

甲磺酸洛美他派胶囊

(洛卓凯®)

——用于治疗成人纯合子家族性高胆固醇血症 (HoFH)

《第一批罕见病目录》病种 (#46)

第一批《临床急需境外新药名单》 (#24)

CDE优先审评审批，从受理到获批不足6个月#

目前**全球首个且唯一***不依赖

LDL受体通路的口服MTP抑制剂

18岁起始治疗**延长生存时间11.2年**

治疗2年即可**降低MACE风险65%**

凯西医药 (上海) 有限公司

目录

01

基本信息

- 全球首个且唯一*获批治疗HoFH的口服MTP抑制剂，临床无同作用机制药物 (无参照)
- HoFH是一种严重危及生命的罕见遗传病，中国HoFH队列死亡患者平均年龄仅约19岁，经现有降脂药物#治疗除1例肝移植患者达标外，其余无一人LDL-C达标

02

创新性

- 洛美他派为全球首创不依赖LDL受体通路的MTP抑制剂，纳入“临床急需境外新药名单”药品，获CDE优先审评审批，获美国FDA、日本“孤儿药”认定，欧盟EMA“特例批准”路径获批

03

有效性

- 强效降脂：洛美他派联合常规降脂治疗，可使LDL-C进一步降低50%~75%；
- 持久达标：长期使用洛美他派，有望使>70%的患者LDL-C实现指南建议治疗目标 (<2.6 mmol/L)
- 获益显著：可使预期寿命延长>11年，获国内外多个指南/共识一致推荐

04

安全性

- 全球超11年使用经验证实耐受性良好，不良反应可防可控，无新增安全性信号

05

公平性

- HoFH为《第一批罕见病目录》病种，基金影响可控，弥补目录短板，填补临床急需，临床管理难度低
- 洛美他派填补临床治疗空白，纳入目录响应政策导向和社会关切；人群极少商保出险记录有限，理赔风险可控。

*，截至2026年6月，洛美他派是唯一获美国食品药品监督管理局 (FDA)、欧洲药品管理局 (EMA)、日本医药品医疗器械综合机构 (PMDA) 等国家监管机构批准用于治疗成人HoFH的口服MTP抑制剂。

#，数据来自安贞医院等全国10家中心HoFH队列研究，药物包括：传统降脂药物 (他汀类药物、血脂康、依折麦布和普罗布考)、及PCSK9抑制剂

洛美他派是目前全球首个且唯一获批治疗HoFH的口服MTP抑制剂，弥补目录短板

药品通用名	甲磺酸洛美他派胶囊
申报目录类别	基本医保目录+商保创新药目录
注册规格	5mg; 10mg; 20mg (主规格: 10mg)
注册分类	化药5.1类
适应症	与低脂饮食和其他降脂药物 (伴或不伴有低密度脂蛋白血浆分离置换) 合用, 用于 成人纯合子家族性高胆固醇血症 (HoFH) , 以降低低密度脂蛋白胆固醇 (LDL-C)、总胆固醇 (TC)、载脂蛋白B (apo B) 和非高密度脂蛋白胆固醇 (HDL-C) 水平
用法用量*	<ul style="list-style-type: none"> • 成人初始治疗剂量为5mg, 每日一次。如果安全性/耐受性可接受, 可根据LDL-C应答进行剂量滴定: 如拟上调至每日10 mg, 需接受至少2周给药; 之后如拟上调至每日20 mg、40 mg和最高每日60 mg的最大推荐剂量, 需间隔至少4周 • III期试验中位剂量/WHO DDD值: 40mg/天¹ • 日本真实世界4.5年随访中位日剂量: 9.8mg/天²
全球首个上市国家	美国, 2012年12月
中国大陆首次上市时间	2026年1月27日
同通用名药品上市情况	独家品种
是否为OTC药品	否

注释: #, 截至2026年6月, 洛美他派是唯一获美国食品药品监督管理局 (FDA)、欧洲药品管理局 (EMA)、日本医药品医疗器械综合机构 (PMDA) 等国家监管机构批准用于治疗成人HoFH的口服MTP抑制剂; †, 常规降脂药物包括: 传统降脂药物 (他汀类药物、血脂康、依折麦布和普罗布考)、PCSK9抑制剂; §, 纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识(2024年)推荐成人LDL-C治疗目标为1.4-2.6mmol/L。缩写: apoB: 载脂蛋白B; CDE: 国家药品监督管理局药品审评中心; HDL-C: 高密度脂蛋白胆固醇; HoFH: 纯合子家族性高胆固醇血症; LDL: 低密度脂蛋白; LDL-C: 低密度脂蛋白胆固醇; MTP: 微粒体甘油三酯转移蛋白; TC: 总胆固醇; PCSK9: 前蛋白转化酶枯草溶菌素9; RWS: 真实世界研究; MACE: 主要不良心血管事件; WHO: 世界卫生组织; DDD: 限定日剂量

1. Cuchel M, et al. Lancet, 2013, 381(9860): 40-46.
2. Harada-Shiba M, et al. Future Cardiol. 2024, 20(2): 67-80.
3. Jiang L, et al. J Clin Lipidol, 2022, 16(3): 306-314.

4. Blom DJ, et al. Circulation, 2017, 136(3): 332-335.
5. Blom D, et al. Journal of Clinical Lipidology, 2025, 19(3): e95-e96.
6. D'Erasmus L, et al. Eur J Prev Cardiol, 2022, 29(5): 832-841.

建议“突破”价值评级

填补临床急需: 目前中国HoFH患者没有可实现LDL-C达标的药物, 中国HoFH队列 (108例) 经现有降脂药物[†]治疗除1例肝移植患者达标外, 其余**无一人LDL-C达标³**

唯一作用机制: 全球**首个且唯一[#]**不依赖LDL受体通路的口服MTP抑制剂, 上游阻断LDL-C生成

显著生存获益: 维持治疗**70%以上患者可达标^{4,5}**, 降低MACE风险 > 65%, 18岁起始仍能使**预期寿命延长11.2年⁶**

权威指南推荐: 国内**唯一获批指南推荐**非LDL受体依赖药物

建议“无参照”

目录内无同机制药物

- 目录内降脂药物 (他汀类、胆固醇吸收抑制剂及PCSK9抑制剂) **均依赖LDL受体通路起效**, 无法实现HoFH患者LDL-C达标, 难以延缓HoFH患者疾病进展

目录内无同治疗地位方案

- 指南推荐的洛美他派同线治疗选择仅脂蛋白分离术 (LA) 和ANGPTL3抑制剂, 而两者均不在目录内。前者临床应用受限, 后者未在中国上市

HoFH是自出生起即伴随LDL-C水平极度升高的罕见遗传性疾病，可显著增加ASCVD风险并导致患者过早死亡，患者经济负担沉重

HoFH是一种严重危及生命的罕见遗传病

- 极罕：** HoFH为我国《第一批罕见病目录》病种 (#46)¹；全球患病率1/25万-1/36万²，预计中国成人HoFH患者约**3,573人**⁸
- 极高：** 未经治疗的中国HoFH患者平均**LDL-C水平约15.5 mmol/L**³ (成人HoFH患者LDL-C目标值的最低标准是<2.6mmol/L)⁴，约为**治疗目标的6倍**

早发ASCVD

- 长期高LDL-C暴露可使**ASCVD**发病风险较健康个体**提前近50年**，未治疗者约**12.5岁**“胆固醇负荷”即达**冠心病风险阈值**^{5,6}
- 经含PCSK9i在内的降脂药物治疗，中国HoFH患者平均**24岁**时已发生**冠心病**³

过早死亡

- 中国HoFH患者**41.2%**合并**主动脉瓣上狭窄**，其**过早死亡率32.5%**³
- 中国HoFH队列显示**死亡病例的平均年龄约为19岁**，**85.7%**死于**心血管疾病**³

沉重医疗支出

- 45%**中国HoFH患者家庭遭遇**灾难性医疗支出**^{*7}
- 49%**中国HoFH患者家庭因治疗支出产生**负债**⁷

注释：*，灾难性家庭医疗支出：家庭自付医疗费用总额达到或超过家庭支付能力的40%。
缩写：ASCVD：动脉粥样硬化性心血管疾病；HoFH：纯合子家族性高胆固醇血症；LDL-C：低密度脂蛋白胆固醇

1. 中华人民共和国国家卫生健康委员会.《关于公布第一批罕见病目录的通知》国卫医发〔2018〕10号.
2. Cuchel M, et al. Eur Heart J. 2023;44(25):2277-2291.
3. Jiang L, et al. J Clin Lipidol, 2022, 16(3): 306-314.
4. 纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识 (2024年). 中华检验医学杂志, 2024, 47(10): 1126-1138.

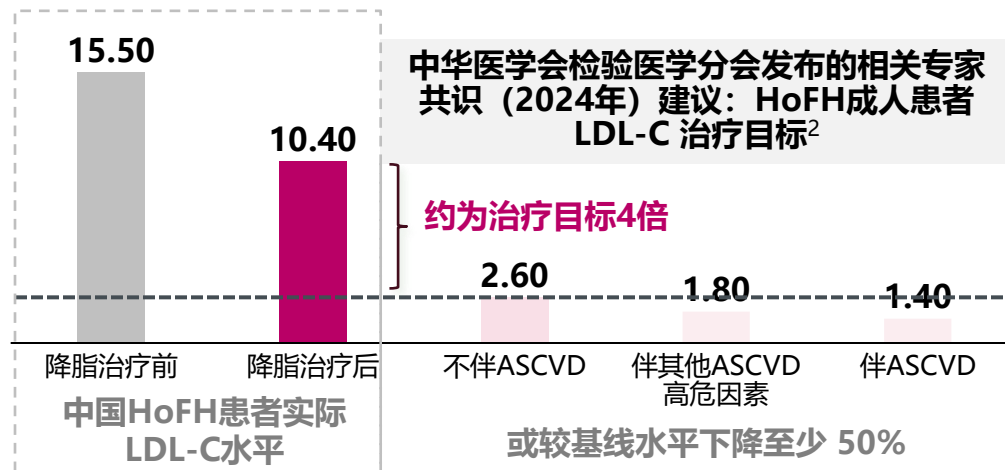
5. M.-J. Charnig, Rijeka (Croatia): InTech; 2016. p. 59-77.
6. Nordestgaard BG et al. Eur Heart J. 2013;34:3478-90a.
7. Tang M, et al. Front. Public Health, 2025, 13:1642895.
8. 企业内部预测数据。

未满足需求显著：现目录内降脂药物都依赖LDL受体通路，LDL-C达标率低，难以阻止疾病进展；脂蛋白分离术局限性大，亟需机制创新的突破性疗法

现有降脂药物无法有效控制HoFH患者血脂水平

中国患者接受常规降脂治疗*后，平均LDL-C 仍高达 **10.4±3.7 mmol/L**，108例患者除**1例肝移植**后达标，其余**无一人LDL-C达标**¹

LDL-C 水平 (mmol/L)



*，数据来自安贞医院等全国10家中心共计108例患者的HoFH队列研究，降脂治疗包括：传统降脂药物 (他汀类药物、血脂康、依折麦布和普罗布考)、PCSK9抑制剂 (34.4%)、肝移植 (仅1例)

- 使用PCSK9i进行治疗 (中国仅依洛尤单抗获批适应症)，患者**LDL-C降低水平有限**，远不能达到共识推荐的LDL-C治疗目标

- 接受依洛尤单抗治疗后，HoFH患者LDL-C降幅仅**10-23%** (绝对值降幅仅**0.8-2.4mmol/L**)³⁻⁶
- 说明书载明：LDL受体功能受损最严重的**缺失变异型患者**，依洛尤单抗治疗**无效**⁷

- 脂蛋白分离术**由于未纳入医保，**可及性、成本、治疗时长及血管通路维护等**导致难以成为**可持续解决方案**

- 中国用于接受常规降脂药物治疗后LDL-C水平未达标患者的可及方案仅有**脂蛋白分离术**，目前未纳入医保。
- 脂蛋白分离术需每周/每两周**频繁住院穿刺治疗**²，**不良反应频发**⁸，**费用高昂** (单次1-2万元)⁹，且LDL-C在间歇期反弹波动，**难以稳定达标**¹⁰，临床应用受限

缩写：ASCVD：动脉粥样硬化性心血管疾病；HoFH：纯合子家族性高胆固醇血症；LDL：低密度脂蛋白；LDL-C：低密度脂蛋白胆固醇；PCSK9i：前蛋白转化酶枯草溶菌素9抑制剂

1. Jiang L, et al. J Clin Lipidol. 2022, 16(3): 306-314.
2. 纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识(2024年). 中华检验医学杂志, 2024, 47(10): 1126-1138.
3. Stein EA, et al. Circulation. 2013, 128(19):2113-20.
4. Raal FJ, et al. Lancet. 2015, 385(9965):341-50.
5. Santos RD, et al. J Am Coll Cardiol. 2020.

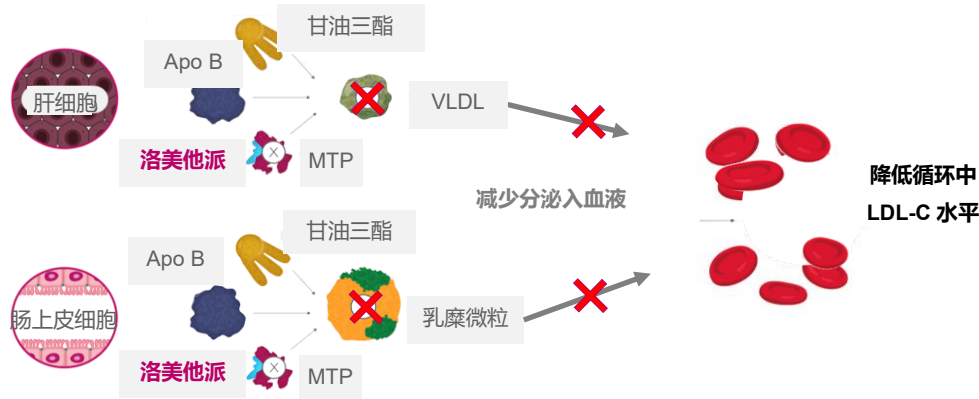
6. Raal FJ, et al. Lancet Diabetes Endocrinol. 2025, 13(3):178-187.
7. 依洛尤单抗注射液说明书. 修改日期: 2025年2月7日
8. Cuchel M, et al. Eur Heart J. 2023;25: 2277-91.
9. 临床专家访谈.
10. Ito MK, et al. Drugs. 2015;75(15):1715-24.

洛美他派为目前全球首个且唯一获批不依赖于LDL受体通路的口服MTP抑制剂，纳入第一批临床急需境外新药名单，获多国孤儿药认定

机制创新：不依赖LDL受体通路，上游阻断LDL-C生成

- 洛美他派直接作用于肝细胞和肠细胞的微粒体甘油三酯转移蛋白 (MTP)，抑制 LDL-C前体——极低密度脂蛋白和乳糜微粒的组装，显著降低 LDL-C 水平¹
- 作用机制不依赖LDL受体通路，疗效不受LDLR基因突变类型影响

现有降脂药物依赖残余LDL受体功能²，HoFH患者多数存在LDL受体缺失或缺陷，即使现有药物联合治疗，也难以达标或延缓疾病进展³；



应用创新：口服给药，简易便捷，降低成本

- PCSK9抑制剂需注射给药，脂蛋白分离术则需反复穿刺治疗
- 洛美他派为口服剂型，无需注射，无需住院；30度以下常温储存，无需冷链，无需配置，降低贮存转运及使用成本



创新性程度及认定

- ✓ 全球唯一 * (First-in-Class) 不依赖于LDL受体通路的口服MTP抑制剂
- ✓ 第一批《临床急需境外新药名单》⁴：“现有的降脂疗法无法满足本适应症患者的降脂需求，故目前对于本适应症尚无有效治疗手段。已有临床研究显示，本品用于治疗本适应症有效性明确。”
- ✓ 获CDE优先审评审批资格，从受理到获批不足6个月
- ✓ 美国FDA、日本“孤儿药”认定，欧盟EMA“特例批准”获批⁵⁻⁷

注释：*，截至2026年6月，洛美他派是唯一获美国食品药品监督管理局 (FDA)、欧洲药品管理局 (EMA)、日本医药品医疗器械综合机构 (PMDA) 等国家监管机构批准用于治疗成人HoFH的口服MTP抑制剂

缩写：HoFH：纯合子家族性高胆固醇血症；LDL：低密度脂蛋白；LDL-C：低密度脂蛋白胆固醇；LDLR：低密度脂蛋白受体；MTP：微粒体甘油三酯转移蛋白；VLDL：极低密度脂蛋白；ApoB：载脂蛋白B；PCSK9：前蛋白转化酶枯草溶菌素9；CDE：国家药品监督管理局药品审评中心

1. Arca M, et al. J Clin Lipidol. 2025;19(4):775-789.

2. Li Rui, et al. Journal of Rare Diseases, 2025, 4(3): 361-369.

3. 纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识(2024年). 中华检验医学杂志, 2024, 47(10): 1126-1138.

4. 关于发布第一批临床急需境外新药名单的通知.

<https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/21de8acd6c395746b041b2ad93eb5c43>.

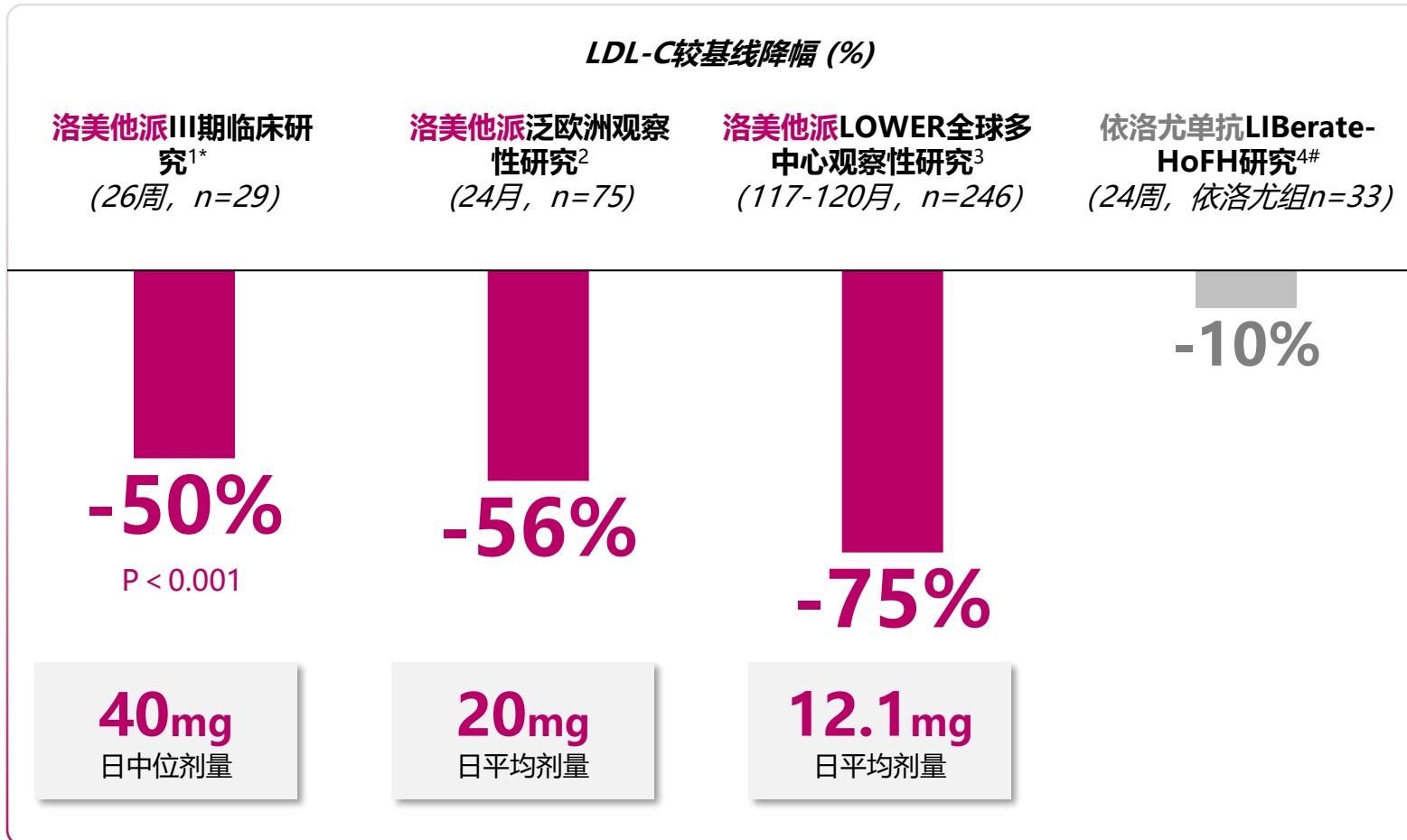
5. FDA: <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/ooopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=245907>

6. 日本: <https://www.advn.com/stock-market/NASDAQ/AEGR/stock-news/59126576/aegerion-pharmaceuticals-lomitapide-receives-orpha>

7. EMA: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lojuxta>

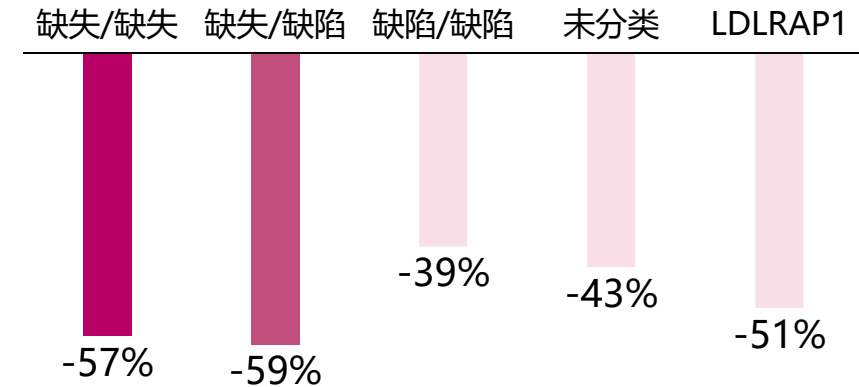
强效降脂：洛美他派联合常规降脂治疗，可使LDL-C平均进一步降低50%~75%，疗效不受基因突变类型影响，真实世界较低剂量即可有效控制

III期临床试验和真实世界研究证实洛美他派可显著降低LDL-C水平



洛美他派疗效不受LDLR基因突变类型的影响

洛美他派III期临床试验按突变状态分组的第26周LDL-C水平较基线平均变化 (%)¹



依洛尤单抗治疗HoFH患者疗效受基因突变类型影响较大。印度IV期研究⁵提示，30例患者治疗12周，平均LDL-C较基线降幅为6.4%，其中：

- LDLR基因缺失/缺失患者：+3.74%；
- LDLR基因缺陷/缺陷患者：-2.3%~+24%

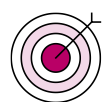
注释：*，基线LDL-C 8.7mmol/L,降至4.3mmol/L, 93%使用他汀类, 76%接受依折麦布+他汀类治疗；#，基线LDL-C 11.05mmol/L, 97%合用高剂量他汀+依折麦布, 降至10.25 (=11.05-0.8)mmol/L. 缩写：HoFH：纯合子家族性高胆固醇血症；LDL-C：低密度脂蛋白胆固醇；LOWER：洛美他派全球观察性评估注册研究；LDLRAP1：低密度脂蛋白受体适应蛋白1

1. Cuchel M, et al. Lancet, 2013, 381(9860): 40-46.
2. D' Erasmio L, et al. Eur J Prev Cardiol, 2022, 29(5): 832-841.
3. Blom DJ, et al. Presented at EAS Congress 2026.

4. Raal FJ, et al. Lancet Diabetes Endocrinol. 2025, 13(3):178-187.
5. Bansal S, et al. J Clin Lipidol. 2021, 15(6): 814-821.

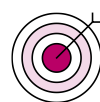
持久达标：洛美他派联合常规降脂治疗，长期使用可使 >70% 的患者实现 LDL-C < 2.6 mmol/L 的治疗目标；亚裔人群低剂量下即可实现达标

超11年真实世界数据验证，洛美他派联合常规降脂治疗可实现持久达标



洛美他派Ⅲ期试验中的LDL-C降低趋势在5年长期扩展阶段¹得以维持：

74% 患者接受洛美他派治疗期间实现过指南建议治疗目标 (<2.6 mmol/L)



全球观察评估注册研究LOWER超11年随访^{2,3}显示，洛美他派联合常规降脂治疗：

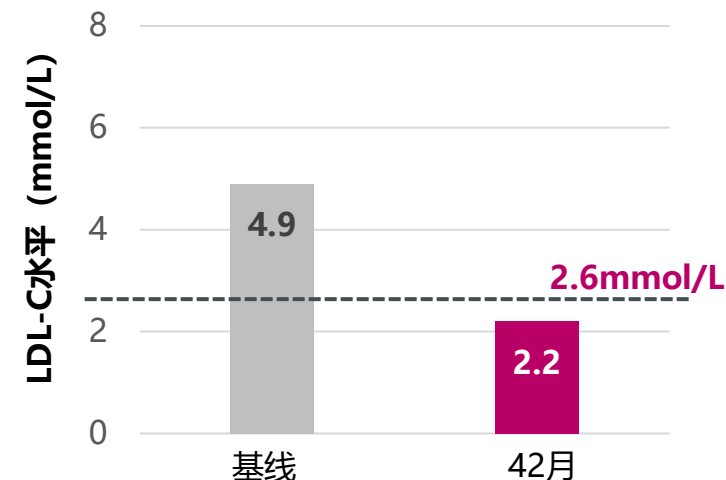
74% 患者接受洛美他派治疗期间实现过指南建议治疗目标 (<2.6 mmol/L)



降低LDL-C并达到治疗目标才能延缓HoFH疾病进展

日本证据显示低剂量下即可实现达标

日本研究⁴：最常用剂量17例10mg，其次为8例20mg和6例5mg；治疗后LDL-C持续下降，24个月中位为2.5mmol/L



日本真实世界研究⁴
42个月中期随访结果
(n=39)

9.8mg
日中位剂量

缩写：HoFH：纯合子家族性高胆固醇血症；LDL-C：低密度脂蛋白胆固醇；LOWER：洛美他派全球观察性评估注册研究

1. Blom DJ, et al. Circulation, 2017, 136(3): 332-335.
2. Blom D, et al. Journal of Clinical Lipidology, 2025, 19(3): e95-e96.

3. Blom DJ, et al. Presented at EAS Congress 2026.
4. Harada-Shiba M, et al. Future Cardiol. 2024, 20(2): 67-80.

临床获益：洛美他派联合常规降脂治疗能够减少心血管事件，延长患者生存超11.2年；国内外权威指南共识一致推荐

洛美他派治疗患者心血管获益显著；同时在使用期间可有效降低LA的使用

观察性研究模型显示患者自18岁起使用洛美他派治疗¹：

- 可使预期寿命延长：
- 延迟首次MACE达：

↑ **11.2**年
↓ **5.7**年

洛美他派治疗2年后，主要不良心血管事件 (MACE) 发生风险降低²

↓ **> 65%**

洛美他派联合常规降脂治疗第26-78周时减少或停止脂蛋白分离疗法 (LA) 的患者比例达³

↓ **46%**



国内外指南/共识权威推荐



纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识 (2024年)⁴

- ✓ 使用最大耐受剂量的他汀类药物+胆固醇吸收抑制剂+PCSK9抑制剂未能控制LDL-C达标时，可使用洛美他派，联合或不联合脂蛋白分离疗法



日本家族性高胆固醇血症 (FH) 诊断和治疗指南 2017⁵

- ✓ 推荐可与LA一起用于治疗HoFH (A级推荐)
- ✓ 推荐MTP抑制剂可用于最高剂量他汀治疗后未达标的≥15岁HoFH患者



美国国家脂质协会FH专家临床共识更新，2026⁶

- ✓ 大多数HoFH患者对高剂量他汀、依折麦布与PCSK9三联疗法的反应都不够充分，很可能需要增加一种或多种不依赖LDL受体的治疗
- ✓ 建议在三联疗法未达LDL-C治疗目标时加用洛美他派等高效疗法。洛美他派可降低LDL-C约50%，且持续有效超过5年。

缩写：ASCVD：动脉粥样硬化性心血管疾病；HoFH：纯合子家族性高胆固醇血症；LDL-C：低密度脂蛋白胆固醇；PCSK9：前蛋白转化酶枯草溶菌素9；MACE：主要不良心血管事件

1. Leipold R, et al. Eur J Prev Cardiol, 2017, 24(17): 1843-1850.
2. D'Erasmus L, et al. Eur J Prev Cardiol, 2022, 29(5): 832-841.
3. Cuchel M, et al. Lancet, 2013, 381(9860): 40-46.

4. 纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识(2024年). 中华检验医学杂志, 2024, 47(10): 1126-1138.
5. J Atheroscler Thromb, 2018; 25: 751-770. <http://doi.org/10.5551/jat.CR003>
6. Ahmad Z, et al. Journal of Clinical Lipidology. 2026, 20: 708-737.

洛美他派累计惠及全球逾2,200例HoFH患者，超11年数据验证其良好耐受性，不良反应可防可控

说明书刊载安全性信息：整体安全性良好

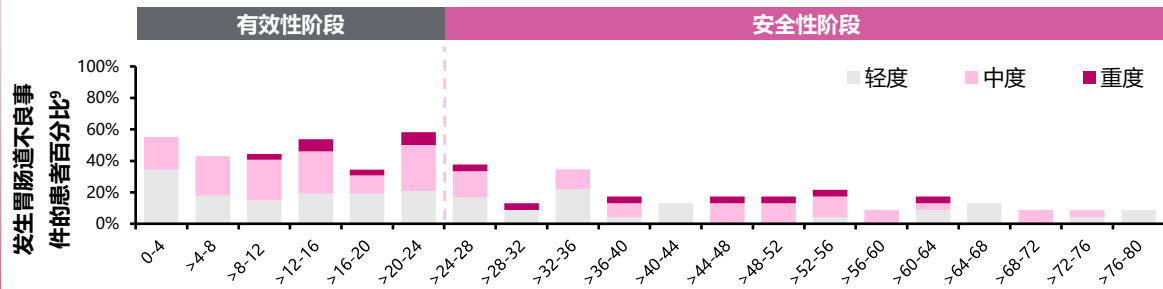
- 洛美他派治疗期间最常见不良反应为**胃肠道反应**，在剂量递增阶段更为常见，一旦确定最大耐受剂量，不良反应发生率降低¹
- 最严重的不良反应为**肝氨基转移酶异常**，未报道肝功能不全或肝衰竭病例，通过监测肝功能、剂量调整、暂时停药等可有效控制¹

安全性经多项临床试验和真实世界研究验证，最长随访数据已超11年

- FDA和EMA一致认为“洛美他派上市后研究呈现稳定超11年的安全性数据，未发现新的重大安全性信号”

主要不良事件胃肠道反应可控：

持续治疗期间逐渐减少或减轻，可通过低脂饮食和药物减量管理^{2,3}



- 胃肠道不良事件通常为轻-中度，Ⅲ期试验最常见腹泻 (79.3%)、恶心 (65.5%)、呕吐 (34.5%) 和腹痛 (27.6%)²，真实世界研究中发生率更低 (约40%)，且发生频率随时间呈下降趋势³

肝脏长期安全性可耐受：

未见具有临床意义的肝脏生物标志物升高，肝脏硬度保持正常⁵

发生率	LOWER ^{6,7}	泛欧洲研究* ³	Ⅲ期临床研究 ^{1,4,8}
	(N=223), >10 年随访	(N=75), 9 年随访	(N=29), 5 年随访
肝脂肪变性, %	6.3%	17.3%	3.4%#
ALT/AST ≥3x ULN, %	21.5%	17.1%	34.5%
ALT/AST ≥5x ULN, %	6.7%	4.2%	13.8%

注：所呈现不良反应发生率均为和现有降脂治疗药物（如他汀类）联合治疗的结果

- Ⅲ期临床研究中，平均ALT/AST水平维持在**3倍正常值以下**⁵；ALT/AST升高部分为一过性，可通过减量或重新滴定进行管理^{4,5}
- 洛美他派治疗可出现轻-中度肝脏脂肪蓄积，停药后可逆，且9年随访**肝纤维化影像学检查结果始终维持正常**，未发现具有临床意义的肝细胞损伤标志物升高⁵

注释：*仅为Ⅲ期研究中报告的严重脂肪变性。*仅报告最初24个月内的最高值。缩写：ALT：丙氨酸氨基转移酶；LOWER：洛美他派全球观察性评估注册研究；ULN：正常值上限；AST：天冬氨酸氨基转移酶；RWE：真实世界证据

1. 甲磺酸洛美他派胶囊说明书. 核准日期: 2026年1月27日.
2. Cuchel M, et al. Lancet. 2013; 381(9860):40-46 (including supplement).
3. D' Erasmio L, et al. Eur J Prev Cardiol, 2022, 29(5): 832-841.
4. Arca M, et al. J Clin Lipidol, 2025, 19(4) 775-789.
5. Larrey D, et al. Liver Int, 2023, 43(2): 413-423.

6. Data on file: LOWER Study 2024 annual report.
7. Blom D, et al. Atherosclerosis, 2024, 395.
8. Blom D J, et al. Circulation, 2017, 136(3): 332-335.
9. Stefanutti et al. poster presented at world congress of clinical lipidology, 6-8 Dec. 2012.

洛美他派可弥补目录中HoFH患者的治疗短板，填补临床急需，基金影响小，管理难度低，在改善生存预后及降低长期医疗负担方面具有显著临床与社会价值

符合保基本原则，基金影响有限

- 1) HoFH是一种严重危及生命的罕见遗传性代谢性疾病，为《第一批罕见病目录》病种
- 2) HoFH用药人群有限，中国成人患者预计约3,573人，诊断率不及5%¹，基金影响较小，符合保基本原则

弥补目录短板，满足临床需求

- 1) 临床及医保目录内均无不依赖于 LDL 受体通路的药物，现有药物难以实现HoFH患者LDL-C控制目标，无法阻止患者早发ASCVD或降低其死亡风险
- 2) 洛美他派作为全球首个且唯一获批不依赖 LDL受体通路的MTP抑制剂，其创新机制有望弥补目录短板，填补临床急需，突破HoFH达标困境，改善患者生存获益

全球
首创

挽救健康生命，提升公众健康

- 1) HoFH被称为“沉默杀手”，未治疗者约12.5岁即可达冠心病风险阈值；经现有药物治疗，仍有约40%在平均24岁时已发生冠心病；45%中国HoFH家庭遭遇灾难性医疗支出，死亡患者平均年龄仅19岁²
- 2) 洛美他派可实现HoFH患者LDL-C治疗目标，减少或停用LA，降低MACE风险，延长生存，节约医疗资源，具有不可替代性。

经办审核难度低，滥用风险小

- 1) HoFH患者临床表征清晰，通过临床特征或基因检测均能明确诊断，诊断审核难度低³
- 2) 普通高脂血症或HeFH与HoFH有明确的临床特征区隔，现有治疗药物选择众多且可及性佳，洛美他派滥用风险极低
- 3) 有HoFH诊疗能力的医师均集中在核心三甲医院，HoFH管理临床路径清晰，有助于医保基金精准管理

缩写：ASCVD，动脉粥样硬化性心血管疾病；HoFH，纯合子家族性高胆固醇血症；HeFH，杂合子家族性高胆固醇血症；LDL，低密度脂蛋白；LDL-C，低密度脂蛋白胆固醇；MTP，微粒体甘油三酯转移蛋白；LA，脂蛋白分离疗法；MACE，主要不良心血管事件

1. Cuchel M, et al. Eur Heart J, 2023,44(25):2277-2291.
2. Jiang L, et al. J Clin Lipidol, 2022, 16(3): 306-314.

3. 纯合子家族性高胆固醇血症早期筛查与管理中国专家共识(2024年). 中华检验医学杂志, 2024, 47(10): 1126-1138.