

在我国获准上市的罕见病药品制剂目录

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
1	波生坦	4-叔丁基-N-[6-(2-羟基-乙氧基)-5-(2-甲氧基-苯氧基)-[2,2']-二噻啉-4-基]-苯磺酰胺一水化合物	化学药品	1-1	波生坦片	特发性肺动脉高压	125mg (以C27H29N5O6S计)	片剂	H20170013	Actelion Pharmaceuticals Ltd.
2	安立生坦	(+)-(2S)-2-[(4,6-二甲基嘧啶-2-基)氧基]-3-甲氧基-3,3-二苯基丙酸	化学药品	2-1	安立生坦片	特发性肺动脉高压	5mg	片剂	H20160365	GLAXOSMITHKLINE INC.

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
				2-2	安立生坦片	特发性肺动脉高压	10mg	片剂	H20160364	GLAXOSMITHKLINE INC.
3	利奥西呱	4,6-二氨基-2-[1-(2-氟苄基)-1H-吡唑[3,4-b]吡啶-3-基]-5-嘧啶(甲基)氨基甲酸甲酯	化学药品	3-1	利奥西呱片	特发性肺动脉高压	0.5mg	片剂	H20170356	Bayer Pharma AG
				3-2	利奥西呱片	特发性肺动脉高压	1.5mg	片剂	H20170357	Bayer Pharma AG
				3-3	利奥西呱片	特发性肺动脉高压	1mg	片剂	H20170358	Bayer Pharma AG
				3-4	利奥西呱片	特发性肺动脉高压	2mg	片剂	H20170359	Bayer Pharma AG
				3-5	利奥西呱片	特发性肺动脉高压	2.5mg	片剂	H20170360	Bayer Pharma AG
4	马昔腾坦	N-[5-(4-溴苯基)-6-{2-[5-溴嘧啶-2-基]氧]乙氧基}嘧啶-4-基]-N'-丙基磺酰胺	化学药品	4-1	马昔腾坦片	特发性肺动脉高压	10mg	片剂	H20170376	Actelion Pharmaceuticals Ltd

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/ 进口药品 注册证号	持有人/生产企业
5	伊洛前列素	5-{(E)- (1S,5S,6R,7R)- 7-羟基-6-[(E)- (3S,4RS)-3-羟基 -4-甲基-1-辛烯-6- 炔基]-双环[3.3.0] 辛-3-亚基}-戊酸	化学 药品	5-1	吸入用伊洛前列素溶液	特发性肺动脉高压	2ml:20µg	溶液剂	H20140939	Bayer Pharma AG
				5-2	吸入用伊洛前列素溶液	特发性肺动脉高压	2ml:20µg	溶液剂	H20140940	Bayer Pharma AG
				5-3	吸入用伊洛前列素溶液	特发性肺动脉高压	2ml:20µg	溶液剂	H20140941	Bayer Pharma AG
6	曲前列尼尔	[[(1R,2R,3aS,9aS)- 2,3,3a,4,9,9a-六氢 -2-羟基-1-[(3S)- 3-羟基辛烷基]-1H-苯并[f]茛 -5-基]氧基]乙酸	化学 药品	6-1	曲前列尼尔注射液	特发性肺动脉高压	20ml:20mg	注射剂	H20140305	United Therapeutics Corporation
				6-2	曲前列尼尔注射液	特发性肺动脉高压	20ml:100mg	注射剂	H20140307	United Therapeutics Corporation
				6-3	曲前列尼尔注射液	特发性肺动脉高压	20ml:200mg	注射剂	H20140308	United Therapeutics Corporation
				6-4	曲前列尼尔注射液	特发性肺动脉高压	20ml:50mg	注射剂	H20140306	United Therapeutics Corporation
7	吡非尼酮	5-甲基-1-苯基-2 (1H)-吡啶酮	化学 药品	7-1	吡非尼酮胶囊	特发性肺纤维化	200mg	胶囊剂	国药准字 H20163239	北京康蒂尼药业有限公司

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
				7-2	吡非尼酮胶囊	特发性肺纤维化	100mg	胶囊剂	国药准字H20133376	北京康蒂尼药业有限公司
8	尼达尼布	1H-吡啶-6-羧酸,2,3-二氢-3-[[[4-[甲基(4-甲基-1-哌嗪基)乙酰基]氨基]苯基]氨基]苯基亚甲基]-2-氧-,甲酯,(3Z)-,乙磺酸盐(1:1)	化学药品	8-1	乙磺酸尼达尼布软胶囊	特发性肺纤维化	按C31H33N5O4计算 150mg	胶囊剂	H20170355	Boehringer Ingelheim International GmbH
				8-2	乙磺酸尼达尼布软胶囊	特发性肺纤维化	按C31H33N5O4计算 100mg	胶囊剂	H20170354	Boehringer Ingelheim International GmbH
9	-	-	生物制品	9-1	注射用伊米苷酶	戈谢病	400 单位/瓶	注射剂	S20140067	Genzyme Europe B.V.

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
10	-	-	生物制品	10-1	注射用阿糖苷酶 α	糖原累积病（I型、II型）	50mg/瓶	注射剂	S20150049	Genzyme Europe B.V.
11	麦格司他	(2R,3R,4R,5S) -1-丁基-2-羟甲基-3,4,5-哌啶三醇	化学药品	11-1	麦格司他胶囊	尼曼匹克病	100mg	胶囊剂	H20160635	Actelion Registration Ltd.
12	-	-	生物制品	12-1	重组人生长激素注射液	Noonan 综合征	15IU/5mg/3ml/瓶	注射剂	国药准字 S20050024	长春金赛药业股份有限公司
				12-2	重组人生长激素注射液	Noonan 综合征	30IU/10mg/3ml/瓶	注射剂	国药准字 S20050025	长春金赛药业股份有限公司
				12-3	重组人生长激素注射液	Noonan 综合征	1.5ml:5mg	注射剂	S20150029	Novo Nordisk A/S
				12-4	重组人生长激素注射液	Noonan 综合征	1.5ml:5mg	注射剂	S20170006	Novo Nordisk A/S

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
				12-5	重组人生长激素注射液	Noonan 综合征	1.5ml:5mg	注射剂	S20130089	Novo Nordisk A/S
13	沙丙蝶呤	(6R)-2-氨基-6[(1R,2S)-1,2-二羟丙基]-5,6,7,8-四氢-4(1H)-二盐酸蝶啶酮	化学药品	13-1	盐酸沙丙蝶呤片	苯丙酮尿症、高苯丙氨酸血症、四氢生物蝶呤缺乏症	100mg (以C ₉ H ₁₅ N ₅ O _{3.2} HCL 计)	片剂	H20181140	BioMarin International Limited
				13-2	盐酸沙丙蝶呤片	苯丙酮尿症、高苯丙氨酸血症、四氢生物蝶呤缺乏症	100mg (以C ₉ H ₁₅ N ₅ O _{3.2} HCL 计)	片剂	H20181141	BioMarin International Limited
14	-	-	生物制品	14-1	重组人干扰素β1a注射液	多发性硬化	132μg (36MIU)	注射剂	S20170034	Merck Serono Europe Ltd.
				14-2	重组人干扰素β1a注射液	多发性硬化	66μg (18MIU)	注射剂	S20170033	Merck Serono Europe Ltd.
15	青霉胺	D-3-巯基缬氨酸	化学药品	15-1	青霉胺片	肝豆状核变性	0.125g	片剂	国药准字 H31020317	上海信谊万象药业股份有限公司

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
				15-2	青霉胺片	肝豆状核变性	0.125g	片剂	国药准字H20054245	北京嘉林药业股份有限公司
				15-3	青霉胺片	肝豆状核变性	0.125g	片剂	国药准字H31020936	上海新亚药业闵行有限公司
				15-4	青霉胺片	肝豆状核变性	0.125g	片剂	国药准字H31022286	上海上药信谊药厂有限公司
16	利鲁唑	2-氨基-6-三氟甲氧基苯并噻唑	化学药品	16-1	利鲁唑片	肌萎缩侧索硬化	50mg	片剂	H20140173	Aventis Pharma S.A.
				16-2	利鲁唑片	肌萎缩侧索硬化	50mg	片剂	H20140172	Aventis Pharma S.A.
				16-3	利鲁唑片	肌萎缩侧索硬化	50mg	片剂	国药准字H20073149	万特制药(海南)有限公司
				16-4	利鲁唑片	肌萎缩侧索硬化	50mg	片剂	国药准字H20045977	江苏恩华药业股份有限公司
				16-5	利鲁唑片	肌萎缩侧索硬化	50mg	片剂	国药准字H20056198	鲁南贝特制药有限公司
17	-	-	生物制品	17-1	人凝血因子VIII	血友病 A	300IU/瓶	注射剂	国药准字S20130007	山东泰邦生物制品有限公司
				17-2	人凝血因子VIII	血友病 A	200 IU/瓶	注射剂	国药准字S20120011	山东泰邦生物制品有限公司
				17-3	人凝血因	血友病 A	200 IU/瓶	注射剂	国药准字	上海新兴医药股份

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/ 进口药品 注册证号	持有人/生产企业
					子Ⅷ				S20150021	有限公司
				17-4	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	300IU/瓶	注射剂	国药准字 S20130009	同路生物制药有限公司
				17-5	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	50IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003006	华兰生物工程股份有限公司
				17-6	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	400IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003002	华兰生物工程股份有限公司
				17-7	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	300IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003003	华兰生物工程股份有限公司
				17-8	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	200IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003004	华兰生物工程股份有限公司
				17-9	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	100IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003005	华兰生物工程股份有限公司
				17-10	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	500IU	冻干粉 针剂	国药准字 S10980063	上海莱士血液制品股份有限公司
				17-11	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	400IU	冻干粉 针剂	国药准字 S10950037	上海莱士血液制品股份有限公司
				17-12	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	300IU	冻干粉 针剂	国药准字 S10950030	上海莱士血液制品股份有限公司
				17-13	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	250IU	冻干粉 针剂	国药准字 S10980062	上海莱士血液制品股份有限公司

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
17	-	-	生物制品	17-14	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	200IU	冻干粉针剂	国药准字 S10950028	上海莱士血液制品股份有限公司
				17-15	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	100IU	冻干粉针剂	国药准字 S10950029	上海莱士血液制品股份有限公司
				17-16	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	1000IU	冻干粉针剂	国药准字 S10980064	上海莱士血液制品股份有限公司
				17-17	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	300IU/瓶	注射剂	国药准字 S20013030	成都蓉生药业有限责任公司
				17-18	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	50IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003007	绿十字(中国)生物制品有限公司
				17-19	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	200IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003008	绿十字(中国)生物制品有限公司
				17-20	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	200IU/瓶	注射剂	国药准字 S20120015	国药集团上海血液制品有限公司
				17-21	人凝血因子Ⅷ	血友病 A	100IU/瓶	注射剂	国药准字 S20003009	绿十字(中国)生物制品有限公司
18	-	-	生物制品	18-1	注射用重组人凝血因子Ⅷ	血友病 A	1000IU/瓶	注射剂	S20170022	Baxter AG
				18-2	注射用重组人凝血因子Ⅷ	血友病 A	1500IU/瓶	注射剂	S20170023	Baxter AG

序号	活性成分 通用名称	活性成分 化学名称	品种 类别		药品 名称	适应症	规格	剂型	批准文号/ 进口药品 注册证号	持有人/生产企业
				18-3	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	500IU/瓶	注射剂	S20170021	Baxter AG
				18-4	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	250IU/瓶	注射剂	S20170020	Baxter AG
				18-5	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	250IU/瓶	注射剂	S20160009	Bayer HealthCare LLC
				18-6	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	1000IU/瓶	注射剂	S20160011	Bayer HealthCare LLC
				18-7	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	500IU/瓶	注射剂	S20160010	Bayer HealthCare LLC
				18-8	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	250IU/瓶	注射剂	S20150003	Wyeth Pharmaceuticals Inc.
				18-9	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	500IU/瓶	注射剂	S20150005	Wyeth Pharmaceuticals Inc.

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/ 进口药品 注册证号	持有人/生产企业
				18-10	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	1000IU/瓶	注射剂	S20150006	Wyeth Pharmaceuticals Inc.
				18-11	注射用重组人凝血因子VIII	血友病 A	2000IU/瓶	注射剂	S20150004	Wyeth Pharmaceuticals Inc.
19	-	-	生物制品	19-1	注射用重组人凝血因子 IX	血友病 B	250IU/瓶	注射剂	S20120053	Wyeth Pharmaceuticals Inc.
				19-2	注射用重组人凝血因子 IX	血友病 B	500IU/瓶	注射剂	S20120054	Wyeth Pharmaceuticals Inc.
				19-3	注射用重组人凝血因子 IX	血友病 B	1000IU/瓶	注射剂	S20120055	Wyeth Pharmaceuticals Inc.
				19-4	注射用重组人凝血因子 IX	血友病 B	2000IU/瓶	注射剂	S20120056	Wyeth Pharmaceuticals Inc.

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
20	-	-	生物制品	20-1	人凝血酶原复合物	血友病 B	每瓶含人凝血因子 IX300IU (30ml),同时含人凝血因子 II 300IU、人凝血因子 VII 200IU,人凝血因子 X 300IU	注射剂	国药准字 S10970102	国药集团上海血液制品有限公司
				20-2	人凝血酶原复合物	血友病 B	400IU/瓶(每瓶含 II、IX、X 因子 400IU,VII 因子 160IU)	注射剂 (冻干粉针剂)	国药准字 S10970051	上海新兴医药股份有限公司
20	-	-	生物制品	20-3	人凝血酶原复合物	血友病 B	200IU/瓶(每瓶含 II、IX、X 因子 200IU、VII 因子 80IU)	注射剂 (冻干粉针剂)	国药准字 S10970050	上海新兴医药股份有限公司
				20-4	人凝血酶原复合物	血友病 B	300IU/瓶(每瓶含 II、IX、X 因子 300IU、VII 因子 120IU)	注射剂 (冻干粉针剂)	国药准字 S10970049	上海新兴医药股份有限公司

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
				20-5	人凝血酶原复合物	血友病 B	400IU/瓶	冻干粉针剂	国药准字 S10950034	上海莱士血液制品股份有限公司
				20-6	人凝血酶原复合物	血友病 B	300IU/瓶	冻干粉针剂	国药准字 S10960071	上海莱士血液制品股份有限公司
				20-7	人凝血酶原复合物	血友病 B	200IU/瓶	冻干粉针剂	国药准字 S10950035	上海莱士血液制品股份有限公司
				20-8	人凝血酶原复合物	血友病 B	100IU/瓶	冻干粉针剂	国药准字 S10950036	上海莱士血液制品股份有限公司
				20-9	人凝血酶原复合物	血友病 B	1000IU/瓶	冻干粉针剂	国药准字 S10950033	上海莱士血液制品股份有限公司
				20-10	人凝血酶原复合物	血友病 B	300IU/瓶	注射剂	国药准字 S20140008	山东泰邦生物制品有限公司
				20-11	人凝血酶原复合物	血友病 B	300IU/瓶	注射剂	国药准字 S20130008	贵州泰邦生物制品有限公司
20	-	-	生物制品	20-12	人凝血酶原复合物	血友病 B	400IU/20ml/瓶 每瓶含 IX 因子 400IU、II 因子 400IU、VII 因子 100IU、X 因子 400IU	注射剂	国药准字 S20083059	华兰生物工程股份有限公司

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
				20-13	人凝血酶原复合物	血友病 B	300IU/20ml/瓶 每瓶含IX因子300IU、II因子300IU、VII因子75IU、X因子300IU	注射剂	国药准字S20083058	华兰生物工程股份有限公司
				20-14	人凝血酶原复合物	血友病 B	200IU/20ml/瓶 每瓶含IX因子200IU、II因子200IU、VII因子50IU、X因子200IU	注射剂	国药准字S20083057	华兰生物工程股份有限公司
				20-15	人凝血酶原复合物	血友病 B	100IU/10ml/瓶 每瓶含IX因子100IU、II因子100IU、VII因子25IU、X因子100IU	注射剂	国药准字S20083056	华兰生物工程股份有限公司
				20-16	人凝血酶原复合物	血友病 B	1000IU/20ml/瓶 每瓶含IX因子1000IU、II因子1000IU、VII因子250IU、X因子1000IU	注射剂	国药准字S20083060	华兰生物工程股份有限公司

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	品种类别		药品名称	适应症	规格	剂型	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
21	-	-	生物制品	21-1	注射用重组人凝血因子VIIa	血友病	2mg (100KIU) /支	注射剂	S20150062	Novo Nordisk A/S
				21-2	注射用重组人凝血因子VIIa	血友病	1mg (50KIU) /支	注射剂	S20150061	Novo Nordisk A/S
				21-3	注射用重组人凝血因子VIIa	血友病	5mg (250KIU) /支	注射剂	S20150063	Novo Nordisk A/S
				21-4	注射用重组人凝血因子VIIa	血友病	1mg (50KIU) /支	注射剂	S20150026	Novo Nordisk A/S
				21-5	注射用重组人凝血因子VIIa	血友病	2mg (100KIU) /支	注射剂	S20150027	Novo Nordisk A/S
				21-6	注射用重组人凝血因子VIIa	血友病	5mg (250KIU) /支	注射剂	S20150028	Novo Nordisk A/S

附件 2

在我国获准上市的罕见病药品原料药目录

序号	活性成分通用名称	活性成分化学名称	序号	批准文号/进口药品注册证号	持有人/生产企业
1	波生坦	4-叔丁基-N-[6-(2-羟基-乙氧基)-5-(2-甲氧基-苯氧基)-[2,2']-二嘧啶-4-基]-苯磺酰胺一水合物	1-1	H20160537	Actelion Pharmaceuticals Ltd.
2	吡非尼酮	5-甲基-1-苯基-2(1H)-吡啶酮	2-1	国药准字 H20133375	北京康蒂尼药业有限公司
3	青霉胺	D-3-巯基缬氨酸	3-1	国药准字 H36020234	江西东风药业股份有限公司
			3-2	国药准字 H51021574	四川制药股份有限公司
4	利鲁唑	2-氨基-6-三氟甲氧基苯并噻唑	4-1	国药准字 H20051179	鲁南贝特制药有限公司
			4-2	国药准字 H20055899	万特制药(海南)有限公司
			4-3	国药准字 H20041717	江苏恩华药业股份有限公司

