

中国首个心肌肌球蛋白抑制剂 阿夫凯泰片获批上市

文 / 国家癌症中心/国家肿瘤临床医学研究中心/中国医学科学院北京协和医学院肿瘤医院 贺飞

关键词: 阿夫凯泰片; 梗阻性肥厚型心肌病; 靶向用药

2025年12月22日, 国家药品监督管理局通过优先审评审批程序, 批准1类创新药阿夫凯泰片上市。这款用于治疗纽约心脏协会(NYHA)心功能分级II-III级梗阻性肥厚型心肌病(HCM)的新药, 为广大患者带来了新选择, 标志着该病的治疗迈入新阶段。

一、肥厚型心肌病及关注人群

肥厚型心肌病(HCM)是一种以心室壁心肌肥厚为核心特征的疾病, 病因多与基因突变导致的肌球蛋白过度收缩密切相关, 进而引发心室壁肥厚、舒张功能障碍等病理生理改变。该病是一种全球性疾病, 发病率超过1/500, 男女比例大致为3:2。我国患病率约为80/10万。

肥厚型心肌病分为梗阻性与非梗阻性两类。梗阻性肥厚型心肌病主要临床症状包括胸痛、呼吸困难、心悸及晕厥等, 是年轻人发生心源性猝死、心力衰竭和心房颤动的重要原因。

二、梗阻性肥厚型心肌病的药物治疗

在阿夫凯泰片上市前, 梗阻性肥厚型心肌病的治疗药物包括 β 受体阻滞剂、非二氢吡啶类钙通道阻滞剂和丙吡胺等。这些药物通过减慢心率、减弱心肌收缩力来缓解症状, 但不能延缓疾病进展。对于药物难治或症状严重的患者, 虽可选择室间隔减容术等手术或介入治疗, 但存在感染风险高、技术要求严格等问题。

近年来, 心肌肌球蛋白抑制剂(CMI)通过靶向作用于心肌肌球蛋白的三磷酸腺苷(ATP)酶, 使心肌收缩与舒张重获平衡, 有效改善了患者的心功能及临床症状。

三、阿夫凯泰片的临床疗效及安全性

阿夫凯泰片属于第二代心肌肌球蛋白抑制剂, 可精准作用于肌球蛋白的关键调控区域(U50/L50亚结构域), 在快速缓解梗阻、改善症状与功能、逆转心脏重构、降低手术需求等方面满足了临床治疗需求。

阿夫凯泰片的获批基于一项全球多中心、随机、双盲、安慰剂对照的关键III期临床研究(SEQUOIA-HCM)。研究共纳入282名有症状的NYHA心功能分级II-III级梗阻性肥厚型心肌病患者。结果显示: 经阿夫凯泰片治疗12周, 心功能改善在I级及以上的患者比例达48.6%; 至24周时, 这一比例提升至58.5%。治疗24周后, 基线符合室间隔减容术指征的患者中, 88%已无须接受该手术。安全性方面, 阿夫凯泰组的总体不良事件和严重不良事件发生率与安慰剂组相似。

与传统的“对症治疗”药不同, 心肌肌球蛋白抑制剂更倾向于“治本”。期待阿夫凯泰片惠及更多梗阻性肥厚型心肌病患者。**赛物与A**

本文编辑: 李修坤

