

“天价抗癌药” CAR-T疗法第三度冲刺医保

国家医保局日前发布的《2023年医保目录通过初步形式审查的药品及相关信息》提及,有390个药品通过了2023年国家医保药品目录调整初步形式审查,其中包括我国已获批的两款“天价抗癌药”CAR-T疗法阿基仑赛注射液和瑞基奥仑赛注射液也在列。消息再次引发医药界对CAR-T今年能不能冲进医保的猜测。

■新快报记者 梁瑜



■廖木兴/图

1 我国已有两款CAR-T疗法通过今年医保初审

据悉,今年名列其中的两款CAR-T疗法均属于靶向CD19的CAR-T疗法,前者曾进入2021年初审名单,后者曾进入2022年初审名单,但最终都没有进入当年的国家医保药品目录。虽然此次两款CAR-T疗法通过了初步形式审查,但后续还需要按程序开展专家评审、谈判竞价等环节,才有可能纳入国家医保药品目录。

被坊间称为“天价抗癌药”的CAR-T疗法(嵌合抗原受体T细胞免疫疗法),是指将在实验室收集的T细胞进行基因处理,并装上定位导航装置CAR(肿瘤嵌合抗原受体),改造成CAR-T细胞,在CAR的指引下,能够识别癌细胞表面的抗原(或标记),并激活T细胞杀死这些癌细胞的能力,再将CAR-T细胞重新注入患者体内,以识别和消灭癌症。

第一个“CAR-T”细胞诞生于2013年,由美国国家癌症研究所合成。在过去的近10年时间里,新基医药、诺华制药、南京传奇、复星凯特、药明巨诺、科济生物、深圳普瑞金、蓝鸟生物、信达生物、合源生物等20余家公司都在布局CAR-T疗法。目前,全球已有9款CAR-T疗法获批上市,我国获批上市的有3款:复星凯特的阿基仑赛、药明巨诺的瑞基奥仑赛和信达生物与驯鹿生物的伊基奥仑赛。

2021年6月22日,复星凯特的阿基仑赛注射液成为国内首个获批上市的CAR-T细胞治疗产品,适用于治疗二线或以上系统性治疗后复发/难治性大B细胞淋巴瘤(LBCL)成人患者,定价为120万元/针。今年6月,阿基仑赛注射液在国内新增获批二线适应症,用于一线免疫化疗无效或在一线免疫化疗后12个月内复发的成人B细胞淋巴瘤。

2021年9月3日获批上市的瑞基奥仑赛注射液是我国第二款、全球第六款上市的CAR-T疗法,由药明巨诺生产研发,获批用于治疗复发或难治性成人急性淋巴细胞白血病,定价129万元一针。

我国第三款获批的CAR-T疗法是信达生物与驯鹿生物的伊基奥仑赛,获批用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤(R/R MM)成人患者,既往经过至少3线治疗后进展(至少使用过一种蛋白酶体抑制剂及免疫调节剂),也是国内获批的首款BCMA(B细胞成熟抗原)靶向CAR-T细胞疗法。由于刚于今年6月底踩线获批上市,按照医保目录调整规则,属于6月30日之前获批上市,有医保谈判申请资格,但或许企业主动放弃了申报机会,最终没出现在初审名单中。

2 我国CAR-T疗法研发如火如荼

随着淋巴瘤、淋巴细胞白血病等血液肿瘤疾病的治疗需求不断增加,CAR-T疗法在市场中的地位也逐渐提升。在过去的几年中,全球CAR-T市场一直在快速增长,2020年达到30亿美元,预计到2023年全球市场规模将达到80亿美元。在中国,CAR-T的市场规模也在不断扩大。据Frost&Sullivan预计,中国CAR-T细胞疗法市场到2024年将增长到53亿元,2030年增长到289亿元。

从公布的2023年上半年财报可

见,药明巨诺和复星医药的CAR-T疗法在上半年销售额合计达到2.65亿元,展现出国内CAR-T市场的巨大潜力。

当前,国内布局CAR-T细胞疗法的公司超过20家。其中,合源生物的赫基仑赛上市申请在去年12月获国家药监局受理,并纳入优先审评审批。此外,西比曼生物、科济生物等企业也在开发CAR-T疗法,科济药业官网披露,共有11款CAR-T疗法在研,除CT053已提交上市申请外,还有CT041、CT011、CT0180、

CT0181等7款CAR-T疗法进入临床试验。其中,靶向BCMA的CAR-T疗法CT053(泽沃基奥仑赛)的上市申请于2022年10月获国家药监局受理,并纳入优先审评审批。此外,还有多个公司在布局新一代CAR-T以及异体CAR-T技术,初步数据优异,有望获得全球市场。华创证券研报指出,国内开展的CAR-T临床试验数量居世界第一,这也是中国首次在一个新药研发领域走在国际前列。

3 CAR-T疗法有优越性 高昂价格制约其纳入医保

CAR-T疗法相比传统治疗更具针对性和个性化,对许多患者具有显著的治疗效果。据统计,迄今国内两款获批的CAR-T疗法已累计完成超过400位患者的回输,并且从已有的临床数据看,均展现出较好的安全性与疗效。数据显示,目前CAR-T细胞治疗对于B细胞淋巴瘤客观缓解率达70%-80%,急性B细胞白血病完全缓解率达80%以上,多发性骨髓瘤客观缓解率达80%以上。然而,其高昂的价格使得许多患者望而却步,这也是制约其纳入国家医保的重要因素。

有业内观察人士认为,一方面,CAR-T疗法临床研究已经比较充分,适应症比较明确,从这点来看可纳入医保。但另一方面,目前CAR-T疗法纳入医保面临费用过高加重医保负担的关键性问题且并不易解决。首先,其治疗前期需要涉及包括诊断、靶点选择、基因修饰等步骤,导致成本较高;其次,CAR-T疗法目前必须依据个人定制,无法大规模生产,这也增加了其成本。据了解,CAR-T疗法在国外定价更是高企。据不完全统计,目前全球获批的CAR-T疗法,包括诺华制药

的Kymriah、百时美施贵宝的abecma,普遍定价为40万美元左右/疗程,几乎为中国获批的CAR-T疗法价格的两倍。

“CAR-T的治疗策略是值得推广的,但现在因为它价格太贵了,无法普遍推广。”南方医科大学珠江医院血液科主任医师李玉华告诉新快报记者,“我相信它的价格很快会降下来,因为现在国内非常多公司在研发CAR-T,如果都能上市,随着技术进步和优化,未来可运用到实体瘤治疗,使用的患者群扩大,价格肯定会更低,如果医保还能报销一部分,那就很完美了。”

4 业内已多方尝试降低CAR-T成本、价格

已有企业和业内专家提出了降低CAR-T疗法成本、价格,提高可及性的想法和计划。

业内观察人士认为,要真正实现CAR-T疗法价格的降低,需要在生产、监管、医保等多个环节进行全面优化和改进,包括原材料的本土化采购、生产工艺的优化、技术创新等手段降低生产成本;通过建立严格的质量控制体系和监管机制保证产品的安全性和有效性;通过与医保政策的衔接,减轻患者和家属的经济负担。

据了解,药明巨诺建立了一项包括从近期、中期到长期的降低生产成本的Next-generation(Nex-G)发展策略,通过提高原材料使用效率,国产替代以及实施新技术,通过简化或替代、合并单元操作,以实现大规模降低成本。

传奇生物方面表示,与自体CAR-T细胞相比,异体通用CAR-T细胞中的T细胞由健康的志愿者捐赠,可以提前制备,保证治疗的时效性,实现规模量产,大大降低成本。此外,通过技术研发和工艺改进,可以从原材料开始降低生产成本,进一步降低CAR-T疗法的成本。但是,异体通用CAR-T疗法还有很多问题要解决,例如如何保证免疫原性和安全性、如何建立高效稳定的生产体系和技术平台、如何对异体CAR-T细胞进行质量控制和监管等都是关键性问题。

在今年7月举行的2023国际生物创新药产业博览会(上海展)的分论坛上,多位国内顶级专家表示,CAR-T产品生产成本降低一半是可以实现的。在不影响产品质量的前提下,通过生产物料和生产设备的

国产化替代,能够有效大幅降低成本;加上国内上下游产业链已经实现了巨大的技术突破,推出了多款优秀的能够满足监管需求的供应链产品,为国产CAR-T产品降价奠定了良好基础。

如何提升患者的支付能力也成了企业努力的方向之一,包括积极推动CAR-T疗法进入各地惠民保和商业保险等。8月30日,在复星医药的业绩交流会上,复星医药董事长吴以芳表示,关于复星医药旗下CAR-T药物的创新支付问题,其公司持续和国家医保局沟通,国家医保局也在积极考虑是否有更多创新方式能够解决支付问题。



扫码获取更多健康医药资讯