

sanofi

目录外西药-申报条件1-新增通用名

适应症：本品用于治疗纽约心脏协会（NYHA）心功能分级II-III级的梗阻性肥厚型心肌病（HCM）成人患者，以改善运动能力和症状

# 阿夫凯泰片

**全球首发1类新药，第二代心肌肌球蛋白抑制剂（CMI）**

**创新机制，优化药理，突破性药物认定**

**相比第一代CMI更强效、快速、安全**

【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

- 梗阻性肥厚型心肌病 (oHCM) 是**罕见病**，死亡/心脏移植风险高；按最新专家共识推荐的治疗目标，目录内亟需**更加强效、快速、且安全**降低左心室流出道压力阶差 (LVOTG)、实现完全缓解的药物

## 02 有效性

- **强效**：相比第一代心肌肌球蛋白抑制剂 (CMI) 玛伐凯泰，阿夫凯泰LVOTG降幅多**14.5 mmHg** ( $p < 0.05$ ) \*；阿夫凯泰用药**96周**，**62%**的患者实现**完全缓解\*\***，玛伐凯泰用药**180周**为**46.8%**
- **快速**：阿夫凯泰**8周**即可**达到LVOTG最大降幅**，缓解梗阻，玛伐凯泰需约**40周**

## 03 安全性

- **无玛伐凯泰的药物相互作用黑框警告**
- 相比玛伐凯泰，阿夫凯泰**心衰、房颤、及整体严重不良事件发生率更低**

## 04 创新性

- **1类新药**，获中美突破性治疗药物认定，中国上市申请被纳入优先审评
- **第二代CMI**，全新分子创新机制，更短半衰期(更快达LVOTG最大降幅)，更宽治疗窗及更低药物相互作用风险(更安全)

## 05 公平性

- **疗效佳、获益快、安全性良好**，弥补目录未满足需求
- **罕见病患者人群小**，替代玛伐凯泰，**基金影响小**

sanofi

注：\*LVOTG每升高20mmHg，全因死亡和心脏移植风险升高24%，SCD/ICD/室颤风险升高36%

\*\*完全缓解定义为：Valsalva LVOTG $\leq$ 30mmHg 且NYHA 心功能分级1级

缩略词：CMI, Cardiac myosin inhibitor, 心肌肌球蛋白抑制剂；LVOTG, Left ventricular outflow tract gradient, 左心室流出道压力阶差；oHCM, obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy, 梗阻性肥厚型心肌病。

# 阿夫凯泰片在中国获批用于NYHA II-III级梗阻性肥厚型心肌病 (oHCM) 成人患者

## 基本信息

申报目录类别	基本医保目录	注册分类	化学药品1类
药品通用名称	阿夫凯泰片 <sup>1</sup>	注册规格	5mg
说明书适应症	本品用于治疗纽约心脏协会 (NYHA) 心功能分级 II-III 级的 <b>梗阻性肥厚型心肌病 (HCM)</b> 成人患者，以改善运动能力和症状		
用法用量	本品的推荐 <b>起始剂量为5mg</b> ，每日一次口服给药， <b>每2周</b> 可进行一次剂量递增， <b>每次增加5mg</b> ，直至达到维持剂量或最大推荐剂量20mg，本品的维持剂量根据患者左心室射血分数 (LVEF) 和左心室流出道压力阶差 (LVOTG) 进行个体化滴定 (详见说明书)		
全球首个上市国家及时间	中国，2025年12月16日 ( <b>全球首发</b> )		
大陆地区同通用名上市情况	无，独家		
核心专利权期限届满日	2039年1月18日		

## 建议参照药

参照药建议选择：**玛伐凯泰胶囊<sup>2</sup>**

原因如下：

- 同治疗领域：**适应症均为NYHA心功能分级II-III级的oHCM成人患者
- 同药物类别：**均为心肌球蛋白抑制剂 (CMI)
- 目录内应用最广泛：**玛伐凯泰已于2024年纳入医保目录，是当前目录内唯一一个CMI类药物

## 建议价值评级：改进

- 1 创新：**阿夫凯泰为**第二代CMI药物<sup>3,4</sup>**，其创新机制<sup>5-9</sup>、优化药理<sup>1,2,5,10,11</sup>，带来疗效、安全性的全面改进
- 2 更强效：**阿夫凯泰较玛伐凯泰**更强效降低LVOTG<sup>12</sup>**，有助降低死亡及心血管风险<sup>13</sup>，且**快速起效<sup>1,2,14,16</sup>**，**实现完全缓解<sup>15,17</sup>**
- 3 更安全：**阿夫凯泰**治疗窗更宽<sup>5</sup>**，**快速逆转<sup>16</sup>**，**无药物相互作用黑框警告<sup>1</sup>**，整体安全性更优
- 4 阿夫凯泰获得**中国美国双重突破性治疗认定<sup>18,19</sup>****

缩略词：CMI, Cardiac myosin inhibitor, 心肌球蛋白抑制剂；LVEF, Left Ventricular Ejection Fraction, 左心室射血分数；LVOTG, Left ventricular outflow tract gradient, 左心室流出道压力阶差；NYHA, New York Heart Association, 纽约心脏病协会；oHCM, obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy, 梗阻性肥厚型心肌病。

来源：1. 阿夫凯泰片说明书。核准日期：2025年12月16日。2. 玛伐凯泰胶囊说明书。核准日期：2025年3月6日。3. 心肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识工作组。《心肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识》。临床药物治疗杂志。2026;24(3): 1-13。4. 任笑雨,等. 中华心血管病杂志. 2025;53(09): 1083-1088。5. Chuang C, et al. J Med Chem. 2021;64(19):14142-14152。6. Barrick SK, et al. J Biol Chem. 2021;297(5):101297。7. Hartman JJ, et al. Nat Cardiovasc Res. 2024;3:1003-1016。8. Auguin D, et al. Nat Commun. 2024;15:4885。9. Rohde JA, et al. Proc Natl Acad Sci U S A. 2018;115(32):E7486-E7494。10. Davis BJ, et al. J Am Heart Assoc. 2025;14(6):e038758。11. Fahim M, et al. Am J Cardiol. 2026;265:50-56。12. 苏晨翔,等. 第27届南方心血管病学术会议摘要. 2026。13. Elliott PM, et al. Eur Heart J. 2006;27:1933-1941。14. Tian Z, et al. J Am Heart Assoc. 2026;15:e046251。15. Tower-Rader A, et al. Eur Heart J. 2026;00:1-12。16. Maron MS, et al. N Engl J Med. 2024;390(20):1849-1861。17. Garcia-Pavia P, et al. Eur Heart J. 2024;45:5071-5083。18. 国家药品监督管理局药品审评中心. 纳入突破性治疗品种名单 (信息公开) . 2022。19. U.S. Food and Drug Administration (FDA). CDER Breakthrough Therapy Designation Approvals. 2025.

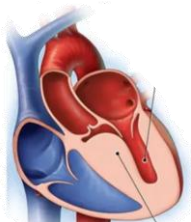
# oHCM属于我国罕见病目录收录的特发性心肌病，疾病负担重；疾病核心治疗目标是强效、快速降低LVOTG，并尽早实现完全缓解

- HCM的主要病因是编码心肌肌小节相关蛋白的基因变异，导致肌动蛋白-肌球蛋白横桥的过量形成，从而使得心肌过度收缩、舒张受损，其临床上表现为心肌肥厚<sup>1</sup>
- oHCM是HCM的一种亚型<sup>1</sup>，属于《第一批罕见病目录》收录的特发性心肌病<sup>2-4</sup>，2024年医保目录官方总结报告中将CMI列为罕见病用药<sup>5</sup>

## oHCM疾病负担重，严重影响生活与生存

### 疾病负担

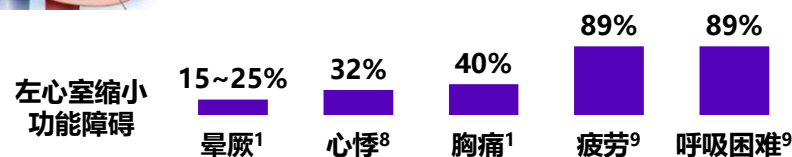
异常肥厚的心肌阻挡了左心室血液流出，并在其上下方产生左心室流出道压力阶差(LVOTG)



### 死亡及事件风险增加<sup>1,6,7</sup>

- 死亡/心脏移植风险: > 40%\*<sup>6</sup>
- 心衰#: 43.5%<sup>1</sup>
- 房颤#: 22.45%<sup>7</sup>
- 合并房颤的患者，血栓栓塞患病率#: 27.09%<sup>7</sup>

### 患者生存状态差<sup>1,8,9</sup>



## oHCM核心治疗目标是强效、快速降低LVOTG，并尽早实现完全缓解

### 临床指标

#### LVOTG

LVOTG每升高20mmHg，全因死亡/心脏移植风险显著升高**24%**，心脏性猝死 (SCD) /植入式心脏复律除颤器 (ICD) /室颤风险显著升高**36%**<sup>6</sup>

#### 完全缓解

(Valsalva LVOTG < 30mmHg + NYHA I级 复合终点)  
达到完全缓解意味着患者实现高水平的生活质量，疾病进展风险大幅降低，生存预后显著改善<sup>10</sup>

### 最新oHCM治疗目标专家共识<sup>10</sup>

- 强效降低LVOTG<sup>10</sup>
- 快速降低LVOTG<sup>10</sup>
- 尽早实现完全缓解<sup>10</sup>

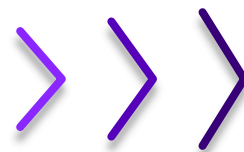
注: \*基线LVOTG≥90mmHg的患者; #因缺乏针对oHCM的疾病负担统计研究, 此处引用的是HCM的疾病负担数据

缩略词: CMI, Cardiac myosin inhibitor, 心肌肌球蛋白抑制剂; HCM, Hypertrophic Cardiomyopathy, 肥厚型心肌病; ICD, Implantable Cardioverter-Defibrillator, 植入式心脏复律除颤器; NYHA, New York Heart Association, 纽约心脏病协会; LVOTG, Left Ventricular Outflow Tract Gradient, 左心室流出道压力阶差; oHCM, obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy, 梗阻性肥厚型心肌病; SCD, Sudden Cardiac Death, 心源性猝死。

来源: 1. 国家心血管病中心心肌病专科联盟, 等. 《中国成人肥厚型心肌病诊断与治疗指南 2023》. 中国循环杂志. 2023;38(1):1-33. 2. Arimura T, et al. Acta Myol. 2007;26(3):153-158. 3. 《关于公布第一批罕见病目录的通知》(国卫医发〔2018〕10号). 4. 《国家卫生健康委办公厅关于印发罕见病诊疗指南(2019年版)的通知》(国卫办医函〔2019〕198号). 5. 商海春. 罕见病用药进医保. 新华社. 2024. 中国政府网[https://www.gov.cn/zhengce/jiedu/tujie/202412/content\\_6991528.htm](https://www.gov.cn/zhengce/jiedu/tujie/202412/content_6991528.htm). 6. Elliott PM, et al. Eur Heart J. 2006;27:1933-1941. 7. Guttman OP, et al. Heart 2014;100:465-472. 8. Hu T, et al. Sci Rep. 2020;10(1):14935. 9. Zaiser E, et al. J Patient Rep Outcomes. 2020;4:102. 10. 张健, 等. 《梗阻性肥厚型心肌病治疗目标专家共识》. 中华心力衰竭和心肌病杂志. 2026;10(01):3-15

# 当前目录内仅一个CMI药物玛伐凯泰胶囊可选择，根据oHCM的最新治疗目标，其存在众多治疗局限性，需要更强效、快速、安全的CMI药物进入目录

## 第一代CMI玛伐凯泰局限性



## 第二代CMI阿夫凯泰 疗效、起效速度、安全性“改进”

### 1 强效降低LVOTG

治疗30周，玛伐凯泰组校正安慰剂效应后较基线LVOTG降幅为35.6mmHg<sup>1</sup>

需要更强效、

治疗**24周**，阿夫凯泰组校正安慰剂效应后较基线LVOTG降幅为**50mmHg**<sup>4</sup>

### 2 快速降低LVOTG

约需40周达到LVOTG最大降幅\*<sup>2,7</sup>

快速、安全的  
CMI药物进入

**8周**达到LVOTG最大降幅\*<sup>4,5</sup>

### 3 尽早实现完全缓解\*\*

治疗180周，46.8%玛伐凯泰组患者达到完全缓解\*\*<sup>3</sup>

目录

治疗**96周**，**62%**阿夫凯泰组患者达到完全缓解<sup>6</sup>

### 4 安全性良好

说明书中有**药物相互作用黑框警告**<sup>2</sup>，合并用药复杂，安全风险（心衰为主）增高<sup>2</sup>；若有药物不良反应，停药后洗脱效应需8周<sup>1</sup>

说明书中**无**药物相互作用黑框警告<sup>5</sup>，合并用药风险低；若有药物不良反应，停药后洗脱效应仅需4周<sup>4</sup>

sanofi

注：\*数据来源于剂量调整方案与在中国获批说明书一致的临床研究中的结果。\*\*完全缓解定义为：Valsalva LVOTG $\leq$ 30mmHg 且NYHA 心功能分级1级  
 缩写词：CMI, Cardiac myosin inhibitor, 心肌肌球蛋白抑制剂；LVOTG, Left Ventricular Outflow Tract Gradient, 左心室流出道压力阶差；oHCM, obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy, 梗阻性肥厚型心肌病。

来源：1. Olivetto I, et al. Lancet. 2020;396:759-769. 2. 玛伐凯泰胶囊说明书. 核准日期：2025年3月6日. 3. Garcia-Pavia P, et al. Eur Heart J. 2024;45:5071-5083. 4. Maron MS, et al. N Engl J Med. 2024;390(20):1849-1861. 5. 阿夫凯泰片说明书. 核准日期：2025年12月16日. 6. Tower-Rader A, et al. Eur Heart J. 2026;00:1-12. 7. Tian Z, et al. J Am Heart Assoc. 2026;15:e046251.

# 全球III期临床试验显示，阿夫凯泰治疗oHCM患者疗效显著，获指南/共识明确认可

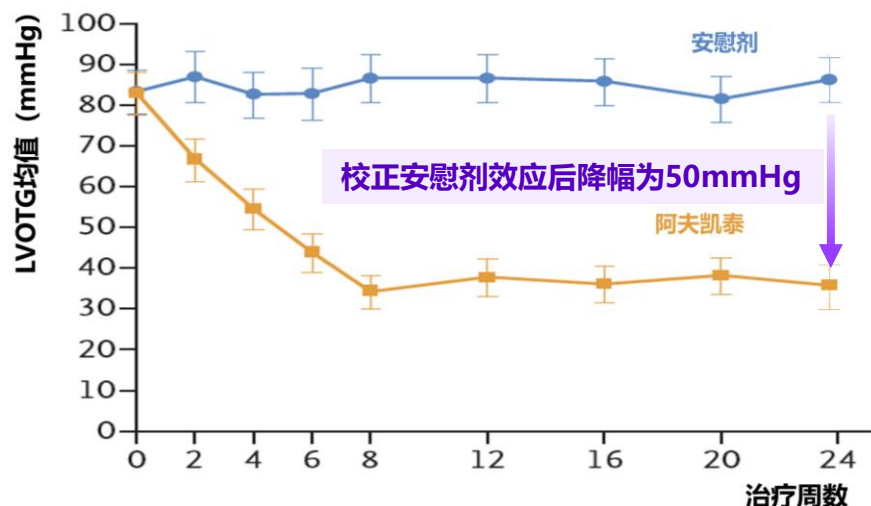
## 主要终点与次要终点均显示出显著疗效<sup>1</sup>

- III期、国际多中心、随机、双盲试验，样本量282
- 治疗24周的研究结果发表于权威期刊《新英格兰医学杂志》
- 主要终点峰值摄氧量 (pVO<sub>2</sub>)、次要终点LVOTG等指标均显著优于安慰剂组 (p<0.05)

### LVOTG

oHCM的诊疗依据、中国临床常规监测指标<sup>2-7,12</sup>

治疗24周Valsalva LVOTG\*较基线降幅阿夫凯泰组为47.6mmHg，校正安慰剂效应后降幅为50mmHg<sup>1</sup>



### pVO<sub>2</sub>

非中国临床常规监测指标<sup>7</sup>

- pVO<sub>2</sub>监测流程复杂，多用于科学研究
- 对于左心室肥厚患者的随访仅在必要时选择性测试<sup>2</sup>

治疗结束时pVO<sub>2</sub>较基线变化值 (ml/kg/min)

	试验组	安慰剂组	组间差	P值
阿夫凯泰 <sup>1</sup>	1.8	0.0	1.7	<0.001
玛伐凯泰 <sup>8</sup>	1.4	-0.1	1.4	0.0006

## 国内外权威指南/共识明确认可

国内外权威指南/共识明确认可阿夫凯泰作为第二代CMI，在疗效优、获益早、半衰期短、治疗窗宽、安全性良好方面的优势<sup>4,7,9,10</sup>



《心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识》<sup>9</sup>



ESC 《2023 欧洲心脏病学会心肌病治疗指南》<sup>10</sup>



《梗阻性肥厚型心肌病治疗目标中国专家共识》<sup>11</sup>



《中国心肌病综合管理指南 2025》<sup>4</sup>



《中国成人肥厚型心肌病诊断与治疗指南 2023》<sup>7</sup>

注：玛伐凯泰全球III期临床显示，治疗30周，玛伐凯泰组校正安慰剂效应后较基线Valsalva LVOTG降幅为35.6mmHg<sup>8</sup>

注：\*Valsalva动作通过降低前负荷诱发或加重oHCM的左室流出道梗阻，因此Valsalva LVOTG升高用于评估动态性梗阻

sanofi

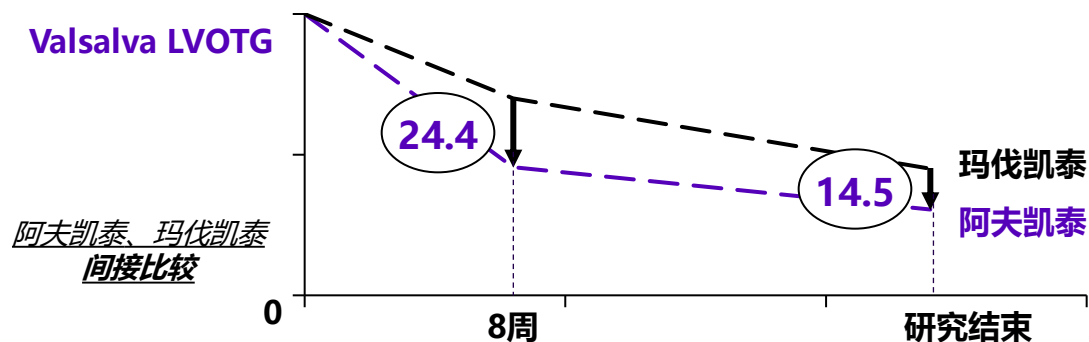
来源：1. Maron MS, et al. N Engl J Med. 2024;390(20):1849-1861. 2. Elliott PM, et al. Eur Heart J. 2006;27:1933-1941. 3. 国家心血管病专家委员会心力衰竭专业委员会, 等. 《中国肥厚型心肌病指南 2022》[J]. 中华心力衰竭和心肌病杂志, 2022;6(2): 80-105. 4. 国家心血管病中心心肌病专科联盟, 等. 《中国心肌病综合管理指南2025》. 中国循环杂志, 2025;40(5): 420-462. 5. 阿夫凯泰片说明书. 核准日期: 2025年12月16日. 6. 玛伐凯泰胶囊说明书. 核准日期: 2025年3月6日. 7. 中国医师协会心血管内科医师分会心力衰竭学组, 等. 《左心室肥厚诊断和治疗临床路径中国专家共识2023》. 中国循环杂志, 2024;39(1): 17-28. 8. Olivetto I, et al. Lancet. 2020;396:759-769. 9. 心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识工作组. 《心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识》. 临床药物治疗杂志, 2026;24(3): 1-13. 10. Arbelo E, et al. 《2023 ESC Guidelines for the management of cardiomyopathies》. Eur Heart J. 2023;44(37):3503-3626. 11. 张健, 等. 《梗阻性肥厚型心肌病治疗目标专家共识》. 中华心力衰竭和心肌病杂志, 2026;10(01):3-15

# 在oHCM核心治疗目标下<sup>1</sup>，阿夫凯泰可强效、快速降低LVOTG，以降低事件风险、降低手术需求，实现完全缓解

## 治疗目标①强效降低LVOTG：相比玛伐凯泰，更强LVOTG降幅，更低事件风险

### Valsalva LVOTG降幅 (mmHg)

治疗8周，阿夫凯泰Valsalva LVOTG降幅显著多24.4mmHg ( $p < 0.05$ )<sup>2</sup>  
研究结束，阿夫凯泰Valsalva LVOTG降幅显著多14.5mmHg ( $p < 0.05$ )<sup>2</sup>



LVOTG每增加20mmHg，疾病相关事件风险升高<sup>3</sup>：

全因死亡和心脏移植风险

↑ 24%

SCD/ICD/室颤风险

↑ 36%

治疗目标 <sup>1</sup>	临床指标	阿夫凯泰	玛伐凯泰
①强效降低LVOTG	室间隔减容治疗 (SRT) 手术指征消除率	97% (12周) <sup>4</sup> ~ 100% (96周) <sup>4</sup>	82.1% (16周) <sup>5</sup> ~ 84.3% (128周) <sup>5</sup>
②快速降低LVOTG	达到LVOTG最大降幅时间	约8周 <sup>6,7</sup>	约40周 <sup>8,9</sup>
③快速实现完全缓解	完全缓解率 (Valsalva LVOTG < 30 mmHg且NYHA I级)	62% (96周) <sup>4,10</sup>	46.8% (180周) <sup>11</sup>

# 阿夫凯泰相比玛伐凯泰安全性更好，无药物相互作用黑框警告，合并用药更安全

	阿夫凯泰	玛伐凯泰
严重不良事件 (SAE) *发生率 <sup>1,2</sup>	5.6%	8.0%
左心室射血分数LVEF<50%发生率 <sup>3</sup>	4.8%	10.6%
房颤#发生率 <sup>3</sup>	4.1/100患者年	11.5/100患者年

## 阿夫凯泰说明书无药物相互作用黑框警告，合并用药更安全

阿夫凯泰

不对任何单一CYP450代谢酶表现出绝对依赖<sup>5</sup>



说明书中**无**药物相互作用黑框警告

阿夫凯泰联用受影响的常用药物数量为0<sup>5,6</sup>



oHCM  
常见合并症\*\*

冠心病  
房颤  
抑郁  
血栓栓塞  
肺动脉高压  
肿瘤



玛伐凯泰

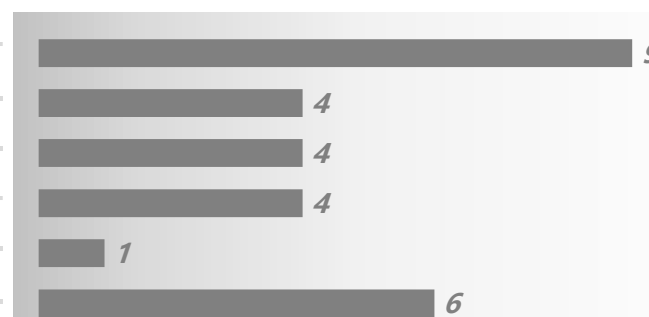
主要经CYP2C19代谢<sup>4</sup>，而东亚人群CYP2C19慢代谢者比例较高 (13.0%)<sup>4</sup>，对对合并用药中的CYP相关相互作用更敏感

玛伐凯泰存在说明书药物相互作用黑框警告<sup>4</sup>

本品与某些细胞色素P450抑制剂合并用药或停用某些细胞色素P450诱导剂可能会增加因收缩功能障碍导致的心力衰竭风险；因此，使用本品时有以下禁忌：

- 中效至强效CYP2C19抑制剂或强效CYP3A4抑制剂
- 中效至强效CYP2C19诱导剂或中效至强效CYP3A4诱导剂

玛伐凯泰药物相互作用涉及到28种常用药品，其中17种为禁用<sup>4,6-8</sup>



注：\*严重不良事件包括心衰、短暂性脑缺血、房颤、猝死、晕厥、病毒性肠胃炎、感染等 \*\*常见合并症比例：冠心病53.0%<sup>9</sup>，房颤25.0%<sup>10</sup>，抑郁23.4%<sup>11</sup>，血栓栓塞8.2%<sup>12</sup>，肺动脉高压8.1%<sup>13</sup>，肿瘤3.7%<sup>14</sup>

# 房颤并非药物引起的不良反应

缩略词：CYP450，Cytochrome P450，细胞色素P450酶系（包括CYP2C19、CYP3A4等）；LVEF，Left Ventricular Ejection Fraction，左心室射血分数；oHCM，obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy，梗阻性肥厚型心肌病；SAE，Severe Adverse Events，严重不良事件。

来源：1. Maron MS, et al. N Engl J Med. 2024;390(20):1849-1861. 2. Olivetto I, et al. Lancet. 2020;396:759-769. 3. Davis BJ, et al. J Am Heart Assoc. 2025;14(6):e038758. 4. 玛伐凯泰胶囊说明书. 核准日期：2025年3月6日. 5. 阿夫凯泰片说明书. 核准日期：2025年12月16日. 6. 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. 《心肌肌球蛋白抑制剂在梗阻性肥厚型心肌病患者中应用的专家建议》. 中华心血管病杂志. 2025;53(07): 746-756. 7. European Medicines Agency. CAMZYOS: Summary of Product Characteristics. 2023. 8. CAMZYOS® REMS. Available at: <https://www.camzyosrems.com/>. 9. Puwanant S, et al. BMC Cardiovasc Disord. 2021;21:556. 10. 田江雨, 等. 中国医科大学学报. 2025;54(1):44-50. 11. Hu HL, et al. J Am Heart Assoc. 2021;10:e019071. 12. 阮海燕, 等. 中国全科医学. 2023;26(8):917-926. 13. Ma HH, et al. IJC Heart Vasculature. 2025;56:101605. 14. Zampieri M, et al. Mayo Clin Proc. 2024;99(2):218-228.

# 第二代CMI<sup>1,2</sup>阿夫凯泰的创新作用机制使其精准强效抑制心肌过度收缩；优化的药理特性使其起效快、相比玛伐凯泰安全性更高、易用性强

## 创新机制

全新分子结构<sup>3,\*</sup>、创新作用机制（不同心肌肌球蛋白结合位点），精准强效抑制心肌过度收缩

- **阿夫凯泰**：精准作用在心肌横桥循环的**关键产力步骤**<sup>5</sup>，抑制心肌的过度收缩<sup>5</sup>
- **玛伐凯泰**：主要作用在心肌横桥循环的准备环节<sup>4</sup>，改变肌球蛋白构象<sup>6,7</sup>，降低产力横桥形成的概率<sup>6,7</sup>

## 优化药理

	阿夫凯泰	玛伐凯泰	阿夫凯泰临床优势
半衰期	3.3天 <sup>8</sup>	6~23天 <sup>9</sup>	• <b>起效快</b> ：每 <b>2周</b> 上调剂量 <sup>8</sup> ， <b>6~8周</b> 达最优剂量（玛伐凯泰每 <b>12周</b> 上调剂量 <sup>9</sup> ， <b>24~36周</b> 达最优剂量）
治疗窗	9.9倍 <sup>3</sup>	2.8倍 <sup>3</sup>	• <b>剂量易把握，安全性更优</b> <sup>10</sup> ， <b>更少心衰风险</b> <sup>11</sup>
药物相互作用	常见合并用药对其 <b>无明显</b> 代谢酶诱导/抑制 <sup>8</sup>	常见合并用药对其 <b>有明显</b> 代谢酶诱导/抑制 <sup>9</sup>	• 无药物相互作用黑框警告 <sup>8</sup> ， <b>合并用药风险低，安全性更高</b> <sup>11</sup>
洗脱期	4周 <sup>12</sup>	8周 <sup>13</sup>	• <b>若出现药物不良反应，停药后反应可快速消失</b> <sup>12</sup>

注：\*阿夫凯泰的化学名称是(R)-N-(5-(5-乙基-1,2,4-噁二唑-3-基)-2,3-二氢-1H-茚-1-基)-1-甲基-1H-吡唑-4-甲酰胺，分子式是C<sub>18</sub>H<sub>19</sub>N<sub>5</sub>O<sub>2</sub>，分子量337.38；玛伐凯泰的化学名称是6-[(1S)-1-苯乙基]氨基]-3-丙-2-基-1H-嘧啶-2,4-二酮，分子式是C<sub>15</sub>H<sub>19</sub>N<sub>3</sub>O<sub>2</sub>，分子量是273.33。

缩略词：CMI，Cardiac myosin inhibitor，心肌肌球蛋白抑制剂。

来源：1. 心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识工作组. 《心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识》临床药物治疗杂志. 2026;24(3): 1-13. 2. 任笑雨,等. 中华心血管病杂志. 2025;53(09):1083-1088; 3. Chuang C, et al. J Med Chem. 2021;64(19):14142-14152. 4. Barrick SK, et al. J Biol Chem. 2021;297(5):101297. 5. Hartman JJ, et al. Nat Cardiovasc Res. 2024;3:1003-1016. 6. Auguin D, et al. Nat Commun. 2024;15:4885. 7. Rohde JA, et al. Proc Natl Acad Sci U S A. 2018;115(32):E7486-E7494. 8. 阿夫凯泰片说明书. 核准日期: 2025年12月16日. 9. 玛伐凯泰胶囊说明书. 核准日期: 2025年3月6日. 10. Fahim M, et al. Am J Cardiol. 2026;265:50-56. 11. Davis BJ, et al. J Am Heart Assoc. 2025;14(6):e038758. 12. Maron MS, et al. N Engl J Med. 2024;390(20):1849-1861; 13. Olivetto J, et al. Lancet. 2020;396:759-769

创新性  
认证

1类新药

优先审评

中国&美国  
突破性治疗  
药物认定

sanofi

# 第二代CMI阿夫凯泰获益快、疗效佳、安全性高；罕见病用药，替代目录内产品，医保基金影响小

## 提升公共健康获益

- ❖ oHCM疾病负担沉重且患者为青壮年（平均年龄42岁）<sup>1</sup>，阿夫凯泰有助于**改善患者生存预后，极具社会意义**
- ❖ 阿夫凯泰**无药物相互作用黑框警告<sup>2</sup>**，**合并用药更安全**

## 弥补目录短板

- ❖ **第二代CMI<sup>3,4</sup>**，**获突破性治疗药物认定<sup>5,6</sup>**，全新分子结构和作用机制<sup>7-11</sup>，优化药理<sup>2,7,12-14</sup>
- ❖ 相较于第一代CMI，**更强LVOTG降幅<sup>15</sup>**、**快速起效<sup>2,4,12,16,17</sup>**、**尽早实现完全缓解<sup>18,19</sup>**、**更低心衰<sup>13</sup>**、**房颤<sup>13</sup>**和**严重不良事件发生率<sup>17,20</sup>**；**易用性强<sup>4</sup>**

## 符合“保基本”原则

- ❖ 罕见病用药，适应症**人群仅1~1.5万<sup>22-25</sup>**，**替代目录内产品玛伐凯泰**，基金影响小
- ❖ 可**减少手术需求<sup>17,18</sup>**，**降低死亡、心脏移植、心衰、房颤等事件风险和医疗成本<sup>26</sup>**

## 临床管理安全便捷，效率提升

- ❖ oHCM**诊断标准明确<sup>21</sup>**，用药监测指标严格，**临床滥用风险低**
- ❖ **剂量调整方便快捷**，药物相互作用风险低<sup>2</sup>，**提升疾病管理效率**

缩略词：CMI，Cardiac myosin inhibitor，心肌肌球蛋白抑制剂；LVOTG，Left ventricular outflow tract gradient，左心室流出道压力阶差；oHCM，obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy，梗阻性肥厚型心肌病。

来源：1. Burns J, et al. *Cardiol Res Pract.* 2018 Oct 2;2018:3750879. 2.阿夫凯泰片说明书. 核准日期：2025年12月16日. 3. 任笑雨,等. *中华心血管病杂志*,2025;53(09):1083-1088. 4.心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识工作组.《心肌肌球蛋白抑制剂药物治疗专家共识》. *临床药物治疗杂志*, 2026;24(3):1-13. 5. 国家药品监督管理局药品审评中心. 纳入突破性治疗品种名单 (信息公开). 2022. 6. U.S. Food and Drug Administration (FDA). CDER Breakthrough Therapy Designation Approvals. 2025. 7.Chuang C, et al. *J Med Chem.* 2021;64(19):14142-14152. 8. Barrick SK, et al. *J Biol Chem.* 2021;297(5):101297. 9. Hartman JJ, et al. *Nat Cardiovasc Res.* 2024;3:1003-1016. 10. Auguin D, et al. *Nat Commun.* 2024;15:4885. 11. Rohde JA, et al. *Proc Natl Acad Sci U S A.* 2018;115(32):E7486-E7494. 12.玛伐凯泰胶囊说明书. 核准日期：2025年3月6日. 13.Davis BJ, et al. *J Am Heart Assoc.* 2025;14(6):e038758. 14. Fahim M, et al. *Am J Cardiol.* 2026;265:50-56. 15. 苏晨翔. Aficamten与Mavacamten治疗梗阻性肥厚型心肌病的疗效与安全性：随机对照试验的 Bucher 分析[C]. SCC,广州, 3月19-22日. 16. Tian Z, et al. *J Am Heart Assoc.* 2026;15:e046251. 17. Maron MS, et al. *N Engl J Med.* 2024;390(20):1849-1861. 18. Tower-Rader A, et al. *Eur Heart J.* 2026;00:1-12. 19. Garcia-Pavia P, et al. *Eur Heart J.* 2024;45:5071-5083. 20. Olivotto I, et al. *Lancet.* 2020;396:759-769. 21. 国家心血管病中心心肌病专科联盟,等.《中国心肌病综合管理指南2025》. *中国循环杂志*, 2025;40(5): 420-462. 22.中国医师协会心血管内科医师分会心力衰竭学组,等.《左心室肥厚诊断和治疗临床路径中国专家共识2023》. *中国循环杂志*, 2024;39(1): 17-28. 23. Terasaka N, et al. *J Cardiol.* 2023;81(3):316-322. 24. Maron BJ, et al. *J Am Coll Cardiol.* 2022;79(4):372-389. 25. Maron MS, et al. *Circulation.* 2006;114(21):2232-2239. 26. Elliott PM, et al. *Eur Heart J.* 2006;27:1933-1941.