给药，操作容易，避免了静脉穿刺的痛苦



世界血友病联盟血友病 管理指南 (2020)

- 建议**所有出血严重的血友病患者采取预防治疗**
- **芬妥司兰**皮下给药、作用时间长，用于HA/B，伴/不伴抑制物患者

HA: A型血友病; HB: B型血友病

唯一根据指南要求建立用药监测的非因子药物，保障安全用药； 芬妥司兰总体安全性良好，不良事件发生率低

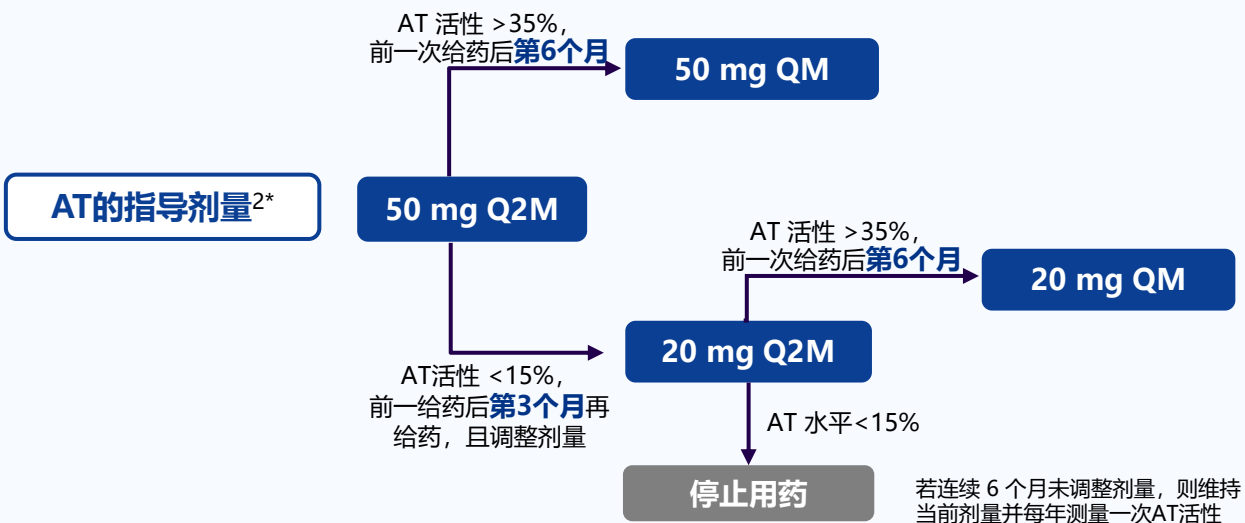
AT监测指导用药，实现精准个体化管理，保障用药安全



血友病治疗中国指南 (2025)

- 非因子类药物存在实验室客观疗效监测的困难等问题，使用过程中需要密切观察血栓相关的症状¹

芬妥司兰基于AT的剂量方案 (AT-DR)



*在本品的起始剂量给药以及进行任何剂量调整后的第1个月、第3个月、第5个月和第6个月，采用经验证的AT活性测定方法检测AT活性：任何AT活性 < 15%时，需要降低剂量。且较低剂量应在前一次给药后3个月开始。剂量降低后，应重新开始AT检测。如果6个月后AT活性 > 35%，或者如果患者的出血控制效果不满意，则应考虑递增剂量。剂量递增后，应重新开始AT检测。

1. 血友病治疗中国指南 (2025) 2. 芬妥司兰钠注射液说明书 (核准日期: 2025年12月09日) 3. Sanofi. Data on file (EAHAD February 2024).

安全性和耐受性良好，不良事件发生率低

血栓事件发生率和血友病群体人群一致

- 基于AT-DR给药方案血栓事件的暴露调整发生率为0.8/100人年[#]，与血友病群体人群发生率一致^{2,3}

基于AT-DR，胆囊事件发生率显著下降

- 相较于非基于AT-DR，胆囊事件发生率降低了78% (从17%降至3.8%)，胆囊切除术率降低了92.5% (从4%降至0.3%)²

安全性和耐受性良好，不良事件发生率低

- AT-DR组肝酶升高是短暂一过性的，可恢复^{1,3}
- 整体不良事件可控：治疗期间最常见的不良反应(≥ 10%)为病毒感染、鼻咽炎和细菌性感染²
- 严重不良反应发生率及停药率低：仅1.4%患者因不良反应而永久停用芬妥司兰²

[#]暴露调整发病率=发生事件的例数/总暴露时间*100。0.8/100人年为每100名患者接受治疗1年，预计会发生约0.8例血栓事件

AT: 抗凝血酶; AT-DR: 基于抗凝血酶的剂量调整方案; Q2M: 每两个月给药一次; QM: 每月给药一次
唯一指截至2026年5月

填补重型血友病成人和伴抑制物患者规律替代治疗（预防治疗）的医保保障空白；替代目录现有治疗可显著减少出血，减少注射，并有望节省医保费用，带来更大获益

所治疗疾病对公共健康的影响

- 血友病是**罕见遗传性出血性疾病**，纳入第一批罕见病目录，导致**致残致死风险**，造成巨大劳动力损失
- **我国患者疾病负担和经济负担重**，尤其是重型患者和伴抑制物患者：**因子费用高、监管难**，成人及伴抑制物患者规律替代（预防）治疗**无保障**。患者**出血频**（32次/年）、**注射多**（127次/年静脉输注）

符合“保基本”原则

- **患者数量有限**：重型患者仅约占血友病整体患者的30%
- **替代现有治疗**：芬妥司兰替代现有治疗有望节省医保内因子费用
- **节约疾病管理成本**：减少出血和注射，降低就医频率，节约关节病变治疗成本

弥补目录短板

- **填补**重型成人和伴抑制物规律替代（预防）治疗的**医保保障空白**
- 已获批非因子药物中唯一可**填补B型伴抑制物患者临床空白**，人群仅约占血友病患者的1%，但治疗选择极少，未满足需求大

临床管理难度

- **不基于体重调剂量**的血友病药物，剂量固定，**易于监管**
- 96.3%中国患者**年仅6针皮下注射**，易于临床管理
- 目前**唯一**根据指南要求**建立用药监测**（AT活性水平）的非因子药物，保障安全合理用药，无滥用风险