

# 2023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： 去氨加压素口服溶液

企业名称： 杭州和泽坤元药业有限公司

## 申报信息

申报时间	2023-07-12 19:05:09	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2018年1月1日至2023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。但仅因为转产、再注册等原因,单纯更改通用名的药品除外。符合本条件的新冠抗病毒用药可按程序申报。
- 2.2018年1月1日至2023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.纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2023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》以及《第一批鼓励仿制药品目录》《第二批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 5.2023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》所收录罕见病的药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	去氨加压素口服溶液	医保药品分类与代码	XH01BAQ117X001010184206
药品类别	西药	是否为独家	是
药品注册分类	化药3类		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	15ml:5.4mg(按C <sub>46</sub> H <sub>64</sub> N <sub>14</sub> O <sub>12</sub> S <sub>2</sub> 计)		
上市许可持有人(授权企业)	杭州和泽坤元药业有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于治疗中枢性尿崩症。用于治疗六岁或以上尿液浓缩功能正常的原发性夜间遗尿症。		
说明书用法用量	治疗中枢性尿崩症:一般成人和儿童的初始适宜剂量为每次90μg(0.25ml),每日三次。再根据患者的疗效调整剂量。根据临床经验,每天的总量在180μg(0.5ml)~1080μg(3ml)之间。对多数患者的适宜剂量为每次90μg-180μg(0.25ml-0.5ml),每日三次。如果出现体液潴留和/或低钠血症的症状(头痛,恶心,呕吐,体重增加,更严重者可引起抽搐),则应停止治疗,并重新调整去氨加压素的剂量。治疗原发性夜间遗尿症:成人和6岁以上的儿童初始适宜剂量为睡前服用180μg(0.5ml),如疗效不显著可增至360μg(1ml),连续使用三个月后停用此药至少一周,以便评估是否需要继续治疗。治疗期间须限制饮水。如果出现体液潴留和/或低钠血症的症状(头痛,恶心,呕吐,体重增加,更严重者可引起抽搐),则应停止治疗,直到患者完全康复。再次恢复治疗时,应严格控制液体摄入量(详见【注意事项】)。如果在4周剂量滴定后未达到预期的临床效果,则应停止治疗。由于老年患者(≥65岁)发生低钠血症的风险增加,应密切关注其治疗情况。应在开始治疗前、开始用药或增加剂量后3天以及长期治疗期间定期监测患者血钠水平。给药方式:本品口服使用		
所治疗疾病基本情况	儿童夜遗尿是指年龄≥5岁儿童,平均每周至少2次夜间不自主排尿,并持续3个月以上。夜间抗利尿激素分泌不足是重要病因。不及时治疗会对患儿身心健康造成严重危害,约0.5%~2%患儿遗尿症状会持续至成年期。国内总体患病率为4.8%。中枢性尿崩症是神经垂体的一种疾病,特征为抗利尿激素分泌或释放不足,导致不同程度的多尿,可引起人体内水代谢的紊乱,甚至危及生命。患病率约为1:25000。		
中国大陆首次上市时间	2023-04	注册证号/批准文号	国药准字H20233514
全球首个上市国家/地区	德国	全球首次上市时间	2014-04
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	去氨加压素片目前有两个产品上市(商品名为弥凝,和悦),分别的获批时间是2005年和2010年。均为甲类医保产品。弥凝在儿童夜遗尿症和中枢性尿崩治疗中的使用占比高达90%以上。去氨加压素口服溶液的优势是:中国首个且唯一获批去氨		

加压素口服液体剂(儿童适宜剂型),可精准剂量滴定(最小可调整至0.02ml),减少复发,最大程度控水,安全性好;提高治疗依从性,满足儿童及吞咽困难患者治疗需求。不足:制造成本高,相对片剂价格略高。

企业承诺书

↓ 下载文件

去氨加压素口服溶液企业承诺书盖章版230703.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件

去氨加压素口服溶液说明书.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

药品注册证书2023S00616.pdf

申报药品摘要幻灯片(含经济性/价格费用信息)

↓ 下载文件

去氨加压素口服溶液PPT1.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

↓ 下载文件

去氨加压素口服溶液PPT2.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、罕见病用药统一按365天用药计算年费用。  
(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)
弥凝	是	0.1mg	161	0.2-0.4mg, qn	日均费用	3个月	10.73-21.47

参照药品选择理由: 去氨加压素口服溶液和弥凝(醋酸去氨加压素片)是同分子,同适应症的。弥凝是甲类医保产品。弥凝在儿童夜遗尿症和中枢性尿崩治疗中的使用占比高达90%以上,是临床实践使用最广泛的产品

其他情况请说明: 以上弥凝的用法用量是对应的夜间遗尿症治疗。而对于中枢性尿崩症的治疗,多数患者的适宜剂量为每次0.1~0.2mg, tid, 日均费用为 16.1~32.2元;治疗疗程为3个月至终身

## 联系人信息

联系人	沈榆瑾	联系电话	15988768938
-----	-----	------	-------------

## 二、有效性信息

试验类型1	其他
试验对照药品	参比制剂
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	去氨加压素口服溶液为口服溶液剂, 且为真溶液, 不含有显著影响药物吸收或生物利用度的辅料, 处方组成与参比制剂基本一致, 因此豁免人体生物等效性实验获批上市, 视同与参比制剂等效。CDE同意豁免临床实验。适应症和国内上市原研片剂相同。药学研究方面除抑菌剂外, 无其他需要特殊关注内容。该品种满足仿制药药学评价要求同意豁免BE研究
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 去氨加压素口服溶液临床豁免说明.pdf
试验类型1	其他
试验对照药品	参比制剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	去氨加压素口服溶液为口服溶液剂, 且为真溶液, 不含有显著影响药物吸收或生物利用度的辅料, 处方组成与参比制剂基本一致, 因此豁免人体生物等效性实验获批上市, 视同与参比制剂等效。CDE同意豁免临床实验。适应症和国内上市原研片剂相同。药学研究方面除抑菌剂外, 无其他需要特殊关注内容。该品种满足仿制药药学评价要求同意豁免BE研究
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 去氨加压素口服溶液临床豁免说明.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	去氨加压素(desmopressin)是目前多个国际儿童夜遗尿指南中的一线治疗方法, 可有效治愈大部分的儿童单症状性夜遗尿。
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> 中国儿童单症状性夜遗尿疾病管理专家共识2014.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	DDAVP: 是ICCS推荐的一线治疗药物, 排尿日记显示夜间多尿是使用DDAVP的指征。
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> 儿童遗尿症诊断和治疗中国专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	去氨加压素(desmopressin)是目前多个国际儿童夜遗尿指南中的一线治疗方法, 可有效治愈大部分的儿童单症状性夜遗尿。
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> 中国儿童单症状性夜遗尿疾病管理专家共识2014.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	DDAVP: 是ICCS推荐的一线治疗药物, 排尿日记显示夜间多尿是使用DDAVP的指征。
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> 儿童遗尿症诊断和治疗中国专家共识.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	-
《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	-
《技术审评报告》原文(可节选)	-

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	使用醋酸去氨加压素时若不限水可能会引起水潴留/低钠血症。头痛、胃肠道反应、一过性低血压、脉搏加快、面色潮红、疲乏等为常见的不良事件 ( $\geq 1/100$ 至 $< 1/10$ )；低钠血症、水中毒、脑水肿、低钠血症性惊厥等不良事件罕见 ( $\geq 1/10,000$ 至 $< 1/1,000$ ) 或十分罕见 ( $< 1/10,000$ )。醋酸去氨加压素禁用于：对活性成份或任何辅料过敏；原发性，习惯性或精神性烦渴症患者；心力衰竭，心功能不全和其他需要接受利尿剂治疗的疾病；轻中重度肾功能不全患者；重度经典 von Willebrand-Jürgens 综合征 (IIb型)；低钠血症患者或有低钠血症病史的患者；需要与利尿剂合并用药；不受控制的血压；抗利尿激素分泌异常综合征 (SIADH) 等。应当排除或相应治疗导致多尿症、排尿频率增加或遗尿症的器质性病因。治疗期间，出现体液和/或电解质失衡急性并发症 (如：全身感染、发烧和肠胃炎) 时，应立即停止治疗。为避免出现低钠血症，在以下情况应严格控制饮水并监测患者血钠水平：与已知可导致抗利尿激素分泌异常综合征 (SIADH) 的药物合用；与非甾体抗炎药 (NSAIDs) 合用等。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	无
相关报导文献	-

### 四、创新性信息

创新程度	国内首个去氨加压素口服液体剂剂 制备工艺稳定, 可控性好, 成品对于微生物控制均严于现行药典, 无乳糖。 剂量精准调节: 口服溶液最小剂量可满足临床最低剂量的需求。
创新性证明文件	-
应用创新	儿童适宜剂型, 提高药物依从性。解决吞咽困难患者服药便利性问题。精确剂量调整, 儿童夜遗尿国内指南推荐的最低应用剂量是0.05mg(0.125ml)。儿童中枢性尿崩症, 低剂量起始滴定十分重要, 临床常用剂量为每次25~100ug, 而目前片剂的最小规格为0.1mg。精确滴定到最小有效剂量可提高安全性, 减少低钠血症等不良事件的发生。最大限度限水: 直接服用, 最大程度控制饮水, 保证疗效并提高安全性。
应用创新证明文件	-
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	卫生健康委发布的《第二批鼓励研发申报儿童药品清单》药品。儿童遗尿症严重影响儿童身心健康, 自尊心和自信心受挫, 自卑; 影响与同龄人人际关系; 影响家庭生活, 遗尿儿童母亲存在中重度焦虑状态, 已成为仅次于父母离婚、吵架之后的第三大创伤事件。中枢性尿崩尿崩症可引起人体内水代谢的紊乱, 甚至危及生命。
符合“保基本”原则描述	约有0.5%-2%患儿遗尿症状可持续至成年, 遗尿频率和严重程度随着年龄增长而增加, 尽早接受指南共识一致推荐的一线治疗是患者的基本医疗权力。去氨加压素口服溶液可以保障儿童、吞咽困难患者的用药公平性和用药可及性
弥补目录短板描述	弥补目录内目前无去氨加压素口服液体剂剂(儿童适宜剂型)的空白。
临床管理难度描述	去氨加压素口服溶液适应症明确, 用于治疗中枢性尿崩患者和用于治疗6岁或以上尿液浓缩功能正常的原发性夜间遗尿患者。不存在临床滥用和潜在超说明书使用的情况; 安全性耐受性良好, 不良事件少且可控。治疗周期可控: 儿童夜遗尿症的治疗一般为3个月。