

2025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： 去铁酮片

企业名称： 显荣行有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 17:37:32	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2020年1月1日至2025年6月30日(含，下同)期间，经国家药监部门批准上市的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2020年1月1日至2025年6月30日期间，经国家药监部门批准，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。
- 3.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，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》的药品。
- 5.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委等部门《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。

药品通用名称（中文、含剂型）	去铁酮片	医保药品分类与代码	XV03ACQ127A001010178225
药品类别	西药	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		
① 药品注册分类	5.1		
核心专利类型1	3-羟基 1,2 二甲基-4- (1H)- 吡啶酮	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	3-羟基 1,2 二甲基-4- (1H)- 吡啶酮	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	0.5g		
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	用于治疗不耐受或不愿意接受现有螯合剂治疗的铁负荷过多的地中海贫血患者		
说明书用法用量	去铁酮治疗剂量为 25mg/kg 体重，口服，每日三次，每日剂量为 75mg/kg 体重。可以半片为单位计算每公斤体重的剂量。请参见下面的剂量表。不建议剂量超过 100mg/kg/天，因为会潜在地增加不良反应的危险性。剂量表： 体重(公斤) 剂量(mg/三次/天) 片数(三次/天 日剂量(mg) 20 500 1.0 1500 30 750 1.5 2250 40 1000 2.0 3000 50 1250 2.5 3750 60 1500 3.0 4500 70 1750 3.5 5250 80 2000 4.0 6000 90 2250 4.5 6750		
所治疗疾病基本情况	根据2021年地贫蓝皮书，我国共有重型和中间型地贫患者30万人；而β-地中海贫血全国发病约2.21%，估计在册患者数目有1.5-2万。输血和肠道铁吸收增加导致过量铁沉积，即铁过载 (iron overload)，是地贫患者的主要并发症。铁过载继发脏器功能不全，尤其是心脏功能不全是地贫的主要死因，规律输血而不祛铁的TDT患者中位生存仅16.5岁。不但如此，铁还会沉积在肝脏、胰腺、垂体、甲状腺、性腺等器官，引起肝纤维化、肝硬化、肝癌、糖尿病、生长发育迟缓、甲状腺机能减退、性发育延迟等并发症，严重影响患者生活质量。规范的祛铁治疗才能保障患者长期和高质量生存。		
中国大陆首次上市时间	2003-09	注册号/批准文号	HJ20140379
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	1999-08
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	1 去铁胺 2 地拉罗司 已上市多年，同是医保乙类品种		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书0717.pdf		

药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 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 Ferriprox_500mg_Tab_IDL_China_since_2003_merged.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 去铁酮片PPT1.pptx
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 去铁酮片PPT2.pptx

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。
（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60公斤，体表面积1.6m²。

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
去铁胺	是	500mg	49.16	40-60	年度费用	77869	264天

参照药品选择理由：目前医保目录内同适应症、相似作用机制药品

其他情况请说明：与参照药品相比优势：便捷性大大增加：去铁酮片已相继在美国、欧盟上市，是全球首个、国内第一个获批的口服去铁药物，不需要像去铁胺一周5次，一天8-12小时输注治疗。明确生存获益优势：是目前唯一能较强改善心脏铁过载的优选，能提高生存效益，也获得国内外指南共同推荐。经济性佳：儿童患者（20KG）日治疗费用不到30元，已较目录内参照药品具有“绝对优势”（Dominated）

二、有效性信息

试验类型1	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在这个每周监测血细胞计数、粒细胞缺乏症发生率的多中心试验为每100名患者年0.58例，1次治疗后粒细胞缺乏症的频率年为0.5%。使用本试验中的仔细监测系统，支持去铁酮制剂的安全性。
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 Cohen_1999_merged_1.pdf

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2	非RCT队列研究
试验对照药品	不适用
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国暨南大学夏苏建教授团队纳入16项随机对照试验开展荟萃分析, 比较三种去铁药物、联用治疗的有效性和安全性。• 评估治疗药物对心脏铁沉积获益及左心室射血分数获益时, 累计7篇RCT文献报告单用去铁酮或去铁酮联用方案对患者的改善显著优于去铁胺单药方案。根据荟萃分析, 去铁酮在心脏铁沉积及左心室射血分数改善方面显著由于去铁胺
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 Meta_analysis.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	这些发现表明去铁酮在治疗重型地中海贫血方面可能与去铁胺一样有效,但很少出现轻度和可逆性副作用。
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 Maggio_2002_merged.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	在本一年多的研究中, 對於改善重型地中海贫血之无症状心肌铁质沉着症, 去铁酮单一疗法明显更有效比去铁胺更有效。
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 Pennell_2006_merged.pdf
试验类型5	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	52宗心脏事件, 其中10宗心脏死亡, 乃去铁胺治疗期间发生的死亡。相反, 去铁酮治疗期间或至少结束后18个月没有发

生任何心脏事件。在此自然历史研究设置中，去铁酮治疗重型地中海贫血患者与显着相关比去铁胺有更强的心脏保护作用。

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

Borgna_Pignatti_2006_merged_highlight.pdf

试验类型6

非RCT队列研究

试验对照药品

去铁胺； 地拉罗司

试验阶段

上市后

对主要临床结局指标改善情况

去铁酮组的总体心脏T2*值(34±11ms)显著高于对照组的去铁胺(21±12ms)和去铁酮(27±11 ms) (P=0.0001)。我们发现去铁酮和去铁胺的左心室射血分数比地拉罗司组更高(P=0.010)。口服去铁酮治疗的患者队列显示心肌铁负荷较低，并且与口服地拉罗司或皮下注射去铁胺治疗的患者相比，整体心室收缩功能更好。

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

Pepe_2011_merged.pdf

试验类型7

非RCT队列研究

试验对照药品

去铁胺

试验阶段

上市后

对主要临床结局指标改善情况

我们的研究表明，长期服用去铁酮可显著增强左心室收缩功能。与去铁胺治疗相比，随时间推移的功能，然而，由于相关限制根据本研究的设计，这些发现应在前瞻性、随机临床试验中得到证实。

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

Filosa_2013_merged.pdf

试验类型8

无对照病例研究

试验对照药品

不适用

试验阶段

上市后

对主要临床结局指标改善情况

接受去铁酮 (DFP) 治疗或接受去铁酮-去铁胺 (DFP-DFO) 整合治疗的患者，主要由于心脏损害导致的死亡率降低或完全消失。

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

Modell_2008.pdf

试验类型9	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺； 地拉罗司
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	全球心脏的改善与去铁酮组相比，地拉罗司组的T2*显着降低，去铁酮组的LVEF改善明显更高和去铁胺组比地拉罗司组和与去铁酮相比，RVEF的改善明显更高在地拉罗司组中，地拉罗司单一疗法的疗效低于去铁酮改善心肌铁质沉着和双心室功能效果较差改善 LVEF 的效果优于去铁胺。
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 Pepe_2018_merged.pdf
试验类型10	无对照病例研究
试验对照药品	-
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	自 2000 年以来，各年龄段患者的生存率都有了显着提高，这可能归功于酮加胺联合整合疗法的引入。
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 Telfer_2006.pdf
试验类型1	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在这个每周监测血细胞计数、粒细胞缺乏症发生率的多中心试验为每100名患者年0.58例，1次治疗后粒细胞缺乏症的频率年为0.5%。使用本试验中的仔细监测系统，支持去铁酮制剂的安全性。
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 Cohen_1999_merged_1.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	不适用
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	中国暨南大学夏苏建教授团队纳入16项随机对照试验开展荟萃分析，比较三种去铁药物、联用治疗的有效性和安全性。• 评估治疗药物对心脏铁沉积获益及左心室射血分数获益时，累计7篇RCT文献报告单用去铁酮或去铁酮联用方案对患者的改善显著优于去铁胺单药方案。根据荟萃分析，去铁酮在心脏铁沉积及左心室射血分数改善方面显著由于去铁胺
试验数据结果证明文件，外文资料	↓ 下载文件 Meta_analysis.pdf

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3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	这些发现表明去铁酮在治疗重型地中海贫血方面可能与去铁胺一样有效,但很少出现轻度和可逆性副作用。
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 Maggio_2002_merged.pdf
试验类型4	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	在本一年多的研究中, 對於改善重型地中海贫血之无症状心肌铁质沉着症, 去铁酮单一疗法明显更有效比去铁胺更有效。
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 Pennell_2006_merged.pdf
试验类型5	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	52宗心脏事件, 其中10宗心脏死亡, 乃去铁胺治疗期间发生的死亡。相反, 去铁酮治疗期间或至少结束后18个月没有发生任何心脏事件。在此自然历史研究设置中, 去铁酮治疗重型地中海贫血患者与显着相关比去铁胺有更强的心脏保护作用。
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 Borgna_Pignatti_2006_merged_highlight.pdf
试验类型6	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺; 地拉罗司
试验阶段	上市后



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

对主要临床结局指标改善情况	去铁酮组的总体心脏T2*值(34±11ms)显着高于对照组的去铁酮(21±12ms)和去铁胺(27±11 ms) (P=0.0001)。我们发现去铁酮和去铁胺的左心室射血分数比去铁酮组更高(P=0.010)。口服去铁酮治疗的患者队列显示心肌铁负荷较低,并且与口服去铁酮或皮下注射去铁胺治疗的患者相比,整体心室收缩功能更好。
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 Pepe_2011_merged.pdf
试验类型7	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	我们的研究表明,长期服用去铁酮可显着增强左心室收缩功能。与去铁胺治疗相比,随时间推移的功能,然而,由于相关限制根据本研究的设计,这些发现应在前瞻性、随机临床试验中得到证实。
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 Filosa_2013_merged.pdf
试验类型8	无对照病例研究
试验对照药品	不适用
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	接受去铁酮 (DFP) 治疗或接受去铁酮-去铁胺 (DFP-DFO) 整合治疗的患者,主要由于心脏损害导致的死亡率降低或完全消失。
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 Modell_2008.pdf
试验类型9	非RCT队列研究
试验对照药品	去铁胺; 地拉罗司
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	全球心脏的改善与去铁酮组相比,地拉罗司组的T2*显着降低,去铁酮组的LVEF改善明显更高和去铁胺组比地拉罗司组和与去铁酮相比,RVEF的改善明显更高在地拉罗司组中,地拉罗司单一疗法的疗效低于去铁酮改善心肌铁质沉着和双心室功能效果较差改善LVEF的效果优于去铁胺。
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 Pepe_2018_merged.pdf

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	无对照病例研究
试验对照药品	-
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	自2000年以来,各年龄段患者的生存率都有了显着提高,这可能归功于酮加胺联合螯合疗法的引入。
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 Telfer_2006.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	在1960年代引入螯合之前,接受定期输血的地贫患者死亡人数最常见的原因是心衰。去铁胺铁螯合时代,死亡率大大推迟,但心脏病死亡率铁超负荷仍然是死亡原因的主导因素,占案例的70%。(p283)心肌铁沉积也与右心室RV功能障碍密切相关,反映了心脏恶化所见的左心室功能下降铁负荷和减少T2*。(p286)螯合剂例如去铁酮具有更好的细胞内通透性,肝脏铁含量高时,似乎具有优越的心脏铁清除率。(p293)
----------------	--

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 AHA2013.pdf
---	------------------------------------

临床指南/诊疗规范推荐情况2	去铁酮DFP是口服铁螯合剂,代谢半衰期为3~4h,主要经尿液排出。DFP能够穿透细胞膜,加速细胞内铁的螯合,有效去除心脏铁沉积,改善心功能,预防铁过载相关心脏病。DFP分子量小,能够进入细胞,在螯合细胞内铁后被转移到血浆中。由于其与铁的结合力低于DFO,其螯合的铁移交给DFO,未结合的DFP重新进入细胞与更多的铁结合(“穿梭假说”),有利于快速降低心脏铁负荷
----------------	--

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 2025_China_TDT_Guideline.pdf
---	---

临床指南/诊疗规范推荐情况3	重型β-地中海贫血合并急性心力衰竭患儿建议联合高剂量连续静脉滴注去铁胺DFO和口服去铁酮DFP治疗。DFO+DFP联合补救治疗:如DFO、DFP或DFX单药治疗:没有改善趋势,则应考虑DFP+DFO联合治疗。
----------------	--

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	↓ 下载文件 2023地贫治疗指南.pdf
---	---------------------------------------

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4

去铁胺和去铁酮的联合治疗是最好的治疗方法, 强化螯合治疗患有心脏铁超负荷的重型地中海贫血患者, 或无明显的心脏功能障碍或心力衰竭(B)(p120) 通过特别加强的联合螯合使全身铁负荷正常化(去铁胺加去铁酮) 可逆转重型地贫的心脏和内分泌并发症 (证据B)(p157)

↓ 下载文件

TIF_2021_Guidelines_TDT_p1to210_merged_with_highlight.pdf

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)

临床指南/诊疗规范推荐情况5

去铁酮具有口服活性, 并以 3:1 的药物: 铁络合物形式螯合铁。对铁的亲和力为与 DFO 和 DFX 相比相对较低。DFP 是一种不带电的小分子, 可以穿过容易进入细胞膜, 表明适合作为细胞内螯合剂。(p58) 患有室性心律失常或临床心力衰竭的患者必须住院治疗, 没有任何禁忌症时, 开始连续静脉注射去铁胺 50-60 mg/kg/天, 同时口服去铁酮 100 mg/kg/天, 分三次尽快引入。(p94)

↓ 下载文件

UKTS_2016.pdf

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)



临床指南/诊疗规范推荐情况1

在1960年代引入螯合之前, 接受定期输血的地贫患者死亡人数最常见的原因是心衰。去铁胺铁螯合时代, 死亡率大大推迟, 但心脏病死亡率铁超负荷仍然是死亡原因的主导因素, 占案例的70%。(p283) 心肌铁沉积也与右心室RV功能障碍密切相关, 反映了心脏恶化所见的左心室功能下降铁负荷和减少T2*。(p286) 螯合剂例如去铁酮具有更好的细胞内通透性, 肝脏铁含量高时, 似乎具有优越的心脏铁清除率。(p293)

↓ 下载文件

AHA2013.pdf

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)

临床指南/诊疗规范推荐情况2

去铁酮DFP是口服铁螯合剂, 代谢半衰期为3~4 h, 主要经尿液排出。DFP能够穿透细胞膜, 加速细胞内铁的螯合, 有效去除心脏铁沉积, 改善心功能, 预防铁过载相关心脏病 DFP分子量小, 能够进入细胞, 在螯合细胞内铁后被转移到血浆中。由于其与铁的结合力低于DFO, 其螯合的铁移交给DFO, 未结合的DFP重新进入细胞与更多的铁结合(“穿梭假说”), 有利于快速降低心脏铁负荷

↓ 下载文件

2025_China_TDT_Guideline.pdf

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)

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	<p>重型β-地中海贫血合并急性心力衰竭患儿建议联合高剂量连续静脉滴注去铁胺DFO和口服去铁酮DFP治疗 DFO+DFP联合补救治疗: 如DFO、DFP或DFX单药治疗: 没有改善趋势, 则应考虑DFP+DFO联合治疗。</p>
<p>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)</p>	<p>↓ 下载文件 2023地贫治疗指南.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况4	<p>去铁胺和去铁酮的联合治疗是最好的治疗方法, 强化螯合治疗患有心脏铁超负荷的重型地中海贫血患者, 或无明显的心脏功能障碍或心力衰竭(B)(p120)通过特别加强的联合螯合使全身铁负荷正常化(去铁胺加去铁酮)可逆转重型地贫的心脏和内分泌并发症(证据B)(p157)</p>
<p>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)</p>	<p>↓ 下载文件 TIF_2021_Guidelines_TDT_p1to210_merged_with_highlight.pdf</p>
临床指南/诊疗规范推荐情况5	<p>去铁酮具有口服活性, 并以 3:1 的 药物: 铁络合物形式螯合铁。对铁的亲和力为与DFO 和 DFX 相比相对较低。DFP 是一种不带电的小分子, 可以穿过容易进入细胞膜, 表明适合作为细胞内螯合剂。(p58) 患有室性心律失常或临床心力衰竭的患者必须住院治疗, 没有任何禁忌症时, 开始连续静脉注射去铁胺 50-60 mg/kg/天, 同时口服去铁酮 100 mg/kg/天, 分三次尽快引入。(p94)</p>
<p>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)</p>	<p>↓ 下载文件 UKTS_2016.pdf</p>
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》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》原文(可节选)	-

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	常见反应是淡红色/棕色尿(表示尿排铁量增,没坏影响)·一般不良反应:恶心,呕吐,腹痛和食欲增强,关节症状·谷丙转氨酶(ALT)增高·嗜中性白细胞减少症(嗜中性粒细胞 $<1.5 \times 10^9/l$),出现的患者百分比为6.5%·粒细胞缺乏症(嗜中性粒细胞 $<0.5 \times 10^9/l$),出现的患者百分比为1.2%
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	真实世界使用经验超过20年,去铁酮治疗的获益和风险特征已得到充分了解。·药品上市21年来,未有国家和地区的监管部门、数据安全性监察委员会、伦理委员会和上市许可证持有者(MAH)未因下述安全性原因而采取任何措施;·去铁酮重要已知的风险包括粒细胞缺乏症、中性粒细胞减少症、妊娠期用药、关节病(包括关节痛)、肝功能检查值升高、皮肤病和过敏反应。去铁酮治疗的获益和风险特征已得到充分了解。特殊人群使用去铁酮片未出现新的安全性问题;·21年内未收到国内外药监部门发布的安全性警告,黑框警告、撤市信息等;·中国真实世界使用经验中部分患者足量使用去铁酮时长达2-3年,去铁效果良好,不良反应事件与说明书所载一致,未观察到新的安全性信号,不良反应发生率低。
相关报导文献	↓ 下载文件 PSUR_29_Consolidated.pdf

四、创新性信息

创新程度	1.低分子量及高膜渗透能力,穿校效应的协同 2.去铁酮可快速清除体内的铁单转铁蛋白结合铁 3.改善心挂线粒体功能,去铁酮对地中海贫血患者心脏还有内分泌功能的卓越作用的关键
创新性证明文件	↓ 下载文件 Hider_all_three_articles_translated_re_merged.pdf
应用创新	1.满足心铁高患者的治疗需求,高效,减少感染,降低住院成本 2.满足患者等同时服用多种药物的治疗需求,提高患者依从性,服用更加便捷 3.满足肾功能不全患者的治疗需求,更加安全
应用创新证明文件	↓ 下载文件 Hider_all_three_articles_translated_re_merged.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描述	地中海贫血(重型)纳入国家《第二批罕见病目录》,编号78。中国约1.5万重型地中海贫血患者,长期输血导致铁过载,需要去铁治疗,不规范治疗严重影响患者生长发育,危机生命。1.5万重型地中海贫血患者中,疾病多起病于1岁以内,20岁以下发病占比97%,疾病严重影响儿童健康成长。
符合“保基本”原则描述	去铁酮已于2023年纳入世界卫生组织(WHO)基本药物目录及基本儿童药物目录(EML & EMLc),得到WHO及专家评估,确认其保基本定位。由于去铁酮未纳入医保目录,首选的联用方案未得到恰当保障,患者可能因此无法得到充分的去铁治疗。
弥补目录短板描述	与去铁胺相比:去铁酮片可以提供更好的心脏保护,减少心衰后遗症;去铁酮片可以进行联合治疗以产生强化螯合-穿梭效应;去铁酮片与注射剂型相比,去铁酮片可以提高依从性;去铁酮片无需根据肝肾功能调整剂量,安全性佳;去铁酮片不受饮食影响,无临床意义的药物间相互作用;更便捷灵活的患者管理方式
临床管理难度描述	去铁酮片的适应症诊断表述清晰,限制要求明确,地中海贫血多个省份卫健委、医保局已开展病例登记工作。医保经办审核方便;基金影响小且可控。患者居家治疗,口服片剂。无需一周5天,一天8-12小时在医院接受注射治疗,便捷性佳,节省医疗资源。患者优先单药治疗。患者首选换用去铁酮片,节省医保基金。临床使用有明确使用条件、使用次数、监测等要求,滥用风险极小;整体而言临床管理难度小。