

编码：YPSN202600266

2026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	2026-06-10 13:54:27	药品目录	药品目录内
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

(一) 基本医保目录

- 1.2026年12月31日协议到期，且不申请调整医保支付范围的谈判药品。
- 2.2026年12月31日协议到期，适应症或功能主治未发生重大变化，因适应症与医保支付范围不一致，主动申请调整支付范围的谈判药品。
- 3.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，适应症或功能主治发生重大变化，主动申请调整医保支付范围的谈判药品和目录内其他药品。

(二) 商保创新药目录

- 1.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，适应症或功能主治发生重大变化，主动申请调整的商保创新药目录内药品。

药品通用名称(中文、含剂型)	酒石酸艾格司他胶囊	商品名	凯奇安
药品类别	西药		
① 药品注册分类	化药3类		
是否为独家	是	所属类别	谈判药品
协议/支付标准到期时间	2027年12月31日		
核心专利类型1	酒石酸艾格司他晶型	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	成人：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。儿童：6岁至18岁，体重≥15公斤 本品适用于6岁及以上，体重15公斤及以上，酶替代治疗(ERT)稳定，以及经 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)儿童患者的治疗。		
现行医保目录的医保支付范围	限经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。		
说明书用法用量	成人 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。儿童（6岁至18岁，体重≥15公斤）体重≥50kg，对于CYP2D6 EMs和IMs，84mg每天两次；对于CYP2D6 PMs，84mg每天一次。体重25~50kg，对于CYP2D6 EMs和IMs，84mg每天两次；对于CYP2D6 PMs，42mg每天一次。体重15~25kg，对于CYP2D6 EMs和IMs，42mg每天两次；对于CYP2D6 PMs，21mg每天一次。		
所治疗疾病基本情况	(1)疾病特点:戈谢病是一种罕见常染色体隐性遗传代谢病，因患者溶酶体中葡萄糖脑苷脂酶功能缺陷导致其底物葡萄糖脑苷脂在脏器内贮积，临床表现为多脏器受累并呈进行性加重，常见表现包括:肝脾肿大；血液系统症状(血小板减少和贫血)；骨骼受累等。(2)流行病学数据：I型患者人数非常有限，中国人群的患病率低于全球平均水平，发病率在1/50万-1/20万之间。目前中国已确诊的戈谢病患者约500人，儿童患者约50%。		
中国大陆首次上市时间	2022-10	现行有效药品注册证书的到期时间	2027-10-24
同疾病治疗领域内或同药理作用药品上市情况	艾格司他是国内戈谢病SRT疗法(底物减少疗法)唯一产品，国内无同药理作用产品上市。在戈谢病领域具有ERT(酶替代疗法)产品上市，但均未纳入国家医保目录，具体包括:注射用伊米苷酶(2008年上市)、注射用维拉苷酶a(2021年上市)、注射用维拉苷酶β(2025年上市)。艾格司他优势:1、谈判进入国家医保，价格远低于酶制剂。2、在长达4年的试验中疗效非劣于伊米苷酶，且对未使用过或者使用过ERT的患者，均获益明显。3、目前确定的AES大多是轻度的，口服用药无输注		

反应及输注过程监测需求，同时减少医护人员负担。4、可常温贮存和管理，更适合双通道药店配备。5、唯一的SRT药物，更有助于治疗骨骼并发症，有助于儿童生长发育。

企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	↓ 下载文件 基本资料-药品适应症或功能主治修改前法定说明书.pdf
药品适应症或功能主治修改后法定说明书（ 预申报药品请先上传提交至药监部门审批的说明书，并在规定时间内上传经药监部门审核的说明书 ）	↓ 下载文件 基本资料-药品适应症或功能主治修改后法定说明书.pdf
提供首次上市和最新版有效的《药品注册证书》（国产药品）/《进口药品注册证》（进口药品）、《药品再注册批准通知书》，以及证明适应症/功能主治变化前后的《药品补充申请批准通知书》（ 预申报药品请上传可证明已完成技术审评的相关文件或截图，并在规定时间内补充上传经药监部门批准的证明文件 ）	↓ 下载文件 基本资料-技术审评完成情况截图.png
申报药品摘要幻灯片（含经济性信息）	↓ 下载文件 酒石酸艾格司他胶囊-含经济性价格费用信息.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含经济性信息）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-不含经济性价格费用信息.pdf



序号 ①	新增适应症/功能主治或医保支付范围扩大部分	是否已获批	获批时间
1	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1型戈谢病(GD1)儿童患者。	否，已于6月10日前完成技术审评	

新增适应症或功能主治的参照药品信息

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65公斤，体表面积1.68m²。

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	金额（元） ①	疗程/周期 ①
空白	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：同领域无医保上市品种。

其他情况请说明：-

三、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	获批前
本次新增的适应症或功能主治	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)儿童患者。
对主要临床结局指标改善情况	一项艾格司他治疗儿童I型戈谢病的III期临床试验结果显示,在第52周时,96%的受试者血红蛋白水平维持在预先设定的治疗目标之上,98%的受试者血小板计数维持在预先设定的治疗目标值($\geq 100000 \text{ mm}^3$)或之上,51名受试者的肝脏体积维持在预先设定的治疗目标($< 1.5\text{MN}$)或以下。100%的受试者脾脏体积维持在预先设定的治疗目标($< 10\text{MN}$)或以下。
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(除英语之外的外文资料,中文翻译件须经专业翻译机构认证,以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 有效性信息-试验1-III期ELIkids研究.pdf
试验类型2	无对照病例研究
试验对照药品	无
试验阶段	获批前
本次新增的适应症或功能主治	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)儿童患者。
对主要临床结局指标改善情况	一项针对接受ERT疗法困难的儿童患者的研究显示:艾格司他在儿科GD1患者中展现出显著的临床获益,具体表现为葡萄糖鞘氨醇水平及其他疾病指标的降低。该疗法显示出与成人相当的良好安全性。这些研究结果表明,艾格司他是儿科GD1患者很有前景的治疗选择,为ERT提供了有效的替代方案。
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(除英语之外的外文资料,中文翻译件须经专业翻译机构认证,以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	↓ 下载文件 有效性信息-试验2-SRT疗法艾格司他治疗1型戈谢病儿科患者.pdf
试验类型3	无对照病例研究
试验对照药品	无
试验阶段	-
本次新增的适应症或功能主治	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)儿童患者。
对主要临床结局指标改善情况	一项在中国戈谢病儿童中开展的前瞻性临床研究结果显示,所有8例患儿在完成52周治疗后,肝脾体积显著缩小,血液学指标稳定或改善, Lyso-GL1 水平显著下降,儿童骨骼发育正常,生活质量稳步提升,提示艾格司他在儿童人群中具备良好的治疗反应。
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(除英语之外的外文资料,中文翻译件须经专业翻译机构认证,以保证涉外资料原件与翻译件的	↓ 下载文件 有效性信息-试验3-酒石酸艾格司他胶囊儿童临床试验结题报告摘要.pdf

一致性、准确性和客观性)	
临床指南/诊疗规范推荐情况1	目前戈谢病成人适应症已列入《中国戈谢病多学科专家共识》、《中国成人戈谢病诊治专家共识》、《欧洲戈谢病工作组专家共识》、《艾格司他治疗美国成人1型戈谢病推荐建议》、《欧洲成人1型戈谢病患者应用艾格司他治疗和监测建议》。戈谢病儿童适应症国际刚刚获批，暂未查到列入指南情况。
本次新增的适应症或功能主治	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)儿童患者。
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	-

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）	-

四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	临床研究中最常报告的不良反应是消化不良，大约有6%的成人和9.8%的儿童患者报告了消化不良。临床试验中观察到艾格司他在儿童患者中的安全性与成人患者一致。在儿童III期临床研究（ELIKIDS）中，最常见的不良反应是消化不良（9.8%）和皮肤干燥（3.6%）。患者发生的不良反应，在年龄组、性别之间没有显著差异。没有患者因不良反应而永久停止治疗。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	国外上市后研究数据未表明儿科人群存在安全问题，最常报告的不良事件与儿科人群（超说明书用药）的使用情况、艾格司他已知的安全性特征相符，或者在儿科治疗人群中可能出现。通过最新的艾格司他定期安全性更新报告评估，EMA人用药品风险评估委员会得出结论，未发现艾格司他在儿童使用方面的新安全问题。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性文献报告-EMA审评报告.pdf

五、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。2.国产重大新药创制、北京市科技课题支持上市，国家药监局药品审评中心罕见病“关爱计划”试点项目首批品种。3.拥有1项晶型专利，专利有效期至2036年。
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性信息-创新程度文献合集.pdf
应用创新	1.针对戈谢病儿童患者，在艾格司他医保已覆盖成人基础上扩大到6岁以上儿童。戈谢病为遗传代谢性疾病，儿童患者数量更多、病情发展更快、用药需求更迫切。2、常温贮存，成本低，利于双通道配备；口服用药，可居家服用，减少患者用药成本与医院系统负担。3、同期正在申报21mg规格，更适用于较低体重儿童的用药需求。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 创新性信息-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	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响	戈谢病已被列入2018年发布的国家《第一批罕见病目录》，大多数患者从儿童期发病，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（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	戈谢病患者人数非常有限，艾格司他成人戈谢病适应症纳入医保目录后实际占用医保资金较小，预计戈谢病儿童适应症纳入医保后对医保基金影响极小。
弥补目录短板	艾格司他是首个国产戈谢病治疗口服药物，成人戈谢病适应症纳入国家医保目录后弥补目录内空白，显著提升成人患者保障。戈谢病为遗传代谢型疾病，儿童发病人群数量更大，且病情发展更严重。如儿童适应症纳入目录可有效弥补目录短板，完整保障全年龄段患者人群。
临床管理难度	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。



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY