

申请纳入《商保创新药品目录》

第一批罕见病目录 儿童用药

艾美赛珠单抗注射液 (舒友立乐®)

企业与商保合力打造罕见病多层次保障新典范

创新程度高 唯一非因子类药物，开启血友病A治疗新时代，1类新药、突破性疗法

临床价值大 年化出血率低至0.3次，出血风险降低99%，助力患儿恢复正常人生活水平

保障需求急 填补血友病患儿的保障空白和缺失*，是患者亟需的罕见病创新药

上海罗氏制药有限公司

注：本套资料中提及的唯一均指截至2025年6月血友病领域国内目前唯一

*此处具体指填补血友病A伴抑制物患儿无预防治疗用药治疗空白，及解决无抑制物患儿长效皮下预防治疗用药的缺失

目录

- ① 基本信息 本品是国内血友病A目前唯一非因子类药物，纳入商保目录可**与基本医保协力提供差异化保障**
- ② 创新性 **1类新药、FDA突破性疗法**，具有首创作用机制，建议**突破性创新分级**
- ③ 有效性 年化出血率低至**0.3次**，出血风险**降低99%**
- ④ 安全性 儿童患者安全性良好，随访数据证实**长期安全性稳定**
- ⑤ 公平性 可破解血友病高值罕见病药保障支付困境

艾美赛珠单抗是国内血友病A唯一非因子类药物，填补血友病患儿的治疗空白和不足，纳入商保目录可提供差异化保障



血友病A预防治疗保障意义重大 需求迫切



疾病罕见

属于国家《第一批**罕见病**目录》¹，具有高致残、严重可致死风险²



保障意义重大

多自幼发病，权威指南均推荐预防治疗³⁻⁵：可实现**恢复至正常人**的生活水平⁶



未满足需求迫切

传统因子类药物预防治疗面临三大难点^{7,8}：

- **静脉**通路建立困难（需反复穿刺）
- 给药**频率高**（2-3次/周，>100次/年）
- **抑制物抗体**产生风险高



10

抑制物患儿预防治疗**无药可用**，无抑制物患儿长期**缺乏**长效皮下药物⁹

艾美赛珠单抗-基本信息¹¹

适应症

适用以下成人及**儿童**患者的常规预防治疗，以防止出血或降低出血发作的频率：

- 存在凝血因子VIII抑制物的A型血友病
- 或不存在凝血因子VIII抑制物的重度A型血友病

给药途径

皮下注射

用法用量

- 负荷剂量：最初4周的推荐剂量为3 mg/kg，每周一次
- 后续维持剂量：最长可6 mg/kg，**每四周一次**

注册分类	治疗用生物制品1类		
注册规格	30 mg (1 ml) /瓶、60 mg (0.4 ml) /瓶、105 mg (0.7 ml) /瓶、150 mg (1 ml) /瓶		
目前大陆地区同通用名药品的上市情况	无		
中国大陆获批时间	2018年11月（存在抑制物适应症） 2021年04月（不存在抑制物适应症）		
全球首个上市国家及时间	美国，2017年11月		
专利期	2031年	是否OTC药品	否

1. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/2018-12/31/content_5435167.htm

2. 血友病患者出血急诊管理中国指南（2024年版）

3. 血友病治疗中国指南（2020年版）

4. 中国实用儿科杂志，2021，Vol. 36，Issue 12：881-889.

5. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2020 Apr;41(4):265-271.

6. 血友病A诊疗指南（2022年版）

7. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2017 May;38(5):444-448

8. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2018 Oct;39(10):873-876.

9. 此处具体指血友病A伴抑制物患儿无预防治疗用药治疗空白、无抑制物患儿长效皮下预防治疗用药的缺失

10. 图片引用： <http://zyuan.xjtu.edu.cn/defhyj/info/106/114461.htm>

11. 艾美赛珠单抗注射液药品说明书。

艾美赛珠单抗是近20年来FDA批准的首个用于治疗血友病A的罕见病创新药
当前国内无同适应症、同机制、同治疗模式的药物，建议空白参照



建议空白参照

艾美赛珠单抗是血友病领域首创新药

1

目录内外均无同适应症药物¹



唯一可用于抑制物及非抑制物患者预防治疗的药物

2

无同作用机制药物



唯一非因子类药物（此前血友病A疗法皆为凝血因子类药物）、
唯一FX/FIXa双抗²

3

无同治疗模式的药物



唯一可四周一次长效给药、唯一皮下制剂³

1. 此处目录内外是指国家基本医保目录内外
2. 此处指艾美赛珠单抗是目前国内唯一获批上市的FX/FIXa双抗
3. 此处指艾美赛珠单抗国内目前唯一可皮下且最长可四周给药一次的血友病A治疗药物

注：上述唯一均指截至2025年6月血友病A领域国内目前唯一

艾美赛珠单抗具有首创机制、全新靶点、独特结构，创新程度高且临床价值大 是国内1类新药、获突破性疗法认定，建议**突破型创新分级**

创新程度高

首创机制

- 以“分子桥梁”形式激活 FX，FX的促进激活使**天然凝血**过程得以**恢复正常**¹

全新靶点

- 全球血友病**首个 FIXa 和 FX双抗**，**唯一非因子类药物**^{2,3}

独特结构¹⁻³

- 稳定分子结构**：**KiH技术**、**CLC-IgG改造**和**二硫键设计**，确保异源二聚体高效形成，减少代谢清除
- 药物代谢调控**：FcRn介导的**循环再利用机制**，延长存留时间

临床价值大

突破性临床获益

- 进一步恢复凝血级联反应，**显著降低出血风险**¹

避免抑制物风险

- 不受凝血因子VIII（FVIII）抑制物的影响⁴
- 也不会产生此类抑制物

显著依从性提升

- 半衰期延长**至四周，实现最长**4周/次皮下**给药
- 显著提升依从性，尤其**适合儿童患者**

1类新药⁵

国家药品监督管理局
National Medical Products Administration

突破性疗法⁶

FDA

优先审评/加速审批^{6,7}

国家药品监督管理局
National Medical Products Administration

FDA

注：上述唯一均指截至2025年6月血友病A领域国内目前唯一

1. Minami et al. JTH. 2018
2. Sampel Z, et al. PLoS One 2013;8:e57479.
3. Shima S, et al. N Engl J Med 2016;374:2044-53.
4. Kitazawa T, Shima M. Emicizumab, a humanized bispecific antibody to coagulation factors IXa and X with a factor VIIIa-cofactor activity. Int J Hematol. 2020 Jan;111(1):20-30.
5. 艾美赛珠单抗注射液（JXSL1700076-79）申请上市技术审评报告
6. <https://www.fda.gov/drugs/drug-approvals-and-databases/fda-approves-emicizumab-kxwh-hemophilia-or-without-factor-viii-inhibitors#:~:text=On%20October%204%2C%202018%2C%20the,a%20minimum%20of%2024%20weeks...>
7. <https://www.cde.org.cn/main/xxgk/listpage/da6ef086c099b71c949121166f0130c>

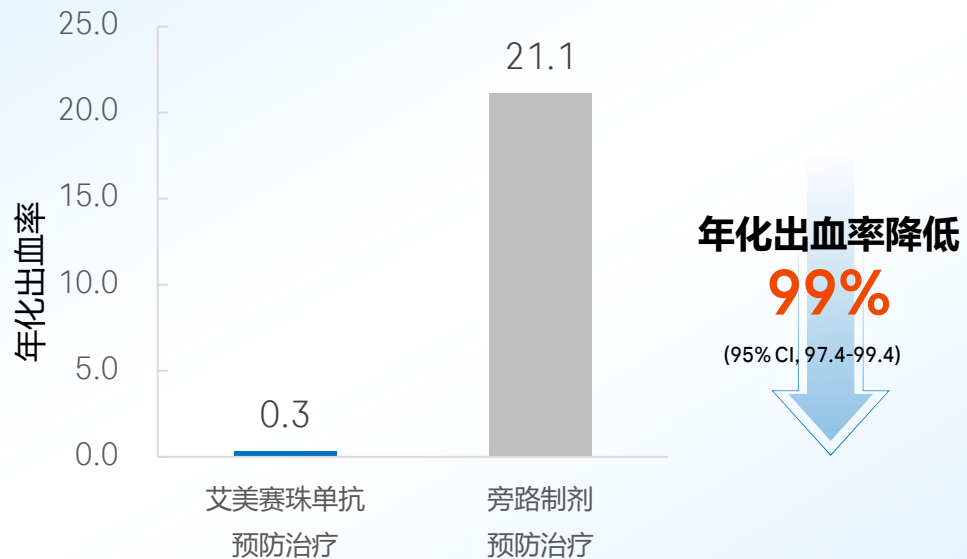
艾美赛珠单抗显著提升患儿治疗效果：年化出血率低至0.3次，出血风险降低99%



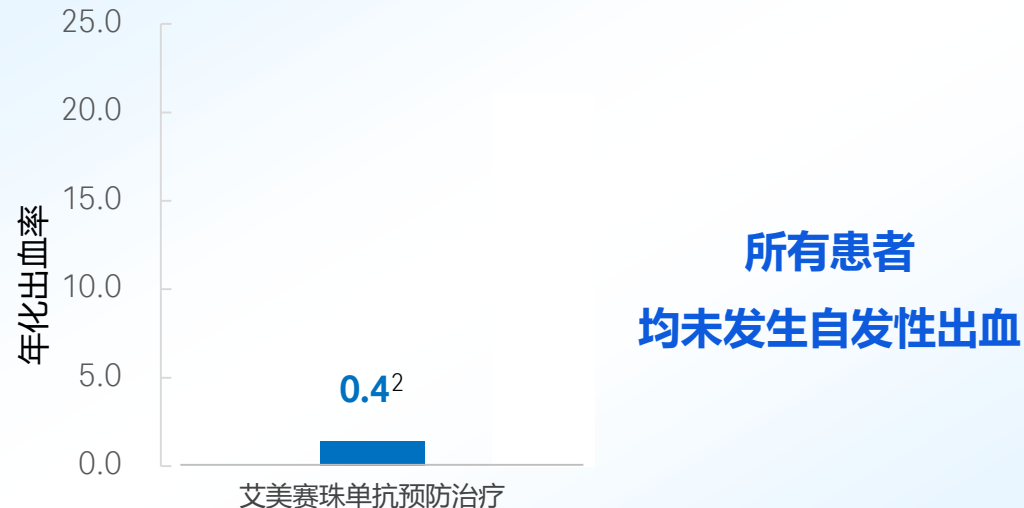
全球多中心Ⅲ期、单臂、开放标签临床试验（HAVEN 2研究），评估艾美赛珠单抗预防治疗伴抑制物儿童（<12岁）血友病A患者的疗效和安全性。结果显示，中位随访57.6周，年化出血率为0.3¹

全球多中心Ⅲ期、单臂、开放标签试验（HAVEN 7研究），评估艾美赛珠单抗预防治疗非抑制物婴儿（≤12个月）重型血友病A患者的疗效和安全性。结果显示，中位随访101.9周，年化出血率为0.4²

用于治疗抑制物患儿：年化出血率降幅达99%¹



用于治疗非抑制物患儿：所有患者均未发生自发性出血



注：艾美赛珠单抗用于成人患者疗效同样获得临床验证（临床试验纳入成人患者数超过370例）：年化出血率降低87%³⁻⁶

1. Michael U Callaghan, et al. Blood. 2021 Apr 22;137(16):2231-2242
2. Pipe SW, et al. Blood. 2024 Apr 4;143(14):1355-1364.
3. Oldenburg J, et al. N Engl J Med. 2017;377(9):809-818.
4. Mahangu J, et al. N Engl J Med. 2018 Aug 30;379(9):811-822.
5. Michael U Callaghan, et al. Blood. 2021 Apr 22;137(16):2231-2242.
6. Res Pract Thromb Haemost. 2024;8:e102364

艾美赛珠单抗彻底改变血友病A替代治疗模式，获国内外权威血友病指南一致推荐，尤其适用儿童及低龄婴幼儿患者

国家药品监督管理局
National Medical Products Administration

艾美赛珠单抗作为**临床急需品种**，被纳入优先审评程序加快审评审批
疗效明确，风险可控，**耐受性良好**，给药**便利依从性好**⁸

儿童血友病指南

国家卫健委
儿童血友病诊疗规范
(2019年版)¹



儿童血友病家庭治疗
专家共识²

重新恢复**天然的凝血**通路³

艾美赛珠单抗预防治疗在控制出血、恢复靶关节上都有**显著改善、更有优势**⁵

解决患儿接受预防治疗时需频繁静脉穿刺的不便利性⁵

国际血友病指南



WFH
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

世界血友病联盟⁶



NATIONAL HEMOPHILIA FOUNDATION
for all bleeding disorders

美国血友病基金会⁷

国内血友病指南



血友病治疗中国指南
(2020年版)³



血友病A 诊疗指南
(2022年版)⁴



血友病合并抑制物诊
断与治疗中国指南
(2023年版)⁵

1. 国家卫生健康委员会. 儿童血友病诊疗规范 (2019年版)

2. 中国实用儿科杂志. 2021, Vol. 36. Issue (12): 881-889.

3. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2020 Apr; 41(4): 265-271.

4. 血友病A 诊疗指南 (2022年版)

5. Zhonghua Xue Ye Xue Za Zhi. 2023 Nov; 44(11): 881-889

6. <https://wfh.org/>

7. American Society of Hematology.

8. <https://www.nmpa.gov.cn/zhuanti/cxylqx/cxypqx/20181204084701213.html?type=pc&m=>

艾美赛珠单抗整体安全性良好，临床试验及长期安全性随访数据验证在儿童/婴幼儿患者中的安全性

临床试验证实：安全性良好^{1,2}

- 血栓性事件是说明书警示AE：临床试验证实**发生率 < 1%**
 - ≥12岁患者¹：发生率为1%
 - < 12岁患者²：发病率为**0%**

6年长期随访结果证实：安全性良好³

艾美赛珠单抗相关不良事件 血栓性事件或死亡发生率为

100%为轻度 **0%**



特殊人群可用⁴

- 婴幼儿患者**可用（临床试验入组儿童**年龄组低至1个月**）
- ≥65岁**患者可用



CDE评审报告：安全耐受性良好⁵

- 属急需**药物，**风险可控，耐受性良好**、给药便利依从性好
- 儿童患者**具有良好的安全性特征



真实世界验证：安全性良好

- 全球已上市超**120个国家/地区**
- 累计超3万**例患者用药，验证安全性良好

1. Jiménez-Yuste V, Res Pract Thromb Haemost. 2022 Nov 14;6(8):e12837.

2. Guy Young, et al. Blood. 2019 Dec 12;134(24):2127-2138.

3. Midori Shima, Haemophilia. 2021 Jan;27(1):81-89.

4. 艾美赛珠单抗说明书-20250605.

5. 艾美赛珠单抗-CDE评审报告

艾美赛珠单抗纳入可破解高值罕见病保障支付困局，为血友病患儿点燃生命之光， 在实现赔付风险精准管控与安全运营的同时，更将撬动参保率提升

解决罕见病患儿用药困境，民生效益显著

- 打造“**商保探路、慈善接力、企业协作**”多层次保障闭环，及时有力解决患儿“有药难及”的困境，点亮生命之光

践行惠民保社会责任，增强公众信任与认可

- 助力患儿回归正常生活，塑造**商保“健康守护者”**形象，有利于呼吁社会**参保共济、共担**罕见病治疗之责

罕见病 多层次保障 新典范

罕见病赔付风险小，安全运营管理可控

- 罕见病低发病率限定赔付规模可控。艾美赛珠单抗连续**4年实现地方惠民保安全运营**，未来企业愿协力优化**可持续安全运营范式**

撬动家庭及健康人群参保，激活参保动力

- 本品撬动**家庭及学校等团队参保**联动效应，并吸引健康人群未雨绸缪，双向提升参保率