

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：          盐酸曲恩汀胶囊          

企业名称：          杰谛医药科技（上海）有  
                                  限公司

## 申报信息

申报时间	2025-07-18 15:05:54	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）	盐酸曲恩汀胶囊	医保药品分类与代码	-
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	化学药品5.2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	0.25g		
上市许可持有人（授权企业）	Navinta LLC		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗青霉胺不耐受的肝豆状核变性。		
说明书用法用量	本品推荐的初始剂量，成人750~1250mg/天，儿童500~750mg/天，每天分2~4次给药。最大剂量成人2000mg/天，12岁以下儿童1500mg/天。本品应空腹服用，至少在餐前1小时或餐后2小时用水整粒送服，且需与任何其他药品、食物或牛奶相隔至少1小时。只有当临床反应无法达到预期或血清游离铜持续高于200µg/L时，才应增加曲恩汀的每日使用量。每隔6~12个月通过临床检查确定最适合的长期维持剂量（参见【注意事项】）。		
所治疗疾病基本情况	肝豆状核变性又称威尔逊病（Wilson's disease），是一种罕见的常染色体隐性遗传病，主要因铜代谢障碍导致铜在肝脏、大脑等组织过度沉积，引发肝病、神经精神症状及眼部K-F环等表现。目前已纳入《第一批罕见病目录》（目录序号：37），且已被列入《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》（清单序号：25）。中国汉族人群中发病率和盛行率分别约为1.96/100000和5.87/100000，高于欧美人群。多在儿童或青少年时期起病，表现为肝功能异常、黄疸、共济失调、行为改变等，常被误诊为肝炎或精神病。及时诊断和整合治疗可显著改善预后，若延误治疗则可能导致肝衰竭或神经系统不可逆损伤，甚至死亡。		
中国大陆首次上市时间	2024-06	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240087
该通用名全球首个上市国家/地区	美国	该通用名全球首次上市时间	1985-11
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	青霉胺（D-penicillamine）是最早用于治疗威尔逊病的口服铜整合剂，与曲恩汀其机制相同，均为整合铜离子并促进尿铜排出。青霉胺上市于50年代，已纳入中国医保目录。曲恩汀与青霉胺在去铜疗效相近，但青霉胺副作用较多，包括皮疹、白细胞减少、蛋白尿、免疫复合物病等，约10~30%患者需停药。曲恩汀安全性更好，罕见严重不良反应，尤其适用		

于对青霉胺不耐的患者。然而，部分研究指出曲恩汀神经恶化率在一线治疗中略高，需临床关注，而二线治疗则二者相近。总体而言，曲恩汀为安全性更优的替代选择，尤其适合青霉胺无法耐受者。

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 盐酸曲恩汀胶囊说明书.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 盐酸曲恩汀胶囊药品注册证书.pdf

申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）

↓ 下载文件 盐酸曲恩汀胶囊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 盐酸曲恩汀胶囊PPT2.pptx

## 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：
  - 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。
  - 急抢救、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60公斤，体表面积1.6m<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>
无参照药品	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由： -

其他情况请说明： -

## 二、有效性信息

试验类型1	非RCT队列研究
试验对照药品	无
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	共41例年龄介于6至54岁，诊断为肝豆状核病变且不耐受D-青霉胺的患者接受盐酸曲恩汀胶囊治疗，剂量为450-2400mg/d，其中34例（83%）症状改善。
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	↓ 下载文件 2-1盐酸曲恩汀胶囊美国原研制剂临床研究报告54-56及中文翻译.pdf

<p>(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>试验类型2</p>	<p>非RCT队列研究</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市前</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>共20例对青霉胺不耐受的威尔逊病患者, 使用盐酸曲恩汀治疗, 剂量为1200-2400mg/d, 具有良好疗效。所有初始使用曲恩汀的患者均出现临床改善, 神经型与肝型病变皆有反应, 且血铜与尿铜水平显著下降。曾成功去铜后改药的患者亦能在曲恩汀维持长期稳定, 部分残余症状持续改善。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-2盐酸曲恩汀临床研究报告及中文翻译.pdf</p>
<p>试验类型3</p>	<p>非RCT队列研究</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>青霉胺</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>共405例患者的大型回溯性观察研究显示, 在使用青霉胺 (n=326) 或曲恩汀 (n=141) 作为一线或二线治疗时, 肝脏与神经学改善率无明显统计差异: 一线治疗的肝脏症状改善为90.9%, 二线治疗为 70.5%; 神经学症状改善则为 65.7% (一线治疗) 与 45.3% (二线治疗)。整体显示两药对大多数患者皆具治疗效果。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-3盐酸曲恩汀临床研究报告及中文翻译.pdf</p>
<p>试验类型1</p>	<p>非RCT队列研究</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>
<p>试验阶段</p>	<p>上市前</p>
<p>对主要临床结局指标改善情况</p>	<p>共41例年龄介于6至54岁, 诊断为肝豆状核病变且不耐受D-青霉胺的患者接受盐酸曲恩汀胶囊治疗, 剂量为450-2400mg/d, 其中34例 (83%) 症状改善。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-1盐酸曲恩汀胶囊美国原研制剂临床研究报告54-56及中文翻译.pdf</p>
<p>试验类型2</p>	<p>非RCT队列研究</p>
<p>试验对照药品</p>	<p>无</p>

试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	共20例对青霉胺不耐受的威尔逊病患者，使用盐酸曲恩汀治疗，剂量为1200-2400mg/d，具有良好疗效。所有初始使用曲恩汀的患者均出现临床改善，神经型与肝型病变皆有反应，且血铜与尿铜水平显著下降。曾成功去铜后改药的患者亦能在曲恩汀维持长期稳定，部分残余症状持续改善。
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> 2-2盐酸曲恩汀临床研究报告及中文翻译.pdf
试验类型3	非RCT队列研究
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	共405例患者的大型回溯性观察研究显示，在使用青霉胺（n=326）或曲恩汀（n=141）作为一线或二线治疗时，肝脏与神经学改善率无明显统计差异：一线治疗的肝脏症状改善为90.9%，二线治疗为70.5%；神经学症状改善则为65.7%（一线治疗）与45.3%（二线治疗）。整体显示两药对大多数患者皆具治疗效果。
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> 2-3盐酸曲恩汀临床研究报告及中文翻译.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中华医学会-肝豆状核变性诊疗指南（2022年版）：曲恩汀在欧美国家已取代D-青霉胺成为治疗WD的首选药。可用于各式WD患者，特别是有神经精神症状的WD患者，以及对D-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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-4中华医学会-肝豆状核变性诊疗指南2022年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	国家卫健委罕见病诊疗指南(2019年版): 曲恩汀常作为青霉胺不耐受的二线用药。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-5国家卫健委-罕见病诊疗指南2019年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	中华医学会-肝豆状核变性诊疗指南（2022年版）：曲恩汀在欧美国家已取代D-青霉胺成为治疗WD的首选药。可用于各式WD患者，特别是有神经精神症状的WD患者，以及对D-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	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2-4中华医学会-肝豆状核变性诊疗指南2022年版.pdf

<p>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>临床指南/诊疗规范推荐情况2</p>	<p>国家卫健委罕见病诊疗指南(2019年版): 曲恩汀常作为青霉胺不耐受的二线用药。</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><a href="#">↓ 下载文件</a> 2-5国家卫健委-罕见病诊疗指南2019年版.pdf</p>

<p>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</p>	<p>CDE未公布本品的《技术审评报告》。</p>
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>-</p>
<p>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</p>	<p>CDE未公布本品的《技术审评报告》。</p>
<p>《技术审评报告》原文（可节选）</p>	<p>-</p>



### 三、安全性信息

<p>药品说明书记载的安全性信息</p>	<p><b>【不良反应】</b> 本品用于治疗肝豆状核变性病者已报道的不良反应有缺铁；系统性红斑狼疮；肌张力障碍；肌肉痉挛；重症肌无力。 <b>【注意事项】</b> 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。由于合并用药数据有限，因而无法提供具体的剂量建议。胶囊需配水整颗服用，不可打开或咀嚼。由于本品有引起接触性皮炎的风险，任何与胶囊内容物接触的身体部位应立即用水清洗。 <b>【特殊人群】</b> 过量治疗可导致铜缺乏风险。应监测过量治疗的临床表现，特别是在铜需求可能改变的情况下，如儿童和孕妇，需要适当控制铜水平以确保身体和智力正常发育。对于接受曲恩汀治疗的肾功能不全患者，应定期接受医学监测，以适当控制症状和铜水平。也建议密切监测此类患者的肾功能。 <b>【药物相互作用】</b> 通常不应使用矿物质补充剂，因为它们可能会阻止盐酸曲恩汀的吸收。如有必要，可以短期服用铁剂，但由于铁和盐酸曲恩汀抑制彼此吸收，因此盐酸曲恩汀和铁剂给药间隔应为两个小时。重要的是，盐酸曲恩汀应空腹服用，至少饭前一小时或饭后两小时，与任何其他药物、食物或牛奶至少相隔一小时。</p>
<p>药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果</p>	<p>盐酸曲恩汀胶囊于1985年于美国首次上市，已在多个国家获批使用，总体安全性良好，无黑框警告或撤市信息。临床应用中，常见副作用包括轻度恶心、皮疹和贫血，部分患者可能出现铁缺乏症（CTCAE 1-2级），一般可通过补铁缓解。</p>
<p>相关报导文献</p>	<p>-</p>

### 四、创新性信息

<p>创新程度</p>	<p>1、本品为罕见病药物，所治疗疾病肝豆状核变性病被纳入《第一批罕见病目录》。2、本品被纳入《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》3、本品被CDE纳入优先审评审批品种。4、曲恩汀有优异的驱铜疗效，同时安全性优于青霉胺。特别</p>
-------------	--

是对于有肝病症状和神经症状的患者，曲恩汀的疗效优异，获得众多指南推荐。在欧美国家曲恩汀已取代青霉胺成为肝豆状核变性病的一线治疗药物。

创新性证明文件

[↓ 下载文件](#) 盐酸曲恩汀胶囊创新性证明材料.pdf

应用创新

1、本品为口服用药，剂量调整方便，患者用药依从性高。 2、本品适用于儿童，临床中已将本品用于6岁的儿童患者，安全性有效性均良好，无特殊不良反应报道。

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

肝豆状核变性目前已纳入我国《第一批罕见病目录》（目录序号：37）。该病在中国较多见且好发于青少年，男性比女性稍多，如不恰当治疗将会致残甚至死亡。本品为青霉胺不耐受的患者提供关键治疗方案，填补用药空白。早诊+有效排铜治疗是阻断疾病进展、避免残疾/死亡、实现正常生活的关键。也可显著减轻患者家庭及社会的长期疾病负担，符合提升人群健康水平的目标。

符合“保基本”原则描述

本品整体的治疗费用相较以前显著降低，一定程度上减轻了患者长期治疗负担。作为罕见病，人群发病率偏低，我国预估患病率仅为0.587/10000，医保基金压力偏小。

弥补目录短板描述

肝豆状核变性虽已纳入我国《第一批罕见病目录》（目录序号：37），但医保目录内尚无“对不能耐受青霉胺的肝豆状核变性成人及儿童患者”的适应症药物，本品可弥补该部分罕见病人群的治疗药物空白。且已被列入《第三批鼓励研发申报儿童药品清单》（清单序号：25），为儿童患者安全有效的治疗选择。

临床管理难度描述

本品适应症及患者人群清晰“适用于治疗对不能耐受青霉胺的肝豆状核变性成人及儿童患者”。因其罕见病的特殊性，临床管理难度较小，无滥用或超说明书用药的风险。本品为口服用药，给药便利，患者依从性较高。

中国医疗保障  
CHINA HEALTHCARE SECURITY