

# 奥德昔巴特胶囊 (蓓尔唯®)

益普生 (天津) 医药商贸有限公司

**我国首个且唯一获批用于儿童罕见病PFIC的非手术靶向疗法**

**全球首创回肠胆汁酸转运体(IBAT)抑制剂**

**最适合通过商保满足临床用药需求的罕见病治疗药物，极具儿童健康发展战略价值和社会价值**

# 目录

- 1 基本信息** **全球首个，中国首个且唯一罕见儿童疾病进行性家族性肝内胆汁淤积症(PFIC)领域获批的非手术疗法，可实现所有亚型患者的长期获益**
- 2 有效性** **显著降低患儿 80% 手术或死亡风险，保护患儿自体肝，快速、持续、深度、显著发挥疗效，提高患者长期生存和生活质量，填补临床空白**
- 3 安全性** **整体安全性良好，严重TEAE发生率为0%，较对照组低25%，上市4年全球范围未发现新的安全性问题，博鳌先行先试期内国内用药患者无任何安全性问题**
- 4 创新性** **全球首创回肠胆汁酸转运体(IBAT)抑制剂，全球首个中国唯一PFIC领域靶向治疗药物，新型、可逆、强效、选择性强**
- 5 公平性** **最适合纳入商保的罕见病治疗药物，吸引投保潜力大，赔付可控；惠及更多儿童罕见病患者，极具儿童健康发展战略价值，积极响应《中国儿童发展纲要（2021-2030）》；改善照护者生活质量和心理健康，减少生产力损失，极具社会意义**

# 奥德昔巴特是全球首个，中国首个且唯一获批治疗罕见儿童疾病进行性家族性肝内胆汁淤积症(PFIC)领域所有亚型的非手术靶向药物疗法，填补临床靶向药物空白

## 奥德昔巴特胶囊基本信息<sup>1</sup>

通用名	奥德昔巴特胶囊
独家品种	是
申报目录类别	商业健康保险创新药品目录
药品注册分类	化学药品5.1类
注册规格	按C37H48N4O8S2计， (1) 200µg (2) 400µg (3) 600µg (4) 1200µg
适应症	用于治疗≥6月龄的进行性家族性肝内胆汁淤积症 (PFIC) 患者的瘙痒
用法用量	奥德昔巴特的推荐剂量为40µg/kg，每日一次，早晨口服。奥德昔巴特可与食物同时服用或不与食物同时服用。
中国获批时间	2024年12月
全球首次上市国家/地区及时间	欧盟，2021年7月

唯一描述均以药监部门审批为准，截至2025年07月20日

# 奥德昔巴特是**全球首个**，**中国首个且唯一**获批治疗罕见儿童疾病进行性家族性肝内胆汁淤积症(PFIC)领域**所有亚型**的**非手术靶向药物疗法**，**填补临床靶向药物空白**

## **建议空白药物对照**

PFIC领域**无**同作用机制药物

- **全球首个，中国首个且唯一**PFIC领域获批的回肠胆汁酸转运蛋白 (IBAT) 抑制剂型、靶向治疗药物<sup>1</sup>，**填补临床靶向药物空白**

临床**无**有效标准疗法

- 仍有相当部分患儿对UDCA等传统药物治疗及外科治疗应答欠佳<sup>2, 3</sup>，**本品**获批治疗罕见儿童疾病PFIC领域**所有亚型**，**弥补未满足临床需求**

**无**临床试验对照药物

- 根据全球多中心III期临床试验PDEFIC1，**对照组为安慰剂对照，无药物对照**<sup>4</sup>

获得多项**特殊审评**资格

- **获美欧孤儿药资格认定，纳入多国优先审评**<sup>5, 6</sup>

权威指南共识**首选推荐**

- **EASL指南、肝内胆汁淤积症诊治专家共识等首选推荐**<sup>7-10</sup>

唯一描述均以药监部门审批为准，截至2025年07月20日 UDCA：熊去氧胆酸

1. Albireo Pharma, Inc. Albireo Receives European Marketing Authorization of Bylvay™ (odevixibat), the First Drug Treatment for Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis (PFIC); 2. 来自IQVIA, SKP, Benhealth等多家咨询公司市场调研; 3. McKiernan P, Bernabeu JQ, Girard M, et al. Opinion paper on the diagnosis and treatment of progressive familial intrahepatic cholestasis[J]. JHEP Rep, 2024,6(1); 4. Thompson RJ, et al. Lancet Gastroenterol Hepatol. 2022;7:830-42; 5. 国家药品监督管理局药品审评中心2024年度药品审评报告; 6. Albireo Pharma, Inc. Albireo Submits for U.S. FDA and EMA Product Approval of Once-Daily Odevixibat for PFIC; 7. European Association for the Study of the Liver. J Hepatol. 2024 Aug;81(2):303-325; 8. McKiernan P, et al. JHEP Reports, 2024,6(1)100949; 9. 国家感染性疾病临床医学研究中心, 中华临床感染病杂志, 2021,14(6):401-412; 10. 中华医学会儿科学分会感染学组,等. 中华儿科杂志, 2022, 60(10): 990-997.

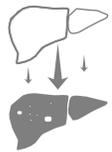
# PFIC 危及生命，疾病负担重，而传统手术治疗创伤性强、风险大，治疗短板亟需填补

## PFIC对患儿造成毁灭性影响，对**患儿、家庭和社会**带来沉重负担



### 危及生命

若未有效控制，仅50%患者能活到10岁，几乎没有患者能活到20岁<sup>1</sup>



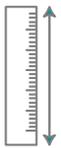
### 进展迅速

易进展为**严重晚期肝部疾病**（肝硬化和肝细胞癌），严重威胁生命<sup>2,3</sup>



### 损害患儿/家庭生活

PFIC引起的重度瘙痒可导致自残，严重影响患儿和**家庭生活**质量<sup>4</sup>



### 危害患儿生长发育

影响生长，易导致患儿身高矮小和发育迟缓，**超过一半患儿无法茁壮成长**<sup>5</sup>

73%

照护者报告了  
心理健康问题<sup>6</sup>

86%

照护者报告了  
睡眠困难<sup>6</sup>

82%

照护者报告了  
人际关系紧张<sup>7</sup>

## 传统手术治疗存在短板，**临床未满足需求大**



### 胆汁分流术

- 可导致**严重并发症**，包括肠缺血、造口脱垂或肠梗阻<sup>8,9</sup>，极大影响**患者健康及生活质量**
- 造成**永久性造口**，患者需使用引流袋<sup>10</sup>，导致**患者的焦虑、抑郁等负面情绪**，影响**正常社交生活**，同时给**患者家长带来焦虑不安**<sup>11,12</sup>



### 肝移植手术

- 儿童肝移植手术具有**高度侵入性和高风险性**：
  - 超20%患者在肝移植后**1年内死亡**<sup>13</sup>；超10%肝移植在**5年内失败**<sup>14</sup>
- 可造成多种**严重长期并发症**，且须定期复诊，影响**生命健康及生活质量**<sup>15,16</sup>
  - 肾功能障碍(62.7%)、血脂异常(29.4%)、糖尿病(21.6%)...
- 肝移植手术**费用高昂**且移植后存活患者**需终生使用免疫抑制剂**，极度消耗**医疗资源**<sup>17</sup>
- 面临**供体器官短缺、器官参差不齐**问题，严重影响**手术质量及术后恢复**<sup>18</sup>
- 小儿肝移植难度较大**，全国范围内具有相关资质的医院十分有限，**不足全国医院总数0.3%**，且集中在**北上广等超一线城市**，**患者可及差**<sup>19</sup>

PFIC: 进行性家族性肝内胆汁淤积症

1. Jones-Hughes T, et al. Orphanet J Rare Dis. 2021 Jun 3;16(1):255; 2. Gunaydin M, Cil ATB. Hepatic medicine: evidence and research. 2018;10:95; 3. Mehl A, et al. World journal of transplantation. 2016;6(2):278; 4. Jacquemin E. Clin Liver Dis. 2000 Nov;4(4):753-63; 5. Alam S, Lal BB. World J Hepatol. 2022 Jan 27;14(1):98-118; 6. Albireo. Data on File: PFIC patient testimonials (with consents provided for use in NICE submission); 2021; 7. Mighiu C, et al. Orphanet J Rare Dis. 2022 Feb 2;17(1):32; 8. Wang KS, et al. Hepatology. 2017;65(5):1645-54; 9. Mousavi SA, et al. 2014 Mar;14(3):e13549; 10. Gunaydin M, Cil ATB. Hepatic medicine: evidence and research. 2018;10:95; 11. Silva NM, et al. Psychological aspects of patients with intestinal stoma: integrative review. Journal [serial on the Internet]. 2017; 12. Mighiu C, et al. Orphanet J Rare Dis. 2022 Feb 2;17(1):32; 13. Emerick KM, et al. Hepatology. 1999 Mar;29(3):822-9; 14. Hang C, et al. J Clin Med. 2022 Aug 11;11(16):4684; 15. Kuramitsu K, et al. Transplant Proc. 2014 Apr;46(3):797-803; 16. Namgoong J-M, et al. ahhbps. 2022 02;26(1):69-75; 17. 中国药科大学《胆汁淤积性疾病社会学调研与疾病保障报告》; 18. Neuberger J. Journal of Autoimmunity. 2016 2016/01/01/:66:51-9; 19. 来自IQVIA, SKP, Benhealth等多家咨询公司市场调研

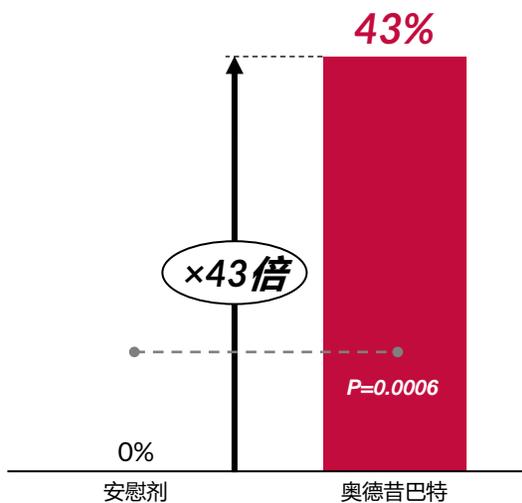
# 奥德昔巴特显著降低血清胆汁酸、改善瘙痒，全方位提升患儿睡眠及生活质量，进而改善照护者生活质量，减少社会生产力损失

## 显著降低血清胆汁酸

(血清胆汁酸水平 $\leq 70 \mu\text{mol/L}$ 或较基线减少 $\geq 70\%$ )

- 治疗24周，达到血清胆汁酸降低标准的患者比例为安慰剂组的**43倍**

24周时达到血清胆汁酸降低标准的患者%



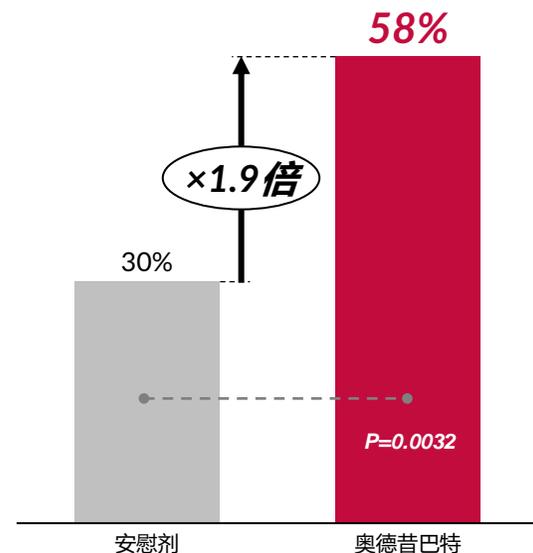
PEDFIC1<sup>1</sup>

## 显著改善瘙痒症状

(瘙痒评分 $\leq 1$ 分或较基线减少 $\geq 1$ 分)

- 治疗24周，达到瘙痒缓解标准的患者比例为安慰剂组的**1.9倍**

24周内达到瘙痒缓解标准的患者%



PEDFIC1<sup>1</sup>

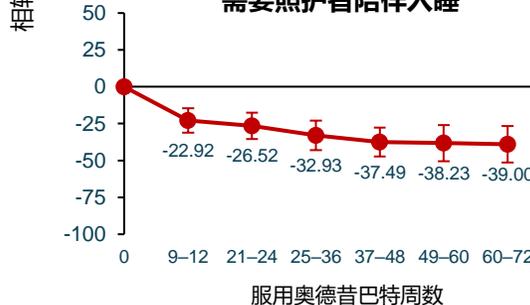
## 大幅改善睡眠质量，减少患儿对照护者需求

- 治疗72周内，奥德昔巴特**持续降低**患儿**需要照护者安抚入睡、需要照护者陪伴入睡的天数**

需要照护者安抚入睡



需要照护者陪伴入睡

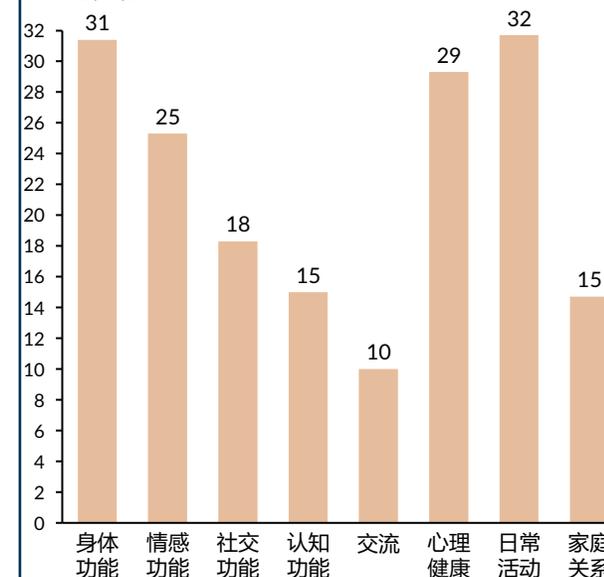


PEDFIC1&2汇总分析<sup>2</sup>

## 全方位提升患者生活质量

- 治疗72周，奥德昔巴特应答患者身体功能、情感功能、心理活动、日常活动等**8大维度均有较大改善**

从基线到72周的平均(SE)变化



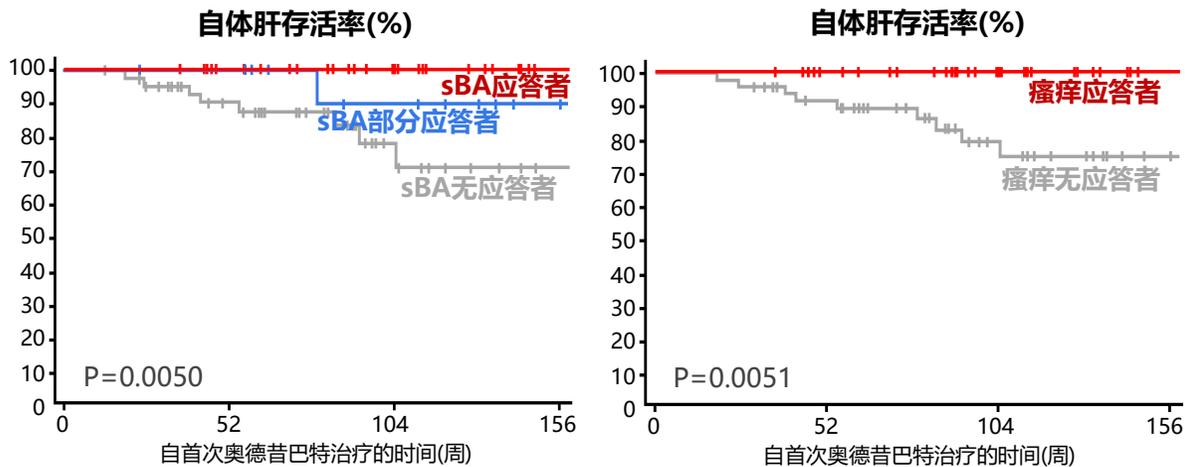
PEDFIC1&2汇总分析<sup>2</sup>

# 全球多中心临床试验及大型真实世界研究均表明奥德昔巴特**显著降低手术或死亡风险，减少有创手术需求，降低患儿因手术/早亡所致生产力损失，获权威指南共识首选推荐**

## 显著提升患者自体肝存活率，延缓或避免肝移植手术

临床试验数据显示，奥德昔巴特治疗6个月：

- 达到血清胆汁酸降低标准的患者（sBA应答者）**均未接受移植手术**
- 达到瘙痒缓解标准的患者（瘙痒应答者）**均未接受移植手术**

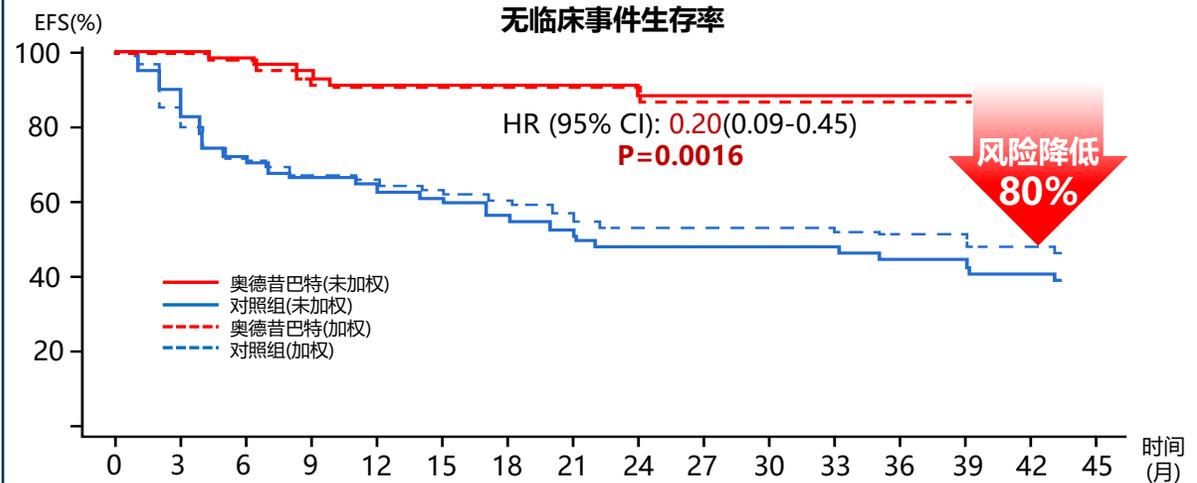


PEDFIC1&2汇总分析<sup>1</sup>

## 显著降低手术或死亡风险，延长患者无临床事件生存期

(临床事件含胆汁分流术、肝移植或死亡)

- 对比自然病史(真实世界数据)，奥德昔巴特治疗3年，临床事件风险显著降低**80%**，有效减少有创手术的需求，**显著延长患者无临床事件生存期**



OvEC研究<sup>2</sup>

## 奥德昔巴特获国内外多个权威指南的高级别推荐

- 欧洲EASL临床实践指南**强烈推荐**当有条件时，应向胆汁淤积性瘙痒症患者**提供IBAT抑制剂治疗**<sup>3</sup>
- 欧洲PFIC诊疗专家意见**推荐奥德昔巴特**作为PFIC患者**的一线治疗方案**，对疑似PFIC患者经验性**启动IBAT抑制剂治疗**<sup>4</sup>
- 中国胆汁淤积症专家共识**推荐IBAT抑制剂**用于治疗PFIC患者，奥德昔巴特被证明可**显著降低患者胆汁酸水平，改善瘙痒，改善患儿的生长**<sup>5,6</sup>

PFIC: 进行性家族性肝内胆汁淤积症; IBAT: 回肠胆汁酸转运体; sBA: 血清胆汁酸; sBA应答: 第6个月时较基线降低 $\geq 70\%$ 或 $\leq 70 \mu\text{mol/L}$ ; sBA部分应答: 第6个月时较基线降低 $\geq 30\%$ 且 $< 70\%$ ; sBA无应答: 较基线降低 $< 30\%$ 、进行肝移植或在第6个月前停止治疗;

EFS: 无临床事件生存率(临床事件含胆汁分流术、肝移植或死亡); HR: 风险比; CI: 置信区间

1. McKiernan P, et al. Poster presentation at AASLD: The Liver Meeting 2021, American Association for the Study of Liver Diseases; 12-15 November 2021; 2. Hansen B, et al. EASL 2023 (Poster presentation); 3. European Association for the Study of the Liver. J Hepatol. 2024 Aug;81(2):303-325; 4. McKiernan P, et al. JHEP Reports, 2024,6(1)100949; 5. 国家感染性疾病临床医学研究中心, 中华临床感染病杂志, 2021,14(6):401-412; 6. 中华医学会儿科学分会感染学组, 等. 中华儿科杂志, 2022, 60(10): 990-997.

# 奥德昔巴特整体安全性良好，上市4年全球范围未发现新的安全性问题，中国博鳌先行先试期内国内用药患者无任何安全性问题

注册临床研究PEDFIC1数据显示奥德昔巴特组严重TEAE发生率为**0%**，较对照组**低25%**<sup>1</sup>

奥德昔巴特上市后全球范围**未发现新的安全性问题**，**总体获益-风险良好**<sup>2</sup>

患者, n(%)	对照组 (安慰剂) n=20	治疗组 (奥德昔巴特) * n=23
任何TEAE	17(85%)	19(83%)
中度	9(45%)	7(30%)
重度	2(10%)	1(4%)
<b>严重TEAEs</b>	5(25%)	<b>0</b>
TEAEs导致停药	0	0
肝脏相关的TEAEs	4(20%)	5(22%)

\*40 µg/kg/天

- 目前奥德昔巴特已在包括中国在内的40个国家获得上市批准。中国和全球其他国家/地区药监部门均**未发布黑框警告或撤市信息**
- 本品在中国获批前准入海南博鳌先行先试区，先行先试期内**国内用药患者未发现任何安全性问题**
- 自奥德昔巴特首次商业化销售以来，全球已有近**1000**名患者使用，**未发现新的安全性问题**
- 整体**安全性特征与上市前**临床试验中的安全性数据分析结果**保持一致**，**总体获益-风险状况依然良好**
- 目前奥德昔巴特的风险管理计划中**没有额外的安全性风险需要关注**

# 奥德昔巴特是全球首创回肠胆汁酸转运体抑制剂，可实现所有PFIC亚型患者的长期获益

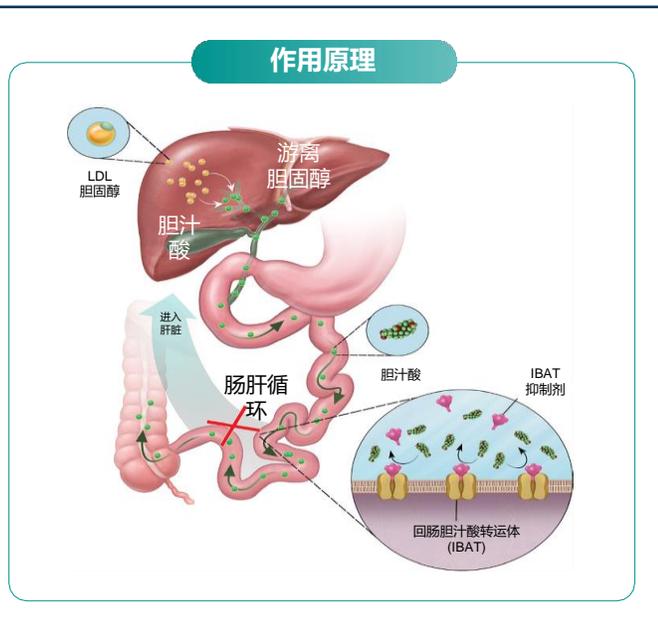
**靶点创新** 全球首创 IBAT 抑制剂，新型、可逆、强效、选择性强<sup>1,2</sup>

抑制IBAT减少回肠对胆汁酸的再吸收<sup>3</sup>

肝脏和血清中的胆汁酸水平降低

sBA降低与自体肝  
生率密切相关<sup>4</sup>

- **临床数据显示**，经奥德昔巴特治疗达到血清胆汁酸降低标准的患者**均未进行肝移植**<sup>4</sup>；
- **真实世界数据显示**，奥德昔巴特治疗3年**可显著降低80%手术或死亡风险**<sup>5</sup>



**中国豁免注册临床试验获  
批并纳入优先审评**<sup>7</sup>



**纳入美国快速审评，优先  
审评，获孤儿药资格认定**<sup>8</sup>



**纳入欧洲优先审评 (PRIME)，  
获孤儿药资格认定**<sup>8</sup>

**应用创新**

**提供无创治疗选择，具有更高便捷性，用药方式灵活方便，儿童患者友好：**

- 对于年幼的儿童，可打开胶囊，将其中颗粒混入食物或液体中随餐服用（药代动力学显示打开胶囊不会影响药物活性和疗效）<sup>6</sup>；
- 对于年龄较大的儿童，可以完整胶囊形式给药<sup>6</sup>；

# 奥德昔巴特是最适合通过商保满足临床用药需求的罕见病治疗药物，吸引投保潜力大，赔付可控



## PFIC契合商保理念，吸引公众投保潜力大

患儿发病年龄小，疾病严重程度高，对患者和家庭带来沉重负担，**奥德昔巴特纳入商保后吸引公众投保的潜力较大：**

- PFIC 通常起病于**婴幼儿期**，发病年龄2-3个月<sup>1, 2</sup>；
- PFIC **进展迅速，危及生命**，几乎没有患者能活到20岁<sup>3</sup>；
- PFIC带来了**沉重的家庭负担**：
  - 多数照护者报告了**心理健康问题，睡眠困难及人际关系紧张**<sup>4, 5</sup>
  - 每年因照护患儿导致的亲友失业及误工损失约**6.6万元**，高达2024年**全国人均国内生产总值的70%**<sup>6</sup>



## 奥德昔巴特赔付可控，出险率低，适合纳入

- PFIC为罕见病，患者人数有限，**赔付可控，出险率低**：
  - PFIC位列国家**第一批罕见病目录** (97号)<sup>7</sup>，中国发病率为：**2/100,000新生儿**<sup>1, 8</sup>
  - 根据PFIC主要诊疗中心数据，预估目前全国未接受肝移植且有治疗需求的PFIC患者仅约**700位，且均为18岁以下儿童患者**<sup>6, 8</sup>
  - 奥德昔巴特治疗PFIC目前已纳入3个省市惠民保国内特药目录和11个省市惠民保海外特药目录，**目前暂无赔付**
- 本品可替换现有安全性差、疗效不佳的传统药物疗法和创伤性强、风险大、并发症严重的手术疗法，**而不增加额外成本**，为罕见病儿童提供更有效安全的无创靶向药物治疗选择

PFIC: 进行性家族性肝内胆汁淤积症

**从长远角度看，奥德昔巴特因减少或延缓外科手术治疗的风险成本、预后成本等而节约基本医保与商保基金支出，且极具社会价值，惠及儿童罕见病患者，守护祖国未来**



## 奥德昔巴特可节约手术引起的保险基金支出

PFIC现有手术治疗等传统治疗方案**大量占用基本医保和商保资金**：

- 根据疾病调研报告，PFIC患者手术相关费用达**48万元**，需终生使用的免疫抑制剂每年费用**近万元**，同时享有基本医保和商业保险的PFIC患者基本**可实现全额报销**<sup>1</sup>：

	仅享有基本医保	同时享有基本医保和商业保险
PFIC 患者占比	93%	33%
占用基金情况	约报销65%	全额报销

- 根据成本-效用分析研究，奥德昔巴特因减少/延缓外科手术治疗，可以减少近**25万**手术相关费用，从而**节约基本医保和商业保险基金支出，减轻医疗资源负担**<sup>2</sup>



## 极具儿童健康发展战略价值和社会价值

- 奥德昔巴特治疗后可延缓手术或死亡，**减少**患儿因手术和早亡所致的**社会生产力损失**，全方位提升患儿生命健康和生活质量，**惠及罕见病儿童，极具儿童健康发展战略价值，积极响应《中国儿童发展纲要（2021-2030）》**。
- 可减轻照护者及家庭负担，改善生活质量和心理健康，**减少**父母家人因患儿照护所致**社会生产力损失，极具社会意义**

# 建议将奥德昔巴特纳入商业保险创新药品目录，惠及更多儿童罕见病患者和家庭

## 患者获益显著

**疗效突出、安全可控**，快速缓解瘙痒、显著降低手术或死亡风险，提高患者长期生存和生活质量

## 填补临床空白

奥德昔巴特是目前**中国首个且唯一获批的非手术靶向药物疗法**，可实现**所有PFIC亚型患者**的长期获益，提供无创治疗选择，**填补临床药物治疗空白**

## 符合商保属性

纳入第一批罕见病目录、费用比较高；已纳入14个省市惠民保特药目录

## 赔付可控

PFIC患者**仅约700人**、**出险率低**，用药时长有限、缩短赔付周期；可延缓或避免手术，减轻医疗资源负担，**基金支出可控、节约间接成本**

## 社会价值极高

- **极高创新价值**：全球首创IBAT抑制剂，新型、可逆、强效、选择性强，通过降低胆汁酸水平显著提升自体肝生存率；
- **极具社会意义**：提升患儿生命健康，改善照护者生活质量，**减少社会生产力损失**；
- **极具儿童健康发展战略价值**，积极响应《中国儿童发展纲要（2021-2030）》：**惠及更多儿童罕见病患者，守护祖国未来**