

sanofi

卡拉西珠单抗注射液 (可倍力)

全球唯一靶向治疗免疫介导的血栓性血小板减少性紫癜 (iTTP) 的纳米抗体药物
降死亡、快恢复、节资源

赛诺菲 (中国) 投资有限公司上海分公司

唯一指截至2026年5月

[MAT-CN-2603339 批准日期:2026年6月] 本编号仅作为赛诺菲对本文所涉及的公司相关药物所属治疗领域科学和临床数据来源真实性的确认, 不作为赛诺菲对本文全部内容准确性、时效性和完整性的确认和保证; 本文章仅供医疗卫生专业人士阅读, 所含信息不应代替医疗卫生专业人士提供的医疗建议, 也不建议医疗卫生专业人士超出说明书范围使用所涉及的药物。材料仅用于2026年NRDL使用, 未经许可禁止进一步转发和传播

目录

基本信息

- **全球唯一**获批免疫介导的血栓性血小板减少性紫癜 (iTTP) 适应症的药物
- 参照药：无

创新性

- 全球唯一靶向血管性血友病因子 (vWF) 的纳米抗体药物，快速抑制微血栓形成，显著降低死亡

有效性

- **降死亡**：研究显示卡拉西珠单抗治疗期间，**无iTTP相关死亡事件发生**
- **快恢复**：显著提升血小板计数正常化速率1.55倍，加速重要器官功能正常化，患者100%快速应答

安全性

- 临床试验和真实世界研究均证实卡拉西珠单抗整体安全性良好

公平性

- 救命救急药品，填补 iTTP 靶向治疗空白
- 有可监测指标规范临床用药，易于临床和医保管理

卡拉西珠单抗填补我国免疫介导的血栓性血小板减少性紫癜 (iTTP) 靶向治疗空白

通用名	注射用卡拉西珠单抗 ¹		
注册规格	10mg/瓶	注册分类	治疗用生物制品3.1类
适应症	本品适用于与血浆置换和免疫抑制疗法联合治疗获得性血栓性血小板减少性紫癜 (aTTP) (也称为 免疫介导的血栓性血小板减少性紫癜 (iTTP)) 的成人和12岁及以上体重至少40kg的青少年患者		
用法用量	 血浆置换治疗期间给药 (5天) ¹⁻²	 血浆置换治疗结束后给药 (30天)	
	启用卡拉西珠单抗 (第1天) 血浆置换治疗前, 静脉注射10mg + 血浆置换治疗后, 皮下注射10mg	血浆置换治疗期间给药 血浆置换治疗后, 每日皮下注射10mg	每日皮下注射10mg
中国获批	2025年11月	全球首个上市国家及地区	欧盟, 2018年8月
认可度	<ul style="list-style-type: none"> 第二批罕见病目录品种, 第三批临床急需境外新药名单³, 第五批鼓励研发申报儿童药品清单⁴, CDE优先审评审批 FDA孤儿药认证、EMA孤儿药认证、FDA快速通道资格认定⁵ 		

建议参照药: 无参照

- **全球唯一获批 iTTP 适应症的药物**
- **临床试验对照组为安慰剂组**
 - 【卡拉西珠单抗】+血浆置换+免疫抑制 vs 【安慰剂】+血浆置换+免疫抑制⁶

价值评级: 突破

- **临床急需:** 患者极少, 病情危重, 死亡率高 (20-90%)
- **填补空白:** 目前全球唯一治疗 iTTP 的靶向药品
- **挽救生命:** Ⅲ期临床研究卡拉西珠单抗组死亡率为0%⁶

唯一截至2026年5月

1. 药品说明书 2. Coppo P, et al. Blood. 2021 Feb 11;137(6):733-742. 3. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/08818b168ccc85db9a42a0f6623b5688> 4. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202409/content_6973293.htm 5. Search Orphan Drug Designations and Approvals; Cablivi | European Medicines Agency (EMA); FDA approves Cablivi® (caplacizumab-yhdp), the first Nanobody®-based medicine, for adults with acquired thrombotic thrombocytopenic purpura (aTTP) 6. Scully M, et al. N Engl J Med. 2019;380(4):335-346

iTTP 是高致死性的超罕见疾病，好发于育龄期女性 卡拉西珠单抗三联疗法显著降低疾病死亡风险

iTTP 患者少，发病急，死亡风险高



列入第二批
罕见病目录¹



患者极少
年发病率2-6/百万²



致死急重症

广泛器官损伤³⁻⁴
急救抢救负担重

无治疗死亡率高达**90%**



好发于育龄期女性

75%是女性⁵
平均发病年龄30-50岁⁶

卡拉西珠单抗联用方案是标准治疗，降低死亡风险

二联疗法

1 血浆置换

2 免疫抑制

V.S

三联疗法

1 血浆置换

2 免疫抑制

3 卡拉西珠单抗

死亡风险仍高达 **20%**⁷

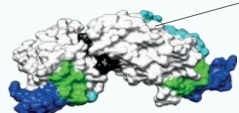
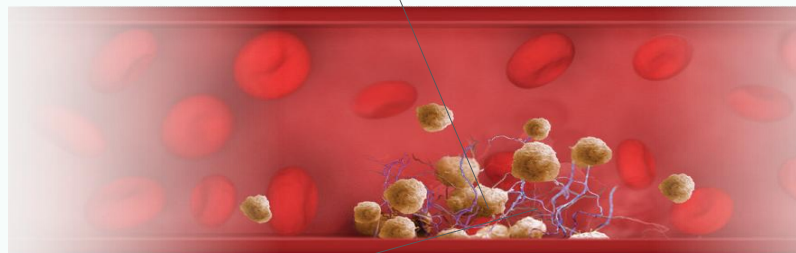
iTTP 死亡风险降为 **0**⁸

1. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202309/content_6905273.htm 2.Zheng XL, et al. J Thromb Haemost. 2020;18(10):2486-2495. 3. Joly BS, et al. Blood. 2017;129(21):2836-2846. 4. Moake JL. Annu Rev Med. 2002;53:75-88.. 5. Azoulay E, et al. Intensive Care Med. 2019;45(11):1518-1539 6. Terrell DR, et al, George JN. J Thromb Haemost. 2005;3(7):1432-1436. 7. Balasubramaniam N, et al. Am J Med. 2021;134:e89-e97. 8. Scully M, et al. N Engl J Med. 2019;380(4):335-346.

卡拉西珠单抗是目前全球唯一靶向血管性血友病因子 (vWF) 的纳米抗体药物, 阻断vWF与血小板结合, 快速抑制微血栓形成, 显著降低死亡, 全球尚无仿制品

机制: 靶向阻断vWF与血小板结合

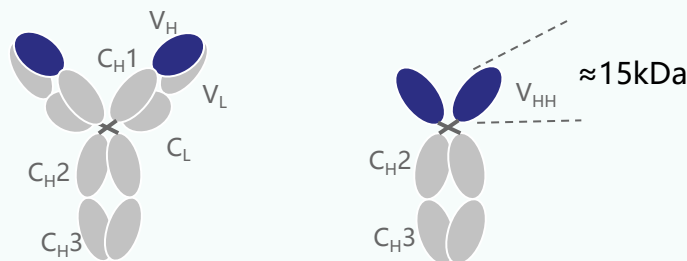
抗ADAMTS13自身抗体抑制ADAMTS13活性, 导致血液中ULvWF多聚体聚积, 诱发自发性血小板黏附并形成微血栓¹



卡拉西珠单抗

通过阻断vWF与血小板的结合, 从而抑制自发性血小板黏附, 抑制微血栓形成^{2,3}, 减少器官损伤, 显著降低死亡

工艺: 全球首个纳米抗体药物



传统抗体

纳米抗体

- 纳米抗体, 结构高度精简, 分子量更小²: 扩散快, 结合速度快; 双价结构增强亲和力, 与vWF结合更牢固
- 实现快速应答, 为 iTTP 这种致死急重症争取救命时间窗

技术壁垒高, 全球尚无仿制品申报

2025年11月
中国优先审评审批上市

已在全球44个
国家/地区获批

2018年8月欧盟
First in class上市

全球上市8年, 虽已过专利, 但全球尚无仿制品申报

- ❑ 卡拉西珠单抗是目前全球唯一靶向血管性血友病因子 (vWF) 的纳米抗体药物, 填补我国 iTTP 靶向治疗空白
- ❑ 纳入《第三批临床急需境外新药名单》、《第五批鼓励研发申报儿童药品清单》⁴⁻⁵, 获CDE优先审评 (仅6个月获批)

vWF: 血管性血友病因子; UL-vWF: 超大血管性血友病因子; 截一指截至2026年5月

1. Zheng XL, et al. J Thromb Haemost. 2020;18(10):2486-2495. 2. Ulrichs H, et al. Blood. 2011;118(3):757-765. 3. Bartunek J, et al. J Cardiovasc Transl Res. 2013 Jun;6(3):355-63 4. <https://www.cde.org.cn/main/news/viewInfoCommon/08818b168ccc85db9a42a0f6623b5688>. 5. https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202409/content_6973293.htm

降死亡：研究显示卡拉西珠单抗治疗期间，无iTTP相关死亡事件发生，且显著降低复合终点事件（死亡/恶化/血栓栓塞）发生风险74%

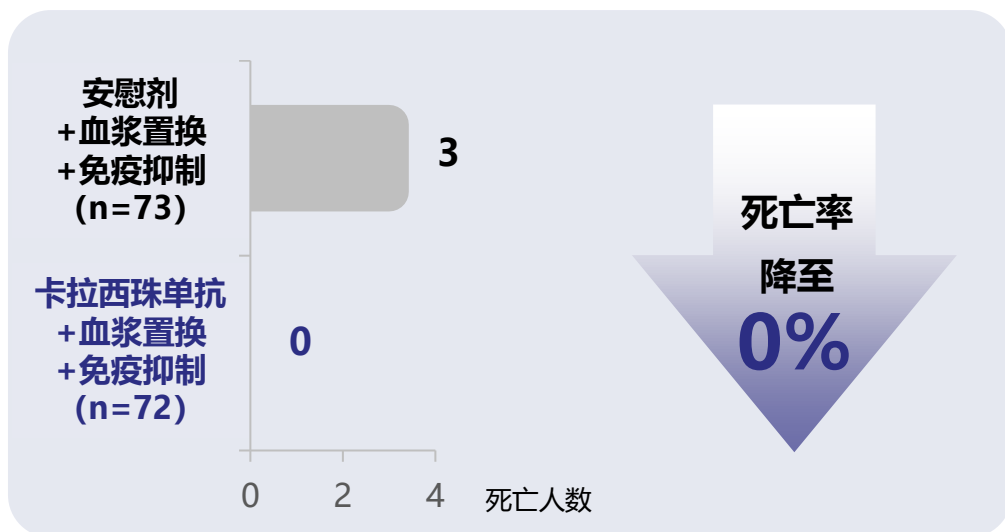
III期临床 (HERCULES) ¹

多中心、随机、双盲、安慰剂对照的 III期临床试验 (N=145)

- 患者随机入组时间：2015年11月至2017年4月期间
- 随访时间：28天
- 次要研究终点：iTTP相关死亡、iTTP复发（包括恶化）或至少一次重大血栓栓塞的复合终点

01

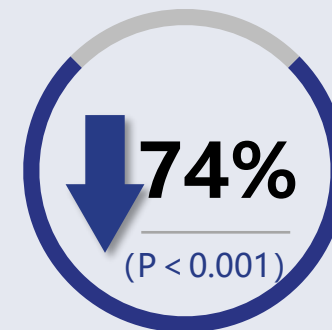
降低 iTTP 相关死亡事件发生



02

显著降低 iTTP 复合事件发生风险

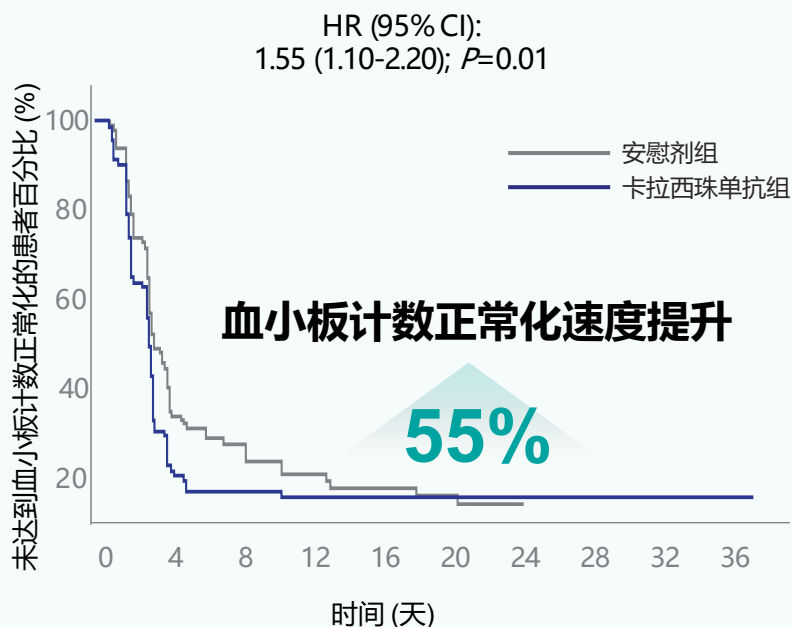
降低
死亡/恶化*/血栓栓塞
复合事件
发生风险：



*恶化：在停止血浆置换30天内，再次出现血小板减少症，伴或不伴新发缺血性器官损伤的临床证据，且需要重新开始治疗

快恢复：卡拉西珠单抗显著提升血小板计数正常化速率1.55倍，加速重要器官功能正常化，患者实现100%快速应答

显著加速血小板计数恢复正常



加速重要器官功能正常化



乳酸脱氢酶



心肌肌钙蛋白I



血清肌酐

正常化时间缩短

15%

患者实现100%临床应答率

卡拉西珠单抗
临床应答率

100%

卡拉西珠标准疗程：从血浆置换开始至停止血浆置换后治疗30天（共~35天，36支）

早启用/按标准停用可缩短用药时长至3~35天，实现快速反应、降死亡的临床获益

根据说明书¹和中国指南²，卡拉西珠单抗应在开始血浆置换时给药，并在血浆置换结束后持续30天



血浆置换治疗期间给药 (5天)^{1,3}



血浆置换治疗结束后给药 (30天)

启用卡拉西珠单抗 (第1天)

血浆置换前静脉注射10mg + 血浆置换后皮下注射10mg

血浆置换治疗期间给药

血浆置换治疗后，每日皮下注射10mg

血浆置换治疗结束后给药 (30天)

每日皮下注射10mg

多项真实世界研究显示：早启用和按标准停用，卡拉西珠治疗缩短至3~35天

卡拉西珠单抗规范治疗

▶ 早启用

针对高度疑似iTTP患者，
三天内启用

▶ 标准停用

血小板计数正常化
ADAMTS13酶活性≥20%



研究	用药天数	用药支数	临床获益
中国 病例报告 2026 ^{4*}	3天	4支	• 起效快，首剂给药24h后血小板计数即显著回升
美国 RWE 2024 ⁵	/	2-30支 (中位6支)	• 中位血小板计数恢复时间加快2天 • ADAMTS13活性恢复中位时间缩短64% (5 vs 14天)
西班牙 RWE 2023 ⁶	1-27天 (中位21天)	/	• 中位总住院时长减少9.5天
法国 RWE 2020 ⁷	18-35天 (中位33天)	/	• 患者0死亡、0难治

RWE: 真实世界研究; iTTP 难治: 连续 ≥4 天治疗后, 血小板计数未翻倍且LDH (乳酸脱氢酶) 仍高于正常上限; *卡拉西珠单抗中国商业上市时间为2026年4月。文献中病例为2025年10月入院治疗, 所用的卡拉西珠单抗为患者从其他渠道自行购入, 用药受药品可及性影响

1. 卡拉西珠单抗说明书 2. 血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南 (2022年版) 3. Coppo P, et al. Blood. 2021 Feb 11;137(6):733-742 4. 魏求哲等 (2026), Chin J Hematol, March 2026, Vol. 47, No. 3 5. Yates, S. G., et al. (2024). Blood Vessels, Thrombosis & Hemostasis, 1(3), 100010. 6. Albanell-Fernández, M., et al(2023). Transfusion and Apheresis Science, 62(3), 103722. . 7. Maanaoui, M., et al. (2020). Nephrology Dialysis Transplantation, 35(Supplement_3)

国内外权威指南推荐 iTTP 患者应尽早启用卡拉西珠单抗（1A级推荐）可最大获益；指南推荐标准治疗为停止血浆置换后持续使用30天

获国内外众多权威指南一致推荐



2022 血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南

中华医学会血液学分会

- 卡拉西珠单抗在TTP发病**早期使用可以最大获益**
- 卡拉西珠单抗在**停止血浆置换后需持续使用30天**



2026 罕见出凝血疾病急诊诊断治疗专家共识

中华医学会血液学分会

- iTTP 首选**卡拉西珠单抗**联合疗法，可显著降低病死率
- 应于血浆置换开始后**尽早联用**



2025 血栓性血小板减少性紫癜管理指南

ISTH 国际血栓与止血学会

- 对急性发作 iTTP 患者，建议使用**卡拉西珠单抗**



2023 日本血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗指南

JSH 日本血液学会

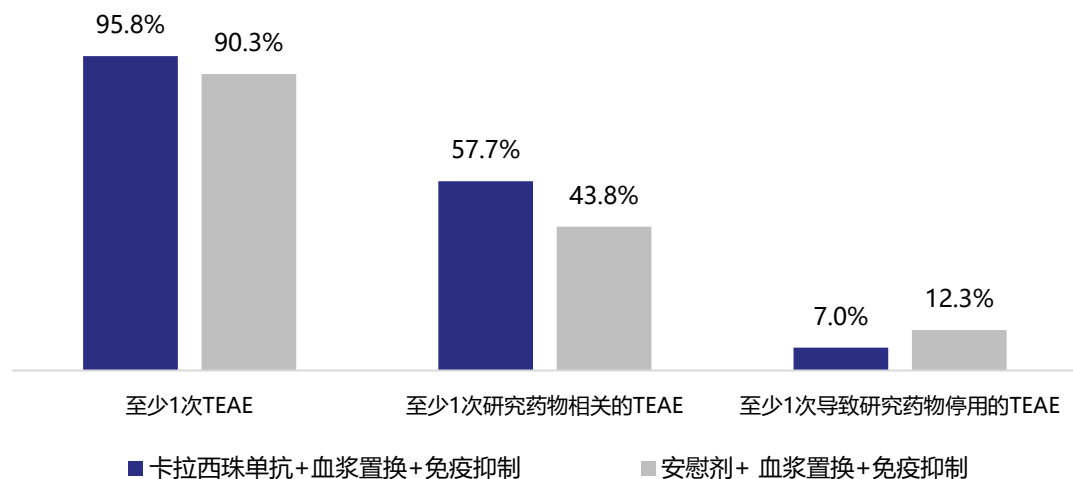
- 推荐血浆置换、糖皮质激素联合**卡拉西珠单抗**（推荐等级为**1A**）作为一线治疗

卡拉西珠单抗获多个指南最高级别推荐，建议尽早启用

临床试验和真实世界研究均证实卡拉西珠单抗整体安全性良好

临床研究证实卡拉西珠单抗安全性可控

- 卡拉西珠单抗安全性可控，不良事件以粘膜皮肤出血为主；无治疗相关死亡
- 卡拉西珠单抗组TEAE发生率与安慰剂组相当¹



长期随访和RWE验证卡拉西珠单抗广泛使用的安全性

Post-HERCULES 长期随访 (3年)²

安全性与对照组相似

- 接受卡拉西珠单抗+血浆置换+免疫抑制治疗的患者的长期安全性与对照组（接受血浆置换+免疫抑制治疗）的患者相似

RWE (Calpa 1000+)³

显著减少不良结局

- 早期启用卡拉西珠单抗显著减少不良结局

TEAE: 治疗相关不良事件; RWE: 真实世界研究

1. Scully M, et al. N Engl J Med. 2019;380(4):335-346. doi:10.1056/NEJMoa1806311 2. Scully M, et al. J Thromb Haemost. 2022 Dec;20(12):2810-2822 3. Coppo P, et al. Lancet. 2025;82:113 and suppl.

卡拉西珠单抗为救命救急药品，填补iTTP靶向治疗空白；有可监测指标规范临床用药，易于临床和医保管理

缓解公共健康负担

- 血栓性血小板减少性紫癜（TTP）（包含iTTP）被纳入《第二批罕见病目录》
- 多发于育龄期女性，发病急且危重，死亡风险极高

适保性

- 卡拉西珠单抗**单疗程，用量有限，预算影响小**
- 显著节约血浆与医疗资源，**减少ICU、住院以及血浆置换时长**，提升医疗体系效率

填补临床治疗空白

- **全球唯一获批 iTTP 适应症的药物**，填补临床空白
- **全球唯一**靶向血管性血友病因子（vWF）的**纳米抗体药物**，阻断vWF与血小板结合，快速抑制微血栓形成，相比现有疗法**死亡率显著降低（三期临床降至0%）**

医保管理难度小

- 卡拉西珠单抗为救命救急药品
- 说明书和指南推荐**标准疗程**（停止血浆置换后持续使用30天）；**停药有可监测指标（ADAMTS13活性）**可进一步缩短疗程，临床用药规范，易于临床和医保管理