

编码：YPSW202600113

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： 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	2026-06-08 13:39:13	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2021年1月1日（含，下同）至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准上市或已完成技术审评的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2021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，且针对此次变更获得药品批准证明文件的药品。
- 3.2020年1月1日后国家药监部门附条件批准上市且于2023年1月1日至2026年5月31日期间转为常规批准的新通用名药品（不含新适应症或功能主治）。
- 4.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入现行版《国家基本药物目录》的药品。
- 5.纳入《商业健康保险创新药品目录》（2025年）的药品。
- 6.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入国家卫生健康委等部门《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》《第五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》《第四批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 7.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委《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。
- 8.2020年1月1日以后谈判准入的品种，因未能成功续约而被调出目录的，首个同通用名药品于2021年1月1日至2026年5月31日期间获批上市的，但原谈判企业品种不能申报。

药品通用名称（中文、含剂型）	卡谷氨酸分散片	商品名	安维得
医保药品分类与代码	XA16AAK146A006010183383; XA16AAK146A006010283383; XA16AAK146A006010383383	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录、商保创新药目录		
药品类别	西药		
① 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	一种精制卡谷氨酸的方法	核心专利权期限届满日2	2036-11
核心专利类型3	高纯度卡谷氨酸及其制备方法	核心专利权期限届满日3	2039-06
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	一种精制卡谷氨酸的方法	核心专利权期限届满日2	2036-11
核心专利类型3	高纯度卡谷氨酸及其制备方法	核心专利权期限届满日3	2039-06
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	本品适用于治疗：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。N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症患者根据临床经验，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, 可以不根据体重增加剂量;每日剂量范围为10mg/kg至100mg/kg。异戊酸血症、甲基丙二酸血症和丙酸血症患者有机酸血症患者应在发生高氨血症时开始治疗。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】)。(详见说明书)		
所治疗疾病基本情况	甲基丙二酸血症(发病率1/28000), 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。		
是否已获批上市	是, 已获得注册批件		
中国大陆首次上市时间	2023-06	注册证号/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	锐康迪(北京)医药有限公司经营的同通用名药品“卡谷氨酸分散片”(商品名: 卡巴谷®), 于2023年6月在中国上市。但该公司已于2026年1月通过官方渠道宣布其2025年12月11日依法完成清算组备案, 并进入清算程序, 其产品、服务及业务全面终止, 其所有产品包括卡巴谷®也退出中国市场。截至目前, 国内已无其他同通用名药品在售或正常运营。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	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书(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药监部门审核的说明书)	↓ 下载文件 卡谷氨酸分散片说明书.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《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》, 请扫描成一个文件后上传	↓ 下载文件 药品注册证书.pdf		
申报药品摘要幻灯片(含价格费用信息)	↓ 下载文件 卡谷氨酸分散片PPT1.pptx		
申报药品摘要幻灯片(不含价格费用信息)将要同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 卡谷氨酸分散片PPT2.pptx		

参照药品信息

说明:

- 1、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。
- 2、中成药: 一律填写日均费用。
- 3、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
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：1.卡谷氨酸分散片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。2.四个适应症引发的高氨血症均无国家医保目录内药品，且临床无其他针对适应症获批的药物；3.临床试验及真实世界数据均无对照药品；4.国际审评机构（澳大利亚、法国、波兰等）在卡谷氨酸医保准入时，认可参照品为空白对照；5.被列入美国FDA、欧盟EMA、日本等孤儿药品目录。

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血氨水平和经卡谷氨酸治疗后的研究终点。新生儿与非新生儿基线血氨水平分别为468.3(±365.3)μmol/L和171.3(±75.7)μmol/L，研究终点血氨水平分别为60.7(±36.5)μmol/L和55.2(±21.8)μmol/L。两组血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 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患者或PA患者纳入研究，其中21名患者被分配到卡谷氨酸维持治疗（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，卡谷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，显示卡谷氨酸长期使用控制病情并在维持治疗过程中减少51%的急诊就诊次数（P=0.0095）。
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 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血氨水平和经卡谷氨酸治疗后的研究终点。新生儿与非新生儿基线血氨水平分别为468.3(±365.3)μmol/L和171.3(±75.7)μmol/L，研究终点血氨水平分别为60.7(±36.5)μmol/L和55.2(±21.8)μmol/L。两组血氨恢复正常的中位时间分别为38.4hr和28.3hr。

<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 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</p>
<p>试验类型2</p>	<p>单个样本量足够的RCT</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无对照</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市后</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>38名MMA患者或PA患者纳入研究，其中21名患者被分配到卡谷氨酸维持治疗（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，卡谷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，显示卡谷氨酸长期使用控制病情并在维持治疗过程中减少51%的急诊就诊次数（P=0.0095）。</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 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</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>中国《有机酸血症导致高氨血症和代谢危象防治专家共识》2025，急性期治疗中，推荐卡谷氨酸作为有机酸血症（如MMA,PA,IVA）患者出现高氨血症时的首选药物。慢性期稳定期中，卡谷氨酸分散片可用于维持血氨稳定，减少代谢危象发作频率，长期使用可提高患者对天然蛋白质的耐受能力，改善生长发育。</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 1有机酸血症导致高氨血症和代谢危象防治专家共识2025.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>中国《罕见病诊疗指南（2019年版）》，推荐卡谷氨酸用于甲基丙二酸血症（MMA）/丙酸血症（PA）/N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症（NAGSD）患者的药物治疗。</p>
<p>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）</p>	<p>↓ 下载文件 2罕见病诊疗指南2019年版.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>中国《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急性期药物治疗。</p>
<p>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</p>	<p>↓ 下载文件 3单纯型甲基丙二酸尿症饮食治疗与营养管理专家共识2018.pdf</p>

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）

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《中国尿素循环障碍诊断治疗和管理指南》2022，推荐卡谷氨酸可作为NAGSD的一线治疗药物，也可用于原因不明的急性高氨血症(1B)。稳定期的NAGSD患者选择卡谷氨酸单药治疗(1A)。

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）

↓ 下载文件

4中国尿素循环障碍诊断治疗和管理指南2022.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

欧洲《甲基丙二酸血症和丙酸血症的诊断和管理指南：第一修订版》2021，推荐卡谷氨酸用于MMA、PA急性期降氨药物治疗。

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）

↓ 下载文件

5欧洲甲基丙二酸血症和丙酸血症的诊断和管理指南第一修订版2021.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

中国《有机酸血症导致高氨血症和代谢危象防治专家共识》2025，急性期治疗中，推荐卡谷氨酸作为有机酸血症（如MMA,PA,IVA）患者出现高氨血症时的首选药物。慢性期稳定期中，卡谷氨酸分散片可用于维持血氨稳定，减少代谢危象发作频率，长期使用可提高患者对天然蛋白质的耐受能力，改善生长发育。

↓ 下载文件

1有机酸血症导致高氨血症和代谢危象防治专家共识2025.pdf

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）

临床指南/诊疗规范推荐情况2

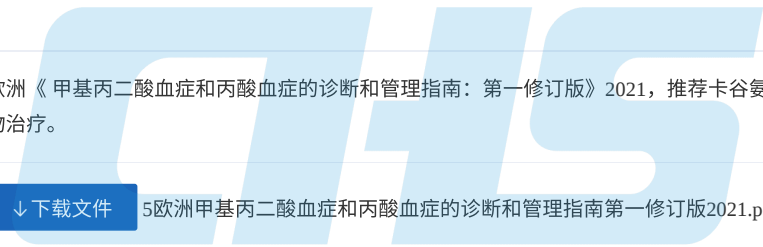
中国《罕见病诊疗指南（2019年版）》，推荐卡谷氨酸用于甲基丙二酸血症（MMA）/丙酸血症（PA）/N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症（NAGSD）患者的药物治疗。

↓ 下载文件

2罕见病诊疗指南2019年版.pdf

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）

临床指南/诊疗规范推荐情况3	中国《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急性期药物治疗。
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）	↓ 下载文件 3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4	《中国尿素循环障碍诊断治疗和管理指南》2022，推荐卡谷氨酸可作为NAGSD的一线治疗药物，也可用于原因不明的急性高氨血症(1B)。稳定期的NAGSD患者选择卡谷氨酸单药治疗(1A)。
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）	↓ 下载文件 4中国尿素循环障碍诊断治疗和管理指南2022.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况5	欧洲《甲基丙二酸血症和丙酸血症的诊断和管理指南：第一修订版》2021，推荐卡谷氨酸用于MMA、PA急性期降氨药物治疗。
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）	↓ 下载文件 5欧洲甲基丙二酸血症和丙酸血症的诊断和管理指南第一修订版2021.pdf



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY

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
《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	(1) N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症引起的急性和慢性高氨血症：最常说的不良反应（≥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引起的急性高氨血症：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) 异戊酸血症引起的高氨血症：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	1.卡谷氨酸化学名称为N-氨基甲酰-L-谷氨酸，是体内天然物质N-乙酰谷氨酸的结构类似物，直击线粒体，可以特异性激活尿素循环关键酶甲酰磷酸合成酶1（CPS1），绕过上游通路异常，有效恢复尿素循环，高效降氨。2.在美国、欧盟等获得孤儿药资格认定。3.符合“儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格”纳入CDE优先审评审批程序。4.专利在有效期。
创新性证明文件	↓ 下载文件 卡谷氨酸创新性证明材料.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	↓ 下载文件 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	-

五（一）、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响	1.覆盖《第一批罕见病目录》四种罕见病：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.减轻疾病负担：快速控制血氨，并维持正常水平，降低发作次数；3.提高患者及家属生命质量：改善营养与发育，助力患儿和家长回归学习和工作，具有显著的患者价值和社会意义。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	1.解决儿童罕见病患者（尤其是新生儿）“病有所医、医有所药、药有所保”的基本需求；2.契合“十五五”规划中“加强妇女和儿童健康服务”的政策要求；3.适应症明确、患者人数有限，医保基金支出可控；4.减少急救、住院、透析等并发症治疗费用，降低疾病管理成本，节省医保基金支出。
弥补目录短板	1.卡谷氨酸是国内MMA, PA, IVA引起高氨血症患者的唯一的药物治疗选择；2.卡谷氨酸上市填补了《第一批罕见病目录》中相关病种无特效药可用的空白；3.原研产品已退出中国市场，本品作为境内唯一治疗特效药物，可有效保障临床用药供应，确保持续满足儿童患者的治疗需求。
临床管理难度	1.诊断明确：仅在少数大型医学中心诊疗，无临床滥用风险；2.特异性强：无超说明书用药案例；3.依从性佳：口服刻痕分散片，服用方便、剂量准确，速崩速效（尤其针对婴幼儿急救使用）。