

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： 注射用维拉苷酶β

企业名称： 北海康成（上海）生物科技
有限公司

申报信息

申报时间	2025-07-18 16:31:37	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）	注射用维拉苷酶β	医保药品分类与代码	-
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	治疗用生物制品		
核心专利类型1	工艺专利（202411725758.1）	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型2	制备专利（202411726375.6）	核心专利权期限届满日2	-
核心专利类型1	工艺专利（202411725758.1）	核心专利权期限届满日1	-
核心专利类型2	制备专利（202411726375.6）	核心专利权期限届满日2	-
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	400U/瓶		
上市许可持有人（授权企业）	北海康成（上海）生物科技有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	适用于12岁及以上青少年和成人 I 型和III型戈谢病患者的长期酶替代治疗（ERT）		
说明书用法用量	初治患者的推荐起始剂量为60U/kg，每2周一次。可根据每例患者治疗目标的达到和维持情况进行剂量调整（本品在临床试验中最低有效维持剂量为30U/kg）。用法仅用于静脉滴注。输注时，须使用带标称孔径不超过5 μm过滤器的输液装置进行滴注。按如下操作配制本品： 1. 根据个体患者的体重和处方剂量确定需要复溶药瓶的数量。 2. 将所需的药瓶从冰箱中取出，每个药瓶用4.1 ml 无菌注射用水复溶。 3. 复溶期间应轻轻混合药瓶，且不应摇晃药瓶。静置至少1分钟，检查是否还有未溶解的物质。如有，请重复进行轻轻摇晃和静置操作。 4. 复溶后，溶液为无色至淡黄色、澄明至微乳光液体。在抽取复溶溶液用于进一步稀释前，请确认溶液无可见颗粒。如果溶液变色或存在外来颗粒物，则不应使用该溶液。 5. 每个药瓶可抽取复溶液4.0 ml（100 U/ml）。 6. 使用注射器从适当数量的药瓶中取出计算好剂量的药品。使用另一支注射器将袋装100ml 0.9%氯化钠溶液中的空气和复溶液对应的体积抽出。将相应的复溶液注入该氯化钠溶液中进行稀释，用于静脉滴注。生理盐水稀释浓度范围保持在6 U/ml~51 U/ml，以确保酶活浓度。 7. 复溶的药物溶液一旦被稀释，应尽快给予滴注。建议滴注在稀释后30分钟内开始，并于室温下1~2个小时内输注完毕。药物自复溶开始到受试者用药结束最长时间不超过4小时。任何未使用的药品或废弃物应按照当地要求进行处置。 在给予本品治疗时，应能随时提供适当的医疗支持，包括在急救方面经过适当培训的人员。如果发生过敏性或其他急性反应，应立即停止滴注并给予适当的治疗。（参见说明书项下的【注意事项】）在未进行相容性研究的情况下，严禁该药品与其他药品混合使用。		
所治疗疾病基本情况	戈谢病是一种常染色体隐性遗传病，由葡萄糖脑苷脂酶（GBA）基因突变引起，导致葡萄糖脑苷脂酶活性缺乏。葡萄糖脑苷脂酶可以催化葡萄糖神经酰胺（GL-1）转化为葡萄糖和神经酰胺，以及葡萄糖鞘氨醇（lyso-GL-1）分解为葡萄糖和鞘氨醇。葡萄糖脑苷脂酶缺乏导致巨噬细胞溶酶体内GL-1和lyso-GL-1的累积，从而产生戈谢细胞。这种溶酶体贮积症临床特征是戈谢细胞浸润脾、肝、骨髓或其他器官，导致明显的脾大、贫血和血小板减少等症状。		

中国大陆首次上市时间	2025-05	注册证号/批准文号	国药准字S20250020
该通用名全球首个上市国家/地区	中国	该通用名全球首次上市时间	2025-05
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	目前戈谢病ERT药物目前全球共有三种商业化产品：伊米苷酶（Sanofi Genzyme Ltd.）、维拉苷酶α（Takeda/Shire Ltd.）和taliglucerase alfa（Protalix/Pfizer Ltd.）分别于1994年、2010年和2012年首次获得美国FDA批准，随后在其他国家陆续获批。其中伊米苷酶和维拉苷酶α已在我国上市，中文说明书中的适应症为：伊米苷酶用于“确诊为非神经病变型（I型）和慢性神经病变型（III型）戈谢病且有显著非神经系统病变临床表现的患者的长期酶替代疗法”；维拉苷酶α用于“I型戈谢病患者的长期酶替代治疗（ERT）”。		
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 维拉苷酶β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2025S01386.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	↓ 下载文件 维拉苷酶β摘要信息-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 维拉苷酶β摘要信息美化-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。

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。医保目录内无同治疗领域内相同机制药物，本产品是适用于12岁及以上青少年和成人I型和III型戈谢病患者的长期酶替代治疗（ERT）。

其他情况请说明：无

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	双剂量组间对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	B 部分为研究核心，评估注射用维拉苷酶 β 用于初治 GD1 和 GD3 受试者的有效性、安全性、PK/PD 特征及免疫原性。27 例戈谢病患者按 2:1 随机分 60U/kg 和 30U/kg 组，每 2 周一次。60U/kg 组治疗 9 个月后，脾脏体积减 35.3%，肝体积减 18.5%，血红蛋白升 2.3g/dL，血小板增 18.5×10^9/L，四个终点改善均优于 30U/kg 组。
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-注射用维拉苷酶β的有效性.pdf
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	双剂量组间对照
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	B 部分为研究核心，评估注射用维拉苷酶 β 用于初治 GD1 和 GD3 受试者的有效性、安全性、PK/PD 特征及免疫原性。27 例戈谢病患者按 2:1 随机分 60U/kg 和 30U/kg 组，每 2 周一次。60U/kg 组治疗 9 个月后，脾脏体积减 35.3%，肝体积减 18.5%，血红蛋白升 2.3g/dL，血小板增 18.5×10^9/L，四个终点改善均优于 30U/kg 组。
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-注射用维拉苷酶β的有效性.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国成人戈谢病诊治专家共识（2020）》中指出：在中国，ERT的使用有超过20年的真实世界经验。ERT特异性地补充患者体内缺乏的酶，减少葡萄糖脑苷脂在体内的贮积，为戈谢病的特异性治疗。目前各种指南及共识仅推荐 ERT用于 I 型和III型戈谢病患者。
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）	↓ 下载文件 临床指南1-中国成人戈谢病诊治专家共识2020.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《中国儿童戈谢病诊治专家共识（2021）》中指出：ERT能显著改善 I 型和III型患者的内脏和血液学指标，缓解骨痛，维持正常生长发育，提高生活质量。治疗越早，疗效越好。
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	↓ 下载文件 临床指南2-中国儿童戈谢病诊治专家共识2021.pdf

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	《加拿大国家戈谢病基金会治疗指南》中将ERT作为戈谢病的两种特异性治疗方法之一，通过通过替换和/或提供戈谢病患者所需的额外酶（葡萄糖脑苷脂酶），帮助细胞分解更多的脂肪物质葡萄糖脑糖苷，以解决酶代谢障碍。
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 临床指南3加拿大国家戈谢病基金会治疗指南CN.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况4	《美国国家戈谢病基金会治疗指南》中描述：ERT可以最大限度地减少症状，防止对身体的永久性损伤；较SRT治疗相比，ERT治疗副作用更小。
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 临床指南4美国国家戈谢病基金会治疗指南CN.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况1	《中国成人戈谢病诊治专家共识（2020）》中指出：在中国，ERT的使用有超过20年的真实世界经验。ERT特异性地补充患者体内缺乏的酶，减少葡萄糖脑苷脂在体内的贮积，为戈谢病的特异性治疗。目前各种指南及共识仅推荐 ERT用于 I 型和III型戈谢病患者。
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）	↓ 下载文件 临床指南1-中国成人戈谢病诊治专家共识2020.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况2	《中国儿童戈谢病诊治专家共识（2021）》中指出：ERT能显著改善 I 型和III型患者的内脏和血液学指标，缓解骨痛，维持正常生长发育，提高生活质量。治疗越早，疗效越好。
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 临床指南2-中国儿童戈谢病诊治专家共识2021.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	《加拿大国家戈谢病基金会治疗指南》中将ERT作为戈谢病的两种特异性治疗方法之一，通过通过替换和/或提供戈谢病患者所需的额外酶（葡萄糖脑苷脂酶），帮助细胞分解更多的脂肪物质葡萄糖脑糖苷，以解决酶代谢障碍。
临床指南/诊疗规范中需包含申报	↓ 下载文件 临床指南3加拿大国家戈谢病基金会治疗指南CN.pdf

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	《美国国家戈谢病基金会治疗指南》中描述：ERT可以最大限度地减少症状，防止对身体的永久性损伤；较SRT治疗相比，ERT治疗副作用更小。
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 临床指南4美国国家戈谢病基金会治疗指南CN.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	该产品于2025年5月13日获得国家药品监督管理局上市批准，《技术审评报告》通常需要6个月获取，截止线上申报日期还未获得。
《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	该产品于2025年5月13日获得国家药品监督管理局上市批准，《技术审评报告》通常需要6个月获取，截止线上申报日期还未获得。
《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：总计35例患者接受维拉苷酶β（15至60 U/kg，每两周一次）治疗，最长治疗时间超过2年。临床试验中没有观察到严重不良反应，超敏反应（包括输液相关反应）是最常见的不良反应：其中5 例（14.3%）患者发生了超敏反应，包括皮疹、胸部不适、背痛、关节痛、肢体疼痛；2例（5.7%）患者发生输液相关反应（例如发热、出汗）， 严重程度为轻度，在滴注后数分钟或数十分钟时发生，减慢滴速或暂停给药，十多分钟后自行缓解，恢复给药直至输液完毕，后续治疗未再发生同类事件。用药禁忌：对本品活性成分或任一辅料有严重过敏反应者禁用。 孕妇及哺乳期妇女用药：尚无孕妇或哺乳期妇女使用维拉苷酶β的数据。不建议孕妇或哺乳期妇女使用本品。 儿童用药：尚未在12岁以下戈谢病儿童患者中确认本品的安全性和有效性。 老年用药：尚未在年龄超过65岁的老年患者中确认本品的安全性和有效性。 药物相互作用：本品尚未开展药物相互作用研究。
药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	本品2025.5.13获批上市，目前无上市后数据。
相关报导文献	↓ 下载文件 安全性-维拉苷酶β法定说明书.pdf

四、创新性信息

创新程度	戈芮宁是国内首个本土自主研发生产的一类治疗用生物制品，适用于 12 岁及以上青少年和成人 I 型、III 型戈谢病患者的长期酶替代治疗，可提升患者用药可及性。自主知识产权，多项发明专利认证。纳入优先审评审批程序。获得2025VBEF“中国创新医药与生物制品TOP100”奖。其利用 CRISPR-Cas9 技术敲除 GnTI 基因的 CHO-K1 细胞表达，便于工业化大规模培养，简化了传统生产工艺。
------	--

创新性证明文件	↓ 下载文件 创新程度支持文件.pdf
应用创新	我国约有 3000 名戈谢患者，戈芮宁适应症覆盖全面，尤其涵盖青少年及成人患者中对其他药物无效或不耐受的细分人群。该药物于 2025 年 3 月成为我国首个通过分段生产试点品种注册核查与上市前 GMP 符合性检查的创新生物药，为生物制品分段生产监管制度提供经验。其采用先进强化罐流生产工艺，提升产能、降低成本，保障酶产品高质量。
应用创新证明文件	↓ 下载文件 应用创新支持文件.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	维拉苷酶β注射液是国产创新酶替代疗法（ERT），适用于I型和III型戈谢病。戈谢病是一种严重影响肝脾、血液和骨骼的罕见病，未及时治疗可导致多器官损伤。维拉苷酶β注射液显著改善肝脾功能、血液指标和骨骼健康，大幅提升患者生存率和生活质量。
符合“保基本”原则描述	戈谢病患者需终身治疗，经济负担重，以被纳入多地地方罕见病保障政策。维拉苷酶β注射液通过国产化生产，进一步降低治疗费用，减轻患者用药负担。
弥补目录短板描述	国内现有戈谢病治疗以进口药物为主，存在费用高、可及性差的问题。维拉苷酶β注射液作为首个国产ERT，以更低成本提供与进口药物相当的疗效。该药填补了医保目录内一线治疗药物的空白，为患者提供了经济高效的治疗选择。
临床管理难度描述	适应症单一，不存在临床滥用或超适应症用药 维拉苷酶β注射液为冻干制剂，便于储运，适合家庭或门诊使用。每两周静脉滴注一次，操作简便、安全性高，降低了医疗管理复杂性。