

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

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，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**；**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

革命性创新突破机制，引领生物医药领域创新技术应用发展，为患者、临床及社会带来显著价值，**助力保险产品升级**

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; 按照公式计算均向上取整; 举例：60kg体重患者，用药体积75ml; 所需药品38瓶 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

- 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
- 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
- 关键III期研究临床试验为**单臂试验**

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

国家知识产权局 (12) 发明专利

国家知识产权局 (12) 发明专利

国家知识产权局 (12) 发明专利

多项突破性成果，国际杂志权威发布

《新英格兰医学杂志》

权威发布

The NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE

EFFICACY AND SAFETY OF AN ENGINEERED, LIVER-TROPIC ADENO-ASSOCIATED VIRUS VECTOR EXPRESSING FACTOR IX ADMINISTERED WITH PROPHYLACTIC GLUCOCORTICOID IN PATIENTS WITH HEMOPHILIA B: A SINGLE-CENTER, SINGLE-ARM, PHASE 3 TRIAL

由新型工程化强嗜肝性新型衣壳AAV843¹⁻²及优化的FIX-Padua构成³⁻⁴

载体AAV843

含有FIX-Padua基因表达盒

- 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⁵
- 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⁶

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

- Xue F, et al. Lancet Haematol. 2022 Jul;9(7)e504-e513
- Sayed N, et al. Life Sci. 2022 Apr 1;294120375.
- Castaman G, et al. Semin Thromb Hemost. 2024 May 31.
- De Wolf D, et al. Hum Gene Ther. 2023 Sep;34(17-18)782-792.

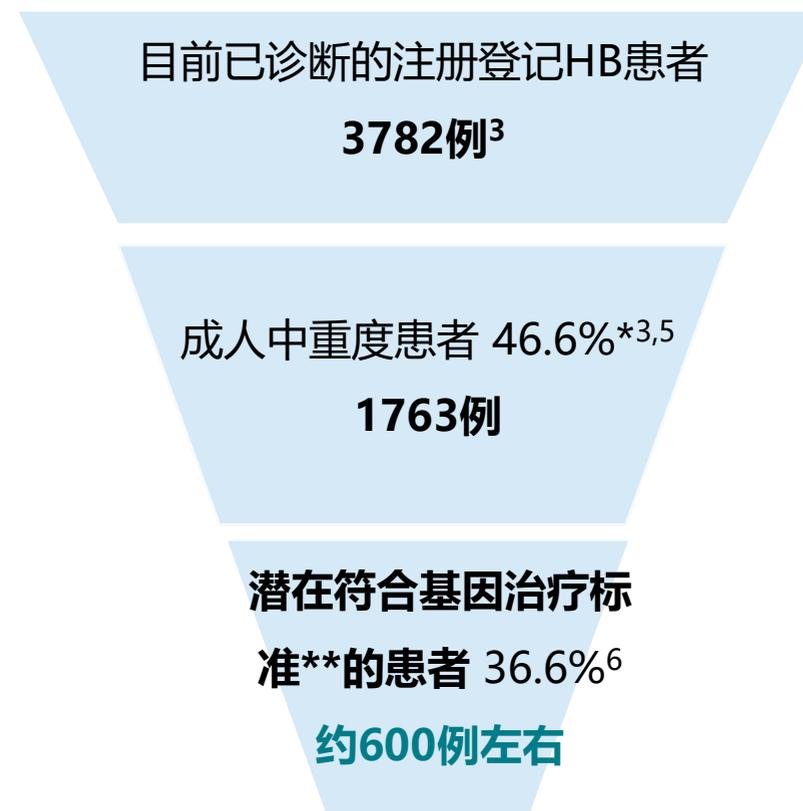
- Aravalli RN, et al. Liver Transpl. 2015 Jun;21(6)718-37.
- Simioni P, et al. N Engl J Med. 2009 Oct 22;361(17)1671-5.

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%**；反复关节出血导致的**关节畸形发生率高达48.2%** 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%患者有慢性疼痛**，**65.3%患者有急性疼痛**，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.

当前血友病B需终生频繁输注外源性FIX，为患者带来沉重“针头负担”，且存在诸多局限，亟需创新治疗方案

当前治疗需终生频繁输注外源性FIX，
为患者带来沉重“针头负担”



一项血友之家对中国血友病B患者治疗负担的调查报告，纳入341例患者进行治疗分析¹

注射导致的疼痛

注射引发疼痛，局部感染和血栓性静脉炎引发静脉疼痛^{1,4,5}

带来针头恐惧

长期反复注射治疗可能给患者带来心理压力和情绪困扰²

静脉通路负担

需要建立静脉通路并护理，频繁注射可能出现血肿，静脉损伤^{5,6}

干扰日常生活

需定期静脉注射，输注不便，耗时间，干扰日常活动⁶

自我注射学习负担

需学习专业知识自我注射，尤其对于儿童患者学习困难⁷

降低依从性

频繁治疗可能导致患者依从性下降，影响治疗效果⁸

当前治疗仍存在诸多局限

出血风险

- 由于凝血因子存在半衰期，传统治疗模式下因子水平存在波峰波谷，因子水平下降时出血风险大；即使足量预防治疗，仍然存在出血风险⁹

关节损伤

- 反复关节出血发生，使得血友病患者关节损伤影响关节功能¹⁰

感染和血栓风险

- 凝血因子需反复静脉注射，增加患者感染和血栓风险¹¹

抑制物风险

- 高强度凝血因子暴露增加抑制物风险，导致疗效降低或治疗无效¹²

1. Huang Y, et al. Front Public Health. 2024 Jan 24;111303787

2. Young L, et al. Am J Manag Care. 2024 May 1;30(5)e157-e164.

3. Zhang L, et al. Patient Prefer Adherence. 2024 Jan 13 18 101-109.

4. Benemei S, et al. Haemophilia. 2024 May;30(3):589-597.

5. Santagostino E, et al. Haemophilia. 2010;16 Suppl 1:20-24.

6. Mannucci PM. J Thromb Haemost. 2023; 21(3)403-412

7. Srivastava A, et al. Haemophilia. 2020;00:1-158 P21

8. Gualtierotti R, et al. Res Pract Thromb Haemost. 2024 Nov 28;9(1):102640.

9. 薛峰, 等. 诊断学理论与实践. 2023; 22(02)89-115.

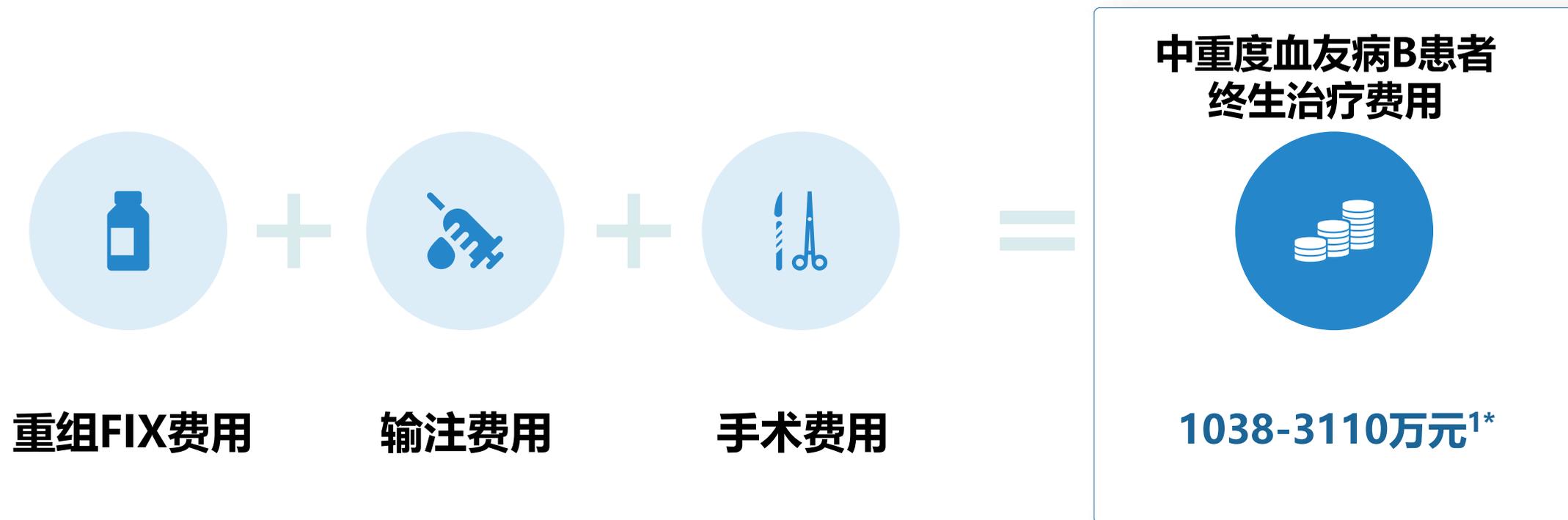
10. Nacca CR, et al. Orthopedics. 2017 Nov 1;40(6)e940-e946.

11. Huang Y, et al. Front Public Health. 2024 Jan 24;111303787

12. 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. 2023; 44(11) 881-889

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

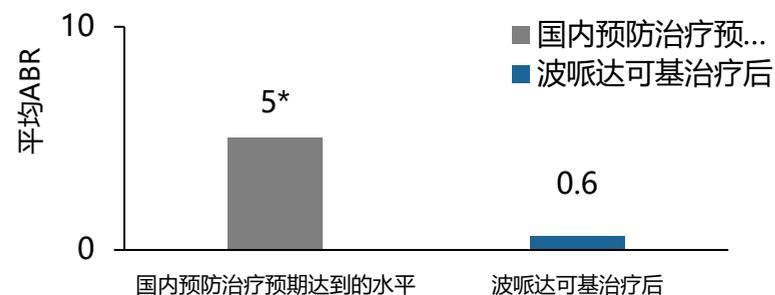


*注：患者标准治疗方案下的长期模拟数据（2021年估算），分为全剂量和低剂量场景，涉及重组FIX费用、输注费用和手术费用。全剂量场景下，患者终生治疗成本为\$4,807,045，低剂量为\$1,603,876，当年的汇率为1美元=6.47人民币

- 重组FIX费用：模拟2-17岁患者预防治疗，成人后按需治疗所需的重组FIX费用
- 输注费用：综合考虑中国 12个代表不同收入水平的省市医疗服务的平均价格
- 手术费用：源自历史研究数据，并根据消费者物价指数（CPI）进行调整，以反映物价变化对成本的影响

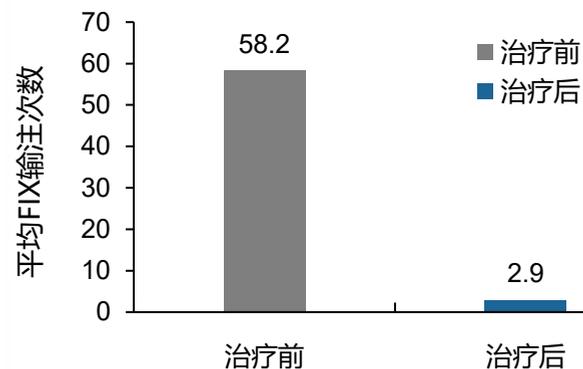
波哌达可基注射液一次输注后，显著减少出血事件发生，显著减少外源性因子注射，带来关节保护，临床获益明确；临床证据显示有望成为同类最佳（Best-in-class）

平均年化出血率低至0.6，显著优于当前标准治疗方案

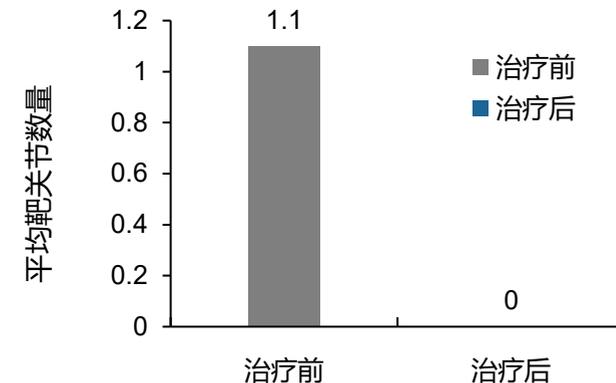


*优效界值为5.0(国内预防治疗人群ABR, 假设为5.0), 与中国药品审评中心(CDE)讨论后选择该固定值作为优效界值

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)

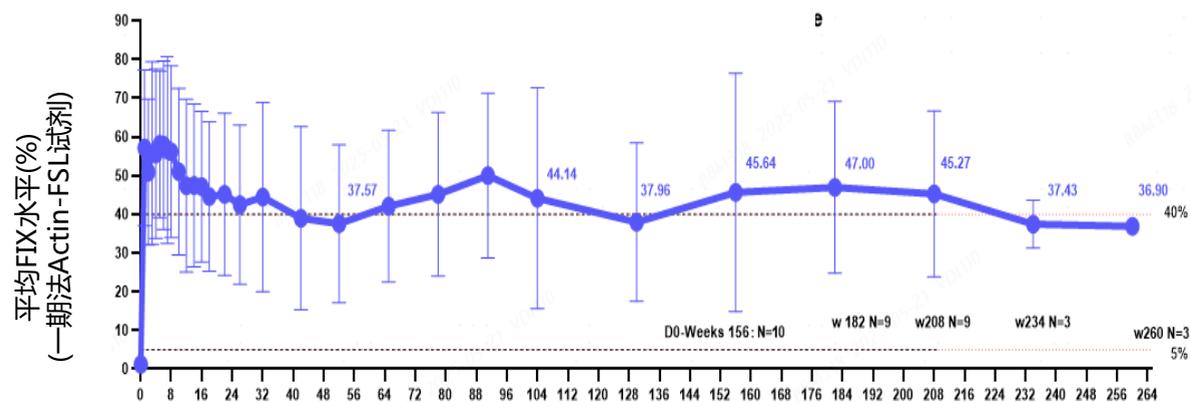
1. 2024 ASH.3582.

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4-5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



波哌达可基注射液输注后周数

虚线代表世界血友病联盟定义疾病严重程度为轻度的FIX范围(5-40%)²

中位随访213周，最后一次随访FIX活性平均值为40.4%

4-5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. 2025 ISTH Jun
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、永久停药的不良事件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)

3-5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
- ✓ 应用新型衣壳AAV843和FIX-Padua基因，实现FIX长期高位稳定表达

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

贴合商保属性

- ✓ 基因治疗单次输注，减少当前终生诊疗费用，优化医疗资源使用，具有显著性价比和经济效益
- ✓ 补充基本医保保障空白，助力保险产品升级，为商保投保人提供覆盖前沿医疗科技的综合保障

商保赔付可控

- ✓ 估算潜在符合基因治疗标准的患者仅约600例，患者基数极其有限
- ✓ 纳入商业保险，理赔成本有限且可控

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