

2022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： 苯丁酸钠颗粒

企业名称： 兆科药业（广州）有限公
 司

申报信息

申报时间	2022-07-12 14:05:15	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2017年1月1日至2022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。
- 2.2017年1月1日至2022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的药品。
- 3.纳入《新型冠状病毒肺炎诊疗方案（试行第九版）》的药品。
- 4.纳入《国家基本药物目录（2018年版）》的药品。
- 5.2022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。
- 6.2022年6月30日前经国家药监部门批准上市，说明书适应症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）	苯丁酸钠颗粒	医保药品分类与代码	XA16AXB248N001010182502
药品类别	西药	是否为独家	是
说明书全部注册规格	150g/瓶(每1g含苯丁酸钠0.94g)	上市许可持有人	兆科药业(广州)有限公司
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部适应症/功能主治	作为辅助治疗药物，用于氨基甲酰磷酸合成酶缺乏症、鸟氨酸转氨甲酰基转移酶缺乏症或精氨酸琥珀酸合成酶缺乏症引起的尿素循环异常患者。本品适用于所有新生儿期（出生28天内）出现完全酶缺乏症的患者。也适用于有高氨血性脑病史的迟发型（部分酶缺乏症，出生1个月后）患者。		
说明书用法用量	推荐剂量 临床经验中苯丁酸钠的每日总剂量通常为：450-600mg/kg/日（体重<20kg 的新生儿、婴幼儿和儿童）9.9-13.0g/m ² /日（体重>20kg 的儿童、青少年和成人）应于每餐时或进食时服用每日总剂量的均分剂量（比如小龄儿童每日服用4-6次）。应将本品颗粒与固体食物（如土豆泥或苹果酱）或液体食物（如饮用水、苹果汁、橙汁或无蛋白婴儿配方奶粉）混匀后服用。量取药品颗粒前请轻轻摇晃瓶子。		
说明书中联合用药规定	无		
中国大陆首次上市时间	2021-05		
全球首个上市国家/地区	中国	全球首次上市时间	2021-05
注册证号/批准文号	国药准字H20213365	是否为OTC	否

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，若说明书中有治疗周期，请按说明书计算疗程费用；若无治疗周期，请按365天计算年费用。（2）急抢救、麻醉、检验等用药，请按一个治疗周期计算疗程费用。（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。
 - 儿童：18周岁以下，体重20公斤，体表面积0.8m²。
 - 成人：18周岁以上，体重60公斤，体表面积1.6m²。

参照药品名称	是否医保目录内
无	-

参照药品选择理由：医保内无同适应症药品。

三、有效性信息

试验类型1	非RCT队列研究
试验对照药品	空白
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标或替代性指标改善情况	研究表明，通过控制血氨，长期随访观察，这些幸存的患者比从新生儿高氨血症昏迷中抢救的患者有更好的神经学结果。
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	空白
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标或替代性指标改善情况	接受氮清除剂治疗的患者在5年生存率超过90%，并保持了与身高相符的体重。高氨血症发作的频率随年龄增长和苯乙酸钠或苯丁酸钠治疗而降低。
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	空白
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标或替代性指标改善情况	回顾性研究评估苯丁酸钠长期治疗的有效性及其安全性，改研究中位随访时间为26个月。在此期间，未出现需要进行住院治疗的高氨血症发作事件。

临床指南/诊疗规范推荐情况1	2020年《尿素循环障碍的三级防控专家共识》指出尿素循环障碍的治疗需要多学科合作，尽快降低血氨，保护重要器官。苯丁酸钠是氮清除剂，经旁路发挥降低血氨作用，是广谱降氨药物，适用于多数尿素循环障碍患者的长期治疗。且该药为目前国内唯一上市用于治疗尿素循环障碍的氮清除剂。
临床指南/诊疗规范推荐情况2	罕见病诊疗指南(2019年版)-中第6、18、48、79和85共五种疾病均为尿素循环障碍导致的疾病，治疗中均推荐应用氮清除剂促进氮排泄，迅速降血氨。见第39页、536、537页。

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	-
---------------------------------	---

四、安全性信息

药品说明书记载的安全性信息	常见：贫血，血小板减少症，白细胞减少症，白细胞增多症，血小板增多症，代谢性酸中毒，碱中毒，食欲下降，抑郁，易激惹，晕厥，头痛，水肿，腹痛，呕吐，恶心，便秘，味觉异常，皮疹、皮肤气味异常，肾小管酸中毒，闭经，月经不规则，血钾降低，白蛋白降低，总蛋白和磷酸盐降低，血碱性磷酸酶升高，转氨酶升高、胆红素增加、尿酸升高，氯化物增加，磷酸盐和钠增加，体重增加。偶见：再生障碍性贫血，瘀斑，心律不齐，胰腺炎，消化性溃疡，直肠出血，胃炎。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	苯丁酸钠颗粒于2021年5月在国内上市。在国内上市至今仅收集到1例不良反应报告，不良反应为“胃肠道不适、反酸”，患者同时使用熊去氧胆酸胶囊。不能排除“胃肠道不适、反酸”与苯丁酸钠颗粒及熊去氧胆酸胶囊药物的相关性。

五、创新性信息

创新程度	苯丁酸钠颗粒是国内唯一获批的口服氮清除剂，是前体药物，可迅速代谢成苯乙酸盐。苯乙酸盐通过乙酰化作用与谷氨酰胺结合，形成苯乙酸谷氨酰胺，经肾脏排泄，降低血液中氨和谷氨酰胺水平，改变了作为罕见病的尿素循环障碍无长
------	--

	期口服药可用的状况。
应用创新	苯丁酸钠颗粒为颗粒剂型，可与固体食物（如土豆泥或苹果酱）或液体食物（如饮用水、苹果汁、橙汁或无蛋白婴儿配方奶粉）混匀后服用，尤其适用于婴幼儿服用；配备3个不同剂量计量器，方便精准给药。
传承性（仅中成药填写）	-

六、公平性信息

所治疗疾病对公共健康的影响描述	苯丁酸钠颗粒用于治疗尿素循环障碍疾病，其覆盖国家第一批罕见病目录的病种如下：精氨酸酶缺乏症（6），瓜氨酸血症（18），HHH综合征（48），N-乙酰谷氨酸合成酶缺乏症（79），鸟氨酸氨甲酰基转移酶缺乏症（85）（注（）内为序号）。苯丁酸钠颗粒上市，彻底改变患者国外有药国内无药可用的状况。尿素循环障碍患者如得不到早期和充分的药物治疗，往往导致患儿的智力发育障碍，给家庭和社会带来长期的经济负担和压力。
符合“保基本”原则描述	尿素循环障碍患者如果早期使用氮清除剂，可以避免因血氨增高导致的智力障碍，长期的规律服药可以保持正常的生长发育和智力状态。该类疾病患者罕见，人数很少，在减轻参保人员承受能力的情况下不会对医疗保险基金带来很大的压力。
弥补目录短板描述	弥补了医保目录内无长期口服氮清除剂药的状况。
临床管理难度描述	目前国家对于罕见病的重视，中国《罕见病诊疗指南》和《尿素循环障碍的三级防控专家共识》先后发布，相关疾病专家对此类疾病的诊疗形成规范；以及临床基因诊断的发展和普遍应用，大部分的患者可以得到明确诊断；该类疾病为罕见病，患者数量少，大部分患者会登记管理；说明书适应症明确，不存在临床滥用的可能性。



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY