

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：注射用培妥罗凝血素 α

企业名称：诺和诺德(中国)制药有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 20:31:01	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）	注射用培妥罗凝血素α	医保药品分类与代码	1000IU/支： XB02BDP151B001020178997； 500IU/ 支：XB02BDP151B001010178997
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
① 药品注册分类	治疗用生物制品3.1类		
核心专利类型1	化合物专利（200980106738.3）	核心专利权期限届满日1	2029-02
核心专利类型2	化合物专利（201310180825.1）	核心专利权期限届满日2	2029-02
核心专利类型1	化合物专利（200980106738.3）	核心专利权期限届满日1	2029-02
核心专利类型2	化合物专利（201310180825.1）	核心专利权期限届满日2	2029-02
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	1000IU/支，500IU/支，1500IU/支，2000IU/支		
上市许可持有人（授权企业）	丹麦诺和诺德公司 Novo Nordisk A/S		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于12岁及以上的血友病A（先天性凝血因子VIII缺乏）患者：①按需治疗及控制出血事件；②围手术期管理；③常规预防治疗以防止或减少出血事件的发生；④本品不适用于治疗血管性血友病（von Willebrand disease, vWD）。		
说明书用法用量	【用法】仅用于复溶后静脉输注。【用量】[1]本品的给药剂量和频率基于个体临床反应。不同患者间的药代动力学和临床反应可能不同。[2]替代治疗的剂量、给药间隔和持续时间取决于凝血因子VIII缺乏的严重程度、出血部位和程度、凝血因子VIII的目标活性水平以及患者的临床状况。在大手术或发生危及生命的出血事件的情况下，对替代治疗需要进行密切监测。[3]如需进行凝血因子VIII活性监测，则应使用适用于本品的发色底物法或一期凝集法检测（参见【注意事项】9）实验室检测）。[4]每个药瓶含以国际单位（IU）标示的重组凝血因子VIII。1IU的凝血因子VIII活性对应于1ml正常人血浆中的凝血因子VIII含量。所需凝血因子VIII剂量计算基于实践经验，即1IU/kg的凝血因子VIII使血浆凝血因子VIII水平升高2IU/dL。①按需治疗及控制出血事件：应根据个体对本品治疗的临床效果指导给药剂量和给药频率。本品按需治疗和治疗出血事件的给药指导参见表1（表1：出血事件的给药指导）。血浆凝血因子VIII活性水平应维持在等于或高于表1中所描述的血浆水平（单位是IU/dL或正常值的%）。对于出血的治疗，本品最大单次给药剂量为75IU/kg，最大总剂量为200IU/kg/24小时。②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。本品最大单次给药剂量为75IU/kg，最大总剂量为200IU/kg/24小时。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。表2（表2：围手术期的给药指导）提供了本品围手术期管理时给药的一般推荐。应考虑将凝血因子VIII活性水平维持在等于或高于所推荐的血浆水平。③常规预防性治疗：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。		
说明书全部禁忌	对本品活性成分、辅料或赋形剂过敏者禁用。对本品活性成分或赋形剂过敏者禁用。患者表现为全身各部位的自发性出血，个别有颅内出血。		

所治疗疾病基本情况	血友病已纳入《第一批罕见病目录》，其中血友病A占80%-85%。患者表现为全身各部位的自发性出血，常伴有剧烈疼痛，严重时危及患者生命。出血时需外源补充凝血因子及时止血治疗，但不能减少出血次数也无法阻止关节病变的发生。反复关节出血可导致关节活动障碍而致残，给患者带来极大痛苦，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。		
中国大陆首次上市时间	2024-06	注册证号/批准文号	国药准字SJ20240028；国药准字SJ20240027；国药准字SJ20240042；国药准字SJ20240043
该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	2019-02
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本品是国内首个且唯一获批的长效凝血因子VIII；②同治疗领域已上市的标准半衰期重组人凝血因子VIII产品均已纳入国家医保目录，且医保限定范围为“限儿童甲(A)型血友病；成人甲(A)型血友病限出血时使用”；③本品止血成功率高，且半衰期为医保目录内标准半衰期凝血因子VIII产品的1.6倍，大幅降低年化出血率，助力实现指南推荐治疗目标。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书模板盖章签字版.pdf		
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 注射用培妥罗凝血素α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 注射用培妥罗凝血素α注册证.pdf		
申报药品摘要幻灯片(含价格费用信息)	↓ 下载文件 注射用培妥罗凝血素αPPT1含经济性.pdf		
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 注射用培妥罗凝血素αPPT2不含经济性.pdf		

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：
 - 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。
 - 急救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
 - 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。
 - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
 - 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。
 - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
 - 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
注射用重组人凝血因子VIII(安佳因®)	是	1000IU/支	2095.66	25~50IU/kg, 给药间隔2~3天	年度费用	儿童预防治疗(医保内): 22.9万元 成人预防治疗(医保外): 68.8万元	-

参照药品选择理由：①重组人凝血因子VIII适应症与本品相同；②重组人凝血因子VIII与本品均为凝血因子类药物；③重组人凝血因子VIII已被纳入基本医保目录。

其他情况请说明：①安佳因®为目前临床广泛应用的标准半衰期重组人凝血因子VIII产品；②由于各省价格差异，选取全国加权平均价格；③选取说明书中所需治疗费用最高的适应症，基于1000IU单价，根据用法用量范围的中间值进行年费用计算。

二、有效性信息

试验类型1	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	中国3b期临床试验，包括36例≥12岁中国重型血友病A患者，接受本品预防治疗，50 IU/kg，每4天一次，持续≥28周。本品改善患者FVIII谷值至3.3%，中位年化出血率降低至0，平均年化出血率降低至2.55（入组前预防治疗患者中位和平均年化出血率分别为5和11），零出血患者比例达69.4%；本品止血成功率高达94.8%，80.8%的出血经1次注射治疗，94.2%的出血经1~2次注射治疗
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 研究1中国3期.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	全球3期临床试验，包括22个国家和地区77个中心共186例≥12岁重型血友病A患者，中位随访5.4年。本品每4天一次、每7天一次预防治疗的中位年化出血率分别为0.84和1.67，远低于按需治疗组（30.98）；治疗第6年（每4天一次）、第5年（每7天一次），零出血患者比例分别高达64%和81%。本品止血成功率达83.2%，80.9%的出血经1次注射治疗，94.9%的出血经1~2次注射治疗
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 研究2全球3期.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	全球多中心3期临床试验，包含25个国家和地区160例接受过本品治疗的重型血友病A患者，平均随访约1.9年（含入组前治疗时间，本品暴露最长时间为8.4年）。研究证实了长期使用本品预防治疗的有效性。接受本品每7天一次或两次预防治疗的中位年化出血率均为0；止血成功率分别高达100%和95.3%。12例患者共发生17次大手术，除去1次数据缺失，外科手术成功率为100%。研究期间无FVIII抑制物产生
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	↓ 下载文件 研究3全球3期.pdf

一致性、准确性和客观性)	
试验类型4	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	全球3期临床试验，纳入35例≥12岁重型血友病A患者共49次大手术、23例<12岁重型血友病A患者共45次小手术。本品可有效防止患者手术期间及术后出血。所有大手术（100%）均按照方案使用本品顺利进行，止血效果51.0%为极好，44.9%为良好，4.1%为中等，0%为无效；失血量少，中位数仅75毫升；手术当天本品平均给药1.7次，中位总剂量74.5IU/kg。所有小手术均顺利进行且无任何并发症发生
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 研究4围手术期管理.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	既往治疗药物（73%为重组人凝血因子VIII）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	真实世界研究，纳入6个国家共62例血友病A患者和照料者，患者由既往治疗药物转为本品治疗，平均治疗1.4年。相比既往治疗，绝大多数患者更偏好本品（91% vs 9%）。换用本品后患者满意度由42%显著提升至95%，其中87%重型患者和84%接受预防治疗患者表示降低注射频率是其感到满意的主要原因。换用本品后84%患者生活质量得到改善，68%患者表示日常活动能力提高，63%患者觉得能像正常人一样独立生活
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 研究5真实世界研究.pdf
试验类型6	真实世界数据
试验对照药品	标准半衰期FVIII
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入38例血友病A患者。从标准半衰期FVIII转换为聚乙二醇化延长半衰期FVIII（其中8例使用本品）进行预防治疗后，更多患者实现零总出血（42% vs. 76%）和零关节出血（61% vs. 87%）；关节健康得到改善（HJHS评分23 vs 21, P<0.05）；每周注射频率减少30%，每公斤体重给药剂量下降19.7%；患者年药品费用减少€20843，其中使用本品节约药品费用最多，达€23408
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 研究6真实世界研究.pdf
试验类型7	真实世界数据
试验对照药品	标准半衰期、其他延长半衰期的FVIII

试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	研究纳入124例在2018~2023年接受延长半衰期（EHL）和标准半衰期（SHL）FVIII预防治疗的血友病A患者（EHL FVIII产品共4种，其中13例患者使用本品）。结果显示，所有EHL产品中本品的中位半衰期最长，为19.75小时。使用本品治疗的患者每周中位注射次数为1次（相当于每7天一次）。研究表明EHL FVIII产品具有明确临床优势：在有效止血的同时降低注射负担并提高依从性
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 研究7真实世界研究.pdf
试验类型1	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	中国3b期临床试验，包括36例≥12岁中国重型血友病A患者，接受本品预防治疗，50 IU/kg，每4天一次，持续≥28周。本品改善患者FVIII谷值至3.3%，中位年化出血率降低至0，平均年化出血率降低至2.55（入组前预防治疗患者中位和平均年化出血率分别为5和11），零出血患者比例达69.4%；本品止血成功率高达94.8%，80.8%的出血经1次注射治疗，94.2%的出血经1~2次注射治疗
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 研究1中国3期.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	全球3期临床试验，包括22个国家和地区77个中心共186例≥12岁重型血友病A患者，中位随访5.4年。本品每4天一次、每7天一次预防治疗的中位年化出血率分别为0.84和1.67，远低于按需治疗组（30.98）；治疗第6年（每4天一次）、第5年（每7天一次），零出血患者比例分别高达64%和81%。本品止血成功率达83.2%，80.9%的出血经1次注射治疗，94.9%的出血经1~2次注射治疗
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 研究2全球3期.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	全球多中心3期临床试验，包含25个国家和地区160例接受过本品治疗的重型血友病A患者，平均随访约1.9年（含入组前治疗时间，本品暴露最长时间为8.4年）。研究证实了长期使用本品预防治疗的有效性。接受本品每7天一次或两次预防治

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

治疗期间，平均输血次数为0.7次。研究证实了长期应用本品预防出血的有效性。接受本品预防出血的中位年化出血率均为0；止血成功率分别高达100%和95.3%。12例患者共发生17次大手术，除去1次数据缺失，外科手术成功率为100%。研究期间无FVIII抑制物产生

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](#) 研究3全球3期.pdf

试验类型4 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

全球3期临床试验，纳入35例≥12岁重型血友病A患者共49次大手术、23例<12岁重型血友病A患者共45次小手术。本品可有效防止患者手术期间及术后出血。所有大手术（100%）均按照方案使用本品顺利进行，止血效果51.0%为极好，44.9%为良好，4.1%为中等，0%为无效；失血量少，中位数仅75毫升；手术当天本品平均给药1.7次，中位总剂量74.5IU/kg。所有小手术均顺利进行且无任何并发症发生

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](#) 研究4围手术期管理.pdf

试验类型5 真实世界数据

试验对照药品 既往治疗药物（73%为重组人凝血因子VIII）

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

真实世界研究，纳入6个国家共62例血友病A患者和照料者，患者由既往治疗药物转为本品治疗，平均治疗1.4年。相比既往治疗，绝大多数患者更偏好本品（91% vs 9%）。换用本品后患者满意度由42%显著提升至95%，其中87%重型患者和84%接受预防治疗患者表示降低注射频率是其感到满意的主要原因。换用本品后84%患者生活质量得到改善，68%患者表示日常活动能力提高，63%患者觉得能像正常人一样独立生活

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](#) 研究5真实世界研究.pdf

试验类型6 真实世界数据

试验对照药品 标准半衰期FVIII

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

研究纳入38例血友病A患者。从标准半衰期FVIII转换为聚乙二醇化延长半衰期FVIII（其中8例使用本品）进行预防治疗后，更多患者实现零总出血（42% vs. 76%）和零关节出血（61% vs. 87%）；关节健康得到改善（HJHS评分23 vs 21, P< 0.05）；每周注射频率减少30%，每公斤体重给药剂量下降19.7%；患者年药品费用减少€20843，其中使用本品节约药品费用最多，达€23408

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

[↓ 下载文件](#) 研究6真实世界研究.pdf

<p>(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 研究6真实世界研究.pdf</p>
<p>试验类型7</p>	<p>真实世界数据</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>标准半衰期、其他延长半衰期的FVIII</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>研究纳入124例在2018~2023年接受延长半衰期 (EHL) 和标准半衰期 (SHL) FVIII预防治疗的血友病A 患者 (EHL FVIII产品共4种, 其中13例患者使用本品)。结果显示, 所有EHL产品中本品的中位半衰期最长, 为19.75小时。使用本品治疗的患者每周中位注射次数为1次 (相当于每7天一次)。研究表明EHL FVIII产品具有明确临床优势: 在有效止血的同时降低注射负担并提高依从性</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 研究7真实世界研究.pdf</p>

<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>《世界血友病联盟血友病管理指南第三版》(2020年) 强烈建议对于有严重出血表型的血友病A患者, 要采取充分的预防治疗以防止出血。此外, 指南指出, 在过去的1%谷值目标下, 患者仍有出血风险, 多数临床医生倾向于更高的谷值目标 (>3%~5%或更高)。从标准半衰期凝血因子转换为长效凝血因子, 通常可降低患者注射次数, 同时可维持更高谷值以优化预防治疗</p>
-----------------------	---

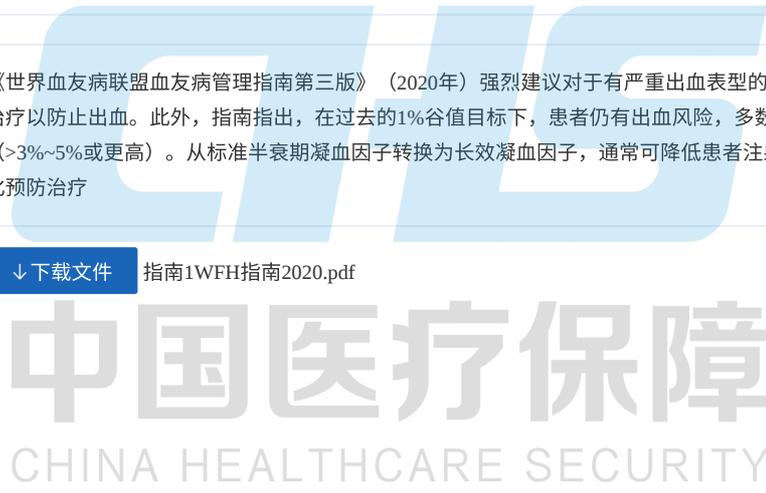
<p>临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容, 并突出 (高亮) 显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息, 外文资料须同时提供原文及中文翻译件 (除英语之外的外文资料, 中文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)</p>	<p>↓ 下载文件 指南1WFH指南2020.pdf</p>
---	--

<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《中国血友病管理指南 (2024版)》推荐只要条件允许, 所有重型血友病患者以及有严重出血表型的中间型患者都应尽早开始预防治疗。指南指出, 在1IU/dl的谷水平下, 患者仍有出血风险, 大多数临床医师倾向于更高的谷水平。与标准半衰期FVIII浓缩物相比, 延长半衰期FVIII浓缩物能够减少输注频率或增加因子谷水平、改善半衰期/清除率</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 指南2中国血友病管理指南2024.pdf</p>
---	--

<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>《世界血友病联盟血友病管理指南第三版》(2020年) 强烈建议对于有严重出血表型的血友病A患者, 要采取充分的预防治疗以防止出血。此外, 指南指出, 在过去的1%谷值目标下, 患者仍有出血风险, 多数临床医生倾向于更高的谷值目标 (>3%~5%或更高)。从标准半衰期凝血因子转换为长效凝血因子, 通常可降低患者注射次数, 同时可维持更高谷值以优化预防治疗</p>
-----------------------	---

<p>临床指南/诊疗规范中需包含申报</p>	<p>↓ 下载文件 指南1WFH指南2020.pdf</p>
------------------------	--



<p>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>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>《中国血友病管理指南（2024版）》推荐只要条件允许，所有重型血友病患者以及有严重出血表型的中间型患者都应尽早开始预防治疗。指南指出，在1IU/dl的谷水平下，患者仍有出血风险，大多数临床医师倾向于更高的谷水平。与标准半衰期FVIII浓缩物相比，延长半衰期FVIII浓缩物能够减少输注频率或增加因子谷水平、改善半衰期/清除率</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 指南2中国血友病管理指南2024.pdf</p>

<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</p>	-
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	-
<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</p>	-
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	-



中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

三、安全性信息

<p>药品说明书记载的安全性信息</p>	<p>【不良反应】 罕见情况下曾观察到超敏反应或过敏反应（包括血管性水肿、输液部位灼痛和刺痛、寒战、潮红、全身性荨麻疹、头痛、荨麻疹、低血压、困倦、恶心、躁动、心动过速、胸闷、刺痛感、呕吐、哮喘），部分患者可能进展至重度速发严重过敏反应（包括休克）。十分罕见情况下曾观察到仓鼠蛋白抗体并伴相关超敏反应。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）。【禁忌】 对本品活性成份或任何辅料过敏者禁用本品。已知对仓鼠蛋白过敏者禁用本品。【注意事项】 本品的注意事项包括超敏反应、抑制物、经治疗患者的凝血因子VIII活性降低、心血管事件、导管相关并发症、儿童人群、辅料相关考虑因素、对驾驶和操作机械能力的影响、实验室检测。【药物相互作用】 尚未报告过人凝血因子VIII（rDNA）与其他药品的相互作用。</p>
<p>药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果</p>	-
<p>相关报导文献</p>	-

四、创新性信息

<p>创新程度</p>	<p>①国内首个且唯一获批的长效凝血因子VIII，已纳入《第一批罕见病目录》、《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》，是儿童罕见病用药；②因具有明显临床价值，本品获得了国家药品监督管理局药品审评中心的优先审评；③全新凝血因子分子结构，具有中国化合物专利；④本品止血成功率高，且半衰期为医保目录内标准半衰期凝血因子VIII产品的1.6倍，大幅降低年化出血率，助力实现指南推荐治疗目标。</p>
-------------	---

创新性证明文件	↓ 下载文件 注射用培妥罗凝血素α创新程度.pdf
应用创新	①与标准半衰期凝血因子VIII相比，本品半衰期为该类产品的1.6倍，最高可减少50%-71%的静脉穿刺注射(减少92-130次/年)，降低注射和照护负担，减少患者就医频次和医疗资源使用；②本品改善谷值(FVIII水平最低点)平均至3%，可实现指南推荐治疗目标，同时将FVIII水平在90%的时间保持在>5%，大幅降低年化出血率，帮助患者降低残疾风险，提高社会生产力。
应用创新证明文件	-
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	①血友病是一种罕见遗传性疾病，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，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。
符合“保基本”原则描述	①标准半衰期凝血因子VIII已纳入国家医保目录，将本品纳入医保目录，符合保基本原则，支持创新药高质量发展；②减少出血和关节病变等严重事件发生，降低相关治疗负担，降低残疾风险，提高社会生产力；③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。
弥补目录短板描述	①国内唯一长效凝血因子VIII，快速达峰，作用时间更长，止血成功率高，且大幅降低年化出血率；②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。
临床管理难度描述	①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，患者多集中在血友病中心治疗，临床滥用风险小，可管可控；②本品半衰期为标准半衰期凝血因子VIII的1.6倍，最高可减少50%-71%的静脉穿刺注射(减少92-130次/年)，降低注射和照护负担，减少患者就医频次和医疗资源使用。

中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY