

# 2024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：泽沃基奥仑赛注射液

企业名称：恺兴生命科技（上海）有限公司

## 申报信息

申报时间	2024-07-10 14:09:00	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

药品申报条件：

- 1.2019年1月1日至2024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。
- 2.2019年1月1日至2024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通用名药品。
- 3.2024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。
- 4.2024年6月30日前经国家药监部门批准上市，纳入卫生健康委等部门《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》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。
- 5.2024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卫生健康委《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)	泽沃基奥仑赛注射液	医保药品分类与代码	XL01XLZ112B002010184167
药品类别	西药	是否为独家	是
① 药品注册分类	治疗用生物制品		
核心专利类型1	生物制品活性成分	核心专利权期限届满日1	2038-01
核心专利类型2	生物制品医药用途	核心专利权期限届满日2	2038-01
核心专利类型1	生物制品活性成分	核心专利权期限届满日1	2038-01
核心专利类型2	生物制品医药用途	核心专利权期限届满日2	2038-01
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	目标剂量为 $1.5 \times 10^8$ CAR-BCMA阳性T细胞/剂量，以10mL~20mL/袋分装至1袋或均分至若干袋，每袋实际分装体积在标示体积基础上增加2.0mL。		
上市许可持有人(授权企业)	恺兴生命科技(上海)有限公司		
说明书全部适应症/功能主治	用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者，既往经过至少3线治疗后进展(至少使用过一种蛋白酶体抑制剂及免疫调节剂)。		
说明书用法用量	<p>本品仅供自体使用，仅供静脉输注使用，治疗须在经上市许可持有人评估和认证的医疗机构内、在具有血液肿瘤治疗经验并接受过本品给药及临床诊疗培训的医务人员的指导和监督下进行。</p> <p>1. 剂量 本品仅供自体一次性使用，推荐剂量为<math>1.5 \times 10^8</math> CAR-BCMA阳性T细胞。</p> <p>2. 给药方法 输注前患者准备</p> <p>□ 预处理 • 患者在淋巴细胞清除预处理前，需确认本品随时可用。</p> <p>• 患者在计划输注本品前的2~5天内完成淋巴细胞清除预处理，推荐的方案为连续3天每天静脉注射氟达拉滨(<math>25 \text{ mg/m}^2</math>)和环磷酰胺(<math>300 \text{ mg/m}^2</math>)。临床医生也可根据患者的实际情况酌情对清淋方案剂量进行<math>\pm 20\%</math>调整。</p> <p>□ 输注前用药 • 在计划输注时间前约半小时，建议给予患者解热镇痛和抗过敏药物，推荐解热药物如对乙酰氨基酚500~1000 mg口服或哌罗美辛栓(消炎痛栓)50~100 mg塞肛联合抗组胺剂如盐酸异丙嗪12.5~50 mg，或相当剂量的同类药物。避免预防性使用全身性糖皮质激素。</p> <p>产品接收 • 本品置于气相液氮运输罐运输至医疗机构，核对液氮罐封签信息。</p> <p>• 接收本品时，需确认冻存袋包装盒标签患者信息与患者身份相符。若信息与患者不匹配，请勿取出本品，并请致电恺兴生命科技(上海)有限公司(电话：400-820-9056)。</p> <p>○ 核对包装盒标签患者信息与患者身份是否相符。如果不相符，请勿从包装盒中取出冻存袋。</p> <p>○ 取出冻存袋，核对冻存袋标签患者信息与患者信息是否相符。</p> <p>• 确认冻存袋标签标识的总剂量符合输注剂量，检查产品包装的完整性，检查是否有破损或裂缝。如果产品出现任何问题，请致电恺兴生命科技(上海)有限公司(电话：400-820-9056)。</p> <p>• 请使用COI/COC系统扫描本品标签二维码，确认接收。</p> <p>输注前准备(细胞复苏) • 提前确认好患者输注时间，安排好细胞复苏开始时间，使本品在患者就位时可用于输注。</p> <p>• 确保在输注前和输注后有至少两次处方剂量的托珠单抗和急救设备可用。</p> <p>• 确认水浴设施准备就绪，水温设置在38°C。</p> <p>• 迅速将本品冻存袋置于水浴锅中复苏，水温应稳定在37~40°C，直至冻存袋中无可见的余冰。轻轻混合袋内容物，分散细胞团块。如仍留有可见的小团块，需继续温和晃动分散。将冻存袋从水浴中取出，擦干残留水渍。</p> <p>• 如果有多袋产品，应一次一袋，逐袋复苏。确保前一袋输注完成后才能复苏下一袋。</p> <p>• 冻存袋从内向外有内袋和</p>		

外袋。如果复苏过程中外袋破损或胀气，应快速剪开外袋，取出内袋，置于水浴中复苏。复苏完成后，确认内袋完好无损，不影响后续输注使用。• 如果内袋有任何破损或泄露，请停止操作并立即联系恺兴生物科技（上海）有限公司（电话：400-820-9056）。• 本品复苏后，请尽快输注，必须在室温下2小时内完成输注。输注给药• 仅供自体使用，再次确认冻存袋标签患者信息和患者身份相符。• 如患者外周静脉通路不良时，建议使用中心静脉通路输注本品。• 本品请勿辐照。• 本品输注采用不带白细胞滤器的输血器。如使用带滤膜的输血器，请确认滤膜孔径为200μm。• 剪开冻存袋外袋，取出内袋，消毒输注袋口，连接0.9%氯化钠注射液预充的输血器。• 在重力作用下滴注，建议滴注速率约2~5 mL/分钟，在30分钟内将本品所有内容物输入患者体内。• 输注完毕后以0.9%氯化钠注射液冲洗管路，以确保细胞全部输入。本品为自体T细胞制备的产品，剩余产品和使用后的包装袋请遵循医疗卫生机构医疗废物管理办法进行处理和处置，以避免潜在传染性疾病的传播。患者监测• 在输注过程中和输注后4小时内需监测生命体征。如果患者的生命体征在输注后不稳定，则应根据临床指征持续观察直至生命体征稳定。输注本品后需在经评估和认证的医疗机构内观察至少14天，以便监测可能出现的细胞因子释放综合征（CRS）和其他不良反应，并得到治疗医生的及时诊治。• 建议患者在输注本品后的4周内居住在经评估和认证的医疗机构附近，以便及时就诊获得相应的治疗。• 指导患者输注后至少8周内避免驾驶或从事危险活动。

所治疗疾病基本情况

多发性骨髓瘤（MM）是起源于浆细胞的恶性肿瘤，在我国，MM是血液系统第2位常见恶性肿瘤，发病率约占血液系统肿瘤的13%；多发于老年，目前仍无法治愈。据世卫组织，2020年，我国有超2.1万新发病例及约1.62万因MM导致的死亡病例。2022年，新发MM超3万例，约占所有新发癌症病例的1.8%，死亡约1.87万例，占有癌症死亡人数2.1%。

中国大陆首次上市时间

2024-02

注册证号/批准文号

2024S00347/国药准字S20240006

该通用名全球首个上市国家/地区

中国大陆

该通用名全球首次上市时间

2024-02

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

3线及以上复发难治性多发性骨髓瘤(RRMM)既往推荐治疗为联合方案。针对两药耐药RRMM患者，2024年CSCO指南I级推荐三药联合或CAR-T。目前中国已上市两款BCMA CAR-T：伊基奥仑赛和泽沃基奥仑赛。伊基奥仑赛2023年6月上市，尚未纳入国家医保目录。本品优势如下：1、结构优势：拥有独特全人源scFv结构（25C2序列），具备较高结合亲和力，能更精确特异性靶向肿瘤抗原；单体比例高，减少自体磷酸化，减少IL-6释放，免疫原性低，9个月ADA阳性率为12.7%，从而降低CRS和其他AE，提升临床应用安全性和持久性。2、细胞动力学优异：平均Cmax和AUC0~28d同类相对较高，是保障优异疗效的药代学基础。3、疗效显著：3年随访的I期研究显示患者缓解程度高（≥CR率为78.6%，其中达CR及以上患者MRD阴性率100%），持续获益（mPFS为25个月）及长期生存率高（3年OS率为92.9%）。不足：个体化治疗方案，技术研发和生产成本高昂，在规模化生产方面需提高。

企业承诺书

↓ 下载文件

附件1-企业承诺书-盖章版.pdf

药品最新版法定说明书

↓ 下载文件

附件2-说明书-盖章版.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补充注册、再注册批准证明文件，请扫描成一个文件后上传

↓ 下载文件

附件3-注册证-盖章版.pdf

申报药品摘要幻灯片（含经济性/价格费用信息）

↓ 下载文件

泽沃基奥仑赛PPT1.pptx

申报药品摘要幻灯片（不含经济性/价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示

↓ 下载文件

泽沃基奥仑赛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：（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0.8m<sup>2</sup>。

② 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) ①	用法用量	费用类型 ①	疗程/周期	金额 (元)
达雷妥尤单抗	是	400mg/20ml/瓶	4690	推荐剂量为 16 mg/kg, 静脉输注, 给药时间安排如下: 第1-8周每周一次; 第9-24周每2周一次; 第25周起直至疾病进展, 每4周一次。	年度费用	长期	29039 0.64

参照药品选择理由: 《CSCO2024多发性骨髓瘤诊疗指南》I级推荐两药耐药复发难治性多发性骨髓瘤患者使用CAR-T或DKd方案(达雷妥尤单抗+卡非佐米+地塞米松)方案, 后者联合化疗年费用合计约60w。

其他情况请说明: -

## 二、有效性信息

试验类型1	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	I期研究显示: ①截止到2023年7月17日, 中位随访37.7个月, 泽沃基奥仑赛治疗后的客观缓解率(ORR)为100%, ≥完全缓解(CR)率为78.6%, 其中达CR及以上患者微小残留病灶(MRD)阴性率100%。②泽沃基奥仑赛治疗后的中位无进展生存期(mPFS)为25个月, 中位持续缓解时间(mDOR)为24.1个月, 2年的总生存(OS)率为100%, 3年的OS率为92.9%。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验1.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	II期研究显示: 中位随访20.3个月时, 泽沃基奥仑赛治疗后的ORR为92.2%, ≥VGPR率为91.2%, ≥CR率为71.6%, 其中达CR及以上患者MRD阴性率100%。中位达缓解时间为29天, 中位达完全缓解时间为146天。泽沃基奥仑赛治疗后9个月的PFS率为84.6%, 9个月的DOR率为86.1%。
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)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验2.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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验2.pdf
试验类型3	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	IIIT研究显示：①截止到2021年6月30日，中位随访17.4个月，泽沃基奥仑赛治疗后的ORR为87.5%，≥CR率为79.2%；中位达缓解时间为4.1周，中位达最佳缓解时间为8.3个月。②泽沃基奥仑赛治疗复发难治性多发性骨髓瘤(RRMM)伴髓外病变(EMD)患者的≥CR率达70%，治疗RRMM不伴EMD患者的≥CR率达86%。③泽沃基奥仑赛治疗后的mPFS为18.8个月，mDOR为21.8个月。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验3.pdf
试验类型1	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	I期研究显示：①截止到2023年7月17日，中位随访37.7个月，泽沃基奥仑赛治疗后的客观缓解率(ORR)为100%，≥完全缓解(CR)率为78.6%，其中达CR及以上患者微小残留病灶(MRD)阴性率100%。②泽沃基奥仑赛治疗后的中位无进展生存期(mPFS)为25个月，中位持续缓解时间(mDOR)为24.1个月，2年的总生存(OS)率为100%，3年的OS率为92.9%。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验1.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	II期研究显示：中位随访20.3个月时，泽沃基奥仑赛治疗后的ORR为92.2%，≥VGPR率为91.2%，≥CR率为71.6%，其中达CR及以上患者MRD阴性率100%。中位达缓解时间为29天，中位达完全缓解时间为146天。泽沃基奥仑赛治疗后9个月的PFS率为84.6%，9个月的DOR率为86.1%。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验2.pdf
试验类型3	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	IIIT研究显示：①截止到2021年6月30日，中位随访17.4个月，泽沃基奥仑赛治疗后的ORR为87.5%，≥CR率为79.2%；中位达缓解时间为4.1周，中位达最佳缓解时间为8.3个月。②泽沃基奥仑赛治疗复发难治性多发性骨髓瘤(RRMM)伴髓外病变(EMD)患者的≥CR率达70%，治疗RRMM不伴EMD患者的≥CR率达86%。③泽沃基奥仑赛治疗后的mPFS为18.8个月，mDOR为21.8个月。
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）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 试验3.pdf

料须同时提供原文及中文翻译  
(件)

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年中国临床肿瘤学会 (CSCO) CAR-T 细胞治疗恶性血液病指南：I 级推荐：泽沃基奥仑赛注射液用于既往经过至少3线治疗后进展 (至少使用过一种蛋白酶体抑制剂及免疫调节剂) 的多发性骨髓瘤 (1A类证据)。

↓ 下载文件 指南1.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

临床指南/诊疗规范推荐情况2

2024年中国临床肿瘤学会 (CSCO) 恶性血液病诊疗指南：对硼替佐米+来那度胺耐药的复发难治性多发性骨髓瘤患者最高等级推荐采用抗BCMA CAR-T治疗；相较于2023年CSCO指南的II级推荐 (2类证据)，2024年CSCO指南推荐强度升级为“I 级推荐”，证据等级升级为“1类证据”。

↓ 下载文件 指南2.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

临床指南/诊疗规范推荐情况3

2022年中国医师协会及中华医学会联合发布的嵌合抗原受体T细胞治疗多发性骨髓瘤中国血液临床专家共识 (2022年版)：推荐CT053 (泽沃基奥仑赛) 等抗BCMA CAR-T应用于复发难治性多发性骨髓瘤，CT053 (泽沃基奥仑赛) 的总体有效率为87.5%~100%，严格意义的完全缓解(sCR)/完全缓解(CR)率为78.5%~79.2%。

↓ 下载文件 指南3.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

临床指南/诊疗规范推荐情况4

2022年中国医师协会及中华医学会联合发布的中国多发性骨髓瘤诊治指南 (2022年修订)：对于复发的多发性骨髓瘤患者推荐采用抗BCMA CAR-T治疗 (临床试验、研究者发起的研究)。

↓ 下载文件 指南4.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

临床指南/诊疗规范推荐情况5

NCCN 2024.V2版多发性骨髓瘤诊疗指南：对于复发难治性多发性骨髓瘤经过至少4线治疗后推荐采用抗BCMA CAR-T治疗。

↓ 下载文件 指南5.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

临床指南/诊疗规范推荐情况1

2024年中国临床肿瘤学会 (CSCO) CAR-T 细胞治疗恶性血液病指南：I 级推荐：泽沃基奥仑赛注射液用于既往经过至少3线治疗后进展 (至少使用过一种蛋白酶体抑制剂及免疫调节剂) 的多发性骨髓瘤 (1A类证据)。

↓ 下载文件 指南1.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

临床指南/诊疗规范推荐情况2

2024年中国临床肿瘤学会 (CSCO) 恶性血液病诊疗指南：对硼替佐米+来那度胺耐药的复发难治性多发性骨髓瘤患者最高等级推荐采用抗BCMA CAR-T治疗；相较于2023年CSCO指南的II级推荐 (2类证据)，2024年CSCO指南推荐强度升级为“I 级推荐”，证据等级升级为“1类证据”。

↓ 下载文件 指南2.pdf

临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节 (外文资料须同时提供原文及中文翻译件)

<p>资料须同时提供原文及中文翻译文件)</p>	
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况3</p>	<p>2022年中国医师协会及中华医学会联合发布的嵌合抗原受体T细胞治疗多发性骨髓瘤中国血液临床专家共识(2022年版):推荐CT053(泽沃基奥仑赛)等抗BCMA CAR-T应用于复发难治性多发性骨髓瘤,CT053(泽沃基奥仑赛)的总体有效率为87.5%~100%,严格意义的完全缓解(sCR)/完全缓解(CR)率为78.5%~79.2%。</p>
<p>临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节(外文资料须同时提供原文及中文翻译文件)</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 指南3.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况4</p>	<p>2022年中国医师协会及中华医学会联合发布的中国多发性骨髓瘤诊治指南(2022年修订):对于复发的多发性骨髓瘤患者推荐采用抗BCMA CAR-T治疗(临床试验、研究者发起的研究)。</p>
<p>临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节(外文资料须同时提供原文及中文翻译文件)</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 指南4.pdf</p>
<p>临床指南/诊疗规范推荐情况5</p>	<p>NCCN 2024.V2版多发性骨髓瘤诊疗指南:对于复发难治性多发性骨髓瘤经过至少4线治疗后推荐采用抗BCMA CAR-T治疗。</p>
<p>临床指南/诊疗规范中含申报适应症的药品推荐情况的章节(外文资料须同时提供原文及中文翻译文件)</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 指南5.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>《技术审评报告》原文(可节选)</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>《技术审评报告》原文(可节选)</p>	-



中国医疗保障  
CHINA HEALTHCARE SECURITY

### 三、安全性信息

<p>药品说明书载载的安全性信息</p>	<p>①基于LUMMICAR-1 ph.2 研究中入组的前102例接受本品治疗的受试者数据,中位随访时间为248天。与本品相关的严重不良事件(SAE)发生率为37.3%。最常见的不良反应为血细胞减少、发热以及细胞因子释放综合征(CRS)等。②十分常见的药物不良反应(发生率≥10%)包括中性粒细胞计数降低,发热,白细胞计数降低,细胞因子释放综合征,淋巴细胞计数降低,血小板计数降低等。常见的药物不良反应(发生率1%~10%)包括血纤维蛋白原升高,水肿,胸部不适,白细胞增多症,心电图异常,单核细胞计数降低等。③对本品的活性成分或任何辅料过敏者禁用。④重要注意事项为继发性恶性肿瘤。一般注意事项为本品仅限于自体使用;本品使用前需要有经验的临床医生评估患者情况,如有未恢复的严重不良反应,未控制的活动性感染及活动性移植物抗宿主病等情况,需延迟输注;接受本品治疗后,不应献血,捐献器官、组织或细胞用于移植等。⑤102例接受本品治疗的患者中位年龄为59.5岁(38~75岁),其中31例(30.4%)患者年龄超过65岁。现有数据未提示在老年患者中需要调整剂量。⑥药物相互作用:暂无相关研究内容。</p>
<p>药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果</p>	<p>药品上市后,各国家或地区药监部门5年内未发布安全性警告、黑框警告、撤市信息。LUMMICAR-1 ph.2 研究:安全性上,泽沃基奥仑赛耐受性良好,安全性可控,3级以上细胞因子释放综合征(CRS)发生率为6.9%,且均已恢复;2例(2.0%)患者出现免疫效应细胞相关神经毒性综合征(ICANS),其严重程度均为1级,且全部康复。未发生3级以上免疫效应细胞相关神经毒性,研究较上次报道未观察到更多不良反应发生。LUMMICAR-1 ph.1 研究:92.9%患者患有</p>

细胞因子释放综合征（均为1级或2级），未发生≥3级的CRS，未发生ICANS，未发生继发性恶性肿瘤和自身免疫性疾病。迄今为止，所有患者的慢病毒检测均为阴性。

相关报导文献

[↓ 下载文件](#) 不良反应文献报道.pdf

#### 四、创新性信息

创新程度	本品是通过基因工程在自体T细胞中表达嵌合抗原受体来靶向肿瘤B细胞成熟抗原，通过T细胞介导来杀伤肿瘤细胞的药物。本品的嵌合抗原受体由全人源抗BCMA单链抗体25C2、CD8α较链区和跨膜区、4-1BB胞内信号区以及CD3ζ胞内信号区顺序连接组成。25C2是经人scFV噬菌体文库筛选鉴定，具有高靶点特异性、亲和力、稳定性高等优势，使本品免疫原性更低。
创新性证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 创新性证明文件.pdf
应用创新	本品为活细胞药品，单次输注后药物在体内高峰期扩增，发挥持久抗肿瘤作用。可降低多次住院治疗所需要时间成本、经济负担，无重复给药所导致的相关副反应及感染等不良反应增加的风险，提高患者依从性。本品为全球首款固定剂量的全人源抗BCMA CART产品，无需计算给药剂量，便于医护人员管理。本品工艺优化，CART制备成功率100%。获美国FDA再生医学先进疗法、欧盟EMA优先药物和国家药监局突破性治疗药物认定。
应用创新证明文件	<a href="#">↓ 下载文件</a> 附件2-说明书-盖章版.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	既往经过至少3线治疗后进展复发或难治性多发性骨髓瘤的患者，目前化疗联合治疗疗效和预后不佳，容易复发，需长期持续治疗，且复发次数越多，患者预后越差。频繁住院治疗、长期药物使用及必要医疗监护给患者本人、家庭、社会及医疗卫生系统造成压力。本品单次治疗后显著延长患者生存期，2年ORR达92.2%-100%，mPFS达25个月，三年OS率92.9%，帮助患者回归正常生活，减少持续治疗所产生的住院及其他费用。
符合“保基本”原则描述	将本品纳入医保目录，与“保基本”原则高度契合。一方面能为传统治疗不佳、“走投无路”的后线患者提供全球最先进的细胞治疗选择，提高细胞治疗的可及性，避免因经济原因无法获得有效救治，从而保障患者的基本医疗权利。另一方面，从长期来看，输注本品后长期获益可能减少后续的治疗需求，降低总体医疗费用，抵消初始较高的治疗成本，其3年生存率高达92.9%，平均年治疗费用约38万，未来有望获得更长生存甚至达到临床治愈。
弥补目录短板描述	原目录在骨髓瘤患者药品保障方面存在细胞免疫治疗的空白和不足，无法满足部分复杂病情的治疗需求，将本品纳入目录能有效填补此空白。临床试验已证实，本品能为骨髓瘤治疗带来新突破，CR率和MRD阴性率均高于现有标准治疗方案，为3线及以上患者提供希望，满足了临床的实际需求。纳入医保目录可增加患者的用药选择，让更多的骨髓瘤患者得到更优治疗，改善生存质量，是对骨髓瘤患者医疗保障的重要补充和完善。
临床管理难度描述	①本品为固定剂量的一次性输注产品，用药流程清晰明确，临床管理相对简单，滥用风险低，医保经办审核相对容易。②本品为个性化定制药物，拥有严格的系统性风险防控的质量体系，保障了个性化定制药物的专属性。③说明书明确要求医疗机构和医务人员须经过上市许可持有人评估认证和诊疗培训，保障了规范化用药。④临床具有较清晰的指南遵循管理，已形成较为成熟的覆盖治疗前中后的全流程管理体系。