

编码：YPSW202600360

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： 甲磺酸洛美他派胶囊

企业名称： 凯西医药（上海）有限公司

申报信息

申报时间	2026-06-09 21:08:47	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）	甲磺酸洛美他派胶囊	商品名	洛卓凯（商标名）
医保药品分类与代码	-	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	化药5.1类		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	无		
说明书全部注册规格	(1) 5mg; (2) 10mg; (3) 20mg		
上市许可持有人（授权企业）	Chiesi Farmaceutici S.p.A.		
说明书全部适应症/功能主治	甲磺酸洛美他派可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（非HDL-C）水平。尚未确定本品在未患HoFH的高胆固醇血症患者（包括杂合子家族性高胆固醇血症[HeFH]患者）中的安全性和有效性。尚未确定本品对心血管疾病发生率和死亡率的影响。		
说明书用法用量	本品的治疗应由具有血脂异常治疗经验的医生启动并监测。用量 成人的初始治疗剂量为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10mg，需接受至少2周给药；之后，如拟上调至每日20mg、40 mg和最高每日60mg的最大推荐剂量，需间隔至少4周[参见注意事项]。应逐渐递增剂量，以尽可能降低胃肠道不良反应和转氨酶升高的发生率和严重程度。在低脂饮食的情况下，与使用甲磺酸洛美他派相关的胃肠道不良反应的发生率和严重程度降低。开始治疗前，患者应遵循脂肪供能<20%的饮食，并应在治疗期间保持该饮食。应提供饮食咨询，将从脂肪中获得的20%的能量换算为每天的绝对脂肪量（g）。此外，每日最大脂肪目标应根据基于年龄、生长、活动水平和耐受性的热量需求进行个体化设计。患者应避免摄入葡萄柚汁和饮酒[参见注意事项、药物相互作用]。对于接受甲磺酸洛美他派稳定维持剂量并接受阿托伐他汀的患者：●两种药品给药间隔12小时 或 ●将甲磺酸洛美他派的剂量减半。接受5mg治疗的成人患者应继续服用5mg剂量。然后可根据LDL-C应答和安全性、耐受性考虑谨慎调整剂量。停用阿托伐他汀后，应根据LDL-C应答和安全性、耐受性上调甲磺酸洛美他派的剂量。对于接受稳定维持剂量的甲磺酸洛美他派且接受任何其他弱效细胞色素P450（CYP）3A4抑制剂的患者，两种药物（甲磺酸洛美他派和弱效CYP3A4抑制剂）给药间隔12小时。如果甲磺酸洛美他派与1种以上弱效CYP3A4抑制剂合并给药，应格外谨慎。根据所需的LDL-C应答，考虑限		

	<p>制甲磺酸洛美他派的^{最大剂量}。根据临床研究中观察到的必需脂肪酸和维生素E水平降低，整个甲磺酸洛美他派治疗期间，患者应每日使用膳食补充剂，每日提供400 IU维生素E和约200 mg亚油酸、110 mg二十碳五烯酸（EPA）、210 mg α亚麻酸（ALA）和80 mg二十二碳六烯酸（DHA）[参见注意事项]。特殊人群 老年人群 甲磺酸洛美他派在≥65岁患者中的经验有限。因此，在这些患者中应慎用本品。由于推荐的给药方案是从剂量范围的下限开始，然后根据个体患者的耐受性谨慎递增剂量，因此不建议对老年人的给药方案进行调整。肝功能损害 甲磺酸洛美他派禁用于中度或重度肝功能损害患者，包括不明原因持续性肝功能检查异常的患者[参见禁忌、药代动力学]。轻度肝功能损害（Child-Pugh A级）成人患者的日剂量不应超过40mg。肾功能损害 接受透析治疗终末期肾病成人患者每日不应超过40mg [参见药代动力学]。</p>		
<p>所治疗疾病基本情况</p>	<p>(1) 纯合子家族性高胆固醇血症（HoFH）属于中国第一批罕见病目录病种，是严重危及生命的遗传代谢病，多由LDLR等基因变异导致低密度脂蛋白胆固醇（LDL-C）清除障碍。患者出生即伴LDL-C显著升高（未治疗≥10mmol/L），以皮肤/肌腱黄色瘤及早发动脉粥样硬化性心血管疾病（ASCVD）为主要表现。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”即可达冠心病风险阈值。(2) 全球患病率约1/30万，中国成人患者约3573人，诊断率不足5%。中国HoFH患者41.2%合并主动脉瓣上狭窄，其过早死亡率32.5%，死亡患者平均死亡年龄约19岁。</p>		
<p>是否已获批上市</p>	<p>是，已获得注册批件</p>		
<p>中国大陆首次上市时间</p>	<p>2026-01</p>	<p>注册证号/批准文号</p>	<p>国药准字HJ20260012/国药准字HJ20260013/国药准字HJ20260014</p>
<p>该通用名全球首个上市国家/地区</p>	<p>美国</p>	<p>该通用名全球首次上市时间</p>	<p>2012-12</p>
<p>是否为OTC</p>	<p>否</p>		
<p>同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况</p>	<p>(1) 国内无同药理作用药品上市，洛美他派是唯一获批治疗HoFH的口服MTP抑制剂，从上游减少LDL-C生成，突破国内HoFH患者难以达标和早亡困境；2) 同治疗领域药品：依折麦布（2006年上市，目录内）、瑞舒伐他汀依折麦布片（2023年上市，目录内）、依折麦布阿托伐他汀钙片（2025年上市，目录内），依洛尤单抗（2018年上市，2022年纳入医保）。高剂量他汀、依折麦布及依洛尤单抗是洛美他派获批前国内HoFH患者的可及方案，但其作用机制依赖LDL受体对LDL-C的清除，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仅能将其LDL-C水平降到平均10.4mmol/L，无法阻止疾病进展。国内HoFH队列40.7%发生心血管事件，平均23.6岁发生冠心病，死亡患者中71%死于20岁之前。(3) 洛美他派是目前国内获批唯一作用机制不依赖LDL-C受体通路的HoFH治疗药物，对所有基因突变类型HoFH患者均有效，长期维持LDL-C达标率可达74%，18岁启用预期寿命延长11.2年，超过10年安全性验证不良事件可控，长期耐受良好。</p>		
<p>企业承诺书</p>	<p>↓ 下载文件 2026年NRDL申请企业承诺书-盖章.pdf</p>		
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 甲磺酸洛美他派说明书.pdf</p>		
<p>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</p>	<p>↓ 下载文件 药品注册证书2026S00235_合并.pdf</p>		
<p>申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）</p>	<p>↓ 下载文件 甲磺酸洛美他派胶囊.pdf</p>		
<p>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</p>	<p>↓ 下载文件 甲磺酸洛美他派胶囊-不含经济性.pdf</p>		

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
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1. 目录内无同机制药物：他汀类、依折麦布及PCSK9抑制剂均依赖LDL受体通路增强LDL-C清除，对LDL受体缺失或功能受损的HoFH患者疗效有限，难以使患者达到治疗目标及延缓疾病进展；洛美他派是目前国内唯一获批不依赖LDL受体通路的口服MTP抑制剂，其疗效不受LDL受体通路影响；2. 目录内无同治疗地位方案：指南推荐同治疗地位仅有血脂净化（LA）和ANGPTL-3抑制剂，两者均不在目录内。

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	纳入8项研究共209例成人及儿童HoFH患者。洛美他派可显著降低LDL-C水平，较基线降幅49.27%，总胆固醇降46.05%，载脂蛋白B降51.01%，Lp（a）降13.58%，甘油三酯、VLDL-C亦显著下降，HDL-C保持不变。成人与儿童均获益。不良反应以胃肠道症状为主（腹泻31%、恶心22%），整体安全性可接受。
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 有效性1合并.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入29例成人HoFH患者。治疗26周LDL-C较基线平均降低50%（基线 8.7±2.9 mmol/L 降至 4.3±2.5 mmol/L，P<0.0001），同时可显著降低总胆固醇（降幅46%）、载脂蛋白B（49%）、Lp（a）（15%）及甘油三酯（45%）等；26周时34.8%患者LDL-C<2.6mmol/L。
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 有效性2合并.pdf

试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>本项III期扩展研究中位治疗5.1年，纳入17位患者。随访126周后，LDL-C自基线 $356 \pm 127 \text{mg/dL}$ 降至 $189 \pm 120 \text{mg/dL}$，平均降幅45.5%；至246周，74%患者LDL-C $< 100 \text{mg/dL}$，58% $< 70 \text{mg/dL}$，LDL下降幅度不受LDL受体残余功能影响，长期稳定强效降脂。</p>
<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>	<p>↓ 下载文件 有效性3合并.pdf</p>
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	<p>LOWER全球登记研究纳入234例患者，洛美他派使用最长超10年，平均日剂量12.1mg。72.2%患者LDL-C较基线降幅 $\geq 50\%$，117-120月平均LDL-C降幅75.3%；74.3%患者LDL-C $< 100 \text{mg/dL}$，51% $< 70 \text{mg/dL}$，38.4% $< 55 \text{mg/dL}$。证实真实世界以远低于3期的剂量帮助近半数HoFH患者实现LDL达标，长期应用疗效稳定，安全性可耐受。</p>
<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>	<p>↓ 下载文件 有效性4合并.pdf</p>
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	<p>纳入75例成人HoFH患者，中位随访19个月，平均剂量20mg/日。末次随访LDL-C中位降幅60%；53.7%患者LDL-C降幅 $\geq 50\%$。36.8%联用LA的患者可停用LA；疗效9年观察期间稳定维持，主要不良心血管事件（MACE）发生率从用药前21.2/1000人年降低到7.4/1000人年（风险降低 $> 65\%$）。</p>
<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>	<p>↓ 下载文件 有效性5合并.pdf</p>
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	<p>意大利多中心回顾性研究，纳入15例成人HoFH患者。平均洛美他派剂量19mg/日，平均随访32.3月。基线平均LDL-</p>

C426.0±204.0mg/dL，加用洛美他派后LDL-C下降68.2±24.8%。末次随访60%达到LDL-C<100mg/dL，46.6%达到<70 mg/dL。接受LA的10例中8例（80%）因LDL-C显著下降而停止LA。

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](#) 有效性6合并.pdf

试验类型7 非RCT队列研究

试验对照药品 脂蛋白置换（LA）

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况 纳入2个独立HoFH队列，洛美他派组30例，LA组29例。两队列在基因型等基线特征上存在差异。洛美他派组较基线LDL-C降幅58.0%，显著高于LA组37.1%（校正P=0.004）；77.3%洛美他派组患者LDL-C降幅超50%，优于LA组24.1%（P<0.001）。洛美他派组长期LDL-C负荷显著低于LA组，主要心血管不良事件发生率远低于LA组（13.3% vs 55.2%，p<0.001）。

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](#) 有效性7合并.pdf

试验类型8 真实世界数据

试验对照药品 无

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况 本研究纳入14例患者（初始5例HoFH+1例难治HeFH，确认8例HoFH）。LDL-C降幅：56.8-93.9%。平均随访4.4-5年，50%患者出现颈动脉内膜中层厚度（CIMT）逆转；2例测量斑块面积患者同步显示斑块面积分别减少26.6mm²和22.39mm²，提示其可有效逆转或稳定动脉粥样硬化病变。

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](#) 有效性8合并.pdf

试验类型9 真实世界数据

试验对照药品 无

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况 本日本研究纳入39例患者，洛美他派中位剂量9.8mg/日（最常用剂量为17例10mg，其次为8例20mg和6例5mg）。基线中位LDL-C为4.9mmol/L，治疗后持续下降，24个月中位为2.5mmol/L，42个月为2.2mmol/L，降幅达41.2%（p=0.0128）。提示日本人群较低剂量即可实现显著LDL-C下降。

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，

[↓ 下载文件](#) 有效性9合并.pdf



中国医疗保障

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10	其他
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	模型测算洛美他派对HoFH患者主要心血管事件 (MACE) 及生存获益影响, 结果提示即使18岁启用洛美他派, 也能使HoFH患者延长生存时间达11.2年, 延迟首次MACE达5.7年。
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 有效性10合并.pdf
试验类型1	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	纳入8项研究共209例成人及儿童HoFH患者。洛美他派可显著降低LDL-C水平, 较基线降幅49.27%, 总胆固醇降46.05%, 载脂蛋白B降51.01%, Lp (a) 降13.58%, 甘油三酯、VLDL-C亦显著下降, HDL-C保持不变。成人与儿童均获益。不良反应以胃肠道症状为主 (腹泻31%、恶心22%), 整体安全性可接受。
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 有效性1合并.pdf
试验类型2	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	纳入29例成人HoFH患者。治疗26周LDL-C较基线平均降低50% (基线 8.7 ± 2.9 mmol/L 降至 4.3 ± 2.5 mmol/L, $P < 0.0001$), 同时可显著降低总胆固醇 (降幅46%)、载脂蛋白B (49%)、Lp (a) (15%) 及甘油三酯 (45%) 等; 26周时34.8%患者LDL-C < 2.6 mmol/L。
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 有效性2合并.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前

<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>本项III期扩展研究中位治疗5.1年，纳入17位患者。随访126周后，LDL-C自基线 356±127mg/dL降至189±120mg/dL，平均降幅45.5%；至246周，74%患者LDL-C <100mg/dL，58%<70mg/dL，LDL下降幅度不受LDL受体残余功能影响，长期稳定强效降脂。</p>
<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>	<p>↓ 下载文件 有效性3合并.pdf</p>
<p>试验类型4</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>LOWER全球登记研究纳入234例患者，洛美他派使用最长超10年，平均日剂量12.1mg。72.2%患者LDL-C较基线降幅≥50%，117-120月平均LDL-C降幅75.3%；74.3%患者LDL-C <100mg/dL，51%<70mg/dL，38.4%<55mg/dL。证实真实世界以远低于3期的剂量帮助近半数HoFH患者实现LDL达标，长期应用疗效稳定，安全性可耐受。</p>
<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>	<p>↓ 下载文件 有效性4合并.pdf</p>
<p>试验类型5</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>纳入75例成人HoFH患者，中位随访19个月，平均剂量20mg/日。末次随访LDL-C中位降幅 60%；53.7%患者LDL-C降幅≥50%。36.8%联用LA的患者可停用LA；疗效9年观察期间稳定维持，主要不良心血管事件（MACE）发生率从用药前21.2/1000人年降低到7.4/1000人年（风险降低>65%）。</p>
<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>	<p>↓ 下载文件 有效性5合并.pdf</p>
<p>试验类型6</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>意大利多中心回顾性研究，纳入15例成人HoFH患者。平均洛美他派剂量19mg/日，平均随访32.3月。基线平均LDL-C426.0±204.0mg/dL，加用洛美他派后LDL-C下降68.2±24.8%。末次随访60%达到LDL-C<100mg/dL，46.6%达到<70mg/dL。接受LA的10例中8例（80%）因LDL-C显著下降而停止LA。</p>
<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</p>	<p>↓ 下载文件 有效性6合并.pdf</p>

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7	非RCT队列研究
试验对照药品	脂蛋白置换 (LA)
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	纳入2个独立HoFH队列，洛美他派组30例，LA组29例。两队列在基因型等基线特征上存在差异。洛美他派组较基线LDL-C降幅58.0%，显著高于LA组37.1% (校正P=0.004)；77.3%洛美他派组患者LDL-C降幅超50%，优于LA组24.1% (P<0.001)。洛美他派组长期LDL-C负荷显著低于LA组，主要心血管不良事件发生率远低于LA组 (13.3% vs55.2%，p<0.001)。
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 有效性7合并.pdf
试验类型8	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	本研究纳入14例患者 (初始5例HoFH+1例难治HeFH，确认8例HoFH)。LDL-C降幅：56.8-93.9%。平均随访4.4-5年，50%患者出现颈动脉内膜中层厚度 (CIMT) 逆转；2例测量斑块面积患者同步显示斑块面积分别减少26.6mm ² 和22.39mm ² ，提示其可有效逆转或稳定动脉粥样硬化病变。
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 有效性8合并.pdf
试验类型9	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	本日本研究纳入39例患者，洛美他派中位剂量9.8mg/日 (最常用剂量为17例10mg，其次为8例20mg和6例5mg)。基线中位LDL-C为4.9mmol/L，治疗后持续下降，24个月中位为2.5mmol/L，42个月为2.2mmol/L，降幅达41.2% (p=0.0128)。提示日本人群较低剂量即可实现显著LDL-C下降。
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 有效性9合并.pdf
试验类型10	其他
试验对照药品	无

试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	模型测算洛美他派对HoFH患者主要心血管事件（MACE）及生存获益影响，结果提示即使18岁启用洛美他派，也能使HoFH患者延长生存时间达11.2年，延迟首次MACE达5.7年。
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 有效性10合并.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《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，洛美他派为微粒体甘油三酯转移蛋白的口服抑制剂，推荐用于他汀类、胆固醇吸收抑制剂和PCSK9抑制剂三联疗法治疗后LDL-C未达标的纯合子家族性高胆固醇血症（HoFH）确诊患者（见于HoFH的治疗流程）。
----------------	--

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.pdf
---	--------------------------------

临床指南/诊疗规范推荐情况2	《日本家族性高胆固醇血症（FH）诊断和治疗指南2017》，2017年，MTP抑制剂（洛美他派）可降低LDL-C水平约50%；1.推荐可与LA一起用于治疗HoFH（A级推荐）；2.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（治疗流程图）。
----------------	---

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.pdf
---	--------------------------------

临床指南/诊疗规范推荐情况3	《国际动脉粥样硬化学会FH最佳诊疗实践指南》，2023年，洛美他派等不依赖LDL受体的疗法使LDL-C更低治疗目标变得可及；推荐：1.对于接受常规治疗后LDL-C仍显著升高或伴有快速进展性ASCVD的患者，可考虑使用洛美他派（2B），2.对于未能达到指南推荐的LDL-C目标的快速进展性ASCVD患者，应考虑加用洛美他派，可进一步降低LDL-C并有望减少LA频率或替代LA（2B）。
----------------	---

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.pdf
---	--------------------------------

临床指南/诊疗规范推荐情况4	《2023年欧洲动脉硬化学会关于HoFH共识声明的更新》，2023，新型且有效的治疗如洛美他派等提供了达成LDL-C目标的潜力且可以降低LA的使用；洛美他派干预LDL-C的生成，其应答不依赖LDL受体，真实世界与常规治疗合用26周降低LDL-C达60%，且其LDL-C控制优于LA；推荐用于高剂量他汀、依折麦布与PCSK9联合治疗后未达标的HoFH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4.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

《美国国家脂质协会FH专家临床共识更新》，2026，大多数（即便不是全部）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，包括洛美他派、依维苏单抗和脂蛋白单采术。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。

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.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《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，洛美他派为微粒体甘油三酯转移蛋白的口服抑制剂，推荐用于他汀类、胆固醇吸收抑制剂和PCSK9抑制剂三联疗法治疗后LDL-C未达标的纯合子家族性高胆固醇血症（HoFH）确诊患者（见于HoFH的治疗流程）。

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.pdf

中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《日本家族性高胆固醇血症（FH）诊断和治疗指南2017》，2017年，MTP抑制剂（洛美他派）可降低LDL-C水平约50%；1.推荐可与LA一起用于治疗HoFH（A级推荐）；2.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（治疗流程图）。

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.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《国际动脉粥样硬化化学会FH最佳诊疗实践指南》，2023年，洛美他派等不依赖LDL受体的疗法使LDL-C更低治疗目标变得可及；推荐：1.对于接受常规治疗后LDL-C仍显著升高或伴有快速进展性ASCVD的患者，可考虑使用洛美他派（2B），2.对于未能达到指南推荐的LDL-C目标的快速进展性ASCVD患者，应考虑加用洛美他派，可进一步降低LDL-C并有望减少LA频率或替代LA（2B）。

临床指南/诊疗规范中需包含申报

↓ 下载文件 指南3.pdf

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.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《2023年欧洲动脉硬化化学会关于HoFH共识声明的更新》，2023，新型且有效的治疗如洛美他派等提供了达成LDL-C目标的潜力且可以降低LA的使用；洛美他派干预LDL-C的生成，其应答不依赖LDL受体，真实世界与常规治疗合用26周降低LDL-C达60%，且其LDL-C控制优于LA；推荐用于高剂量他汀、依折麦布与PCSK9联合治疗后未达标的HoFH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4.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

《美国国家脂质协会FH专家临床共识更新》，2026，大多数（即便不是全部）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，包括洛美他派、依维苏单抗和脂蛋白单采术。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。

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.pdf

中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

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

技术审评报告暂无。审批结论为：根据《中华人民共和国药品管理法》及有关规定，经审查，本品符合药品注册的有关要求，批准注册，发给药品注册证书。根据《关于发布第一批临床急需境外新药名单的通知》，列为临床急需原因为：纯合子型家族性高胆固醇血症是一种遗传性疾病，属罕见病，并可威胁生命。早期发现诊断和治疗是关键。多种他汀类药物和依折麦布已有治疗纯合子型家族性高胆固醇血症（HoFH）的适应症，但是，由于该类患者基线血脂水平特别高，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。

《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

技术审评报告暂无。审批结论为：根据《中华人民共和国药品管理法》及有关规定，经审查，本品符合药品注册的有关要求，批准注册，发给药品注册证书。根据《关于发布第一批临床急需境外新药名单的通知》，列为临床急需原因为：纯合子型家族性高胆固醇血症是一种遗传性疾病，属罕见病，并可威胁生命。早期发现诊断和治疗是关键。多种他汀类药物和依折麦布已有治疗纯合子型家族性高胆固醇血症（HoFH）的适应症，但是，由于该类患者基线血脂水平特别高，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。

《技术审评报告》原文（可节选）

-

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	<p>【不良反应】治疗期间最常见的不良反应是胃肠道反应，最严重的不良反应为肝氨基转移酶异常。胃肠道不良反应在洛美他派剂量递增阶段更为常见，确定最大耐受剂量（MTD）后发生率降低。【禁忌】对本品活性成份或任何辅料过敏者禁用；中度或重度肝功能损害患者和不明原因持续性肝功能检查异常患者；已知患有严重或慢性肠病的患者；合并给予>40 mg辛伐他汀；合并使用强效或中效CYP3A4抑制剂；妊娠。【注意事项】肝酶异常和脂肪肝变性:尚未报道肝功能不全或肝衰竭病例，脂肪肝变性停药后可逆。治疗中监测肝功能并可进行剂量调整。脱水：有相关报道，提前告知风险并对胃肠道反应患者采取预防措施。合并使用CYP3A4抑制剂、合并使用CYP3A4诱导剂、合并使用他汀类药物时需间隔或减量、避免葡萄柚汁和饮酒、增加香豆素类抗凝药浓度、肝毒性药物、避孕。【药物相互作用】参见注意事项中相关信息。</p>
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	<p>(1) 药品上市后至今，各国家或地区药监部门均无新增安全性警告、黑框警告、撤市 (2) 上市后长达11年全球登记研究LOWER显示未见新的安全性信号，ALT/AST升高多发生于前24月,特别关注的胃肠道事件发生率仅21.6%，未发生洛美他派相关MACE。2026年EMA和FDA一致决定终止该洛美他派上市后长期观察研究，因超过10年观察洛美他派展现出稳定的安全性特征，继续研究预计不会出现能显著影响当前有效性和安全性认知的新信息。(3) 多篇综述分析洛美他派上市后长达10年安全性：胃肠道反应多为轻中度，与最初26周相比治疗5年期间平均肝脂肪含量无显著进展，长达9.8年随访肝脏硬度正常。</p>
相关报导文献	<p>↓ 下载文件 安全性_合并.pdf</p>

四、创新性信息

创新程度	<p>洛美他派是全球首个且目前唯一获批的口服微粒体甘油三酯转移蛋白（MTP）抑制剂，从上游阻断LDL-C前体组装，作用机制不依赖LDL受体通路，疗效不受LDL受体缺失或缺陷的影响，有望显著改善国内HoFH患者LDL-C难以达标及早发ASCVD生存困境。纳入第一批《临床急需境外新药名单》（编号24），获CDE优先审评审批，获美国FDA与日本“孤儿药”认定。</p>
创新性证明文件	<p>↓ 下载文件 创新程度-合并.pdf</p>
应用创新	<p>洛美他派每日一次口服使用，门诊灵活剂量滴定，无需住院，使用简便便捷；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；接受透析治疗终末期肾病患者也可使用(<40mg/天)，上市后真实时间使用年龄上限达83岁，覆盖特殊人群。</p>
应用创新证明文件	<p>↓ 下载文件 应用创新-合并.pdf</p>
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	<p>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。中国HoFH患者经现有药物治疗，仍有约40%在平均24岁时已发生冠心病；患者常经历反复心梗、心衰，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，85.7%死于心血管疾病。2) 洛美他派治疗成人HoFH患者预计延长生存时间达11.2年，延迟首次MACE达5.7年，既保障生命公平，也减少社会生产力流失。</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>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（编号46）。2) HoFH用药人群有限，中国成人患者预计约3573人，诊断率不足5%，基金影响较小，符合保基本原则。3) 洛美他派作用机制独特，有望实现HoFH患者LDL-C治疗目标，减少或停用LA，降低MACE风险，延长生存时间，节约医疗资源，具有不可替代性。</p>
弥补目录短板	<p>1) 目录内现有HoFH治疗药物依赖LDL受体通路起效，几乎无法实现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) 洛美他派作为中国唯一获批不依赖于LDL受体通路的MTP抑制剂，长期维持LDL-C达标率达74%，2年降低MACE风险>65%，成人应用预计延长生存时间达11.2年。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，并改善患者生存获益。</p>
临床管理难度	<p>1) 经办审核难度低：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。2) 临床滥用或潜在超说明书用药风险低：a.普通高血脂症或HeFH在LDL-C水平、早发ASCVD年龄及家族遗传特征上与HoFH区隔明确；且现有治疗药物选择众多，可及性佳，洛美他派滥用风险极低；b.有HoFH诊疗能力的医师均集中在核心三甲医院，</p>

