

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：氯马昔巴特口服溶液

企业名称：北海康成（苏州）生物制药有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 16:24:22	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）	氯马昔巴特口服溶液	医保药品分类与代码	XA05AXL414X001010184793
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	商保创新药目录		
① 药品注册分类	化学药品5.1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	30ml：285mg（按C40H56N3O4S 计）		
上市许可持有人（授权企业）	Mirum Pharmaceuticals, Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗3月龄及以上阿拉杰里综合征（Alagille Syndrome，ALGS）患者的胆汁淤积性瘙痒。		
说明书用法用量	1、剂量：推荐剂量为380μg/kg 每日一次，于每日第一餐前约30 分钟服药。起始剂量为190μg/kg 口服，每日一次；一周后如果可以耐受，剂量可增加至380μg/kg，每日一次。70kg 以上患者的最大日剂量体积为每日3ml 或28.5 mg。选择适当的口服给药器，按给药剂量要求给药。2、药物漏服：如果漏服一次药物，且处于常规服药时间后的12 小时内，则尽快补服，并恢复原来的给药方案。如果漏服时间超过12 小时，则可忽略该次给药，并恢复原给药方案。3、用法：对于服用胆汁酸结合树脂的患者，在给予本品至少4 小时之前或4 小时之后再给予胆汁酸结合树脂。4、管理不良事件的剂量调整：在开始使用本品治疗前，应确定肝功能指标变异的基线模式，以便于识别潜在的肝损伤迹象。在本品治疗期间监测肝功能（例如ALT[丙氨酸氨基转移酶]、AST[天门冬氨酸氨基转移酶]、TB[总胆红素]、DB[直接胆红素]和国际标准化比值[INR]）。如果在没有其他原因的情况下出现新的肝功能检查异常，则应中断本品治疗。一旦肝功能指标异常值恢复到基线值或稳定在新的基线值，可考虑以190μg/kg 的剂量重新开始本品治疗，并在可耐受的情况下增加至380μg/kg。如果再次出现肝功能指标异常或观察到与临床肝炎相符的症状，应考虑永久停用本品。尚未在肝功能失代偿患者中开展本品临床研究。如果患者发生肝功能失代偿事件（例如静脉曲张破裂出血、腹水、肝性脑病），应永久停用本品。5、特殊人群用药：肝功能损害患者。本品的临床研究纳入了基线时肝功能受损的ALGS患者。尚未确定在ALGS 伴有临床意义的门静脉高压患者和失代偿期肝硬化患者中的疗效和安全性。		
所治疗疾病基本情况	阿拉杰里综合征（ALGS）是由NOTCH 信号通路中的JAG1基因或NOTCH2基因变异引起的常染色体显性遗传的多系统疾病。全球 ALGS的估算发病率为1/5万至 1/3万。自然病程下寿命约20岁。目前中国患者18岁以下占98%。ALGS患儿可表现多系统、器官异常，肝内小叶间胆管缺乏引发的胆汁淤积是常见的临床表现。在5岁、10岁、18岁时，肝移植的发生率分别为27.1%、37.8%、50.4%。同时，胆汁酸水平升高通过多通路导致瘙痒，而瘙痒是胆汁淤积性肝病的主要临床负担之一。		
中国大陆首次上市时间	2023-05	注册证号/批准文号	国药准字HJ20230061

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	2021-09
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	氯马昔巴特（Maralixibat）作为全球首款用于治疗ALGS的iBAT抑制剂，于2023年在美国首先上市，几乎同步被引入中国上市销售。为独家药品。目前全球已上市的iBAT产品还有Odevixibat，2024年引入中国，目前未获批ALGS适应症。		
企业承诺书	↓ 下载文件 企业承诺书.pdf		
药品适应症或功能主治修改前法定说明书	↓ 下载文件 氯马昔巴特修改前法定说明书.pdf		
药品适应症或功能主治修改后法定说明书	↓ 下载文件 氯马昔巴特修改后法定说明书.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 药品注册证书及补充申请.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 氯马昔巴特摘要幻灯片-含价格信息.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 氯马昔巴特摘要幻灯片-不含价格信息.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。

中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

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 [❗]
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：

无参照药。医保目录内无相同适应症药物，本产品是唯一获批用于阿拉杰里综合征患者胆汁淤积性瘙痒的药物。医保目录内无同治疗领域内相同机制药物。

其他情况请说明：无

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
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1、84%的患者在前48周期间瘙痒评分ItchRO(obs)获得了具有临床意义的下降（≥1分）。2、从基线到第12周或第18周，sBA降低至少50%的15名受试者中，氯马昔巴特（maralixibat）组和安慰剂组之间sBA的最小二乘平均差异为-117μmol/L
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 试验1.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	临床基础治疗（真实世界数据）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	6 年前瞻性分析证实，maralixibat 可降低 ALGS 患者临床重要肝脏事件（含门静脉高压、胆道分流手术、肝移植、死亡等）发生。研究对比 maralixibat 临床试验队列（n=84）与全球 ALGS 联盟（GALA）自然病史队列（n=467）的 6 年结局，两队列基线特征相似，无重要肝脏事件生存率差异显著（71.4% vs 50%，P<0.0001）。
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 试验2.pdf
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	无针对ALGS组的对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	该研究主要针对安全性的评估。对于<1岁的ALGS患者，氯马昔巴特的吸收极少且耐受性良好；TEAE的严重程度大多为1级，没有≥3级或与氯马昔巴特相关的严重TEAE。数据显示氯马昔巴特治疗ALGS患者具有安全性和耐受性，表明MRX适用于2个月以上的患者。同时，在ALGS队列中观察到sBA显著降低。
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 实验3.pdf
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
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	1、84%的患者在前48周期间瘙痒评分ItchRO(obs)获得了具有临床意义的下降（≥1分）。2、从基线到第12周或第18周，sBA降低至少50%的15名受试者中，氯马昔巴特（maralixibat）组和安慰剂组之间sBA的最小二乘平均差异为-117μmol/L
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 试验1.pdf

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）	
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	临床基础治疗（真实世界数据）
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	6 年前瞻性分析证实，maralixibat 可降低 ALGS 患者临床重要肝脏事件（含门静脉高压、胆道分流手术、肝移植、死亡等）发生。研究对比 maralixibat 临床试验队列（n=84）与全球 ALGS 联盟（GALA）自然病史队列（n=467）的 6 年结局，两队列基线特征相似，无重要肝脏事件生存率差异显著（71.4% vs 50%，P<0.0001）。
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 试验2.pdf
试验类型3	非RCT队列研究
试验对照药品	无针对ALGS组的对照
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	该研究主要针对安全性的评估。对于<1岁的ALGS患者，氯马昔巴特的吸收极少且耐受性良好；TEAE的严重程度大多为1级，没有≥3级或与氯马昔巴特相关的严重TEAE。数据显示氯马昔巴特治疗ALGS患者具有安全性和耐受性，表明MRX适用于2个月以上的患者。同时，在ALGS队列中观察到sBA显著降低。
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 实验3.pdf

如适应症或功能主治发生重大变化，是否有临床试验数据支持：

在试验3中，对于<1岁的ALGS患者，氯马昔巴特的吸收极少且耐受性良好；TEAE的严重程度大多为1级，没有≥3级或与氯马昔巴特相关的严重TEAE。数据显示氯马昔巴特治疗ALGS患者具有安全性和耐受性，表明MRX适用于2个月以上的患者。同时，在ALGS队列中观察到sBA显著降低。

临床指南/诊疗规范推荐情况1	欧洲肝脏研究协会EASL《遗传性胆汁淤积性肝病临床实践指南（2024）》中，介绍了包括maralixibat在内的两种iBAT产品，并建议：如果可行，应向ALGS和胆汁淤积性瘙痒症患者提供IBAT抑制剂治疗（LoE 2，强烈推荐，强烈共识）。
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 诊疗指南1欧洲.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中华儿科学杂志上发布了《阿拉杰里综合征相关肝病诊治共识（2024）》，其中专家共识11和12中描述了氯马昔巴特可用于≥3月龄ALGS患儿的治疗，以及GALA真实世界数据发现使用氯马昔巴特治疗可使ALGS患儿6年临床事件（胆汁转流

	手术、肝硬化失代偿、肝移植或死亡）风险降低70%。氯马昔巴特的长期治疗有望降低肝脏相关不良事件风险。共识水平92%。
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 诊疗指南2-中国阿拉杰里综合征相关肝病诊治共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	2022年《婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识》将氯马昔巴特归类为利胆退黄治疗方案，除公布了FDA获批信息外，还介绍了其主要临床获益“降低患者胆汁酸水平，改善瘙痒，减少皮肤黄瘤，改善患儿的生长“及治疗剂量。
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 诊疗指南3-中国婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识-2022.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2025年《86个罕见病病种诊疗指南（2025年版）》推荐氯马昔巴特可用于治疗1岁及以上阿拉杰里患者的胆汁淤积性瘙痒。
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 诊疗指南4-86个罕见病病种诊疗指南2025年版.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	欧洲肝脏研究协会EASL《遗传性胆汁淤积性肝病临床实践指南（2024）》中，介绍了包括maralixibat在内的两种iBAT产品，并建议：如果可行，应向ALGS和胆汁淤积性瘙痒患者提供IBAT抑制剂治疗（LoE 2，强烈推荐，强烈共识）。
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 诊疗指南1欧洲.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	中华儿科学杂志上发布了《阿拉杰里综合征相关肝病诊治共识（2024）》，其中专家共识11和12中描述了氯马昔巴特可用于≥3月龄ALGS患儿的治疗，以及GALA真实世界数据发现使用氯马昔巴特治疗可使ALGS患儿6年临床事件（胆汁转流手术、肝硬化失代偿、肝移植或死亡）风险降低70%。氯马昔巴特的长期治疗有望降低肝脏相关不良事件风险。共识水平92%。
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	↓ 下载文件 诊疗指南2-中国阿拉杰里综合征相关肝病诊治共识.pdf

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	2022年《婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识》将氯马昔巴特归类为利胆退黄治疗方案，除公布了FDA获批信息外，还介绍了其主要临床获益“降低患者胆汁酸水平，改善瘙痒，减少皮肤黄瘤，改善患儿的生长“及治疗剂量。
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 诊疗指南3-中国婴儿胆汁淤积症诊断与治疗专家共识-2022.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	2025年《86 个罕见病病种诊疗指南（2025 年版）》推荐氯马昔巴特可用于治疗 1 岁及以上阿拉杰里患者的胆汁淤积性瘙痒。
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 诊疗指南4-86个罕见病病种诊疗指南2025年版.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	
我国无ALGS特效药物批准上市，ALGS在我国属于无有效治疗手段的疾病。氯马昔巴特口服溶液因符合“符合儿童生理特征的儿童用药新品种、剂型和规格”获得优先审评审批。终点指标包括针对瘙痒的照护者评价 ItchRO（Obs）和患者评价 ItchRO（Pt），可以反映本品用于目标适应症的临床疗效。结果显示，两组都在开放导入期观察到 ItchRO（Obs）评分的改善，而在 18 周至 22 周随机撤药阶段，安慰剂组ItchRO（Obs）评分较第 18 周出现显著增加（1.712[1.0054]，p<0.0001），而氯马昔巴特组未观察到相关变化（0.201[0.7551]；p= 0.3754），此后安慰剂组再用药时瘙痒评分重新出现显著降低，在长期扩展期观察到瘙痒评分改善维持。ItchRO（Pt）评分以及血清胆汁酸等指标与 ItchRO（Obs）评分显示出一致的变化，可以支持本品有效性评价。	
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 氯马昔巴特口服溶液JXHS2200015申请上市技术审评报告.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	
我国无ALGS特效药物批准上市，ALGS在我国属于无有效治疗手段的疾病。氯马昔巴特口服溶液因符合“符合儿童生理特征的儿童用药新品种、剂型和规格”获得优先审评审批。终点指标包括针对瘙痒的照护者评价 ItchRO（Obs）和患者评价 ItchRO（Pt），可以反映本品用于目标适应症的临床疗效。结果显示，两组都在开放导入期观察到 ItchRO（Obs）评分的改善，而在 18 周至 22 周随机撤药阶段，安慰剂组ItchRO（Obs）评分较第 18 周出现显著增加（1.712[1.0054]，p<0.0001），而氯马昔巴特组未观察到相关变化（0.201[0.7551]；p= 0.3754），此后安慰剂组再用药时瘙痒评分重新出现显著降低，在长期扩展期观察到瘙痒评分改善维持。ItchRO（Pt）评分以及血清胆汁酸等指标与 ItchRO（Obs）评分显示出一致的变化，可以支持本品有效性评价。	
《技术审评报告》原文（可节选）	↓ 下载文件 氯马昔巴特口服溶液JXHS2200015申请上市技术审评报告.pdf
三、安全性信息	
药品说明书刊载的安全性信息	1、不良反应：ALGS 临床开发中，接受本品治疗的 ALGS 患者最常见不良反应（≥5%）包括胃肠道不良反应、脂溶性维生素缺乏、转氨酶升高等。2、用药禁忌：对本品中任何成份过敏者禁用。3、注意事项：①临床试验患者基线肝功能检

	查异常，治疗后可见肝功能指标升高。治疗前需查肝功能获基线，治疗中监测。无其他原因出现异常，可考虑减量或中断治疗；持续性或反复异常者，需权衡风险与获益。患者进展为门静脉高压或肝功能失代偿，应永久停药。②发生胃肠道不良反应且无其他病因，可考虑减量或暂停给药。出现持续性腹泻或伴便血、呕吐、需治疗的脱水或发烧等，应考虑中断给药，缓解后可重启并酌情加量，再次出现则考虑终止治疗。4、药物相互作用：①胆汁酸结合树脂可能与肠道中氯马昔巴特结合，需间隔4小时以上给药。②氯马昔巴特是OATP2B1抑制剂，不排除其会减少他汀类药物口服吸收。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	截至2025年3月，氯马昔巴特已在全球43个国家（包括欧盟/欧洲经济区内的30个国家）批准上市，并在14个国家上市销售。氯马昔巴特无重要已识别风险，重要潜在风险为肝毒性。上市以来，药物厂商、药监主管部门或任何其他相关方未针对氯马昔巴特的研究使用或上市后经验采取其他重要安全性相关措施。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性信息报道文献.pdf

四、创新性信息

创新程度	1、FDA孤儿药资格认定 2、FDA突破性疗法认证及优先审评 3、FDA授予治疗罕见儿科疾病药物资格 4、EMA孤儿药资格认定 5、国家知识产权局发明专利认证（用于治疗小儿胆汁淤积性肝病的胆汁酸再循环抑制剂） 6、全球首个获批用于ALGS相关胆汁淤积性瘙痒的回肠胆汁酸转运蛋白(IBAT)靶向抑制剂
创新性证明文件	↓ 下载文件 创新性证明文件.pdf
应用创新	1、适用于儿童患者：国家药品监督管理局纳入优先审评品种名单（理由：“符合儿童生理特征的儿童用药新品种、剂型和规格”） 2、创新性优势：脂溶性维生素（FSV）缺乏是ALGS的主要症状之一，会导致患儿的生长缺陷。氯马昔巴特的独特机制，靶向性阻断IBAT，抑制胆汁酸的重吸收的同时，未干扰胆汁在肠道内的正常生理功能，不会造成FSV缺乏加剧。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 应用创新证明文件.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描述	氯马昔巴特口服溶液降低包括死亡在内的临床事件风险，提升儿童的生命健康和生活质量：阿拉杰里综合征是罕见疾病，发病早，患者基本为儿童，中位死亡年龄仅2.3-4岁。使用本药物6年内发生包括死亡在内的肝病相关临床事件风险降低约70%，延缓患者肝脏病变进展至肝移植，减少患儿早亡。
符合“保基本”原则描述	氯马昔巴特口服溶液适应症明确，且为唯一获批用药，阿拉杰里患者人数少，动用的医保基金可控，符合目前经济发展阶段的“保基本原则”，体现对儿童和罕见弱势群体基本生存权的关爱。
弥补目录短板描述	本品弥补目录内没有阿拉杰里综合征相关的肝病治疗药物的短板。氯马昔巴特口服溶液是中国唯一一款获批用于阿拉杰里综合征患者的胆汁淤积性瘙痒的治疗药物，能强效缓解患者的瘙痒症状，改善患儿生活质量，显著降低血清胆汁酸水平。
临床管理难度描述	临床管理操作简便：阿拉杰里综合征是罕见疾病，经办审核对象少且易操作，基因诊断明确，无临床滥用风险；本药物是葡萄味口服溶液，儿童接受程度高，门诊处方即可回家操作，每日一次用药，使用给药器取药给药精准便捷。