

**协议到期续约:** “不适合移植新诊断和复发及难治多发性骨髓瘤成年患者全线治疗” 和 “新诊断原发性轻链型淀粉样变性(罕见病)”

**新增适应症纳入医保:** “与硼替佐米、来那度胺和地塞米松联合用药治疗适合自体干细胞移植的新诊断多发性骨髓瘤成年患者”

# 达雷妥尤单抗注射液（皮下注射）

西安杨森制药有限公司

全球首个且中国唯一\*获批治疗适合自体干细胞移植的新诊断多发性骨髓瘤创新药品，**填补目录空白**

新增适应症**人群小**，符合**简易续约**路径

# 申报幻灯目录

## 1 药品基本信息 (P1-P2)

- 基本信息
- 临床未满足需求

## 2 有效性优势 (P3-P4)

- 预期中位PFS超17年，患者有望达到生存治愈
- 显著加深并巩固缓解，探索出具备临床意义的安全停药可能

## 3 安全性优势 (P5)

- 新增适应症与目录内适应症安全性特征一致
- 国际权威指南首选推荐

## 4 创新性优势 (P6)

- 唯一CD38单抗皮下剂型，固定剂量3-5分钟注射，首次在MM患者中探索实现安全停药可能，皮下剂型节省医疗资源

## 5 公平性优势 (P7)

- 填补临床空白，弥补医保目录短板
- 固定剂量给药，给药仅需3-5分钟
- 全球上市6年，不良反应安全可控

# 达雷妥尤单抗注射液（皮下注射）拟新增“适合自体干细胞移植的新诊断的多发性骨髓瘤成年患者”适应症

## 申请续约

- 不适合移植新诊断和复发及难治骨髓瘤成年患者全线治疗
- 新诊断原发性轻链型淀粉样变性患者治疗（罕见病）

**申请新增：** 适合自体干细胞移植的新诊断多发性骨髓瘤成年患者

## 基本信息<sup>1,2</sup>

**通用名** 达雷妥尤单抗注射液（皮下注射）

**注册规格** 1800mg (15 ml) /瓶

**是否为独家** 是，无同通用名药品

**给药方式** 固定剂量**1,800 mg**，给药时间约为**3-5分钟**

**专利到期** 适应症专利 2036年

**中国首次上市时间** 2021年9月，原发性轻链型淀粉样变（2.2类）  
2023年5月，多发性骨髓瘤成年患者（3.1类）

### 新增适应症用法用量

首年**24针**，次年及以后**13针**，25周起**每月给药**：

- 诱导期第1-8周，每周一次给药，第9-16周，每2周一次给药；
- **停止给药，进行高剂量化疗和ASCT；**
- 巩固期自第17-24周，每2周一次给药；
- 维持期第25周起，每4周一次给药

## 参照药品

### 建议参照品：

### 达雷妥尤单抗注射液

- ① 医保目录内药品
- ② 相同化合物成分
- ③ 主适应症相同，临床应用最广泛
- ④ 2024年医保谈判参照药

### 现行医保目录的限定支付范围，协议期2025年1月1日-2026年12月31日


1. 联合用药治疗不适合自体干细胞移植的新诊断的多发性骨髓瘤成年患者；
2. 联合用药治疗既往至少接受过一线治疗的多发性骨髓瘤成年患者；
3. 联合用药治疗既往接受过至少一线治疗(包括来那度胺和蛋白酶体抑制剂)的多发性骨髓瘤患者；
4. 单药治疗复发和难治性多发性骨髓瘤成年患者；
5. 新诊断的原发性轻链型淀粉样变患者。


1. 产品说明书  
2. 国际基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录（2025年）

# 中国唯一获批药物治疗适合移植的新诊断骨髓瘤患者，填补临床空白


## 一线治疗对患者生存结局至关重要 本品填补适合移植患者的治疗空白<sup>1,2</sup>


 骨髓瘤是**不可治愈**的血液系统**恶性肿瘤**，恶性程度高，**一线治疗是最好的治疗时机**，**选择正确的一线治疗策略至关重要**

 **一线治疗疗效结果影响患者生存结局**，一线治疗中达到**完全缓解**的患者具有**更优的OS结局**<sup>3</sup>

 适合移植的新诊断骨髓瘤**一线创新疗法长期匮乏**，临床及目录内**无获批药物**用于适合移植的新诊断患者治疗

## 移植前诱导治疗的缓解深度是 患者长期获益的关键

 **自体干细胞移植**是治疗骨髓瘤最有效治疗方法之一，但**高危患者若仅接受移植，疗效仍有限**

 指南表明**治疗缓解深度对预后**有显著影响。美国RWE显示，**移植前接受CD38单抗诱导治疗**，可提升缓解深度，**显著改善PFS**<sup>6</sup>

 临床常用传统**VRd治疗方案**为**超适应症用药**，缓解深度及患者**获益十分有限**

**中国发病率1.15/10万<sup>5</sup>，高发于老年，身体状态差**

**由于高龄患者移植耐受度较差，且大中心移植仓数量有限，选择移植患者比例较低**

1. <https://www.mskcc.org/cancer-care/doctors/saad-Usmani>

2. Saad Z. Usmani. What is the optimal upfront therapy-3 or 4 drugs? 2023 IMS. Rodríguez-Lobato L G, et al. Blood Cancer Journal, 2025, 15(1): 103.

4. 中国多发性骨髓瘤诊治指南（2024版）

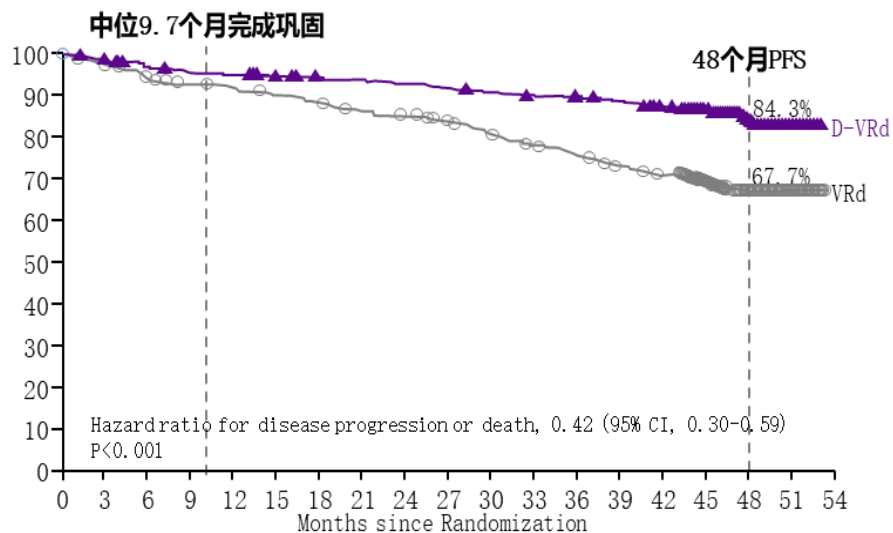
5. Prevalence and Incidence of Multiple Myeloma in Urban Area in China: A National Population-Based Analysis Wang, S., Xu, L., Feng, J., Liu, Y., Liu, L., Wang, J., Liu, J., Huang, X., Gao, P., Lu, J., & Zhan, S. (2020). Frontiers in oncology, 9, 1513. <https://doi.org/10.3389/fonc.2019.01513>

6. Arvind Suresh, et al. 2025 ASH. Poster 2805

全球首个且中国唯一获批治疗适合移植的新诊断骨髓瘤药物。根据全球III期注册试验结果，患者预期中位PFS超17年，是不含达雷妥尤方案PFS的2.4倍，患者有望达到生存治愈

全球首个且中国唯一获批药物，全球III期注册研究结果达雷妥尤单抗方案显著提升患者生存获益

4年PFS率84.3%，显著降低58%患者疾病进展与死亡风险<sup>1</sup>



D-VRd在各临床相关亚组中具有一致PFS获益，包括ISS分期 III 期 (HR 0.42, 95% CI 0.22-0.83) 以及高危细胞遗传学风险 (HR 0.59, 95% CI 0.36-0.99) 患者

重新定义一线治疗的新高度，有望给患者带来与一般人群相同的生存寿命，达到生存治愈

达雷妥尤单抗方案预估中位PFS超过17年，是不含达雷妥尤方案PFS的2.4倍

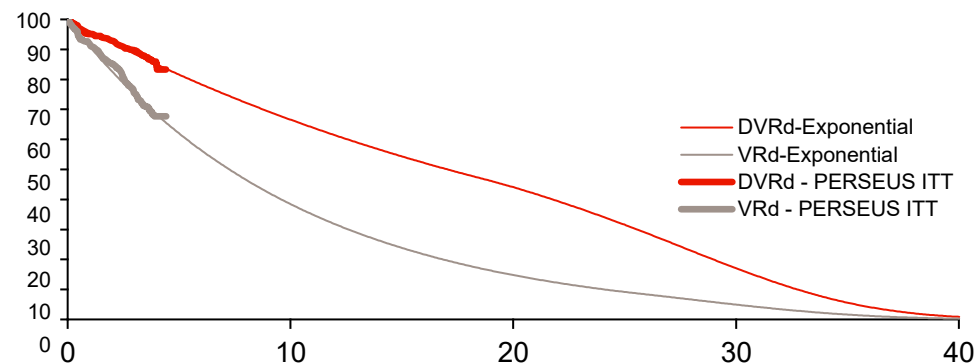
预估中位PFS，所有模型分布的范围：

- DVRd: 158-255个月
- VRd: 76-119个月

最佳拟合预测：DVRd较VRd中位PFS提高2.4倍 (118个月)

- DVRd: 205个月
- VRd: 87个月

2025 EMN最新报道<sup>2</sup>：基于PERSEUS 4年随访数据，通过NICE模型预估



PERSEUS研究是一项多中心注册III期临床研究，从欧洲及澳大利亚的14个国家115个研究中心共纳入709例符合移植条件的NDMM患者，旨在评估达雷妥尤单抗皮下制剂联合VRd在符合移植条件的NDMM患者的疗效和安全性

1. Sonneveld P, et al. Daratumumab, Bortezomib, Lenalidomide, and Dexamethasone for Multiple Myeloma. N Engl J Med. 2024 Jan 25;390(4):301-313.  
2. Presented by P Sonneveld at the 6th European Myeloma Network (EMN) meeting; April 10-12, 2025; Athens, Greece

# 持续提升微小残留 (MRD) 阴性率, 实现深度、持久的疾病控制

根据全球III期注册试验结果, 64.3%患者可实现安全停药、降低患者负担

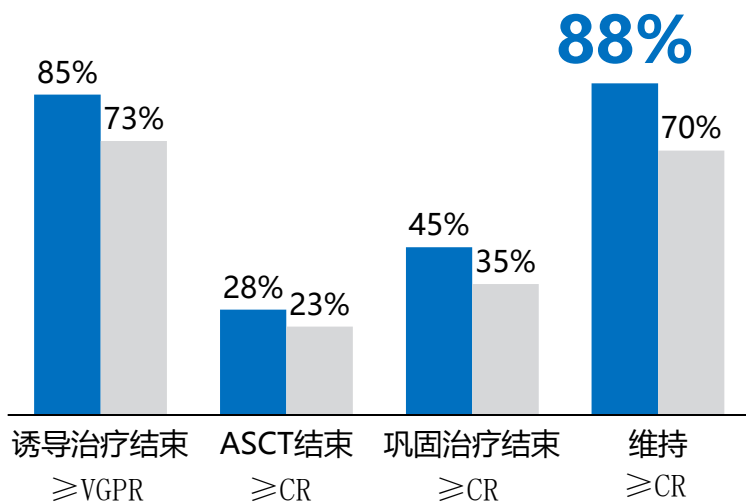
适合移植的新诊断骨髓瘤治疗目标<sup>1-6</sup>



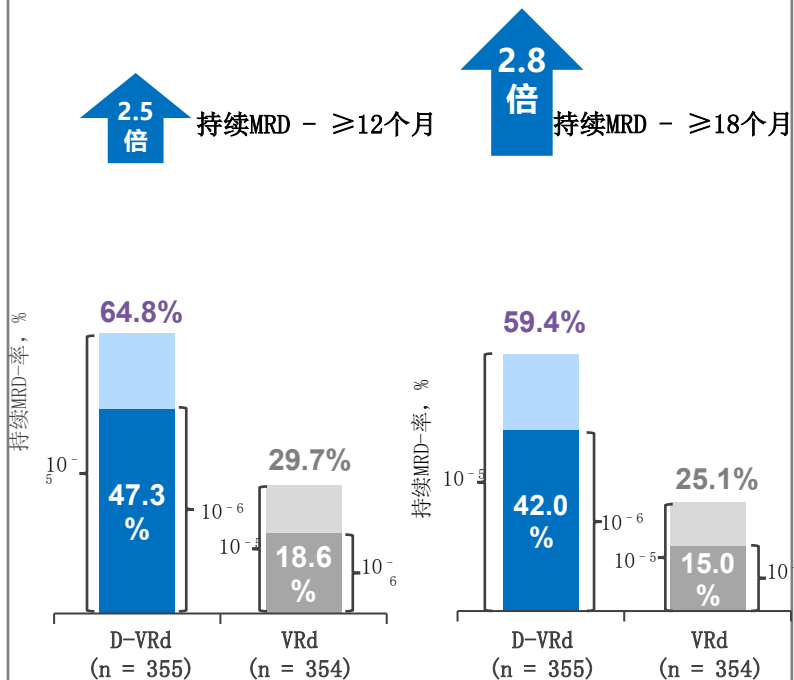
- 深度缓解, 控制症状
- 实现任意时间持续MRD阴性
- 与自然预期寿命相当生存

## 持续深度缓解, 最佳 $\geq$ CR率87.9%<sup>7</sup>

■ 达雷妥尤单抗方案  
■ 对照组



## 实现2.8倍持续 $\geq$ 18个月MRD阴性<sup>7</sup>



## 12月+MRD阴性, 64.3%患者安全停药<sup>7</sup>

D-VRd组进入维持期的患者 (n=322)

中断治疗 (n=62)

- AE (n=23)
- 疾病进展 (n=22)
- 患者拒绝继续进行研究治疗 (n=7)
- 死亡 (n=5)
- 医生决策 (n=4)
- 随访丢失 (n=1)

继续维持治疗 (n=260)

- 停止Dara治疗 (n=207)

D-VRd组322例进入维持期的患者中 207例 (64.3%) 根据方案停止 Dara 治疗【即接受DR维持治疗  $\geq$  24个月并获得  $\geq$  CR且持续MRD阴性( $10^{-5}$ )超过12个月), 患者继续接受R维持治疗

1. Lu SX. Modern treatments and future directions for newly diagnosed multiple myeloma patients. Best Pract Res Clin Haematol. 2020;33(1):101151.  
 2. CACA 多发性骨髓瘤及浆细胞疾病  
 3. Mayo Stratification for Myeloma And Risk-adapted Therapy. Newly Diagnosed Myeloma. 2025. V23.  
 4. Mateos MV, et al. Am Soc Clin Oncol 2022;42: 1-12...

5. Rodriguez-Otero P, et al. Cancer Treat Rev. 2021;100:102284.  
 6. Derman BA, Jakubowiak AJ. Adv Oncol. 2022;2:159-169  
 7. Sonneveld P, et al. N Engl J Med. 2024 Jan 25;390(4): 301-313.

# 新增适应症与目录内适应症安全性特征一致，国际权威指南首选推荐

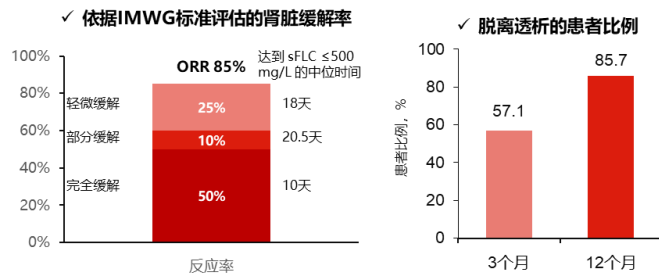
## 全球上市6年安全性良好，新增适应症未观察到新的安全性问题

### 达雷妥尤单抗治疗不影响采干、移植成功率和造血重建率<sup>1</sup>

	D-VRd (N=351)	VRd (N=347)
移植患者造血重建, n (%)		
N	315	302
是	314 (99.7)	300 (99.3)
否	1 (0.3)	2 (0.7)
达到持续的天数ANC $\geq 0.5 \times 10^9/L$		
N	314	300
平均 (SD)	13.5 (5.47)	13.0 (4.88)
中位 (范围)	13 (1-67)	13 (1-38)
无需输注的持续血小板计数 $\geq 20 \times 10^9/L$ 的天数		
N	314	300
平均 (SD)	14.4 (7.79)	13.0 (9.44)
中位 (范围)	14 (1-94)	12 (1-137)
ASCT后造血植入的天数		
N	314	300
平均 (SD)	15.7 (7.68)	14.9 (9.37)
中位 (范围)	14.0 (1-94)	14.0 (1-137)

### 治疗肾损害患者可显著降低血清游离轻链水平，改善肾脏预后<sup>2</sup>

高达一半的新诊断MM患者会出现肾功能损害，其中2-4%的患者需要透析治疗



- 3个月时总体肾脏缓解率85%，其中完全缓解50%、部分缓解10%、轻微缓解25%。
- 入院时需透析的9例患者中，3个月和12个月时分别有57.1%和85.7%脱离透析。

## 国内外权威临床指南均推荐达雷妥尤单抗

中国 2026 浆细胞肿瘤诊疗指南推荐意见 **首选** 方案  
推荐等级 I

NCCN指南 (2026 V5) **首选** 方案  
1类推荐

美国 MAYO指南 (2023) **首选** 方案

欧洲 2025 EHA-EMN 指南推荐意见 **首选** 方案  
推荐等级 I  
证据等级 A

1. Sonneveld P, et al. Daratumumab, Bortezomib, Lenalidomide, and Dexamethasone for Multiple Myeloma. N Engl J Med. 2024 Jan 25;390(4):301-313.  
2. Early daratumumab therapy improves renal outcomes in newly diagnosed patients with myeloma admitted with kidney injury. Blood Adv. 2025 Jul 8;9(13):3129-3135

# 唯一CD38单抗皮下剂型，固定剂量3-5分钟注射，皮下剂型节省医疗资源

First-in-Class

**唯一获批**

- 全球首个且中国唯一获批治疗适合移植新诊断骨髓瘤创新药品，填补临床空白

Best-in-Class

**机制创新**

- 双重作用机制：直接杀死骨髓瘤细胞并激活自身免疫系统，**4年PFS率84.3%**
- 带来生存治愈潜力，适合移植新诊断骨髓瘤患者**预期中位PFS超17年**
- 唯一具有OS获益CD38单抗，TIE NDMM HR 0.67; 95% CI, 0.55-0.82

**应用创新**

- **美国FDA优先审评**
- 在MM患者实现深度、持久疾病控制，首次探索**实现安全停药，降低患者负担**
- **唯一CD38单抗皮下剂型**，固定剂量3-5分钟注射，**节省医疗资源**

# 全球首个且中国唯一获批治疗治疗适合移植的新诊断骨髓瘤药物，填补临床空白，弥补医保目录短板，皮下剂型节省医疗资源

## 弥补目录短板

- ① 全球首个且中国唯一获批治疗适合移植新诊断骨髓瘤创新药品，填补临床空白，弥补医保目录短板

## 符合“保基本”原则

- ① 适应症患者人数少，增量医保基金支出有限
- ② 皮下剂型能有效节省不良反应处理、置管护理及住院相关费用，优化医疗资源与医保基金使用效率

## 临床管理难度

- ① 给药仅需3-5分钟（对比目录内其他CD38+），显著减少医护人员工作及患者椅位占用时间<sup>5</sup>
- ② 按固定剂量给药，无需额外稀释配液，减少给药误差风险和配置负担
- ③ 全球上市6年，不良反应安全可控

## 对公共健康影响

- ① 在高危，虚弱，老年等患者中获益一致

# 达雷妥尤单抗注射液（皮下注射）价值总结

<b>基本信息</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>达雷妥尤单抗注射液（皮下注射）<b>拟新增“适合自体干细胞移植的新诊断的多发性骨髓瘤成年患者”适应症</b></li><li><b>一线治疗对患者生存结局至关重要，目录内尚无获批药物治疗</b>适合移植的新诊断骨髓瘤患者；</li><li><b>移植前诱导治疗的缓解深度</b>是适合移植的新诊断骨髓瘤<b>患者长期获益的关键</b></li></ul>
<b>有效性</b>	<ul style="list-style-type: none"><li><b>全球首个且中国唯一</b>获批治疗治疗适合移植的新诊断骨髓瘤药物，患者<b>预期中位PFS超17年</b>，有望达到生存治愈</li><li>达雷妥尤单抗方案<b>显著加深并巩固缓解</b>，持续提升MRD阴性率，<b>实现深度、持久疾病控制</b>，并探索出具备<b>临床意义的安全停药可能</b></li></ul>
<b>安全性</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>全球上市6年安全性良好，新增适应症未观察到新的安全性问题</li><li>CD38单抗治疗<b>不影响采干、移植成功率和造血重建率</b>，治疗肾损害患者可<b>显著降低血清游离轻链水平</b>，改善肾脏预后</li></ul>
<b>创新性</b>	<ul style="list-style-type: none"><li><b>全球首个且中国唯一</b>获批治疗适合移植新诊断骨髓瘤创新药品，<b>填补临床及目录空白</b></li><li><b>唯一CD38单抗皮下剂型</b></li></ul>
<b>公平性</b>	<ul style="list-style-type: none"><li><b>填补临床空白，弥补医保目录短板</b>，皮下剂型节省医疗资源，医保<b>基金增量有限</b></li></ul>