

注射用贝林妥欧单抗

(倍利妥®)

百济神州（北京）生物科技有限公司

贝林妥欧单抗是复发或难治急性淋巴细胞白血病领域的“突破创新药物”，可填补目录空白，建议无参照药

产品基本信息：建议参考真实世界证据，实际用药不超过2个周期

- 通用名：注射用贝林妥欧单抗
- 上市情况：独家产品
- 适应症：用于治疗成人和儿童复发或难治性CD19阳性的前体B细胞急性淋巴细胞白血病（R/R B-ALL）
- 规格：35 μg/瓶；每盒含有1瓶冻干粉和1瓶静脉输注溶液稳定剂
- 中国大陆首次上市时间：2020.12
- 首个上市：美国，2014年

【用法用量¹】

【说明书临床研究】

说明书中临床研究中位治疗≤2个周期
中国患者研究中位治疗1个周期

【真实世界证据】

已公开发表中国人群真实世界研究显示，患者中位治疗1个周期

【指南共识】

贝林妥欧单抗中位治疗1-2个周期

【国际实践】

可参考国家/地区已纳入报销，实践显示患者平均用药不超过2个周期

建议参照药：无

- 目录内无公认的标准治疗方案，本品是该领域“突破创新药物”，填补临床和目录空白
- 全球首个且唯一*CD3-CD19双特异性抗体，近二十年首个用于复发或难治急性淋巴细胞白血病的免疫治疗药物
- 本品是国内唯一获批用于**儿童**复发难治急性淋巴细胞白血病的免疫治疗药物

1. 第一周期1-7天≥45kg者9μg/日，<45kg者5μg/m²/日；第一周期的8-28天及后续治疗周期均给予足剂（≥45kg者28μg/日，<45kg者15μg/m²/日），周期间停药14或56天

* 本品“唯一”截至2025.7，下同



复发或难治急性淋巴细胞白血病发病率低、预后极差，临床无公认的标准治疗方案

**患者人数有限 (~4300人)，中位OS仅3个月，5年生存率低于10%
临床无公认的标准治疗方案，亟需“安全有效的创新药”**

疾病特征：预后极差的罕见肿瘤

【发病率低】

我国急性淋巴细胞白血病（ALL）发病率0.69/10万¹，发病率低，属于罕见肿瘤；儿童发病率2.17/10万，高于成人²

【容易复发】

~50%成人和20%儿童³患者会复发或原发耐药，按发病率推算复发或难治B-ALL患者成人~3,000人，儿童1,300人

【预后极差】

二次或以上复发患者中位OS仅3个月^{3,4}，复发患者5年生存率仅7%-10%⁵，且随着年龄增加有明显下降

未满足需求：临床亟需“安全有效的创新药”

- 复发或难治急性淋巴细胞白血病治疗无公认的标准治疗方案^{3,6}
- 传统化疗毒性严重，患者明显不耐受，缓解率仅20%-30%，缓解短暂（中位持续2.7个月）。大多数复发或难治患者无法达到CR，且不适合进行移植，移植后易复发^{3,7,8}
- 复发或难治急性淋巴细胞白血病的治疗目标：

- | | |
|-------------------|--------------|
| 1.快速高质量血液学缓解（CR） | 移植的前提条件 |
| 2.深度清除微小残留病灶（MRD） | 提高移植成功率、减少复发 |
| 3.增加移植可能性（HSCT） | 当前主要的治愈性选择 |
| 4.最终改善患者生存（OS） | 挽救生命，长期生存 |

1. 卫生部肿瘤防治办公室，中国恶性肿瘤死亡率调查研究，1980:2020
2. 公开资料

3. 注射用贝林妥欧单抗申请上市技术评审报告
4. Blood Cancer J. 2016 Sep 23;6(9):e473.

5 Oriol A, Vives S, Hernandez-Rivas J M, et al. Haematologica, 2010, 95(4):589.
6. CSCO《恶性血液病诊疗指南（2024）》

7. Hummel H D, S Topp M. Journal of Leukemia, 2016, 04(01).
8. Zhou H, et al. Invest New Drugs. 2024 Jun;42(3):299-308.

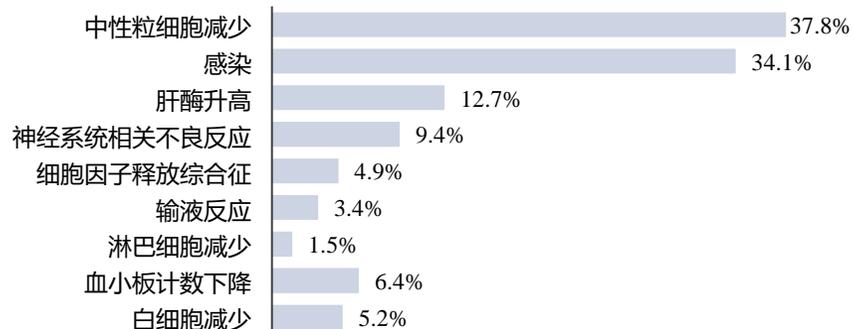


贝林妥欧单抗成人和儿童患者用药安全，患者耐受

用药安全，严重不良反应发生率低¹⁻⁶

成人患者：

≥3级不良事件发生率



儿童患者：

≥3级不良事件发生率



无致死性CRS事件

无致死性神经毒性事件

患者耐受，临床适用性高

- “即用” 标准化药物，无需等待制备
- 半衰期短（平均半衰期2.1小时），不良反应易管理
- **患者可根据实际情况院内或院外输注**
- 老年人按说明书使用，无需额外减量
- **无静脉闭塞性肝病（VOD）/肝窦阻塞综合征（SOS）风险，轻中度肾功能不全无需调整剂量**

相比目录外其他药物具有安全性优势

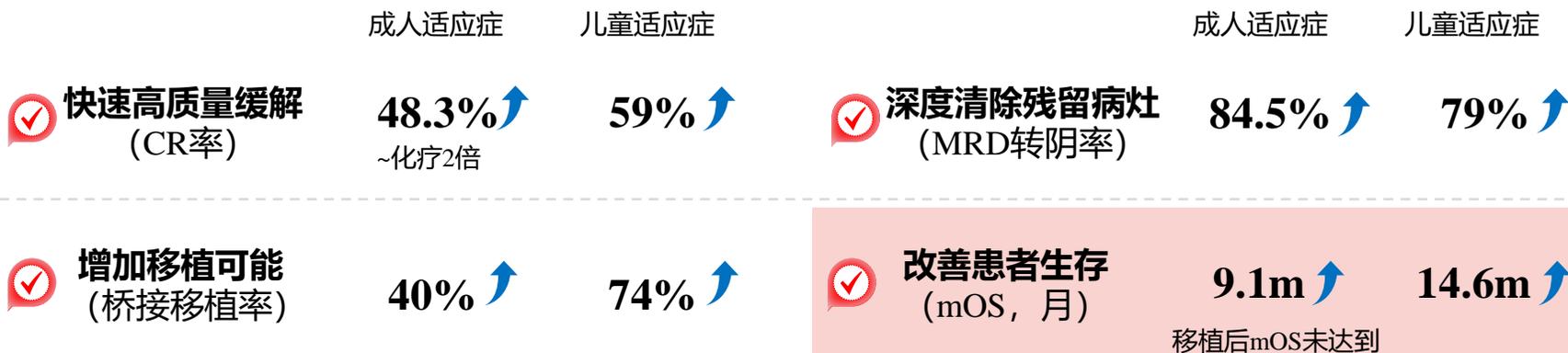
其他药物奥加伊妥珠单抗VOD/SOS风险严重，根据其说明书及技术评审报告⁷⁻¹⁰：

- 奥加伊妥珠单抗最大的安全性风险是肝毒性，包括致命性或危及生命的VOD/SOS，该风险似乎**没有很好的预测和控制手段**，带来的安全性担忧尤为突出
- 治疗后接受造血干细胞**移植的患者发生VOD风险更高**，移植后非复发性死亡风险增加
- 关键研究中**14%**患者报告了VOD，发生5例VOD致死性事件



贝林妥欧单抗具有显著OS获益，让患者实现长期生存；价值突出，获国内外指南一致高级别推荐

唯一成人和儿童复发难治患者均有OS显著获益的免疫治疗药物¹⁻¹⁰



【技术评审报告结论】

“ 成人：患者群体具有迫切的临床需求，贝林妥欧单抗单药治疗在有效性方面的临床价值是明确的

儿童：接受本品治疗可获得**优于历史数据**的完全缓解率，可给儿童患者带来更高的深度缓解，明显降低复发率，延长患者长期生存获益 ”

相比目录外药物，本品儿童用药，有OS获益

► 本品对比目录外药物奥加伊妥珠单抗的优势

【儿童用药】	本品是儿童用药，而奥加伊妥珠单抗国内无儿童适应症
【OS获益】	本品治疗成人及儿童均有OS显著获益 根据技术评审报告，奥加伊妥珠单抗相比化疗的CR/CRi并没有成功转换成OS上的获益，接受移植者OS获益愈加微弱 ¹¹
【CR/CRi相似】	无直接头对头比较数据，回顾性、多中心队列研究显示，两种药物CR/CRi相似 ¹²

国内外指南一致高级别推荐

《CSCO恶性血液病诊疗指南2025》	I级推荐
《NCCN急性淋巴细胞白血病临床实践指南》2025 v1	1类推荐
《中国成人急性淋巴细胞白血病诊断与治疗指南》2024版	基础挽救治疗
《CSCO儿童及青少年白血病诊疗指南2025》	1A类推荐
《NCCN儿童急性淋巴细胞白血病临床实践指南》2025 v3	推荐

1. Jabbour E, et al. JAMA Oncol. 2022 Sep 1;8(9):1340-1348.

2. Goekbuget, et al. Leukemia and lymphoma, 2020, 61(11a12).

3. Gokbuget, et al. Blood: The Journal of the American Society of Hematology, 2019(133-24).

4. Topp MS, et al. Lancet Oncol. 2015;16:57-66.

5. Zhou HS, et al. EHA 2020. EP399. (POSTER)

6. Kantarjian H, et al. N Engl J Med. 2017

7. Locatelli F, et al. Blood Cancer J. 2020;10(7):77.

8. Locatelli F, et al. Blood Cancer J. 2021;11(2):28.

9. Locatelli F, et al. Blood Cancer J. 2021;11(10):173.

10. Locatelli F, et al. Blood Adv. 2022;bloodadvances. 2021005579.

11. 各产品技术评审报告

12. Badar T, et al. Cancer. 2021 Apr 1;127(7):1039-1048.



贝林妥欧单抗是全球首个且唯一获批CD3和CD19双特异性抗体 (BiTE®)

First in Class, 全球首个且唯一获批CD3和CD19 BiTE®

“医药界诺贝尔奖” 盖伦奖, 优先审评, FDA突破性疗法, FDA/EMA孤儿药认证

1

CD19靶点的优势

CD19是ALL免疫治疗的首选靶点, CD19的表达覆盖全体B-ALL患者, 不受B-ALL亚型限制¹

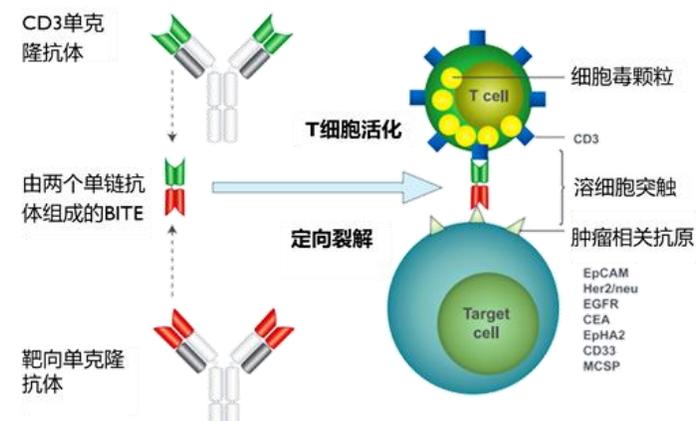
2

BiTE结构的优势

精准靶向: 可识别并结合不同靶细胞选择其特征性的表面抗原

高效/持续杀伤肿瘤: 与靶点有最近距离及最充分作用, 可有效激活T细胞

半衰期短, 易清除



安全性好: 儿童和成人用药安全, 临床适用性高

疗效突出: 填补临床空白, 快速、高质量、深度缓解, 带来OS显著获益

贝林妥欧单抗是白血病患儿的“救命药”，填补临床空白，实际用药周期有限

所治疗疾病 对公共健康的影响

- 急性淋巴细胞白血病儿童发病率高于成人，死亡率高、预后极差，复发或难治患者五年OS率低于10%
- 中国急性淋巴细胞白血病造成的人均潜在生命损失年高达36.3年

全球最低价 实际用药周期短

- **全球最低价，实际用药周期短，适应症患者人数少**
- 可参考国家/地区已将本药纳入医保，实践显示患者平均用药不超过2个周期

填补临床空白

- **首个且唯一**获批CD3-CD19双特异性抗体，First in Class，突破创新药物
- **儿童用药**，唯一国内获批用于儿童复发或难治性急性淋巴细胞白血病的免疫治疗药物
- 安全性好、疗效突出，国内外指南高级别推荐

临床管理难度

- 患者根据实际情况院内或院外输注；精准靶向，处方条件明确，无临床滥用可能性

期待注射用贝林妥欧单抗纳入商保创新药目录

1 具有革新机制

- **First in Class**，全球**首个且唯一** CD3-CD19双特异性抗体
- 获“**医药界诺贝尔奖**”盖伦奖，**优先审评**，**FDA突破性疗法**

3 贴合商保属性

- **儿童用药**，基本医保对治疗药物覆盖有缺口，纳入商保**对广泛人群有吸引力**
- **广泛纳入120余款惠民保**及其他商业健康险，已积累丰富运行经验

2 填补临床空白

- **首个且唯一**用于儿童复发或难治急性淋巴细胞白血病的免疫治疗药物
- **唯一成人和儿童均有OS获益**的免疫治疗药物，优于历史数据的缓解

4 商保赔付可控

- **理赔成本有限，商保资金池风险可控**
 - ✓ 适应症患者仅约4,300人
 - ✓ 价格充分考虑国情，**全球最低价**
 - ✓ **实际用药不超过2个周期**

社会价值显著

急性淋巴细胞白血病预后极差，死亡率高，带来严重的疾病负担和劳动力损失。本品为患者（特别是儿童）带来更多**治愈可能**，让患者**有机会重返社会，共创未来**。

建议评级为“突破”
建议“无参照药”

