

申请纳入《基本医保》

艾美赛珠单抗注射液 (舒友立乐®)

- 创新程度高** 1类新药，唯一非因子类双抗、**唯一因子模拟物**，可“恢复天然凝血”过程
- 临床价值大** 年化出血率低至**0.3**次，出血风险**降低99%**
- 保障需求急** 唯一适用**婴幼儿至成人**的非因子类药物，填补“< 12岁儿童”及“伴抑制物”两大可及短板

改变血友病A治疗的**里程碑式**药物

上海罗氏制药有限公司

注：本套资料中提及的唯一均指截至2026年5月血友病领域国内目前唯一

目录

- ① **基本信息** 艾美赛珠单抗是**唯一适用婴幼儿至成人**的非因子类药物，唯一的因子模拟物，建议**空白**参照
- ② **创新性** **1类新药、突破性疗法**，具有恢复患者“**天然凝血**”独特机制，建议**突破**创新分级
- ③ **有效性** 显著降低**儿童及成人**患者出血风险，年化出血率低至**0.3**次，出血风险**降低99%**
- ④ **安全性** 患者安全性良好，**10年**安全性数据证实长期**安全性良好**
- ⑤ **公平性** 可填补低龄儿童、抑制物患者及成人治疗的保障不足，助力血友患者回归正常生活

先天性血友病A多自幼发病，指南认为自幼(<3岁前)开展初级规律替代治疗可恢复至正常人状态，艾美赛珠单抗是唯一自幼可用的规律替代治疗非因子药物

保障意义重大

先天性血友病A患者多自幼发病

被纳入《第一批罕见病目录》¹，具有高致残、严重可致死风险²

先天性血友病A为遗传性疾病，患者多自**出生即患病**



自幼规律替代治疗可使患者恢复至正常人生活水平

权威指南均推荐⁴⁻⁶：

<3岁前开始初级规律替代治疗⁴，远期疗效好，
可实现恢复至**正常人**【正常的骨骼及关节状态】的生活水平

艾美赛珠单抗-基本信息⁷

适应症

适用以下**成人及儿童**患者的常规预防治疗，以防止出血或降低出血发作的频率：

- 存在凝血因子VIII抑制物的A型血友病（先天性凝血因子VIII缺乏）
- 或不存在凝血因子VIII抑制物的重度A型血友病（先天性凝血因子VIII缺乏，FVIII<1%）

用法用量

- 本品仅用于**皮下注射**
- 负荷剂量(第1-4周)：3 mg/kg，每周一次
- 维持剂量(第5周及之后)：最长可 6 mg/kg，**每四周一次**

参照药

- 1类新药预评审参照药结果：**空白参照**

注册分类	治疗用生物制品1类
注册规格	30 mg (1 ml) /瓶、 60 mg (0.4 ml) /瓶【主规格】 105 mg (0.7 ml) /瓶、150 mg (1 ml) /瓶
大陆地区同通用名药品的上市情况	无
中国大陆获批时间	2018年11月（抑制物适应症）、2021年04月（不存在抑制物适应症）
全球首个上市国家及时间	美国，2017年11月
专利期	2031年

注：上述唯一均指截至2026年5月血友病A领域国内目前唯一。

1. 关于公布第一批罕见病目录的通知. 国卫医发〔2018〕10号

2. 血友病治疗中国指南 (2025年版)

3. Centers for Disease Control and Prevention (CDC). Data and Statistics on Hemophilia. Or: Kulkarni R, et al. Haemophilia. 2009;15(6):1281-1290.

4. 血友病治疗中国指南 (2025年版)

5. 中国实用儿科杂志 * 2021, Vol. 36 * Issue (12): 881-889.

6. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2020 Apr;41(4):265-271.

7. 艾美赛珠单抗注射液说明书. 2026年5月25日

艾美赛珠单抗是血友病A首个非因子类药物、唯一的因子模拟物，独具机制优势，临床研究及真实世界用药累积经验最丰富

非因子治疗：因子模拟物

艾美赛珠单抗

模拟凝血因子功能，重新恢复天然凝血通路²



- 不限年龄**，不受抑制物状态影响⁴
- 最大规模**：八项临床研究证实，年化出血率低至**0.3**⁴
- 丰富经验**：2018年国内获批，**8年**用药经验
- 安全可控**：**10年全球监测**，获全球监管机构安全性认可⁵
- 剂量稳定**：皮下给药，**剂量稳定**⁴

非因子治疗：凝血再平衡药物

马塔西单抗⁶ / 芬妥司兰钠⁷

阻断与抑制抗凝物质²

降低抗凝刹车力度，拉低平衡线



- ≥12岁患者**⁶⁻⁷；且马塔西单抗仅适用非抑制物患者⁶
- 马塔西单抗**非劣效因子**预防治疗⁶、芬妥司兰钠年化出血率5.1-9.0⁷
- 2025年11月后获批**⁸⁻⁹，国内用药经验较少
- 目前尚**无长期监测数据**
- 皮下给药，需据疗效**调整剂量**⁶⁻⁷

因子治疗

培妥罗凝血素α¹ (例)

被动补充外源凝血因子²



- 适用人群 **≥12岁患者**¹
- 临床证据 年化出血率**3.7**¹
- 用药经验 2024年6月获批³
- 安全管理 易产生抑制物¹
- 给药剂量 **静脉**，据出血事件**增加或降低**频率¹

机制对比

治疗优势

1. 注射用培妥罗凝血素α说明书 (2024年6月28日版)
 2. 血友病治疗中国指南 (2025年版)
 3. https://www.novonordisk.com.cn/content/dam/nncorp/cn/zh_cn/ir-materials/pdfs/2024/2024070502.pdf
 4. 艾美赛珠单抗注射液说明书. 2024年5月25日
 5. Efficacy and Safety of Emicizumab in People with Hemophilia A: Summary of 10 Years of Safety Data on Thromboembolic Events and Thrombotic Microangiopathy

6. 马塔西单抗注射液说明书. 2025年11月18日
 7. 芬妥司兰钠注射液说明书. 2025年12月09日
 8. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuanti/cxy/qx/cyypxx/20251121104031117.html>
 9. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuanti/cxy/qx/cyypxx/20251215171848144.html>



艾美赛珠单抗纳入目录可补齐 “< 12岁儿童” 与 “抑制物” 患者的保障短板，是彻底变革替代治疗模式的创新药，对改写血友病疾病转归具有里程碑式的意义

目录内：血友病A规律替代治疗¹

治疗局限性

艾美赛珠单抗⁷

非抑制物患者

成人*及青少年
≥12岁

(重组)人凝血因子
VIII²⁻⁴

培妥罗凝血素α⁵

儿童
< 12岁

不适用
< 12岁患者

- 91-183次/年²⁻⁵，依从性极差
- 静脉输注²⁻⁵，儿童难建立
- 抑制物产生后⁶，治疗失效
- 控制出血效果有限



- 可13次/年
- 皮下给药
- 不产生抑制物，不受抑制物影响
- 可助力实现零出血目标

抑制物患者

成人及青少年
≥12岁

儿童
< 12岁

目录内：无¹



*当前血友病A规律替代治疗：成人暂未纳入报销范围。

1. 国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录(2025年版)
 2. 注射用重组人凝血因子VIII (任捷®)说明书,2026年1月1日.
 3. 注射用重组人凝血因子VIII (安恒吉®)说明书,2025年5月12日. 仅获批适用于≥12岁血友病A患者.
 4. 注射用重组人凝血因子VIII (科跃奇®)说明书.
 5. 注射用培妥罗凝血素α说明书 (2024年6月28日版)
 6. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2018 Jul;39(7):612-614.
 7. 艾美赛珠单抗注射液说明书,2026年5月25日

艾美赛珠单抗具有全新靶点、独特结构，创新程度高且临床价值大，是1类新药、获突破性疗法认定，建议**突破**创新分级

1类新药¹

国家药品监督管理局
National Medical Products Administration

突破性疗法²



优先审评/加速审批^{1,2}

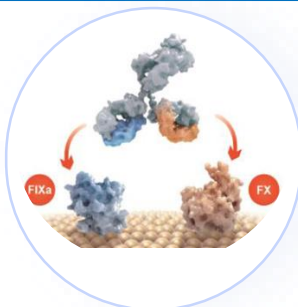
国家药品监督管理局
National Medical Products Administration



创新程度高

首创机制

- 以“分子桥梁”形式激活 FX，FX 的促进激活使**天然凝血**过程得以**恢复正常**³



全新靶点

- 全球血友病**首个 FIXa 和 FX 双抗，唯一非因子类药物**^{4,5}

独特结构³⁻⁷

- 稳定分子结构**：**KiH 技术、CLC-IgG 改造和二硫键设计**，确保异源二聚体高效形成，减少代谢清除
- 药物代谢调控**：FcRn 介导的**循环再利用机制**，延长存留时间

临床价值大

突破性临床获益

- 进一步恢复凝血级联反应，**显著降低出血风险**³

避免抑制物风险

- 不受凝血因子 VIII (FVIII) 抑制物的影响⁶
- 也不会产生此类抑制物

显著依从性提升

- 半衰期延长**至四周，实现最长**4周/次皮下**给药
- 显著提升依从性，尤其**适合儿童患者**

1. 艾美赛珠单抗注射液 (JXSL1700076-79) 申请上市技术审评报告

2. <https://www.fda.gov/drugs/drug-approvals-and-databases/fda-approves-emicizumab-kxwh-hemophilia-or-without-factor-viii-inhibitors#:~:text=On%20October%204%2C%202018%2C%20the.a%20minimum%20of%2024%20weeks...>

3. <https://www.cde.org.cn/main/xxgk/listpage/da6efcd086c099b7fc949121166f0130c>

4. Minami et al. JTH. 2018

5. Sampei Z, et al. PLoS One 2013;8:e57479;

6. Shima S, et al. N Engl J Med 2016;374:2044-53.

7. Kitazawa T, Shima M. Emicizumab, a humanized bispecific antibody to coagulation factors IXa and X with a factor VIIIa-cofactor activity. Int J Hematol. 2020 Jan;111(1):20-30.

艾美赛珠单抗为 < 12岁儿童患者创造“零出血”可能性，年化出血率降幅达99%，且长期随访数据进一步证实确切疗效



全球多中心三期、单臂、开放标签临床试验 (HAVEN 2研究) ，评估艾美赛珠单抗治疗伴抑制物儿童 (<12岁) 血友病A患者的疗效和安全性。结果显示，年化出血率为0.3¹，HAVEN 1-4长期随访数据验证疗效⁵

全球多中心三期、单臂、开放标签试验 (HAVEN 7研究) ，评估艾美赛珠单抗治疗非抑制物婴儿 (≤12个月) 重型血友病A患者的疗效和安全性。结果显示，年化出血率为0.4²

抑制物儿童

非抑制物婴儿



其他2款非因子药物
 马塔西单抗 芬妥司兰钠

无 < 12岁患者适应症³⁻⁴

推动 “3岁前开始初级规律替代治疗”
由指南呼吁向临床实践转化

注：上述年化出血率均为接受治疗的出血ABR

1. Blood.2019 Dec 12;134(24):2127-2138.
 2. Blood (2024) 143(14): 1355-1364.
 3. 马塔西单抗注射液说明书.2025年11月18日.
 4. 芬妥司兰钠注射液说明书.2025年12月09日.
 5. Callaghan MU et al. Blood 2021;137:2231-42.

艾美赛珠单抗用于≥12岁患者显著优于传统因子类药物，年化出血率降低达97%



发表于《新英格兰医学杂志》 The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE



全球多中心三期、单臂、开放标签临床试验 (HAVEN 1研究)，评估艾美赛珠单抗治疗伴抑制物成人及青少年血友病A患者的疗效和安全性。结果显示，中位随访12周，年化出血率为2.9¹；61-72周，平均ABR 0.6

全球多中心三期、单臂、开放标签试验 (HAVEN 3研究)，评估艾美赛珠单抗预防治疗非抑制物成人及青少年重型血友病A患者的疗效和安全性。结果显示，中位随访101.9周，年化出血率为2.9²

抑制物患者

非抑制物患者

因子治疗

年化出血率

23.3次¹

艾美赛珠单抗

年化出血率

2.9次¹

年化出血率降低

↓87%¹

VS

临床试验对比

38.2次²

1.3次²

↓97%²

其他2款非因子药物

马塔西单抗
年化出血率

无
适应症

芬妥司兰钠
年化出血率

5.1次⁴

5.08次³

9.0次⁴

说明书结论³
“非劣效于因子预防治疗”

艾美赛珠单抗相比因子预防治疗，
具有临床及统计学意义**显著性优效**

注：上述年化出血率均为接受治疗的出血ABR

1. N Engl J Med 2017;377:809-818.
2. N Engl J Med 2018;379:811-822.
3. 马塔西单抗注射液说明书.2025年11月18日.
4. 芬妥司兰钠注射液说明书.2025年12月09日.

艾美赛珠单抗经国内外诸多真实世界用药验证，及丰富的患者用药经验累积，获权威指南一致推荐

全球广泛验证

30000+¹

累计用药患者

120+ 国家 ²

全球范围广泛上市应用

卓越安全性 

长期稳定的疗效及安全性验证³

国内真实世界证实

国内上市 8 年

2018年获批，持续造福中国血友病群体

700+位⁴

国内预估用药患者数(推测数据)

~10 篇⁵⁻¹⁴

累计发表文章，验证国内真实世界数据 (RWD)疗效和安全性良好

指南权威一致推荐

国内血友病指南



儿童血友病指南



国际血友病指南



1. Data on file
 2. Data on file
 3. Efficacy and Safety of Emicizumab Prophylaxis in People with Hemophilia A: Summary of 10 Years of Safety Data on Thromboembolic Events and Thrombotic Microangiopathy
 4. 根据销售数据推测患者数量。
 5. Pediatr Investig. 2024 Jul 22;8(4):244-252.
 6. Haemophilia. 2024 Jul;30(4):959-969.
 7. Blood (2025) 146(Supplement 1): 4840.
 8. Front Pediatr. 2022 Oct 19;10:992267

9. Blood (2024) 144 (Supplement 1): 5483.
 10. Yuan Xu, et al. 2025 ASH. abs25-2817
 11. Ye J, et al. Thromb J. 2026 May 4.
 12. Li Z, et al. OC 54.3. ISTH 2025 Congress
 13. "中国当代儿科杂志" 2026, Vol. 28 » Issue (5) : 580-585. DOI: 10.7499/j.issn.1008-8830.2506113论著 "临床研究"
 14. Blood (2025) 146 (Supplement 1): 6616.

15. <https://pdfs.semanticscholar.org/c58a/8aa32dab33c7bd3a236630f4cb65e1950439.pdf4>
 16. 血友病A诊疗指南 (2022年版)
 17. 国家卫生健康委员会 儿童血友病诊疗规范 (2019年版)
 18. 中国实用儿科杂志 » 2021, Vol. 36 » Issue (12): 881-889.
 19. <https://wfh.org/American Society of Hematology>.
 20. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuanti/cxylqx/cxypxx/20181204084701213.html?type=pc&m>

艾美赛珠单抗安全性良好，婴幼儿及老年患者均可用，经临床长期随访数据验证，是唯一经超过10年全球安全性监测报告验证的非因子类药物

临床试验证实：安全性良好^{1,2}

- 血栓性事件是说明书警示AE：临床试验证实**发生率 < 1%**
 - **≥12岁患者¹**：发生率为1%
 - **<12岁患者²**：发生率为**0%**

长期随访结果证实：安全性良好³

艾美赛珠单抗相关不良事件	血栓性事件或死亡发生率为
100%为轻度	0%



特殊人群可用⁴

- **婴幼儿患者**可用（临床试验入组儿童**年龄组低至1个月**）
- **≥65岁**患者可用



CDE评审报告：安全耐受性良好⁵

- **属急需**药物，**风险可控**，**耐受性良好**、给药便利依从性好
- **儿童患者**具有良好的安全性特征



真实世界验证：卫生监管机构认可⁶

- **超过10年**的监测报告，充分证实了长期临床安全性
- 卫生监管机构已不要求在**全球范围内**对本品进行特殊的快速安全性报告

1. Jiménez-Yuste V, Res Pract Thromb Haemost. 2022 Nov 14;6(8):e12837.

2. Guy Young, et al. Blood. 2019 Dec 12;134(24):2127-2138.

3. Midori Shima, Haemophilia. 2021 Jan;27(1):81-89.

4. 艾美赛珠单抗说明书-20240525.

5. 艾美赛珠单抗-CDE评审报告

6. Efficacy and Safety of Emicizumab Prophylaxis in People with Hemophilia A: Summary of 10 Years of Safety Data on Thromboembolic Events and Thrombotic Microangiopathy

艾美赛珠单抗纳入基本医保目录，助力血友患者回归正常生活，赋能患者新生保障意义重大

弥补目录短板

- 填补抑制物患者及成人治疗空白
- 补齐儿童早期规律替代治疗的短板

符合保基本原则

- 兜底遗传罕见病，切实减轻患者家庭极重经济负担
- 按体重给药模式，费用清晰可测算，符合保基本定位

亟需保障

基金管理可控

- 极低发病率，且目标患者（抑制物及重度非抑制物）人群更小
- 替代目录内药物，对医保基金影响有限

助力健康中国

- 助力患者实现“零出血”，保障患者正常上学和工作
- 大幅减少关节置换及长期护理等远期高额支出，降低长期负担