

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：加那索龙口服混悬剂

企业名称：元羿生物科技（上海）有限公司

## 申报信息

申报时间	2025-07-19 17:22:03	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）	加那索龙口服混悬剂	医保药品分类与代码	XN03AXJ257X002010185337
药品类别	西药	是否为独家	是
申报目录类别	基本医保目录、商保创新药目录		
① 药品注册分类	化药5.1类		
核心专利类型1	加那索龙的制备方法	核心专利权期限届满日1	2030-08
核心专利类型1	加那索龙的制备方法	核心专利权期限届满日1	2030-08
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	110ml：5.5g		
上市许可持有人（授权企业）	Marinus Pharmaceuticals, Inc.		
说明书全部适应症/功能主治	适用于2岁及以上细胞周期蛋白依赖性激酶5（CDKL5）缺乏症（CDD）患者癫痫发作的治疗。		
说明书用法用量	每日三次，必须与食物同服。体重≤28 kg 的患者：应根据患者耐受程度增加剂量，每次调整的间隔不少于7天。最大剂量为 21 mg /kg，每日 3 次（63 mg /kg/日）。第1-7天：6 mg /kg，每日 3次（18 mg /kg/日）；第 8-14 天，11 mg /kg，每日 3 次（33 mg /kg/日）；第 15-21 天，16 mg /kg，每日 3 次（48 mg /kg/日）；第 22 天及之后，21 mg /kg，每日 3 次（63 mg /kg/日）。体重>28 kg 患者：应根据患者耐受程度增加剂量，每次调整的间隔不少于7天。最大剂量为 600 mg/次，每日 3 次（1800mg/日）。第 1-7 天，150 mg/次，每日 3 次（450 mg/日）；第 8-14 天，300 mg/次，每日 3 次（900 mg/日）；第 15-21 天，450 mg/次，每日 3 次（1350 mg/日）；第 22 天及之后，600 mg/次，每日 3 次（1800 mg/日）。		
所治疗疾病基本情况	CDKL5缺乏症是一种罕见的X-连锁遗传病，由CDKL5基因突变导致神经元发育与突触功能异常。通常在出生后数周至数月内发病，早发难治性癫痫是其核心症状，并伴有严重全面的发育迟缓。致残率和致死率高，若不治疗多数在10-20岁内死亡。新生儿发病率为1/4-6万，中国年新增病例估算150-230人，存量患者500人左右。		
中国大陆首次上市时间	2024-07	注册证号/批准文号	国药准字HJ20240071
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	2022-03
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	CDKL5缺乏症相关癫痫无其他获批治疗方式。现有治疗存在巨大的未满足需求。加那索龙口服混悬剂是该适应症下唯一获批，唯一被国内外共识循证推荐，实现治疗突破的药品。CDKL5缺乏症相关癫痫与常见癫痫的疾病严重程度完全不可比，加那索龙与传统抗癫痫发作药在治疗CDKL5缺乏症相关癫痫上，从机制到疗效更加不可比。2024年CDKL5缺乏症诊		

断与治疗的专家共识指出：目前抗癫痫发作的药物治疗CDKL5缺乏症相关癫痫，疗效有限、且随着治疗时间的延长疗效逐渐降低并存在安全性挑战，无法实现共识首要治疗目标，即控制癫痫发作（12个月应答率中位值仅为4%、长期疗效未知）。加那索龙一种神经活性类固醇，唯一靶向作用于突触和突触外GABA<sub>A</sub>受体的正向别构剂，实现对于癫痫发作间歇性和持续性的双重抑制。加那索龙用于既往使用过4-10种抗发作药物疗效不佳的患者，其12个月的有效率可以达到45%，24个月长期疗效持续稳定，且长期使用安全性良好。

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](#) 加那索龙口服混悬剂修订说明书20240802.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](#) 注册及公示.pdf

申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）

[↓ 下载文件](#) 加那索龙口服混悬剂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](#) 加那索龙口服混悬剂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：
  - 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>!</sup>	用法用量	费用类型	金额（元） <sup>!</sup>	疗程/周期 <sup>!</sup>
无	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由：加那索龙口服混悬剂是全球首创且唯一获批用于治疗CDKL5缺乏症相关癫痫发作的药物，具有高级别RCT循证医学证据。临床试验对照组为安慰剂+最佳支持治疗。美国、欧盟孤儿药资格认定，英国NICE评估报告对比最佳支持治疗，参照药物为空白。

其他情况请说明：-

## 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	安慰剂
试验阶段	上市前

对主要临床结局指标改善情况	全球多中心，随机，双盲，安慰剂对照试验，纳入包括亚洲人群共计101例患者，加那索龙疗效确切。17周双盲治疗期间，加那索龙组在28天内主要运动性癫痫发作频率的中位百分比变化为 -30.7%（IQR -49.5至-1.9），安慰剂组为-6.9%（-24.1至39.7）（p=0.0036），显著获益。除改善多种癫痫发作类型外，对于生活质量的改善尤为明显（情绪、社交、休闲和独立性等）
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> III期双盲安慰剂对照研究.pdf
试验类型2	单臂临床实验
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	有 88 人进入三期临床的2年长期扩展研究（OLE）阶段。OLE 阶段 2 年时（第 22-24 个月），主要运动性癫痫发作频率中位减少 48.2%；在第 22-24 个月期间，有 46.0%的患者主要运动性癫痫发作频率下降≥50%；24.0%的患者下降≥75%。根据临床总体改善印象量表癫痫发作强度和持续时间的评分（CGI-CSID），81.6%被照护者评价为癫痫相关情况有所改善。
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> 开放标签2年长期扩展研究.pdf
试验类型1	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	全球多中心，随机，双盲，安慰剂对照试验，纳入包括亚洲人群共计101例患者，加那索龙疗效确切。17周双盲治疗期间，加那索龙组在28天内主要运动性癫痫发作频率的中位百分比变化为 -30.7%（IQR -49.5至-1.9），安慰剂组为-6.9%（-24.1至39.7）（p=0.0036），显著获益。除改善多种癫痫发作类型外，对于生活质量的改善尤为明显（情绪、社交、休闲和独立性等）
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> III期双盲安慰剂对照研究.pdf
试验类型2	单臂临床实验
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	有 88 人进入三期临床的2年长期扩展研究（OLE）阶段。OLE 阶段 2 年时（第 22-24 个月），主要运动性癫痫发作频率中位减少 48.2%；在第 22-24 个月期间，有 46.0%的患者主要运动性癫痫发作频率下降≥50%；24.0%的患者下降≥75%。根据临床总体改善印象量表癫痫发作强度和持续时间的评分（CGI-CSID），81.6%被照护者评价为癫痫相关情况有所改善。
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> III期双盲安慰剂对照研究.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）

[↓ 下载文件](#) 开放标签2年长期扩展研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年CDKL5缺乏症诊断与治疗的专家共识，CDKL5缺乏症相关的癫痫多为药物难治性癫痫，目前癫痫发作的药物治疗疗效有限，且随着治疗时间的延长，疗效逐渐降低，并存在安全性挑战；推荐意见：在控制CDKL5缺乏症相关的其他癫痫发作时，建议选用加那索龙，进行抗癫痫发作治疗（证据等级1级，推荐强度A；共识率100%）。

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](#) 中国CDD共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况2

2022年CDKL5缺乏症患者评估与管理的国际专家共识，推荐：CDKL5缺乏症相关癫痫发作患者在药物可及情况下推荐使用加那索龙，100%达成明确共识。

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](#) 国际共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

86个罕见病种诊疗指南（2025年版）：加那索龙是一种具有神经活性的类固醇，可正向别构调节神经元突触和突触外GABA<sub>A</sub>受体，而GABA是中枢神经抑制性神经递质之一，故加那索龙具有抗癫痫、抗焦虑、紧张等作用，并已获FDA和EMA批准用于治疗CDD相关的癫痫发作，于2024年获得中国药品监督管理局批准用于在≥2岁患者中治疗CDD相关的癫痫发作。

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](#) 2025年版86个罕见病种诊疗指南-CDKL5缺乏症.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年CDKL5缺乏症诊断与治疗的专家共识，CDKL5缺乏症相关的癫痫多为药物难治性癫痫，目前癫痫发作的药物治疗疗效有限，且随着治疗时间的延长，疗效逐渐降低，并存在安全性挑战；推荐意见：在控制CDKL5缺乏症相关的其他癫痫发作时，建议选用加那索龙，进行抗癫痫发作治疗（证据等级1级，推荐强度A；共识率100%）。

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](#) 中国CDD共识.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2	2022年CDKL5 缺乏症患者评估与管理的国际专家共识，推荐：CDKL5缺乏症相关癫痫发作患者在药物可及情况下推荐使用加那索龙，100%达成明确共识。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 国际共识.pdf
临床指南/诊疗规范推荐情况3	86个罕见病种诊疗指南（2025年版）：加那索龙是一种具有神经活性的类固醇，可正向别构调节神经元突触和突触外GABA <sub>A</sub> 受体，而GABA是中枢神经抑制性神经递质之一，故加那索龙具有抗癫痫、抗焦虑、紧张等作用，并已获FDA和EMA批准用于治疗CDD相关的癫痫发作，于2024年获得中国药品监督管理局批准用于在≥2岁患者中治疗CDD相关的癫痫发作。
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> 2025年版86个罕见病种诊疗指南-CDKL5缺乏症.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	加那索龙（GNX）临床安全有效性数据充分，在CDD的双盲、安慰剂对照试验中，与安慰剂组受试者相比，GNX组受试者的主要终点癫痫发作类型的28天癫痫发作频率较基线的百分比变化达到具有统计学意义的降低。此外，主要终点癫痫发作频率较基线降低≥50%的受试者人数在数值上支持GNX组受试者更佳。除客观测量结果，受试者、父母/护理者对治疗效应的主观测量（CGI-CSID、CGI-I）也支持GNX更佳。GNX治疗组受试者的其他次要终点具有积极趋势：a.包括多种癫痫发作亚型的每28天癫痫发作频率降幅较安慰剂组更大；b.情绪行为和生活质量的改善尤为明显；c.残疾的4个领域较基线的改善更大。
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 加那索龙技术审评报告有效性节选.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	加那索龙（GNX）临床安全有效性数据充分，在CDD的双盲、安慰剂对照试验中，与安慰剂组受试者相比，GNX组受试者的主要终点癫痫发作类型的28天癫痫发作频率较基线的百分比变化达到具有统计学意义的降低。此外，主要终点癫痫发作频率较基线降低≥50%的受试者人数在数值上支持GNX组受试者更佳。除客观测量结果，受试者、父母/护理者对治疗效应的主观测量（CGI-CSID、CGI-I）也支持GNX更佳。GNX治疗组受试者的其他次要终点具有积极趋势：a.包括多种癫痫发作亚型的每28天癫痫发作频率降幅较安慰剂组更大；b.情绪行为和生活质量的改善尤为明显；c.残疾的4个领域较基线的改善更大。
《技术审评报告》原文（可节选）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 加那索龙技术审评报告有效性节选.pdf

### 三、安全性信息

药品说明书载载的安全性信息	加那索龙口服混悬剂治疗组中发生率≥5%，且发生率高于安慰剂组的不良反应：嗜睡（加那索龙组38% vs 安慰剂组20%），发热（18% vs 8%），上呼吸道感染（10% vs 6%），镇静（6% vs 4%），唾液分泌过多（6% vs 2%），季节性过敏（6% vs 0%）。不良事件主要是轻中度。因不良反应的停药率低。嗜睡和镇静出现在治疗早期，通常与剂量相关。同领域其他药品存在的肝毒性、胰腺炎等黑框警告。且部分药物存在永久性地缩小儿童的视野，认知功能损害等严重不良反应。其他详见说明书。
---------------	---

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果	美国2022年上市至今，无药监机构发布关于加那索龙口服混悬剂安全性警告、黑框警告及撤市等相关信息；全球首次上市以来没有新的重大安全信息。
相关报导文献	<a href="#">↓ 下载文件</a> 加那索龙上市后安全性信息.pdf

#### 四、创新性信息

创新程度	CDKL5缺乏症与GABA <sub>A</sub> 受体表达水平降低有关，加那索龙是一种神经活性类固醇，同时作用于突触内及突触外的GABA <sub>A</sub> 受体，实现间歇性（短期）和持续性（长期）双重抑制。唯一获批治疗CDKL5缺乏症相关癫痫发作的药物。中国：病种纳入第二批罕见病目录、以“儿童用药新品种”纳入CDE优先审评、纳入“第四批鼓励研发申报儿童药品”目录。国际：美国、欧盟儿科罕见病及孤儿药资格认定，美国优先审评。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 加那索龙创新性证明资料.pdf
应用创新	口服混悬液剂型，取量精准，不存在药物浪费，同时解决了吞咽困难问题（CDKL5缺乏症患者90%3月龄内起病），可用于儿童患者、肾/肝损伤患者/药物相互作用少。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 加那索龙口服混悬剂说明书特殊人群说明.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	CDKL5缺乏症，起病早、发作频、症状重、药物难治，严重危害患儿的生存，超过90%的患儿需要照料者全职照护，家庭经济负担严重；CDKL5缺乏症患者癫痫发作频繁，致残率、致死率远高于普通癫痫患者；加那索龙疗效持久稳定，改善患儿生活质量，减轻照护者负担，更具患者价值和社会意义。
符合“保基本”原则描述	CDKL5缺乏症为我国罕见病目录病种，患者人数有限，预估患者数500例且超过98%是儿童，医保基金支出可控；可降低疾病相关治疗成本，包括减少急救、住院等相关费用，节省患者和医保基金的支出。本品在美国和欧盟获得用于治疗CDKL5缺乏症“孤儿药”资格认定。
弥补目录短板描述	CDKL5缺乏症为我国罕见病目录病种，癫痫发作为主要症状且均为药物难治性，目前的临床治疗药物疗效有限，随治疗时间的延长，疗效逐渐降低或无效，并存在安全性挑战。患者亟待长期有效且安全的药物。加那索龙是全球首个且唯一获批治疗CDKL5缺乏症相关癫痫发作的药物，为患者带来全面获益和价值。弥补临床及国家医保目录内此治疗领域空白。
临床管理难度描述	CDKL5缺乏症基因诊断明确、加那索龙适应症明确，无滥用风险，医保经办管理难度小；针对儿童患者整体安全耐受性良好，口服混悬剂方便儿童药物调整，提高给药顺应性，不存在药物浪费。常温保存、有效期24个月。