

申报信息

申报时间	2026-06-09 20:30:09	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）	奥德昔巴特胶囊	商品名	蓓尔唯®
医保药品分类与代码	XA05AXA416E001010178274、 XA05AXA416E001020178274	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录、商保创新药目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	化学药品5.1类		
核心专利类型1	用于治疗肝脏疾病的IBAT抑制剂	核心专利权期限届满日1	2031-11
核心专利类型2	奥德昔巴特的结晶修饰物	核心专利权期限届满日2	2039-06
核心专利类型1	用于治疗肝脏疾病的IBAT抑制剂	核心专利权期限届满日1	2031-11
核心专利类型2	奥德昔巴特的结晶修饰物	核心专利权期限届满日2	2039-06
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	按C37H48N4O8S2计，（1）200μg（2）400μg（3）600μg（4）1200μg		
上市许可持有人（授权企业）	Ipsen Pharma		
说明书全部适应症/功能主治	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。		
说明书用法用量	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。		
所治疗疾病基本情况	进行性家族性肝内胆汁淤积症位列第一批罕见病目录，属于儿童罕见病，中国发病率2/10万新生儿，发病年龄2-3个月，患者人群有限，且均为18岁以下儿童。PFIC引起的重度瘙痒可致自残，严重影响患儿和家庭身心健康。PFIC可迅速进展为严重晚期肝病，需进行肝移植手术，而手术费用高昂且需终生使用免疫抑制剂，极度消耗医疗资源，小儿肝移植创伤性强、风险大，存在较大短板。PFIC危及生命，若未得到有效控制，几乎没有患者能活到成人；同时易致发育迟缓，超一半患儿无法茁壮成长。PFIC对患儿家庭造成严重影响，分别有86%、73%和82%的照护者报告了睡眠困难，心理健康问题和人际关系紧张。		

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	2024-12	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240145; 国药准字HJ20240146; 国药准字HJ20240147; 国药准字HJ20240148
该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2021-07
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	PFIC在临床上长期缺乏有效药物治疗, 存在极大未满足需求, 奥德昔巴特是全球首个, 中国首个且唯一PFIC领域获批的非手术药物治疗, 提供无创治疗选择, 具有更高便捷性; 奥德昔巴特对所有亚型患者有效, 可显著降低患者血清胆汁酸水平, 显著改善患者瘙痒症状, 全方位提升患者生活质量, 同时显著降低患者手术或死亡风险, 提高患者长期生存。获国际多个权威卫生和保险机构高度认可, 目前全球25个国家患者可享全额报销。奥德昔巴特上市之前, 临床实践中只能使用上市超过30年的熊去氧胆酸等利胆退黄药物进行症状管理, 然而这类药物并未获批PFIC适应症, 且临床效果极其有限、无法实现深度缓解; 且仅对小部分亚型患者有效, 仍有相当部分患儿应答欠佳; 同时安全性差, 其中利福平肝毒性强, 考来烯胺易导致呕吐、便秘, 且味道不佳。熊去氧胆酸和利福平分别于1980s和1970s在中国上市, 属于医保甲类药品, 考来烯胺于1990s在中国上市, 未纳入医保。目前国内同适应症领域无同机制药品获批, 氯马昔巴特口服溶液于2023年6月中国获批, 尽管机制相同, 但其获批适应症为治疗阿拉杰里综合征瘙痒, 未在PFIC领域获批相关适应症。		
企业承诺书	↓ 下载文件 奥德昔巴特胶囊企业承诺书.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 奥德昔巴特胶囊说明书.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 奥德昔巴特胶囊注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片 (含价格费用信息)	↓ 下载文件 奥德昔巴特胶囊双申报幻灯片含经济性.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 奥德昔巴特胶囊双申报幻灯片不含经济性.pdf		

参照药品信息

说明:

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

参照药品选择理由: PFIC领域无同作用机制药物, 本品是中国唯一该领域获批回肠胆汁酸转运蛋白抑制剂、靶向药; 临床无有效标准疗法, 目前传统疗法安全性差, 相当部分患儿对其应答欠佳, 而本品对所有亚型有效; 本品临床试验无对照药物。

其他情况请说明: PFIC若未得到有效控制, 几乎没有患者能活到成人, 而现有传统药物疗法疗效有限, 安全性差, 儿童手术治疗创伤性强、风险大, 同时伴随严重并发症, 本品填补临床非手术靶向药物空白, 建议空白药物对照。

二、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	本项PEDFIC1研究中, 基线时已有81%使用UDCA, 且整个研究期间其剂量维持不变。本品治疗24周, 与安慰剂相比, 1) 显著降低血清胆汁酸(sBA)水平 (sBA降低 $\geq 70\%$ 或者达到 $70 \mu\text{mol/L}$, 33% vs. 0%, $P=0.003$) 2) 显著改善瘙痒 (瘙痒评分 ≤ 1 分或较基线减少 ≥ 1 分, 55% vs. 30%, $P=0.0038$)
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 临床试验1Thompson等2022合并.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	NA
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	PEDFIC2是) 长期扩展研究。本品治疗96周, 实现瘙痒及sBA快速且持续的改善, 1) 58%患者实现sBA应答 (sBA降低 $\geq 70\%$ 或者达到 $70 \mu\text{mol/L}$) 2) 观察到生长 (身高和体重Z评分), 睡眠质量和生活质量的改善 3) 88%患者实现瘙痒临床意义改善 (评分较基线减少 ≥ 1 分)
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 临床试验2-2024AASLDPEDFIC2Final-Poster合并.pdf
试验类型3	实效性临床研究(PCT)
试验对照药品	NA
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对PEDFIC1/2研究中本品治疗患者进行综合分析, 6个月时sBA或瘙痒应答反应与自体肝存活率 (NLS) 密切相关: 1) sBA或瘙痒应答患者的3年NLS达100%, 无应答者仅为70% 2) BSEP缺陷患者: sBA较基线降低 $\geq 30\%$, 4.8年NLS为100%, 无应答者仅为约70% 3) FIC1缺陷患者: sBA和/或瘙痒应答者, 4.8年NLS $> 90\%$, 而两者都无应答者NLS只有约60%
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	↓ 下载文件 【临床试验3】 2023-PEDFIC2-Thompson等-合并.pdf

（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）	
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	NA
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	欧洲多中心的前瞻性真实世界研究，包括 FIC1-3、TJP2、NR1H4、MYO5B 和 ZFYVE19 缺陷在内的多种类型患者，本品治疗6个月，1) sBA显著降低（45.6 vs. 317.1 $\mu\text{mol/L}$ ， $P<0.001$ ）2) 75%的患者sBA下降 $\geq 70\%$ 3) 73%达到瘙痒缓解，平均瘙痒评分降低1.7分
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 【临床试验4】 2025JHEP.pdf
试验类型5	非RCT队列研究
试验对照药品	PFIC自然病史队列
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入来自PEDFIC1及PEDFIC2研究本品治疗患者(n=69)，与来自NAPPED疾病自然史数据库且未接受本品治疗的对照组患者(n=80)，本品治疗3年，显著降低80%临床事件风险（HR (95% CI): 0.20 (0.09–0.45)， $P=0.0016$ ，临床事件是指胆汁转流术、肝移植或者死亡）
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 【临床试验5】 2023Hansen.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	NA
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	对于FIC1患者，肝移植无法纠正其肠道功能缺陷，术后常出现顽固性腹泻和移植肝脂肪变性，进一步降低其生活质量。真实世界数据表明，PFIC1患者肝移植后接受本品治疗，可改善其腹泻和脂肪肝，提升生活质量。
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 【临床试验6】 poster.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>本项PEDFIC1研究中，基线时已有81%使用UDCA，且整个研究期间其剂量维持不变。本品治疗24周，与安慰剂相比，</p> <p>1) 显著降低血清胆汁酸(sBA)水平 (sBA降低$\geq 70\%$或者达到$70 \mu\text{mol/L}$，33% vs. 0%, $P=0.003$) 2) 显著改善瘙痒 (瘙痒评分≤ 1分或较基线减少≥ 1分，55% vs. 30%, $P=0.0038$)</p>
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)	<p>↓ 下载文件 临床试验1Thompson等2022合并.pdf</p>
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	NA
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>PEDFIC2是) 长期扩展研究。本品治疗96周，实现瘙痒及sBA快速且持续的改善， 1) 58%患者实现sBA应答 (sBA降低$\geq 70\%$或者达到$70 \mu\text{mol/L}$) 2) 观察到生长 (身高和体重Z评分)，睡眠质量和生活质量的改善 3) 88%患者实现瘙痒临床意义改善 (评分较基线减少≥ 1分)</p>
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)	<p>↓ 下载文件 临床试验2-2024AASLDPEDFIC2Final-Poster合并.pdf</p>
试验类型3	实效性临床研究(PCT)
试验对照药品	NA
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>对PEDFIC1/2研究中本品治疗患者进行综合分析，6个月时sBA或瘙痒应答反应与自体肝存活率 (NLS) 密切相关： 1) sBA或瘙痒应答患者的3年NLS达100%，无应答者仅为70% 2) BSEP缺陷患者：sBA较基线降低$\geq 30\%$，4.8年NLS为100%，无应答者仅为约70% 3) FIC1缺陷患者：sBA和/或瘙痒应答者，4.8年NLS$> 90\%$，而两者都无应答者NLS只有约60%</p>
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)	<p>↓ 下载文件 【临床试验3】 2023-PEDFIC2-Thompson等-合并.pdf</p>
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	NA
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	<p>欧洲多中心的前瞻性真实世界研究，包括 FIC1-3、TJP2、NR1H4、MYO5B 和 ZFYVE19 缺陷在内的多种类型患者，本品治疗6个月， 1) sBA显著降低 (45.6 vs. 317.1 $\mu\text{mol/L}$，$P<0.001$) 2) 75%的患者sBA下降$\geq 70\%$ 3) 73%达到瘙痒缓解，平均瘙痒评分降低1.7分</p>
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)	<p>↓ 下载文件 【临床试验4】 2025JHEP.pdf</p>

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)	
试验类型5	非RCT队列研究
试验对照药品	PFIC自然病史队列
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入来自PEDFIC1及PEDFIC2研究本品治疗患者(n=69), 与来自NAPPED疾病自然史数据库且未接受本品治疗的对照组患者(n=80), 本品治疗3年, 显著降低80%临床事件风险 (HR (95% CI): 0.20 (0.09-0.45), P=0.0016, 临床事件是指胆汁转流术、肝移植或者死亡)
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 【临床试验5】 2023Hansen.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	NA
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	对于FIC1患者, 肝移植无法纠正其肠道功能缺陷, 术后常出现顽固性腹泻和移植肝脂肪变性, 进一步降低其生活质量。真实世界数据表明, PFIC1患者肝移植后接受本品治疗, 可改善其腹泻和脂肪肝, 提升生活质量。
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 【临床试验6】 poster.pdf



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2024年《EASL遗传性胆汁淤积性肝病临床实践指南》: 1) 有条件时, 应向胆汁淤积性瘙痒症患者提供IBAT抑制剂治疗 (LoE 2, 强推荐, 强共识) 2) 携带错义突变的BSEP缺陷患者, 在考虑肝移植之前, 应考虑IBAT抑制剂药物阻断肝肠循环以减少瘙痒症状 (LoE 2, 强推荐, 强共识) 3) FIC1缺陷患者, 可考虑在肝移植后使用IBAT抑制剂治疗腹泻和脂肪性肝病 (LoE 5, 弱推荐, 强共识)
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】 EASL.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2024年《PFIC诊疗专家意见》- 由欧洲PFIC管理经验丰富的临床专家组成: 1) 推荐奥德昔巴特作为PFIC患者的一线治疗方案 2) 建议对疑似PFIC患者经验性启动IBAT抑制剂治疗, 同时基因检测以明确PFIC分型 3) 如奥德昔巴特治疗有效, 建议继续使用IBAT抑制剂治疗。如无改善, 增加剂量再观察3个月, 如无改善, 停止治疗。

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2】2024PFIC诊疗专家意见.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《家族性肝内胆汁淤积症诊疗专家共识（2026版）》-中国罕见病联盟遗传性肝病分会，中华医学会儿科学分会感染学组提出ASBT/IBAT抑制剂正在成为PFIC患者的一线治疗药物。强调奥德昔巴特作为获批的新型药物，可改善患者生长发育，降低血清胆汁酸和瘙痒，且安全性良好。

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】202603-家族性肝内胆汁淤积症诊疗专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

2022年《婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识》-中华医学会儿科学分会感染学组，中华医学会儿科学分会消化学组 将IBAT抑制剂归类为利胆退黄治疗方案，并强调了IBAT抑制剂可显著降低患者胆汁酸水平，改善瘙痒，改善患儿的生长。

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】202210-婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识-中华医学会儿科分会感染学组消化学组.pdf

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年《EASL遗传性胆汁淤积性肝病临床实践指南》：1) 有条件时，应向胆汁淤积性瘙痒症患者提供IBAT抑制剂治疗 (LoE 2, 强推荐, 强共识) 2) 携带错义突变的BSEP缺陷患者，在考虑肝移植之前，应考虑IBAT抑制剂药物阻断肝肠循环以减少瘙痒症状(LoE 2, 强推荐, 强共识) 3) FIC1缺陷患者，可考虑在肝移植后使用IBAT抑制剂治疗腹泻和脂肪性肝病 (LoE 5, 弱推荐, 强共识)

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】EASL.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

2024年《PFIC诊疗专家意见》-由欧洲PFIC管理经验丰富的临床专家组成：1) 推荐奥德昔巴特作为PFIC患者的一线治疗方案 2) 建议对疑似PFIC患者经验性启动IBAT抑制剂治疗，同时基因检测以明确PFIC分型 3) 如奥德昔巴特治疗有效，建议继续使用IBAT抑制剂治疗。如无改善，增加剂量再观察3个月，如无改善，停止治疗。

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

↓ 下载文件

【指南2】2024PFIC诊疗专家意见.pdf

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3

《家族性肝内胆汁淤积症诊疗专家共识（2026版）》-中国罕见病联盟遗传性肝病分会，中华医学会儿科学分会感染学组提出ASBT/IBAT抑制剂正在成为PFIC患者的一线治疗药物。强调奥德昔巴特作为获批的新型药物，可改善患者生长发育，降低血清胆汁酸和瘙痒，且安全性良好。

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】202603-家族性肝内胆汁淤积症诊疗专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

2022年《婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识》-中华医学会儿科学分会感染学组，中华医学会儿科学分会消化学组 将IBAT抑制剂归类为利胆退黄治疗方案，并强调了IBAT抑制剂可显著降低患者胆汁酸水平，改善瘙痒，改善患儿的生长。

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】202210-婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识-中华医学会儿科分会感染学组消化学组.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

奥德昔巴特为用于严重影响患者生命质量且无有效治疗手段的PFIC罕见病治疗药品，国外临床试验结果证明本品安全有效且存在种族敏感性的可能性小。关键III期研究A4250-005：是一项针对奥德昔巴特两种剂量水平（40和120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ ）的已完成、随机、双盲、安慰剂对照、24周III期研究。该研究共纳入了62名PFIC1或PFIC2型儿科患者接受治疗。研究结果显示，与安慰剂相比，40和120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 剂量的奥德昔巴特治疗使PFIC1和PFIC2患者的血清胆汁酸水平和瘙痒严重程度均显著改善，耐受性良好。未观察到120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 剂量较40 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 剂量更优。且亚洲患者与总体人群中观察到的结果基本一致。72周扩展研究A4250-008：是一项在进行性家族性肝内胆汁淤积症儿童中进行的III期开放标签研究，该研究同时纳入了任何类型PFIC的任何年龄的患者，旨在评估奥德昔巴特120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 每日一次给药在114例更广泛的PFIC人群中的长期疗效和安全性。研究结果进一步证明奥德昔巴特的长期治疗可使血清胆汁酸水平降低和瘙痒症状改善并得以维持，且患者耐受良好。

《技术审评报告》原文（可节选）

↓ 下载文件

奥德昔巴特胶囊JXHS2400022-25申请上市技术审评报告.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

奥德昔巴特为用于严重影响患者生命质量且无有效治疗手段的PFIC罕见病治疗药品，国外临床试验结果证明本品安全有效且存在种族敏感性的可能性小。关键III期研究A4250-005：是一项针对奥德昔巴特两种剂量水平（40和120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ ）的已完成、随机、双盲、安慰剂对照、24周III期研究。该研究共纳入了62名PFIC1或PFIC2型儿科患者接受治疗。研究结果显示，与安慰剂相比，40和120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 剂量的奥德昔巴特治疗使PFIC1和PFIC2患者的血清胆汁酸水平和瘙痒严重程度均显著改善，耐受性良好。未观察到120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 剂量较40 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 剂量更优。且亚洲患者与总体人群中观察到的结果基本一致。72周扩展研究A4250-008：是一项在进行性家族性肝内胆汁淤积症儿童中进行的III期开放标签研究，该研究同时纳入了任何类型PFIC的任何年龄的患者，旨在评估奥德昔巴特120 $\mu\text{g}/\text{kg}/\text{d}$ 每日一次给药在114例更广泛的PFIC人群中的长期疗效和安全性。研究结果进一步证明奥德昔巴特的长期治疗可使血清胆汁酸水平降低和瘙痒症状改善并得以维持，且患者耐受良好。

《技术审评报告》原文（可节选）

↓ 下载文件

奥德昔巴特胶囊JXHS2400022-25申请上市技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	根据上市前临床试验安全性数据，服用奥德昔巴特后最常见的不良反应为肝功能检查异常（大多数异常包括谷草转氨酶、谷丙转氨酶或总胆红素和直接胆红素升高，没有患者因肝功能检查异常而永久终止治疗）、腹泻（42名接受奥德昔巴特治疗的受试者中，有13名出现腹泻，其中2名因腹泻而中断治疗，1名因持续性腹泻而退出试验）、脂溶性维生素缺乏（PFIC患者在基线就可能存在脂溶性维生素缺乏，这是疾病的一部分，奥德昔巴特可能会影响脂溶性维生素的吸收。有3名接受奥德昔巴特治疗的受试者出现新发脂溶性维生素缺乏）。禁忌：对活性成分或本品所含的任何辅料有过敏反应。注意事项：其他PFIC亚型（1型和2型以外）中的临床数据有限。在开始使用本品前，应评估所有患者的肝功能，根据标准临床实践进行监测，评估是否需要调整剂量或停止用药；对于出现肝功能检查指标升高且伴有严重肝功能不全（Child-Pugh C级）的患者，应考虑加强监测频率。发生腹泻的患者应确保充分补水，防止脱水。持续腹泻应中断给药。定期监测脂溶性维生素水平，如果确诊缺乏，则需补充。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	本品于2024年12月1日在中国获得上市批准。根据最近一期的获益-风险评估报告（PBREER，数据覆盖周期：2025年7月16日至2026年1月15日），本品已在包括中国在内的44个国家获得上市批准，在中国获批上市后用药患者未发现任何新的安全性问题。中国和全球其他国家/地区药监部门均未针对本品发布黑框警告或撤市信息。益普生全球药物警戒部门和中国药品安全委员会根据法规要求持续进行药物安全性监测。自本品首次商业化销售至最近一期的PBREER数据截止点（2026年1月15日），全球已有1232名患者使用了本品，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。公司将继续通过常规安全监测和综合报告来评估奥德昔巴特的疗效并监测其安全性。目前本品的风险管理计划中没有额外的安全性风险需要关注。
相关报导文献	↓ 下载文件 Bylvay上市后不良反应监测报告合并说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	全球首创回肠胆汁酸转运体(IBAT)抑制剂，全球首个，中国唯一PFIC领域非手术靶向药物；对所有亚型患者有效，可靶向阻断IBAT，降低血清胆汁酸，提升自体肝生存率，临床数据显示，奥德昔巴特治疗实现应答的患者在至少3年内未进行肝移植；真实世界数据显示，奥德昔巴特治疗3年可显著降低80%手术或死亡风险。奥德昔巴特获美欧孤儿药资格认定，纳入美国快速审评，美欧优先审评，CDE豁免注册临床并纳入优先审评。
创新性证明文件	↓ 下载文件 合并-优先审评全球首个和降低胆汁酸.pdf
应用创新	奥德昔巴特为患儿提供了无创治疗选择，具有更高便捷性。奥德昔巴特为口服治疗方案，每日仅一次。用药灵活方便，儿童患者友好：对于年幼的儿童，可将胶囊中颗粒混入食物或液体中随餐服用，药代动力学显示拆开胶囊服用不会影响药物活性和疗效；对于年龄较大的儿童，可以完整胶囊形式给药。说明书用量明确，多种规格满足所有体重用量，无药品浪费。无需特殊贮存转运条件，易于药品管理。轻度到中度肝肾功能损伤患者无需调节剂量。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 奥德昔巴特最新说明书-已盖章.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响	PFIC位列第一批罕见病目录，是儿童罕见疾病，对患儿和家庭带来沉重负担。本品可延缓手术或死亡，提升患儿的生命质量和生活质量，改善照护者心理健康和生活质量，减少患儿因手术和早亡及父母家人因患儿照护所致的社会生产力损失，极具儿童健康发展战略价值和社会意义，积极响应《中国儿童发展纲要（2021-2030）》。奥德昔巴特获美，英，德、法等多国权威卫生和保险机构高度认可，目前全球25个国家患者可享全额报销。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	奥德昔巴特治疗PFIC可延缓或避免手术，从而降低手术、住院、肝移植后终生免疫抑制剂等相关治疗费用及医保、商保基金支出。PFIC为罕见儿童疾病，人群极其有限，基金可控、出险率低，赔付可控。本品可替换现有安全性差、疗效不佳的传统药物疗法和创伤性强、风险大、并发症严重的手术疗法，而不增加额外预算，为罕见病儿童提供更有效安全的无创靶向药物治疗选择。
弥补目录短板	PFIC发病年龄不足1岁，疾病进展迅速，危及生命，现有治疗以高风险手术为主，无有效药物治疗方案。奥德昔巴特填补临床治疗药物和医保目录空白，拯救儿童罕见病患者，获国内外多个权威指南的高级别推荐。同时PFIC作为儿童罕见病，患者基数小、风险可测，适保性强且赔付可控。
临床管理证据	奥德昔巴特适应症证据、说明书用法用量证据、PFIC临床诊断证据、临床路径证据、临床管理证据、临床指南证据

临床管理难度

奥德百巴特适应症明确，说明书用法用量明确，HIV疾病诊断明确，临床路径清楚，临床管理难度较小，无临床滥用或超说明书用药的风险。