

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：注射用维拉昔酶 α ，注射剂

企业名称：武田（中国）国际贸易有
限公司

申报信息

申报时间	2024-07-13 09:57:04	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)	注射用维拉苷酶 α ,注射剂	医保药品分类与代码	XA16ABW123B001010183330
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	治疗用生物制品3.1类		
核心专利类型1	生物制品医药用途专利	核心专利权期限届满日1	2030-07
核心专利类型1	生物制品医药用途专利	核心专利权期限届满日1	2030-07
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	400U/瓶		
上市许可持有人(授权企业)	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch		
说明书全部适应症/功能主治	适用于1型戈谢病患者的长期酶替代治疗(ERT)(此次申报适应症人群为儿童1型戈谢病患者)		
说明书用法用量	1.酶替代疗法初治患者的推荐起始剂量:对于未接受过酶替代治疗的成人和未接受过酶替代治疗的4岁及4岁以上儿童患者,维拉苷酶 α 的推荐起始剂量为60U/kg,隔周一次。剂量可根据每例患者治疗目标的达成和维持情况进行调整。2.从伊米苷酶换药至维拉苷酶 α 目前正在接受稳定剂量伊米苷酶治疗的1型戈谢病成人患者和4岁及4岁以上儿童患者,可换药至维拉苷酶 α ,即在伊米苷酶末次给药后2周以既往伊米苷酶相同剂量开始维拉苷酶 α 治疗。剂量可根据每例患者治疗目标的达成和维持情况进行调整。		
所治疗疾病基本情况	戈谢病是一种由于基因突变导致的溶酶体贮积症。约2/3的患者在儿童期发病,发病越早,症状越重。儿童患者可出现脾肿大(5-15倍),伴重度肝功能异常、贫血、血小板减少、广泛骨骼异常(骨痛、骨梗死、骨危象)和生长发育迟缓等症状,这些症状严重影响患儿的生命质量和寿命,甚至导致出现严重畸形或早期死亡。戈谢病为第一批罕见病目录中的疾病,患病率约为1/50万~1/20万,儿童患者全国预估不到300人		
中国大陆首次上市时间	2021-04	注册证号/批准文号	国药准字SJ20210013
该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	2010-02
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	除维拉苷酶 α 外,注射用伊米苷酶和酒石酸艾格司他胶囊可用于治疗1型戈谢病。伊米苷酶上市时间为2008年,尚未纳入国家医保药品目录;酒石酸艾格司他上市时间为2022年,已于2023年纳入谈判药品目录。对比伊米苷酶,①维拉苷酶 α 是戈谢病中唯一在人细胞系中生产的酶替代药物(伊米苷酶在仓鼠卵巢细胞系中生产),具有与天然人葡萄糖脑苷脂酶完全相同的氨基酸序列,因此免疫原性低,抗体生成少于伊米苷酶;②维拉苷酶 α 与伊米苷酶同等剂量疗效相当的情况下上市价格、单次及全年治疗费用均比伊米苷酶更低;③对从伊米苷酶转换至维拉苷酶 α 的患者存在疗效“增强效应”,患者临床参数进一步改善。对比艾格司他,①维拉苷酶 α 可用于儿童患者,而艾格司他只能用于成人患者;②艾格司他使用前需检测CYP2D6基因型,如为超快代谢型则不能使用;③美国和欧洲Eliglustat(艾格司他的原研药)治疗建议均提示		

合并心脏疾病（如心衰、心律失常、传导阻滞、长QT间期综合征等）、肝脏损伤、肾脏损伤的患者中不建议使用；而维拉苷酶α无此用药禁忌；④维拉苷酶α每两周用药一次静脉滴注；艾格司他每日1-2次口服，需根据CYP2D6基因型确定剂量和用药频率。

企业承诺书	↓ 下载文件 TCIT企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 1-2-药品最新版法定说明书.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	↓ 下载文件 1-3-进口药品注册证.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 1-4-1-注射用维拉苷酶α摘要幻灯片-含费用信息.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 1-4-2-注射用维拉苷酶α摘要幻灯片-不含费用信息.pdf

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）急抢救、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0.8m²。
② 成人：18周岁及以上，体重60公斤，体表面积1.6m²。

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)
无合适参照药物	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：医保目录内缺乏治疗儿童1型戈谢病患者的治疗药物

其他情况请说明：-

二、有效性信息

试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在儿童患者中维拉苷酶α的疗效得到确认：首次接受维拉苷酶α治疗的儿童患者以及伊米苷酶转换用药的患者，相较于基线，24个月时，血红蛋白浓度增加（+24.3%，+1.2%），血小板计数增加（+93.4%，+8.6%），肝脏体积减小（-27.5%，-5%）和脾脏体积减小（-66.3%，-4.1%），骨骼参数身高Z评分增加或保持稳定
试验数据结果证明文件（外文资	↓ 下载文件 2-1-维拉苷酶α长期治疗1型戈谢病儿童文献.pdf

料须同时提供原文及中文翻译文件)	
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	伊米苷酶
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于2岁以上的1型戈谢病患者，维拉苷酶α的疗效与伊米苷酶相当：1) 治疗9个月，维拉苷酶α和伊米苷酶治疗组的平均血红蛋白浓度升高分别为1.68 g/dL和1.52 g/dL，两组平均治疗差异为0.16 g/dL。97.5%的单侧置信区间下限在预先设定的非劣效界限-1.0 g/dL内，证实了维拉苷酶α非劣效于伊米苷酶 2) 在次要终点，血小板计数、肝脾体积改变上，两组无统计学差异
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)	↓ 下载文件 2-2-在戈谢病患者中比较维拉苷酶α替代疗法与伊米苷酶.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于9岁以上既往接受伊米苷酶治疗的1型戈谢病患者，以相同剂量换药至维拉苷酶α后，关键临床参数保持稳定：1) 40例使用伊米苷酶患者按相同剂量转换为维拉苷酶α，具体剂量分布为：14例患者接受15 U/kg，12例患者30 U/kg，7例患者45 U/kg，7例患者60 U/kg；2) 各剂量组患者接受维拉苷酶α治疗12个月后，相较于基线，临床参数均保持稳定，总体耐受性良好
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)	↓ 下载文件 2-3-维拉苷酶α在既往接受过伊米苷酶治疗的1型戈谢病患者中的安全性和有效性.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	①8例初治患者接受15U/kg隔周一次治疗：血红蛋白浓度增加(+5.9%)，血小板计数增加(+61%)，肝脏体积减小(-50.2%)和脾脏体积减小(-56.4%)；②36例既往使用过伊米苷酶的患者(含儿童及成人)以相同剂量转换为维拉苷酶α后存在增强效应，疗效参数进一步改善：血红蛋白浓度增加(+3.6%)，血小板计数增加(+13.8%)，肝脏体积减小(-3.1%)和脾脏体积减小(-10.8%)
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)	↓ 下载文件 2-4-戈谢病患者从长期伊米苷酶治疗转换为维拉苷酶α治疗的增强效应.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	GOS研究纳入了376名未经ERT治疗的儿童及成人戈谢病患者，使用维拉苷酶α治疗平均时长6.6年。结果显示，长期使用维拉苷酶α可使患者血红蛋白浓度平均每年增加0.05 g/L，血小板计数平均每年增加0.35 × 10 ⁹ /L，肝脏体积平均每年下降0.001MN，脾脏体积平均每年下降0.03MN，lyso-GL1水平平均每年下降1.08ng/mL。维拉苷酶α长期治疗的安全性和耐受性良好。

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件）	↓ 下载文件 2-5-来自戈谢病转归调查GOS登记研究中长期使用维拉苷酶α治疗未经ERT治疗的戈谢病患者数据.pdf
试验类型1	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在儿童患者中维拉苷酶α的疗效得到确认：首次接受维拉苷酶α治疗的儿童患者以及伊米苷酶转换用药的患者，相较于基线，24个月时，血红蛋白浓度增加（+24.3%，+1.2%），血小板计数增加（+93.4%，+8.6%），肝脏体积减小（-27.5%，-5%）和脾脏体积减小（-66.3%，-4.1%），骨骼参数身高Z评分增加或保持稳定
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件）	↓ 下载文件 2-1-维拉苷酶α长期治疗1型戈谢病儿童文献.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	伊米苷酶
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于2岁以上的1型戈谢病患者，维拉苷酶α的疗效与伊米苷酶相当：1）治疗9个月，维拉苷酶α和伊米苷酶治疗组的平均血红蛋白浓度升高分别为1.68 g/dL和1.52 g/dL，两组平均治疗差异为0.16 g/dL。97.5%的单侧置信区间下限在预先设定的非劣效界限-1.0 g/dL内，证实了维拉苷酶α非劣效于伊米苷酶 2）在次要终点，血小板计数、肝脾体积改变上，两组无统计学差异
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件）	↓ 下载文件 2-2-在戈谢病患者中比较维拉苷酶α替代疗法与伊米苷酶.pdf
试验类型3	单臂临床实验
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	对于9岁以上既往接受伊米苷酶治疗的1型戈谢病患者，以相同剂量换药至维拉苷酶α后，关键临床参数保持稳定：1）40例使用伊米苷酶患者按相同剂量转换为维拉苷酶α，具体剂量分布为：14例患者接受15 U/kg，12例患者30 U/kg，7例患者45 U/kg，7例患者60 U/kg；2）各剂量组患者接受维拉苷酶α治疗12个月后，相较于基线，临床参数均保持稳定，总体耐受性良好
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件）	↓ 下载文件 2-3-维拉苷酶α在既往接受过伊米苷酶治疗的1型戈谢病患者中的安全性和有效性.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	①8例初治患者接受15U/kg隔周一次治疗：血红蛋白浓度增加（+5.9%），血小板计数增加（+61%），肝脏体积减小（-50.2%）和脾脏体积减小（-56.4%）；②36例既往使用过伊米苷酶的患者（含儿童及成人）以相同剂量转换为维拉苷酶α后存在增强效应，疗效参数进一步改善：血红蛋白浓度增加（+3.6%），血小板计数增加（+13.8%），肝脏体积

	减小 (-3.1%) 和脾脏体积减小 (-10.8%)
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件)	↓ 下载文件 2-4-戈谢病患者从长期伊米苷酶治疗转换为维拉苷酶α治疗的增强效应.pdf
试验类型5	真实世界数据
试验对照药品	无
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	GOS研究纳入了376名未经ERT治疗的儿童及成人戈谢病患者, 使用维拉苷酶α治疗平均时长6.6年。结果显示, 长期使用维拉苷酶α可使患者血红蛋白浓度平均每年增加0.05 g/L, 血小板计数平均每年增加0.35 × 10 ⁹ /L, 肝脏体积平均每年下降0.001MN, 脾脏体积平均每年下降0.03MN, lyso-GL1水平平均每年下降1.08ng/mL。维拉苷酶α长期治疗的安全性和耐受性良好。
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件)	↓ 下载文件 2-5-来自戈谢病转归调查GOS登记研究中长期使用维拉苷酶α治疗未经ERT治疗的戈谢病患者数据.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2021年中国儿童戈谢病诊治专家共识: 维拉苷酶α在中国获批上市, 用于 I 型戈谢病成人以及4岁以上的儿童患者。
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)	↓ 下载文件 2-6-中国儿童戈谢病诊治专家共识-2021.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	2018年美国戈谢病治疗指南推荐维拉苷酶α是戈谢病必要治疗药物之一
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)	↓ 下载文件 2-7-美国戈谢病酶替代疗法指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021年美国戈谢病德尔菲共识: 对于进展期/有明显症状的戈谢病儿童, 应早期进行ERT干预以阻止疾病发展和改善儿童发育。
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)	↓ 下载文件 2-8-戈谢病患者的筛查_患者识别_评估和治疗-德尔菲共识的结果.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2020年中国戈谢病多学科诊疗专家共识, 提及酶替代疗法为戈谢病的一线治疗; 维拉苷酶α持续治疗12个月可显著改善贫血、血小板减少和肝脾肿大等特异性临床指标; 安全性良好, 无药品相关严重不良事件。
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)	↓ 下载文件 2-9-戈谢病多学科诊疗专家共识-2020.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	2021年中国儿童戈谢病诊治专家共识: 维拉苷酶α在中国获批上市, 用于 I 型戈谢病成人以及4岁以上的儿童患者。
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)	↓ 下载文件 2-6-中国儿童戈谢病诊治专家共识-2021.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2	2018年美国戈谢病治疗指南推荐维拉苷酶α是戈谢病必要治疗药物之一
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）	↓ 下载文件 2-7-美国戈谢病酶替代疗法指南.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2021年美国戈谢病德尔菲共识：对于进展期/有明显症状的戈谢病儿童，应早期进行ERT干预以阻止疾病发展和改善儿童发育。
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）	↓ 下载文件 2-8-戈谢病患者的筛查_患者识别_评估和治疗-德尔菲共识的结果.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2020年中国戈谢病多学科诊疗专家共识，提及酶替代疗法为戈谢病的一线治疗；维拉苷酶α持续治疗12个月可显著改善贫血、血小板减少和肝脾肿大等特异性临床指标；安全性良好，无药品相关严重不良事件。
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）	↓ 下载文件 2-9-戈谢病多学科诊疗专家共识-2020.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	本品已完成的关键临床研究包括初治人群及既往经伊米苷酶治疗人群，证实了本品在1型戈谢病初治患者及经伊米苷酶治疗转至维拉苷酶α人群的有效性；此外后续开展的扩展性研究进一步证实了本品疗效的可持续性。初治人群研究中，研究TKT032是在25例2岁及以上初治患者中开展的为期12个月的随机、双盲、平行分组有效性研究。结果显示两个治疗组（45U/kg和60U/kg）与基线相比，平均血红蛋白浓度和血小板计数得到临床意义的显著增加，肝脏体积及脾脏体积均有所缩小；研究TKT039是在34例2岁及以上初治患者中开展的为期9个月的随机、双盲、非劣效性、阳性对照（伊米苷酶）、平行分组有效性研究。患者每两周一次接受60U/kg维拉苷酶α或60 U/kg伊米苷酶：在维拉苷酶α治疗9个月后，血红蛋白浓度较基线增加非劣于伊米苷酶。既往经伊米苷酶治疗人群中，研究TKT034是一项在40例2岁及以上患者中开展的为期12个月的开放性研究，维拉苷酶α的给药剂量与之前的伊米苷酶一致。在从伊米苷酶转至维拉苷酶α的患者，经过12个月的治疗，血红蛋白浓度和血小板计数可维持在原治疗水平。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-10-注射用维拉苷酶α技术审评报告.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	本品已完成的关键临床研究包括初治人群及既往经伊米苷酶治疗人群，证实了本品在1型戈谢病初治患者及经伊米苷酶治疗转至维拉苷酶α人群的有效性；此外后续开展的扩展性研究进一步证实了本品疗效的可持续性。初治人群研究中，研究TKT032是在25例2岁及以上初治患者中开展的为期12个月的随机、双盲、平行分组有效性研究。结果显示两个治疗组（45U/kg和60U/kg）与基线相比，平均血红蛋白浓度和血小板计数得到临床意义的显著增加，肝脏体积及脾脏体积均有所缩小；研究TKT039是在34例2岁及以上初治患者中开展的为期9个月的随机、双盲、非劣效性、阳性对照（伊米苷酶）、平行分组有效性研究。患者每两周一次接受60U/kg维拉苷酶α或60 U/kg伊米苷酶：在维拉苷酶α治疗9个月后，血红蛋白浓度较基线增加非劣于伊米苷酶。既往经伊米苷酶治疗人群中，研究TKT034是一项在40例2岁及以上患者中开展的为期12个月的开放性研究，维拉苷酶α的给药剂量与之前的伊米苷酶一致。在从伊米苷酶转至维拉苷酶α的患者，经过12个月的治疗，血红蛋白浓度和血小板计数可维持在原治疗水平。
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 2-10-注射用维拉苷酶α技术审评报告.pdf

三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	临床试验中最严重不良反应为超敏反应；最常见不良反应为输液相关反应，其常见症状为：头痛、头晕、低血压、高血压、恶心、疲乏/乏力和发热/体温升高。由于存在超敏反应风险，在给予本品时，应能随时提供适当医疗支持；如果在诊所发生速发过敏反应或其他急性反应，应立即停止滴注并给予适当的治疗。输液相关反应的管理基于反应严重程度，采取减慢滴注速度，给予抗组胺药、退烧药和/或皮质类固醇等药物治疗，和/或停止后再恢复治疗（延长滴注时间）。对本品活性成分或任一辅料有严重过敏反应者禁用。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	各国家或药监部门5年内未发布安全性警告、黑框警告或撤市信息；临床应用中最高频（频率≥1/10）的不良反应为输液相关反应（IRR），严重程度通常为轻度至中度。

相关报导文献	-
--------	---

四、创新性信息

创新程度	①维拉苷酶α是唯一在人细胞系中生产的戈谢ERT治疗药物，与天然人葡糖脑苷脂酶氨基酸序列完全相同，免疫原性低； ②维拉苷酶α晶体结构中高甘露糖型聚糖链更长，对巨噬细胞甘露糖受体高亲和力、内化吸收速率更高。
创新性证明文件	↓ 下载文件 4-1-维拉苷酶α创新程度说明.pdf
应用创新	1.维拉苷酶α适用于儿童患者；2.维拉苷酶α滴注时间为60分钟，短于临床中同适应症治疗药物伊米苷酶（2小时）；3.维拉苷酶α有效期为36个月，长于临床中同适应症治疗药物伊米苷酶（24个月）。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 4-2-维拉苷酶α应用创新说明.pdf
传承性（仅中成药填写）	-
传承性证明文件	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	戈谢病多在儿童期发病，78%的患者12岁之前确诊，若无恰当治疗，将致残致死。维拉苷酶α为戈谢病特异治疗药物，已被纳入《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》，纳入保障后可避免儿童戈谢病患者残疾、早亡所导致的社会生产力的损失，减轻对家庭、社会的负担，且帮助患者回归正常的生活。
符合“保基本”原则描述	酶替代疗法是儿童戈谢病患者的基本用药需求，当前戈谢病因病致贫返贫现象普遍存在，保障需求迫切。全国戈谢病已诊断患者仅500余人，儿童患者占比仅56.6%，人数极少，对基金影响极其有限，考虑患者年均治疗用量，纳入基本医保后，基金可承受。
弥补目录短板描述	医保目录内无任何用于治疗儿童戈谢病的药物，目前艾格司他已纳入医保目录用于治疗成人戈谢病患者，不能用于儿童患者；而戈谢病多在儿童期发病，且越早发病严重程度越高，亟需有效治疗药物纳入医保满足儿童患者的临床用药需求。若维拉苷酶α纳入目录，可填补该领域医疗保障空白，保障患者健康需求。
临床管理难度描述	戈谢病诊断明确，临床滥用风险极低。部分省市已探索出对戈谢病治疗药物进行全过程监管方案，从患者诊断、保障资格认定及备案、定点诊疗机构及责任医师管理、定期随访评估等均有明确路径，确保基金风险可控。