

通用名：普基奥仑赛注射液

商品名：普利得凯®

中国唯一且首个获批儿童及青少年白血病CAR-T产品
革新 r/r B-ALL 治疗手段，守护患儿生育潜能

2026年商保创新药目录外药品报送材料



重庆精准生物技术有限公司

- 01** | **药品基本信息** | 中国首个且唯一获批的用于治疗儿童及青少年急性B淋巴细胞白血病的CAR-T一类新药，无可选参照药，**建议纳入“突破”象限**
- 02** | **创新性** | 独创scFV**人源化**单链抗体结构及自研CAR-T细胞制备工艺，提升产品疗效和安全性
- 03** | **有效性** | 普基奥仑赛革新r/r B-ALL 治疗手段，**兼具治愈性及生育力保护**，提升长期生活质量
- 04** | **安全性** | 普基奥仑赛安全性总体可控，**重度毒性反应发生率低**，已建立完善的多渠道不良反应监测体系
- 05** | **公平性** | 普基奥仑赛有效填补临床空白，为难治/复发 B-ALL领域儿童及青少年患者提供 **“中国方案”**
- 06** | **适保性** | 普基奥仑赛临床疗效优异、赔付成本可控，**具有极高的商业保险准入价值**



中国首个且唯一获批的用于治疗儿童及青少年急性B淋巴细胞白血病的CAR-T产品，当前医保目录内缺乏治愈性药品，无可选参照药

药品通用名	普基奥仑赛注射液 Puzolcabtogene Autoleucel Injection	商品名称	普利得凯®
药品批准文号	国药准字S20250058 国药准字S20250059	产品规格*	本品体积约为50ml/袋 本品体积约为22ml/袋
注册分类	治疗用生物制品1类	适应症	本品用于治疗3~21岁CD19阳性的难治或复发（首次缓解12个月后复发需经挽救化疗）的急性B淋巴细胞白血病患者
主要成分	普基奥仑赛，为表达CD19嵌合抗原受体（CAR）的自体T细胞悬液		
用法用量	仅供自体一次性使用，仅供静脉输注使用，推荐剂量为 $3.80 \times 10^5 \sim 1.02 \times 10^6$ 个活的抗CD19 CAR-T细胞/kg体重，每个患者输注的总活的抗CD19 CAR-T细胞上限不超过 1.02×10^8		
全球首个上市国家/地区	中国大陆	中国大陆上市日期	2025年11月4日
同类产品及参照药	经医保局参照药预沟通论证，普基奥仑赛为空白对照，目录内无同机制参照药		
创新药加快上市注册程序	2023年11月纳入 突破性疗法 ；2024年8月纳入 优先审评审批 ；2025年11月获批上市		

普基奥仑赛是该疾病领域的“突破性疗法”创新药物，填补临床空白，建议纳入“突破”象限

*两个规格目标剂量均 $3.80 \times 10^5 \sim 1.02 \times 10^6$ 个活的抗CD19 CAR-T细胞/kg体重，每个患者输注的总的抗CD19 CAR-T细胞上限不超过 1.02×10^8
针对儿童患者体重范围浮动跨度较大（约10~100kg），根据患者体重限定剂量，控制高剂量细胞扩增对不同体重儿童带来的毒性风险并解决常规反应器因需要较高起始T细胞导致生产失败的问题

普基奥仑赛革新r/r B-ALL 治疗手段：兼具治愈性及生育力保护，提升长期生活质量

疾病特征

发病率低
我国儿童及青少年B细胞急性淋巴细胞白血病 (B-ALL) 发病率1.92/10万^[1]

容易复发
儿童及青少年B-ALL难治比例20%^[2]；复发15.3%^[2]，预估3-21岁^[3]难治/复发患儿~5200人

预后极差
传统挽救化疗的有效率仅20~30%，中位生存期仅2~4个月^[4]，异基因移植后复发的患者5年OS仅20%，中位OS仅7.4个月^[5]

未被满足的临床需求

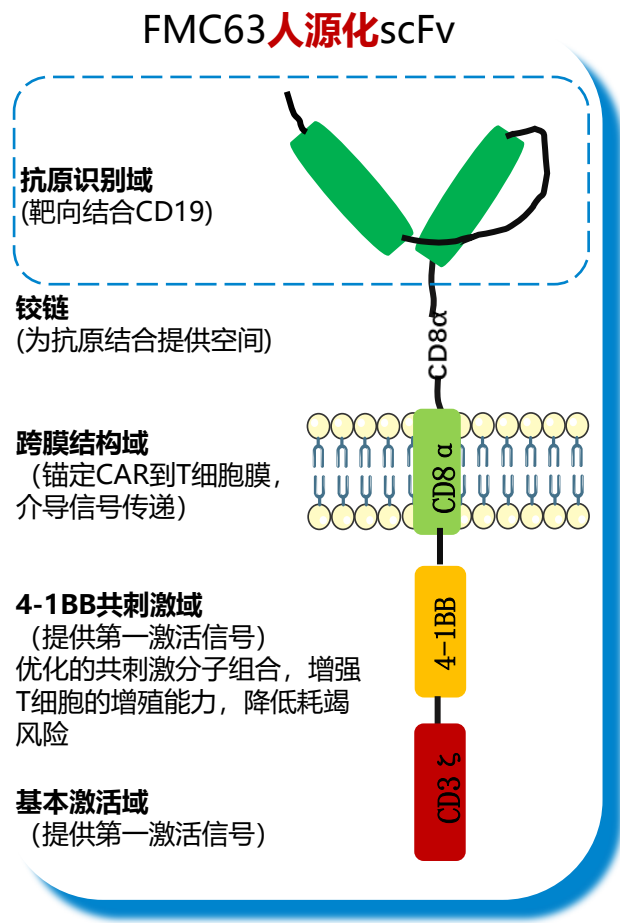
- **现有治疗方案缺乏长期有效方案，急需有更好的治疗手段或创新药出现**
传统挽救化疗、免疫疗法（如CD19或CD22单抗）等在内的治疗手段缓解率有限，5年无疾病生存（DFS）率约为**17%~27%**^[6-7]。即使桥接异基因移植，仍有约**1/3**患儿在移植后复发，且围移植期死亡率高达10%~20%^[8]
- **异基因移植带来生育力损伤，大部分患儿成年后无法生育**
儿童和青少年接受异基因造血干细胞移植的总不孕不育率高达75%，其中女性不孕率83%，男性不孕率69%^[10]
- **提高家庭生活质量，家长早日回归正常工作，患儿按期完成学业**
挽救化疗：需长期注射，单次注射均会产生不良反应，家长持续陪同，无法正常工作
异基因移植：移植后长期服用免疫抑制剂及激素药物^[10]，影响生活质量

普基奥仑赛注射液

- ✔ **强效缓解**
3个月内最佳客观缓解率（BOR）**97.6%**
完全缓解率（BCR）**84.5%**
- ✔ **深度、持久缓解**
骨髓微小残留病灶(MRD)阴性率高达**98.8%**，中位随访24.4个月，**中位OS 27.2个月**
- ✔ **一次性输注，长期获益**
极大缩短治疗周期，长效缓解
保护患者生育力

[1] 《国家儿童肿瘤监测年报 (2022)》
 [2] 中华医学杂志 2024 年 7 月 16 日第 104 卷第 27 期 Natl Med J China, July 16, 2024, Vol. 104, No. 27
 [3] 国家统计局第七次人口普查
 [4] Cheng Y, Liu A. Front Immunol. 2025;16:1611701.
 [5] Crotta A, et al. Curr Med Res Opin. 2018;34(3):435-440.
 [6] J Clin Oncol. 2016 Dec 20;34(36):4381-4389.
 [7] Lancet Oncol. 2001 Oct;2(10):597-607.
 [8] 高思雨 等. 异基因造血干细胞移植后短期内死亡的危险因素分析. 中国组织工程研究. 2024;28(13):2009-2016.
 [9] Bone Marrow Transplantation volume 47, pages271-276 (2012)
 [10] Chin J Hematol, October 2022, Vol. 43, No. 10

独创scFV人源化单链抗体结构，降低抗药抗体发生率，提升CAR-T体内存续时间，进而提升疗效和安全性



独创scFV人源化单链抗体结构，可有效降低免疫原性，提升结构稳定性

CAR-T细胞体内扩增良好 中位达峰时间为11天

CAR-T细胞体内持续时间长，部分患者超过300天

人源化抗体设计，显著降低抗药抗体 (ADA) 产生的风险

- 同适应症内相较鼠源的Tisa-cel，普基奥仑赛显示出现治疗相关的抗药抗体概率更低：8.47% (普基奥仑赛) vs. 42% (Tisa-cel) [1-2]

人源化抗体结构临床显示出优异的疗效和安全性

CAR-T产品	Puzo-cel 普基奥仑赛 (N=84) 3-21岁	Tisa-cel (ELIANA) [1-2] (N=79) <25岁
疗效		
bORR, %	97.6	82
M3 ORR, %	75.0	82
bCR, %	84.5	/
MRD阴性, %	98.8	/
中位OS, 月	27.2	NR(mFU 38.8m)
安全性		
≥3级CRS, %	27.0	49
≥3级CRS中位持续时长 (天)	10	9
≥3级ICANS, %	39.3	18
≥3级ICANS中位持续时长 (天)	5	/
感染 (≥3级), %	39.3 (20.0)	59 (27)
SAE发生率	39.3	75

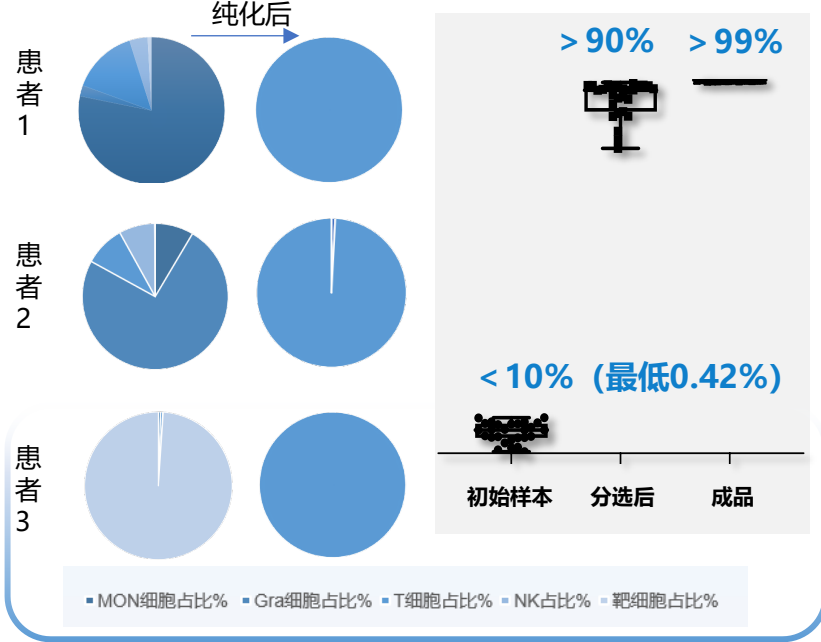
[1] Front Immunol. 2025 Feb 21;16:1512494. doi: 10.3389/fimmu.2025.1512494.
 [2] Blood Adv. 2021 Dec 14;5(23):4980-4991. doi: 10.1182/bloodadvances.2020003844.

采用公司自研的CAR-T细胞制备工艺，通过更高效的分选纯化、生产富集，有效提升患者的长期生存获益与临床疗效

高纯度 T 细胞纯化工艺

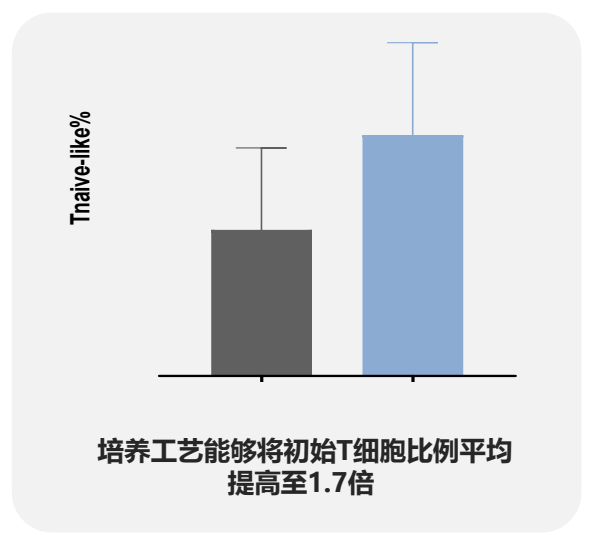
不同来源单采物存在较大的差异，经工艺控制，可显著缩小批间差异，确保最终产品的高度一致性

- 起始原料异质性差，瘤荷最高96%，起始CD3+T细胞比例最低为0.42%
- 起始CD3+%在10%以下的患者样本T细胞纯度提高至90%以上



高强度 T 细胞富集工艺

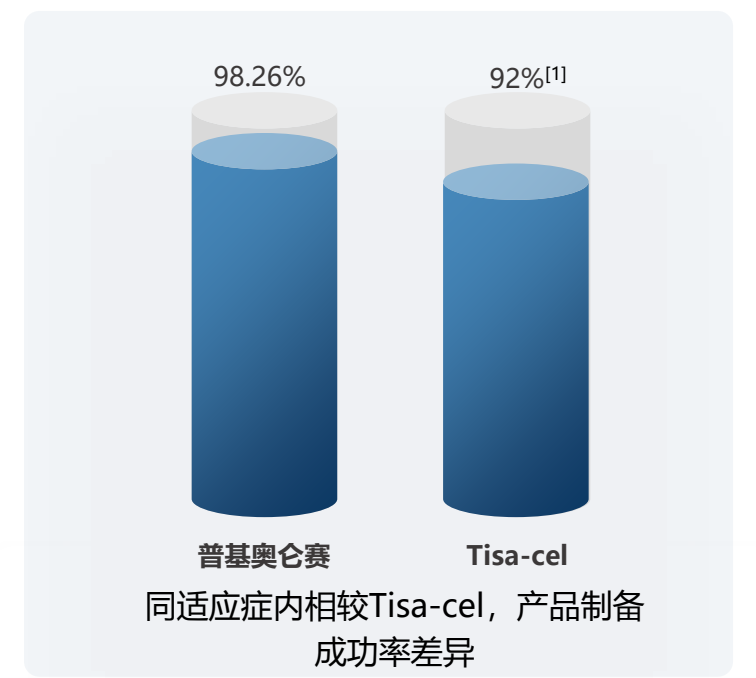
富集记忆细胞亚群的培养工艺，显著提高终产品中初始T细胞比例，助力体内存续持久性



- 纳米磁珠富集，防止细胞体外过度激活，保持干性
- 定向提高干细胞样记忆 T 细胞 (Tscm) 比例，使终产品同时兼具干性表型和记忆表型的特征，延长CAR-T细胞在体内的存续时间

高标准全流程质控，生产成功率98%

确证性临床研究共106批次数据 生产成功率高达98%



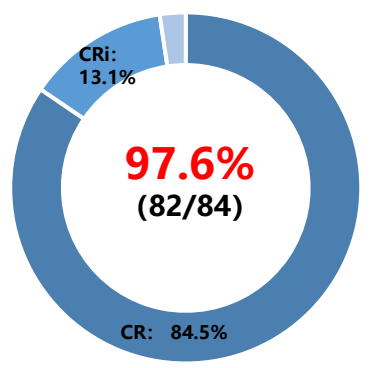
临床研究中，有瘤荷高达96%的样本被成功制备

[1] Maude SL, Laetsch TW, Buechner J, et al. Tisagenlecleucel in children and young adults with B-cell lymphoblastic leukemia. N Engl J Med. 2018;378(5):439-448.

普基奥仑赛实现快速缓解、深度缓解和长期生存获益，高危患者同样获益

3个月内BOR 97.6%

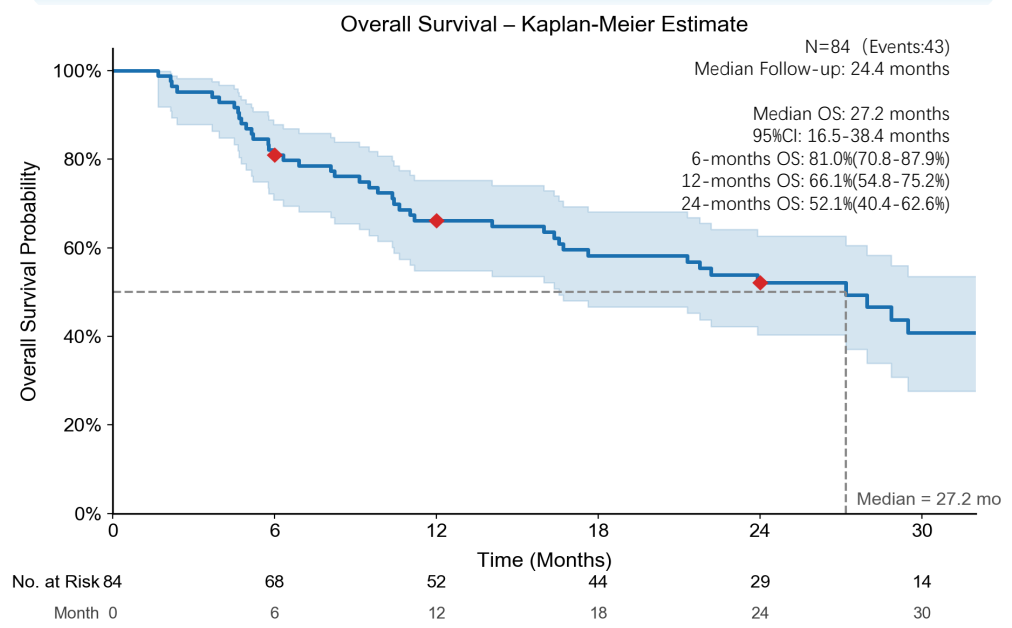
3个月内最佳客观缓解率



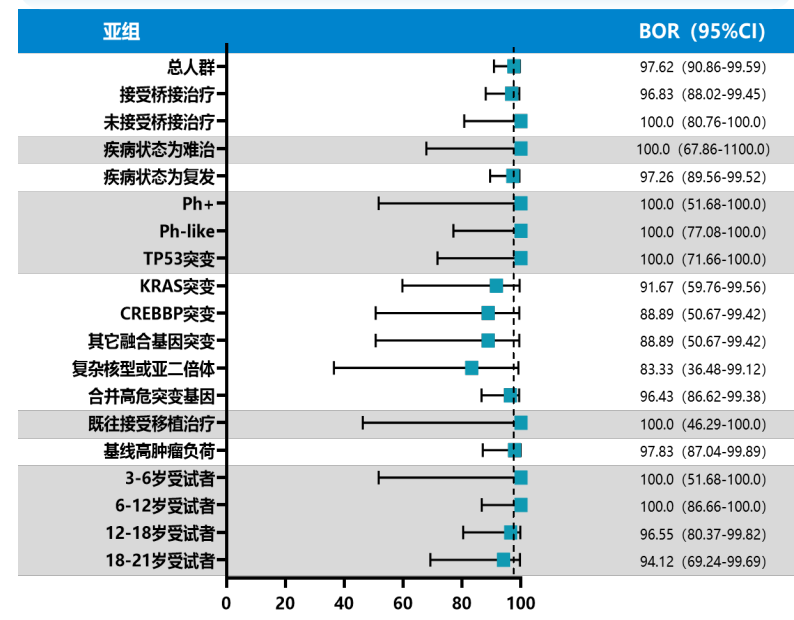
3个月内完全缓解BCR: 84.5%

MRD阴性率: 98.8%

超过一半患者实现2年以上生存



高危患者同样获益



- 84例可评估患者中: ORR 97.6% MRD阴性率: 98.8% 中位OS 27.2个月 24个月OS率52.1%
- 67.4%的患者携带与B-ALL不良预后相关的高危基因异常，亚组分析显示，普基奥仑赛在该预后不良人群中仍保持较高缓解率

*高危基因包括: Ph+/ph-like,IKZF1基因缺失或突变,TP53突变,KRAS突变,CREBBP突变,KMT2A-AFF1TCF3-PBX1

对比传统化疗、双抗及ADC类药物，普基奥仑赛疗效具有显著优势

	挽救化疗 ^[1]	贝林妥欧 (N=70, <18岁) ^[2]	奥加伊妥珠 (N=48, 1-21岁) ^[3]	普基奥仑赛 (N=84, 3-21岁)
CR率	20%-30%	39%	39.6%	84.5%
MRD阴性率	/	52%	66.7%	98.8%
中位DOR (月)	/	/	/	19.5
24个月OS率	/	/	36%	52.1%
中位OS (月)	2-4	7.5	/	27.2



CSCO2026年指南推荐

- Ph- ALL B-ALL分层 普基奥仑赛I级推荐
- Ph+ ALL B-ALL分层 普基奥仑赛I级推荐

[1] Cheng Y, Liu A. Front Immunol. 2025;16:1611701.

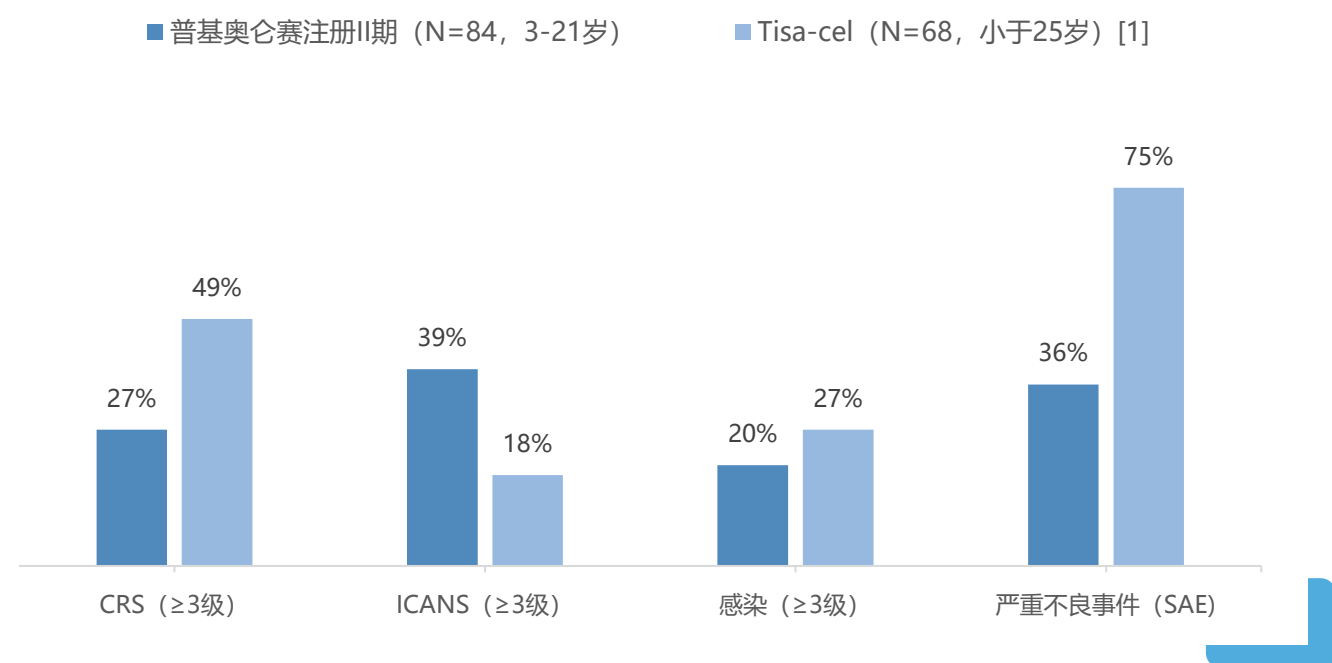
[2] Stackelberg AV, et al. J Clin Oncol. 2016;34(36):4381-4389.

[3] O'Brien MM, et al. J Clin Oncol. 2022;40(9):956-967.

普基奥仑赛安全性总体可控，重度毒性反应发生率低

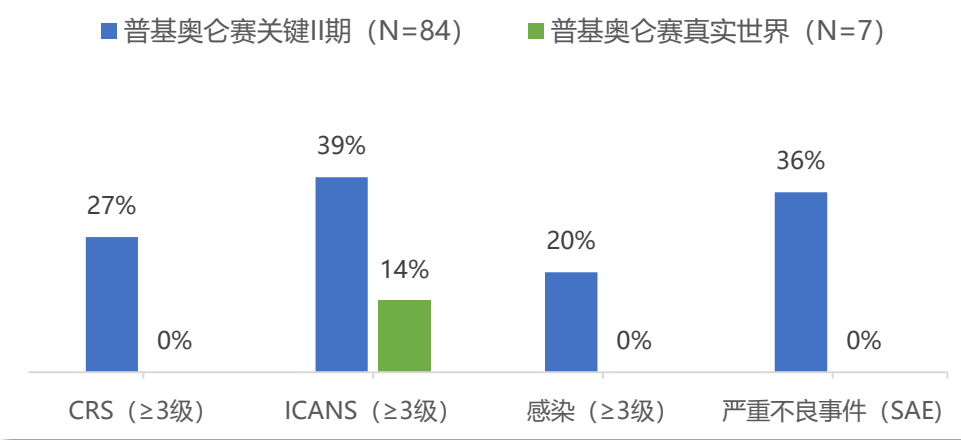
普基奥仑赛已建立完善的多渠道不良反应监测体系，系统开展上市后安全性追踪评价

- ≥3级CRS发生率27%，明显低于国际同类产品
- 严重不良事件 (SAE) 发生率36%，明显低于国际同类产品



上市后真实世界安全性数据

- ✓ CRS发生率42.9%，**无≥G3 CRS**
- ✓ ICANS发生率42.9%，≥G3 ICANS**降至14.3%**
- ✓ 无重度感染发生
- ✓ 无严重不良反应发生



[1] Maude SL, et al. N Engl J Med 2018;378:439-48.

普基奥仑赛有效填补临床空白，助力健康中国，建议纳入“突破”象限

弥补目录短板

01

- 中国首个且唯一获批的用于治疗儿童及青少年急性B淋巴细胞白血病的CAR-T产品，目录内无同机制药物
- 现有难治/复发 B-ALL治疗手段治疗周期长、有局限性，且无治愈临床愈性药物，亟需更优治疗方案，提升患儿长期生活质量

保障患儿生育权利

02

- 相比异基因移植对患儿生育的损伤，普基奥仑赛兼具治愈性及生育力保护，保障每个患儿未来生活中拥有完整生命体验权利

提供“中国方案”

03

- 重庆精准生物拥有自主设计FMC63人源化scFv单链结构、全链条核心生产平台，以硬核创新打破国外技术垄断（全球仅诺华获批同适应症），为儿童及青少年难治/复发白血病患者提供“中国方案”，临床获益显著

降低临床管理难度

04

- 普基奥仑赛注射液供自体一次性输注使用，适应症范围明确，无临床滥用风险
- 产品须在经上市许可持有人评估和认证的医疗机构内进行使用，保证用药规范。目前已有68家医疗机构获得认证



建议评级为“突破”

普基奥仑赛为首个儿童及青少年难治/复发B-ALL CAR-T产品，具有极高的商业保险准入价值

临床疗效优异

- 针对复发/难治B-ALL，3个月内最佳客观缓解率高达 97.6%，最佳完全缓解率高达 84.5%，3个月内MRD阴性缓解率高达98.8%
- 3-12岁儿童获益更明显，最佳客观缓解率高达 100%

民生热点便于宣传

- 儿童白血病在普通人群中知晓度较高，便于保司针对性宣传，提高参保率

国内首个且唯一获
批治疗儿童B-ALL
的CAR-T产品
普基奥仑赛注射液

显著提升生活质量

- **减少治疗周期：**一次性输注，避免反复化疗对患儿身体、学业的影响，家长因长期照护对工作的影响
- **生育率保护：**避免异基因移植使得患儿生育率的丧失^[1]
- **减少长期服药：**避免移植后长期服用免疫抑制剂及激素药物^[2]

赔付成本可控

- 儿童白血病虽知晓度较高，但发病率低，对保险赔付成本影响较低。
- 普基奥仑赛具有高治愈率且为一次性疗法，可减少其他治疗费用支出

[1] Bone Marrow Transplantation volume 47, pages271-276 (2012)

[2] Chin J Hematol, October 2022, Vol. 43, No. 10