

原研专利 安全升级

纳基奥仑赛注射液 (商品名：源瑞达®)

- 中国**首个且唯一**获批急性淋巴细胞白血病、淋巴瘤**双适应症**原研CAR-T
- 纳基奥仑赛急性淋巴细胞白血病适应症已纳入**第一批**商保创新药目录
- 只需**一次输注**，长期生存，给患者带来**“治愈”希望**

合源生物科技股份有限公司

中国首个且唯一获批成人B细胞白血病及淋巴瘤双适应症的原研CAR-T



源瑞达®：
从突破性
治疗到全
球化布局

药品通用名称	纳基奥仑赛注射液 (商品名: 源瑞达®)	全球首个上市国家/地区	中国大陆
注册分类	治疗用生物制品1类 (R/R B-ALL) ; 治疗用生物制品2.2类 (R/R LBCL)	中国首次上市时间	2023年11月07日 (R/R B-ALL) ; 2025年11月25日 (R/R LBCL)
规格	成人 R/R B-ALL 适应症: 本品体积约为20mL/袋, 含不低于 0.25×10^8 个CAR-T活细胞。 成人 R/R LBCL 适应症: 本品体积约为 20mL/袋, 含不低于 0.60×10^8 个 CAR-T 活细胞。		
适应症	1. 成人复发或难治性B细胞急性淋巴细胞白血病 (R/R B-ALL) 。 (该适应症已纳入第一批商保创新药目录) 2. 成人复发或难治性大B细胞淋巴瘤 (R/R LBCL)。本品适用于经过二线或以上系统性治疗后成人复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤, 包括: 弥漫大B细胞淋巴瘤非特指型、滤泡性淋巴瘤转化的大B细胞淋巴瘤、原发性纵隔大B细胞淋巴瘤。		
用法用量	仅供自体一次性静脉输注使用, 输注体积根据CAR-T (即CD3+ CAR+ T) 活细胞数及推荐剂量计算。 1. 成人复发或难治性 B 细胞急性淋巴细胞白血病推荐剂量为 0.5×10^8 CAR-T 活细胞, 剂量范围是 $0.25 \times 10^8 \sim 0.5 \times 10^8$ CAR-T 活细胞 (±20% , 即 $0.2 \times 10^8 \sim 0.6 \times 10^8$ CAR-T 活细胞) 。 2. 成人复发或难治性大B细胞淋巴瘤推荐剂量为 2.0×10^8 CAR-T 活细胞, 剂量范围是 $1.6 \times 10^8 \sim 2.4 \times 10^8$ CAR-T活细胞。		

中国R/R LBCL “治愈” 困境亟待破局，纳基奥仑赛为患者带来治愈希望

疾病负担及预后：R/R LBCL是严重威胁生命的血液肿瘤，预后极差

- 淋巴瘤是我国常见的恶性肿瘤，每年新发、死亡各约8.52、4.16万例¹。B细胞非霍奇金淋巴瘤(B-NHL)是最主要的亚型，占85%~90%²。弥漫性大B细胞淋巴瘤(DLBCL)是我国最常见的B-NHL，占54%³。此外，转化的滤泡大B细胞淋巴瘤(TFL)和原发纵隔大B细胞淋巴瘤(PMBCL)也属于侵袭性B细胞淋巴瘤，每年有2%~3%的FL发生组织学转化，转变为侵袭性淋巴瘤⁴；PMBCL占NHL的3.74%⁵。
- **DLBCL** 是一种对大多数患者具有侵袭性但**可治愈**的疾病，对于在一线治疗后无病生存 2 年的患者，其生存率与普通人群相似，其核心治疗目标为实现“临床治愈”⁶。然而，大约 40%-50%的侵袭性 B-NHL 最终会进展为复发/难治性疾病^{7,8}，此类患者中位生存期**仅5.9个月**，预后极差⁹。

治疗瓶颈：传统治疗下，R/R LBCL患者缺乏治愈选择

- 当前，R/R LBCL二线的标准治疗为铂类为基础的挽救化疗序贯自体造血干细胞移植，但仅有约25%~30%的患者进入移植¹⁰。
- 即使成功进行移植，二线 LBCL患者中，仅有约10%可通过大剂量化疗+自体移植实现治愈^{11,12}。对于二线或更后线治疗无缓解以及移植后早期复发的患者，长期疗效远不能满足临床需求。
- 多项研究证实CAR-T具有经长期随访验证的治愈潜力，国内外多部指南推荐为≥ 2线DLBCL治疗优选方案¹³。

临床亟需一种安全性良好、能突破生存瓶颈、实现“临床治愈”的创新疗法

本品价值1：

作为中国**首个且唯一**获批覆盖R/R B-ALL 和R/R LBCL **双适应症**的CAR-T产品，为患者提供了突破性治疗方案

本品价值2：**中国原研，机制独特**，安全性升级，显著长期生存

- ✓ 本品≥3级的CRS、ICANS发生率均**低于同类药物**¹⁴⁻¹⁵
- ✓ R/R LBCL：5年生存期(OS)为**37.5%**¹⁶

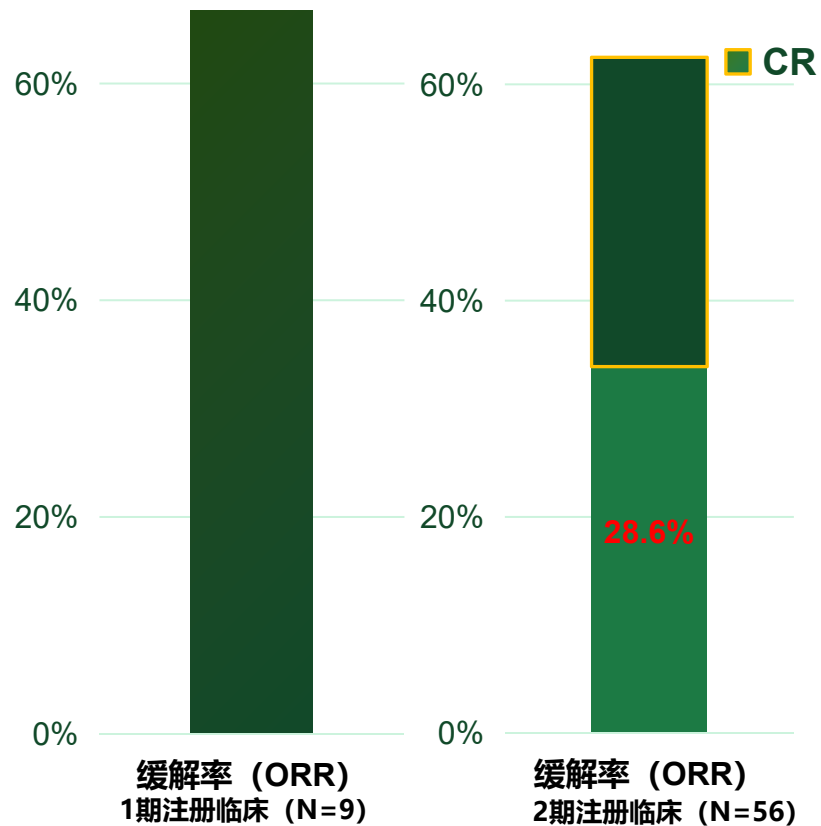
[1]郑荣寿,等.[J].中华肿瘤杂志,2024,46(3):221-231; [2] CD19CAR-T治疗成人B细胞非霍奇金淋巴瘤管理实践专家共识(2025版); [3]李小秋, 诊断学理论与实践,2012,11(2):111-115; [4]卓俊宏,等.[J].白血病·淋巴瘤,2024,33(11): 696-700. [5].原发纵隔大B细胞淋巴瘤诊断与治疗中国专家共识(2024年版). [6]. E. A. Chong, et al.," American Journal of Hematology (2026): 1-32. [7]. Coiffier B, et al, Hematology Am Soc Hematol Educ Program. 2016 Dec 2;2016(1):366-378. [8]. Sehn LH, et al. Blood. 2015 Jan 1;125(1):22-32. [9]. Shuo Wang, et al. Cancer Commun (Lond). 2021 Mar;41(3):229-239. [10]. Sesques P,et al. European Journal of Cancer, 2025; 232.

[11]. Friedberg JW. Hematology Am Soc Hematol Educ Program 2011; 2011:498-505. [12]. Hill BT, et al. Br J Haematol 2011; 152:561-569. [13]. Liu W., et al. Chin Med J(Engl).2025Sep 17. [14]. NCCN Guidelines Version 3.2026. [15]. 纳基奥仑赛说明书. [16]. 阿基仑赛注射液说明书. [16]. Liu W., et al. Chin Med J(Engl).2025Sep 17.

纳基奥仑赛1/2期注册临床研究显示，ORR率均达**62%**以上，CAR-T细胞存续时间长达**24**个月

✓ 1期注册临床：3个月内ORR率为**66.7%**¹

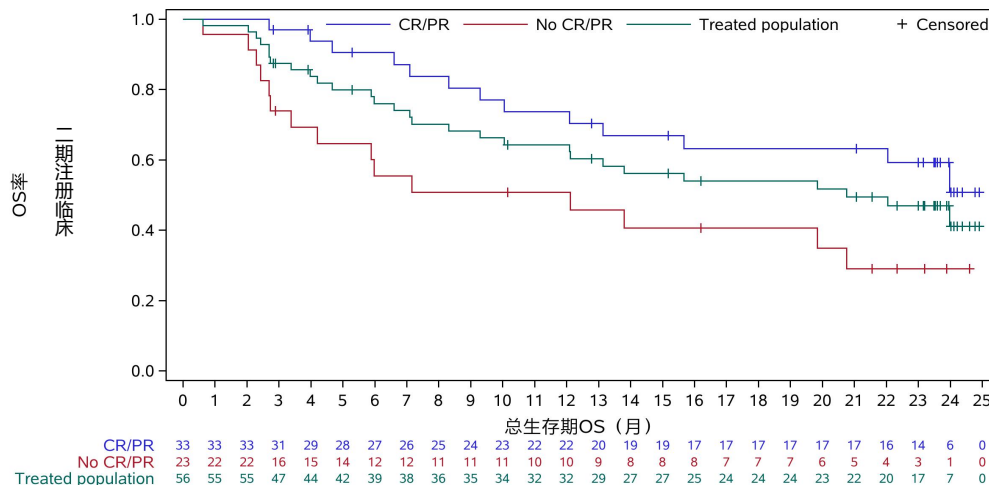
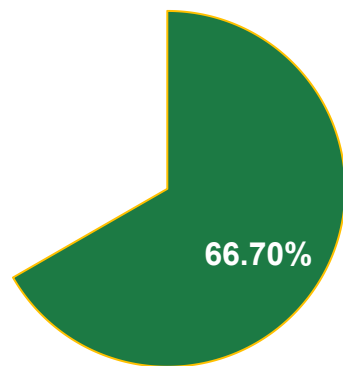
✓ 2期注册临床：3个月内ORR率为**62.5%**，中位DOR **11.04个月**²



ORR: 总体缓解率; ORR=CR(完全缓解)+ PR(部分缓解) DOR: 持续缓解时间; OS: 总生存。
以上疗效终点评估均为IRC (独立评审委员会) 评估。

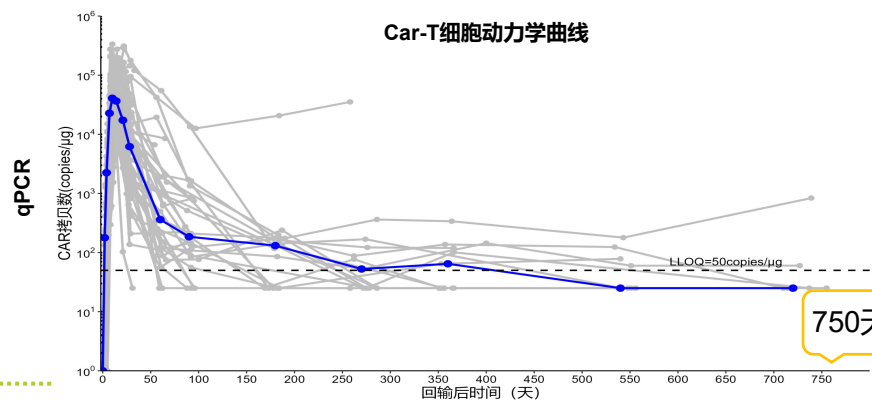
✓ 1期：2年OS率为**66.7%**；2期：中位总生存期 (OS) 为**20.76个月**

2年OS率%



✓ 1/2期：**100%**扩增，部分患者体内CAR-T细胞可**存续24个月**

- 在2年时，3例获得持久CR的患者中2例 (66.7%) 仍可检测到 (1期)
- CAR-T 细胞可在治疗缓解 (CR/PR) 的患者体内长期存续，其中部分患者体内可存续24个月。



纳基奥仑赛 I 期临床试验 (HY001205, N=56) 是一项单臂、多中心、开放、单次治疗试验 (数据截至2024年01月15日)。
关键注册2期数据来源: 纳基奥仑赛说明书。

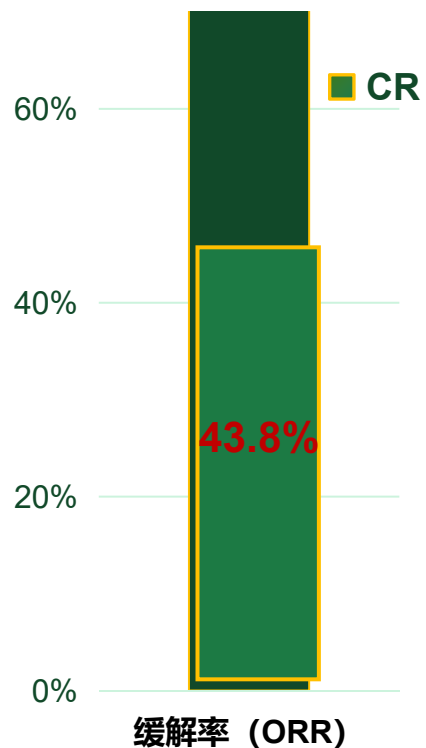
[1]. Wei Liu, et al. EHA 2024, abstract. [2]. 纳基奥仑赛注射液说明书。

5年长期随访研究验证OS率达37.5%，纳基奥仑赛为患者带来“治愈”希望

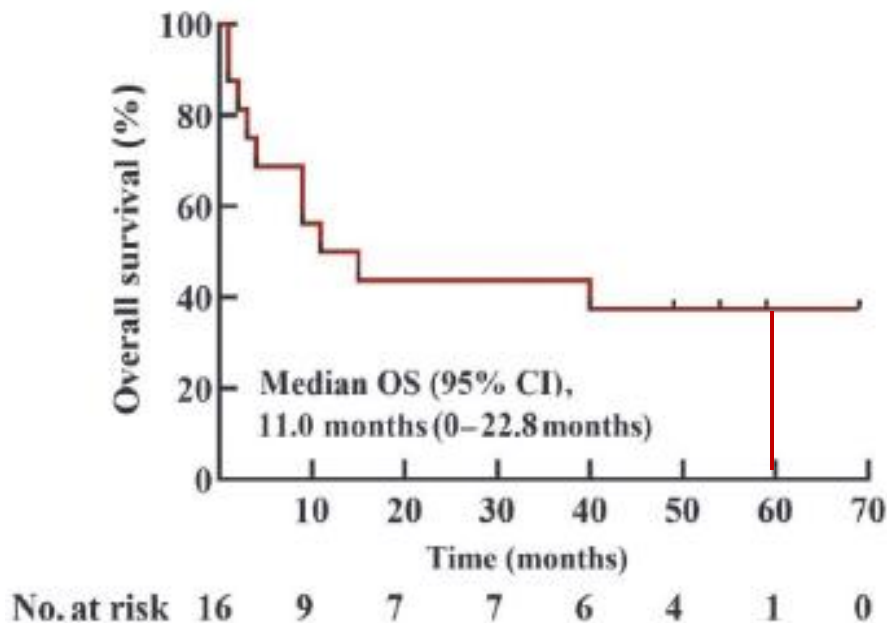
纳基奥仑赛长期随访研究 (IIT) 显示：随访5年OS率 达37.5%， ORR达75%

➢ 3个月内ORR达75%

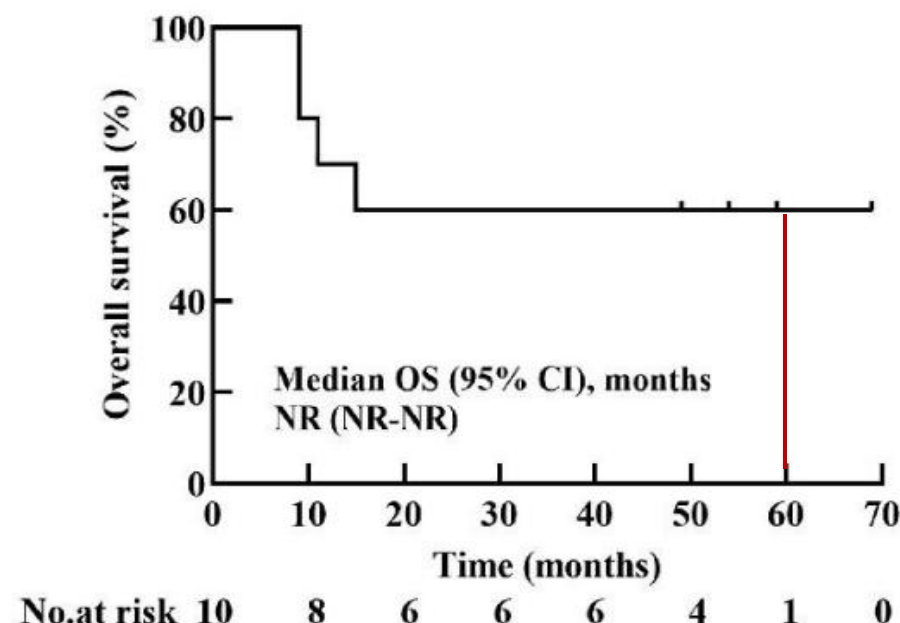
➢ 3个月内 CR 达43.8%



➢ 5年OS率为37.5%;



➢ 3个月时仍持续缓解的患者，估计5年PFS率、OS率分别为为40.0%， 60.0%



✓ 2017年6月至2019年3月共纳入16例R/R CD19阳性侵袭性B细胞淋巴瘤患者，中位随访54个月，其中41.7% TP53缺失和/或突变。

CAR-T为≥ 2线R/R LBCL “治愈” 治疗的首选方案，纳基奥仑赛获国内权威指南/共识高等级推荐

国内权威指南/共识推荐纳基奥仑赛注射液/CD 19 CAR-T 治疗成人R/R LBCL



CSCO淋巴瘤诊疗指南 (2026)

- ✓ 对于初次以及≥2 次复发/进展LBCL患者，**无论是否适合移植**，CAR-T细胞疗法均为**II级 (2A类) 推荐**（其中初次复发/进展，符合移植条件者为**1A类**）。
- ✓ 指南【注释】部分**明确列举了纳基奥仑赛**。



CD19 CAR-T治疗成人B细胞非霍奇金淋巴瘤管理实践专家共识 (2025)

- ✓ CD19 CAR-T治疗适应证：**12个月内**复发/既往接受**二线或以上**系统性治疗后**复发或难治性大B细胞淋巴瘤成人患者**（包括弥漫大B细胞淋巴瘤-非特指型、原发纵隔大B细胞淋巴瘤、和滤泡性淋巴瘤转化的弥漫大B细胞淋巴瘤）。

[1]. CSCO淋巴瘤诊疗指南 (2026)
[2]. CD19 CAR-T治疗成人B细胞非霍奇金淋巴瘤管理实践专家共识 (2025)

NCCN指南推荐CAR-T为≥ 2线R/R LBCL “治愈” 治疗的首选方案

二线治疗

原发难治/早期复发 (<12个月)

★ **首选CAR-T细胞**

晚期复发 (>12个月)

首选挽救性化疗+自体移植

★ **不适合移植，优选CAR-T治疗**

≥三线治疗

适合CAR-T

★ **首选CAR-T细胞**

不适合CAR-T

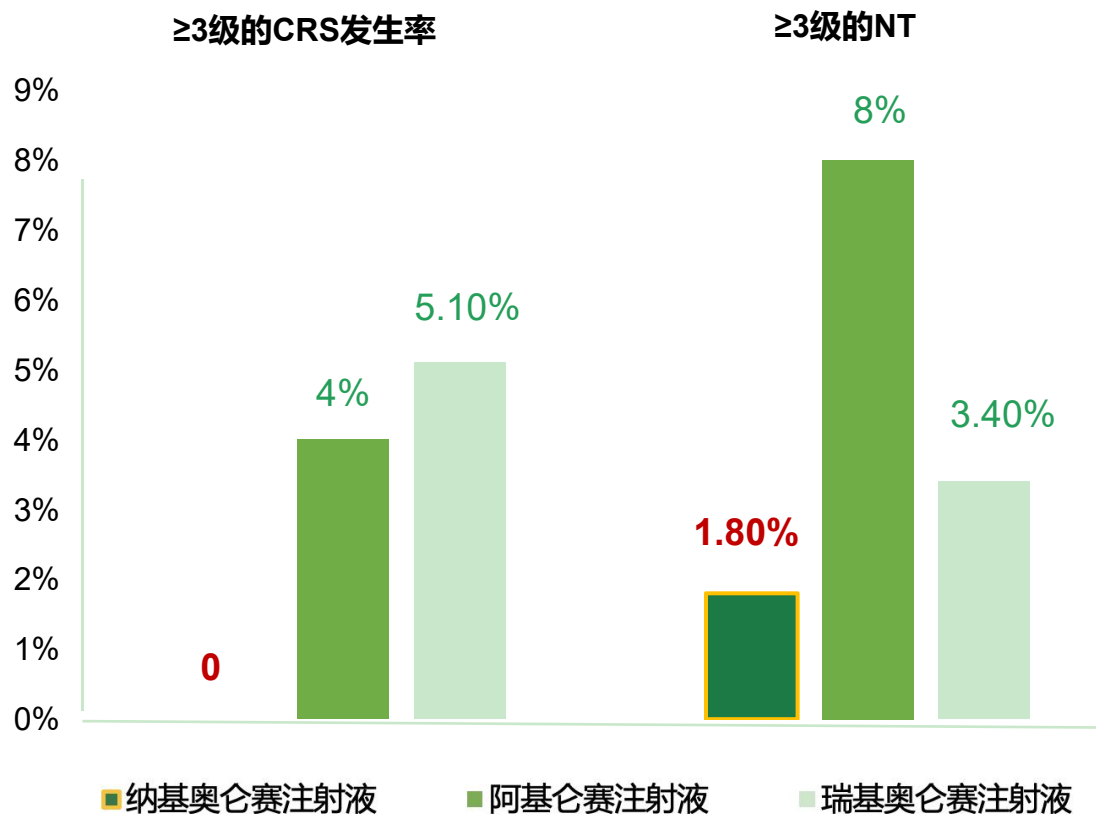
其他治疗（双特异性抗体、ADC等）

CAR-T疗法已成国内外公认早期复发/难治LBCL患者“治愈”新标准

[1]. NCCN Guidelines Version 3.2026.

纳基奥仑赛**安全性更优**， ≥ 3 级的CRS、NT、长期血细胞减少、感染发生率，**均低于国内同类产品**

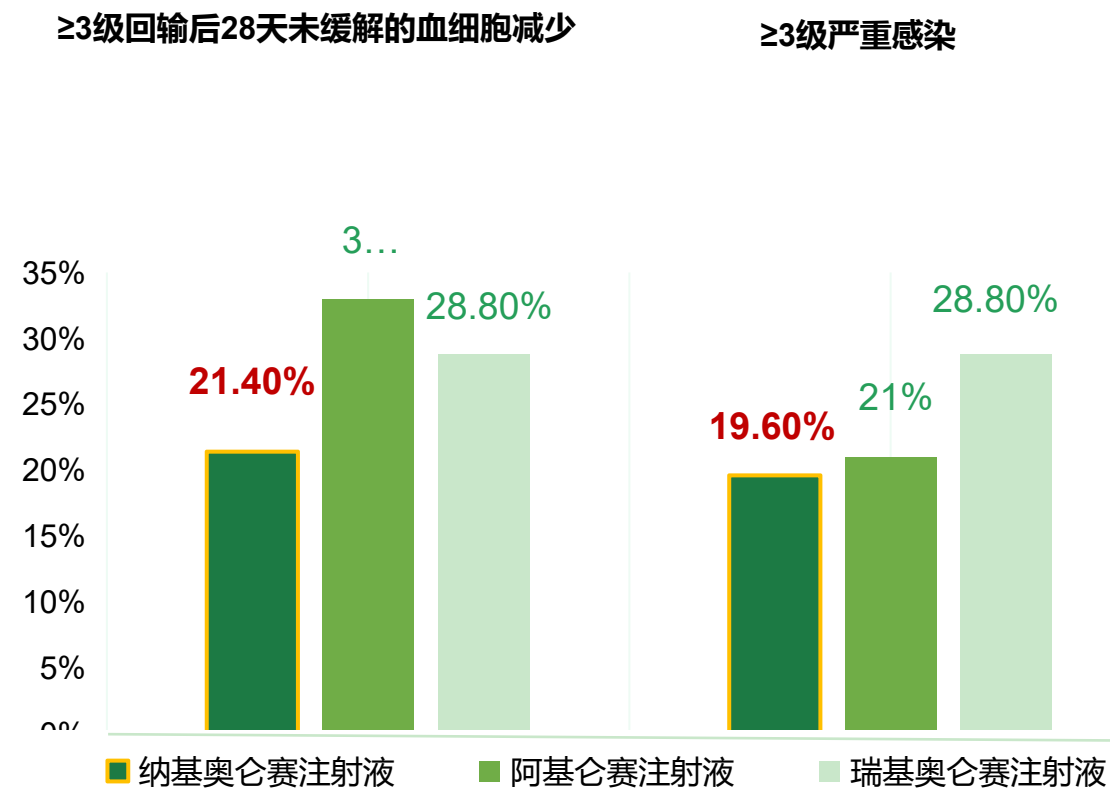
- ✓ ≥ 3 级的CRS：降低了4%-5.1%；
- ✓ ≥ 3 级NT：降低了1.6%-6.2%



CRS: 细胞因子释放综合症 NT: 免疫效应细胞相关神经毒性综合征

[1]. 纳基奥仑赛说明书. [2]. 瑞基奥仑赛注射液说明书. [3]. 阿基仑赛注射液说明书

- ✓ ≥ 3 级长期未缓解血细胞减少：降低了7.4%-11.6%；
- ✓ ≥ 3 级感染：降低了1.4%-9.2%



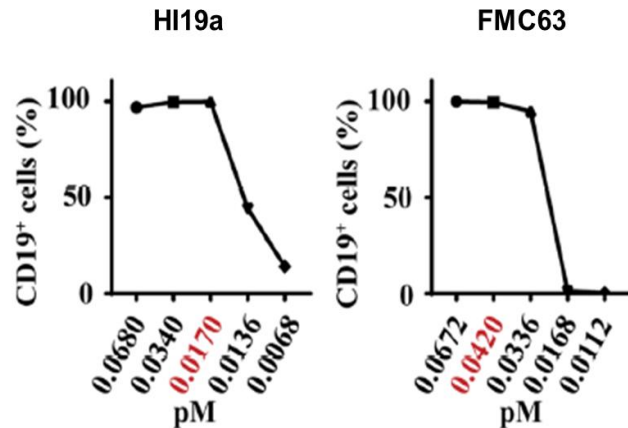
独家专利弹头，具备高特异性、亲和力，工艺先进，获得国内外多地区“优先审评资格”

原研创新

独家专利 **HI19a¹弹头**，精准识别靶向特定细胞，具备**高特异性、亲和力**

与抗体FMC63相比，HI19a抗体更具亲和力

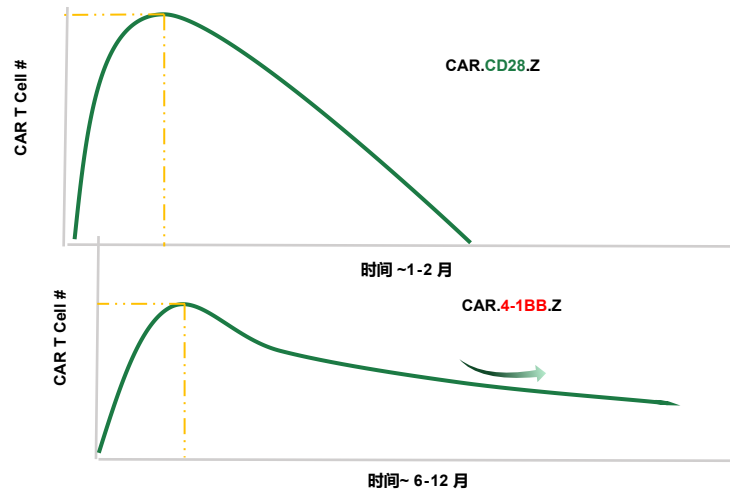
HI19a的最小结合浓度仅是FMC63的~40%



共刺激域结构

4-1BB共刺激结构域持续免疫监视和维持抗肿瘤作用，系统性攻击杀灭肿瘤细胞

- 使用**4-1BB**为胞内区共刺激结构域，增强T细胞的免疫杀伤功能及CAR-T细胞治疗的持续时间
- 有别于CD28为共刺激域的CAR-T产品，**可降低CRS和ICANS的严重程度**，同时维持**长期的抗肿瘤作用²**



优先审评审批

国际领先制备工艺

- 从单采到回输19-24天
- B-ALL2期临床试验，细胞制备成功率达**100%**
- 四质粒包装系统，**无血清细胞培养体系**
- 全封闭自动化细胞制备工艺

获得国际权威认可

- 被CDE纳入**“突破性治疗”**和**“优先审评”**程序
- 第一批**商保创新药目录药品**
- 获美国**FDA“孤儿药”**资格
- 获沙特药监局**“优先审评”**和**“突破性治疗药物”**资格

纳基奥仑赛：一次输注，实现潜在“临床治愈”，满足多层次保障需求

满足多层次医疗保障



- **分流医保压力**：减轻医保统筹基金**负担**，降低患者大额治疗支出。
- **提升用药可及**：覆盖医保**未充分**保障群体，扩大CAR-T治疗受益患者范围。
- **赋能产业创新**：稳定药品市场需求，积累真实世界数据反哺医保评估，持续推动**细胞治疗创新**研发。

弥补目录短板



- **打破患者自费困境**：终结两类复发难治血液肿瘤CAR-T疗法完全自费的局面。
- **优化临床用药结构**：推动血液肿瘤治疗从传统化疗升级为**先进细胞免疫治疗**。

对公共健康的影响



- **大幅提升治疗可及性**：打破**CAR-T 高价壁垒**，让两类难治血液肿瘤患者用得起治愈性疗法。
- **临床获益极高**：**5年OS率高达37.5%**，单次输注实现长期生存，显著降低死亡与疾病进展风险。
- **降低社会医疗负担**：单次输注，降低反复住院等医疗消耗，**减轻患者家庭与公共医疗压力**

可预见的治愈



- **诊疗规范**：纳基奥仑赛**治疗目标明确**，临床使用方法和确切疗效已得到众多研究和指南共识支持
- **给药方式简单**：**一次输注**实现潜在临床治愈，帮助患者回归正常生活，社会获益显著
- **规范临床合理用药**：**报销指征清晰，用法用量明确**不易超适应症滥用。

[1]. Michael Crump, et al. Blood . 2017 Oct 19;130(16):1800-1808.

[2]. Liu W, et al. Chin Med J (Engl). 2025 Sep 17