

# 2024年国家医保药品目录调整 申报材料（公示版）



## 中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

药品名称： 卡谷氨酸分散片

企业名称： 武汉远大制药集团销售有  
限公司

## 申报信息

申报时间	2024-07-11 20:22:35	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2019年1月1日至2024年6月30日(含，下同)期间，经国家药监部门批准上市的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2019年1月1日至2024年6月30日期间，经国家药监部门批准，适应症或功能主治发生重大变化，且针对此次变更获得药品批准证明文件的通用名药品。
- 3.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入卫生健康委等部门《首批鼓励研发申报儿童药品清单》《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》《第四批鼓励研发申报儿童药品清单》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》《第三批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症或功能主治中包含有卫生健康委《第一批罕见病目录》《第二批罕见病目录》所收录罕见病的药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	卡谷氨酸分散片	医保药品分类与代码	XA16AAK146A006010183383 ; XA16AAK146A006010283383 ; XA16AAK146A006010383383
药品类别	西药	是否为独家	否
④ 药品注册分类	化学药品3类		
核心专利类型1	卡谷氨酸固体制剂及其制备方法	核心专利权期限届满日1	2040-11
核心专利类型2	高纯度卡谷氨酸及其制备方法	核心专利权期限届满日2	2039-06
核心专利类型3	一种精制卡谷氨酸的方法	核心专利权期限届满日3	2036-11
核心专利类型1	卡谷氨酸固体制剂及其制备方法	核心专利权期限届满日1	2040-11
核心专利类型2	高纯度卡谷氨酸及其制备方法	核心专利权期限届满日2	2039-06
核心专利类型3	一种精制卡谷氨酸的方法	核心专利权期限届满日3	2036-11
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	200mg		
上市许可持有人(授权企业)	远大医药(中国)有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症引起的高氨血症；异戊酸血症引起的高氨血症；甲基丙二酸血症引起的高氨血症；丙酸血症引起的高氨血症。		
说明书用法用量	本品需在具有治疗代谢疾病经验的医生监督指导下使用。可根据患者情况考虑合并使用其他降氨疗法和饮食蛋白限制。根据临床经验，最早可在出生后第1天开始治疗，起始剂量应为每日100mg/kg，必要时可增加至250mg/kg。然后应个体化调整剂量，以维持患者正常血氨水平(见【注意事项】)。在长期治疗时，只要达到充分地代谢控制，可以根据体重增加剂量；每日剂量范围为10mg/kg至100mg/kg。(详见说明书)		
所治疗疾病基本情况	甲基丙二酸血症(发病率1/15213)，丙酸血症(发病率1/195492)，异戊酸血症(发病率1/195492)，N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症引起的高氨血症，均为第一批罕见病目录范围内疾病。常发于新生儿期，以血氨显著升高和中枢神经系统功能受损为主要特点，起病急、进展快，如不及时诊断、合理治疗，可导致患儿死亡。高氨血症致死率极高，11岁生存率仅为35%。高氨血症患儿常存在生长不良、神经发育障碍。		
中国大陆首次上市时间	2023-06	注册号/批准文号	国药准字H20234128

该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2003-01
是否为OTC	否		
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	卡谷氨酸分散片(卡巴谷®)2023年6月获批。卡谷氨酸是国内唯一批准用于治疗甲基丙二酸血症、丙酸血症、异戊酸血症和N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症引起的高氨血症的药物；同时卡谷氨酸是唯一被FDA批准用于治疗甲基丙二酸血症、丙酸血症相关高氨血症的药物。		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a>	企业承诺书.pdf	
药品最新版法定说明书	<a href="#">↓ 下载文件</a>	卡谷氨酸说明书.pdf	
所有《药品注册证书》(国产药品)或《进口药品注册证》(进口药品),包括首次上市的批准注册证明文件和历次补充注册、再注册批准证明文件,请扫描成一个文件后上传	<a href="#">↓ 下载文件</a>	卡谷氨酸注册证书.pdf	
申报药品摘要幻灯片(含经济性/价格费用信息)	<a href="#">↓ 下载文件</a>	卡谷氨酸分散片PPT1含经济性.pptx	
申报药品摘要幻灯片(不含经济性/价格费用信息)将同其他信息一同向社会公示	<a href="#">↓ 下载文件</a>	卡谷氨酸分散片PPT2不含经济性.pptx	

## 参照药品信息

说明：

- 参照药品原则上应为同治疗领域内临床应用最广泛的目录内药品，最终参照药品认定以专家评审意见为准。
- 中成药：一律填写日均费用。
- 西药：(1)慢性病用药，原则上计算日费用，如有治疗周期，标注治疗周期。  
(2)急救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。  
(3)肿瘤、罕见病用药原则上按365天用药计算年费用，如说明书中严格限定了治疗周期，可按治疗周期计算疗程费用，并予以说明。  
(4)其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。  
(5)计算过程中如涉及以下指标，请统一按以下标准计算上述费用，如未按以下标准，请说明。  
① 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m<sup>2</sup>。  
② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m<sup>2</sup>。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价(元) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额(元)
0	否	0	0	0	年度费用	0	0

参照药品选择理由：无

其他情况请说明：-

## 二、有效性信息

试验类型1	真实世界数据
试验对照药品	无对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	在MMA(n=21), PA(n=16)或IVA(n=4)患者中，共48次失代偿发作的基线0氨0平和经卡0氨酸治疗后的研究终点。新00

	与□新□□基线□氨□平分别为468.3(±365.3)μmol/L和171.3(±75.7)μmol/L，研究终点□氨□平分别为60.7(±36.5)μmol/L和55.2(±21.8)μmol/L。两组□氨恢复正常的中位时间分别为38.4hr和28.3hr。
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 卡谷氨酸促进经典有机酸尿症中氨的快速解毒具有良好的风险-效益比—一项回顾性观察研究.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	38名MMA或PA患者纳□研究，其中21名患者被分配到卡□氨酸维持治疗（50mg/kg/天）联合标准治疗组，17名患者被分配到标准治疗组。2年随访期间，卡□氨酸维持治疗联合标准治疗组患者平均接受6.31次急诊治疗，标准治疗组患者平均接受12.76次急诊治疗。
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 卡谷氨酸长期疗效研究在丙酸血症PA和甲基丙二酸血症MMA患者中的应用—一项随机临床试验.pdf
试验类型1	真实世界数据
试验对照药品	无对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	在MMA(n=21), PA(n=16)或IVA(n=4)患者中，共48次失代偿发作的基线□氨□平和经卡□氨酸治疗后的研究终点。新□□与□新□□基线□氨□平分别为468.3(±365.3)μmol/L和171.3(±75.7)μmol/L，研究终点□氨□平分别为60.7(±36.5)μmol/L和55.2(±21.8)μmol/L。两组□氨恢复正常的中位时间分别为38.4hr和28.3hr。
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 卡谷氨酸促进经典有机酸尿症中氨的快速解毒具有良好的风险-效益比—一项回顾性观察研究.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	无对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	38名MMA或PA患者纳□研究，其中21名患者被分配到卡□氨酸维持治疗（50mg/kg/天）联合标准治疗组，17名患者被分配到标准治疗组。2年随访期间，卡□氨酸维持治疗联合标准治疗组患者平均接受6.31次急诊治疗，标准治疗组患者平均接受12.76次急诊治疗。
试验数据结果证明文件（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 卡谷氨酸长期疗效研究在丙酸血症PA和甲基丙二酸血症MMA患者中的应用—一项随机临床试验.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国《罕见病诊疗指南（2019年版）》，推荐卡谷氨酸用于MMA /PA /NAGSD患者的药物治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译文件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 罕见病诊疗指南2019年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《单纯型甲基丙二酸尿症饮食治疗与营养管理专家共识》2018，推荐卡谷氨酸用于MMA患者的药物治疗。

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 单纯型甲基丙二酸血症饮食治疗与营养管理专家共识2018.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《尿素循环障碍的三级防控专家共识》2021，推荐卡谷氨酸用于NAGSD的急性失代偿期治疗和稳定期治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 尿素循环障碍的三级防控专家共识2021.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《欧洲甲基丙二酸血症和丙酸血症诊疗指南》，推荐卡谷氨酸用于MMA、PA降氨治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 欧洲甲基丙二酸血症与丙酸血症诊治指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国《罕见病诊疗指南（2019年版）》，推荐卡谷氨酸用于MMA /PA /NAGSD患者的药物治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 罕见病诊疗指南2019年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《单纯型甲基丙二酸血症饮食治疗与营养管理专家共识》2018，推荐卡谷氨酸用于MMA患者的药物治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 单纯型甲基丙二酸血症饮食治疗与营养管理专家共识2018.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《尿素循环障碍的三级防控专家共识》2021，推荐卡谷氨酸用于NAGSD的急性失代偿期治疗和稳定期治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 尿素循环障碍的三级防控专家共识2021.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《欧洲甲基丙二酸血症和丙酸血症诊疗指南》，推荐卡谷氨酸用于MMA、PA降氨治疗。
临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节（外文资料须同时提供原文及中文翻译件）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 欧洲甲基丙二酸血症与丙酸血症诊治指南.pdf
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	无
《技术审评报告》原文（可节选）	-
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述	无

### 三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	(1) N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症：最常的的不良反应（≥13%的患者发生）有呕吐、腹痛、发热、扁桃体炎、贫血、腹泻、耳部感染、感染、鼻咽炎、血红蛋白降低和头痛。(2) 丙酸血症和甲基丙二酸血症：最常见的不良反应（≥5%）为中性粒细胞减少症、贫血、呕吐、电解质失衡、食欲减退、低血糖、困倦/木僵、脑病和胰腺炎/脂肪酶升高。(3) 异戊酸血症：1例基线天门冬氨酸氨基转移酶升高的患者在研究过程中出现肝酶进一步升高的严重不良反应。上市后不良反应：卡谷氨酸分散片上市后发现以下不良反应。这些反应由不确定规模的人群自发报告，因此不能可靠地估计其频率或确定其与药物暴露的因果关系。精神疾病：躁狂；皮肤及皮下组织类疾病：瘙痒、皮疹（包括红斑性发疹、斑丘疹、脓疱疹）。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	药品上市后，各国家或地区药监部门5年内未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息。
相关报导文献	-

### 四、创新性信息

创新程度	欧盟孤儿药认证：2008年获得欧盟委员会孤儿药资格的认定，用于治疗有机酸血症。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 孤儿药证明.pdf
应用创新	1.分散片剂型创新：速崩、速效，服用方便，稳定性强，高效，尤其针对有吞咽困难的婴幼儿急救应用。2.卡谷氨酸分散片为刻痕制剂，处方灵活性大，非常适用于昏迷病人和新生儿鼻饲给药。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 分散片制备技术及质量评价研究进展.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

中国医疗保障  
CHINA HEALTHCARE SECURITY

### 五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	1.《第一批罕见病目录》：甲基丙二酸血症 MMA（#71），丙酸血症PA（#99），异戊酸血症IVA（#58），N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症NAGSD（#79）；2.患者与家庭疾病负担严重：频繁高氨血症发作，病死率高，致残率高；需要严格控制蛋白摄入，严重影响生长发育；3.卡谷氨酸可改善疾病现状：快速控制血氨，并维持正常水平；降低发作次数，改善营养与发育。
符合“保基本”原则描述	1.卡谷氨酸分散片解决了儿童罕见病患者的病有所医、医有所药、药有所保的基本需求，尤其是新生儿为主的罕见病患者。2.卡谷氨酸分散片是儿童罕见病患者生存并健康成长的最基本保障。符合十四五规划中“完善儿童健康服务体系，预防和控制二重疾病，减少儿童死亡和严重出生缺陷发生”的政策要求。
弥补目录短板描述	1.《第一批罕见病目录》疾病治疗药品:甲基丙二酸血症 MMA（#71），丙酸血症PA（#99），异戊酸血症IVA（#58），N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症NAGSD（#79）。2.卡谷氨酸是国内MMA，PA，IVA，NAGSD患者唯一的药物治疗选择。3.卡谷氨酸上市弥补了第一批罕见病目录患者无药可用的空缺。
临床管理难度描述	1. MMA，PA，IVA 和NAGSD，是儿童罕见病，诊断明确，无临床滥用险；2.卡谷氨酸特异性极强，无超说明书用药案例。3.用药患者在有支付保障的基础上依从性良好；4.口服制剂，刻痕分散片，服用方便，速崩速效（尤其针对婴幼儿急救使用）。