

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：成都赛璟生物医药科技有
限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 14:49:54	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	XA05AAX163X002010183632
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3类		
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）	成都赛璟生物医药科技有限公司		
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; ④1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。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服药。 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。 7. 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。 体重不超过10kg的儿童： 如每日剂量为20mg/kg，给药装置：一次性注射器 体重10kg以上的儿童： 如每日剂量为20-25mg/kg，给药装置：量杯		
所治疗疾病基本情况	（1）胆囊胆固醇结石 我国胆囊胆固醇结石患病率约为1.6%~4.5%，不宜手术患者推荐使用UDCA溶石治疗。（2）胆汁淤积性肝病（其中多种疾病属于第二批罕见病目录） 以胆汁淤积为主要表现的肝胆疾病统称胆汁淤积性肝病。我国总体发病率数据不全，婴儿发病率约20-40/10万。（3）胆汁反流性胃炎（BRG）患病率具体不详。（4）囊性纤维化(CF)为罕见病，患病率约1/12 万，约1/3累及肝脏，统称囊性纤维化相关肝病		
中国大陆首次上市时间	2025-04	注册证号/批准文号	国药准字H20253746
该通用名全球首个上市国家/地区	德国	该通用名全球首次上市时间	1999-03
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	熊去氧胆酸（UDCA）已被多种指南/共识/专家建议等广泛推荐应用于各种肝胆疾病。国内外主要有胶囊、片剂和混悬剂三种剂型，其中原研胶囊剂（规格：250mg；商品名：Ursofalk）最早于1978年在德国上市；原研片剂（规格：250mg）于1999年经FDA批准上市，同年口服混悬剂（规格：250mg/5ml，商品名：Ursofalk）在德国获批上市。1994年原研胶囊（商品名：优思弗）在中国上市，原研混悬剂于2024年国内上市。迄今为止，已有赛璟生物、安士制药、上海宣泰仿制的胶囊剂和武汉普元仿制的片剂通过一致性评价且中选第八批国家集采，目前该两种剂型均属医保甲类，混悬剂尚未纳入医保。相对于目录内的片剂/胶囊，口服混悬剂新批了囊性纤维化相关肝病这一罕见病适应症，可以惠及该类的患者,避免了超说明书用药；细化了儿童用法用量，规范了UDCA的临床用药；口服混悬剂服药方便，剂量精准调整灵活，既避免了拆分胶囊/片剂带来的安全性和有效性风险，又因其良好的适口性，提升了患者长期用药的依从性；此外，本品原料药和制剂杂质控制更严格，保障儿童的用药安全。但与胶囊/片剂相比，患者携带略有不便。
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	↓ 下载文件 熊去氧胆酸口服混悬液说明书.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 熊去氧胆酸口服混悬液药品注册证书.pdf
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 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）将要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：

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	是	250mg	3.25	10mg/kg	日均费用	3.25~6.50	-

参照药品选择理由： 本品与参照药的活性成分一致，参照药为医保甲类品种且已被国家集采，是相同治疗领域内临床应用最广泛的药品，是胆汁淤积性肝病的一线用药，同时也是罕见病原发性胆汁性肝硬化的唯一一线用药。

其他情况请说明： 熊去氧胆酸胶囊国内有原研和仿制药上市，均有三个适应症。该胶囊剂已纳入第八批国家组织集中带量采购。本混悬液选择集采中标最高价的熊去氧胆酸胶囊为参照药，上栏中胶囊剂日均费用根据参照药价格和成人用法用量计算得到。

二、有效性信息

试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
-------	---------------------

试验对照药品	安慰剂/空白对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	共纳入 32 项RCTs结果，荟萃分析结果显示，熊去氧胆酸能够改善胆汁淤积患儿的症状（RR值1.24，95%CI 1.18~1.29；证据质量中等），并能降低血清中的丙氨酸氨基转移酶、总胆红素、直接胆红素和总胆汁酸水平（证据质量低等）。
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 1UDCA治疗儿童胆汁淤积有效性meta分析.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	原发性胆汁性胆管炎（PBC）患者使用UDCA或安慰剂治疗2年。主要终点：UDCA显著降低治疗失败率，安慰剂组治疗失败率为 47%（40/86），UDCA 组为 23%（20/86），p<0.01。次要终点：UDCA 组至治疗失败的时间也显著长于安慰剂组 804 天 vs 641 天，P=0.0001。UDCA 显著改善了肝功能指标，包括碱性磷酸酶、谷草转氨酶和胆红素。
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 2有适应症2UDCA治疗PBCFDA审评报告节选及翻译.pdf
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	安慰剂/空白对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	UDCA 治疗PBC患者的10年累积无肝移植生存率为 79.7% (95% CI 78.1-81.2)，未治疗患者为 60.7% (95% CI58.2-63.4)（p<0.001）。UDCA 与肝移植或死亡风险降低相关(HR 0.46,95% CI 0.40-0.52；p < 0.001)。在疾病的所有阶段，风险比仍然具有统计学意义。
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 3适应症2UDCA延长至肝移植的PBC生存期文献及翻译.pdf
试验类型4	其他
试验对照药品	安慰剂交叉对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	两组囊性纤维化相关肝病患儿服用 UDCA后转氨酶均显著改善（p<0.02）。UDCA更换为安慰剂后，ALT 中位数上升（p<0.02）。第 2 年时，与在试验过程中较早接受 UDCA 的患者相比，较晚接受 UDCA 的患儿的脂肪变性和门脉纤维化情况恶化。UDCA 治疗对组织学评分有显著影响（p=0.01），特别是在稳定门脉纤维化进展方面（p=0.02）。
试验数据结果证明文件，外文资料	↓ 下载文件 4适应症4英国UDCA儿科公众审评报告及翻译.pdf

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）	
试验类型1	RCT随机对照实验的系统评价或荟萃分析
试验对照药品	安慰剂/空白对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	共纳入 32 项RCTs结果，荟萃分析结果显示，熊去氧胆酸能够改善胆汁淤积患儿的症状（RR值1.24，95%CI 1.18~1.29；证据质量中等），并能降低血清中的丙氨酸氨基转移酶、总胆红素、直接胆红素和总胆汁酸水平（证据质量低等）。
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 1UDCA治疗儿童胆汁淤积有效性meta分析.pdf
试验类型2	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	原发性胆汁性胆管炎（PBC）患者使用UDCA或安慰剂治疗2年。主要终点：UDCA显著降低治疗失败率，安慰剂组治疗失败率为 47% （ 40/86），UDCA 组为 23% （ 20/86），p<0.01。次要终点：UDCA 组至治疗失败的时间也显著长于安慰剂组 804 天 vs 641 天，P=0.0001。UDCA 显著改善了肝功能指标，包括碱性磷酸酶、谷草转氨酶和胆红素。
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 2有适应症2UDCA治疗PBCFDA审评报告节选及翻译.pdf
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	安慰剂/空白对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	UDCA 治疗PBC患者的10年累积无肝移植生存率为 79.7% (95% CI 78.1-81.2)，未治疗患者为 60.7% (95% CI58.2-63.4) （p<0.001）。UDCA 与肝移植或死亡风险降低相关(HR 0.46,95% CI 0.40-0.52；p < 0.001)。在疾病的所有阶段，风险比仍然具有统计学意义。
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 3适应症2UDCA延长至肝移植的PBC生存期文献及翻译.pdf
试验类型4	其他
试验对照药品	安慰剂交叉对照

试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	两组囊性纤维化相关肝病患儿服用 UDCA后转氨酶均显著改善（p<0.02）。UDCA更换为安慰剂后，ALT 中位数上升（p<0.02）。第 2 年时，与在试验过程中较早接受 UDCA 的患者相比，较晚接受 UDCA 的患儿的脂肪变性和门脉纤维化情况恶化。UDCA 治疗对组织学评分有显著影响（p=0.01），特别是在稳定门脉纤维化进展方面（p=0.02）。
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 4适应症4英国UDCA儿科公众审评报告及翻译.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	胆汁淤积性肝病管理指南（2021年） 药物治疗：主要的药物有UDCA、S-腺苷蛋氨酸、考来烯胺等。UDCA可用于治疗PBC、PSC、ICP、囊性纤维化、肝移植后淤胆、药物性胆汁淤积、FIC 和Alagille 综合征等。
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 胆汁淤积性肝病管理指南P3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	原发性胆汁性胆管炎的诊断和治疗指南（2021年） 熊去氧胆酸（UDCA）是治疗本病的首选药物。PBC的治疗：一线治疗 UDCA是治疗PBC的一线药物，多项随机对照试验和荟萃分析证明UDCA(13~15mg/ k g/ d）可以改善PBC患者生化学指标、延缓疾病进程，并延长无肝移植生存。
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 原发性胆汁性胆管炎的诊断和治疗指南P1-2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识（2022年） 利胆退黄治疗：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。
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 婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识P5.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	新生儿黄疸规范化用药指导专家建议（2019年） 胆汁淤积综合征（高结合胆红素血症）治疗： 熊去氧胆酸（UDCA）：UDCA 是目前美国食品与药品监督管理局（FDA）批准的唯一用于治疗胆汁淤积的药品，新生儿特别是早产儿的应用疗效及安全性是肯定的，用法用量（强推荐）10mg/Kg/次，2次/d，口服。
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）	

约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 新生儿黄疸规范化用药指导专家建议P4.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	胆汁淤积性肝病管理指南（2021年） 药物治疗：主要的药物有UDCA、S-腺苷蛋氨酸、考来烯胺等。 UDCA可用于治疗PBC、PSC、ICP、囊性纤维化、肝移植后淤胆、药物性胆汁淤积、FIC 和Alagille 综合征等。
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 胆汁淤积性肝病管理指南P3.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	原发性胆汁性胆管炎的诊断和治疗指南（2021年） 熊去氧胆酸（UDCA）是治疗本病的首选药物。 PBC的治疗：一线治疗 UDCA是治疗PBC的一线药物，多项随机对照试验和荟萃分析证明UDCA(13~15mg/ k g/ d ）可以改善PBC患者生化指标、延缓疾病进程，并延长无肝移植生存。
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 原发性胆汁性胆管炎的诊断和治疗指南P1-2.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识（2022年） 利胆退黄治疗：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。
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 婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识P5.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	新生儿黄疸规范化用药指导专家建议（2019年） 胆汁淤积综合征（高结合胆红素血症）治疗： 熊去氧胆酸（UDCA）：UDCA 是目前美国食品与药品监督管理局（FDA）批准的唯一用于治疗胆汁淤积的药品，新生儿特别是早产儿的应用疗效及安全性是肯定的，用法用量（强推荐）10mg/Kg/次，2次/d，口服。
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 新生儿黄疸规范化用药指导专家建议P4.pdf

证，实际证明与原件一致，证明原件与复印件的一致性、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	-
《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	-
《技术审评报告》原文（可节选）	-

三、安全性信息

药品说明书刊载的安全性信息	不良反应：稀便或腹泻常见；胆结石钙化的病例十分罕见。 在治疗原发性胆汁性肝硬化时，严重的右上腹疼痛十分罕见。 治疗晚期原发性胆汁性肝硬化时，发生肝硬化失代偿的情形十分罕见，停止治疗后部分恢复。 荨麻疹十分罕见。（常见：≥1% ~ < 10%；十分罕见：<0.01%或现有数据无法评估） 使用禁忌：急性胆囊炎和胆管炎；胆道阻塞（胆总管和胆囊管）； 经常性的胆绞痛发作；射线穿不透的胆结石钙化；胆囊功能受损；胆囊不能在 X 射线线下被看到时；对胆汁酸或者本品任一成份过敏。 肝肠吻合术未成功或者未恢复正常胆汁引流的胆道闭锁儿童患者。 注意事项：必须在医生监督下使用。治疗前三个月必须每4周检查一次肝功指标，以后每3个月检查一次肝功指标。如果发生腹泻，应减少剂量。如果持续腹泻，应停止治疗。 每 5ml 本品含 7.5mg 苯甲酸，苯甲酸可增加新生儿患黄疸的风险。 每 5ml本品含50mg丙二醇，4 周以下的婴儿应谨慎使用本品。 药物相互作用：可能与考来烯胺、考来替泊以及含有氢氧化铝和/或蒙脱石（氧化铝）等抗酸药，环孢素，环丙沙星，瑞舒伐他汀钙，尼群地平相互作用，影响药物浓度。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	熊去氧胆酸胶囊、片剂、混悬液在全球多个国家上市多年，通过查询国家药品监督管理局、欧盟药品管理局、美国食品药品监督管理局等网站，各国药监均未发布关于熊去氧胆酸的安全性警示、黑框警告，撤市等安全性信息。一项纳入了以中国胆汁淤积症患儿为主要对象的meta分析显示，UDCA在儿童中应用安全性良好，最常见的不良反应为胃肠道不良反应，发生率为 10.63%（67/630）。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性支持材料及翻译.pdf

四、创新性信息

创新程度	本品为国内首个通过一致性评价的熊去氧胆酸口服液体制剂。熊去氧胆酸口服混悬液是国内唯一用于治疗囊性纤维化相关肝病的药品，填补药物空白；熊去氧胆酸口服混悬液是《首批鼓励研发申报儿童药品清单》内的品种，获批规格与儿童药品清单浓度一致。说明书适应症包含在《第一批罕见病目录》、《第二批罕见病目录》内。
创新性证明文件	-
应用创新	本混悬液是唯一治疗罕见病囊性纤维化相关肝病的药物，也是原发性胆汁性肝硬化、原发性胆汁性胆管炎等多种罕见病首选药物，可惠及多种罕见病患者；新增儿童用法用量，规范了儿童用药；本混悬液可精准给药至最低剂量5mg，适合最小体重为4kg的婴幼儿使用，弥补了儿童用药空白；UDCA适应症多为慢病，疗程长，胶囊/片剂拆分后味极苦，患者依从性差，本品采用多重掩味技术，大幅改善口感，适合儿童/吞咽困难患者长期使用。
应用创新证明文件	-
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描述	囊性纤维化相关肝病（CFLD）属罕见病，患者无药可用；胆汁淤积性肝病（CLD）包括原发性胆汁性肝硬化、原发性胆
-----------------	---

述	汁性胆管炎等多种罕见病，CFLD、CLD长期未治疗可进展为肝硬化、肝衰竭，终末期需肝移植，影响患者身心健康，并增加患者和社会的经济负担；本品可填补CFLD治疗药物的空白，延缓疾病进展，减轻负担，有显著的社会价值。目前，临床缺乏适合婴幼儿的液体制剂，无法精准给药，可能有安全性和有效性风险。
符合“保基本”原则描述	1、混悬液有罕见病适应症，且顺应性较好，适合儿童、吞咽困难患者长期服用，可保障该类患者公平的用药需求，为实现《健康中国 2030》规划，做到“一个都不能少”； 2、该类患者人数有限，治疗费用和参保人承受能力相适应，对医保基金影响小； 3、胶囊/片剂需拆分，存在药物浪费和医疗操作；本混悬液减少药物损耗和医疗成本，节省医保基金
弥补目录短板描述	1、目前医保目录内无治疗CFLD的药品，本混悬液为唯一治疗药物，纳入医保目录后可弥补原目录的空白，保障罕见病患者用药可及 2、目前，医保目录内仅有胶囊/片剂，缺乏适合低龄儿童/吞咽困难成人患者的液体制剂，本混悬液纳入医保后可弥补目录短板，保障公平用药。
临床管理难度描述	1、胶囊/片剂无儿童具体的用法用量，临床应用于低龄儿童时可能存在超说明书使用或经验用药的情况。混悬剂适应症、用法用量明确，临床应用更安全，避免超说明书使用，医保审核清晰，不会增加管理难度； 2、胶囊/片剂需拆分后服用，医院/家庭配药极为不便。混悬液给药剂量精准，调整便利，简化临床管理； 3、有效期长，常温保存，且开瓶后可服用4个月，易于临床管理



中国医疗保障
CHINA HEALTHCARE SECURITY