

编码：YPSW202600578

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：           盐酸曲恩汀片          

企业名称：           欧瑞兰医药（上海）有限  
                          公司

## 申报信息

申报时间	2026-06-10 17:46:59	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）	盐酸曲恩汀片	商品名	科佩欧
医保药品分类与代码	XA16AXQ181A001010185290	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	化药5.1		
核心专利类型1	三亚乙基四胺四盐酸盐的晶形及其医药用途	核心专利权期限届满日1	2039-05
核心专利类型1	三亚乙基四胺四盐酸盐的晶形及其医药用途	核心专利权期限届满日1	2039-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	150mg		
上市许可持有人（授权企业）	Orphalan		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗青霉胺不耐受的≥5岁儿童及成人的肝豆状核变性		
说明书用法用量	必须由具有肝豆状核变性治疗经验的专科医生开始治疗。本品应空腹服用，至少在餐前1小时或餐后2小时服药，且需与任何其他药品、食物或牛奶相隔至少1小时。如有需要，可将带有刻痕的薄膜衣片分成两等份，以提供更精确的剂量或方便服用。剂量：起始剂量通常为剂量范围内的最低剂量，随后根据患者临床反应调整剂量。成人：推荐剂量为每天450~975 mg（3~6.5片薄膜衣片），分2~4次口服。≥5岁儿童：儿童的起始剂量低于成人，具体取决于年龄和体重。剂量一般为每天225~600 mg（1.5~4片薄膜衣片），分2~4次服用。特殊人群 肾功能不全患者 肾功能不全患者的用药信息有限。此类患者无特殊剂量调整要求。		
所治疗疾病基本情况	肝豆状核变性是ATP7B基因突变导致的铜蓄积性罕见病，纳入国家第一批罕见病目录。该病神经症状包括肌张力障碍、震颤、精神行为异常等，进而致残；肝脏症状包括急性肝炎、慢性肝炎、进而导致急性肝衰或肝硬化。我国患病率约0.587/万人，漏诊误诊率高，仅2.5万患者在接受治疗，其中10~30%青霉胺不耐受。未经有效控制而造成急性肝衰竭的死亡率高达95%，神经症状进展也可能致残甚至死亡。若使用螯合剂长期规范治疗，大多患者可延缓甚至避免并发症。		
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	2023-12	注册证号/批准文号	国药准字HJ20230149
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	2017-09
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	<p>对于本品获批的适应症“用于治疗青霉胺不耐受的≥5岁儿童及成人的肝豆状核变性”，医保目录内并无获批此适应症药品。现阶段临床为经验用药，均未获批该适应症：1.青霉胺片，1950年上市，2009年纳入常规甲类；2.二巯丁二酸胶囊，1994年上市（仅在中国获批），2009年纳入常规甲类；3.二巯丙磺钠注射液，中国指南推荐的超说明书使用药物，全球均未获批。印度二巯曲恩汀胶囊于2024年在中国获批，该药物无化合物专利，无法室温保存，需冷藏。综上，肝豆状核变性在我国近三十年无创新药，现有药品缺乏高等级循证证据。相对于现有药品，本品具有多方面优势：1.唯一拥有全球多中心RCT研究的肝豆状核变性治疗药物，并发表高质量文献于《柳叶刀—胃肠病学与肝脏病学》（影响因子35.7），研究结果有力支持本品具有确切的疗效和安全性优势；2.已在全球35个国家上市使用，疗效得到临床广泛认可，真实世界长期随访研究显示四巯曲恩汀长期疗效优于其他螯合剂；3.本品已得到国内外权威指南一致推荐；4.研究表明本品具有双重作用机制，既可以螯合铜离子促进肾脏排泄铜，又可阻断肠道对铜的吸收。</p>		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 企业承诺书2026.pdf		
药品最新版法定说明书（ <b>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</b> ）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 药品最新法定说明书202507.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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 药品注册证书.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2026-盐酸曲恩汀片PPT1.pdf		
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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2026-盐酸曲恩汀片PPT2.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。
  - 急救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算次均费用。
  - 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。
  - 其它情况请按说明书用法用量计算费用，并详细说明。
  - 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。
    - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m<sup>2</sup>。
    - 成人：18周岁及以上，体重65公斤，体表面积1.68m<sup>2</sup>。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） <sup>①</sup>	用法用量	费用类型	金额（元） <sup>①</sup>	疗程/周期 <sup>①</sup>
无参照	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：我国医保目录中并无获批青霉胺不耐受适应症的药品，本品可填补该领域的治疗空白。临床经验用药均无此适应症，二巯丁二酸疗效不佳，需联合用药；二巯丙磺钠注射液需住院使用，二者均非国际指南推荐的治疗方案。

其他情况请说明：-

## 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	青霉胺
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	四盐酸曲恩汀是目前唯一拥有III期RCT研究证据的肝豆状核变性药物主要研究结果显示第24周四盐酸曲恩汀降低游离铜的疗效与一线治疗药物青霉胺相当。次要终点指标24h尿铜排泄量，在第48周两组患者的尿铜排泄量均保持在正常范围内。第24周青霉胺组出现3例SAE，四盐酸曲恩汀组SAE为零。CGIC, UWDRS量表显示四盐酸曲恩汀可以稳定控制疾病以及神经及肝脏症状。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> III期RCT临床试验CHELATE研究中英文.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	二盐酸曲恩汀
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项法国回顾性队列研究显示，四盐酸曲恩汀组患者的平均持续治疗时间（DoT）达12.6年，患者神经或肝脏症状恶化率均为0%；二盐酸曲恩汀组患者DoT为7.6年，肝脏症状恶化率为4.55%，神经症状恶化率为2.27%。上述研究显示出四盐酸曲恩汀相较于二盐酸曲恩汀在症状控制方面更优。此外在依从性方面，四盐酸曲恩汀亦优于二盐酸曲恩汀
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 四盐酸曲恩汀和二盐酸曲恩汀的疗效和安全性回顾性队列研究中英文.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	二盐酸曲恩汀
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在健康男性和女性受试者中，与参比制剂二盐酸曲恩汀相比，600 mg四盐酸曲恩汀单次给药后曲恩汀吸收速率（C <sub>max</sub> ）和总暴露量（AUC <sub>0-inf</sub> ）更大（C <sub>max</sub> 和AUC <sub>0.inf</sub> 分别增加约68%和56%），吸收更快更充分。试验制剂和参比制剂之间曲恩汀的清除率（λ <sub>z</sub> ）和半衰期（t <sub>1/2</sub> ）相似，表明四盐酸曲恩汀在吸收方面更具优势，而代谢和清除过程无显著差异。
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（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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 四盐酸曲恩汀Triumph研究中英文.pdf
试验类型4	无对照病例研究

试验对照药品	青霉胺
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	在西班牙生活的5岁中国男孩在中国休假时确诊肝豆，初始使用青霉胺联合锌治疗16个月，直至2022年7月发现药物导致肾病综合征，肾脏活检确诊膜性肾小管肾炎。为了避免继续使用青霉胺导致疾病进展，停用青霉胺换用四盐酸曲恩汀。转换后使用锌和四盐酸曲恩汀联合治疗，15天后患儿肝酶、血脂降低，药物反应良好，停用锌单用四盐酸曲恩汀治疗。使用四盐酸曲恩汀仅4周肝酶恢复正常水平，出院时肾病综合征也得到了良好的控制。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 一名威尔逊病患者在青霉胺诱发的肾病综合征后改用四盐酸曲恩汀-中英文.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	青霉胺
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	四盐酸曲恩汀是目前唯一拥有III期RCT研究证据的肝豆状核变性药物主要研究结果显示第24周四盐酸曲恩汀降低游离铜的疗效与一线治疗药物青霉胺相当。次要终点指标24h尿铜排泄量，在第48周两组患者的尿铜排泄量均保持在正常范围内。第24周青霉胺组出现3例SAE，四盐酸曲恩汀组SAE为零。CGIC, UWDRS量表显示四盐酸曲恩汀可以稳定控制疾病以及神经及肝脏症状。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> III期RCT临床试验CHELATE研究中英文.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	二盐酸曲恩汀
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项法国回顾性队列研究显示，四盐酸曲恩汀组患者的平均持续治疗时间（DoT）达12.6年，患者神经或肝脏症状恶化率均为0%；二盐酸曲恩汀组患者DoT为7.6年，肝脏症状恶化率为4.55%，神经症状恶化率为2.27%。上述研究显示出四盐酸曲恩汀相较于二盐酸曲恩汀在症状控制方面更优。此外在依从性方面，四盐酸曲恩汀亦优于二盐酸曲恩汀
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 四盐酸曲恩汀和二盐酸曲恩汀的疗效和安全性回顾性队列研究中英文.pdf
试验类型3	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	二盐酸曲恩汀
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	在健康男性和女性受试者中，与参比制剂二盐酸曲恩汀相比，600 mg四盐酸曲恩汀单次给药后曲恩汀吸收速率（C <sub>max</sub> ）和总暴露量（AUC <sub>0-inf</sub> ）更大（C <sub>max</sub> 和AUC <sub>0-inf</sub> 分别增加约68%和56%）。吸收更快更充分。试验制剂和参比制剂之间

曲恩汀的清除率 ( $\lambda_z$ ) 和半衰期 ( $t_{1/2}$ ) 相似, 表明四盐酸曲恩汀在吸收方面更具优势, 而代谢和清除过程无显著差异。

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 (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](#) 四盐酸曲恩汀Triumph研究中英文.pdf

试验类型4

无对照病例研究

试验对照药品

青霉胺

试验阶段

上市后

对主要临床结局指标改善情况

在西班牙生活的5岁中国男孩在中国休假时确诊肝豆, 初始使用青霉胺联合锌治疗16个月, 直至2022年7月发现药物导致肾病综合征, 肾脏活检确诊膜性肾小管肾炎。为了避免继续使用青霉胺导致疾病进展, 停用青霉胺换用四盐酸曲恩汀。转换后使用锌和四盐酸曲恩汀联合治疗, 15天后患儿肝酶、血脂降低, 药物反应良好, 停用锌单用四盐酸曲恩汀治疗。使用四盐酸曲恩汀仅4周肝酶恢复正常水平, 出院时肾病综合征也得到了良好的控制。

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](#) 一名威尔逊病患儿在青霉胺诱发的肾病综合征后改用四盐酸曲恩汀-中英文.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况1

《欧洲肝脏研究协会临床实践指南—肝豆状核变性 (2025年)》: 曲恩汀用于治疗对青霉胺出现不良反应的肝豆核变性患者; 与青霉胺相比, 曲恩汀的不良反应较少; 如果肝豆状核变性患者对一线治疗的依从性良好, 且 24 小时尿铜排泄量在目标范围内, 但仍未达到充分的治疗效果, 或出现副作用, 则应考虑转换治疗方法 (D- 青霉胺转换为曲恩汀) 强推荐

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](#) 2025欧洲肝脏研究协会临床实践指南肝豆状核变性-中英文.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《中国肝豆状核变性诊治指南 (2021年版)》: 推荐曲恩汀用于有轻中、重度肝脏损害和神经精神症状的患者以及不能耐受青霉胺的患者。

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)

[↓ 下载文件](#) 中国肝豆状核变性诊治指南2021-已标注.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《肝豆状核变性诊疗指南2022年版》: 肝豆状核变性确诊后即应开始抗铜治疗, 并终生维持治疗【1级推荐; 证据等级: A】。有症状者初始治疗应包括螯合剂【1级推荐; 证据等级: A】; 无症状或进入维持治疗的患者可用螯合剂或铈剂治疗【1级推荐; 证据等级: B】。曲恩汀在欧美国家已取代青霉胺成为治疗肝豆状核变性的首选药。曲恩汀可用于各型肝

豆状核变性患者，特别是有神经精神症状的患者，以及对青霉胺过敏或不耐受的患者。

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）

[↓ 下载文件](#) 肝豆状核变性诊疗指南2022版-已标注.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《美国肝病研究学会肝豆状核变性实践指导（2022年）》：曲恩汀是肝豆状核变性的有效治疗药物，尤其对于青霉胺不耐受的患者。当曲恩汀代替青霉胺时，此前由青霉胺引起的不良反应会消退，并且不再复发。对于伴严重血小板减少或中性粒细胞减少并可能发生脾肿大的患者，曲恩汀是优选方案。伴失代偿性肝病的患者也能够使用曲恩汀。曲恩汀对儿童患者安全有效。四盐酸曲恩汀在室温下稳定。

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](#) 2022年美国肝病研究学会AASLD威尔逊病实践指导.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况5

《欧洲肝脏研究协会临床实践指南—肝豆状核变性（2012年）》：有症状患者的初始治疗应使用螯合剂（青霉胺或曲恩汀），曲恩汀的耐受性优于青霉胺【强烈推荐；证据等级：中】。曲恩汀虽然被开发用于对青霉胺不耐受的患者，但已被证明可以作为有效的初始治疗，即使伴有失代偿性肝病的患者也能使用。一般而言，青霉胺引起的不良反应在换用曲恩汀时会消退，并且在曲恩汀长期治疗期间不会复发。

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](#) 2012年欧洲肝脏研究协会EASL威尔逊病临床实践指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《欧洲肝脏研究协会临床实践指南—肝豆状核变性（2025年）》：曲恩汀用于治疗对青霉胺出现不良反应的肝豆核变性患者；与青霉胺相比，曲恩汀的不良反应较少；如果肝豆状核变性患者对一线治疗的依从性良好，且24小时尿铜排泄量在目标范围内，但仍未达到充分的治疗效果，或出现副作用，则应考虑转换治疗方法（D-青霉胺转换为曲恩汀）强烈推荐

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）

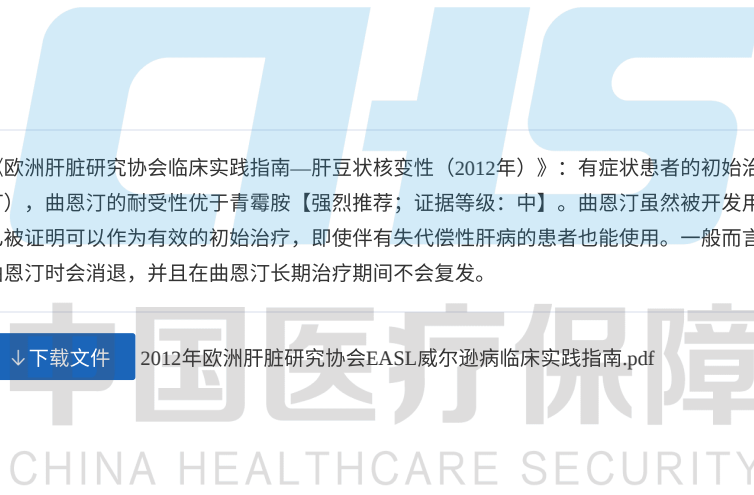
[↓ 下载文件](#) 2025欧洲肝脏研究协会临床实践指南肝豆状核变性-中英文.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

《中国肝豆状核变性诊治指南（2021年版）》：推荐曲恩汀用于有轻中、重度肝脏损害和神经精神症状的患者以及不能耐受青霉胺的患者。

临床指南/诊疗规范中需包含申报

[↓ 下载文件](#) 中国肝豆状核变性诊治指南2021-已标注.pdf



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

《肝豆状核变性诊疗指南2022年版》：肝豆状核变性确诊后即应开始抗铜治疗，并终生维持治疗【1级推荐；证据等级：A】。有症状者初始治疗应包括螯合剂【1级推荐；证据等级：A】；无症状或进入维持治疗的患者可用螯合剂或锌剂治疗【1级推荐；证据等级：B】。曲恩汀在欧美国家已取代青霉胺成为治疗肝豆状核变性的首选药。曲恩汀可用于各型肝豆状核变性患者，特别是有神经精神症状的患者，以及对青霉胺过敏或不耐受的患者。

↓ 下载文件

肝豆状核变性诊疗指南2022版-已标注.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4

《美国肝病研究学会肝豆状核变性实践指导（2022年）》：曲恩汀是肝豆状核变性的有效治疗药物，尤其对于青霉胺不耐受的患者。当曲恩汀代替青霉胺时，此前由青霉胺引起的不良反应会消退，并且不再复发。对于伴严重血小板减少或中性粒细胞减少并可能发生脾肿大的患者，曲恩汀是优选方案。伴失代偿性肝病的患者也能够使用曲恩汀。曲恩汀对儿童患者安全有效。四盐酸曲恩汀在室温下稳定。

↓ 下载文件

2022年美国肝病研究学会AASLD威尔逊病实践指导.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5

《欧洲肝脏研究协会临床实践指南—肝豆状核变性（2012年）》：有症状患者的初始治疗应使用螯合剂（青霉胺或曲恩汀），曲恩汀的耐受性优于青霉胺【强烈推荐；证据等级：中】。曲恩汀虽然被开发用于对青霉胺不耐受的患者，但已被证明可以作为有效的初始治疗，即使伴有失代偿性肝病的患者也能使用。一般而言，青霉胺引起的不良反应在换用曲恩汀时会消退，并且在曲恩汀长期治疗期间不会复发。

↓ 下载文件

2012年欧洲肝脏研究协会EASL威尔逊病临床实践指南.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）

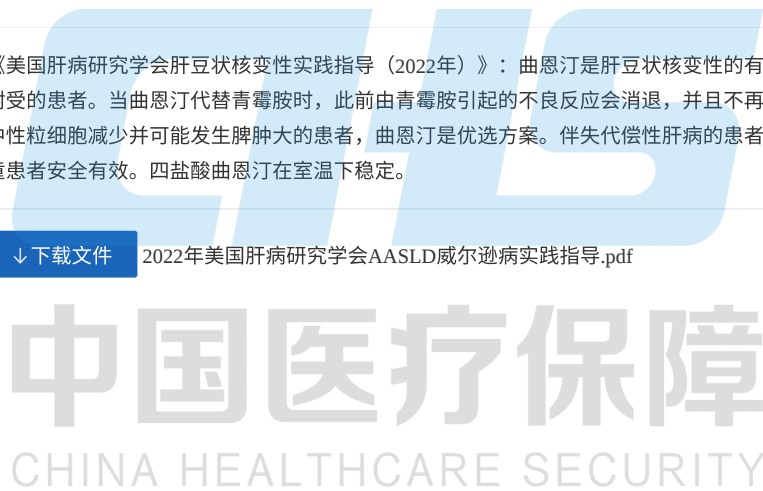
国家药监局药品审评中心《技术审评报告》中关于本药品有效性的描述

暂未收到《技术审评报告》

《技术审评报告》原文（可节

↓ 下载文件

2026\_关于盐酸曲恩汀片未收到药品技术审评报告的说明.pdf



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	暂未收到《技术审评报告》
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2026_关于盐酸曲恩汀片未收到药品技术审评报告的说明.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	说明书记载的不良反应：曲恩汀给药后最常见的不良反应为恶心（发生率 $\geq 1/100$ 至 $< 1/10$ ）；偶见铁粒幼红细胞性贫血、皮疹、瘙痒症、红斑（发生率 $\geq 1/1000$ 至 $< 1/100$ ）。用药禁忌：对活性成份或任何辅料过敏者禁用本品。注意事项和药物相互作用：曲恩汀是一种螯合剂，研究发现其可降低血清铁水平。缺铁性贫血患者可能需要补充铁剂，且铁剂用药时间应不同于曲恩汀给药时间。不建议曲恩汀和锌合并用药。具体内容详见说明书。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	自2017年欧盟首次获批以来，全球无安全性警告、无黑框警告，所有研究未报告本品有严重不良事件，副作用小，耐受性良好
相关报导文献	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2026_药品安全性结果.pdf

### 四、创新性信息

创新程度	本品是首个中国获批用于治疗青霉胺不耐受的肝豆状核变性的铜螯合剂，化学结构为 $C_6H_{22}Cl_4N_4$ ，具有创新双重作用机制，不仅通过促进铜的排泄消除体内过量铜，还能抑制肠道对铜的吸收，优于传统螯合剂仅促进排泄铜的作用。是唯一拥有III期RCT证据的治疗药物，临床疗效证据等级高。本品获得CDE优先审评，并在美国获得FDA孤儿药认定。
创新性证明文件	-
应用创新	特殊人群：本品可用于 $\geq 5$ 岁儿童，可掰片，剂量精准，满足儿童群体用药。储存便利：本品无需冷藏，可室温储存，便利性高，降低成本。给药方式：本品每日给药2-4次（可仅给药2次），大大提升患者用药依从性。相较于二巯丙磺钠（静脉注射），本品为口服用药，无需住院；相比其它口服药品（例如青霉胺每日4次，每日8片，葡萄糖酸锌片每日3次，每日15片）本品减少了给药次数和药片负担，进一步提高了患者的依从性。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 三亚乙基四胺四盐酸盐的晶形及其医药用途.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	肝豆状核变性属于罕见病，多发于儿童及青少年，其防治对降低重大疾病负担具有公共卫生价值。未经规范治疗可导致严重的肝脏或神经症状，致残率高，给家庭与社会带来负担；患者常进展为失代偿性肝衰竭，且急性肝衰竭未经干预死亡率高达95%，其余患者需进行肝移植维持生存，并伴随高额医疗支出。
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	整体治疗费用可控，符合“保基本”原则。可通过用药，减轻患者神经及肝脏症状恶化的风险，降低肝移植的机率，减轻患者住院以及后续额外治疗的经济负担，既保障患者的治疗效果，又节省医保额外的医疗支出，符合“保基本”原则
弥补目录短板	肝豆状核变性被列入《第一批罕见病目录》（编号：37）。目前，国家医保目录中无针对青霉胺不耐受患者的治疗药物；本品为首个在中国获批用于治疗青霉胺不耐受的铜螯合剂，提高了患者用药可及性。此外，本品保障了儿童用药，为儿童患者提供更有效、安全、便利性的治疗选择。
临床管理难度	本品说明书适应症及适用人群界定清晰，诊断标准和临床路径规范，方便审核，无临床滥用或超说明书用药的风险。本品为口服剂型，无需住院治疗，方便基层医院使用，大幅提升患者依从性，处方管理简便，双重保障临床用药安全性与规范性。此外，本品作为室温稳定的口服制剂，其稳定性与管理便利性优势进一步降低因储存或使用不当导致的非预期用药风险。