

奥德昔巴特胶囊 (蓓尔唯®)

益普生 (天津) 医药商贸有限公司

我国首个且唯一获批用于儿童罕见病PFIC的回肠胆汁酸转运体(IBAT)抑制剂
填补临床和医保目录空白，拯救儿童罕见病患者，具有重要战略和社会价值

目录

- 1 基本信息 ✓ 我国首个且唯一罕见儿童疾病进行性家族性肝内胆汁淤积症(PFIC)领域获批的非手术疗法, 填补临床和医保目录空白
- 2 创新性 ✓ 全球首创回肠胆汁酸转运体(IBAT)抑制剂、中国首个且唯一PFIC领域治疗药物
- 3 有效性 ✓ 降低患儿 80% 手术或死亡风险, 提升自体肝脏存活率, 延长患者无临床事件生存期
- 4 安全性 ✓ 整体安全性良好, 上市4年全球范围未发现新的安全性问题
- 5 公平性 ✓ 基金影响有限且可控, 保障儿童罕见病患者

中国首个且唯一获批用于儿童罕见疾病PFIC的非手术药物疗法

奥德昔巴特胶囊基本信息¹

通用名	奥德昔巴特胶囊
独家品种	是
申报目录类别	基本医保目录 (首选)、商保创新药品目录
药品注册分类	化学药品5.1类
注册规格	按C37H48N4O8S2计, (1) 200µg (2) 400µg (3) 600µg (4) 1200µg
适应症	用于治疗≥6月龄的进行性家族性肝内胆汁淤积症 (PFIC) 患者的瘙痒 (欧盟最新说明书获批用于治疗 6 个月及以上患者的PFIC ²)
用法用量	奥德昔巴特的推荐剂量为40µg/kg, 每日一次, 早晨口服。奥德昔巴特可与食物同时服用或不与食物同时服用。
中国获批时间	2024年12月
全球首次上市国家/地区及时间	欧盟, 2021年7月

唯一描述均以药监部门审批为准, 截至2026年06月10日

中国首个且唯一获批用于PFIC的药物，填补临床治疗药物空白



建议空白参照

无同作用机制药物

- 全球首个，中国首个且唯一PFIC领域获批的回肠胆汁酸转运蛋白 (IBAT) 抑制剂型、治疗药物¹，填补临床药物空白

疾病领域**无获批**药可用

- 临床用药与医保目录内均无适应症相同或相似药品

临床试验**空白对照**

- 根据全球多中心III期临床试验PDEFIC1，对照组为安慰剂对照⁴

获得多项**特殊审评**资格

- 获美欧孤儿药资格认定，纳入包括**中国**在内的多国优先审评^{5, 6}

权威指南共识**强烈推荐**

- EASL指南、中国肝内胆汁淤积症诊疗专家共识等共同推荐⁷⁻¹⁰

唯一描述均以药监部门审批为准，截至2026年06月10日 UDCA: 熊去氧胆酸

1. Albireo Pharma, Inc. Albireo Receives European Marketing Authorization of Bylvay™ (odevixibat), the First Drug Treatment for Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis (PFIC); 2. 来自IQVIA, SKP, Benhealth等多家咨询公司市场调研; 3. McKiernan P, Bernabeu JQ, Girard M, et al. Opinion paper on the diagnosis and treatment of progressive familial intrahepatic cholestasis[J]. JHEP Rep, 2024,6(1); 4. Thompson RJ, et al. Lancet Gastroenterol Hepatol. 2022;7:830-42; 5. 国家药品监督管理局药品审评中心2024年度药品审评报告; 6. Albireo Pharma, Inc. Albireo Submits for U.S. FDA and EMA Product Approval of Once-Daily Odevixibat for PFIC; 7. European Association for the Study of the Liver. J Hepatol. 2024 Aug;81(2):303-325; 8. McKiernan P, et al. JHEP Reports, 2024,6(1)100949; 9. 国家感染性疾病临床医学研究中心, 中华临床感染病杂志, 2021,14(6):401-412; 10. 中国罕见病联盟遗传性肝病分会, 中华儿科杂志, 2026,64(3):262-269.

PFIC危及生命，进展迅速，而传统手术治疗创伤性强、风险大，治疗短板亟需填补

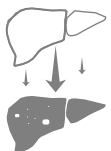
**危及患儿身心健康，
给家庭和社会带来沉重负担**

危及生命



若未有效控制，仅50%患者能活到10岁，几乎没有患者能活到成人¹

进展迅速



易进展为**严重晚期肝部疾病**（肝硬化和肝细胞癌），**严重威胁生命**^{2,3}

严重损害患儿/家庭生活品质⁶



瘙痒是典型临床表现：皮肤抓痕、睡眠障碍、疲劳、抗抑郁药使用率提升66%⁴，76-80%患者经历严重瘙痒，可导致自杀意念⁵

长期疾病负担波及家庭：73%照护者存在心理健康问题，86%报告睡眠问题⁸

危害患儿生长发育



易导致患儿身高矮小和发育迟缓，**超过一半患儿无法茁壮成长**⁷

**传统手术治疗存在短板，
临床未满足需求大**

传统手术治疗包括胆汁分流术与肝移植手术

- **有效性不足，手术风险高**
- 近10%患者在肝移植后1年内死亡⁹；超10%肝移植在5年内失败⁹
- **安全性不足，存在长期、严重并发症风险**
- 胆汁分流术导致肠缺血、造口脱垂或肠梗阻^{10, 11}
- 肝移植可导致肾功能障碍(62.7%)、血脂异常(29.4%)、糖尿病(21.6%)^{12, 13}
- **可及性差，儿童肝源稀缺且手术费用高昂**
- **供体器官短缺、器官参差不齐**，严重影响手术质量及术后恢复¹⁴
- 小儿肝移植技术要求高，具备资质的医院不足全国医院总数0.3%，且集中于北上广等超一线城市¹⁵
- **肝移植手术费用高昂**，且移植后存活患者需终生使用免疫抑制剂¹⁶
- **永久性造口影响生活质量**
- 患者需使用引流袋¹⁷，给患者及家长带来焦虑不安^{18, 19}

PFIC: 进行性家族性肝内胆汁淤积症

1. Jones-Hughes T, et al. Orphanet J Rare Dis. 2021 Jun 3;16(1):255; 2. Gunaydin M, Cil ATB. Hepatic medicine: evidence and research. 2018;10:95; 3. Mehl A, et al. World journal of transplantation. 2016;6(2):278; 5. American Association for the Study of Liver Diseases (2025) The Liver Meeting 2025: Conference abstracts, Washington, DC, 7-11 November. 5. Kode V, Yimam KK. Cholestatic pruritus: Pathophysiology, current management approach, and emerging therapies. Curr Hepatol Rep. 2024;23:123-136. doi: 10.1007/s11901-024-00638-7 6. Jacquemin E. Clin Liver Dis. 2000 Nov;4(4):753-63; 7. Alam S, Lal BB. World J Hepatol. 2022 Jan 27;14(1):98-118; 8. Albireo. Data on File: PFIC patient testimonials (with consents provided for use in NICE submission); 2021; 9. Hang C, et al. J Clin Med. 2022 Aug 11;11; 10. Wang KS, et al. Hepatology. 2017;65(5):1645-54; 11. Mousavi SA, et al. 2014 Mar;14(3):e13549; 12. Kuramitsu K, et al. Transplant Proc. 2014 Apr;46(3):797-803; 13. Namgoong J-M, et al. ahbps. 2022 02;26(1):69-75; 14. Neuberger J. Journal of Autoimmunity. 2016 2016/01/01;66:51-9; 15. 来自IQVIA, SKP, Benhealth等多家咨询公司市场调研 16. Jiang Y, et al. Orphanet J Rare Dis. 2026 Apr 27 17. Gunaydin M, Cil ATB. Hepatic medicine: evidence and research. 2018;10:95; 18. Silva NM, et al. Psychological aspects of patients with intestinal stoma: integrative review. Journal [serial on the Internet]. 2017; 19. Mighiu C, et al. Orphanet J Rare Dis. 2022 Feb 2.

全球首创回肠胆汁酸转运体抑制剂，可实现PFIC患者的长期获益



中国豁免注册临床试验获批
并纳入优先审评¹

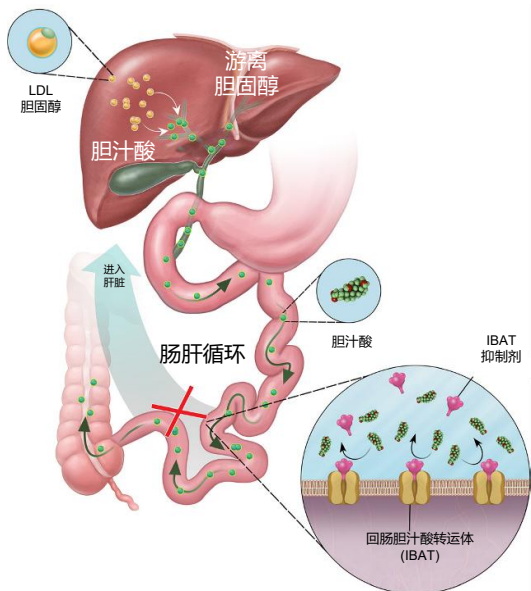


纳入美国快速审评，优先审评，
获孤儿药资格认定²



纳入欧洲优先审评 (PRIME)，
获孤儿药资格认定²

作用原理



靶点创新

全球首创 IBAT 抑制剂
抑制IBAT减少回肠对胆汁酸的再吸收³



sBA降低与自体肝
生存率密切相关⁴

肝脏和血清中的胆汁酸水平降低⁴，
显著提升自体肝生存率⁴

应用创新

胶囊形式给药，用药灵活便捷⁶

- 低龄儿童可将胶囊颗粒混入食物或液体中服用，不影响疗效⁶；
- 较大年龄儿童可直接整粒吞服⁶；

治疗有效性

✓ 避免肝移植风险

- 达到治疗目标患者3年内均未接受肝移植⁴
- 真实世界研究显示治疗3年可降低80%的手术或死亡风险⁵

治疗安全性

✓ 无创治疗选择

- 瘙痒症状改善显著提升1倍⁴
- 用药方式灵活方便，改善患儿及家长生活质量⁶

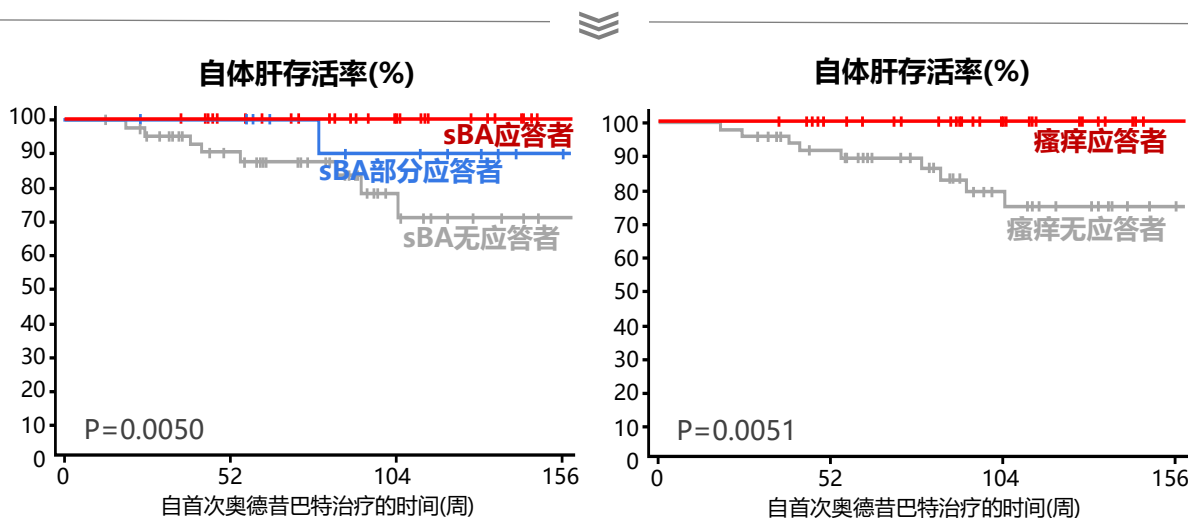
PFIC: 进行性家族性肝内胆汁淤积症; IBAT: 回肠胆汁酸转运体; sBA: 血清胆汁酸; PRIME: PRiority MEdicines

全球多中心临床试验及大型真实世界研究均表明奥德昔巴特**显著提升自体肝脏存活率，减少有创手术需求，延长无临床事件生存期**

显著提升患者自体肝存活率，延缓或避免肝移植手术

临床试验数据显示，奥德昔巴特治疗6个月：

- 达到血清胆汁酸降低标准的患者 (sBA应答者) **均未接受移植手术**
- 达到瘙痒缓解标准的患者 (瘙痒应答者) **均未接受移植手术**

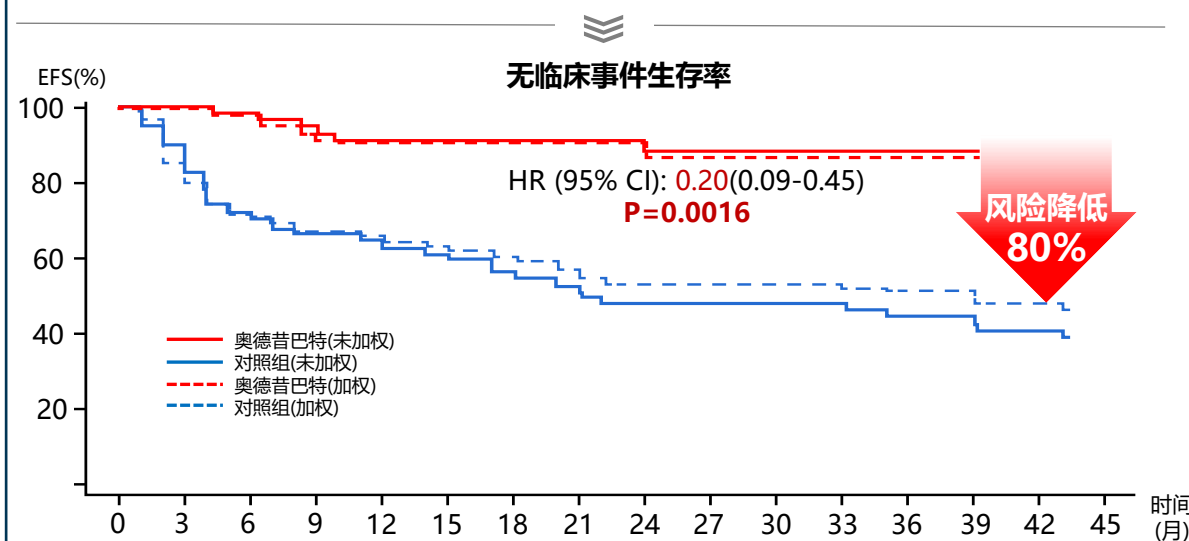


PEDFIC1&2汇总分析¹

显著降低手术或死亡风险，延长患者无临床事件生存期

(临床事件含胆汁分流术、肝移植或死亡)

- 对比自然病史(真实世界数据)，奥德昔巴特治疗3年，临床事件风险显著降低**80%**，有效减少有创手术的需求，**显著延长患者无临床事件生存期**



OvEC研究²

PFIC: 进行性家族性肝内胆淤积症; IBAT: 回肠胆汁酸转运体; sBA: 血清胆汁酸; sBA应答: 第6个月时较基线降低 $\geq 70\%$ 或 $\leq 70 \mu\text{mol/L}$; sBA部分应答: 第6个月时较基线降低 $\geq 30\%$ 且 $< 70\%$; sBA无应答: 较基线降低 $< 30\%$ 、进行肝移植或在第6个月前停止治疗; EFS: 无临床事件生存率 (临床事件含胆汁分流术、肝移植或死亡); HR: 风险比; CI: 置信区间

1. Thompson RJ, et al. JHEP Rep. 2023 Apr 29;5(8):100782; 2. Hansen B, et al. EASL 2023 (Poster presentation);

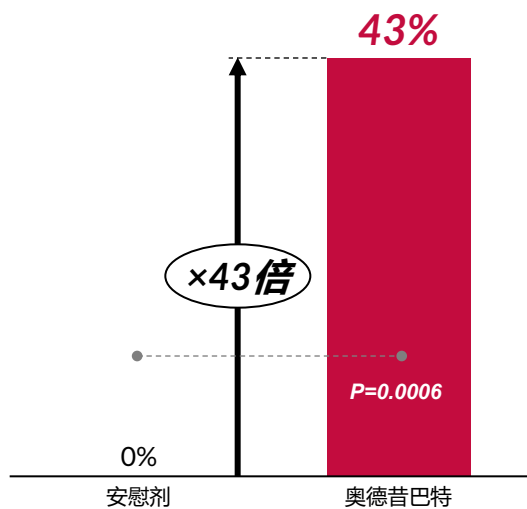
奥德昔巴特显著降低血清胆汁酸、改善瘙痒，缓解疾病，全方位提升患儿和照护者生活质量，减少社会生产力损失

显著降低血清胆汁酸

(血清胆汁酸水平 ≤ 70 μmol/L 或较基线减少 ≥ 70%)

- 治疗24周，达到血清胆汁酸降低标准的患者比例为安慰剂组的**43倍***

24周时达到血清胆汁酸降低标准的患者%



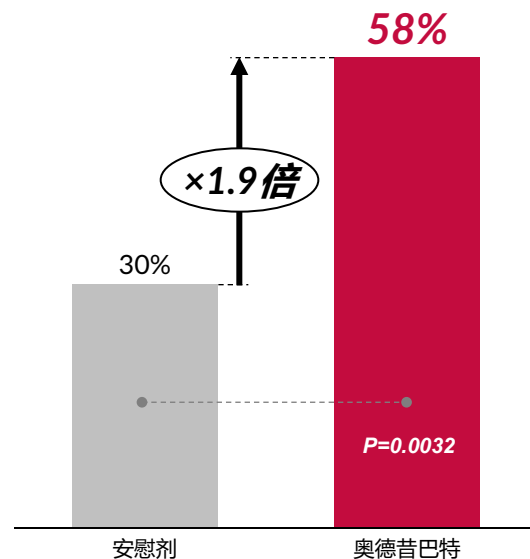
PEDFIC1¹

显著改善瘙痒症状

(瘙痒评分 ≤ 1分或较基线减少 ≥ 1分)

- 治疗24周，达到瘙痒缓解标准的患者比例为安慰剂组的**1.9倍***

24周内达到瘙痒缓解标准的患者%

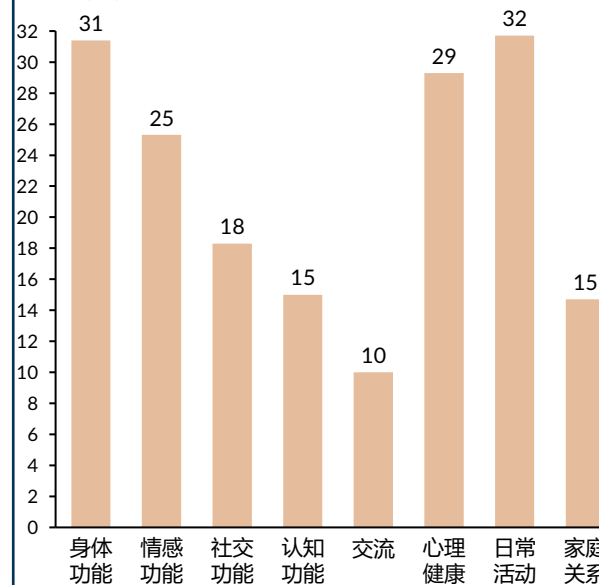


PEDFIC1¹

全方位提升患者生活质量

- 治疗72周，奥德昔巴特应答患者身体功能、情感功能、心理活动、日常活动等**8大维度均有较大改善**

从基线到72周的平均(SE)变化

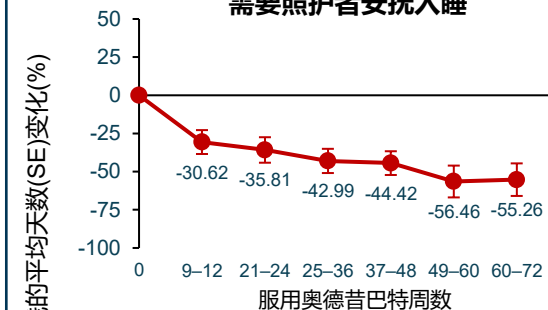


PEDFIC1&2汇总分析²

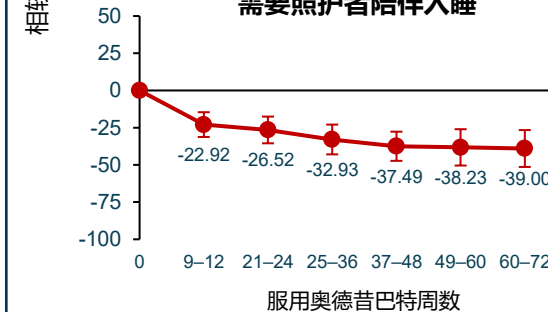
大幅改善睡眠质量，减少患儿对照护者需求

- 治疗72周内，奥德昔巴特**持续降低**患儿**需要照护者安抚入睡、需要照护者陪伴入睡的天数**

需要照护者安抚入睡



需要照护者陪伴入睡



PEDFIC1&2汇总分析²

奥德昔巴特临床研究证实整体安全性良好，获国内外多个权威指南的高级别推荐

注册临床研究PEDFIC1数据显示，整体安全性良好，不良事件与安慰剂组相当¹

	任何TEAE	中度	重度
治疗组(奥德昔巴特*) N=42	83%	31%	7%
对照组(安慰剂) N=20	85%	45%	10%

TEAE: 治疗期间出现的不良事件

奥德昔巴特上市后全球范围未发现新的安全性问题，总体获益-风险良好²

- 自奥德昔巴特首次商业化销售以来，全球已有逾**1000**名患者使用，未发现新的安全性问题
- 整体安全性特征与上市前临床试验中的安全性数据分析结果保持一致，总体获益-风险状况依然良好

国内外权威指南/共识一致推荐奥德昔巴特作为PFIC患者的一线治疗方案



欧洲肝病学会 (EASL) 临床实践指南

- 强烈推荐当有条件时，应向胆汁淤积性瘙痒症患者提供IBAT抑制剂治疗³



欧洲PFIC诊疗专家意见

- 推荐奥德昔巴特作为PFIC患者的一线治疗方案，对疑似PFIC患者经验性启动IBAT抑制剂治疗⁴



中国家族性肝内胆汁淤积症诊疗专家共识 (2026)

- 提出ASBT/IBAT抑制剂正在成为PFIC患者的一线治疗药物，强调奥德昔巴特可显著降低患者胆汁酸水平，改善瘙痒，且安全性良好^{5, 6}

填补临床和医保目录空白，同时契合商保理念， 节约基本医保与商保基金支出，惠及儿童罕见病患者



填补临床治疗药物目录空白， 拯救儿童罕见病患者

- PFIC发病年龄**不足1岁**，进展迅速，导致**死亡**^{1, 2}
- 现有治疗以高风险手术为主，**无有效药物治疗方案**³
- PFIC给家庭带来沉重的**物质、精神双重负担**^{4, 5, 6}
- 社会关注程度高，参保意愿强



患者基数小、风险可测， 适保性强且赔付可控

- 预估目前全国未接受肝移植且有治疗需求的PFIC患者有限⁷
- 奥德昔巴特治疗PFIC目前已纳入22个*省市惠民保国内特药目录，未对惠民保基金产生影响



节约手术引起的保险基金支出

- PFIC现有手术治疗等传统治疗方案报销比例高，大量占用基本医保和商保资金
- 根据成本-效用分析研究，奥德昔巴特因**减少/延缓**外科手术，可以**减少近25万手术相关费用**，从而**节约基本医保和商业保险基金支出，减轻医疗资源负担**⁸



极具儿童健康发展战略价值和社会价值

- **战略价值**：全方位提升患儿生命健康和生活质量，惠及罕见病儿童，积极响应《中国儿童发展纲要（2021-2030）》
- **社会价值**：减轻照护者及家庭负担，改善生活质量和心理健康，减少父母家人因患儿照护所致社会生产力损失

PFIC: 进行性家族性肝内胆汁淤积症 *截至2026年6月10日

1. Srivastava A. J Clin Exp Hepatol. 2014;4(1):25-36. 2. Gunaydin M, Cil ATB. Hepatic medicine: evidence and research. 2018;10:95; 3.中国罕见病联盟遗传性肝病分会,中华儿科杂志,2026,64(3):262-269. 4.Albireo. Data on File: PFIC patient testimonials (with consents provided for use in NICE submission); 2021; 5. Mighiu C, et al. Orphanet J Rare Dis. 2022 Feb 2;17(1):32. 6. Jiang Y, et al. Orphanet J Rare Dis. 2026 Apr 27; 7.累积约2024年对21家中心的调研结果; 8.复旦大学《奥德昔巴特治疗PFIC的经济学评估》

双申报下，恳请将奥德昔巴特**首选纳入医保目录**，填补目录空白，惠及更多儿童罕见病患者和家庭，若在此挑战下，恳请纳入商保创新路径的评审考量

建议参照药：空白参照

- **治疗空白**：临床用药与医保目录内均无适应症相同或相似药品，可**弥补治疗空白**
- **机制创新**：国内首个且唯一PFIC领域获批的**回肠胆汁酸转运蛋白 (IBAT) 抑制剂**
- **上市临床试验为空白对照**：全球多中心Ⅲ期临床试验PDEFIC1为**安慰剂对照**试验
- **特殊审评程序**：获欧盟**孤儿药认定**、纳入**多国优先审评**

建议创新性评级为突破

- **创新性**
 - ✓ **中国首个且唯一**获批的PFIC领域**非手术药物治疗法**，可实现所有亚型患者的长期获益，提供无创治疗选择
- **有效性**
 - ✓ 疗效突出、安全可控，**快速缓解瘙痒、显著降低手术或死亡风险**，提高患者长期生存和生活质量
- **安全性**
 - ✓ 总体安全性良好，**不良事件与安慰剂组相当**
 - ✓ EASL指南、中国肝内胆汁淤积症诊疗专家共识等**权威指南共同推荐**
- **公平性**
 - ✓ 患者数量少，**基金支出可控**；用药时长有限，**赔付周期短**
 - ✓ **社会价值高**：提升患儿生命健康，改善照护者生活质量，减少社会生产力损失