

2025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：熊去氧胆酸口服混悬液

企业名称：深圳市康哲药业有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-17 18:03:14	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2020年1月1日至2025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，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2020年1月1日至2025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药品。
- 3.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入《国家基本药物目录(2018年版)》的药品。
- 4.2025年6月30日前经国家药监部门批准上市，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》的药品。
- 5.2025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国家卫生健康委等部门《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。

药品通用名称（中文、含剂型）	熊去氧胆酸口服混悬液	医保药品分类与代码	XA05AAX163X002010178373
药品类别	西药	是否为独家	否
申报目录类别	基本医保目录		
① 药品注册分类	化药 5.1		
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型1	无	核心专利权期限届满日1	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	250ml：12.5g		
上市许可持有人（授权企业）	Dr. Falk Pharma GmbH		
说明书全部适应症/功能主治	1.胆囊胆固醇结石-必须是X射线能穿透的结石，同时胆囊收缩功能须正常。2.胆汁淤积性肝病（如：原发性胆汁性肝硬化）。3.胆汁反流性胃炎。4.1月龄至18岁患者的囊性纤维化相关肝病。		
说明书用法用量	每次使用前，请充分摇晃。请用力按压瓶盖上方，同时将其向左旋转以打开儿童安全阻开盖。1、胆囊胆固醇结石：按体重每日剂量为10mg/kg；溶石治疗：晚上睡前服用，服药应规律。溶石治疗一般需6~24个月，服用12个月后结石未见变小者，停止服用。治疗结果根据每6个月进行超声波或X射线检查判断。2、胆汁淤积性肝病：按体重每日剂量为10mg/kg。3、胆汁反流性胃炎：晚上睡前服用，必须定期服用，一次5ml，一日一次。一般服用10~14天，遵从医嘱决定是否继续；4、1月龄至18岁患者的囊性纤维化相关肝病：每日剂量为20mg/kg，分2-3次给药。如必要，日剂量可增至30mg/kg。极少体重不足10kg的儿童给药会受到影响，这是因为随药品包装的量杯无法量取1.25ml以下的液体。可使用带有0.1ml刻度的2ml一次性注射器给药。如用注射器给药：1) 药瓶开启前先充分振摇。2) 倒少许混悬液至药品包装所附量杯中。3) 抽取比目标体积稍多的混悬液。4) 轻弹注射器以驱赶针筒中混悬液内的气泡。5) 检查针筒内混悬液体积，根据需要调整至准确体积。6) 将针筒内混悬液直接推送入儿童口中。不可将针筒伸入药瓶中。不可将针筒内或者量杯中未用尽的混悬液倒回药瓶。		
所治疗疾病基本情况	1.囊性纤维化（CF）是常染色体隐性遗传病，由CFTR基因突变所致，可导致广泛的肝胆疾病，统称为CF肝病（CFLD）。CF患病率0.0008%，54%CF为儿童；CF中约1/3会发生CFLD，预计中国儿童CFLD约为2000人；2.婴儿胆汁淤积是3月龄内起病的以血直接胆红素升高为主要表现，其足月儿发病率为1/2500；3.儿童胆石症是指胆道系统结石所致的胆道炎症，以胆绞痛为主要临床症状，其患病率逐年增加，16岁以下儿童的胆囊切除术人数来看发病率，从1997年的0.78/10万增加到2012年的2.7/10万；4.儿童胆汁反流性胃炎流调暂无相关资料。		
中国大陆首次上市时间	2024-07	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240072
该通用名全球首个上市国家/地区	瑞士	该通用名全球首次上市时间	1998-11

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	1、国内尚无明确治疗儿童囊性纤维化相关肝病（CFLD）的药物。2、同药理作用药品熊去氧胆酸胶囊有效成分与本品相同，属医保甲类品种，目前国内获批的适应症包括胆汁淤积性肝病，胆囊胆固醇结石、胆汁反流性胃炎，但无CFLD适应症。而且胶囊剂存在无法准确调整剂量、儿童吞服困难等缺点，不适用于儿童人群。本品可根据儿童患者的体重给予相应给药剂量，且便于吞服，极大提高了儿童用药的依从性。3、本品适用于1月龄至18岁患者的CFLD治疗，安全有效且填补该适应症领域治疗药物空白。2014年，欧盟通过一项儿童工作分担程序，提出“儿科人群：含熊去氧胆酸药品，包括熊去氧胆酸口服混悬液已被批准用于1个月至18岁以下儿童中与囊性纤维化相关肝胆疾病”适应症的治疗。4、本品是我国2016年公布的首批鼓励研发申报儿童药品清单收录品种，可满足迫切的临床需求。
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书盖章版.pdf
药品最新版法定说明书	↓ 下载文件 熊去氧胆酸口服混悬液现行说明书.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 注册证合并.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 熊去氧胆酸口服混悬液PPT1.pdf
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将同其他信息一同向社会公示	↓ 下载文件 熊去氧胆酸口服混悬液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。
（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。

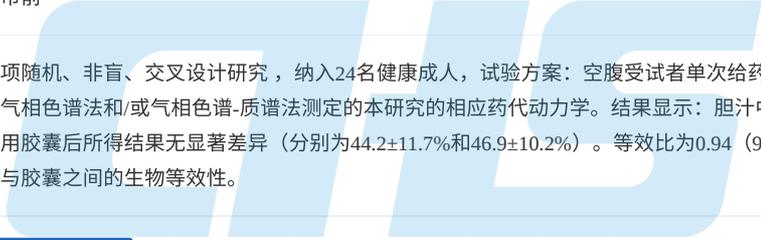
参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） [!]	用法用量	费用类型	金额（元） [!]	疗程/周期 [!]
熊去氧胆酸胶囊（优思弗）	是	250mg/粒	5.91	1. 胆囊胆固醇结石：与本品一致，按体重每日剂量为10mg/kg，溶石治疗：一般需6~24个月，服用12个月后结石未见变小者，停止服用。2. 胆汁淤积性肝病：	日均费用	5.91-11.81	/

				与本品一致，按体重每日剂量为10mg/kg。3. 胆汁反流性胃炎：与本品一致，通常应服用1粒（250 mg）胶囊，持续10-14天。		
--	--	--	--	--	--	--

参照药品选择理由：1.熊去氧胆酸胶囊(优思弗)是医保目录内药品，市场份额占比较大；2.UDCA是唯一被批准用于PBC的一线治疗药物，胆汁淤积性肝病、囊性纤维化相关肝病的指南推荐药物；3.化学成分相同，两者生物利用度相当；4.适应症重叠；新增儿童罕见病(囊性纤维化相关肝病)，且剂型创新更适用于儿童患者服用；5.同一知名肝病领域企业，有效成分含量高达99.0%以上，多年临床应用得到了广泛的认可。

其他情况请说明：熊去氧胆酸胶囊的胆汁反流性胃炎适应症日治疗费用为5.91元，说明书对该适应症的治疗疗程规定为10-14天，按此计算疗程费用为59.06-82.68元。

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	熊去氧胆酸胶囊（优思弗）
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项随机、非盲、交叉设计研究，纳入24名健康成人，试验方案：空腹受试者单次给药750 mg UDCA胶囊或混悬液，使用气相色谱法和/或气相色谱-质谱法测定的本研究的相关药代动力学。结果显示：胆汁中熊去氧胆酸的平均富集百分比与服用胶囊后所得结果无显著差异（分别为44.2±11.7%和46.9±10.2%）。等效比为0.94（95%置信区间：0.8-1.1），确定混悬剂与胶囊之间的生物等效性。
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）	<div style="display: flex; align-items: center;"> <div style="background-color: #007bff; color: white; padding: 2px 5px; margin-right: 5px;">↓ 下载文件</div> 临床研究1-生物等效性.pdf </div> <div style="text-align: center; margin-top: 10px;">  <h1 style="color: #ccc; font-weight: normal;">中国医疗保障</h1> <p style="color: #ccc; font-weight: normal;">CHINA HEALTHCARE SECURITY</p> </div>
试验类型2	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	随机、双盲、多中心对照研究，纳入55例囊性纤维化（CF）相关慢性肝病患者（中位年龄13.8岁），随机分四组（UDCA+牛磺酸、UDCA+安慰剂、牛磺酸+安慰剂、双安慰剂），治疗12个月。结果：UDCA治疗组在临床评分上保持稳定，而安慰剂组患者评分显著恶化（P=0.025），肝功能方面，UDCA显著降低了GGT（P=0.004）和5'-核苷酸酶（P=0.006）。表明UDCA可延缓病情进展。
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）	<div style="display: flex; align-items: center;"> <div style="background-color: #007bff; color: white; padding: 2px 5px; margin-right: 5px;">↓ 下载文件</div> 临床研究2-CFLD.pdf </div>
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	历史空白对照
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	<p>本试验将98名性别、年龄相匹配的接受UDCA治疗的囊性纤维化肝病患者，与历史上98名未接受UDCA治疗的CFLD患者进行比较，观察是否有肝脏疾病恶化的发生。因血清肝酶升高而接受UDCA治疗的患者中，只有1例出现明显的肝脏疾病，而历史对照组有9例($P < 0.05$)。在17年的随访中，大多数UDCA治疗的患者血清肝酶水平 (ALT、AST、GGT、GLDH) 显著下降(87/98, $P < 0.05$)。</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 临床研究3-CFLD.pdf</p>
试验类型4	非RCT队列研究
试验对照药品	无试验对照药品
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>一项观察性研究纳入105例儿科囊性纤维化患者。32例接受UDCA治疗，73例未接受UDCA治疗，符合Colombo标准 (早期肝病) 的患者接受UDCA接受中位7.7年UDCA治疗后，肝脏硬度显著下降 (-0.70 kPa/年，对比未接受UDCA治疗，$P=0.01$)，肝功能指标 (AST、ALT、GGT) 亦明显改善。提示UDCA在早期肝病开始使用，可能阻止CFLD的进展，甚至可能诱导纤维化的逆转。</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 临床研究4-CFLD.pdf</p>
试验类型5	非RCT队列研究
试验对照药品	同患者治疗前对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>一项前瞻性研究，旨在评估熊去氧胆酸 (UDCA) 治疗囊性纤维化 (CF) 相关肝病 (CFLD) 2年的疗效。研究纳入了10名8至28岁的CFLD患者，并通过肝活检证实存在肝病 (定义为可能或确诊的肝硬化)。研究中，患者接受了为期2年的UDCA治疗，肝活检在研究开始时、12个月和24个月进行。结果显示，对肝活检的盲评表明，7名患者在UDCA治疗后的肝形态有所改善，炎症和/或胆管增生减少。</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 临床研究5-CFLD.pdf</p>
试验类型6	非RCT队列研究
试验对照药品	无试验对照药品
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	<p>一项纵向人群队列研究，回归分析确定肝硬化及其进展的危险因素。病例为2008-2013年英国囊性纤维化登记处登记的所有囊性纤维化相关肝病患者 ($n=3417$)。熊去氧胆酸治疗的患者总生存期显著延长 ($HR=0.70$, $95\%CI: 0.52-0.96$, $p=0.026$)，无肝硬化患者获益更多 ($HR=0.50$, $95\%CI: 0.36-0.69$, $p<0.0001$)。提示UDCA可能对CFLD患者的生存有好</p>

处。

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](#) 临床研究6-CFLD.pdf

试验类型7 RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析

试验对照药品 无试验对照药品

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

纳入了32项随机对照试验，2153名18岁以下胆汁淤积的儿童。其中1086名接受UDCA治疗，1067名未接受。Meta分析结果显示：UDCA治疗儿童胆汁淤积，比对照组更有效（RR=1.24，95% CI：1.18-1.29，P<0.000001），29项研究的Meta分析显示：UDCA可使TBIL水平降低25.67 μ mol/L（95% CI：-31.82至-19.52，P<0.000001）。

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](#) 临床研究7-儿童胆汁淤积.pdf

试验类型8 非RCT队列研究

试验对照药品 无试验对照药品

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

对2009年1月至2017年12月期间确诊为胆结石（GS）的65例儿童（年龄 \leq 18岁）进行了回顾性队列分析，研究人群平均年龄为8.5 \pm 5.3岁。手术治疗的GS患者中66.7%为胆固醇结石，54例患者（83.1%）服用熊去氧胆酸（UDCA），其中22例患者（33.8%）在6个月内结石溶解。

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](#) 临床研究8-儿童胆固醇结石.pdf

试验类型9 单个样本量足够的RCT

试验对照药品 平行空白对照

试验阶段 上市后

对主要临床结局指标改善情况

一项随机对照研究，将73例经内镜和组织病理学确诊的胆汁反流性胃炎患儿随机分为两组：观察组37例，给予熊去氧胆酸、奥美拉唑和多潘立酮联合治疗；对照组36例，仅给予奥美拉唑和多潘立酮治疗。治疗时间为4周。患儿年龄6~15岁，平均(10.0-13.5)岁。结果显示，观察组总有效率为91.89%，对照组总有效率为72.22%，两组疗效差异有统计学意义（P<0.05）。

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，

[↓ 下载文件](#) 临床研究9-儿童胆汁反流性胃炎.pdf

以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	熊去氧胆酸胶囊 (优思弗)
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项随机、非盲、交叉设计研究, 纳入24名健康成人, 试验方案: 空腹受试者单次给药750 mg UDCA胶囊或混悬液, 使用气相色谱法和/或气相色谱-质谱法测定的本研究的相应药代动力学。结果显示: 胆汁中熊去氧胆酸的平均富集百分比与服用胶囊后所得结果无显著差异 (分别为44.2±11.7%和46.9±10.2%)。等效比为0.94 (95%置信区间: 0.8-1.1), 确定混悬剂与胶囊之间的生物等效性。
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 临床研究1-生物等效性.pdf
试验类型2	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	随机、双盲、多中心对照研究, 纳入55例囊性纤维化 (CF) 相关慢性肝病患者 (中位年龄13.8岁), 随机分四组 (UDCA+牛磺酸、UDCA+安慰剂、牛磺酸+安慰剂、双安慰剂), 治疗12个月。结果: UDCA治疗组在临床评分上保持稳定, 而安慰剂组患者评分显著恶化 (P=0.025), 肝功能方面, UDCA显著降低了GGT (P=0.004) 和5'-核苷酸酶 (P=0.006)。表明UDCA可延缓病情进展。
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 临床研究2-CFLD.pdf
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	历史空白对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	本试验将98名性别、年龄相匹配的接受UDCA治疗的囊性纤维化肝病患者, 与历史上98名未接受UDCA治疗的CFLD患者进行比较, 观察是否有肝脏疾病恶化的发生。因血清肝酶升高而接受UDCA治疗的患者中, 只有1例出现明显的肝脏疾病, 而历史对照组有9例 (P < 0.05)。在17年的随访中, 大多数UDCA治疗的患者血清肝酶水平 (ALT、AST、GGT、GLDH) 显著下降 (87/98, P < 0.05)。
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 临床研究3-CFLD.pdf
试验类型4	非RCT队列研究

试验对照药品	无试验对照药品
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项观察性研究纳入105例儿科囊性纤维化患者。32例接受UDCA治疗，73例未接受UDCA治疗，符合Colombo标准（早期肝病）的患者接受UDCA接受中位7.7年UDCA治疗后，肝脏硬度显著下降（-0.70 kPa/年，对比未接受UDCA治疗， $P=0.01$ ），肝功能指标（AST、ALT、GGT）亦明显改善。提示UDCA在早期肝病开始使用，可能阻止CFLD的进展，甚至可能诱导纤维化的逆转。
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（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 临床研究4-CFLD.pdf
试验类型5	非RCT队列研究
试验对照药品	同患者治疗前对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	一项前瞻性研究，旨在评估熊去氧胆酸（UDCA）治疗囊性纤维化（CF）相关肝病（CFLD）2年的疗效。研究纳入了10名8至28岁的CFLD患者，并通过肝活检证实存在肝病（定义为可能或确诊的肝硬化）。研究中，患者接受了为期2年的UDCA治疗，肝活检在研究开始时、12个月和24个月进行。结果显示，对肝活检的盲评表明，7名患者在UDCA治疗后的肝形态有所改善，炎症和/或胆管增生减少。
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 临床研究5-CFLD.pdf
试验类型6	非RCT队列研究
试验对照药品	无试验对照药品
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	一项纵向人群队列研究，回归分析确定肝硬化及其进展的危险因素。病例为2008-2013年英国囊性纤维化登记处登记的所有囊性纤维化相关肝病（n=3417）。熊去氧胆酸治疗的患者总生存期显著延长（HR=0.70，95%CI: 0.52-0.96， $p=0.026$ ），无肝硬化患者获益更多（HR=0.50，95%CI: 0.36-0.69， $p<0.0001$ ）。提示UDCA可能对CFLD患者的生存有好处。
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 临床研究6-CFLD.pdf
试验类型7	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	无试验对照药品
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	纳入了32项随机对照试验，2153名18岁以下胆汁淤积的儿童，其中1086名接受UDCA治疗，1067名未接受。Meta分析结

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

<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 临床研究7-儿童胆汁淤积.pdf</p>
<p>试验类型8</p>	<p>非RCT队列研究</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无试验对照药品</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>对2009年1月至2017年12月期间确诊为胆结石（GS）的65例儿童（年龄≤18岁）进行了回顾性队列分析，研究人群平均年龄为8.5±5.3岁。手术治疗的GS患者中66.7%为胆固醇结石，54例患者（83.1%）服用熊去氧胆酸（UDCA），其中22例患者（33.8%）在6个月内结石溶解。</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 临床研究8-儿童胆固醇结石.pdf</p>
<p>试验类型9</p>	<p>单个样本量足够的RCT</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>平行空白对照</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>一项随机对照研究，将73例经胃镜和组织病理学确诊的胆汁反流性胃炎患儿随机分为两组：观察组37例，给予熊去氧胆酸、奥美拉唑和多潘立酮联合治疗；对照组36例，仅给予奥美拉唑和多潘立酮治疗。治疗时间为4周。患儿年龄6~15岁，平均(10.0-13.5)岁。结果显示，观察组总有效率为91.89%，对照组总有效率为72.22%，两组疗效差异有统计学意义（P<0.05）。</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 临床研究9-儿童胆汁反流性胃炎.pdf</p>

<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>中华医学会肝病学分会2021年发布的《胆汁淤积性肝病管理指南（2021）》：尚无对CFLD有益的治疗药物，予以20-30 mg/kg/d UDCA显示可持续改善肝生化指标、刺激受损胆管胆汁的分泌、改善组织学指标（2年以上）和营养状态。可用于治疗 PBC、PSC、妊娠肝内胆汁淤积（ICP）、囊性纤维化、肝移植后淤胆、药物性胆汁淤积、家族性肝内胆汁淤积症（FIC）和 Alagille综合征等。</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</p>	<p>↓ 下载文件 指南1.pdf</p>

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

欧洲囊性纤维化协会于2011年发布的《囊性纤维化相关肝病诊断和治疗的最佳实践指南》中表明，“熊去氧胆酸（UDCA）是一种具有亲水性和利胆作用的胆汁酸，已在囊性纤维化（CF）患者中广泛使用，并已被证明可以改善肝功能检测、胆汁排泄、肝脏早期超声变化，甚至改善肝脏组织学特征。

↓ 下载文件 指南2.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

Cystic Fibrosis Trust机构于2016年发布的《囊性纤维化的营养管理》在7.5肝脏疾病章节（41页）推荐熊去氧胆酸（UDCA）是唯一可用的治疗选择，广泛用于治疗囊性纤维化肝病（CFLD）。UDCA治疗已被证明可以改善生化特征，并在早期开始治疗可延缓肝病的进展。

↓ 下载文件 指南3.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

英国皇家布朗普顿医院于2023年发布的《临床指南:儿童囊性纤维化的护理》在7.9肝脏疾病章节（152页），“标准治疗”部分推荐：在肝肿大、肝功能检查显著升高、凝血异常或肝脏超声波检查有肝硬化改变证据的儿童中，使用熊去氧胆酸，可增加胆汁分泌。耐受性良好，主要副作用为腹泻；若发生腹泻，可减少剂量。熊去氧胆酸能逆转CFLD生物标志物。

↓ 下载文件 指南4.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

婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识（2022）：熊去氧胆酸为亲水性、有细胞保护作用、无细胞毒性的胆汁酸，广泛应用于各种婴儿胆汁淤积症，但确诊为胆道完全梗阻患儿禁用。常规治疗剂量为10~20 mg/（kg·d）[部分可至30 mg/（kg·d）]，分2~3次服用。

↓ 下载文件 指南5.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)

<p>临床指南/诊疗规范推荐情况1</p>	<p>中华医学会肝病学分会2021年发布的《胆汁淤积性肝病管理指南（2021）》：尚无对CFLD有益的治疗药物，予以20-30 mg/kg/d UDCA显示可持续改善肝生化指标、刺激受损胆管胆汁的分泌、改善组织学指标（2年以上）和营养状态。可用于治疗 PBC、PSC、妊娠肝内胆汁淤积（ICP）、囊性纤维化、肝移植后淤胆、药物性胆汁淤积、家族性肝内胆汁淤积症（FIC）和 Alagille综合征等。</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 指南1.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>欧洲囊性纤维化协会于2011年发布的《囊性纤维化相关肝病诊断和治疗的最佳实践指南》中表明，“熊去氧胆酸（UDCA）是一种具有亲水性和利胆作用的胆汁酸，已在囊性纤维化（CF）患者中广泛使用，并已被证明可以改善肝功能检测、胆汁排泄、肝脏早期超声变化，甚至改善肝脏组织学特征。</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 指南2.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>Cystic Fibrosis Trust机构于2016年发布的《囊性纤维化的营养管理》在7.5肝脏疾病章节（41页）推荐熊去氧胆酸（UDCA）是唯一可用的治疗选择，广泛用于治疗囊性纤维化肝病（CFLD）。UDCA治疗已被证明可以改善生化特征，并在早期开始治疗可延缓肝病的进展。</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 指南3.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>英国皇家布朗普顿医院于2023年发布的《临床指南:儿童囊性纤维化的护理》在7.9肝脏疾病章节（152页），“标准治疗”部分推荐：在肝肿大、肝功能检查显著升高、凝血异常或肝脏超声波检查有肝硬化改变证据的儿童中，使用熊去氧胆酸，可增加胆汁分泌。耐受性良好，主要副作用为腹泻；若发生腹泻，可减少剂量。熊去氧胆酸能逆转CFLD生物标志物。</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 指南4.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识（2022）：熊去氧胆酸为亲水性、有细胞保护作用、无细胞毒性的胆汁酸，广泛应用于各种婴儿胆汁淤积症，但确诊为胆道完全梗阻患儿禁用。常规治疗剂量为10~20 mg/（kg·d） [部分可至30 mg/（kg·d）]</p>

(kg·d)] , 分2~3 次服用。

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](#) 指南5.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

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

药品说明书记载的安全性信息

安全特征总结:常见不良反应仅为消化道症状(稀便或腹泻,发生率1%-10%),这些反应通常较轻微,多数患者可以耐受,严重风险发生概率极低。不良反应情况:常见(1%~<10%):稀便或腹泻。十分罕见(<0.01%或现有数据无法评估):右上腹痛、胆结石钙化、荨麻疹、治疗晚期原发性胆汁性肝硬化时,发生肝硬化失代偿(停止治疗后部分恢复)(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

优思弗®(熊去氧胆酸;剂型:胶囊、薄膜衣片和混悬液)已在50多个国家获得上市批准,优思弗胶囊自1979年首次德国上市,优思弗混悬液1988年首次英国上市,上市以来没有黑框警告、没有因安全性问题导致的撤市信息、未发现显著的安全性问题。上市后监测情况:来自自发性报告、临床研究和当前可用的优思弗®制剂医学文献综述的累积安全性数据支持优思弗安全耐受性良好。优思弗®依然具有积极的获益-风险特征。临床指南认为熊去氧胆酸非常安全,用药期间仅产生最小的副作用。临床观察和荟萃分析证明妊娠妇女对熊去氧胆酸耐受性良好,未发现对新生儿的不良反应。熊去氧胆酸用于早产儿的研究结果显示研究药物耐受性良好且安全。治疗期间未发生具有临床相关性的异常实验室检查值。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 安全性相关资料.pdf

四、创新性信息

创新程度

UDCA口服混悬液被纳入《首批鼓励研发申报儿童药品清单》,并以“符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格”为由纳入优先审评。UDCA口服混悬液是国内首个获批囊性纤维化相关肝病(CFLD)的药物,填补囊性纤维化相关肝病罕见病临床用药空白。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 关于印发首批鼓励研发申报儿童药品清单的通知.pdf

应用创新

UDCA口服混悬液被纳入《首批鼓励研发申报儿童药品清单》,为“符合儿童生理特征的儿童用药品新剂型”。UDCA口服混悬液是国内首个儿童剂型,均匀白色混悬液,柠檬气味及少量气泡,较胶囊剂型可精准控制给药量,弥补UDCA治疗低龄儿童的剂型局限性。

应用创新证明文件

[↓ 下载文件](#) 关于印发首批鼓励研发申报儿童药品清单的通知.pdf

传承性(仅中成药填写)

-

五（一）、公平性信息

<p>所治疗疾病对公共健康的影响描述</p>	<p>囊性纤维化（CF）被纳入第一批罕见病目录，CFLD作为CF死亡的主要原因之一，也严重影响公共健康。多项研究表明UDCA在CFLD的应用中能有效改善患者肝功指标。胆汁淤积性肝病可导致儿童急性肝衰竭。UDCA可显著改善患儿肝酶指标，对改善人口健康质量具有战略价值。</p>
<p>符合“保基本”原则描述</p>	<p>国内尚无明确治疗CFLD适应症的药物，晚诊治发展成肝硬化死亡率更高，UDCA显著降低CFLD的发生率，避免病情进展导致肝移植而产生的医疗费用和家庭负担。治疗儿童胆汁淤积性肝病费用高昂，患儿平均住院费用为11969元，且大部分需自费，UDCA显著减少肝衰竭风险，早期干预降低长期肝硬化、门脉高压等并发症的医疗支出，减轻公共卫生负担。</p>
<p>弥补目录短板描述</p>	<p>2016年，熊去氧胆酸口服混悬液被纳入《首批鼓励研发申报儿童药品清单》。2023年11月，熊去氧胆酸口服混悬液以“符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格”为由纳入优先审评。针对低龄患者能得到精准用药剂量，混悬剂可实现±5%剂量误差控制（vs 片剂拆分>20%）。</p>
<p>临床管理难度描述</p>	<p>高浓度混悬液剂型（50mg/mL），缩小单次给药体积(<0.5mL)，且带有柠檬气味，符合低龄患儿生理特征的儿童用药品，依从性更高，该品常温储存，未开瓶保质期4年，临床管理便利，本品适应症明确，不存在临床滥用风险，按体重固定剂量给药，无需拆分配置，减少给药误差风险。</p>