



注射用伏尼凝血素 α (维因止[®])

申报目录：基本医保目录

全球首个且唯一的重组纯
化血管性血友病因子

罕见病药物

填补医保目录空白

武田（中国）国际贸易有限公司

目录

1. 临床未满足需求

血管性血友病Ⅲ型是**第二批罕见病目录病种之一**
VWD大出血患者现无高效治疗方案，难以有效止血，存在致死风险

2. 药品信息

国内唯一获批VWD针对性治疗药物；
参照药：无

3. 创新性

全球首个且唯一重组纯化VWF；全球唯一含超大多聚体药物；被纳入中国优先审评审批

4. 有效性

高效100%、快速止血

5. 安全性

免疫原性低，抑制物风险低；无凝血因子Ⅳ蓄积、无血源感染风险

6. 公平性

满足VWD患者大出血急迫治疗需求；精准治疗VWD，节约不必要医疗支出，减少医保基金浪费

伏尼凝血素α是全球首个且唯一的重组纯化VWF，是国内唯一获批VWD针对性治疗药物，建议无参照药品

药物基本信息

通用名	注射用伏尼凝血素α		
说明书适应症	本品适用于诊断为血管性血友病（VWD）的 成人患者 （年龄为18岁及以上）： <ul style="list-style-type: none"> • 按需治疗和出血事件的控制； • 围手术期出血管理。 		
用法用量	给药剂量和频率需根据临床判断并基于患者体重、出血事件严重程度/手术干预等多因素个体化制定		
大陆地区同通用名药品上市情况	无	核心专利权期限届满日	2032年6月11日
注册分类	治疗用生物制品3.1	注册规格	1300 IU/瓶（主规格） ；650 IU/瓶 （本品用于成人患者，患者体重大，预计1300 IU/瓶为临床应用主要规格）
剂型	注射剂		
中国大陆首次上市时间	2024年7月	全球首个上市国家及时间	美国，2015年12月

建议无参照药品

目录空白

国内唯一获批VWD针对性治疗药物。尤其针对**大出血**，是国内截至目前唯一*获批治疗药物

机制创新

全球首个且唯一*重组血管性血友病因子（VWF），全球唯一含超大多聚体药物

单臂试验上市

上市注册临床研究为单臂试验，**无对照药物**

* 截至2025年7月
VWF, von Willebrand factor, 血管性血友病因子

血管性血友病（VWD）Ⅲ型是第二批罕见病目录病种之一，患者关键部位出血存在致死风险；国内确诊患者不到600人，人均出血次数不足1次/年

VWD为遗传性出血性疾病，患者关键部位出血，存在致死风险

- VWD为血管性血友病因子（VWF）基因突变导致患者体内VWF数量减少或质量异常的罕见遗传性出血性疾病¹
- **致死**：患者发生胃肠道、中枢神经系统等内脏部位出血有**致死风险**²；因创伤及**女性产后出血**，可能出血不止，进展为**休克乃至死亡**³
- **致残**：关节出血可能致患者关节受损，存在**致残风险**⁴

需补充VWF治疗的患者极为罕见

- 截至2022年，已诊断的注册登记中国VWD患者**不到600人**⁵
- 已被纳入**国内第二批罕见病目录病种**⁶
- 获**美国孤儿药资格认定**⁷

VWD患者年人均出血次数不到1次

- 多个国家全国注册登记研究中，患者年出血次数显示：**瑞典0.06次**⁸、**丹麦0.07次**⁹、**意大利0.39次**¹⁰、**美国0.11次**¹¹

当前缺乏VWD标准治疗方案，患者大出血管理存在巨大未满足需求



现有治疗方法

国内无其他VWD针对性治疗药物获批，指南推荐大出血治疗方法包括**输注冷沉淀/新鲜血浆**，或者使用**血源性VWF制剂**

大出血治疗方案

冷沉淀、新鲜血浆

血源性含VWF的FVIII浓缩制剂

血源性VWF制剂

非药物治疗¹⁻¹¹

- 疗效不确切
- 存在安全风险
- 可及性低

均未在我国上市



存在极大未满足治疗需求

血浆及其他血液制品等非药物治疗存在较大局限性

止血效果差

- 缺乏超大多聚体VWF，难以有效止血
- **止血时间长**，需连续治疗数天-2周不等⁴⁻¹¹

感染风险高

- 有外源因子/血源性病原体传播风险，如**艾滋病、梅毒、丙型肝炎**等输血传播疾病¹²

可及性差

- 资源有限，可得性受限¹
- **管理困难，患者多次输注**，用药不便

资料来源：

1.杜晞,马莉,王宗奎,等[J].中国输血杂志,2021,34(6):574-578.
 2.张学俊,叶生亮,杜晞,等.中国市场人凝血因子VIII质量分析[J].中国输血杂志,2012,25(10):978-981.
 3. 杜晞,马莉,王宗奎,等, [J].中国输血杂志,2021,34(6):574-578.
 4.Haemophilia. 2023 Jan;29(1):230-239. doi: 10.1111/hae.14671.
 5.李敏,卞美璐,马一盖.血管性血友病反复黄体破裂一例[J].中华妇产科杂志,2007,42(03):216.

6.周琳,邵小宝.临床检验杂志2020年10月第38卷第10期
 7.J Thromb Haemost. 2007 Jun;5(6):1115-24.
 8.Turecek PL, et al. Hamostaseologie. 2009;29(Suppl 1):S32-S38.
 9. Kragh T, et al. . Thromb Res. 2014;133(6):1079-1087.
 10.Marcus Stocksclaeder et al. Blood Coagul Fibrinolysis . 2014 Apr;25(3):206-16.

11. Frank W G Leebeek et al. N Engl J Med . 2016 Nov 24;375(21):2067-2080.
 12. Yang W, et al. Haemophilia. 2023 Jan;29(1):230-239.

伏尼凝血素α可精准补充VWF，具有全新作用机制及显著临床获益



等级评价建议：突破创新

新分子

全球首个且唯一¹高浓度纯化VWF

新机制

国内唯一¹获批VWD针对性治疗药物

新结构

全球首个且唯一含VWF超大多聚体药物²

新应用

半衰期长达22.6小时，出血治疗一般输注次数仅1次²，提高出血管理效率

VWF补充剂量精确，疗效确切；精准治疗VWD，临床滥用风险低；安全性佳

高效100%、快速止血



获国内外创新认证



优先审评资格³



孤儿药资格⁴

伏尼凝血素α可实现高效100%、快速止血，临床获益显著

 **治疗目标：**通过增加VWF来改善血小板粘附和聚集，在出血发生时迅速止血，避免失血性休克或器官损伤¹

伏尼凝血素α

高效100%止血

精准补充VWF，**重度VWD患者**按需治疗²及围手术期治疗³**总体止血疗效为100%**

快速止血

输注**15分钟后**，超大型VWF多聚体水平**从0增加至30%**²

1次输注

半衰期长达**22.6小时**²，所有出血事件中位输注次数仅**1次**²

血浆及其他血液制品

- VWF含量**不确定**，无法精确补充VWF⁴
- 缺乏超大多聚体VWF，**难以有效止血**

止血时间长，**需连续治疗数天-2周不等**^{5,6}

半衰期短（**9.9-12小时**^{7,8}），**需频繁输注来维持有效止血水平**^{9,10}

重度VWD患者：1型患者VWF:Rco < 20 IU/dl, 2A型：VWF:RCo < 20 IU/dL; 2B或2M型；2N型：FVIII:C < 10 IU/dL且有明确遗传史；3型：VWF:Ag ≤ 3 IU/dL

按需治疗成功：定义为在试验期间接受本品治疗（给予或未给予百因止）的受试者中，所有出血事件的平均疗效评分小于2.5

围手术期总体止血疗效：基于估计的预期失血量与实际失血量的比较结果、输血需求和术后出血和渗血情况，使用4分顺序疗效量表在围手术期本品末次输注后24小时或研究访视完成时（以先发生者为准）评估。如果评定为“极好”或“良好”，则为治疗成功

伏尼凝血素 α 获得国内外权威指南共识推荐

国际、国内权威指南推荐

指南名称	推荐
《美国血液学会 (ASH)、国际血栓和止血学会 (ISTH)、国家血友病基金会 (NHF)、世界血友病联合会 (WFH) 血管性血友病管理指南 (2021版) 》 ¹	
《血管性血友病诊断与治疗中国指南 (2022 年版) 》 ²	

国家药监局药品审评中心《技术审评报告》³

- 中国**缺少针对VWD的高纯度VWF浓缩物**，多数患者因为出血无法得到良好控制，生活、学习和工作受到严重影响，**对高纯度的VWF产品存在迫切的临床需求**
- 注射用伏尼凝血素 α 是**首个也是目前唯一的重组VWF产品**；**治疗血管性血友病的机制明确**

伏尼凝血素α安全性良好，免疫原性低，无凝血因子Ⅷ蓄积的血栓风险，无血源感染风险

安全性良好，不良反应发生率低

说明书收载安全性¹

- **不良反应发生率低**，不良反应包括头晕、呕吐等

不良反应	发生率*
头痛	0.762%
呕吐	0.169%
眩晕/恶心	0.127%
其他	均小于0.127%

三期临床试验安全性^{2,3}

- **免疫原性低**，无中和抗体产生，**抑制物风险低**
- **无凝血因子Ⅷ蓄积的血栓风险**

上市后不良反应监测

- 已在中国、美国、欧盟、英国、瑞士、加拿大、日本等地获批
- 2015年首次上市以来，各国家或地区药监部门均**未发布任何黑框警告**，无因安全性问题导致的撤市信息等

与现有治疗方法相比，无血源感染风险

伏尼凝血素α

- 全球首个且唯一的**重组纯化VWF**
- **无血源感染风险^{2,3}**

血浆及其他血液制品

- **有外源因子/血源性病原体传播风险**，包括**艾滋病、梅毒、丙型肝炎**等输血传播疾病
- 需重复输注，增加FVIII蓄积风险，导致**血栓事件发生**

*按输注列出的频率=不良事件总数（相关和不相关）除以输注总数（N）并乘以100

资料来源：1. 注射用伏尼凝血素α说明书；2. Gill JC. et al. Blood. 2015;126(17):2038–2046；3. Peyvandi F et al. J Thromb Haemost. 2019 Jan;17(1):52–62；4. Data on file. PERIODIC BENEFIT-RISK EVALUATION REPORT For Recombinant von Willebrand factor (rVWF), vonicog alfa

伏尼凝血素 α 满足了患者大出血急迫治疗需求，极具患者价值和社会价值，对医保基金影响有限

填补目录空白

- 具有独特临床价值，可满足VWD患者，尤其发生**大出血**时对**有效治疗方案**的迫切需求
- 稳定供应、使用便利，可高效应对VWD患者**急诊、手术急性出血**的临床治疗需求
- **国内唯一**获批VWD适应症的**针对性治疗药物**，填补医保目录空白

适应症明确，临床管理难度低

- 伏尼凝血素 α 为纯化VWF，**精准治疗VWD**，**不适用于其他血友病**
- 伏尼凝血素 α 适应症为VWD按需或围手术治疗，**临床滥用风险低**

基金影响小，符合“保基本”原则

- 目前国内注册登记VWD患者不到600人²，使用人数及临床应用场景有限
- 本品的使用可**规范VWD患者诊疗**，节约血液制品、住院等不必要医疗成本支出，**医保基金影响小**

罕见疾病，促进社会公平

- VWD III型为第二批**罕见病目录病种之一**⁴
- 伏尼凝血素 α 为罕见病VWD患者提供**安全高效精准治疗方案**

建议伏尼凝血素 α 无参照药品，医保价值评级为突破型

建议无参照药品

目录空白

国内唯一获批VWD针对性治疗药物。尤其针对大出血，是国内截至目前唯一*获批治疗药物

机制创新

全球首个且唯一*重组血管性血友病因子 (VWF)，全球唯一含超大多聚体药物

单臂试验上市

上市注册临床研究为单臂试验，无对照药物

建议为突破型创新

- **新分子：**全球首个且唯一的重组纯化VWF，精准治疗VWD，节约不必要医疗支出，减少医保基金浪费
- **新机制：**国内唯一获批VWD患者的针对性治疗药物，被纳入优先审评审批
- **新结构：**含超大多聚体，止血活性强，高效100%、快速止血
- **新应用：**半衰期长达22.6小时，出血治疗一般输注次数仅1次，提高出血管理效率