

波派达可基注射液

申报目录：商业保险创新药品目录

中国首个*
AAV基因治疗药物

1类创新药
突破性治疗品种

一次输注，长期有效
帮助患者重启自由人生

适保性突出

上海信致医药科技有限公司

目录

01

基本信息

中国**首个**自主研发和生产的**AAV基因治疗药物**，**突破性治疗品种**，**国家1类创新药**，全球生物医药领域**先进治疗药品**之一

02

创新性

革新作用机制，引领生物医药领域创新技术应用发展；**本土创新**，全球领先

03

有效性

一次输注，即可实现患者内源性FIX水平**长期高位稳定表达**，显著降低患者出血风险，几乎无需外源性FIX输注，**重塑当前终生反复注射治疗模式**

04

安全性

无严重不良事件、无FIX抑制物阳性的不良事件、无血栓栓塞事件、无3-4级不良事件，未发现致癌及遗传毒性

05

公平性

风险可评估、用药可管控、道德风险低；已被纳入多地惠民保特药目录，可付路径成熟；助力保险产品升级，提升商保品牌价值与社会美誉度；**适保性突出**

中国首个自主研发和生产的AAV基因治疗药物，突破性治疗品种，国家1类创新药，全球生物医药领域先进治疗药品之一

产品基本信息¹

通用名	波哌达可基注射液，注射剂		
商品名	信玖凝		
说明书适应症	用于治疗中重度血友病B（先天性凝血因子IX缺乏症）成年患者		
用法用量	<ul style="list-style-type: none"> 5×10¹²vg/kg; 用药体积 (ml) = 体重*1.25; 瓶数 (瓶) = 用药体积/2; 公式结果向上取整 单次静脉输注 		
注册分类	治疗用生物制品1类	核心专利	病毒衣壳、基因表达盒
注册规格	8.0×10 ¹² vg (2mL) /瓶	核心专利权期限届满日	2039年6月
中国大陆首次上市时间	2025年4月	全球首个上市国家及时间	中国, 2025年4月

参照药建议: 无	
革新作用机制	<ul style="list-style-type: none"> 我国首个AAV基因治疗药物，重塑当前终生反复注射治疗模式，一次性输注，实现长期有效
	<ul style="list-style-type: none"> 革新作用机制，包括新型工程化强嗜肝性新型衣壳AAV843及优化的FIX-Padua，一次输注长期有效；突破性治疗品种，国家1类创新药
	<ul style="list-style-type: none"> 关键III期研究临床试验为单臂设计

突破性创新 ²⁻³	国家1类创新药 ⁴	优先审评审批 ⁴
FDA 孤儿药认定 ⁵	FDA 儿科罕见病资格认定 ⁵	EMA 先进治疗药物分类认证 ⁵

1. 波哌达可基注射液说明书
 2. Xue F, et al. Lancet Haematol. 2022 Jul;9(7):e504-e513
 3. <http://www.chinadrugtrials.org.cn/index.html>
 4. <https://www.cde.org.cn/main/xxgk/listpage/2f78f372d351c6851af7431c7710a731>
 5. <https://www.beliefbiomed.com/newsd-825.html>

#以药监部门审批为准，截至2025年07月

本土创新，全球领先；革新作用机制，一次输注长期有效

本土创新，全球领先

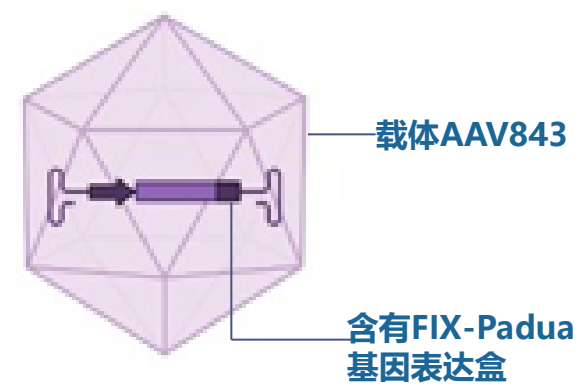
革新作用机制，一次输注长期有效

本土创新，原研专利

多项突破性成果，国际杂志权威发布¹⁻⁴



由新型工程化强嗜肝性新型衣壳AAV843^{3,5}及优化的FIX-Padua构成^{6,7}



- AAV载体无致病性、低免疫原性、高靶向性，携带FIX-Padua基因精准靶向肝脏，**全面奠定基因治疗安全性的基础⁸**
- 应用FIX-Padua活性基因，使FIX活性水平提高8倍，实现FIX水平**高位稳定表达¹**

重建人FIX正常表达功能，一次输注即可实现FIX水平长期高位稳定表达，无需输注外源性FIX

*AAV，腺相关病毒

1. Simioni P, et al. N Engl J Med. 2009 Oct 22;361(17):1671-5.
2. 2024 ASH.3582.
3. Xue F, et al. Lancet Haematol. 2022 Jul;9(7):e504-e513
4. Xue F, et al. Nature Medicine, 2026, 32: 93-102.

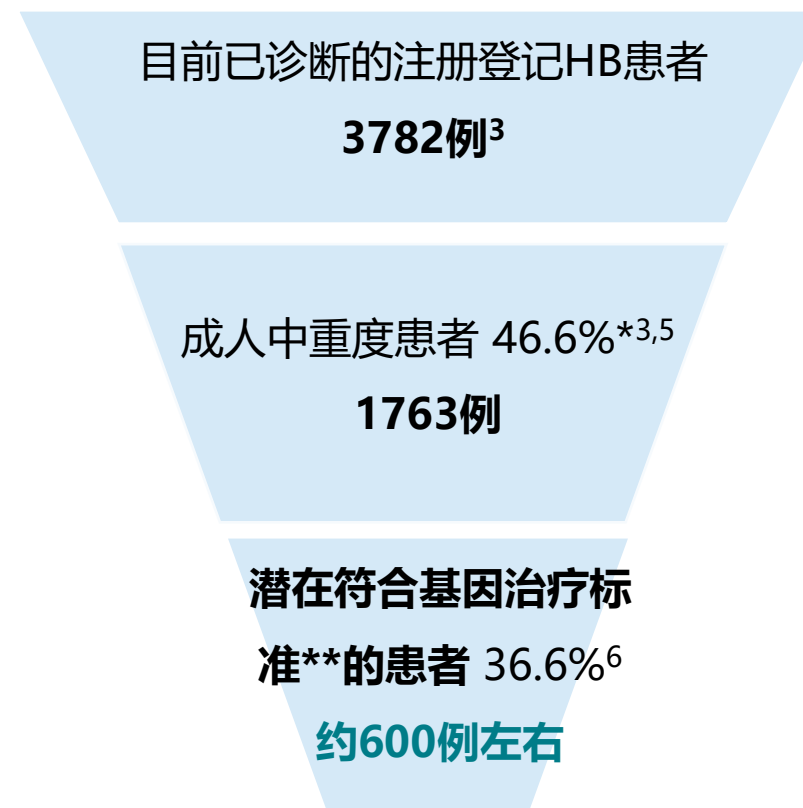
5. Sayed N, et al. Life Sci. 2022 Apr 1;294120375.
6. Castaman G, et al. Semin Thromb Hemost. 2024 May 31.
7. De Wolf D, et al. Hum Gene Ther. 2023 Sep;34(17-18):782-792.
8. Aravalli RN, et al. Liver Transpl. 2015 Jun;21(6):718-37.

血友病B是一种罕见遗传性出血性疾病，需终生带病生存，疾病负担沉重；已诊断患者人数确切，符合基因治疗的患者极其有限

疾病基本情况

- 血友病B (HB) 是由F9基因突变，导致凝血因子IX(FIX) 缺失的一种X连锁隐性出血性疾病¹
- HB症状的严重程度与体内FIX 水平相关；中重度HB患者 (FIX活性水平 < 5 IU/dl) ²血浆FIX 含量小于正常人，因而频繁发生自发性出血，如关节内出血、软组织血肿、腹腔出血和脑出血等：
 - 关节出血为最常见的出血类型³：重型患者关节出血发生率高达**78.8%**⁴
 - 颅内，胃肠道等重要脏器出血存在**致命风险**²
 - 长期反复出血导致**77.1%患者长期承受慢性/急性疼痛**，生存质量严重受损⁵

估算潜在符合基因治疗标准的患者极其有限



*成人患者占HB登记患者的56.5%，成人患者中82.5%的患者为中重度
**满足基因治疗治疗条件的需要进一步筛选患者肝脏健康情况、AAV抗体滴度、FIX抑制物等。根据III期临床研究中患者筛选比例，约有36.6% (26/71) 符合要求

1. 中华医学会血液学分会血栓与止血学组, 等. 中华血液学杂志, 2017, 38(05):364-370.
2. 杨仁池主编. 中国血友病管理指南(2024版). 中国协和医科大学出版社
3. 薛峰, 等. 诊断学理论与实践. 2023; 22(02):89-115.
4. Zhang W, et al. Haemophilia. 2022 Mar;28(2):e56-e60

5. Huang Y, et al. Front Public Health. 2024 Jan 24;11:1303787
6. BBM H901 2024 ASH Poster.

血友病B患者终生使用重组FIX下的整体治疗费用可高达上千万元，经济负担沉重

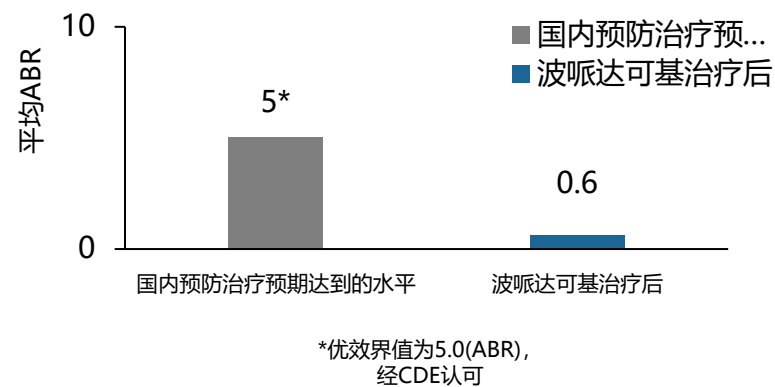
一项基于中国中重度至重度血友病B患者的研究，通过构建马尔可夫模型模拟患者终生治疗过程，从而评估患者终生治疗成本；成本项包括重组FIX费用、给药和手术费用等



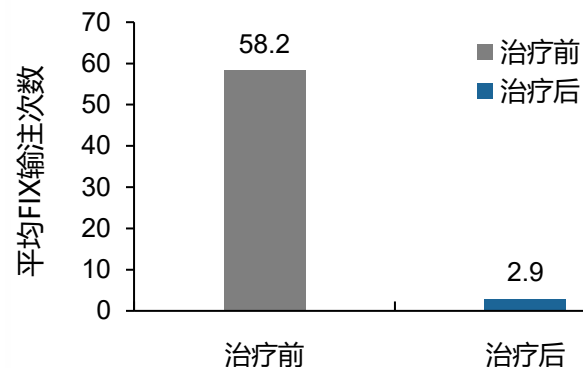
*注：基于2021年估算，按1美元=6.47人民币折算FIX费用

波哌达可基注射液一次输注后，显著减少出血事件发生，显著减少外源性因子注射，带来关节保护，临床获益明确；临床证据显示有望成为同类最佳 (Best-in-class)

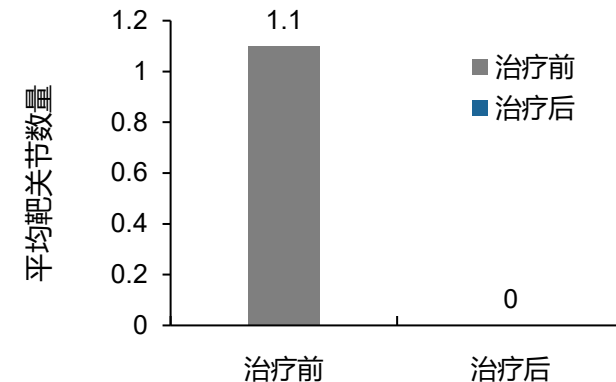
平均年化出血率低至0.6，显著优于当前标准治疗方案



一次输注，显著减少每年因子注射次数¹



一次输注，带来持久卓越关节保护¹



波哌达可基注射液治疗后，患者平均FIX活性水平及平均年化出血率结果，显示有望成为同类最佳 (Best-in-class)

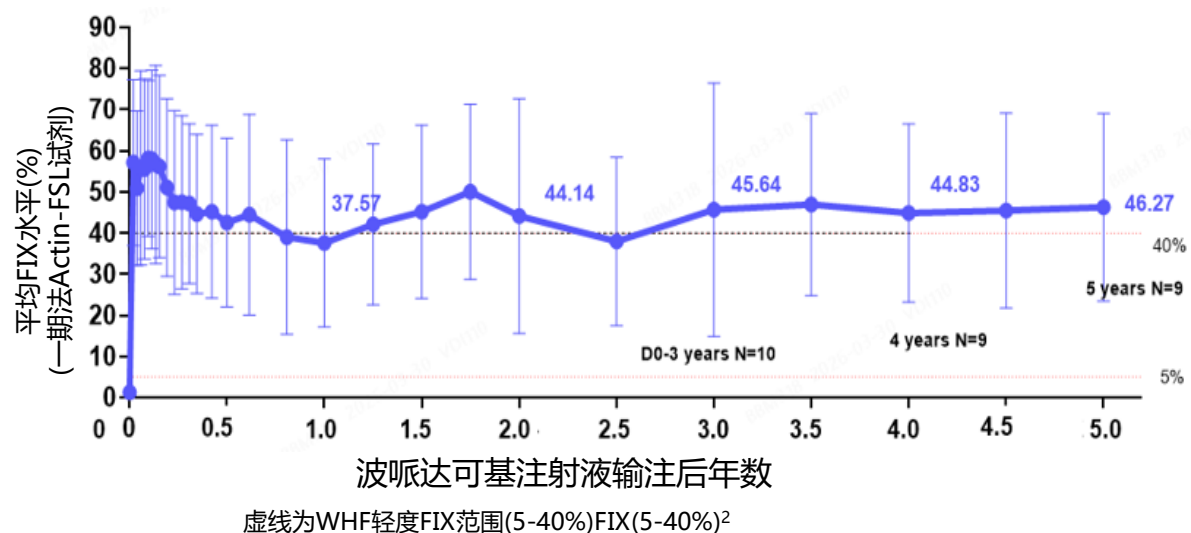
	波哌达可基注射液 ¹	HEMGENIX ²	BEQVEZ ³
剂量 (vg/kg*)	5×10 ¹²	2×10 ¹³	5×10 ¹¹
平均 FIX活性	55% (治疗后12个月)	41.5 % (治疗后12个月)	26.9% (治疗后15个月)
平均年化出血率(95% CI)	0.6 (0.18,1.99)	1.51 (0.81, 2.82)	1.28 (0.57, 1.98)

1. Xue F, et al. Nature Medicine, 2026, 32: 93-102.
2. Pipe SW, et al. N Engl J Med. 2023 Feb 23;388(8):706-718.

3. Cuker A, et al.. N Engl J Med, 2024, 391 (12) : 1108-1118.

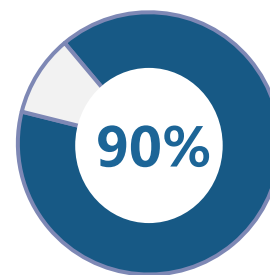
波哌达可基注射液一次输注后长期随访5年，FIX长期高位稳定表达，临床获益稳定

长期随访期间，FIX表达稳定，平均FIX 维持在35%以上¹

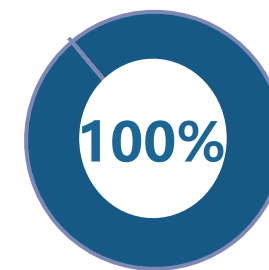


最长随访270周，最后一次随访FIX活性平均值为46.27%

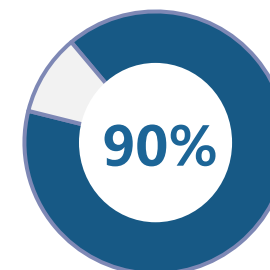
5年长期随访，显示出稳定临床获益¹



患者0出血



患者0靶关节



患者0补充
注射IX因子

1. 2026 WFH
2. 中国血友病B腺相关病毒载体基因治疗临床应用指导意见 (2025)

临床研究及长期随访见证波哌达可基注射液安全性良好

临床研究

- **临床试验中未发生严重不良反应。** 未发生导致剂量调整、暂停、永久停药的不良反应¹
- 无FIX抑制物阳性的不良事件、无血栓栓塞事件、未发现肝毒性、遗传毒性²⁻³

临床试验中1-2级不良事件包括¹

不良反应	I/II期 (N=6) (n, %)	III期 (N=26) (n, %)
心悸	1 (16.7)	0
发热	1 (16.7)	1 (3.8)
γ - 谷氨酰转移酶升高	1 (16.7)	1 (3.8)
血纤维蛋白原降低	0	3 (11.5)
天门冬氨酸氨基转移酶升高	2 (33.3)	2 (7.7)
丙氨酸氨基转移酶升高	1 (16.7)	7 (26.9)

5年长期随访安全性⁴

- **未发现肝毒性事件**
- **未发现波哌达可基相关严重不良事件**
- **未发现抑制物**
- **未发现血栓栓塞**
- **未发现恶性肿瘤事件**



*ALT, 丙氨酸氨基转移酶; AST, 天门冬氨酸氨基转移酶

波派达可基注射液**适保性突出**：风险可控 × 商业增值

风险侧：三重防火墙

➤ **终生仅1次治疗**：总赔付上限固定，**无慢病**

高频持续支付风险，精算可预测

➤ **人群可识别**：全国注册登记血友病B患者3,782例，符合基因治疗仅**~600例**

➤ **逆向选择可控**：人群固定，已确诊投保 + 严格入排筛查（肝功能/抗体/抑制物），从源头**规避逆向选择**

高度适保品种
保得起
管得住
愿意保

价值侧：商业增值杠杆

➤ **提升社会美誉度**：“中国首个AAV基因治疗”，助力商保产品升级，提升品牌温度

➤ **可付路径成熟**：波派达可基注射液已入**北京、上海、重庆**等多地普惠健康保等**多款惠民保特药目录**

➤ **先例充分**：首版商保创新药目录、多地惠民保及商业健康险**已纳入多种罕见遗传病用药**，遗传病可保可赔

以极低赔付风险助力商保产品提升品牌价值——波派达可基注射液为高度适保品种

波哌达可基注射液非常适宜纳入商业健康保险创新药品目录

具有革新机制

- ✓ 中国首个AAV基因治疗药物，突破性治疗品种，国家1类创新药，全球生物医药领域先进治疗药品之一

填补目录空白

- ✓ 帮助患者摆脱外源性凝血因子IX频繁输注的终生桎梏；一次输注长期有效，显著改善患者生存
- ✓ 革新机制带来显著疗效安全性获益，帮助患者回归社会创造价值

适保性突出

- ✓ 人群可识别
- ✓ 精算可测算
- ✓ 道德风险低
- ✓ 逆向选择可控
- ✓ 已纳入多地惠民保险
- ✓ 助力提升保险产品美誉度及品牌价值

社会价值非凡

- ✓ 基因治疗，引领生物医药领域创新技术应用发展，催生新兴产业，提升国家竞争力
- ✓ 为患者带来治愈希望，降低长期医疗负担，促进社会公平
- ✓ 经济价值突出，终生费用低于当前标准治疗，可降低患者、医保及社会经济负担