

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：酒石酸艾格司他胶囊

企业名称：北京凯莱天成医药科技有
限公司

申报信息

申报时间	2023-07-13 20:38:02	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)	酒石酸艾格司他胶囊	医保药品分类与代码	XA16AXA384E001010102807
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	晶型	核心专利权期限届满日1	2036-05
核心专利类型1	晶型	核心专利权期限届满日1	2036-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	84mg(按C23H36N2O4计)		
上市许可持有人(授权企业)	北京凯莱天成医药科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	本品适用于经CYP2D6基因型检测为弱代谢型(PMs)、中间代谢型(IMs)或快代谢型(EMs)的I型戈谢病(GD1)成年患者的长期治疗。		
说明书用法用量	艾格司他口服给药。对于CYP2D6 EMs和IMs,艾格司他的推荐剂量是每日2次每次84mg。对于CYP2D6 PMs,推荐剂量是每日1次每次84mg(剂量减半)。		
所治疗疾病基本情况	1.戈谢病是由于葡萄糖脑苷脂酶基因突变导致的常染色体隐性遗传代谢病,临床表现为多脏器受累并呈进行性加重,包括肝脾肿大(脾脏平均增大15.2倍)、血小板减少、骨骼受累(约50%患者可能骨坏死)。2.中国人群每10万人中患病数仅为0.2~0.5例,目前已确诊的患者约不到500人,成人比例约为43.4%。3.如患者在儿童时期发病,因误诊或治疗不及时,可能有脾切除及骨骼受累,成年后生存质量可能更差。		
中国大陆首次上市时间	2022-10	注册证号/批准文号	国药准字H20223773
全球首个上市国家/地区	美国	全球首次上市时间	2014-08
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	艾格司他是我国唯一获批的SRT药物,与基于酶替代疗法(ERT)的注射用伊米苷酶(赛诺菲/2008)及注射用维拉昔酶α(武田/2022)共为国内外指南/专家共识的一线推荐特异性治疗药物。三款药物目前均未纳入国家医保目录,但在少数省市,伊米苷酶通过罕见病专项基金、多层次医保等纳入了保障。优势:(1)艾格司他在长达4年的试验中疗效非劣于伊米苷酶,且对未使用过和使用过ERT药物的患者均获益明显。(2)艾格司他目前确定的不良反应大多是轻度的,口服用药不存在输注反应与超敏反应。(3)艾格司他的使用更加便利:不需要根据体重调整剂量,不需要进行1-2小时的输液。(4)艾格司他可常温贮存和管理,更适合双通道药店配备,更有利于偏远地区使用,而ERT药物需要2-8℃保存。(5)艾格司他作用机制独特。为小分子口服制剂,体内转运扩散速度快,可迅速到达各组织,有助于治疗骨髓并发症患者(骨病进展后对戈谢病患者的生活质量影响极大)。ERT药物对无法有效地吸收外源性酶的器官(如骨骼)改善效果较差。劣势:艾格司他目前尚未获批用于18岁以下患者(国际已于2018年启动未成年临床试验)。		

企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 艾格司他正式说明书.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 艾格司他药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）	↓ 下载文件 酒石酸艾格司他胶囊1.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 酒石酸艾格司他胶囊2.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0.8m²。
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	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：目录内无适宜参照药物，未覆盖戈谢病特异疗法药物。

其他情况请说明：-

联系人信息

联系人	王璐	联系电话	13511061215
-----	----	------	-------------

二、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	艾格司他治疗9个月，与安慰剂相比，可明显缩小脾脏体积、缩小肝脏体积，增加血小板计数及血红蛋白水平，改善骨髓浸润。相比安慰剂组 (n=20)，艾格司他治疗组 (n=20) 9个月平均脾脏体积显著减少 30.03%，平均肝脏体积减少 6.64%，平均血小板计数增加 41.06%，平均血红蛋白水平的绝对变化增加1.22 g/dL，骨负担(BMB)评分显示患者骨髓有显著逆转。

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 1三期ENGAGE1年.pdf
试验类型2	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	相关疗效指标较基线长期持续改善。艾格司他治疗4.5年（n=14）后，患者的平均脾脏体积减少66%，平均肝脏体积减少了23%，平均血小板计数增加87%，平均血红蛋白水平增加1.4 g/dL，平均脊柱T评分从-1.07（骨质疏松）增加到-0.53（正常）（n = 9）。9例患者接受4.5年艾格司他治疗后，平均戈谢病严重程度评分从基线时的4.4分（中度范围）改善至2.5分（临界至轻度范围）。
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 2三期ENGAGE长期.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	注射用伊米苷酶
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	本试验证明艾格司他对经伊米苷酶治疗达稳态的患者有很好的长/短期效果，具备非劣性。（1）以血液与内脏指标为标准，艾格司他组12个月稳态患者84例（85%），对照组44例（94%），95%CI的下限是-17.6%，满足设定的非劣性边界。（2）4年的跟踪期中，艾格司他治疗组患者85%以上达到治疗稳态，达到预设试验目标。血红蛋白水平、血小板计数、脾体积、肝体积和平均骨密度z评分的绝对值在4年内保持稳定。
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 3三期ENCORE.pdf
试验类型4	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	一项170名患者（包含25名中国人）的每日服药次数对治疗的影响试验证明，双盲治疗期中所有人的血液和内脏指标的平均值均满足ERT的治疗目标阈值。在扩展期中，每日服药两次艾格司他的25人仍能维持血红蛋白、血小板、脾脏与肝脏平均值的稳定。
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 4三期EDGE.pdf
试验类型5	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	本试验进一步证明了艾格司他的长/短期疗效。（1）对于入组的26名患者来说，13周血红蛋白水平显著提升，26周时脾和肝体积显著减小，第52周时分别减小38.5%（p<0.001）和17.0%（p<0.001）。（2）平均脾和肝体积在8年中分别下降69%和34%，平均血红蛋白水平和血小板计数分别提升2.2g/dL和113%。所有患者都达到了长期治疗目标。
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

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 5二期临床试验.pdf
试验类型6	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	一项来自ICGG的真实世界研究证明了艾格司他对不同患者群体的疗效。对于从未接受过治疗的患者（n=19），其脾脏体积下降了53%，血小板增加了38%。对于使用过其他疗法但未接受脾切除的患者（n=176），其脾脏体积减少了15%，腰椎Z值由-0.7增加到-0.4（p=0.014），血小板等指标维持稳定；对于之前接受过脾切除手术的患者（n=36），其肝脏体积仍能保持在正常水平线内，血小板增加9%。
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 6真实世界ICGG登记数据.pdf
试验类型7	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	一项5年间收集29名患者信息的真实世界数据证明，经ERT治疗后转为口服艾格司他治疗的患者，脾脏、肝脏、血液学等各项指标长期保持稳定。
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 7真实世界29例ERT转换.pdf
试验类型8	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	Cerdelga®
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	凯莱天成在国内开展了一项艾格司他胶囊84 mg与原研84 mg健康人生物等效性研究，该研究为单中心、随机、开放、单次给药、两周期、双交叉设计，在空腹和餐后给药条件下药代动力学参数几何均值的90%置信区间均在80.00%~125.00%范围内，证明受试制剂与参比制剂等效，且安全性良好，符合化药3类药物的评价标准。同时，艾格司他口服治疗耐受性好，依从性高。
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 8艾格司他胶囊生物等效性试验报告摘要.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	艾格司他治疗9个月，与安慰剂相比，可明显缩小脾脏体积、缩小肝脏体积，增加血小板计数及血红蛋白水平，改善骨髓浸润。相比安慰剂组（n=20），艾格司他治疗组（n=20）9个月平均脾脏体积显著减少 30.03%，平均肝脏体积减少6.64%，平均血小板计数增加 41.06%，平均血红蛋白水平的绝对变化增加1.22 g/dL，骨负担(BMB)评分显示患者骨浸润有显著逆转。

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 1三期ENGAGE1年.pdf
试验类型2	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	相关疗效指标较基线长期持续改善。艾格司他治疗4.5年（n=14）后，患者的平均脾脏体积减少66%，平均肝脏体积减少了23%，平均血小板计数增加87%，平均血红蛋白水平增加1.4 g/dL，平均脊柱T评分从-1.07（骨质疏松）增加到-0.53（正常）（n=9）。9例患者接受4.5年艾格司他治疗后，平均戈谢病严重程度评分从基线时的4.4分（中度范围）改善至2.5分（临界至轻度范围）。
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 2三期ENGAGE长期.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	注射用伊米苷酶
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	本试验证明艾格司他对经伊米苷酶治疗达稳态的患者有很好的长/短期效果，具备非劣性。（1）以血液与内脏指标为标准，艾格司他组12个月稳态患者84例（85%），对照组44例（94%），95%CI的下限是-17.6%，满足设定的非劣性边界。（2）4年的跟踪期中，艾格司他治疗组患者85%以上达到治疗稳态，达到预设试验目标。血红蛋白水平、血小板计数、脾体积、肝体积和平均骨密度z评分的绝对值在4年内保持稳定。
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 3三期ENCORE.pdf
试验类型4	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	一项170名患者（包含25名中国人）的每日服药次数对治疗的影响试验证明，双盲治疗期中所有人的血液和内脏指标的平均值均满足ERT的治疗目标阈值。在扩展期中，每日服药两次艾格司他的25人仍能维持血红蛋白、血小板、脾脏与肝脏平均值的稳定。
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 4三期EDGE.pdf
试验类型5	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	本试验进一步证明了艾格司他的长/短期疗效。（1）对于入组的26名患者来说，13周血红蛋白水平显著提升，26周时脾和肝体积显著减小，第52周时分别减小38.5%（p<0.001）和17.0%（p<0.001）。（2）平均脾和肝体积在8年中分别下降69%和34%，平均血红蛋白水平和血小板计数分别提升2.2g/dL和113%。所有患者都达到了长期治疗目标。

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 5二期临床试验.pdf
试验类型6	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	一项来自ICGG的真实世界研究证明了艾格司他对不同患者群体的疗效。对于从未接受过治疗的患者（n=19），其脾脏体积下降了53%，血小板增加了38%。对于使用过其他疗法但未接受脾切除的患者（n=176），其脾脏体积减少了15%，腰椎Z值由-0.7增加到-0.4（p=0.014），血小板等指标维持稳定；对于之前接受过脾切除手术的患者（n=36），其肝脏体积仍能保持在正常水平线内，血小板增加9%。
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 6真实世界ICGG登记数据.pdf
试验类型7	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	一项5年间收集29名患者信息的真实世界数据证明，经ERT治疗后转为口服艾格司他治疗的患者，脾脏、肝脏、血液学等各项指标长期保持稳定。
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 7真实世界29例ERT转换.pdf
试验类型8	系统评价或荟萃分析
试验对照药品	Cerdelga®
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	凯莱天成在国内开展了一项艾格司他胶囊84 mg与原研84 mg健康人生物等效性研究，该研究为单中心、随机、开放、单次给药、两周期、双交叉设计，在空腹和餐后给药条件下药代动力学参数几何均值的90%置信区间均在80.00%~125.00%范围内，证明受试制剂与参比制剂等效，且安全性良好，符合化药3类药物的评价标准。同时，艾格司他口服治疗耐受性好，依从性高。
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 8艾格司他胶囊生物等效性试验报告摘要.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国/戈谢病多学科诊疗专家共识/2020: 与ERT相比，SRT为口服制剂，应用相对方便，减少了治疗所需时间。艾格司他是一种新型SRT口服药，作为神经酰胺类似物，发挥GBA活性抑制作用，从而减少葡萄糖脑苷脂的堆积。美国于2014年，欧盟于2015年批准该药用于成人I型GD一线治疗。艾格司他可改善血小板计数、血红蛋白、肝脾体积及骨骼相关临床指标。
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 1戈谢病多学科诊疗专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国/中国成人戈谢病诊治专家共识/2020: 艾格司他是一种葡萄糖脑苷脂合成抑制剂, 分别于2014年被FDA和2015年被欧洲批准用于成年 I 型戈谢病患者。
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中国成人戈谢病诊治专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	欧洲戈谢病工作组专家共识: "1型戈谢病的管理目标" (2016) 艾格司他在风险与获益上均有提升, 已被批准作为一线治疗药物。
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 3欧洲戈谢病工作组专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	"艾格司他治疗美国成人1型戈谢病推荐建议" (2015) 2014年8月下旬, 美国批准将艾格司他用于CYP2D6快代谢型、中间代谢型或弱代谢型(涵盖一般人群的90%)GD1成人(年龄≥18岁)的一线治疗。随着艾格司他被批准作为一线治疗, 符合纳入标准的GD1患者现在可以选择每日口服治疗。
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)	↓ 下载文件 4美国成人1型戈谢病推荐建议.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	"欧洲成人1型戈谢病患者应用艾格司他治疗和监测建议" (2017) 作为1型戈谢病的一线治疗药物, 艾格司他为符合条件的患者提供每日口服治疗, 可替代每两周输注一次的酶替代疗法。
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 5欧洲成人1型戈谢病患者应用依利格鲁司特治疗和监测建议.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中国/戈谢病多学科诊疗专家共识/2020: 与ERT相比, SRT 为口服制剂, 应用相对方便, 减少了治疗所需时间。艾格司他是一种新型SRT口服药, 作为神经酰胺类似物, 发挥GBA活性抑制作用, 从而减少葡萄糖脑苷脂的堆积。美国于2014年, 欧盟于2015年批准该药用于成人 I 型GD一线治疗。艾格司他可改善血小板计数、血红蛋白、肝脾体积及骨骼相关临床指标。
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 1戈谢病多学科诊疗专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中国/中国成人戈谢病诊治专家共识/2020: 艾格司他是一种葡萄糖脑苷脂合成抑制剂, 分别于2014年被FDA和2015年被欧洲批准用于成年 I 型戈谢病患者。
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中国成人戈谢病诊治专家共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	欧洲戈谢病工作组专家共识: "1型戈谢病的管理目标" (2016) 艾格司他在风险与获益上均有提升, 已被批准作为一线治疗药物。
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 3欧洲戈谢病工作组专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4	"艾格司他治疗美国成人1型戈谢病推荐建议" (2015) 2014年8月下旬, 美国批准将艾格司他用于CYP2D6快代谢型、中间代谢型或弱代谢型(涵盖一般人群的90%)GD1成人(年龄≥18岁)的一线治疗。随着艾格司他被批准作为一线治疗, 符合纳入标准的GD1患者现在可以选择每日口服治疗。
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)	↓ 下载文件 4美国成人1型戈谢病推荐建议.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	"欧洲成人1型戈谢病患者应用艾格司他治疗和监测建议" (2017) 作为1型戈谢病的一线治疗药物, 艾格司他为符合条件的患者提供每日口服治疗, 可替代每两周输注一次的酶替代疗法。
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 5欧洲成人1型戈谢病患者应用依利格鲁司特治疗和监测建议.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	药监局未更新《技术审评报告》。
《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	药监局未更新《技术审评报告》。
《技术审评报告》原文(可节选)	-



三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	据国外文献报道, 艾格司他的总体不良反应概况基于治疗暴露的1400-患者年, 包括两个关键III期研究(ENGAGE和ENCORE), 一项为期8年、长期的II期临床研究(304研究)和一项支持性的III b期研究(EDGE)的初步分析期和延长期的汇总结果。在这四项研究中, 共有393名年龄在16-75岁之间的患者接受了艾格司他治疗, 中位持续时间为3.5年(最长达到9.3年)。临床研究中最常报告的不良反应是消化不良(大约有6%)。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	艾格司他于2014年在美国首次上市以来, 已在全球55个国家/地区获批。中国、美国和欧洲等药监部门近5年内没有发布关于本品的安全性警告、黑框警告、撤市等信息。上市后真实世界安全性表现与说明书及试验一致。一项5年真实数据研究表明, 29名患者没有产生任何被认为与药物相关的严重不良反应, 其他最常见的不良反应是消化不良。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性文件合集.pdf

四、创新性信息

创新程度	1.作用机制创新。艾格司他是我国获批唯一的SRT药物。该药物是小分子口服制剂, 体内转运扩散速度快, 可迅速到达各组织中, 有助于治疗骨髓并发症患者; 而ERT药物对无法有效地吸收外源性酶的器官(如骨骼)改善效果较差。2.国产重大新药创制及北京市科技课题支持上市。3.拥有1项晶型专利, 专利有效期至2036年。4.临床急需境外新品种, 专利权到期、终止、无效且尚无仿制申请品种, 国家鼓励仿制品种。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新程度文献合集.pdf
应用创新	1.口服给药依从性高。ENCORE试验显示96%的患者服用了80%以上的说明书建议用量。2.减少患者用药成本与医疗系统负担。艾格司他可居家服用, 而ERT需每两周在医疗机构输注, 每次输注耗时1-2小时。3.剂量确认简便, 无需额外配置培训。ERT需根据体重谨慎调整剂量, 且配置操作较为繁琐。4.常温贮存管理, 成本低, 利于双通道药店配备。ERT需要2-8°C冷藏保存。

应用创新证明文件	↓ 下载文件 应用创新文献合集.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	戈谢病已被列入2018年发布的国家《第一批罕见病目录》，疾病严重程度高，临床表现为多脏器受累并呈进行性加重，患者生存质量差，不及时治疗将会致残或致死。戈谢病临床诊断标准明确，目前多数患者可在1年内确诊，使用艾格司他及时治疗可有效逆转病程，挽救生命，显著提升生活质量。
符合“保基本”原则描述	I型成人戈谢病患者人数非常有限，如考虑赠药群体中的成人可能会继续使用伊米苷酶（其中因用药时间很长，约有70%患者已经成年），实际艾格司他能够治疗的患者更少，纳入医保后对医保基金影响极小。
弥补目录短板描述	目录内尚未纳入任何一款戈谢病治疗药物。艾格司他是首个国产戈谢病治疗口服药物，治疗效果确切，对于首次用药和使用过ERT的患者均获益明显，安全性好，纳入目录可弥补目录短板，提升产业信心。
临床管理难度描述	该疾病诊断标准和特异性治疗方案明确。艾格司他为小分子口服药，依从性高，可在家用药；常温贮存和管理，适合双通道药店配备，提升偏远地区患者使用便利性和获得感。