

塔奎妥单抗注射液 (拓立珂®)

西安杨森制药有限公司

- 全球首个且唯一靶向GPCR5D的即用型T细胞重定向疗法，与CAR-T作用机制相同
- 骨髓瘤唯一获批Q2W双抗，安全性更优，60.8%抗CD38单抗进展患者OS≥36个月
- 显著降低CAR-T进展后患者83%进展风险，68%死亡风险，PFS 13个月，OS>28.3个月

申报幻灯目录

1

药品基本信息 (P1-P3)

- 临床未满足需求
- 基本信息

2

有效性优势 (P4-P5)

- 治疗BCMA未暴露患者，中位OS超3年
- 显著降低BCMA CAR-T经治患者83%疾病进展风险，68%死亡风险

3

安全性优势 (P6)

- 较CAR-T安全性更优
- GPRC5D独特靶点及Q2W给药，较CAR-T降低50%感染发生率

4

创新性优势 (P7)

- 全球首个且唯一即用型GPRC5D × CD3双抗
- 独特靶点突破BCMA CAR-T进展后治疗困境，降低50%感染发生率

5

公平性优势 (P8)

- 突破三重暴露后临床治疗困境
- 全球上市2年，超5千例患者使用经验，适应症清晰，临床管理难度低

四线及以上的三重暴露患者PFS仅 4.6个月，有效创新疗法均为自费

三重暴露：一种蛋白酶体抑制剂、一种免疫调节剂和一种抗CD38单克隆抗体

多发性骨髓瘤 治疗现状

- 以目录内蛋白酶体抑制剂，免疫调节剂和抗CD38+单抗为主要治疗方式
- 三种机制暴露后(患者占比约1%)**无标准治疗方案**，多以目录内的既往药物再治疗为主，**患者预后极差**
- 创新的**T细胞重定向疗法**，创新程度高，临床价值大，患者获益显著

一线患者

达雷妥尤单抗治疗**PFS 62个月¹**

二线至三线患者

达雷妥尤单抗治疗**PFS 45个月²**

四线及以上的三重 暴露患者

既往药物再治疗方案**PFS仅 4.6个月³**

目录内

蛋白酶体抑制剂，免疫调节剂，抗CD38+单抗为主要治疗方式

目录外

无有效药物

目录内

既往药物再治疗为主要治疗方式

目录外

T细胞重定向疗法：

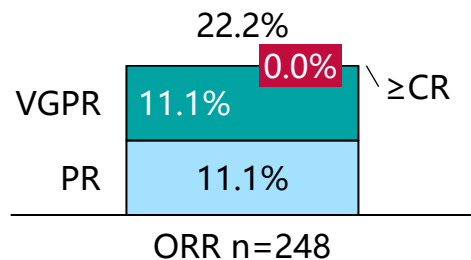
- BCMA CAR-T
- BCMA双抗
- **GPRC5D双抗**

1. Daratumumab (DARA) Lenalidomide Dexamethasone (D-Rd) in Transplant-ineligible Newly Diagnosed Multiple Myeloma (NDMM)_ Key Subgroups of MAIA, presented at the 64th American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting & Exposition; December 10-13, 2022.
2. Bahlis NJ, et al. Leukemia. 2020 Jul;34 (7):1875-1884.
3. 2023 IMS P-325

三重暴露又经BCMA治疗后的五线人群预后更差，PFS仅为2.5个月

BCMA双抗/CAR-T进展后无标准治疗方案
真实世界 $\geq$ CR率为0%²

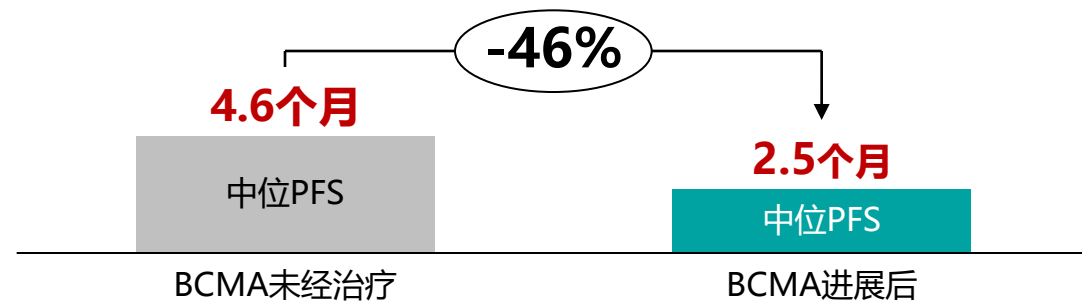
BCMA进展后患者现有治疗方案缓解深度极低



**$\geq$ CR为
0%**

BCMA双抗/CAR-T 进展后：
预后极差，中位PFS仅2.5个月²

BCMA进展后患者生存结局差



塔奎妥单抗解决三重暴露及BCMA进展后困境，填补末线临床空白

通用名		塔奎妥单抗注射液		
注册规格		3 mg (1.5 ml) /瓶; 40 mg (1.0 ml) /瓶		
适应症		单药 适用于既往接受过至少三线治疗（包括一种蛋白酶体抑制剂、一种免疫调节剂和一种抗CD38 抗体）的复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者		
用法用量		- 按照每周一次或每两周一次的给药方案进行皮下注射给药 - 每两周一次给药方案，全年29次注射 - 每周一次给药方案，全年54次注射		
专利到期时间		化合物专利： 2037年7月	是否为独家	是
首次上市时间	中国	2025年2月，注册分类3.1类	目前大陆地区同通用名药品的上市情况	无
	全球	2023年8月，美国		

创新程度高	临床价值大	患者获益显著
全球首个且唯一靶向GPRC5DxCD3即用型T细胞重定向疗法 中国纳入突破性疗法及优先审评，FDA孤儿药资格、突破性疗法认定，欧盟孤儿药资格、优先药物认定	解决抗CD38单抗及BCMA进展后困境 (PFS仅3.8/2.5个月) 灵活给药方案，解决CAR-T一次性治疗失败机会成本大 无继发性恶性肿瘤风险，解决CAR-T患者筛选条件严格，制备过程长，一次性支出高	- 感染率较BCMA双抗及CAR-T最低，安全性高 疗效与CAR-T相当 - 三重及以上暴露患者：PFS 11.2个月，60.8%三重及以上暴露患者OS≥36个月 BCMA或CAR-T治疗失败后的唯一用药选择：CAR-T进展后患者，PFS 13个月，OS>28.3个月，12个月PFS 50% vs CAR-T 38%

建议参照药：伊基奥仑赛

- ① **相同机制**：T细胞重定向疗法
- ② **适应症相近**：既往至少接受过三线治疗的复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者
- ③ **指南地位相同**：强推荐**双特异性抗体**，**CAR-T**治疗三重暴露患者
- ④ **生命周期相同**

三重暴露：包括一种蛋白酶体抑制剂、一种免疫调节剂和一种抗CD38单克隆抗体

与建议参照药对比

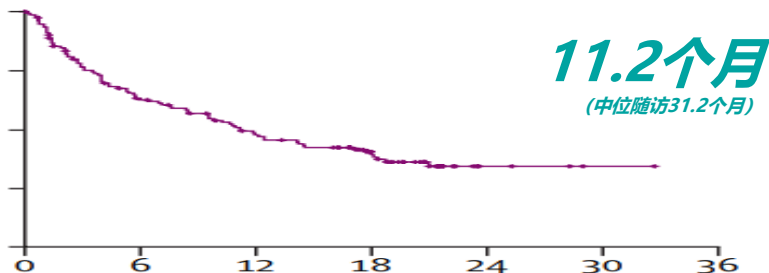
	塔奎妥单抗	伊基奥仑赛	塔奎妥单抗	伊基奥仑赛
患者类型	三重暴露		三重暴露及BCMA CAR-T经治	
≥CR%	40.3%	55.0%	46%	42%
12个月PFS%	54.4%	71.5%	50%	38%
中位PFS	11.2个月	未披露	13个月	未披露
12个月OS%	77.4%	74.8%	未披露	未披露
36个月OS%	60.8%	未披露	未披露	未披露

1..塔奎妥说明书
2. Equecabtogene Autoleucel in Patients With Relapsed or Refractory Multiple Myeloma The FUMANBA-1 Nonrandomized Clinical Trial

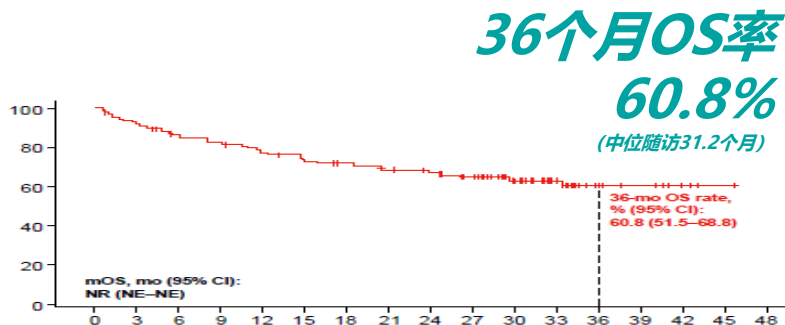
骨髓瘤领域唯一获批Q2W双抗, 60.8%三重暴露患者OS≥36个月, 显著降低53%疾病进展风险及65%死亡风险

Q2W 治疗BCMA未暴露患者(中位5线) **OS超36个月**,
显著降低53% 疾病进展风险及65% 死亡风险

中位PFS Q2W



中位OS Q2W



与真实世界治疗方案间接比较

Response/Hazard Ratio

ORR **2.58** (1.79–3.72) $P < 0.0001$

PFS **0.47** (0.35–0.63) $P < 0.0001$

OS **0.35** (0.24–0.52) $P < 0.0001$

国内外临床指南推荐等级
塔奎妥单抗与CAR-T相同

中国	中国多发性骨髓瘤诊治指南 2024	强推荐 双特异性抗体或CAR-T
	CSCO指南	优选推荐 双特异性抗体或CAR-T
	CACA骨髓瘤指南 2024版	优选推荐 双特异性抗体或CAR-T
美国	NCCN指南 (2025 V1)	首选推荐 双特异性抗体或CAR-T
	MAYO指南 (2023)	优选推荐 双特异性抗体或CAR-T
国际	国际骨髓瘤工作组2021	推荐 BCMA 双特异性抗体或CAR-T

即用型方案治疗BCMA CAR-T进展患者2.7个月即达CR，较现有治疗方案显著降低83%疾病进展风险及68%死亡风险

塔奎妥治疗骨髓瘤BCMA CAR-T进展患者
实现目前最优生存获益

BCMA CAR-T进展患者间接比较

塔奎妥
(中位随访30.4个月)

伊基奥仑赛
(中位随访13.8个月)

快速缓解

2.7个月
达到≥CR

6.1个月
达到≥CR

疗效显著

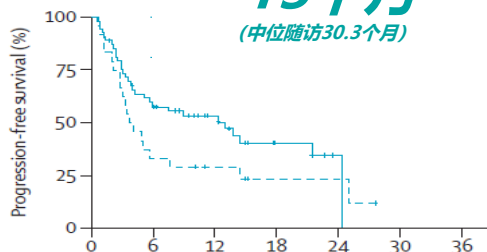
50%
12个月PFS%

38%
12个月PFS%

较现有治疗方案, 显著延长BCMA CAR-T进展患者生存, 显著降低患者83%疾病进展风险, 68%死亡风险

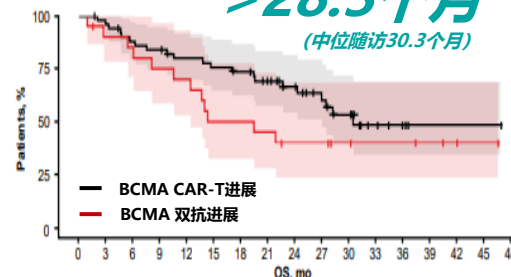
中位PFS

13个月
(中位随访30.3个月)



中位OS

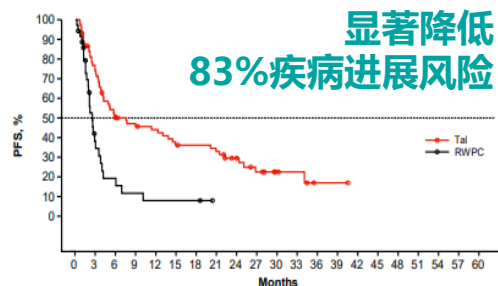
>28.3个月
(中位随访30.3个月)



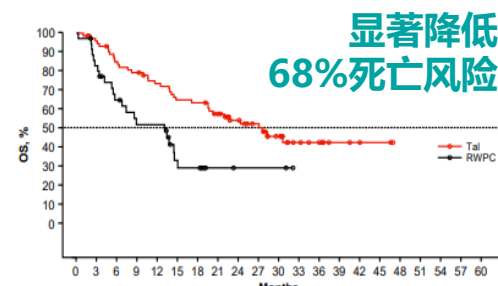
塔奎妥单抗

患者类型	BCMA CAR-T 经治
中位线数	6线
ORR%	74%
≥CR%	46%

中位PFS及OS 与真实世界现有治疗选择间接比较



显著降低
83%疾病进展风险



显著降低
68%死亡风险

Hazard Ratio

PFS **0.17**
(0.06-0.46)

OS **0.32**
(0.11-0.95)

皮下给药及基于体重实现个体化治疗更适合亚洲低体重患者，较CAR-T安全性更优，GPRC5D独特靶点降低一半感染发生率，提高患者长期生存

总体安全性较CAR-T更优

说明书安全性	塔奎妥单抗	伊基奥仑赛
细胞因子释放综合征 (CRS)	78% (1.8% Gr 3/4)	93.2% (1% Gr 3/4)
免疫效应细胞相关神经毒性综合征 (ICANS)	8.8% (2.3% Gr 3/4)	1.9% (0 Gr 3/4)
继发性恶性肿瘤	无	有
肿瘤溶解综合征	无	有
嗜血细胞性淋巴组织细胞增多症/巨噬细胞活化综合征	无	有
特殊人群	轻度肝损，轻中度肾损，老年人，无需调整剂量	需特别关注肝肾心肺功能不全患者

☐ 说明书黑框警告

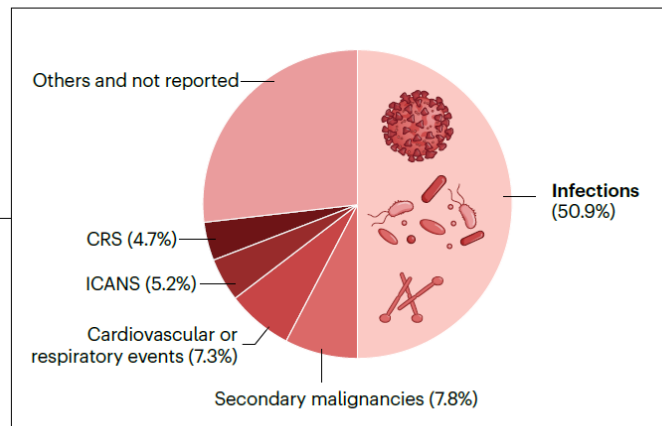
塔奎妥GPRC5D独特靶点及Q2W给药降低感染发生率

感染

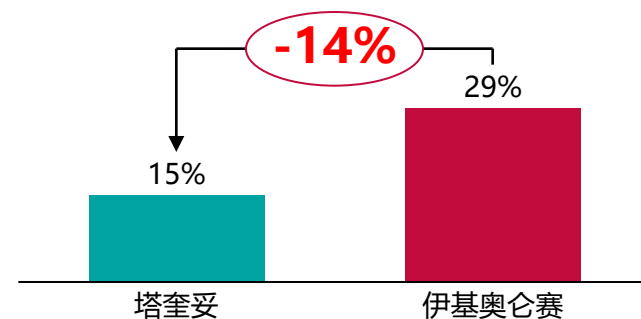
感染是血液肿瘤患者CAR-T后
非复发死亡的首要因素
占据一半以上

伊基奥仑赛FUMANBA-1实验表明：6位患者因感染死亡，占总体死亡患者14位的43%

Top five non-relapse-related causes of death

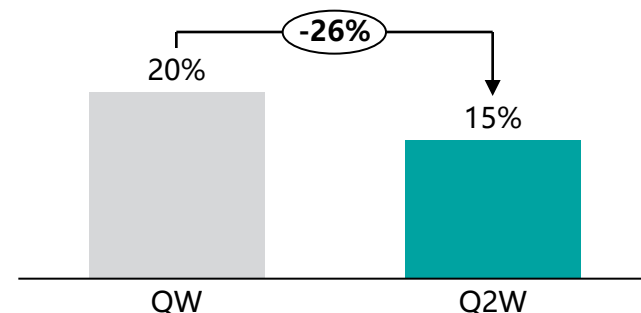


≥3级感染发生率低于CAR-T疗法



B细胞表面未检测到GPRC5D靶点表达，体液免疫功能不受用药影响

≥3级感染发生率随Q2W给药降低



全球首个且唯一即用型GRPC5D×CD3双抗，美国欧洲中国突破性疗法及优先审评

创新性



中国纳入突破性疗法及优先审评



FDA孤儿药资格、突破性疗法认定

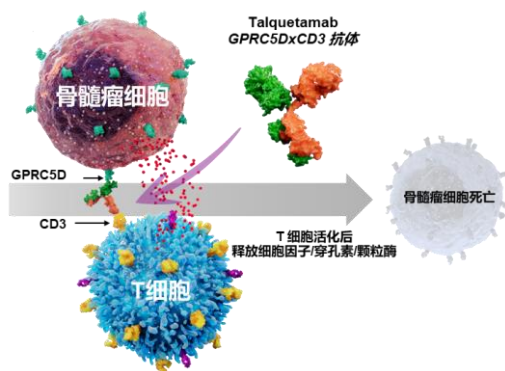


欧盟孤儿药资格、优先药物认定

专利期至2037年7月

全球首创靶向 GPRC5D × CD3即用型全长 IgG4双抗 突破BCMA CAR-T进展后治疗困境

机制创新



塔奎妥单抗通过与 CD3 和 GPRC5D 结合将 T 细胞重定向至表达 GPRC5D 的肿瘤细胞处，无需进行抗原识别，即可引起 T 细胞活化，随后 T 细胞释放一系列细胞因子、穿孔素和颗粒酶，介导表达 GPRC5D 的肿瘤细胞裂解和死亡。

突破BCMA CAR-T进展后治疗困境：

- GPRC5D是骨髓瘤免疫治疗重要靶点，在骨髓瘤细胞中高表达
- BCMA CAR-T经治后GPRC5D治疗依然有效，**塔奎妥12个月PFS%达50% vs 38%伊基奥仑赛**
- GPRC5D靶点相关不良反应级别低，B细胞表面未检测到GPRC5D靶点表达，体液免疫功能不受用药影响

GPRC5D独特靶点降低一半≥3级感染发生率 Q2W给药节省医疗资源

应用创新

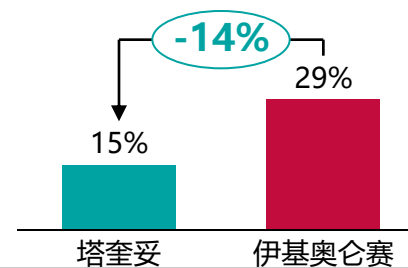
显著降低患者83%疾病进展风险，68%死亡风险

≥3级感染发生率低于CAR-T疗法

Hazard Ratio

PFS **0.17**
(0.06-0.46)

OS **0.32**
(0.11-0.95)



- **便捷性高：**即用型治疗方案，患者无需等待，1.2个月达缓解
- **安全性佳：**总体安全性较CAR-T更优，无继发性恶性肿瘤风险，特殊人群无需调整剂量，**GPRC5D独特靶点塔奎妥单抗≥4级感染发生率低于BCMA CAR-T 50%**
- **更具经济性：**每2周灵活给药方案节省医疗资源，提升患者可及

与CAR-T、BCMA双抗同治疗三重暴露骨髓瘤，纳入目录丰富临床用药选择 且较CAR-T适应症更小，无CAR-T一次性支出高的问题，满足商保“差异化定位与风险可控”两大核心需求

符合商保创新药目录定位

① 创新程度高：

- ① 全球及中国首个且唯一即用型GPRC5D×CD3双特异性抗体，与CAR-T作用机制相同
- ② 中国纳入突破性疗法及优先审评，FDA孤儿药资格、突破性疗法认定，欧盟孤儿药资格、优先药物认定
- ③ 2025年中国获批，专利至2037年

② 临床价值大：

- ① 解决抗CD38单抗及BCMA进展后困境（中位PFS仅3.8/2.5个月）
- ② 灵活给药方案，解决CAR-T一次性治疗失败机会成本大
- ③ 无继发性恶性肿瘤风险，解决CAR-T患者筛选条件严格，制备过程长，一次性支出高

③ 患者获益显著：

- ① 疗效与CAR-T相当：PFS 11.2个月，60.8%三重及以上暴露患者OS≥36个月
- ② 显著优于目录内达雷妥尤单抗治疗≥3线两重暴露患者，PFS 11.2个月 vs 3.8个月
- ③ BCMA或CAR-T治疗失败后的唯一用药选择：CAR-T进展后患者，PFS 13个月，OS>28.3个月，12个月PFS 50% vs CAR-T 38%

风险控制优势

- ① 后线用药，三重暴露患者仅约1%，可精准构建风险测算模型
- ② 按次给药，按疗效评估给药，（CR验证），实现赔付与治疗终点的强关联，赔付上限明确
- ③ 安全性显著优势，降低AE管理带来的综合性治疗费用
- ④ 国内外指南强推荐，为核保提供强力证据，降低理赔争议
- ⑤ 适应症清晰，三重暴露+三线治疗史双重验证，无滥用风险

临床管理优势

- ① 全球上市2年，超5千患者使用，真实世界疗效与注册试验相当
- ② 按体重给药Q2W降低感染发生率，提高生活质量
- ③ 无继发性恶性肿瘤风险，轻度肝损，轻中度肾损，老年人，无需调整剂量，便于临床管理