



注射用替度格鲁肽（瑞唯抒®）

申报类别：商业健康保险创新药品目录

武田（中国）国际贸易有限公司

注射用替度格鲁肽 (申报类别: 商业健康保险创新药品目录)

01 基本信息

- 替度格鲁肽是我国首个且唯一获批用于短肠综合征(SBS)的靶向治疗药物

02 有效性

- 高达**71%**的儿童患者、**61%**的成人患者实现了**脱离肠外营养(PN)**

03 安全性

- 安全性和耐受性良好, **通过减停PN避免PN相关的严重并发症和后遗症**

04 创新性

- 全球首创机制**, GLP-2类似物突破性恢复肠道功能

05 公平性

- 最适合纳入商保的罕见病治疗药物**, 尚无基本医保保障, 可吸引广泛人群投保

替度格鲁肽是我国首个且唯一获批用于短肠综合征(SBS)的靶向治疗药物

短肠综合征：我国《第二批罕见病目录》病种 (#73) ¹

- 指由于**小肠大部分切除或者先天性短肠**等原因，导致小肠消化吸收面积严重减少，营养物质的吸收显著不足^{2,3}
- 中国成人患病率为**0.73/100万**⁴，儿童成人患者比例约为4:6⁵；目前共**265**名SBS患者在患者组织登记⁶
- 替度格鲁肽适应症针对依赖肠外营养的SBS(临床定义为“**SBS伴肠衰竭, SBS-IF**”)治疗⁷

通用名	注射用替度格鲁肽		
说明书适应症	本品适用于治疗短肠综合征成人和 1岁及以上儿童 患者。仅在患者经过一段时间肠道适应后，病情稳定且 依赖肠外营养 支持的情况下进行本品治疗。		
用法用量	本品推荐剂量0.05 mg/kg，每日一次 皮下给药		
药品注册分类	治疗用生物制品	注册规格	5mg/瓶
中国大陆首次上市时间	2024年2月	全球首个上市国家及时间	欧盟 2012年
同通用名药物上市情况	独家品种	是否为OTC药品	否

建议无参照药品

唯一适应症： 中国**首个且唯一***获批的SBS靶向治疗药物

唯一作用机制： 全球**首个且唯一***获批的GLP-2类似物

指南唯一推荐： 国内外指南共识唯一推荐的SBS治疗药物^{2,8}

安慰剂对照： 成人&儿童关键III期研究设计均采用^{9,10}：
替度格鲁肽+对症支持 Vs. **安慰剂**+对症支持

*截至2025年7月 [1]国家卫生健康委.关于公布第二批罕见病目录的通知. [2]蔡威,王莹,等. 中国循证儿科杂志2024年6月第19卷第3期: 161-172. [3]国家卫生健康委.软骨发育不全等86个罕见病病种诊疗指南(2025年版). 2025年7月10日. [4] Guo, PhD, et al.ASPEN2024.Poster Abstracts:P89. [5] 蔻德罕见病中心.中国短肠综合征患者诊疗状况及疾病负担调研报告 2023.[6]肠康荟SBS患者关爱中心登记数据(截至2025年6月18日) [7] 国家药品监督管理局药品审评中心.注射用替度格鲁肽(JXSS2200021) 申请上市技术审评报告.2024年11月20日. [8] Pironi L, et al. Clin Nutr. 2023 Oct;42(10):1940-2021. [9] Kocoshis SA, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2020;44:621-31. [10] Jeppesen PB et al. Gastroenterology. 2012;143:1473-81.

减少或完全脱离肠外营养(PN)是所有SBS患者的关键目标和未满足的治疗需求

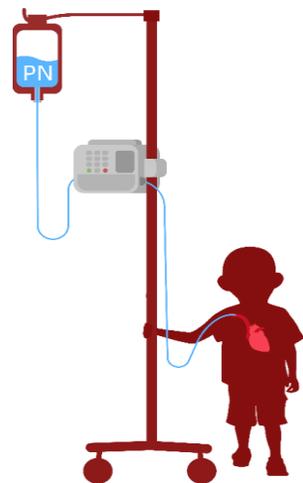
SBS患者长时间住院输注PN，生存状况极差，患儿生长发育严重受阻

- SBS伴肠衰竭患者**5年生存率仅71%**¹，与我国的膀胱癌、前列腺癌、子宫颈癌等5年生存率相当²；比健康人群**预期寿命少17年**³
- 儿童患者会出现生长迟滞、认知发育不良、神经运动发育迟缓等问题^{4,5}
- 患者**每周2-7天、每天10-16小时**长期输注PN^{6,7}；为此***儿童年均住院长达257天**，成人为132天⁸
- 68%儿童、75%成人患者存在焦虑/抑郁⁸

*PN仅限住院医保支付

PN造成沉重疾病和经济负担，社会各界都亟盼减停PN的治疗方案

- **长期PN会导致严重的、可能危及生命的并发症**⁹，包括肠衰竭相关肝脏疾病、导管相关血流感染¹⁰、肾衰竭¹¹等
- 出现肝功能衰竭等严重并发症时，小肠或肠肝联合移植是唯一可选择的治疗方案⁴，但其平均5年生存率也仅为50%¹²
- **SBS患者每年治疗费用高达36-75万元**^{13,14}
- 58%的照顾者因照料SBS患儿失去全职工作¹⁵



替度格鲁肽以有限疗程创造功能性治愈的机会，降低患者终身用药的可能性

高达71%儿童患者脱离PN

西班牙多中心真实世界研究¹：

- 经替度格鲁肽治疗12个月，约71%儿童患者脱离PN



高达61%成人患者脱离PN

美国真实世界研究²：

- 替度格鲁肽中位治疗时长10个月，约61%成人患者脱离PN



脱离PN后，患者有停药指征

替度格鲁肽说明书：

- 对于已停止肠外营养支持的患者，应根据患者个体情况考虑是否继续使用本品治疗⁴

专家共识：

- 意大利：如儿童患者脱离PN后6个月内肠功能恢复，建议停止使用替度格鲁肽⁵
- 波兰：建议成人患者在实现肠道完全康复后2个月停止替度格鲁肽治疗⁶

替度格鲁肽在博鳌乐城“先行先试”中帮助两例患儿脱离PN³：

2例长期依赖PN的中国患儿分别接受替度格鲁肽治疗11个月、9个月后均最终脱离PN且停药，维持了正常生长发育，患儿及其照顾者有望重归正常的学习生活

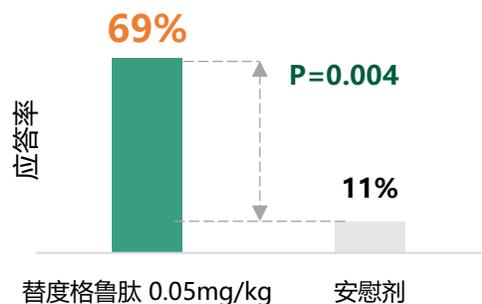
PN：肠外营养

[1] Ramos Boluda E, et al. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2020. 71(6):734-739. [2] Lam K, et al. Transplantation 2017;101(6S2):S46. [3]路丽娜,冯海霞,黄柳芳,等. 中华临床营养杂志,2024,32(6):373-377. [4] 注射用替度格鲁肽说明书. [5] Diamanti A, et al. Dig Liver Dis. 2022 Oct;54(10):1320-1327. [6] Klek S, et al. Nutrition. 2017 Jun;38:28-33.

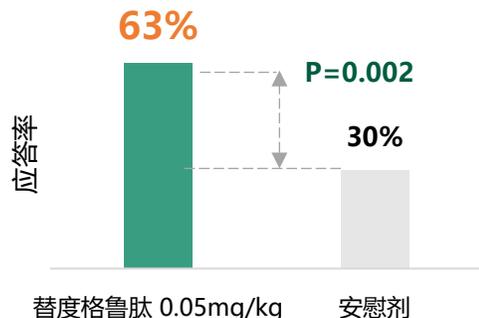
替度格鲁肽通过减少肠外营养(PN)带来长期获益，获国内外指南共识唯一推荐

近7成患者应答，显著高于安慰剂组

儿童关键III期研究(24周, n=59)¹:



成人关键III期研究(24周, n=86)²:



- 应答率: PN用量减少至少20%³,
- 对于每周需要5次PN的患者, 应答转化为每周减少1天PN负荷³

为儿童和成人患者带来具有临床意义的长期获益

- ✓ **儿童:** 在生长发育关键时期使用替度格鲁肽治疗, **小肠长度增加的同时增大单位消化面积⁴**, 因其固有的生长潜力⁵, 有望实现更大获益
 - 小肠发育贯穿整个幼儿及青少年时期, 尤其在幼儿期持续快速增长⁶
- ✓ **成人:** 使用替度格鲁肽后, 60%患者**每周减少3天PN⁷**; SBS-QoL评分有显著改善(p<0.05)⁸

国内外指南共识唯一推荐的儿童及成人SBS治疗药物



2023 ESPEN指南: 成人慢性肠衰竭⁹

唯一A级推荐



儿童短肠综合征诊断治疗专家共识(2023版)¹⁰

有条件推荐: 有信心

国家卫生健康委

86个罕见病病种诊疗指南(2025年版)¹¹

对异质性SBS-IF患者均有较好的治疗效果

SBS-IF: SBS伴肠衰竭; [1] Kocoshis SA, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2020;44:621-31. [2] Jeppesen PB et al. Gastroenterology. 2012;143:1473-81. [3]国家药品监督管理局药品审评中心.注射用替度格鲁肽 (JXSS2200021) 申请上市技术审评报告.2024年11月20日. [4] Jeppesen PB, et al. Gut. 2005;54(9):1224-31. [5] Wales et al., J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2024;79:290-300. [6] Weaver, L T et al. Gut vol. 32,11 (1991): 1321-3. [7] 注射用替度格鲁肽说明书. [5] Lambe C, et al. Am J Clin Nutr. 2023 Jun;117(6):1152-1163. (Supplementary data [8] Jeppesen PB, et al. Clin Nutr. 2013 Oct;32(5):713-21. [9] Pironi L, et al. Clin Nutr. 2023 Oct;42(10):1940-2021. [10] 蔡威,王莹,等. 中国循证儿科杂志 2024年6月第19卷第3期: 161-172. [11] 国家卫生健康委.软骨发育不全等86个罕见病病种诊疗指南(2025年版). 2025年7月10日.

替度格鲁肽安全性和耐受性良好，通过减停肠外营养(PN)避免相关严重并发症和后遗症

突破性解决现有对症支持的痛点，带来安全性获益

- ✓ 替度格鲁肽可以有效减停PN，**从而避免与长期 PN 相关的严重并发症和后遗症**¹
- ✓ 相较于PN依赖患者，经替度格鲁肽治疗的患者**各级不良反应发生率均更低**²
- ✓ 高达65%SBS患儿肝功能异常³；替度格鲁肽改善肝功能指标，提示**减少肝病风险**⁴

替度格鲁肽总体安全性特征

药品**自2012年**首次上市以来，
在**40+**国家或地区药监部门⁵：

- **无安全性警告**
- **无黑框警告**
- **无撤市信息***

国家药品监督管理局药品审评中心(CDE)《技术审评报告》¹：

- 替度格鲁肽常见不良反应包括胃肠道造口并发症、胃肠道反应（恶心、腹痛、腹胀）、注射部位反应等，**大部分不良反应为轻中度**
- 在长期治疗中，**儿童和成人耐受性良好**（亚洲儿童暴露长达**4.3年**，亚洲成人暴露长达**3.4年**）

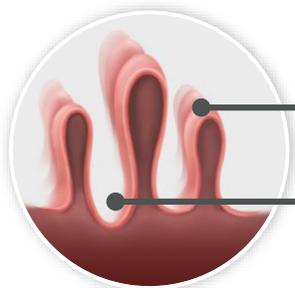
*无因安全性原因导致的撤市信息

[1] 国家药品监督管理局药品审评中心.注射用替度格鲁肽 (JXSS2200021) 申请上市技术审评报告.2024年11月20日. [2] Gabriel Gondolesi, et al. Transplantation. 2023 July;107(7S):36. [3] S Suita, et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 1999 Sep-Oct;23(5 Suppl):S106-9. [4] Micic D, et al. Nutr Clin Pract. 2024 Jun;39(3):634-640. [5] 武田药物警戒数据。（截至2025年6月30日）

替度格鲁肽是全球首个且唯一*获批GLP-2类似物，突破性恢复肠道功能

新靶点：GLP-2及其类似物可以激活肠道生长

- 1996年Drucker发现GLP-2可激活肠道通路¹
- 2005年Jeppesen发现替度格鲁肽通过增加绒毛高度和隐窝深度，提升肠道功能²

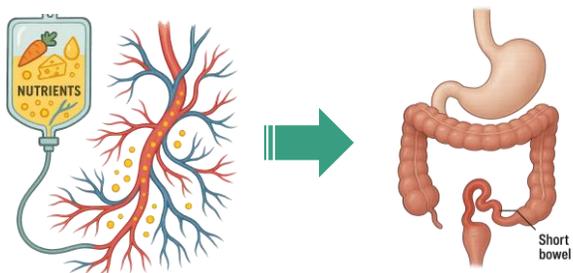


38%
增加绒毛高度²

22%
增加隐窝深度²

新机制：营养吸收从血流通路回归肠道通路

GLP-2成药使短肠综合征患者的治疗实现突破性飞跃：

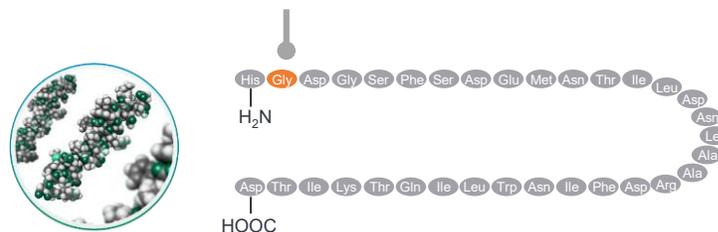


肠外营养通过
静脉血流通路

增强剩余肠管功能，
回归自然消化吸收

新结构：单个氨基酸替换解决内源性GLP-2快速降解缺陷，增强疗效

与内源性GLP-2具有相同的氨基酸序列，仅在序列第2位用甘氨酸替换了丙氨酸



可抵抗DPP-IV降解，比内源性GLP-2半衰期更长(2小时 vs. 7分钟)^{3,4}

国家药品监督管理局药品审评中心(CDE)《技术审评报告》⁵：

替度格鲁肽是全球范围内唯一恢复肠道功能、改善吸收和降低对PN依赖性的SBS治疗药物⁵

- 患者使用替度格鲁肽后瓜氨酸水平提高：儿童(+92%)⁶，成人(+71%)⁷——反映患者肠道恢复/代偿⁸

美国FDA、欧洲EMA、日本均授予替度格鲁肽孤儿药资格⁵

*截至2025年7月；GLP-2：胰高血糖素样肽-2；DPP-IV：二肽基肽酶-4；FDA：美国食品药品监督管理局；EMA：欧洲药品管理局

[1] Drucker, D J et al. Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America vol. 93,15 (1996): 7911-6. [2] Jeppesen PB, et al. Gut. 2005;54(9):1224-31. [3] McMellen ME, et al. Semin Pediatr Surg. 2010 Feb;19(1):35-43. [4] Hartmann B et al. J Clin Endocrinol Metab. 2000;85:2884-2888. [5] 国家药品监督管理局药品审评中心.注射用替度格鲁肽 (JXSS2200021) 申请上市技术审评报告.2024年11月20日. [6] Kocoshis SA,et al. JPEN J Parenter Enteral Nutr. 2020 May;44(4):621-631. [7] Schwartz LKet al. Clin Transl Gastroenterol. 2016 Feb 4;7(2):e142. [8] Haixia Feng,et al.JPGN Reports.2024 May;5(S1):S1-S1437 N-O009

替度格鲁肽是最适合通过商保提供用药保障的罕见病治疗药物

短肠综合征：贴近商保属性，吸引民众投保潜力大

SBS是“最特殊的”非遗传性罕见病

- ✓ **由多种意外事件继发**：如严重车祸、手术并发症、肠扭转等导致大部分小肠切除¹
- ✓ **由多种疾病继发**
 - **儿童常见原发病²**：如肠扭转、腹裂、坏死性小肠结肠炎
 - **成人常见原发病¹**：如克罗恩病、肠系膜缺血
- ✓ **SBS治疗尚无医保保障，可吸引广泛人群投保：风险意识强群体、儿童家长、有上述疾病风险的成年人**

替度格鲁肽：出险率低且赔付有限

- ✓ **潜在用药人群分布广泛，符合商保风险分散原则**
 - SBS患者组织仅登记265人，分布于27省109市³
- ✓ **出险率低**：已列名**26个**惠民保特药目录(包括上海、深圳、福建等地，其中省级项目9个)；仅**5例**出险记录*
- ✓ **赔付具有阶段性**：脱离肠外营养(PN)患者有停药指征
- ✓ **节约惠民保住院内(包括医保内、医保外)责任的赔付**：替度格鲁肽减停PN，节约相关对症支持花费[#]

*截至2025年6月30日已知信息

[#]儿童年均住院长达257天，成人132天；医保外项目众多，如输液港、特殊脂肪乳、氨基酸等

替度格鲁肽亟需纳入商保创新药目录以保障SBS患者用药需求

填补临床空白

- ✓ **唯一扭转SBS伴肠衰竭结局**、恢复肠道功能的治疗药物
- ✓ 国内外指南共识唯一推荐的儿童及成人SBS治疗药物

创新程度极高

- ✓ 全球首创靶点、首创机制，全球**唯一获批的GLP-2类似物**
- ✓ 亮相进博会仅6个月即落地博鳌惠及患者，诠释“**开放创新**”的典范

临床价值巨大 患者获益显著

- ✓ 高达**71%**儿童、**61%**成人实现**肠外营养脱离**，重返校园或职场
- ✓ 避免患者终身依赖肠外营养输注，及其相关严重并发症和后遗症

最适合纳入商保 的罕见病药物

- ✓ SBS继发于多种意外创伤和疾病，尚无医保保障，**可吸引广泛人群投保**
- ✓ 已列名**26项**惠民保特药目录，风险分散，出险率低，赔付有限