

# 羧基麦芽糖铁注射液

## (菲新捷<sup>®</sup>)

新增适应症： ≥ 1周岁儿童的缺铁

费森尤斯卡比（北京）医药经营有限公司

# CONTENTS 目录



基本信息



有效性



安全性



创新性



公平性

# 儿童缺铁治疗新选择，覆盖1~17岁儿童及青少年治疗领域

**【药品通用名称】** 羧基麦芽糖铁注射液

**【注册规格】** 按Fe计 10mL:500mg; 2mL:100mg

**【说明书适应症】** 本品适用于在以下情况下治疗**≥1周岁儿童及成人患者**的缺铁：口服铁剂治疗无效时；无法口服补铁时；临床上需要快速补充铁时。

**【新增适应症获批时间】** 2024 年4月17日

**【目前大陆地区同通用名药品的上市情况】** 独家

**【新增适应症首个上市国家及时间】** 美国 2021年11月19日

**【是否为 OTC 药品】** 否

**【参照药品建议】** 无。同类大剂量静脉铁剂无儿科适应症

## 儿童适应症的用法用量

### 第一步，确定个体铁需求

参阅表1总补铁简化表。为补足总铁需求量，可能需要两次剂量，根据第二步计算最大单次铁剂量。

表 1： 总补铁简化表

| Hb     |          | 患者体重        |              |           |
|--------|----------|-------------|--------------|-----------|
| g/dL   | mmol/L   | < 35 kg     | 35 kg~<70 kg | 70 kg 及以上 |
| <10    | <6.2     | 30 mg/kg 体重 | 1,500 mg     | 2,000 mg  |
| 10~<14 | 6.2~<8.7 | 15 mg/kg 体重 | 1,000 mg     | 1,500 mg  |
| ≥14    | ≥8.7     | 15 mg/kg 体重 | 500 mg       | 500 mg    |

### 第二步，计算最大单次剂量并给药

#### 1至13岁儿童和青少年

- 本品的单次最大给药剂量为：15 mg铁/kg体重或750 mg铁（15 mL本品）。
- 本品每周推荐累计剂量不得超过750 mg铁（15 mL本品）。如果总铁需求量较高，则额外剂量的施用应与首次剂量间隔至少7天。

#### 14岁及以上青少年（和成人一样）

- 本品的单次最大给药剂量为：15 mg铁/kg体重（经静脉推注）或 20 mg铁/kg体重（经静脉滴注）；
- 无论何种给药方式（经静脉推注或静脉滴注）或体重多少，单次给药剂量均不得超过1000 mg的铁（20 mL本品）。

# 儿童补铁的临床未满足需求

## 对于需要使用静脉铁剂的儿童患者，羧基麦芽糖铁能够减少输注次数，提高依从性

### 儿童缺铁/缺铁性贫血：现有可用的治疗方法会影响依从性，无法实现足量补铁

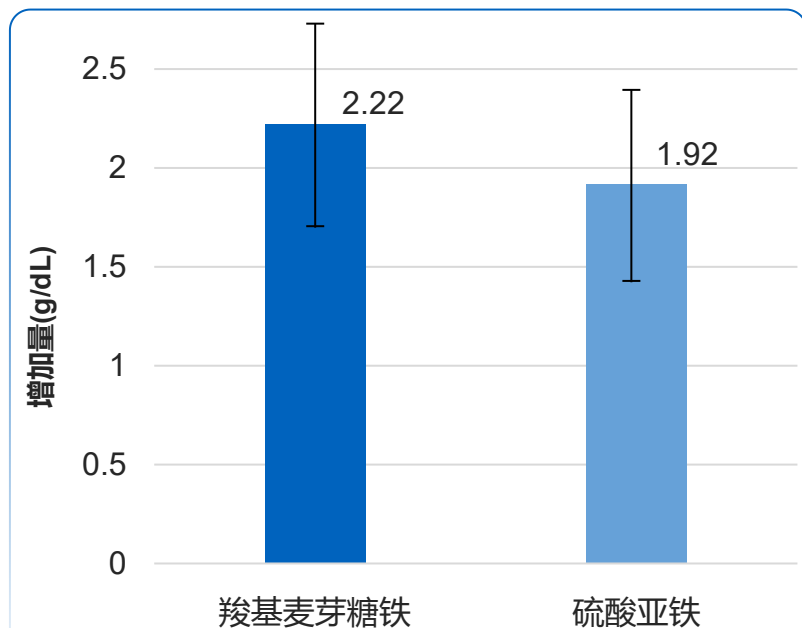
- **口服铁剂不耐受**：目前使用口服铁剂治疗缺铁/缺铁性贫血的儿童患者，有些存在口感较差，胃肠反应大等不耐受的情况
- **低剂量铁剂需要多次注射**：蔗糖铁单次使用剂量仅3mg/kg体重，需要多次输注导致使用率低，无法达到预期（20kg儿童补500mg铁需8~10次）
- **就诊难度**：婴幼儿需预留静脉置管及多次输注，学生因学业负担重，无法多次就医，导致难以补足足够剂量，家长需多次请假陪同就医
- **药学特性**：儿童血管壁较薄，反复输注可能会引起静脉炎发生

|                  | 一代铁剂                                        | 二代铁剂                                          | 三代铁剂                            | 三代铁剂                                                                                                                                |
|------------------|---------------------------------------------|-----------------------------------------------|---------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>药品通用名</b>     | 右旋糖酐铁                                       | 蔗糖铁                                           | 异麦芽糖酐铁                          | <b>羧基麦芽糖铁</b>                                                                                                                       |
| <b>中国上市时间</b>    | 2002年                                       | 2004年                                         | 2021年                           | 2022年                                                                                                                               |
| <b>是否纳入医保目录</b>  | 已纳入                                         | 已纳入                                           | 2022年纳入                         | 2023年纳入                                                                                                                             |
| <b>适应症是否覆盖儿童</b> | 仅用于14岁以上儿童                                  | 儿童 (≥ 3岁)                                     | 无儿童适应症                          | <b>≥1周岁儿童 (新增适应性)</b>                                                                                                               |
| <b>儿童使用优势与不足</b> | 若单次大剂量，输注时间4~6小时；若多次低剂量，100~200mg/次，需要5~10次 | 尚未在2岁以下儿童进行研究。如果临床需要，建议每次每公斤体重不超过3mg铁且每周不超过三次 | 由于安全性和疗效数据不足，不建议18岁以下青少年和儿童使用本品 | <b>1至13岁儿童和青少年：</b><br>单次最大给药剂量为：15 mg 铁/kg 体重或750 mg 铁 (15 mL 本品)。本品每周推荐累计剂量不得超过750 mg 铁 (15 mL 本品)。<br><b>14岁以上青少年：</b> 与成人使用方法相同 |

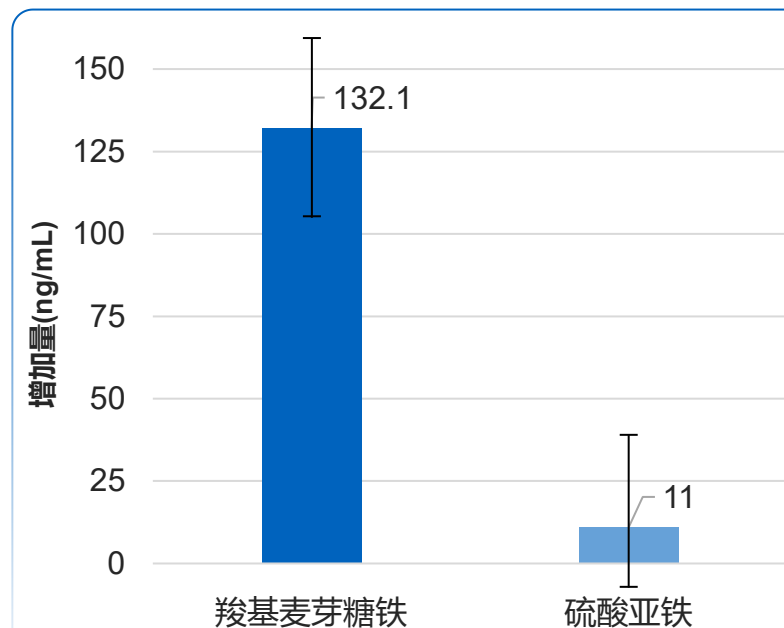
## 相比口服铁剂，羧基麦芽糖铁在铁储备补充方面具明显优势

☑ 与口服硫酸亚铁治疗相比，羧基麦芽糖铁治疗后铁蛋白和TSAT的增幅（用作衡量铁储备补充的指标）更高

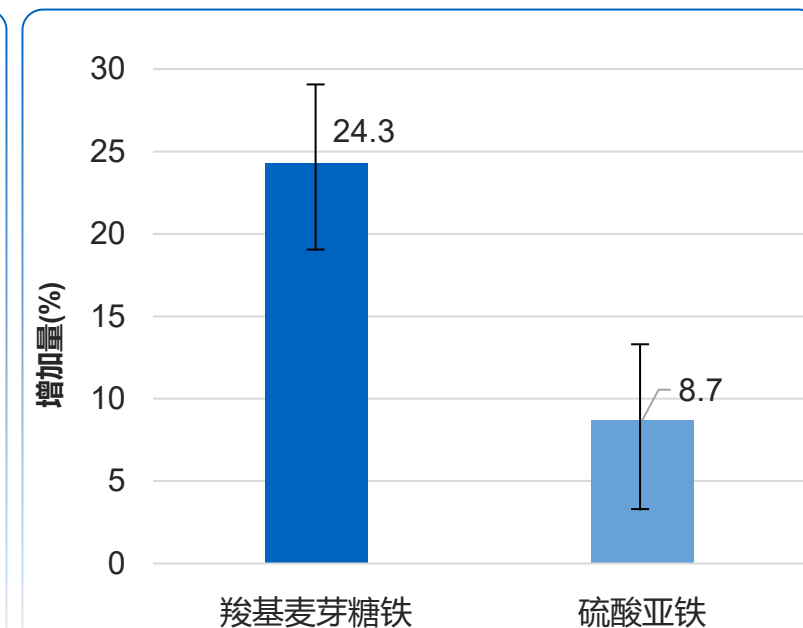
### 血红蛋白水平增加的比较(g/dL)



### 铁蛋白水平增加的比较(ng/mL)



### 转铁蛋白饱和度增加的比较(%)



注：TSAT，转铁蛋白饱和度

## 羧基麦芽糖铁治疗儿童缺铁/缺铁性贫血有效且普遍耐受性良好

### Intravenous ferric carboxymaltose for the management of iron deficiency and iron deficiency anaemia in children and adolescents: a review

Aysegül Aksan<sup>1,2</sup> · Fred Zepp<sup>3</sup> · Sangeetha Anand<sup>4</sup> · Jürgen Stein<sup>1,5</sup>

Received: 8 April 2022 / Revised: 24 June 2022 / Accepted: 29 July 2022 / Published online: 2 September 2022  
© The Author(s) 2022

#### Abstract

Iron deficiency is the primary cause of anaemia worldwide and is particularly common among children and adolescents. Intravenous (IV) iron therapy is recommended for paediatric patients with certain comorbidities or if oral iron treatment has been unsuccessful. IV ferric carboxymaltose (FCM) has recently been approved by the US Food and Drug Administration for use in children aged > 1 year. This narrative review provides an overview of the available publications on the efficacy and safety of IV FCM in children and adolescents. A literature search using PubMed and Embase yielded 153 publications; 33 contained clinical data or reports on clinical experience relating to IV FCM in subjects < 18 years of age and were included in the review. No prospective, randomised controlled studies on the topic were found. Most publications were retrospective studies or case reports and included patients with various underlying conditions or patients with inflammatory bowel disease. Efficacy data were included in 27/33 publications and improvements in anaemia, and/or iron status parameters were reported in 26 of them. Safety data were included in 25/33 publications and were in line with the adverse events described in the prescribing information.

*Conclusion:* The available publications indicate that IV FCM, a nanomedicine with a unique and distinctive therapeutic profile, is an effective and generally well-tolerated treatment for iron deficiency or iron deficiency anaemia in children and adolescents. Despite the wealth of retrospective evidence, prospective, randomised controlled trials in the paediatric setting are still necessary.

### 系统综述评价羧基麦芽糖铁在儿科领域的应用

- 对33篇关于羧基麦芽糖铁（FCM）在年龄小于18岁的受试者中的临床数据或经验进行了回顾。大多数文献是回顾性研究或病例报告，包括有各种基础疾病的患者。
- **已发表数据表明：羧基麦芽糖铁治疗与儿童和青少年（包括年龄小于14岁的人）的铁状态参数和缺铁性贫血的改善有关。**

# 国内外指南推荐

## 羧基麦芽糖铁可用于治疗儿童缺铁/缺铁性贫血患者

| 提到FCM的指南/共识                                                 | 推荐内容                                                                                                                     | 推荐级别              |
|-------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------|
| 意大利胃肠病学、肝病学和营养学会(SIGENP)临床实践指南：儿童炎症性肠病贫血的诊断和管理 <sup>1</sup> | 建议将静脉补铁作为活动性IBD和/或中重度贫血患者以及轻中度贫血和既往口服铁剂不耐受患者的一线治疗方法                                                                      | 强推荐,证据质量高,同意率100% |
|                                                             | <b>羧基麦芽糖铁可用于≥14岁儿童中至重度贫血的一线治疗；</b><br>尽管在欧洲未被许可用于年龄小于 14 岁的儿童，该药物可考虑用于治疗有症状的≤14岁儿童的严重贫血,以降低输血风险（羧基麦芽糖铁儿童适应症2023年2月于欧洲获批） | 强推荐,证据质量高,同意率80%  |
| 2020 葡萄牙共识：儿童炎症性肠病贫血的诊断、治疗和管理 <sup>2</sup>                  | 对于所有Hb > 6 g/dL(血流动力学稳定且无心血管疾病或其他合并症)的儿童IBD患者，应考虑将静脉注射铁作为一线治疗                                                            | 儿科证据等级 2b         |
| 伴/不伴贫血的儿童缺铁的诊断和管理：瑞士儿科肿瘤学组（SPOG）儿童血液学工作组的共识建议 <sup>3</sup>  | 输注静脉铁剂是口服给药的唯一替代方案，静脉铁剂治疗的主要优势是：(a) 减少胃肠道不良反应；(b) 绕过肠粘膜屏障                                                                |                   |

| 推荐静脉铁剂的国内指南                     | 推荐内容                                                                          |
|---------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------|
| 儿童慢性肾脏病贫血诊断与治疗专家共识 <sup>4</sup> | 血液透析患儿建议使用静脉铁剂；在静脉铁剂治疗期间，严密监测患儿的铁代谢状态，TSAT维持在20%~50%，SF水平维持在100-300 μg/L时较为适宜 |

1. Dig Liver Dis. 2024 Mar 18;S1590-8658(24)00277-9.

2. GE Port J Gastroenterol. 2020 Jul;27(4):244-254.

3. Eur J Pediatr. 2020 Apr;179(4):527-545.

4. 儿童慢性肾脏病贫血诊断与治疗专家共识.中国实用儿科杂志.2018,33(7):493-497.

**注释：** IBD，炎症性肠病；Hb，血红蛋白；TSAT，转铁蛋白饱和度；SF，血清铁蛋白。

# 临床试验和上市后不良反应监测数据显示其良好的安全性

自2007年上市以来，全球无任何黑框警告、撤市信息发布

- ☑ **86个国家**获批，**54个临床试验**，羧基麦芽糖铁入组 9,477 例患者
- ☑ 截止2022年数据，全球**累计19,758,793**患者年使用，严重不良反应报告率仅为0.098%
- ☑ 中国 III 期研究中，**未观察到新的或非预期的TEAE**（治疗期内不良反应）

**羧基麦芽糖铁不良反应发生率(ADR)与同类产品相当多为轻、中度，多数症状可自行缓解**

**更新说明书**中关于**儿科新适应症**的安全性描述：

- ☑ 9千多名受试者（包括100多名1至17 岁儿童和青少年）接受本品后报告的ADR：最常报告ADR 是恶心（3.2%），其次是注射/输注部位反应、低磷血症、头痛、潮红、头晕和高血压。
- ☑ **羧基麦芽糖铁用于1 至17 岁儿童和青少年的安全性特征与成人相当**。在7项临床研究中，有110名儿童患者接受了本品治疗。**未报告严重ADR**。



# 独特的结构和机制

## 提升儿童补铁效率，降低过敏风险，节省时间和管理成本

### 技术创新：创新的纳米级糖铁络合结构

#### 结构稳定，极大提升补铁效率

铁核与多糖结合牢固，与铁蛋白结构类似。相比蔗糖铁的包裹式铁剂，更为稳定。

#### 释放缓慢，游离铁极低，降低使用时安全性顾虑

载药量大，且经巨噬细胞吞噬后，稳定缓释，游离铁极低，完美解决第二代静脉铁剂注射液无法一次性足剂量给药难题

#### 过敏风险低

高剂量的非右旋糖酐类铁复合物，过敏反应风险低

### 应用创新：突破当前临床治疗局限

#### 高效足量

- 14岁及以上青少年及成人患者可一次补充1000mg铁
- 1至13岁儿童单次补铁最多可达750 mg，较蔗糖铁更快速完成足量补铁

#### 快速便捷

- 15分钟快速输注，减少输注与患者往返医院次数
- 具有100mg、500mg两种规格，兼顾低补铁需求量的患者使用

#### 安全性特征与成人相当

- 用于1至17岁儿童和青少年的安全性特征与成人相当<sup>1</sup>
- 无需过敏试验，活性铁含量0.6%，低于其他静脉铁剂<sup>2</sup>

1. 羧基麦芽糖铁说明书（修改日期：2024年4月17日）

2. 王方海,赵维,陈建芳,等.补铁剂研究进展[J].药学进展,2016,40(9):9.

## 对医保基金影响可控，可以弥补目前儿童补铁治疗未满足需求

### 提升公共健康的管理

- **降低了儿童患者的输血需求<sup>1</sup>，缓解血液供需紧张，降低输血感染和死亡风险，推进临床合理用血**
- 减少不必要的输血，把宝贵的血资源用在更需要的人身上
- 减少手术并发症和感染，缩短住院天数，减轻医护负担

### 弥补目录短板

羧基麦芽糖铁是**第一个且目前唯一**在美国、欧洲及**中国**被批准用于治疗**1岁以上儿童适应症**的大剂量铁剂，**中国于2024年4月17日获批，可以弥补目录短板。**

### 符合“保基本”原则

- **进一步满足≥1岁儿童患者的补铁需求：**  
口服铁剂治疗无效时；无法口服补铁时；临床上需要快速补充铁时
- **降低患者疾病负担，对医保基金影响可控**



显著减少输注次数  
提高患者依从性



异体输血率  
平均降低75%



EPO使用量  
平均降低30%



缩短住院时间  
3天

### 临床管理便利

缺铁性贫血检查和评估方法快捷成熟，注射铁剂输注指征清晰，便于医保审核，无滥用风险。