

莫格利珠单抗注射液（惠尔金®）

全球首个且唯一获批的CCR4靶向免疫治疗罕见皮肤T细胞淋巴瘤——复发或难治Sézary综合征(SS)或晚期(III/IV)蕈样肉芽肿(MF)成人患者的同类首创药物

申报企业：协和麒麟（中国）制药有限公司

目录

01

药品基本信息

莫格利珠单抗是我国**唯一**获批**CCR4**去岩藻糖化人源化单克隆抗体，适用于既往接受过系统性治疗的复发或难治Sézary综合征(SS)或晚期(III/IV)蕈样肉芽肿(MF)成人患者

02

创新性

莫格利珠单抗在作用机制和临床应用上属于首创(**First-in-class**)，是**全球首个**且**唯一**获批的CCR4靶向免疫治疗药物，在**多国**获得**孤儿药资格**和**突破性疗法资格**

03

有效性

全球III期研究证实莫格利珠单抗治疗中位**无进展生存期达7.7个月**，总体客观缓解率（ORR）较其他治疗**提升近5倍**（27%vs5%），缓解持续时间达**14.1个月**，总生存期长达**57个月**，相比其他治疗方法进一步降低死亡风险**58%**。多项真实世界研究证实了**在常规临床环境下**莫格利珠单抗治疗MF和SS患者的疗效，观察到了更高的疾病缓解率（OMEGA研究ORR达**58.7%**）和更长的无进展生存期（**30.5个月**）。莫格利珠单抗被国内外多项指南推荐

04

安全性

莫格利珠单抗治疗不良事件**多为轻度**，总体安全可控，可**长期耐受**

05

公平性

莫格利珠单抗满足MF及SS病患的未尽之需，**弥补晚期复发及难治MF/SS患者保障短板**，临床管理难度低，显著提升公共健康获益

莫格利珠单抗是我国唯一获批CCR4去岩藻糖化人源化单克隆抗体

药品基本信息

通用名：莫格利珠单抗注射液

商品名：惠尔金，POTELIGEO

注册规格：20mg（5ml）/瓶，西林瓶装注射剂型

适应症：适用于既往接受过系统性治疗的复发或难治Sézary综合征(SS)或晚期(III/IV)蕈样肉芽肿(MF)成人患者。

用法用量：1mg/kg,静脉输注至少60分钟。每28天为一个治疗周期，在首个周期每周给药一次，分别在第1、8、15和22天给药：在随后周期按每两周输注一次，分别在第1和15天给药，直至出现疾病进展或不可接受的毒性（详见说明书）¹

中国大陆上市时间：2022年10月在中国获批²

全球首个上市国家及上市时间：2014年在日本获批用于治疗复发难治外周T细胞淋巴瘤(PTCL)和皮肤T细胞淋巴瘤（CTCL）³

目前大陆地区同通用名的上市情况：无

是否为OTC药品：否

参照药物建议

莫格利珠单抗具有**独特的作用机制**，目录内**无适当的参照药品**

- ① 国内**唯一获批**治疗Sezary综合征的靶向药物
- ② 国内**唯一获批**治疗**晚期**MF（III期，IV期）**所有成人**患者的CCR4单抗药物

1.说明书; 2. NMPA网站. [截图文件_莫格利珠单抗中国获批], 3.Blackmon AL, et al. Drug Des Devel Ther. 2020; 14: 3747–3754

晚期MF和SS患者生存期短，且严重影响患者生活质量，有效治疗手段非常有限，临床仍存在巨大未被满足的需求

CTCL是一种**罕见淋巴瘤**，已列入国家《第二批罕见病目录》

- CTCL（皮肤T细胞淋巴瘤）是一种罕见但严重、且可能危及生命的非霍奇金淋巴瘤¹。蕈样肉芽肿（MF）/Sezary 综合征 (SS)是较为常见的CTCL，患者占比达65%¹
- 2023年9月20日，皮肤 T 细胞淋巴瘤（CTCL）被正式纳入国家卫生健康委发布《第二批罕见病目录》²。
- CDE技术审批报告指出：**临床迫切需要对CTCL开发新的疗法。**³

晚期MF/SS中位生存期短，生活质量大幅下降

- 一旦疾病进入晚期（IIB~IVB期，肿瘤期），生活质量严重受到影响³，生存期急剧下降，中位生存期仅2-5年

低毒性、长期控制、缓解症状和降低进展风险是当前国际权威指南中临床治疗的明确需要

- NCCN指南⁷指出，在采用高累积毒性和/或高免疫抑制风险的治疗之前，通常先选择耐受性好、累积毒性低、免疫抑制较少或/和疗效优良的皮肤定向疗法和系统治疗作为前期治疗方案

现行目录中**无**针对晚期MF（III期，IV期）所有成人患者及R/R SS成人患者的药物

- MF/SS患者通常需要多线系统治疗，有研究⁶显示，一线系统治疗后有48%的患者会复发，52%的患者会发展为难治性疾病。二线治疗若使用化疗药物，大约60%的患者在治疗后1年内会复发或变为难治性。
- 我国晚期MF和R/R SS患者用药选择有限，化疗药物无法作为晚期患者的指南优选推荐用药^{4, 5}。
- 现行目录中没有获批晚期MF（III期，IV期）所有成人患者及R/R SS成人患者的靶向药物

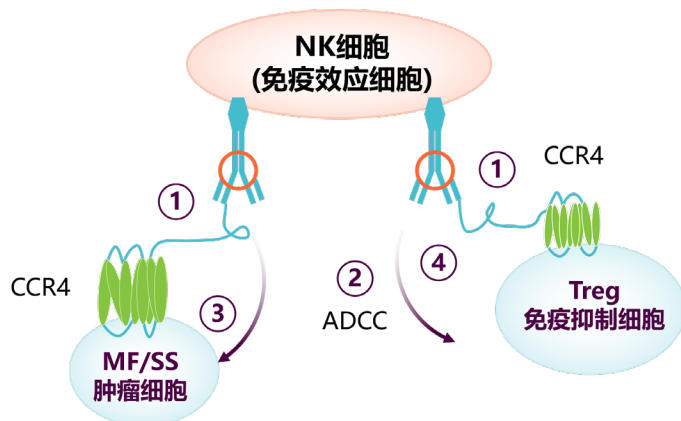
R/R：复发或难治

1.淋巴瘤诊疗指南（2022 年版）； 2.https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202309/content_6905273.htm 3.莫格利珠单抗注射液JXSS2101015)申请上市技术审评报告； 4. NCCN Guidelines_Primary Cutaneous Lymphomas_Version 1.2023； 5. Willemze R, et al. Ann Oncol. 2018 Oct 1;29(Suppl 4):iv30-iv40； 6.. Assaf C, et al. Cancers (Basel). 2023 Nov 30;15(23):5669. 7. NCCN Guidelines_Primary Cutaneous Lymphomas_Version 3.2024.

莫格利珠单抗在作用机制和临床应用上首创(First-in-class)，是全球首个且唯一获批的CCR4靶向免疫治疗药物，在多国获得孤儿药资格和突破性疗法资格

作用机制和临床应用上的创新

作用机制上的创新：与肿瘤细胞表面CCR4结合，通过抗体依赖性细胞毒作用（ADCC）来杀灭MF/SS肿瘤细胞¹，同时通过杀灭Treg免疫抑制细胞**改善免疫微环境，实现强效靶向抗肿瘤作用**。通过独有POTELLIGENT专利技术将抗体Fc段去岩藻糖基化，**莫格利珠单抗将ADCC作用提升100倍²**。



临床应用上的创新：与其他靶向药物相比莫格利珠单抗用药前**无需进行免疫组化检测⁵**，**减少了晚期病人的治疗前等待时间、相应的经济负担及医保的管理难度。**

全球首个获批的CCR4 靶向免疫治疗药物

- 2010年：被FDA授予CTCL孤儿药资格⁶
- 2013年：在日本获得CTCL孤儿药资格⁷
- 2016年：被EMA授予MF和SS孤儿药资格⁸
- 2017年：被FDA授予治疗MF和SS的突破性疗法资格⁹
- 2021年：获得我国CDE优先审批资格¹⁰
- 2022年：在中国免临床获批上市¹¹，填补了晚期MF（III期，IV期）所有成人患者及R/R SS成人患者无获批用药的空白**



CTCL=皮肤T细胞淋巴瘤；PTCL=外周T细胞淋巴瘤；MF=蕈样肉芽肿；SS=Sezary综合征

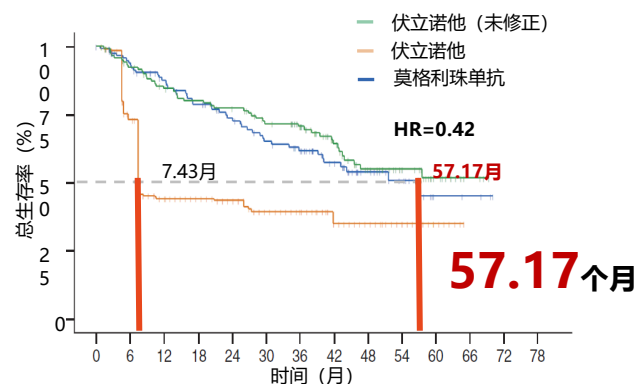
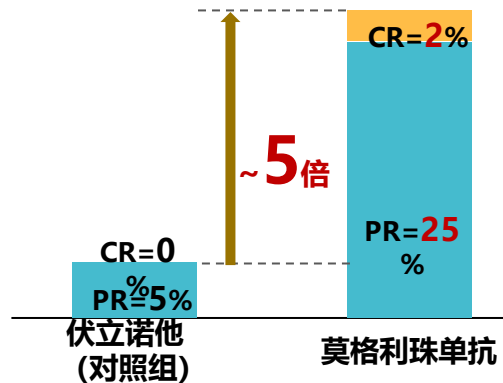
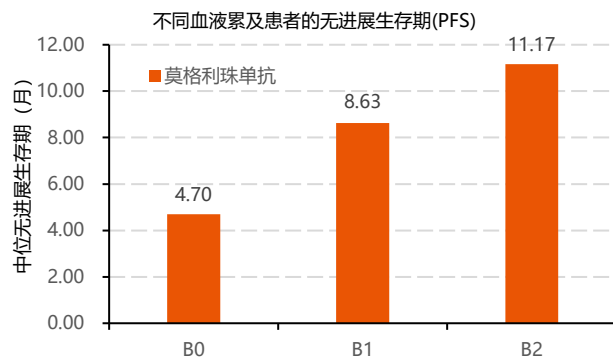
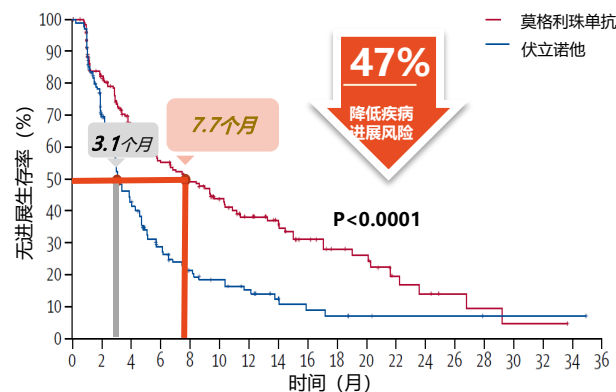
1. Duvic M, et al. Ther Adv Hematol. 2016 Jun; 7(3): 171–174.; 2. Afifi S, et al. Expert Opin Drug Saf. 2019 Sep;18(9):769–776.; 3. Wilcox RA, et al. Blood. 2015 Mar 19;125(12):1847–8.; 4. Alpdogan O, et al. Chin Clin Oncol. 2019 Feb;8(1):10.; 5. 说明书; 6. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/opdlisting/oopd/detailedIndex.cfm?cfgridkey=322010> [Orphan Drug Designations and Approvals_FDA]; 7. https://www.kyowakirin.com/media_center/news_releases/2014/e20141218_02.html, [Kyowa Kirin News release]; 8. https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/poteligeo/Orphan_Maintenance_Assessment_Report; 9. https://www.kyowakirin.com/media_center/news_releases/2017/pdf/e20170825_01.pdf [Breakthrough therapy designation_FDA]; 10. NMPA网站. [截图文件_莫格利珠单抗获得我国CDE优先审批资格]; 11. NMPA网站. [截图文件_莫格利珠单抗中国获批]

III期研究证实：莫格利珠单抗治疗中位PFS达7.7个月，血液受累患者临床获益更大，客观缓解率高，总生存期长。真实世界应用中，ORR及PFS更高

国际多中心随机对照临床试验MAVORIC研究

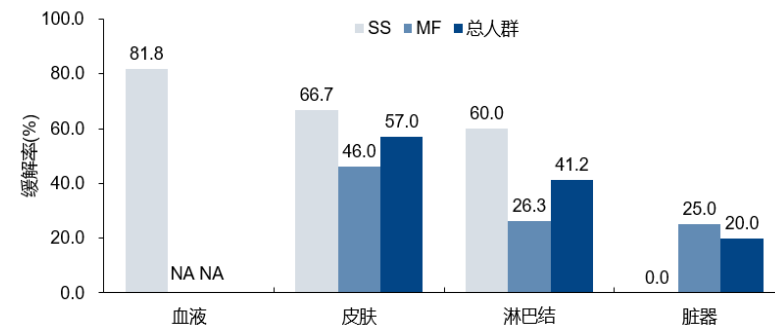
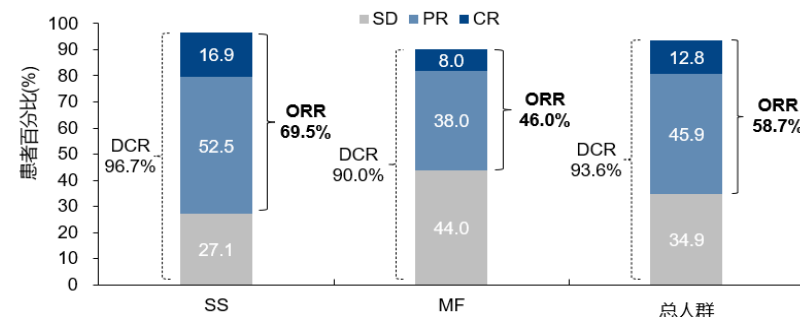
中位PFS达7.7个月，血液累及患者PFS提升更显著^{1,3}

客观缓解率(ORR)高，提升近5倍²
总生存期长，死亡风险降低58%⁴



法国真实世界研究 (OMEGA)

真实世界应用中,总体ORR达58.7%，
81.8%SS患者获得血液缓解



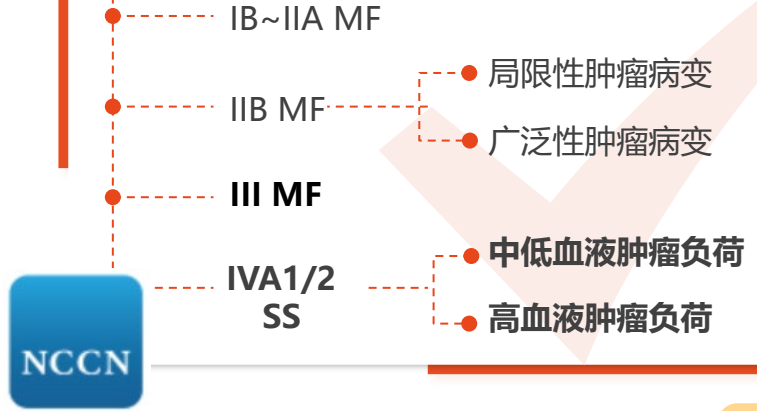
国际多中心随机对照临床试验MAVORIC研究¹是目前已知的皮肤T细胞淋巴瘤最大的系统治疗临床研究²，纳入372例既往接受过系统治疗的MF/SS患者（CTCL最常见的两个亚种），研究结果刊登在《柳叶刀·肿瘤学》

法国真实世界研究 (OMEGA) mPFS为15个月，总体ORR为58.7%，SS组中81.5%患者观察到血液学应答

莫格利珠单抗被国内外指南推荐用于MF/SS系统治疗

——NCCN指南首选方案，国内指南推荐的首选考虑免疫抑制性较弱的治疗方案

NCCN指南：莫格利珠单抗为系统治疗首选方案 (Preferred regimen) (2024年V2版)²



中国蕈样肉芽肿诊疗及管理专家指南⁴

系统治疗方面应**首先考虑**免疫抑制性较弱的治疗方案，如干扰素、维A酸、低剂量MTX；其次为HDACi及靶向治疗药物，如**莫格利珠单抗**。



EORTC指南：蕈样肉芽肿和Sézary综合症治疗推荐 (2023年更新)³

莫格利珠单抗在MF的IA、IB、IIA的二次治疗和IIB一二线、IIIA和B一二线、IVA和IVB全线首次系统治疗失败后**推荐使用**，在SS二线治疗中**推荐使用**



中国淋巴瘤治疗指南 (2023年版)

对于具有侵袭性临床特征的患者，**推荐使用**起效较快且缓解率较高的药物，治疗选择包括**莫格利珠单抗**。



莫格利珠单抗 (JXSS2101015) 申请上市技术评审报告⁵

在既往接受过多次治疗的蕈样肉芽肿(MF)/Sézary综合征(SS)人群中，**莫格利珠单抗治疗疗效良好**。

关键研究中，SS和晚期 (III/IV) MF亚型中本品的疗效**具有更为明显优势**

国家药品监督管理局药品审评中心
CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA

1. 中国抗癌协会淋巴瘤专业委员会,中国医师协会肿瘤医师分会,中国医疗保健国际交流促进会肿瘤内科分会.中国淋巴瘤治疗指南(2023年版)[J].中华肿瘤临床与康复, April 2023, vol 30, No. 1

2. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology-Primary Cutaneous Lymphomas(2024 Version 2).<http://www.nccn.org>

3. 欧洲癌症治疗研究组织 2023-09-19 2023 EORTC共识建议：蕈样肉芽肿/Sézary综合症的治疗 Eur J Cancer.2023 Sep 18;195:113343.

4. 中国罕见病联盟 (China alliance for Rare Diseases) 2023-04-30 中国蕈样肉芽肿诊疗及管理专家指南 罕见病研究.2023.2(2):191-209.

5. 国家药品监督管理局药品审评中心 (cde.org.cn)

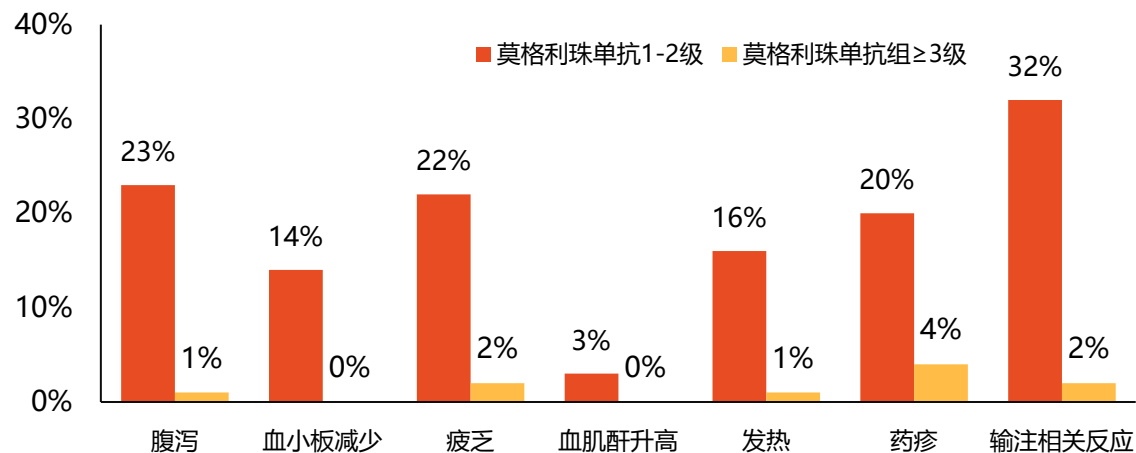
莫格利珠单抗治疗不良事件多为轻度，总体安全可控，可长期耐受



莫格利珠单抗具有可**管理的安全性特征**，上市后**安全性数据支持正向的获益-风险特征**。

(莫格利珠单抗注射液申请上市技术审评报告)¹

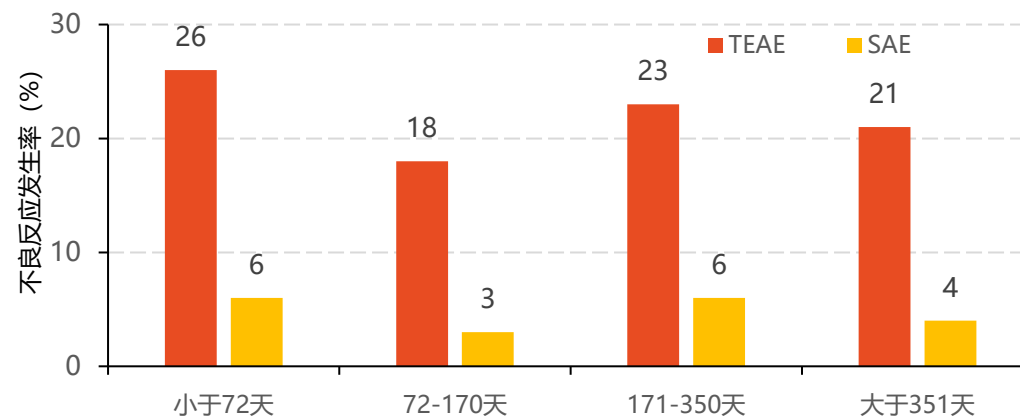
莫格利珠单抗治疗**整体不良事件轻微**（大多为1-2级），
不良反应以**皮疹/药疹和输注不良反应**为主²



特殊人群安全性特征：

- 除皮肤反应和输液反应在年龄大的受试者中更常见外，**老年患者中的安全性特征与成年患者中的安全性特征基本一致**⁵

莫格利珠单抗长期使用不良事件**不随药物暴露增加**，
可长期耐受²



* 随访5年，药疹或输注反应发生率未增加^{3,4}

法国真实世界研究⁶ (OMEGA)：

- 最常见的严重药物不良反应是皮疹（8.1%）和输液相关反应（2.4%），与MARVORIC III期研究结果相似

自全球上市至2025年6月，各国家或地区药监部门未发布任何影响安全性的警告、黑框警告或撤市信息

莫格利珠单抗满足MF及SS病患的未尽之需，弥补晚期复发及难治MF/SS患者保障短板，且提升公共健康获益

填补医保目录空白

- 目前我国唯一获批的用于接受过系统性治疗的复发或难治Sézary综合征或晚期蕈样肉芽肿(MF)的CCR4单抗药物，**填补了晚期MF (III期，IV期) 成人患者及R/R SS成人患者无获批用药的空白¹**
- 目前对于晚期MF及R/R SS患者二线及后线治疗缺乏有效治疗药物，莫格利珠单抗对既往接收过多线治疗的患者疗效显著，安全性良好，**弥补了目录内对接受过系统性治疗后后线方案缺乏的短板**

符合“保基本”原则

- 虽然MF/SS为罕见病，**但患者群体及其最基本的治疗需求不容忽视**。我国年新发病患者总人数预计1300多人，**对医保基金总体影响较小**
- 用药前无需进行生物标致物检测，既**避免了病患额外的费用支出、缩短晚期患者开始有效治疗的时间，也降低了医保监管的难度**

提升公共健康获益

- MF/SS 患者一旦进入晚期，通常生存期急剧下降，中位生存期仅2~5年，**莫格利珠单抗比其他治疗方法可进一步降低死亡风险达58%**
- 晚期MF及R/R SS常伴随毁容和持续剧烈瘙痒而严重影响生活质量¹，莫格利珠单抗持续有效改善皮肤症状⁵，从而**显著改善患者生活质量²**

临床管理难度低

- 适应症明确，**临床无滥用风险**，降低了医保监管的难度

