

罗泽利昔珠单抗注射液 (优迪革®)

—— 用于治疗 乙酰胆碱受体抗体阳性(AChR Ab+) 或 肌肉特异性受体酪氨酸激酶抗体阳性(MuSK Ab+) 、
成人、全身型重症肌无力(gMG)患者

- 中国**首个且唯一同时覆盖**AChR Ab+和MuSK Ab+ gMG的精准靶向治疗药物
- 唯一人源化IgG4单抗，皮下注射，**快速起效、持久稳定、安全便捷**
- 填补MuSK Ab+**临床治疗和医保目录空白**，治疗应答率达**100%**
- **升级替代**医保目录内现有AChR Ab+治疗药物，更高效安全

目录

01 疾病情况

- 全身型重症肌无力（gMG）**迅速恶化带来严重负担**，未满足需求极大
- MuSK Ab+危急重症风险更高，**无药可治**

02 药品信息

- 罗泽利昔珠单抗：**首个且唯一**同时覆盖AChR Ab+和MuSK Ab+ gMG
- 参照药：依库珠单抗注射液
- 等级评价建议：**突破**

03 突破创新

- 唯一人源化IgG4单抗，结构稳定，免疫原性低
- 具高度靶向性，高亲和力，直击病源
- 《Nature》认可的**新时代全新治疗手段**

04 高效持久

- 控制临床症状，改善活动能力，**减少疾病加重**，全面实现指南治疗目标
- **快速起效、持久稳定**
- 获得多个国内外权威指南推荐

05 安全便捷

- 安全性与安慰剂相似，**耐受性佳**
- **真实世界**无新发预期外不良事件
- 皮下注射，应用便捷

06 公平性提升

- 填补临床治疗和医保目录空白
- 实现长间隔给药
- 极具经济性

全身型重症肌无力(gMG) 导致肌无力危象, 危及生命; Musk Ab+患者疾病负担更重, 尚无有效治疗手段

gMG是罕见病 MuSK Ab+患者人数有限

- 重症肌无力(MG)是由自身致病性抗体IgG损伤神经-肌肉接头所致的自身免疫性疾病, 已被纳入我国《第一批罕见病目录》¹
- 符合罗泽利昔单抗适应症的年新发患者5915人

中国成年参保患者: 11亿²

MG发病率: 0.68/10万³

MG患者: 7482人

全身型占比: 85%⁴

gMG患者: 6360人

AChR Ab+占比: 85%
MuSK Ab+占比: 8%⁴

AChR Ab+和MuSK Ab+的gMG成人患者: 5915人
(罗泽利昔单抗适应症患者)

- AChR Ab+: 5406人
- MuSK Ab+: 509人

gMG恶化迅速, 疾病负担严重 MuSK Ab+临床表现更重

- gMG导致身体功能受限, 50%患者存在中重度症状或残疾⁵; 病情反复、迅速恶化, 加重至肌无力危象, **危及生命**, 需要住院及插管通气治疗, 平均治疗时间长达20天至34天⁶
- 30岁和50岁为发病高峰³, 69%患者无法工作⁷, 65%患者需要每日照护⁸, **给家庭和社会带来沉重负担**

⚠ MuSK Ab+患者临床表现更重, 存在更高的危急重症风险, 入住ICU和住院时间更长⁹

- 90%发病后一年内疾病加重¹⁰
- 53.6%延髓肌受累, 导致呼吸危象, 死亡风险更高¹⁰

缺乏高效、安全的精准靶向治疗药物 MuSK Ab+患者无药可用

- 传统治疗*仅对症治疗³, 短暂缓解症状, 62%患者治疗后仍处于中重度疾病状态¹¹
- 47%患者对现有治疗方案不满意, **疗效、安全性及便捷性不足, 且伴有感染及共病风险¹²**
- 对于AChR Ab+治疗, 现有生物制剂(依库珠单抗注射液、艾加莫德α注射液) **感染风险更高¹³⁻¹⁴, 安全性欠佳**

⚠ MuSK Ab+患者对于传统疗法应答有限, 甚至无应答¹⁵, 临床治疗上和医保目录内均无有效治疗手段

- 亟需创新药物, 全面实现指南治疗目标³: **症状控制最佳** (达到微小状态或更好), **耐受性良好** (治疗相关副作用≤1级)

* 传统治疗: 胆碱酯酶抑制剂、糖皮质激素、免疫抑制剂、胸腺切除术、静脉输入人免疫球蛋白、血浆置换
IgG: 免疫球蛋白G
AChR Ab+: 乙酰胆碱受体抗体阳性
MuSK Ab+: 肌肉特异性受体酪氨酸激酶抗体阳性

1. 《关于公布第一批罕见病目录的通知》(国卫医发[2018]10号)
2. 《中华人民共和国2024年国民经济和社会发展统计公报》
3. 《中国重症肌无力诊断和治疗指南(2020版)》
4. Tannemaat MR, et al. Handb Clin Neurol. 2024;200:283-305.
5. Cutter G, et al. Muscle Nerve. 2019 Dec;60(6):707-715.

6. Nelke C, et al. J Neuroinflammation. 2022 Apr 12;19(1):89.
7. Twork S, et al. Health Qual Life Outcomes. 2010 Nov 11;8:129.
8. Marbin D, et al. Sci Rep. 2022 Nov 11;12(1):19275.
9. Clayton B, et al. Muscle Nerve. 2023 Jul;68(1):8-19.
10. Zhou Y, et al. Front Neurol. 2022 Apr 8;13:879261.

11. Mahic M, et al. Orphanet J Rare Dis. 2023 Jun 29;18(1):169.
12. Petersson M, et al. Neurology. 2021 Oct 4;97(14):e1382-e1391.
13. 艾加莫德α注射液说明书
14. 依库珠单抗注射液说明书
15. Iorio R. Nat Rev Neurol. 2024 Feb; 20(2): 84-98.

罗泽利昔珠单抗是首个且唯一同时覆盖AChR Ab+和MuSK Ab+ gMG的精准靶向治疗药物

药物基本信息

申报目录类别：基本医保目录

通用名：罗泽利昔珠单抗注射液

规格：280mg(2ml)/支

适应症：用于治疗乙酰胆碱受体(AChR) 或 肌肉特异性受体酪氨酸激酶(MuSK) 抗体阳性的成人全身型重症肌无力(gMG)患者

用法用量：

说明书原文

一个治疗周期为6周，每周给药一次。应根据临床评价进行后续治疗周期给药。在前一个治疗周期开始后的63天内开始后续治疗的安全性尚未确立。体重60kg的患者，每次剂量为420mg(3ml)。
【临床试验】中期数据（研究时长约1年）显示：接受本品治疗的患者平均在一年内启动4个周期（范围：1-7个周期），周期之间间隔的中位时间为98天¹

文献

* 临床试验 终期数据（研究时长达3.1年）显示：接受本品治疗的患者一年平均接受2.9个周期的治疗（注射16次）²

中国大陆首次上市时间：2025年3月

注册分类：治疗用生物制品3.1类

目前大陆地区同通用名药品上市情况：独家，中国专利至2033年

全球首个上市国家/地区及上市时间：美国，2023年6月

是否为OTC药品：否

* 新增规格420mg(3ml)/支的补充申请已于2025年4月向CDE递交并获得受理
唯一双规格，减轻患者负担

参照药品建议

依库珠单抗注射液

罗泽利昔珠单抗是中国首个且唯一同时覆盖AChR Ab+和MuSK Ab+ gMG的精准靶向治疗药物；临床试验为安慰剂对照

医保目录内依库珠单抗注射液适合作为医保参照药

- 药物结构相似：同为完整单抗，且为临床应用较广泛的生物制剂之一
- 适应症相近：罗泽利昔珠单抗包含其适应症人群（难治性AChR Ab+ gMG）
- 创新价值具可比性：MuSK Ab+患者对于传统治疗无应答，属难治性，罗泽利昔珠单抗具备治疗难治性的价值；无黑框警告；安全性和临床价值更高

艾加莫德α注射液药物结构为Fc片段，医保药品分类不同，属于选择性免疫抑制剂（罗泽利昔珠单抗为单克隆抗体），不适合作为医保参照

等级评价建议

突破

唯一获批用于治疗MuSK Ab+的创新药物，突破无药可治的困境，且疗效卓越，治疗应答率达100%

升级替代医保目录内现有AChR Ab+ gMG治疗药物，更高效安全

纳入优先审评、孤儿药目录(美国、欧盟、日本)³⁻⁵；国际权威期刊《Lancet》、《Nature》认可的创新药物⁶⁻⁷

创新突破的临床价值，获得国外权威医疗卫生和保险机构高度认可⁸⁻⁹

法国 HAS

在临床收益水平评估(SMR)中，被评为“重要”，系最高级别⁸

德国 G-BA

在临床获益评估中被评为“相当大的附加效益”，属第二级（仅次于最高级，共六级）⁹

Fc: 可结晶片段
HAS: 法国国家卫生局
GBA: 德国联邦联合委员会
Ab+: 抗体阳性
难治性的标准: 使用≥2种常规免疫治疗药物后，症状无改善或加重；或反复复发；发生危象难以控制

1. 罗泽利昔珠单抗注射液说明书
2. Tian Vu, et al. MGFA International 2025, The Hague, Netherlands; 13-15 May 2025.
3. <https://www.fda.gov/media/177082/download>
4. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/rystiggo>
5. <https://www.mhlw.go.jp/content/11121000/000680690.pdf>

6. Bril V, et al. Lancet Neurol. 2023 May; 22(5): 383-394.
7. Iorio R. Nat Rev Neurol. 2024 Feb; 20(2): 84-98.
8. https://www.has-sante.fr/jcms/p_3515669/fr/rystiggo-rozanolixizumab
9. <https://www.g-ba.de/sys/suche/?suchbegriff=Rystiggo>

2

罗泽利昔珠单抗全球首创分子结构获核心专利，被《Nature》评为新时代全新治疗手段

罗泽利昔珠单抗注射液（唯一人源化 IgG4单抗，皮下注射），具突破创新价值

1. 精准靶向，更高效持久

- 罗泽利昔珠单抗具备高度靶向性和特异性，与FcRn受体**更精准结合**⁴，**更快速高效清除致病性抗体**⁵
- 在酸性和中性环境下均具**更高亲和力**与FcRn结合⁶⁻⁷，**疗效稳定持久**（同治疗领域药物仅酸性环境下作用⁸）
 - pH 6.0(酸性)，Kd值 0.02nM (vs. 同治疗领域药物 14nM⁸)
 - pH 7.4(中性)，Kd值 0.03nM (vs. 同治疗领域药物 320nM⁸)

2. 结构稳定，更安全耐受

- 通过残基突变减少Fab臂交换，实现**结构更稳定**^{4,9}，使药物具有更长的血清半衰期和更好的组织分布性⁹
- 创新修饰结构，不影响白蛋白的正常结合位点，**对白蛋白水平无影响**^{4,10}
- IgG4作为基础抗体，较其他IgG亚型的**免疫原性更低**（诱导ADCC以及CDC效应的风险更低）¹¹；**无黑框警告**

3. 临床使用更便捷

- 唯一对MuSK Ab+ gMG有确切疗效的创新药**
- 长间隔给药，年均治疗仅2.9个周期(注射16次)**¹²
- 皮下注射**，快速、便捷，依从性佳；稳定性跃升，效期长达**36个月**（同治疗领域中最长），便于管理

医保目录内现有生物制剂

依库珠单抗注射液

(IgG2/4κ单抗，静脉输注)

- 黑框警告：严重脑膜炎球菌感染**¹
- 一年输注**28次**¹

艾加莫德α注射液

(IgG1 Fc片段，静脉输注)

- 感染风险**²
- 年均治疗**4.7个周期(输注18.8次)**³

IgG：免疫球蛋白G
Fc：可结晶片段
FcRn：新生儿Fc受体
Kd：解离常数
nM：纳摩尔每升

Fab：抗原结合片段
ADCC：抗体依赖性的细胞介导的细胞毒性作用
CDC：补体依赖的细胞毒性作用

1. 依库珠单抗注射液说明书
2. 艾加莫德α注射液说明书
3. Howard JF Jr, et al. Front Neurol. 2024 Jan 17;14:1284444.
4. Smith B, et al. MAbs. 2018 Oct;10(7):1111-1130.
5. Bril V, et al. Lancet Neurol. 2023 May; 22(5): 383-394.

6. Lledo-Garcia R, et al. CPT Pharmacometrics Syst Pharmacol. 2022 Jan;11(1):116-128.
7. Zhu LN, et al. Neural Regen Res. 2023 Aug;18(8):1637-1644.
8. Ulrichs P, et al. J Clin Invest. 2018 Oct 1;128(10):4372-4386.
9. Mortensen ACL, et al. Sci Rep. 2023 Nov 24;13(1):20648.
10. Qureshi OS, et al. MAbs. 2024 Jan-Dec;16(1):2300155.

11. 陈忱, 等. [J]. 药学报, 2015,50(7): 802-807.
12. Tian Vu, et al. MGFA International 2025, The Hague, Netherlands; 13-15 May 2025.

短期、长期疗效均证实罗泽利昔珠单抗快速起效、持久稳定，患者持续获益

短期疗效

- 快速起效**：首个周期即实现指南治疗目标，控制临床症状，改善活动能力，减少疾病加重
- 突破MuSK Ab+无药可治的困境**，填补临床治疗空白，疗效卓越

主要疗效衡量指标		罗泽利昔珠单抗 +常规治疗药物	安慰剂+ 常规治疗药物
控制临床症状 改善活动能力	重症肌无力日常生活 活动量表(MG-ADL) 评分变化 (主要终点)	-3.37	-0.78 无实质性改善
		-7.28	+2.28 甚至恶化
	MG-ADL应答率	72%	31%
		100%	14.3%
	重症肌无力复合量表(MGC)评分变化	-5.93	-2.03 微小改善
减少病情加重	定量重症肌无力(QMG)评分变化	-5.40	-1.92 无临床意义*
	由于病情恶化而使用救援治疗(IVIg, PEX)的患者比例	0	4.5%

临床试验MycarinG研究¹

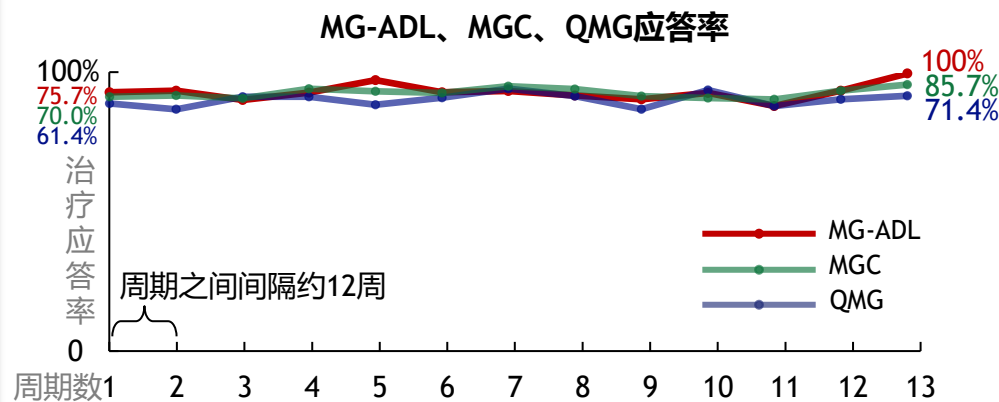
- 为期14周：治疗6周（每周注射1次）+观察8周，全球多中心、随机双盲、安慰剂对照、III期试验
- 治疗组为罗泽利昔珠单抗+常规治疗药物，对照组为安慰剂+常规治疗药物
- 纳入200例患者（亚洲人群占比11%），治疗组133例，对照组67例

* MGC、QMG评分改善≥3分具有临床意义
MG-ADL应答率：评分改善≥2分的患者比例
IVIg：静脉输注人免疫球蛋白
PEX：血浆置换

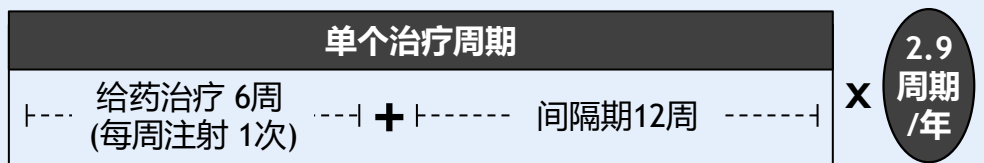
1. Bril V, et al. Lancet Neurol. 2023 May; 22(5): 383-394.
2. Tian Vu, et al. MGFA International 2025, The Hague, Netherlands; 13-15 May 2025.

长期疗效

- 持久稳定**：多周期治疗效果一致，多周期治疗后MG-ADL应答率达100%，患者持续获益，**回归正常生活和工作**



- 实现长间隔给药**：使用罗泽利昔珠单抗治疗的患者**一年平均接受2.9个周期**的治疗（**输注16次**）



临床试验MycarinG的开放性扩展研究²

- 研究时长达**3.1年**；129例患者使用罗泽利昔珠单抗治疗
- 一个治疗周期为6周（每周注射1次），根据临床评价决定后续的治疗周期

罗泽利昔珠单抗突破MuSK Ab+无药可治的困境，治疗应答率100%；升级替代AChR Ab+治疗药物

唯一用于MuSK Ab+的创新治疗药物

- 治疗应答率达**100%**，**疗效卓越¹**
- 患者临床症状显著缓解，活动能力明显提升

MG-ADL应答率



MGC应答率



QMG应答率



■ 罗泽利昔珠单抗 ■ 安慰剂+常规治疗药物

MycarinG研究

升级替代AChR Ab+现有治疗药物

- 首周期后，**更快速清除致病性抗体^{1,2}**，**更高效恢复活动能力**

AChR抗体变化 (清除致病性抗体)

早期治疗目标

-73%

-58%

罗泽利昔珠单抗
首周清除率即达-44%，
快速缓解症状

MG-ADL应答率

■ 罗泽利昔珠单抗

■ 艾加莫德α注射液

72%

68%

MycarinG研究 vs. ADAPT研究

- 治疗期间**无患者病情加重^{1,3}**，**有效控制病情恶化**，减轻疾病加重导致的医疗负担

病情加重至肌无力危象患者%

0

3%

■ 罗泽利昔珠单抗

■ 依库珠单抗注射液

MycarinG研究 vs. REGAIN研究

罗泽利昔珠单抗 MycarinG研究¹：为期14周，纳入200人，治疗组(133人)，对照组(67人)
依库珠单抗注射液 REGAIN研究²⁻³：为期26周，纳入117人，治疗组(56人)，对照组(61人)
艾加莫德α注射液 ADAPT研究⁴：为期26周，纳入167人，治疗组(84人)，对照组(83人)

* 数据来自相关临床试验

MG-ADL应答率：重症肌无力日常生活活动量表 (MG-ADL) 评分改善≥2分

MGC应答率：重症肌无力复合量表 (MGC) 评分改善≥3分

QMG应答率：定量重症肌无力 (QMG) 评分改善≥3分

1. Bril V, et al. Lancet Neurol. 2023 May; 22(5): 383-394.

2. Howard JF Jr, et al. Lancet Neurol. 2021 Jul;20(7):526-536.

3. Muppidi S, et al. Muscle Nerve. 2019 Jul;60(1):14-24.

罗泽利昔珠单抗作为精准治疗的靶向生物制剂，获得国内外多个权威指南/共识推荐

年份	指南/共识	推荐意见汇总
中国	2024 FcRn拮抗剂治疗成人全身型重症肌无力临床应用的专家建议(2024) ¹	罗泽利昔珠单抗是中国 首个且唯一 同时覆盖AChR Ab+和MuSK Ab+ gMG的FcRn拮抗剂，是 唯一 人源化IgG4单抗， 快速、高效直击病源 ，为目前获批产品中 清除总IgG水平降幅最大 的创新药物， 最大降幅达73% ² ，有效改善临床症状和控制病情进展，在临床实践中显示出良好的疗效和安全性
	2020 中国重症肌无力诊断和治疗指南(2020版) ³	靶向生物制剂通过与FcRn结合阻断IgG循环，导致引起自身免疫疾病IgG抗体的快速消耗，罗泽利昔珠单抗不依赖pH浓度， 高亲和力与FcRn精准结合 ，是具备 高度靶向性和特异性的 靶向生物制剂
欧洲	2024 乙酰胆碱受体抗体(AChR)阳性的全身型重症肌无力治疗指南 ⁴	FcRn拮抗剂是 有效和快速 的治疗方法，具有 良好的安全性 ， 真实世界 的经验已证实了临床试验数据的可靠性，罗泽利昔珠单抗是创新的FcRn拮抗剂
德国	2023 肌无力综合征管理指南 ⁵	FcRn已被确立为治疗gMG的新型靶点，罗泽利昔珠单抗靶向FcRn，在III期试验中获得成功， 显著改善了患者的MG-ADL评分，控制临床症状，改善活动能力 ，被推荐用于AChR Ab+和MuSK Ab+ gMG的治疗

1. 李志军 等. [J].中国临床神经科学,2025,33(01):1-9.
2. Bril V, et al. Lancet Neurol. 2023 May; 22(5): 383-394.
3. 中国免疫学会神经免疫分会. [J].中国神经免疫学和神经病学杂志,2021,28(1):1-12.
4. Gilhus NE, et al. Eur J Neurol. 2024 May;31(5):e16229.
5. Wiendl H, et al. Ther Adv Neurol Disord. 2023 Dec 26;16:17562864231213240.

临床试验和真实世界数据均证实罗泽利昔珠单抗安全性良好

罗泽利昔珠单抗长期安全性良好

- 安全性与安慰剂相似，轻至中度，整体不良事件发生率随时间延长而逐渐降低
- 自2023年6月美国获批至今，无新增安全性问题

相较同治疗领域药物，罗泽利昔珠单抗感染风险更低，安全性数值更优

* 数据来自相关临床试验及说明书

罗泽利昔珠单抗 MycarinG研究 ¹	常见不良反应				感染相关不良反应	特殊不良反应	特殊患者使用		
	恶心	鼻咽炎	上呼吸道感染	尿路感染	感染	注射部位反应	65岁以上	肾损伤	肝损伤
	8%	2%	3%	3%	16%	0	无需调整剂量 ⁴	无需调整剂量	无需调整剂量
依库珠单抗注射液 REGAIN研究 ²	13%	15%	16%	/	黑框警告：严重脑膜炎球菌感染，用药前需进行脑膜炎球菌疫苗接种	1% 停药	尚无数据	无需调整剂量	尚无数据
艾加莫德α注射液 ADAPT研究 ³	8%	12%	11%	10%	46%	4%	尚无数据	轻度无需调整剂量，中、重度尚无数据	无需调整剂量

1. Bril V, et al. Lancet Neurol. 2023 May; 22(5): 383-394.
2. Vissing J, et al. J Neurol. 2020 Jul;267(7):1991-2001.
3. Howard JF Jr, et al. Lancet Neurol. 2021 Jul;20(7):526-536.
4. Tuan Vu, et al. AANEM Annual Meeting & MGFA Scientific Session; Savannah, GA, USA; October 15-18, 2024.

罗泽利昔珠单抗填补MuSK Ab+ gMG治疗空白，升级替代AChR Ab+ gMG现有药物

促进 公共健康

- gMG是《第一批**罕见病目录**》收录病种，疾病难控制、易复发，**疾病加重、MuSK Ab+ gMG带来更严重的疾病负担**
- 患者发病高峰为**30岁和50岁左右**，治疗后**可正常生活和工作**

填补临床 未被满足 需求

- **填补MuSK Ab+治疗空白，治疗应答率达100%；升级替代医保目录内现有AChR Ab+治疗药物**
- **快速、高效、持久、安全**，控制临床症状，改善活动能力，减少疾病加重

符合 “保基本”

- 升级替代现有AChR Ab+治疗药物；MuSK Ab+年新发患者仅509人，**医保基金整体支出有限、可控**
- 减少因疾病复发、加重等导致的进一步医疗资源消耗，**节约医保基金支出**

用药便捷 易于管理

- 诊断标准明确，**无临床滥用风险**
- 皮下注射，**长间隔给药，年均2.9周期(注射16次)**，提升依从性与便利性
- 相比同类生物制剂，**稳定性更佳，效期更长，临床易管理**

罗泽利昔珠单抗药物结构**突破创新**，是更高效、持久、安全的精准靶向治疗药物，填补MuSK Ab+ gMG治疗空白

创新

- 精准靶向病源
- 唯一人源化IgG4单抗，结构创新稳定，高亲和力
- 突破MuSK Ab+ gMG无药可治的困境

有效

- 快速起效、持久稳定，更高效清除致病抗体
- 有效控制临床症状，减少疾病加重，恢复活动能力
- 治疗应答率达100%

突破

安全

- 低免疫原性，对白蛋白水平无影响
- 无黑框警告，感染风险更低
- 皮下注射，安全便捷

公平

- 填补MuSK Ab+治疗空白，人群有限，医保基金可控
- 升级替代AChR Ab+治疗药物，不额外占用医保基金
- 长间隔给药，年均2.9周期(注射16次)，更具经济性