



紫贝壳公益  
Chinese Organization  
For Scleroderma



多一分了解  
多一点安心

药物治疗 >>>  
TREATMENT



成都紫贝壳公益服务中心



# Opsumit（马西替坦）

Opsumit（马西替坦）是由Actelion Pharmaceuticals开发并经美国食药监局（FDA）批准用于治疗肺动脉高压（PAH）的口服药物。

肺动脉高压的特征是其血液输送到肺部的血管中存在异常高压。这是由血管变窄和对血流的抵抗力增强导致的高压引起的。肺动脉高压是系统性硬皮病患者可能发生的严重并发症。

## 1) Opsumit作用机理

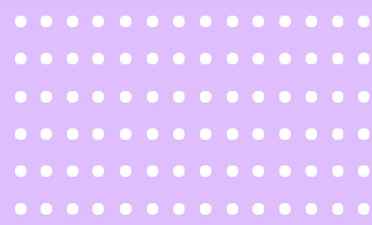
内皮素-1是引起血管变窄的分子之一。内皮素受体拮抗剂（例如Opsumit）通过阻断内皮素的结合伴侣而起作用，从而导致血管变宽和血压降低。

虽然无法治愈肺动脉高压，但Opsumit可以改善症状并减慢疾病进程。

## 2) Opsumit临床试验

一项名为SERAPHIN的III期临床试验（NCT00660179）研究比较了742例12岁以上青少年多种并发症（包括硬皮病）引起的肺动脉高压患者，患者入组后被分为三组，分别服用两种剂量的Opsumit和安慰剂，从





而研究比较其效果。

第一组的患者每天服用3mg Opsumit，第二组的受试者每天服用10mg的Opsumit，持续一年半至两年。第三组受试者服用安慰剂。

结果表明，10mg Opsumit可降低症状恶化风险，可规避前列腺素治疗（一种肺动脉高压治疗方法）、肺移植、房间隔造瘘（心脏手术）或死亡，与安慰剂组相比，相关风险降低了45%，而3mg的Opsumit患者组其风险降低了30%。

10mg的Opsumit还可将住院治疗风险降低一半，而3mg的Opsumit可将这种风险降低34%。

在6分钟步行测试中，接受两种不同剂量Opsumit的患者均能比安慰剂组患者走得更远，该测试用于测量患有慢性肺部或心脏疾病的人的运动能力。

Opsumit耐受性良好，但是与接受安慰剂的患者（0.4%）相比，接受10mg或3mg的Opsumit药物治疗的患者的红细胞计数较低（分别为4.3和1.7%）。

该临床试验于2012年完成，研究结果发表在《新英格兰医学杂志》上。

一项开放性试验SERAPHIN（NCT00667823）调查了Opsumit的长期





安全性，发现它与PDE-5抑制剂（另一种常用于治疗肺动脉高压的药物）没有相互作用，而PDE-5抑制剂确实不会显著改变人体中的Opsumit水平。较高的Opsumit浓度会导致肺血管的阻力降低和血压降低。

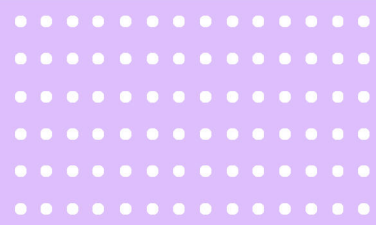
Actelion还正在进行一项开放性的III期临床试验（NCT02932410），该试验旨在测试Opsumit在2-18岁多种并发症（包括硬皮病）引起的患有肺动脉高压儿童的疗效。目前没有关于在儿童中安全使用Opsumit的数据。患者将服用Opsumit或接受常规治疗。研究人员将评估患者的症状恶化、住院次数、心脏手术或肺移植的必要性以及死亡情况。这项研究目前正在全球89个地点招募，并计划招募300名患者。本试验于2017年11月开始，计划于2022年结束。

Actelion赞助的另一项开放性的第IV期研究（NCT02968901）旨在确定10mg Opsumit+40mg Adcirca（他达拉非）（另一种肺动脉高压药物）对由硬皮病等多种并发症引起的肺动脉高压患者的影响。将根据肺血管阻力的变化以及疾病严重程度的其他指标评估患者。该研究于2015年开始，于2019年终止。

### 3) 有关Opsumit的更多详细信息

服用Opsumit的妇女应避免怀孕，因为这种药物可能会导致严重的胎





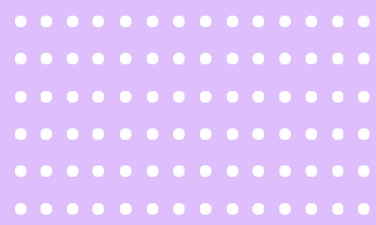
儿先天缺陷。美国食药监局FDA要求Opsumit制定风险评估和缓解策略（REMS），此计划仅限女性，其主要目标是教育医疗保健从业者，药剂师和患者安全使用Opsumit，了解其可能导致先天缺陷的风险，并降低偶然性先天缺陷的发生率。

该计划的一项规定要求所有育龄妇女在接受Opsumit期间每月都要接受一次妊娠试验。药物只能从经认证的药房中分配。

服用Opsumit时可能发生的常见副作用：鼻塞、喉咙痛、气道刺激（支气管炎）、头痛、流感样症状（发烧，发冷，身体疼痛）和尿路感染。

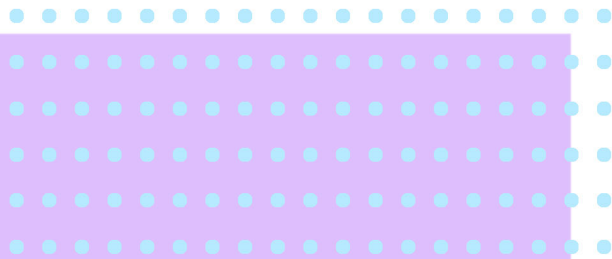
| 马西替坦   |   |
|--------|---|
| 通用名    | 马西替坦 (Macitentan)                                 |
| 商品名    | Opsumit傲朴舒  |
| 针对症状   | 治疗肺动脉高压 (PAH)                                     |
| 作用机理   | 阻断内皮素的结合伴侣而起作用，从而导致血管变宽和血压降低。                     |
| 潜在副作用  | 鼻塞、喉咙痛、气道刺激 (支气管炎)、头痛、流感样症状 (发烧, 发冷, 身体疼痛) 和尿路感染。 |
| 其他注意事项 | 不适合手术的慢性血栓栓塞性肺动脉高压的患者。                            |





本网站不提供专业医疗建议、诊断或疗法。网站上的内容并不是为了取代相关的医嘱、诊断或疗法。如您有健康问题，请立刻咨询专业医师或其他有资质的医疗机构。请勿因在此网站上浏览的相关内容而忽视专业医师建议或延迟就医。





ORGANIZATION  
INTRODUCTION

---

## 机构简介

成都紫贝壳公益服务中心（简称：紫贝壳公益，原名：硬皮病关爱之家），2016年由硬皮病患者及家属发起创办的中国硬皮病（SSc）患者关爱组织，并于2020年在成都市民政局登记注册。

紫贝壳公益致力于提升疾病公众认知，搭建相关方沟通协作的桥梁，帮助和关爱患者及家庭，并努力为患者寻求更多治疗、康复、帮扶路径，推动中国硬皮病医疗事业的进步。



愿景：人们不再害怕硬皮病

使命：帮助硬皮病患者勇敢有尊严的面对疾病，  
提高患者及家庭的生活质量

口号：爱，让我们更柔软

本手册由以下机构授权翻译



The Scleroderma Education Project

CONTACT

## 联系方式

办公电话：18180768676

邮箱：info@sscchina.org

网站：www.sscchina.org

新浪微博：@紫贝壳公益

微信公众号：紫贝壳公益

病友交流QQ群：152267349（进群需提供  
诊断证明）



扫码关注