

编码：YPSW202600262

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： 芬妥司兰钠注射液

企业名称： 赛诺菲（中国）投资有限公司上海分公司

申报信息

申报时间	2026-06-09 15:19:38	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）	芬妥司兰钠注射液	商品名	赛菲因®
医保药品分类与代码	XB02BXF767B002010179506:0.2ml:20mg（西林瓶）； XB02BXF767B002020179506:0.5ml:50mg（预充式注射笔）	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	化药1类		
核心专利类型1	化合物专利ZL201380034051.X	核心专利权期限届满日1	2033-04
核心专利类型2	化合物专利ZL201910499935.1	核心专利权期限届满日2	2033-05
核心专利类型1	化合物专利ZL201380034051.X	核心专利权期限届满日1	2033-04
核心专利类型2	化合物专利ZL201910499935.1	核心专利权期限届满日2	2033-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	0.2ml: 20mg（西林瓶）； 0.5ml: 50mg（预充式注射笔）		
上市许可持有人（授权企业）	Genzyme Corporation		
说明书全部适应症/功能主治	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，以防止出血或降低出血发作的频率：存在或不存在凝血因子VIII抑制物的重型A型血友病（先天性凝血因子VIII缺乏，FVIII<1%）或存在或不存在凝血因子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	【推荐剂量】 本品为皮下注射。建议在有血友病或有出血性疾病治疗经验的医疗保健专业人士的监督下使用本品。在开始本品治疗前检测抗凝血酶（AT）活性，如果<60%，请勿开始本品治疗。在开始本品治疗后，患者可以在前7天治疗期间继续接受之前使用的凝血因子浓缩物（CFC）或旁路制剂（BPA）预防治疗，最长不超过7天必须停止。本品的起始剂量为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AT活性维持在15%-35%之间(参见【注意事项】)。【剂量调整】 应采用经验证的特定抗凝血酶（AT）活性测定方法检测AT活性，如果当地无法获取经验证的AT检		

	<p>测，应在其他已验证AT活性测定方法的实验室进行检测（参见【注意事项】）。在本品的起始剂量给药以及进行任何剂量调整后的第4周（第1个月）、第12周（第3个月）、第20周（第5个月）和第24周（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。根据AT活性水平调整的剂量请参见下表1（详见说明书）。注：截至2023年6月14日ATLAS-OLE研究的数据，用药剂量分布情况为：96.3%的中国初治参与者接受每两个月一次（Q2M）方案（50 mg Q2M为42.6%，20 mg Q2M为53.7%），3.7%的中国初治参与者接受每月一次（QM）方案（50 mg QM为3.7%，20 mg QM为0），且98.1%的中国初治参与者需要0或1次剂量调整。</p>		
所治疗疾病基本情况	<p>血友病是导致患者出血的致残致死性罕见病，已纳入《第一批罕见病目录》。我国血友病患者患病率约2.73/10万，其中A型血友病约占80%，B型血友病约占20%。重型血友病仅占整体患者约30%，出血风险更高。抑制物是因子治疗常见并发症，重型A型血友病发生率约20%-30%，B型约5%，无规律替代（预防）治疗药物。我国患者残疾比例高，73.4%患者关节病变，54.9%患者残疾，造成巨大劳动力损失</p>		
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	2025-12	注册证号/批准文号	0.2 ml: 20 mg（西林瓶）：国药准字HJ20250146 0.5 ml: 50 mg（预充式注射笔）：国药准字HJ20250145
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	2025-03
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	<p>血友病治疗包括因子和非因子药物。因子药物主要为重组因子，可用于规律替代治疗（预防治疗）和临时替代治疗（按需治疗）。重组因子用于规律替代治疗（预防治疗）的费用高（43-165万/年），临床评估标准模糊，基金监管难度大，目前成人规律替代治疗未纳入医保保障。我国患者治疗结局差，出血频（32次/年），注射多（127次/年静脉输注）。非因子药物包括芬妥司兰、马塔西单抗和艾美赛珠单抗，均未纳入医保。芬妥司兰是血友病领域唯一小干扰RNA治疗剂，精准靶向抗凝血酶（AT），长效降低AT水平，恢复凝血平衡。【与因子药物相比】填补重型成人和伴抑制物血友病患者规律替代治疗医保保障空白；96.3%中国患者年仅6针皮下注射，降低就医负担；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。【与非因子药物相比】芬妥司兰是唯一可填补B型伴抑制物患者临床空白的非因子药物；以最少注射即可显著减少出血；唯一根据指南要求建立用药监测指标和标准（AT活性水平），保障安全合理用药；不基于体重调整剂量，易于临床和医保监管</p>		
企业承诺书	↓ 下载文件 4企业承诺书.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 2芬妥司兰钠注射液说明书.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 3药品注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 4-1芬妥司兰钠注射液PPT1.pdf		
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 4-2芬妥司兰钠注射液PPT2.pdf		

说明:

- 1、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。
- 2、中成药：一律填写日均费用。
- 3、西药：（1）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。
（2）急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
（3）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。
（4）其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
（5）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。
① 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
② 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	-	-	-	-	-	-	-

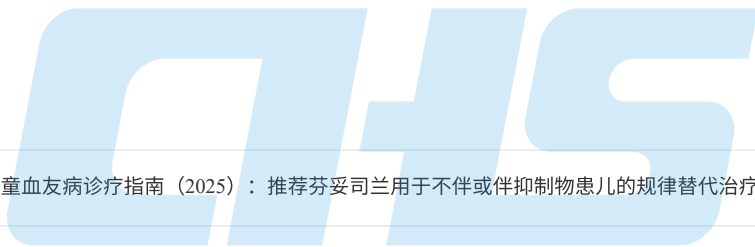
参照药品选择理由：目录内无同适应症和机制的药品，芬妥司兰是全球唯一用于伴或不伴抑制物重型A型或B型血友病患者的干扰RNA药物

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	全球III期扩展研究无对照药品；全球III期母体研究中的对照药品为因子和旁路制剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球III期扩展研究基于抗凝血酶活性给药方案的患者（≥12岁有或无抑制物重型血友病A或B，n=213），总体中位年化出血率（ABR）为3.7，伴抑制物患者为1.9；31.5%患者经历0次出血；中位年关节出血率为1.9。整合临床III期研究疗效分析：对无抑制物患者：较因子按需平均ABR显著降低71%；对伴抑制物患者，较旁路制剂按需平均ABR显著降低73%；较旁路制剂预防平均ABR显著降低70%
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_ATLAS-OLE.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	全球III期扩展研究无对照药品；全球III期母体研究中的对照药品为因子和旁路制剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	全球III期扩展研究基于抗凝血酶活性给药方案的患者（≥12岁有或无抑制物重型血友病A或B，n=213），总体中位年化出血率（ABR）为3.7，伴抑制物患者为1.9；31.5%患者经历0次出血；中位年关节出血率为1.9。整合临床III期研究疗效分析：对无抑制物患者：较因子按需平均ABR显著降低71%；对伴抑制物患者，较旁路制剂按需平均ABR显著降低73%；较旁路制剂预防平均ABR显著降低70%
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_ATLAS-OLE.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	血友病治疗中国指南（2025）：芬妥司兰利用RNA干扰机制来切割和降解抗凝血酶mRNA，以减少肝脏抗凝血酶的合成。临床研究中显示出良好的减少出血效果，年化出血率明显低于凝血因子按需治疗、旁路制剂临时治疗以及与旁路制剂定期规律治疗组（强推荐：100%）
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 指南1_血友病治疗中国指南2025.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国血友病管理指南（2024）：芬妥司兰皮下给药、发挥作用时间长，且可用于血友病A及血友病B，伴或不伴抑制物患者
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 指南2_中国血友病管理指南2024.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	儿童血友病诊疗指南（2025）：推荐芬妥司兰用于不伴或伴抑制物患儿的规律替代治疗
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 指南3_儿童血友病诊疗指南2025.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南（2023）：非因子类药物芬妥司兰恢复凝血平衡，在HA和HB伴抑制物患者的预防治疗中已取得良好的疗效。以皮下注射的方式给药，操作相对容易，也避免了静脉穿刺的痛苦
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 指南4_血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南2023.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	世界血友病联盟血友病管理指南（2020）：芬妥司兰是一种RNA干扰药物，通过针对抗凝血酶mRNA来抑制肝脏中抗凝血酶的产生。该药的特点包括皮下给药、发挥作用时间长，且可用于血友病A及血友病B，伴或不伴抑制物患者
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 指南5_WFH血友病管理指南2020.pdf



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

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）

临床指南/诊疗规范推荐情况1

血友病治疗中国指南（2025）：芬妥司兰利用RNA干扰机制来切割和降解抗凝血酶mRNA，以减少肝脏抗凝血酶的合成。临床研究中显示出良好的减少出血效果，年化出血率明显低于凝血因子按需治疗、旁路制剂临时治疗以及与旁路制剂定期规律治疗组（强推荐：100%）

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](#) 指南1_血友病治疗中国指南2025.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

中国血友病管理指南（2024）：芬妥司兰皮下给药、发挥作用时间长，且可用于血友病A及血友病B，伴或不伴抑制物患者

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](#) 指南2_中国血友病管理指南2024.pdf



中国医疗保障

临床指南/诊疗规范推荐情况3

儿童血友病诊疗指南（2025）：推荐芬妥司兰用于不伴或伴抑制物患儿的规律替代治疗

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](#) 指南3_儿童血友病诊疗指南2025.pdf

CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况4

血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南（2023）：非因子类药物芬妥司兰恢复凝血平衡，在HA和HB伴抑制物患者的预防治疗中已取得良好的疗效。以皮下注射的方式给药，操作相对容易，也避免了静脉穿刺的痛苦

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](#) 指南4_血友病合并抑制物诊断与治疗中国指南2023.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

世界血友病联盟血友病管理指南（2020）：芬妥司兰是一种RNA干扰药物，通过针对抗凝血酶mRNA来抑制肝脏中抗凝血酶的产生。该药的特点包括皮下给药、发挥作用时间长，且可用于血友病A及血友病B，伴或不伴抑制物患者

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](#) 指南5_WFH血友病管理指南2020.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

芬妥司兰《技术审评报告》尚未公开

《技术审评报告》原文（可节选）

-

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

芬妥司兰《技术审评报告》尚未公开

《技术审评报告》原文（可节选）

-

三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息

芬妥司兰总体安全性良好，整体不良事件可控。常见不良反应为病毒感染、鼻咽炎、细菌性感染、肝损伤、关节痛和注射部位反应。无禁忌症。主要安全性风险包括：血栓事件（抗凝血酶活性持续低于15%时风险增加）以及急性和复发性胆囊疾病。有基础肝病或中重度肝功能不全的患者需慎用本品

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

1) 芬妥司兰为唯一根据指南要求建立用药监测的非因子药物，通过监测抗凝血酶（AT）水平指导用药，实现精准个体化管理，保障安全用药。基于AT的剂量方案（AT-DR），芬妥司兰血栓事件和胆囊事件发生率显著下降：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；胆囊事件发生率降低了78%（从17%降至3.8%），胆囊切除手术率降低了92.5%（从4%降至0.3%）；AT-DR组肝酶升高是短暂一过性的，可恢复。2) 芬妥司兰已在全球5个国家/地区获批，上市后未收到药监部门的安全性警告、撤市要求等情况。3) 长期安全性数据良好。累积期内芬妥司兰患者暴露量估计为199患者-年，基于累积安全性数据的评价和获益-风险分析，在当前获批使用条件下，患者耐受性良好，芬妥司兰治疗获批适应症的获益-风险平衡仍有利

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 安全性信息文献.pdf

四、创新性信息

创新程度

1) 芬妥司兰精准靶向抗凝血酶（AT），降低AT水平，凝血酶生成充足，恢复凝血再平衡。2) 芬妥司兰为小干扰RNA药物，一次注射持续降低AT水平长达数周。3) 创新认可：中国I类新药、FDA突破性疗法、FDA和EMA孤儿药、华山奖最佳技术突破药品奖

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 1创新程度.pdf

应用创新

1) 精准靶向AT，不受凝血因子缺乏类型限制，且不产生因子抑制物，唯一获批“伴或不伴抑制物的重型A型或B型血友病”适应症的非因子药物。2) 血友病领域唯一小干扰RNA药物，长效机制带来最小注射负担，96.3%中国患者年仅6针皮下注射，降低就医负担。3) 安全合理用药：不基于体重调整剂量的血友病药物，易于临床和医保监管；唯一根据指南要求建立用药监测指标和标准（AT活性水平）的非因子药物，保障安全合理用药

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 2应用创新.pdf

传承性（仅中成药填写）

-

五（一）、公平性信息

<p>所治疗疾病对公共健康的影响</p>	<p>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）</p>
<p>符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）</p>	<p>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</p>
<p>弥补目录短板</p>	<p>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</p>
<p>临床管理难度</p>	<p>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</p>