

注射用培妥罗凝血素 α

(商品名：诺易特®)

国内首个且唯一*长效
凝血因子VIII，因具有明显
临床价值纳入优先审评

罕见病用药¹
鼓励研发儿童药品²

减少50%-71%静脉穿刺注射
优化儿童血友病A治疗方案

*国内唯一：统计截至2025年6月30日 1. 《第一批罕见病目录》 2. 《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》

诺和诺德（中国）制药有限公司

目录

基本信息

1

- 国内首个且唯一*长效凝血因子Ⅷ，减少50%-71%静脉穿刺注射，提升儿童用药依从性

安全性

2

- 中国人群数据无血栓栓塞事件、无抑制物产生、且无过敏反应，安全性高¹

有效性

3

- 预防治疗中位年化出血率降至0次¹
- 按需治疗及围手术期，止血成功率分别高达94.8%和95.9%^{1,2}

创新性

4

- 罕见病用药³，鼓励研发儿童药品⁴，获得优先审评，创新价值显著

公平性

5

- 本品纳入目录可为儿童血友病A患者提供更优治疗选择，优化目录内治疗方案，并有助节省医保基金

国内首个且唯一*长效凝血因子Ⅷ，儿童罕见病用药，因具有明显临床价值获得优先审评

培妥罗凝血素α

- 国内首个长效凝血因子Ⅷ，快速达峰*，作用时间更长，半衰期为标准半衰期凝血因子Ⅷ的1.6倍¹
- 纳入《**第四批鼓励研发申报儿童药品清单**》²
- 因**具有明显临床价值**，获得了药品审评中心***优先审评**³⁻⁴
- 全新凝血因子分子结构，具有**中国化合物专利**⁵⁻⁶
- 本品适应症所属的血友病已纳入《**第一批罕见病目录**》⁷

【说明书适应症⁸】适用12岁及以上血友病A (先天性凝血因子Ⅷ缺乏)患者

- 按需治疗及控制出血事件
- 围手术期管理
- 常规预防治疗以防止或减少出血事件的发生
- 本品不适用于治疗血管性血友病 (von Willebrand disease, vWD)

【用法用量⁸】仅用于复溶后静脉输注。

- 按需治疗及控制出血事件**：应根据个体对本品治疗效果指导给药剂量和频率。
- 围手术期管理**：手术的给药剂量和给药间隔取决于手术操作和当地实践。给药频率和治疗持续时间应始终根据个体临床反应进行个体化调整。应考虑将凝血因子Ⅷ活性水平维持在等于或高于给药指导所描述的水平
- 常规预防治疗**：推荐起始剂量是50IU/kg，每4天一次。可针对个体对本品治疗的临床效果调整治疗方案，根据出血事件增加或降低给药频率。

备注：全球3期临床⁹给药方案包括

- 每4天一次，50IU/kg/次
- 每7天一次，75IU/kg/次

【注册规格】

1000IU/支 (主规格)
500IU/支，1500IU/支，2000IU/支⁸

【是否为OTC药品】否

【中国大陆首次上市时间】

2024年6月28日⁸

【全球首个上市国家及时间】

美国，2019年2月19日

【参照药建议】

重组人凝血因子Ⅷ

【申报目录类别】

基本医保目录

*国内唯一：统计截至2025年6月30日 快速达峰：静脉注射，30分钟内血浆FⅧ活性达峰

药品审评中心：即国家药品监督管理局药品审评中心

1. Tiede A et al. J Thromb Haemost 2013;11:670-8.

2. 《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》

3.

国家药品监督管理局药品审评中心官网，信息公开中的优先审评公示<https://www.cde.org.cn/main/xxgk/listpage/369ac7cfeb67c6000c33f85e6f374044>

4. 国家药监局关于发布《突破性治疗药物审评工作程序（试行）》等三个文件的公告（2020年第82号）

5. 中国发明专利（专

利号200980106738.3）

6. 中国发明专利（专利号201310180825.1）

7. 《第一批罕见病目录》

8. 注射用培妥罗凝血素α说明书（2025年5月14日版）

9. Giangrande P et al. J Thromb Haemost. 2020; 18(Suppl. 1): 5- 14.

我国儿童血友病A患者平均年化出血33次，70%的患者在成年后存在关节残疾；培妥罗凝血素α将为儿童血友病A患者带来治疗新希望

疾病情况

- 1) 血友病是一种罕见遗传性疾病¹，已纳入《第一批罕见病目录》²。
- 2) 中国血友病患病率为2.73/10万，其中血友病A占80%-85%¹，中国登记人数为27689人⁵。
- 3) 临床表现为全身各部位的自发性出血，会伴有剧烈疼痛³，**严重时危及患者生命¹**。出血时需外源补充凝血因子及时止血治疗(按需治疗)，但按需治疗无法减少出血的频次，无法阻止关节病变的发生及发展。
- 4) 反复关节出血可导致关节活动障碍而致残，并给血友病患者带来极大痛苦，国内外指南均推荐规律性外源补充凝血因子(预防治疗)，以防止出血和致残，并建议根据个体情况调整凝血因子Ⅷ目标谷值至3%或更高^{1,4}。

我国治疗现状

- 1) 由于目前治疗不足，真实世界研究显示我国儿童患者**平均年化出血33次⁶**，给患者造成极大痛苦和治疗负担。
- 2) 我国儿童预防治疗率仅约46%⁶，远低于主流OECD国家儿童96%⁵。
- 3) 由于未及时有效止血和给予预防治疗，我国血友病A患者的**残疾率高：儿童规范化预防治疗不足⁷，70%的患者在成年后存在关节残疾⁸**。
- 4) 凝血因子需**静脉穿刺输注**，频繁输注患者**痛苦大**，调查显示，**超过50%患者期待长效凝血因子降低注射次数⁹**。

1. 杨仁池主编. 中国血友病管理指南(2024版). 中国协和医科大学出版社. 2. 《第一批罕见病目录》 3. 赵华 等. 血友病患者慢性疼痛的自我管理与同伴教育[J]. 中华现代护理杂志, 2015, 21(7): 860-862. 4. Srivastava A, et al. Haemophilia. 2020; 26 Suppl 6: 1-158.
5. World Federation of Hemophilia. World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2022. 2023 6. Zhang L, et al. Patient Prefer Adherence. 2024 Jan 13; 18: 101-109. 7. Song X, et al. Adv Ther. Published online June 4, 2025.
8. 林艾灵, 等. 成人血友病A患者预防治疗的多维度价值综述 [J]. 中国卫生经济, 2023, 42 (04): 61-64. 9. von Mackensen S, et al. Haemophilia. 2017; 23(4): 566-574

中国人群数据无血栓栓塞事件、无抑制物产生、且无过敏反应，安全性高

说明书不良反应¹

- **常见不良反应：**皮疹、红斑、瘙痒、注射部位反应、血管穿刺部位血肿、输液部位反应、注射部位红斑、注射部位皮疹、血管穿刺部位疼痛和注射部位肿胀。
- **凝血因子Ⅷ抑制物：**接受凝血因子Ⅷ（包括本品）治疗的血友病A患者可能会形成中和性抗体（抑制物）。在经治疗患者中为偶见，在未经治疗患者中为十分常见。

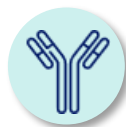
国内外安全性信息

- 中国、美国及欧盟说明书中均无黑框警告，也未收到美国、欧盟药监部门发布的安全性警告。
- 在全球范围内，自2019年6月1日至2025年5月1日收到的本品所有上市后来源报告，大多数不良反应≤3起。

中国3期临床试验²



无血栓栓塞事件



无抑制物产生



无过敏反应

1. 《注射用培妥罗凝血素α说明书（2025年5月14日版）》

2. Jing Sun, et al. PO0128, EAHAD 2024.

快速达峰、作用时间更长，中国人群中位年化出血率为0，助力患者强效止血和持久保护

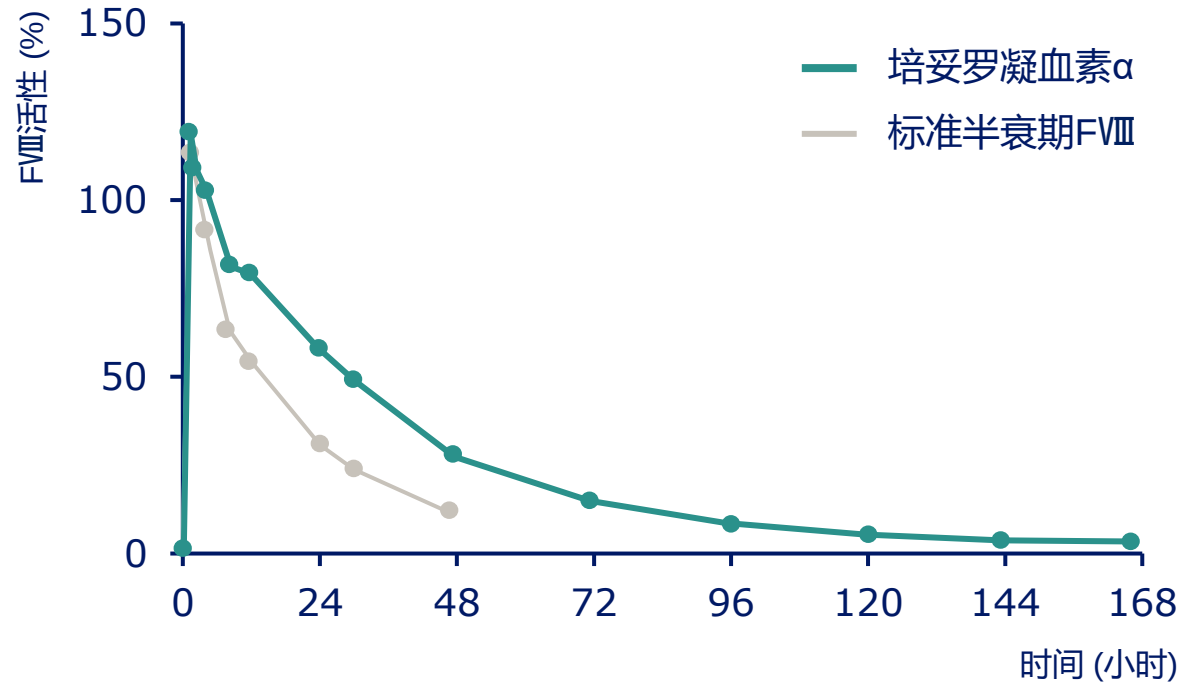
快速达峰^{*}，作用时间更长^{*}

- ✓ **快速达峰^{*,1-2}**，助力快速强效止血。
 - 中国人群止血成功率为**94.8%**³
- ✓ **作用时间更长^{*,1}**，长时间维持较高的凝血因子VIII水平²，助力持久保护。
 - 中国人群中位年化出血率为**0**，
零出血患者比例**69.4%**³

*快速达峰：静脉注射，30分钟内血浆FVIII活性达峰

作用时间更长：半衰期为标准半衰期凝血因子VIII的1.6倍

凝血因子VIII活性曲线



注：标准半衰期FVIII (既往产品)：采用市售血浆校准品的发色底物法；培妥罗凝血素α：产品特定标准品的发色底物法。

1. Tiede A et al. J Thromb Haemost 2013;11:670-8. .

2. Chowdary P et al. Res Pract Thromb Haemost. 2019;3:542-554.

3. Jing Sun, et al. PO0128, EAHAD 2024.

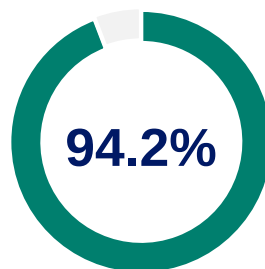
按需治疗、围手术期管理 实现出血和围手术期患者高效安全止血

按需治疗及控制出血事件¹

➤ 止血成功率为**94.8%**



➤ **绝大多数患者 (94.2%)**
仅需1~2次注射



➤ 安全性高



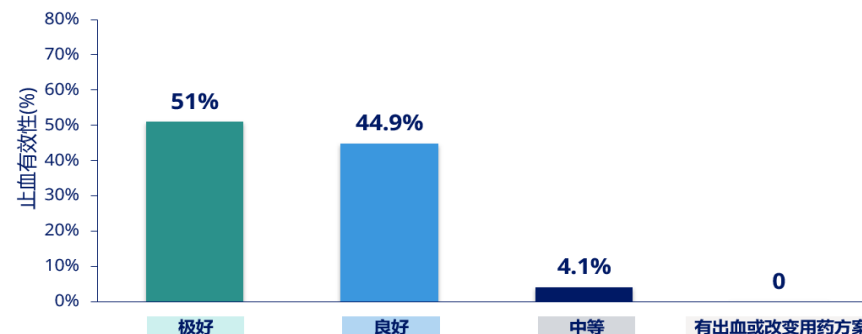
无血栓栓塞事件



无抑制物产生

围手术期管理²

➤ 所有大手术(**100%**)均按照方案使用本品顺利进行, 其中
95.9%达到**极好和良好**止血效果,
51%止血效果评估为**极好**, **优于手术预期**



➤ 安全性高



没有症状性
血栓栓塞事件



无抑制物产生

围手术期管理研究结果- 极好 (51%): 优于对该类型手术的预期; 良好 (44.9%): 符合对该类型手术的预期; 中等 (4.1%): 未改变治疗方案的情况下可达到止血效果, 但劣于对该类型手术预期

1. Jing Sun, et al. PO0128, EAHAD 2024.

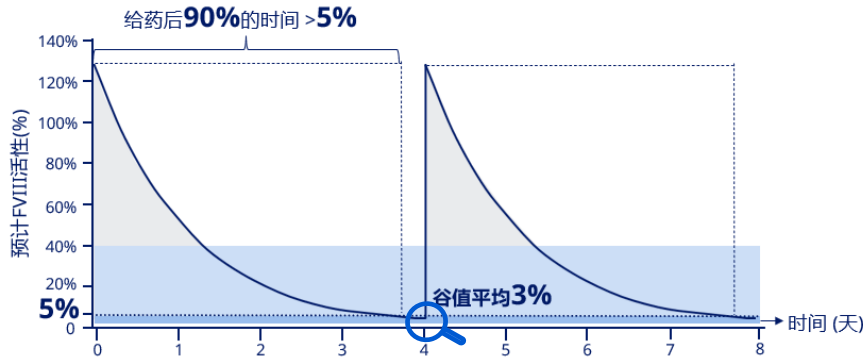
2. Tosetto A, et al. Haemophilia. 2020; 26: 450–458

预防治疗以防止出血

持久维持高谷值，降低出血率，实现指南推荐治疗目标

培妥罗凝血素α助力更高谷值和更好保护

- 改善谷值 (FVIII水平最低点)平均至**3%**¹，实现指南推荐治疗目标²⁻³
- 将FVIII水平在**90%的时间**保持在 **> 5%**，有效降低出血风险¹



国内外指南均强调了长效凝血因子的优势

《2020年世界血友病联盟指南》 & 《中国血友病管理指南（2024版）》



- ✓ **建议**根据个体情况调整凝血因子VIII目标谷值至**3%或更高**
- ✓ **“长效凝血因子”**，通常可降低患者注射次数，同时可维持更高谷值，降低出血率

提高谷值，可大幅降低出血风险

- 谷值为FVIII水平的最低点，此时出血风险高²。患者FVIII水平<1%，为**重型血友病A**，临床表现为肌肉关节**自发性出血**²
- **北京儿童医院真实世界研究表明，谷值提高到3%~5%，大幅降低年化出血率，提高零出血患者比例**⁴
(本研究纳入的患者为接受预防治疗的重型血友病A患者)

FVIII谷值	平均年化出血率	零出血患者比例
< 1%	7.25	25%
1%~3%	2.88	44%
3%~5%	1.3	60%

1. Chowdary P et al. Res Pract Thromb Haemost. 2019;3:542-554.

2. 杨仁池主编. 中国血友病管理指南(2024版).中国协和医科大学出版社.

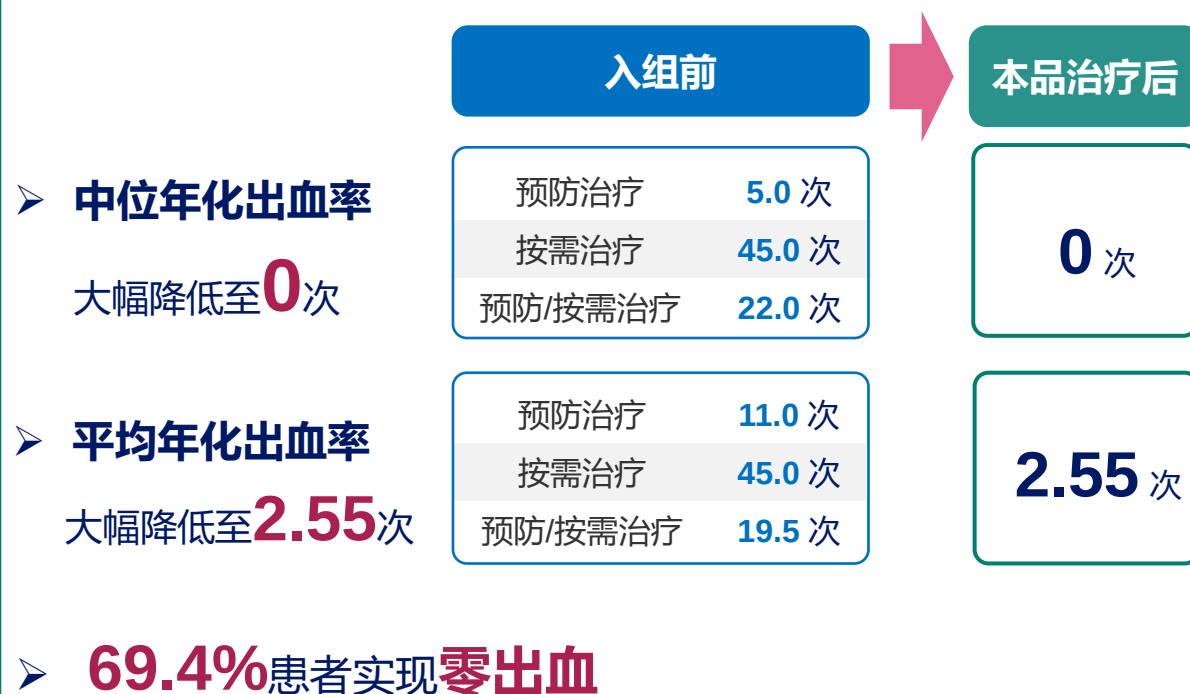
3. Srivastava A, et al. Haemophilia. 2020;26 Suppl 6:1-158.

4. Huang K, et al. Thromb Res. 2022;213:71-77

预防治疗以防止出血

大幅降低年化出血率，助力血友病A患者回归正常学习和生活

中国3期临床¹ (入组均为重型血友病A患者)



注：中国3期试验中本品为每4天一次注射。

入组前不同治疗方式患者的中位年化出血率和平均年化出血率为试验存档数据

全球3期临床² (入组均为重型血友病A患者)

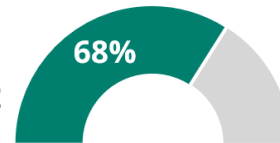
- **长期随访（中位5.4年，最长6.6年）** 数据，证明本品可长期稳定降低出血次数
- **每4天一次注射，有效降低出血次数**
 - ✓ 中位年化出血率**0.84**
 - ✓ 治疗第6年，零出血患者比例**64%**
- **每7天一次注射，亦有效降低出血次数**
 - ✓ 中位年化出血率**1.67**
 - ✓ 治疗第5年，零出血患者比例高达**81%**

真实世界研究³

✓ 换用本品后，患者满意度由42%显著提升至**95%**



✓ **68%**患者认为**日常生活能力提高**

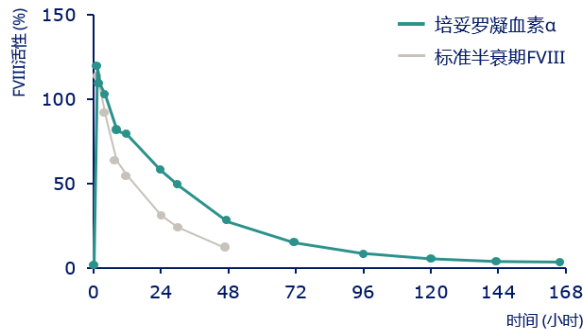


国内首个且唯一*长效凝血因子Ⅷ，创新程度高，获得优先审评； 纳入罕见病目录和鼓励研发儿童药品清单

- 培妥罗凝血素α是国内首个且唯一*长效凝血因子Ⅷ
 - ✓ 本品适应症所属的血友病已纳入《第一批罕见病目录》¹
- 罕见病用药
 - ✓ 列入《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》²
 - ✓ 因具有明显临床价值，获得药品审评中心*优先审评³
- 化学结构
 - ✓ 全新凝血因子分子结构，具有中国化合物专利（专利期至2029年2月25日）⁴⁻⁵
- 作用机制
 - ✓ 快速达峰*，作用时间更长*，半衰期为标准半衰期凝血因子Ⅷ的1.6倍⁶⁻⁷

机制创新

快速达峰*，作用时间长*⁶⁻⁷



疗效创新

止血成功率⁸



中位年化出血率⁸

0次

应用创新

- ✓ 与标准半衰期FⅧ药品治疗相比，本品最高可**减少50%-71%**的静脉穿刺注射(减少92-130次/年)⁹⁻¹⁰，降低注射和照护负担
- ✓ 改善谷值 (FⅧ水平最低点)平均至**3%**⁷，可实现指南推荐治疗目标¹¹
- ✓ 将FⅧ水平在**90%**的时间保持在 **> 5%**，大幅降低年化出血率⁸，帮助患者降低残疾风险¹¹，保持社会生产力

*国内唯一：统计截至2025年6月30日 药品审评中心：即国家药品监督管理局药品审评中心 快速达峰：静脉注射，30分钟内血浆FⅧ活性达峰 作用时间更长：半衰期为标准半衰期凝血因子Ⅷ的1.6倍 1.《第一批罕见病目录》 2.《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》
3. 国家药品监督管理局药品审评中心官网，信息公开中的优先审评公示<https://www.cde.org.cn/main/xxgk/listpage/369ac7cf6b67c6000c33f85e6f374044> 4.中国发明专利 (专利号200980106738.3) 5.中国发明专利 (专利号201310180825.1) 6. Tiede A et al. J Thromb Haemost 2013;11:670-8. 7. Chowdary P et al. Res Pract Thromb Haemost. 2019;3:542-554. 8. Jing Sun, et al. PO0128, EAHAD 2024. 9. Giangrande P et al. Thromb Haemost 2017;117:252-61. 10. 重组人凝血因子Ⅷ (百因止®)说明书 11. 杨仁池主编. 中国血友病管理指南(2024版).中国协和医科大学出版社.

儿童罕见病用药，创新治疗方案，降低残疾风险，提高社会生产力，大幅提升基金使用效率，支持创新药高质量发展



助力公共健康

- ✓ 血友病是一种罕见遗传性疾病¹，已纳入《第一批罕见病目录》²
- ✓ 列入《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》，符合“健康中国2030”中对“保障儿童用药”和“完善罕见病用药”的双重政策保障要求³
- ✓ 临床表现为全身各部位的自发性出血，从而导致关节病变、残疾、死亡等事件¹，疾病危害大，患者无法正常学习、工作和生活，增加家庭和社会负担

弥补目录不足

- ✓ 国内唯一长效凝血因子Ⅷ，快速达峰^{*6-7}，作用时间更长^{*6}，止血成功率高⁸，且大幅降低年化出血率⁸
- ✓ 目前目录内仅纳入标准半衰期凝血因子Ⅷ，本品纳入基本医保可为儿童血友病A患者提供更优治疗选择，填补目录内长效凝血因子Ⅷ空白

符合“保基本”

- ✓ 标准半衰期凝血因子Ⅷ已纳入国家医保目录⁴，新增本品符合保基本原则，支持创新药高质量发展
- ✓ 减少出血和关节病变等严重事件发生⁵，降低相关治疗负担，降低残疾风险，保持社会生产力
- ✓ 优化基本医保目录内治疗方案，提高基金使用效率，节省医保基金支出

降低临床管理难度

- ✓ 本品为罕见病治疗药品，患者人群有限；血友病A诊断标准明确¹，患者多集中在血友病中心治疗，临床滥用风险小，可管可控
- ✓ 本品半衰期为标准半衰期凝血因子Ⅷ的 1.6 倍⁶，最高可减少 50%-71%的静脉穿刺注射（减少92-130次/年）⁹⁻¹⁰，降低注射和照顾负担，减少患者就医频次和医疗资源使用

*国内唯一：统计截至2025年6月30日 快速达峰：静脉注射，30分钟内血浆FⅧ活性达峰 药品审评中心：即国家药品监督管理局药品审评中心 作用时间更长：半衰期为标准半衰期凝血因子Ⅷ的1.6倍

1. 杨仁池主编. 中国血友病管理指南(2024版). 中国协和医科大学出版社. 2. 《第一批罕见病目录》 3. 《“健康中国2030”规划纲要》 4. 《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2024年)》 5. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition, 2020. 6. Tiede A et al. J Thromb Haemost 2013;11:670-8. 7. Chowdary P et al. Res Pract Thromb Haemost. 2019;3:542-554. 8. Jing Sun, et al. PO0128, EAHAD 2024. 9.. Giangrande P et al. Thromb Haemost 2017;117:252-61. 10. 重组人凝血因子Ⅷ（百因止®）说明书