

编码：YPSW202600376

2026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：注射用卡拉西珠单抗

企业名称：赛诺菲（中国）投资有限公司上海分公司

## 申报信息

申报时间	2026-06-09 22:06:49	药品目录	药品目录外
------	---------------------	------	-------

### 一、基本信息

#### 药品申报条件：

- 1.2021年1月1日（含，下同）至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准上市或已完成技术审评的新通用名药品，仅因转产、再注册等单纯更改通用名的药品除外。
- 2.2021年1月1日至2026年6月10日期间，经国家药监部门批准或已完成技术审评，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药品。
- 3.2020年1月1日后国家药监部门附条件批准上市且于2023年1月1日至2026年5月31日期间转为常规批准的新通用名药品（不含新适应症或功能主治）。
- 4.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入现行版《国家基本药物目录》的药品。
- 5.纳入《商业健康保险创新药品目录》（2025年）的药品。
- 6.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，纳入国家卫生健康委等部门《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》《第五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》《第四批鼓励仿制药品目录》的药品。
- 7.2026年6月10日前经国家药监部门批准上市或已完成技术审评，说明书适应症或功能主治中包含有国家卫生健康委《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。
- 8.2020年1月1日以后谈判准入的品种，因未能成功续约而被调出目录的，首个同通用名药品于2021年1月1日至2026年5月31日期间获批上市的，但原谈判企业品种不能申报。

药品通用名称（中文、含剂型）	注射用卡拉西珠单抗	商品名	可倍力
医保药品分类与代码	XB01AXK157B001010185471	是否为独家	是
申报目录类别	商保创新药目录		
药品类别	西药		
① 药品注册分类	治疗用生物制品3.1类		
核心专利类型1	化合物专利ZL200680024012.1	核心专利权期限届满日1	2026-05
核心专利类型1	化合物专利ZL200680024012.1	核心专利权期限届满日1	2026-05
当前是否存在专利纠纷	否		
说明书全部注册规格	10mg/瓶		
上市许可持有人（授权企业）	Ablynx NV		
说明书全部适应症/功能主治	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40 kg的青少年患者		
说明书用法用量	本品治疗应由具有血栓性微血管病患者管理经验的医师启动及监督。本品应在开始血浆置换治疗时给药。推荐剂量如下：首次给药：血浆置换前静脉注射10 mg卡拉西珠单抗。后续给药：在每日血浆置换治疗期间，完成每次血浆置换后，每日一次皮下注射10 mg卡拉西珠单抗。然后在停止每日血浆置换治疗后，每日一次皮下注射10 mg卡拉西珠单抗，持续30天。		
所治疗疾病基本情况	免疫介导的血栓性血小板减少性紫癜（iTTP）患者少，发病急，死亡风险高。超罕见疾病，年发病率2~6例/百万，已被纳入《第二批罕见病目录》。好发于育龄期女性，75%是女性，平均发病年龄30-50岁。致死急重症，可导致患者广泛器官损伤，急救负担重，无治疗死亡率高达90%，现有治疗（血浆置换联合免疫抑制治疗）下死亡率仍高达20%		
是否已获批上市	是，已获得注册批件		
中国大陆首次上市时间	2025-11	注册证号/批准文号	国药准字SJ20250023

该通用名全球首个上市国家/地区	欧盟	该通用名全球首次上市时间	2018-08
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	在卡拉西珠单抗上市之前，iTTP无任何靶向药物。标准治疗为血浆置换联合免疫抑制治疗，但死亡率仍高达20%。卡拉西珠单抗是全球唯一获批iTTP适应症的药物，靶向血管性血友病因子抑制微血栓形成，减少器官损伤，显著降低死亡，可填补我国iTTP靶向治疗空白。列入我国《第三批临床急需境外新药名单》和《第五批鼓励研发申报儿童药品清单》，获CDE优先审评审批。卡拉西珠单抗治疗期间，无iTTP相关死亡事件发生，复合终点事件（死亡/恶化/血栓栓塞）比例显著降低74%；卡拉西珠单抗显著提升血小板计数正常化速率1.55倍，促进重要器官（大脑、心脏和肾脏）功能正常化，患者实现100%快速应答；显著减少血浆置换治疗天数38%（-3.6天），总住院天数31%（-4.5天），其中ICU住院天数65%（-6.3天），节约医疗资源		
企业承诺书	<a href="#">↓ 下载文件</a> 4企业承诺书.pdf		
药品最新版法定说明书（ <b>预申报药品请先上传提交至药监部门审批的说明书，并在规定时间内上传经药监部门审核的说明书</b> ）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 3注射用卡拉西珠单抗说明书.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《药品补充申请批准通知书》《药品再注册批准通知书》，请扫描成一个文件后上传	<a href="#">↓ 下载文件</a> 2药品注册证书.pdf		
申报药品摘要幻灯片（含价格费用信息）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 4-1注射用卡拉西珠单抗PPT1.pdf		
申报药品摘要幻灯片（不含价格费用信息）将要同其他信息一同向社会公示	<a href="#">↓ 下载文件</a> 4-2注射用卡拉西珠单抗PPT2.pdf		



## 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65公斤，体表面积1.68m<sup>2</sup>。

参照药品名称	是否医保目录内	规格	单价（元） <sup>①</sup>	用法用量	费用类型	金额（元） <sup>①</sup>	疗程/周期 <sup>①</sup>
空白	-	-	-	-	-	-	-

参照药品选择理由： 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）

其他情况请说明： -

## 二、有效性信息

试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂组：安慰剂+血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	三期随机双盲对照研究中，与安慰剂+血浆置换+免疫抑制治疗组相比，卡拉西珠单抗+血浆置换+免疫抑制治疗组死亡率为0%，显著降低复合终点事件（死亡/恶化/血栓栓塞）发生风险74%；显著提升血小板计数正常化速率1.55倍，促进重要器官（大脑、心脏和肾脏）功能正常化，患者实现100%快速应答；显著减少血浆置换治疗天数38%（-3.6天），总住院天数31%（-4.5天），ICU住院天数65%（-6.3天）
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 研究1III期HERCULES研究全文.pdf
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	安慰剂组：安慰剂+血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	Post-HERCULES研究，对HERCULES研究的患者随访3年，TTP相关事件（TTP相关死亡、复发或重大血栓栓塞事件）发生率显著减少，卡拉西珠单抗组8%（4/49）vs 安慰剂组38%（11/29）。长期随访支持卡拉西珠单抗治疗iTTP的安全性和有效性
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 研究2Post-HERCULES研究全文.pdf
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	历史对照组：血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	上市后国际多中心回顾性队列研究，卡拉西珠单抗组（卡拉西珠单抗+血浆置换+免疫抑制）1015例，对照组（血浆置换+免疫抑制）510例，卡拉西珠单抗组3个月存活率为98.5%；对照组3个月死亡率是卡拉西珠单抗组的4.2倍；卡拉西珠单抗组临床反应早于对照组，且早期（3天内）启用能更快临床反应，减少血浆置换时长；卡拉西珠单抗显著降低iTTP患者88%恶化风险，减少血浆置换时长和再次启动血浆置换的需求
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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）	<a href="#">↓ 下载文件</a> 研究3Capla1000研究.pdf
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	部分研究为单臂或病例报告无对照组，部分研究为历史对照组：血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市后

对主要临床结局指标改善情况	<p>多项真实世界研究显示：iTTP患者早启用和按标准停用卡拉西珠单抗，卡拉西珠单抗用药时间可缩短至3~35天，实现快速反应、降死亡的临床获益。中国病例报告显示患者用药3天，用药4支；美国真实世界研究显示患者用药2-30支（中位6支）；西班牙真实世界研究显示患者用药1-27天（中位21天）；法国真实世界研究显示患者用药18-35天（中位33天）</p>
<p>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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 研究4真实世界研究.pdf</p>
试验类型1	单个样本量足够的RCT
试验对照药品	安慰剂组：安慰剂+血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>三期随机双盲对照研究中，与安慰剂+血浆置换+免疫抑制治疗组相比，卡拉西珠单抗+血浆置换+免疫抑制治疗组死亡率为0%，显著降低复合终点事件（死亡/恶化/血栓栓塞）发生风险74%；显著提升血小板计数正常化速率1.55倍，促进重要器官（大脑、心脏和肾脏）功能正常化，患者实现100%快速应答；显著减少血浆置换治疗天数38%（-3.6天），总住院天数31%（-4.5天），ICU住院天数65%（-6.3天）</p>
<p>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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 研究1III期HERCULES研究全文.pdf</p> 
试验类型2	非RCT队列研究
试验对照药品	安慰剂组：安慰剂+血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市前
对主要临床结局指标改善情况	<p>Post-HERCULES研究，对HERCULES研究的患者随访3年，TTP相关事件（TTP相关死亡、复发或重大血栓栓塞事件）发生率显著减少，卡拉西珠单抗组8%（4/49）vs 安慰剂组38%（11/29）。长期随访支持卡拉西珠单抗治疗iTTP的安全性和有效性</p>
<p>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（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）</p>	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 研究2Post-HERCULES研究全文.pdf</p>
试验类型3	真实世界数据
试验对照药品	历史对照组：血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	<p>上市后国际多中心回顾性队列研究，卡拉西珠单抗组（卡拉西珠单抗+血浆置换+免疫抑制）1015例，对照组（血浆置换+免疫抑制）510例，卡拉西珠单抗组3个月存活率为98.5%；对照组3个月死亡率是卡拉西珠单抗组的4.2倍；卡拉西珠单抗组临床反应早于对照组，且早期（3天内）启用能更快临床反应，减少血浆置换时长；卡拉西珠单抗显著降低iTTP患者88%恶化风险，减少血浆置换时长和再次启动血浆置换的需求</p>
试验数据结果证明文件，外文资料	<p><a href="#">↓ 下载文件</a> 研究3Cabl1000研究.pdf</p>

料须同时提供原文及中文翻译件 (除英语之外的外文资料, 中文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	
试验类型4	真实世界数据
试验对照药品	部分研究为单臂或病例报告无对照组, 部分研究为历史对照组: 血浆置换+免疫抑制
试验阶段	上市后
对主要临床结局指标改善情况	多项真实世界研究显示: iTTP患者早启用和按标准停用卡拉西珠单抗, 卡拉西珠单抗用药时间可缩短至3~35天, 实现快速反应、降死亡的临床获益。中国病例报告显示患者用药3天, 用药4支; 美国真实世界研究显示患者用药2-30支 (中位6支); 西班牙真实世界研究显示患者用药1-27天 (中位21天); 法国真实世界研究显示患者用药18-35天 (中位33天)
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 (除英语之外的外文资料, 中文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 研究4真实世界研究.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1	《2022 血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南》: 卡拉西珠单抗可阻断VWF A1区与血小板糖蛋白GPIIb结合作用, 阻止血小板-VWF相互作用并防止小动脉和毛细血管内微血栓形成、减少终末器官损害。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
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容, 并突出 (高亮) 显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息, 外文资料须同时提供原文及中文翻译件 (除英语之外的外文资料, 中文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南12022血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南.pdf

# 中国医疗保障

CHINA HEALTHCARE SECURITY

临床指南/诊疗规范推荐情况2	《2026 罕见出凝血疾病急诊诊断治疗专家共识》: iTTP 首选卡拉西珠单抗联合疗法, 可显著降低病死率。卡拉西珠单抗应于血浆置换开始后尽早联用
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容, 并突出 (高亮) 显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息, 外文资料须同时提供原文及中文翻译件 (除英语之外的外文资料, 中文翻译件须经专业翻译机构认证, 以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南22026罕见出凝血疾病急诊诊断治疗专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3	《2025 ISTH 血栓性血小板减少性紫癜管理指南 (更新版)》: 对于发生急性事件 (首次事件或复发) 的 iTTP 患者, 建议使用卡拉西珠单抗; 应尽早启动卡拉西珠单抗治疗 (理想状况下应在3天以内启动)
临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容, 并突出 (高亮) 显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息, 外文资料须同时提供原文及中文翻译件 (除英语之外的外文资料, 中	<a href="#">↓ 下载文件</a> 指南32025ISTH血栓性血小板减少性紫癜的管理指南更新版.pdf

文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《2023 日本血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗指南》：患者确诊为iTTP，推荐血浆置换、糖皮质激素联合卡拉西珠单抗治疗作为一线治疗。卡拉西珠单抗，推荐等级为1A，可在ADAMTS13活性确认之前，启动卡拉西珠单抗治疗

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)

↓ 下载文件

指南42023日本血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗指南.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况1

《2022 血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南》：卡拉西珠单抗可阻断VWF A1区与血小板糖蛋白GPIb结合作用，阻止血小板-VWF相互作用并防止小动脉和毛细血管内微血栓形成、减少终末器官损害。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

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)

↓ 下载文件

指南12022血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗中国指南.pdf



临床指南/诊疗规范推荐情况2

《2026 罕见出凝血疾病急诊诊断治疗专家共识》：iTTP 首选卡拉西珠单抗联合疗法，可显著降低病死率。卡拉西珠单抗应于血浆置换开始后尽早联用

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)

↓ 下载文件

指南22026罕见出凝血疾病急诊诊断治疗专家共识.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况3

《2025 ISTH 血栓性血小板减少性紫癜管理指南（更新版）》：对于发生急性事件（首次事件或复发）的 iTTP 患者，建议使用卡拉西珠单抗；应尽早启动卡拉西珠单抗治疗（理想状况下应在3天以内启动）

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性)

↓ 下载文件

指南32025ISTH血栓性血小板减少性紫癜的管理指南更新版.pdf

临床指南/诊疗规范推荐情况4

《2023 日本血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗指南》：患者确诊为iTTP，推荐血浆置换、糖皮质激素联合卡拉西珠单抗治疗作为一线治疗。卡拉西珠单抗，推荐等级为1A，可在ADAMTS13活性确认之前，启动卡拉西珠单抗治疗

临床指南/诊疗规范中需包含申报药品推荐情况具体内容，并突出（高亮）显示药品名称、适应症、推荐意见等关键信息，外文资料须同时提供原文及中文翻译件（除英语之外的外文资料，中文翻译件须经专业翻译机构认证，以保证涉外资料原件与翻译件的一致性、准确性和客观性）

↓ 下载文件

指南42023日本血栓性血小板减少性紫癜诊断与治疗指南.pdf

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

卡拉西珠单抗《技术审评报告》尚未公开

《技术审评报告》原文（可节选）

-

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

卡拉西珠单抗《技术审评报告》尚未公开

《技术审评报告》原文（可节选）

-

### 三、安全性信息

药品说明书收载的安全性信息

临床试验中最常见的不良反应为鼻衄、头痛和牙龈出血。最常见的严重不良反应为鼻衄。对本品所含活性物质或任何辅料有超敏反应者禁用。本品可增加出血风险，卡拉西珠单抗应慎用于患有可能增加出血风险的基础疾病患者

药品不良反应监测情况和药品安全性研究结果

Post-Hercules三年长期随访研究提示未发现新的安全信号，卡拉西珠单抗组安全性与二期和三期临床研究保持一致；Capla1000+真实世界研究提示卡拉西珠单抗相关不良事件主要为可控的出血事件。卡拉西珠单抗于2018年8月31日在欧盟获得集中上市许可，并已在全球44个国家/地区获批用于治疗iTTP。上市以来未收到来自药监部门的安全性警告、黑框警告、撤市要求等情况。卡拉西珠单抗的重要已识别风险为大出血，针对其已实施了额外风险最小化措施。卡拉西珠单抗的重要潜在风险为严重超敏反应。基于累积安全性数据的评价和获益-风险分析，在当前获批使用条件下，患者耐受性良好，卡拉西珠单抗治疗获批适应症的获益-风险平衡仍有利

相关报导文献

↓ 下载文件

安全性信息文献.pdf

### 四、创新性信息

创新程度

①唯一获批iTTP适应症的药品。②机制：阻断血管性血友病因子（vWF）与血小板结合，抑制微血栓形成，降低死亡。③工艺：纳米抗体药物，分子量更小，与vWF结合快速、牢固。快速应答，争取救命时间窗。④认可：FDA/EMA孤儿药、FDA快速通道；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；CDE优先审评审批（仅6个月获批）；技术壁垒高，First in class上市，全球尚无仿制品申报

创新性证明文件

↓ 下载文件

1创新程度.pdf

应用创新

肾功能损害患者和肝功能损害患者无需调整剂量。卡拉西珠单抗给药简便，首次给药为静脉注射，后续为皮下注射。单疗程，用量有限。卡拉西珠单抗将死亡风险降至零、快恢复、显著减少ICU住院天数和血浆置换治疗天数

应用创新证明文件

↓ 下载文件

2应用创新.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	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
符合“保基本”原则（仅涉及申请《基本医保目录》的药品填写）	-
弥补目录短板	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%），且卡拉西珠单抗单疗程，用量有限，预算影响小。
临床管理难度	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。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