

塞多明基注射液 (华索灵®)

全球**首个**正式获批基于肝细胞生长因子**促血管新生**的CLI基因治疗药物

- ✓ 单疗程给药*长期获益
- ✓ 1类新药，国家重大新药创制专项支持
- ✓ 填补无手术机会CLI患者**对因治疗**空白

北京诺思兰德生物技术股份有限公司

本资料仅用于2026年国家医保目录调整工作 *2周一次，一共三次给药

目录

1 基本信息

全球首个且唯一基于肝细胞生长因子的**基因治疗药物**，**空白参照**

2 有效性

促愈合保护肢体：半年溃疡完全愈合率是安慰剂2.2倍；截肢死亡风险降低87%；9年长期随访5年无截肢生存率67.1%

3 安全性

3期临床研究证实安全性良好；9年随访未见肿瘤发生率升高

4 创新性

中国原创，新靶点、新机制、新结构，**重大新药创制**专项支持

5 公平性

填补严重下肢缺血对因治疗目录**空白**，降低截肢率，减轻医保与家庭长期负担

塞多明基是全球首个HGF基因治疗药物，建议“突破”评级，“无参照”

项目	内容
通用名	塞多明基注射液
规格	2mg (1ml) /瓶
适应症	用于治疗不适合血运重建手术或手术效果不佳的严重下肢缺血（下肢动脉硬化闭塞症、血栓闭塞性脉管炎和糖尿病下肢缺血等）导致的肢体溃疡
说明书用法用量	8mg/次（4支），局部肌肉注射； 每2周给药1次，共给药3次
药品注册分类	治疗用生物制品1类新药
同通用名上市情况	独家产品
获批时间	中国，2026年5月27日（全球首个上市国家）
申报目录类别	基本医保目录

参照药：空白

全球首个，“对因治疗”，目录内无同机制药品

- 全球首个获批的针对无治疗选择的严重下肢缺血（CLI）溃疡患者的基因治疗药物。
- 目前医保目录中无CLI“对因”治疗药物，更无相同作用机制药品。

临床及医保目录内无相同适应症药品

- 无治疗选择的CLI患者目前仅对症处理或等待截肢，目前全球范围内尚无安全有效的治疗药物。
- GVG及中国老年医学学会共识等权威指南共识指出“基因治疗”作为无治疗选择的CLI患者的新的有效治疗方式。

经国家医保局预沟通，参照药为“空白”

CLI疾病危害巨大，无手术机会患者预后极差，缺乏对因治疗药物

严重下肢缺血性疾病 (CLI)：临床常见的一种疾病，通常因动脉硬化闭塞症、糖尿病性动脉硬化闭塞症和血栓闭塞性脉管炎等引发下肢动脉狭窄或闭塞、血流灌注不足引起，临床症状主要以腿部和脚部**静息痛、溃疡及坏疽**为主，严重者将面临**截肢甚至死亡**。

疾病的基本情况

6.6%

我国≥35岁人群中下肢缺血性疾病患病率为**6.6%**，约**4530万人**¹

10%

CLI是下肢缺血性疾病的**终末阶段**，约占10%²，标准治疗方案是**血运重建**

5%~20%

CLI患者中有5%~20%^{3,4}**因没有合适流出道、合并症复杂、术后再闭塞**等原因不适合血运重建或手术效果不佳²

未被满足的需求

**无手术机会患者
无对因治疗选择**

现有药物仅能对症缓解静息痛、辅助控制感染，无法从根本上改善肢体灌注⁵

**截肢风险极高
预后极差**

12个月截肢率和死亡率均高达22%⁵；大截肢后5年死亡率高达30%~70%

疾病负担沉重

长期静息痛、溃疡不愈、生活质量极低；截肢后长期护理并引发巨大经济负担

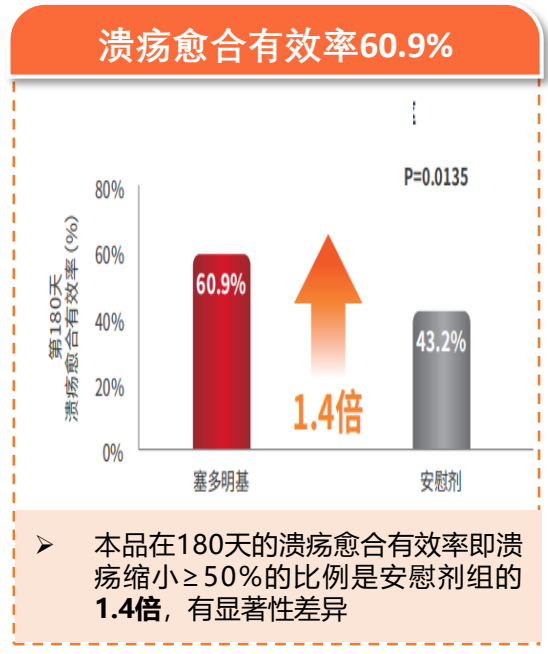
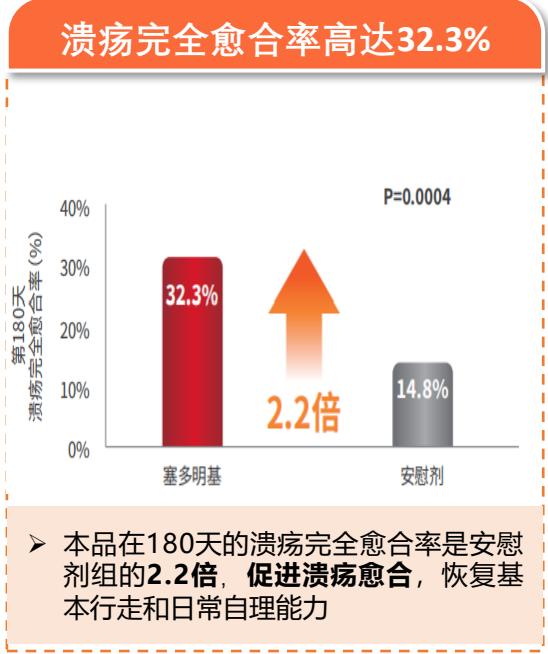
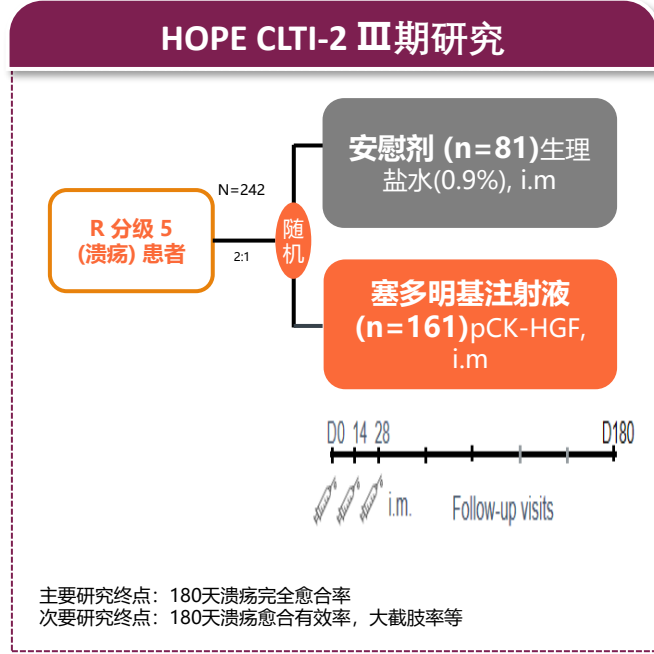
**目前仅能对症处理/等待截肢
无手术机会患者亟待新治疗方案**

无手术机会患者，12个月的截肢率、死亡率均高达22%，截肢后的患者5年死亡率超过50%

1.国家心血管病中心,中国心血管健康与疾病报告2022,北京,中国协和医科大学出版社.. 2.桂亮,李拥军.基因治疗性血管生成在下肢缺血性疾病中的研究进展,中国普外基础与临床杂志.2022.. 3. Ghare MI, Parikh SA. No-option critical limb ischemia: a review of current and future therapies. J Crit Limb Ischemia. 2021;1(3):E85-E92. 4. Lipsky BA, Berendt AR, Cornia PB, et al. 2012 Infectious Diseases Society of America clinical practice guideline for the diagnosis and treatment of diabetic foot infections. Clin Infect Dis. 2012;54(12):e132-e173.5. Abd Moain Abu Darbh, MBCh, MS,et al.The natural history of untreated severe or critical limb ischemia.Journal of vascular surgery.2015.

塞多明基让近1/3无手术机会患者溃疡完全愈合、超6成患者溃疡显著改善

- **关键III期临床试验**：多中心、随机、双盲设计，共计纳入242例严重下肢缺血溃疡患者
- 其中**94%**的患者为**无手术机会患者**

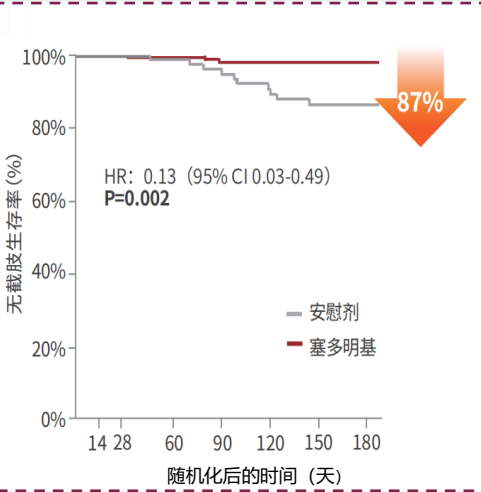


1. 塞多明基注射液说明书.
2. Di X, et al. Mol Ther. 2025 Jul 2;33(7):3423-3433.

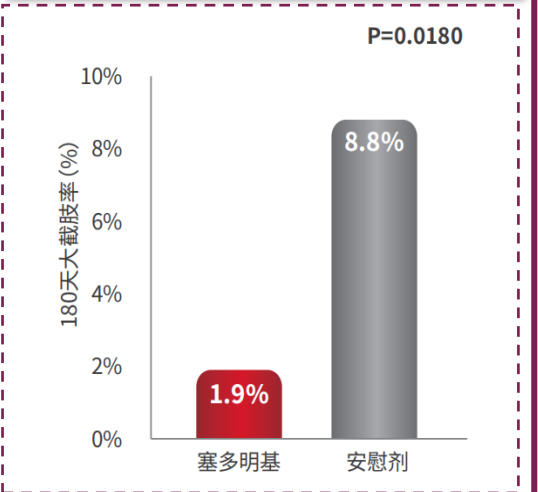
塞多明基让大截肢或死亡风险降低87%，5年无截肢生存率是安慰剂组的1.8倍

III期临床试验观察期内 显著改善患者预后¹

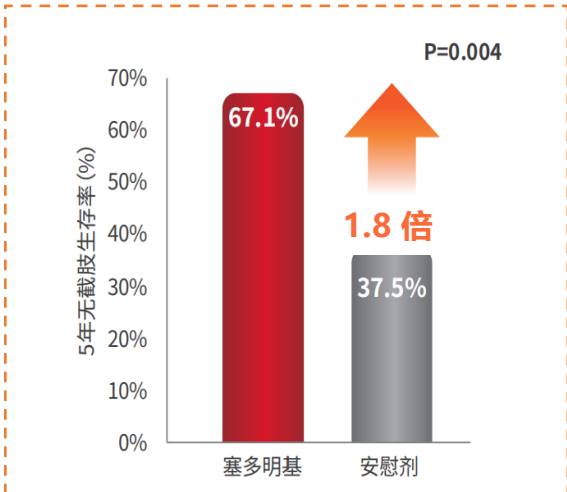
显著降低大截肢与死亡风险



显著降低180天大截肢率



II期临床试验长期随访²表明 5年无截肢生存率显著提高



观察期内无治疗选择会CLI溃疡患者的大截肢或死亡发生风险，较安慰剂组显著降低87%

长期随访证实，超过2/3的患者仍然生存且免于大截肢，得以维持基本行走能力和日常自理能力，免于轮椅和长期卧床。

大截肢的定义：踝关节以上截肢

1.Di X, et al. Mol Ther. 2025 Jul 2;33(7):3423-3433. 2.Gu Y, et al. Vascular Investigation and Therapy. 2024 Jan-Mar;7(1):14-17.

权威指南/共识明确推荐：基因治疗是无手术机会患者的有效选择

慢性肢体威胁性缺血治疗的
全球血管指南
(GVG, 2019年)¹

- ✓ 生物学或再生医学治疗包括**基因治疗**和细胞治疗，提供了**促进伤口愈合**的潜在可能性，从而使那些不能行血管重建治疗的**患者得以保肢**。

老年人下肢动脉粥样硬化闭塞症管
理中国专家共识
(中国老年医学学会, 2026年)²

- ✓ **基因治疗**和干细胞治疗能够显著提高患者的步行距离和生活质量，同时**减少疼痛和溃疡**的发生，在老年人PAD的治疗有较好的前景。

塞多明基注射液治疗严重下
肢缺血临床应用专家共识
(发布在即)

- ✓ **塞多明基注射液**作为国内首个获批用于CLI的基因治疗药物，填补了不适合血运重建手术或手术效果不佳患者的治疗空白。

1. Conte MS, et al. Global Vascular Guidelines on CLTI. Eur J Vasc Endovasc Surg, 2019, 58(1S): S1-S109.

2. 《老年下肢动脉粥样硬化闭塞症管理中国专家共识》，中国普通外科杂志，2026，35(1):21-31

3期临床研究证实安全性良好，9年随访未见肿瘤发生率升高

11.2%
总不良反应发生率¹
(18/161, 28次)

0例
严重不良反应
无3级及以上¹

9年
长期随访未见
肿瘤发生率升高²

全部
不良反应均可自行消退¹

说明书安全性信息¹ (III期临床试验)

- III期临床试验不良反应发生率11.2% (18/161, 28次)
- 常见不良反应为局部注射部位反应，可自行消退
- 所有不良反应均为轻中度，无严重不良反应

长期随访安全性² (9年观察研究)

- 与安慰剂相比，本品局部肌肉注射后未增加恶性肿瘤发生的风险
- MACE事件发生率显著低于安慰剂组，长期安全性良好

载体安全性

- 本品为pCK裸质粒载体
- 各载体元件与人的基因组无同源序列，理论上没有发生基因整合的风险
- 遗传毒性试验中也未发现基因组的整合

局部注射部位不良反应详情 (N=161)

不良反应类型	发生率分类	发生率 n(%)
注射部位水肿	常见	4 (2.5%)
注射部位肿胀	常见	2 (1.2%)
注射部位疼痛	偶见	1 (0.6%)
注射部位皮疹	偶见	1 (0.6%)
注射部位出血	偶见	1 (0.6%)

安全性小结

- ✓ 无全身系统性毒性，仅局部注射反应
- ✓ 所有不良反应均可自行消退，无需特殊处理

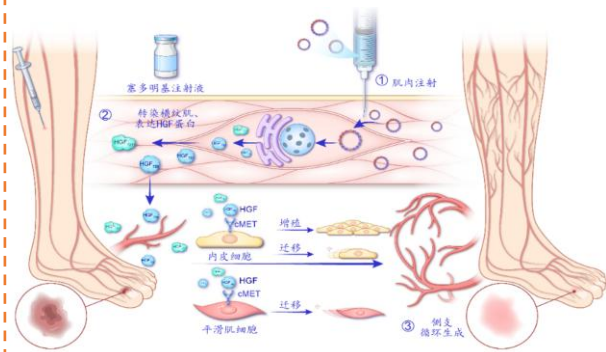
MACE: 定义为影响非试验腿的严重下肢缺血或大截肢、心肌梗死、心力衰竭、脑出血、短暂性脑缺血发作、卒中等心脑血管事件

1.塞多明基注射液说明书. 2.Gu Y, et al. Vascular Investigation and Therapy. 2024 Jan-Mar;7(1):14-17.

中国原创：新靶点、新机制、新结构，全球首个裸质粒载体的基因治疗药物

机制创新

通过肌肉注射，转染横纹肌细胞，表达和分泌HGF蛋白，通过与血管内皮细胞表面c-Met受体结合，刺激内皮细胞的增殖和迁移，同时促进平滑肌细胞迁移，形成新生血管，从而建立侧支循环，改善下肢血流灌注，以达到治疗缺血性疾病的目的。



结构创新

利用自主构建的高效表达载体和同时表达两种HGF异构体的杂合基因构建裸质粒基因治疗药物，具有独创性和创造性。

应用创新

- 一个疗程给药，**长期获益**；
- 门诊肌肉注射即可完成全部治疗，无需住院；
- 填补了无手术机会患者的治疗空白；

十一五、十三五“重大新药创制”专项支持



自主知识产权，获中、美、日、韩发明专利



填补CLI对因治疗目录空白，避免截肢，减轻医保与家庭长期负担

1 符合保基本原则

- 塞多明基注射液**单疗程用药**，长期获益。降低医保长期支出
- 降低**截肢**风险，减少高昂手术成本和术后假肢配置、康复护理、长期照护成本。

2 填补目录空白

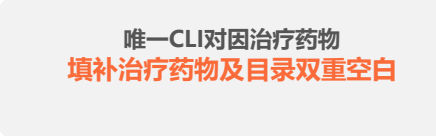
- 全球**首个**获批的针对无治疗选择的CLI溃疡患者的基因治疗药物，提供新的治疗选择，填补目录空白。
- 临床及目录内均不存在**与塞多明基具有相同适应症、相同机制或相同临床定位的已上市药物。

3 提升公共健康水平

- 无治疗选择的CLI患者5年死亡率超50%，高于多数恶性肿瘤。塞多明基注射液以基因治疗，**提升无截肢生存率**，助力“健康中国2030”。
- 从“**被动等待截肢**”转向“**主动促进血管再生**”，改写无治疗选择的CLI患者终末期预后。
避免截肢保留劳动能力，**减轻疾病负担**，提升公共健康水平。

4 便于临床管理

- 适应症明确**，有**明确判断标准**，诊疗路径成熟清晰，利于临床及医保管理。
- 门诊治疗模式，无需复杂手术设施，可在普通治疗室完成，**节约医疗资源**。
- 安全性良好，不良反应均为中轻度，可自行缓解，**未见基因整合风险**。



单疗程避免截肢，填补目录双重空白，提升公共健康，门诊管理简便，长期医保更经济

1.Armstrong DG, et al. Five year mortality and direct costs of care for people with diabetic foot complications are comparable to cancer. J Foot Ankle Res. 2020, 13(1): 16.

药品总结：真创新、无参照，期待纳入医保目录，填补CLI对因治疗药物空白！

有效

疗效优： D180溃疡愈合率32.3%，安慰剂2.2倍

截肢低： 大截肢率仅1.9% (vs 安慰剂8.8%)

风险降： 截肢死亡风险降低87%， $P=0.002$

长获益： 5年无截肢生存率67.1%

创新

真创新： 1类新药，全球首创基因治疗药物

全首创： 全球首个促血管新生治疗性药物

国家认： 国家重大新药创制专项2次支持

专利强： 中、美、日、韩四国核心专利保护

安全

安全优： 不良反应发生率11.2%，大多可自行缓解

风险低： 裸质粒载体，基因整合风险极低

不致癌： 9年随访肿瘤发生率未见升高

MACE低： MACE发生率显著低于安慰剂

公平

填空白： 填补CLI治疗药物和目录双重空白

长获益： 单疗程使用，5年持续保肢，医保高效

好管理： 适应症明确，无滥用风险，门诊注射

减负担： 降低截肢率，减轻患者家庭及社会负担