



# 科济药业公司介绍

(股票代码: 2171.HK)

2025年12月

科创济世  
Making Cancer Curable

# 免责声明



**本文件仅供参考之用，并不拟且不应被解释为就购买、认购或出售任何证券的要约、诱因、邀请、招揽、承诺或广告，而本文件的任何部分不应构成任何合同或承诺的基础，任何合同或承诺也不得依赖本文件的任何部分。**

收件人同意对文件内容保密，未经公司事先书面同意，不得以任何方式向任何人复制或分发文件的全部或部分内容。

除非另有说明，编制本文件所使用的信息是由公司提供或从公开渠道获得且尚未经过任何第三方独立验证。本文件仅作讨论之用，编制时并不拟根据适用证券法或其他法规作公开披露。本文件的内容可不经通知于任何时间作出更正或变更，且将不会就本文件日期后可能发生的重大进展而进行更新。对该等信息的公正性、准确性、完整性或正确性并无作任何明确或隐含的陈述或保证，而本文件包含的任何内容并非对过去、现在或将来的陈述，任何人也不得依赖本文件包含的任何内容作为对过去、现在或将来的陈述。公司、或其关联人士、董事、高管、雇员、顾问、代表或其他任何人均不承担任何（因疏忽或其他原因）由于对本文件内容的任何使用而造成的任何损失，或以其他方式产生的与本文件相关的损失。

本文件并不拟就评估提供基础，亦不应被视为就任何交易或其他事项的建议。本文件包含的任何分析并非且不拟作为对公司或其任何子公司或其他关联机构的资产或业务的评估。本文件任何内容不应被视为监管、估价、法律、税务、会计或投资建议。阁下进行任何交易前，应确保阁下自行负责就公司进行尽职调查，且充分了解该交易的潜在风险及回报，同时阁下应咨询阁下认为就协助阁下作出该等决定所必要的该等顾问，其中包括，但不限于，阁下的会计师、投资顾问及法律及/或税务专家。本文件概不包含任何信息或材料导致其可能被视为（1）《公司（清算及杂项条文）条例》（香港法例第32章）（“公司条例”）第2（1）条所指的招股章程，或公司条例第38B条所指的有关招股章程的广告或以广告方式刊登招股章程的任何摘录或节本，或《证券及期货条例》（香港法例第571章）（“证券及期货条例”）第103条所指的广告、邀请或载有该广告或邀请的文件，或（2）于香港违反香港法律向公众作出要约，或可援引香港法律下获得任何豁免。

本文件载有前瞻性陈述，披露公司截至本文件所示有关日期当日就未来事件所持见解、测算、信念及预期。该等前瞻性陈述乃基于多项非公司能控制的假设及因素。因此，其受到各类重大风险及不确定性左右，且实际事件或结果可能与该等前瞻性陈述有重大出入，本文件所讨论的前瞻性事件亦不一定发生。本文件所载的任何测算、目标、估计或预测，并无任何人士就是否可以达至或其合理性发表任何声明或保证，阁下亦不应对其实加以依赖。

本文件并不构成在美国或任何其他司法管辖区要约出售或招揽要约购买证券。在并无根据经修订的1933年美国证券法（“美国证券法”）登记或获得相关的登记豁免时，概不得在美国要约出售或出售证券。

通过阅读本文件和出席本报告会，阁下同意受上述限制的约束，而阁下应被视为已向我们表示阁下及阁下所代表客户是（a）合资格机构买家（定义见美国证券法下第144A条规则）或（b）在美国境外（定义见美国证券法下S规则）。阁下应被视为已向我们表示阁下及阁下所代表客户为《证券及期货条例》附表一第1部及其该条例下任何规则（包括但不限于香港法例第571D章《证券及期货（专业投资者）规则》）中所定义的“专业投资者”。

# 研发创新的、差异化的细胞疗法，使癌症及其他疾病可治愈



# 1

已在中国大陆上市的产品：赛恺泽®  
(泽沃基奥仑赛注射液, CT053)

# 300+

专利，其中140项为全球授权专利（截至2025年6月30日）

# 1

处于NDA阶段的CAR-T产品：  
• 舒瑞基奥仑赛注射液, CT041 (靶向Claudin18.2)

# 4+

核心技术平台  
• CycloCAR®, THANK-uCAR®,  
THANK-u Plus®, LADAR®,  
CARcelerate®

# 2

处于IND阶段的主要CAR-T产品：  
• CT011 (靶向GPC3)  
• CT071 (靶向GPRC5D)

# 10+ 年

自公司成立至今，一直专注于创新的  
CAR-T疗法

# 在全球范围内具有综合一体化的研发和制造能力



## 外部合作伙伴

华东医药股份有限公司  
HUADONG MEDICINE CO., LTD.  
(SZ: 000963)  
泽沃基奥仑赛注射液在中国大陆地区的独家商业化权益

moderna  
(NASDAQ: MRNA)  
舒瑞基奥仑赛注射液与mRNA癌症疫苗联合治疗

inno.N  
(KOSDAQ: 195940)  
泽沃基奥仑赛注射液与CT032在韩国的授权许可

# 自2014年成立以来，通过持续创新和技术进步应对CAR-T疗法的重大挑战



## 自体CAR-T技术

- BCMA CAR-T (赛恺泽<sup>®</sup>, 泽沃基奥仑赛注射液)
- 全球同类首创的Claudin18.2 CAR-T (舒瑞基奥仑赛注射液)
- 全球同类首创的GPC3 CAR-T (CT011)

## 通用型CAR-T技术

- THANK-uCAR<sup>®</sup>, THANK-u Plus<sup>®</sup>平台



## 技术赋能



**CycloCAR<sup>®</sup>**  
(共表达IL-7 + CCL21)



**LADAR<sup>®</sup>**  
(精准靶向)



**清淋**  
(FNC方案)



**Binder**  
(针对大约20个不同靶点开发的人源化/全人源抗体)

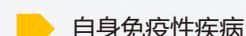
# 拥有全球权益、有竞争力的产品管线

	候选产品 <sup>1</sup>	靶点	适应证	临床前	I期	II/III期 <sup>2</sup>	BLA/ NDA
自体 CAR-T	赛恺泽® (CT053) <sup>3</sup>	BCMA	复发/难治性多发性骨髓瘤 (4L+) 复发/难治性多发性骨髓瘤	LUMMICAR 1 (中国) LUMMICAR 2 (美国, 加拿大)			已上市
	舒瑞基奥仑赛注射液 (CT041)	Claudin18.2	胃癌 (3L+) 胃癌、胰腺癌 胰腺癌 (辅助) 胃癌、胰腺癌等 胃癌 (辅助) 胃癌 (一线序贯)	ST-01 (中国) ST-02 (美国, 加拿大) ST-05 (中国) IIT (中国) IIT (中国) IIT (中国)			
	CT071	GPRC5D	复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病 复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病 新诊断的多发性骨髓瘤	(美国) IIT (中国) IIT (中国)			
	CT011	GPC3	肝细胞癌 (辅助)	(中国)			
通用型 CAR-T	CT0590	BCMA	复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病	IIT (中国)			
	CT0596	BCMA	复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病	IIT (中国)			
	KJ-C2219	CD19/CD20	B细胞肿瘤 系统性红斑狼疮和系统性硬化症	IIT (中国) IIT (中国)			
	KJ-C2320	CD38	急性髓系白血病	IIT (中国)			
	KJ-C2114	未披露	实体瘤				
	KJ-C2526	NKG2DL	急性髓系白血病、其他恶性肿瘤、抗衰老				

<sup>1</sup> 所有产品都是自主研发的，拥有全球权益。

<sup>2</sup> 一些适应证的二期试验是关键性研究。

<sup>3</sup> 核心候选产品。在中国大陆的商业化权益特许给华东医药 (SZ: 000963)。在韩国市场的权益特许给HK Inno.N Corporation (KOSDAQ: 195940)。



CART 生产区

CART Production Area



## 治疗血液瘤的自体CAR-T产品

# 泽沃基奥仑赛注射液：差异化的全人源BCMA CAR-T，用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤



EHA2024

## 泽沃基奥仑赛的亮点



- 升级scFv
- 高靶点亲和力
- 高稳定性
- 强效的抗肿瘤活性
- 优异的安全性
- 优化共刺激结构域：4-1BB
- 低免疫原性

- ✓ 资格认定：再生医学先进疗法 (FDA) , 孤儿药 (FDA)
- ✓ 产品已获国家药品监督管理局批准上市 (2024年2月23日)

## 中国关键III期临床(LUMMICAR-1)<sup>1</sup> N=102

随访时间, 中位数 (范围), 月	20.3 (0.4-27)
ISS III期, No. (%)	39 (38.2%)
高危细胞遗传学, No. (%)	61 (59.8%)
髓外病变, No. (%)	11 (10.8%)
既往治疗线数, 中位数 (范围)	4 (3-15)
双耐药*, No. (%)	91 (89.2%)
三耐药**, No. (%)	23 (22.5%)
ORR, No. (%)	94 (92.2%)
CR/sCR, No. (%)	73 (71.6%)
≥VGPR, No. (%)	93 (91.2%)
mDoR, 月	未成熟
mPFS, 月	未成熟
MRD阴性***, No. (%)	73 (100%)
≥ 3级CRS, No. (%)	7 (6.9%)
≥ 3级神经毒性, No. (%)	0
治疗相关死亡, No.	1

\*双耐药为：使用了任一蛋白酶体抑制剂药物+任一免疫调节剂药物； \*\*三耐药为：使用了任一蛋白酶体抑制剂药物+任一免疫调节剂药物+任一抗CD38药物； \*\*\* 在达到CR/sCR的患者中

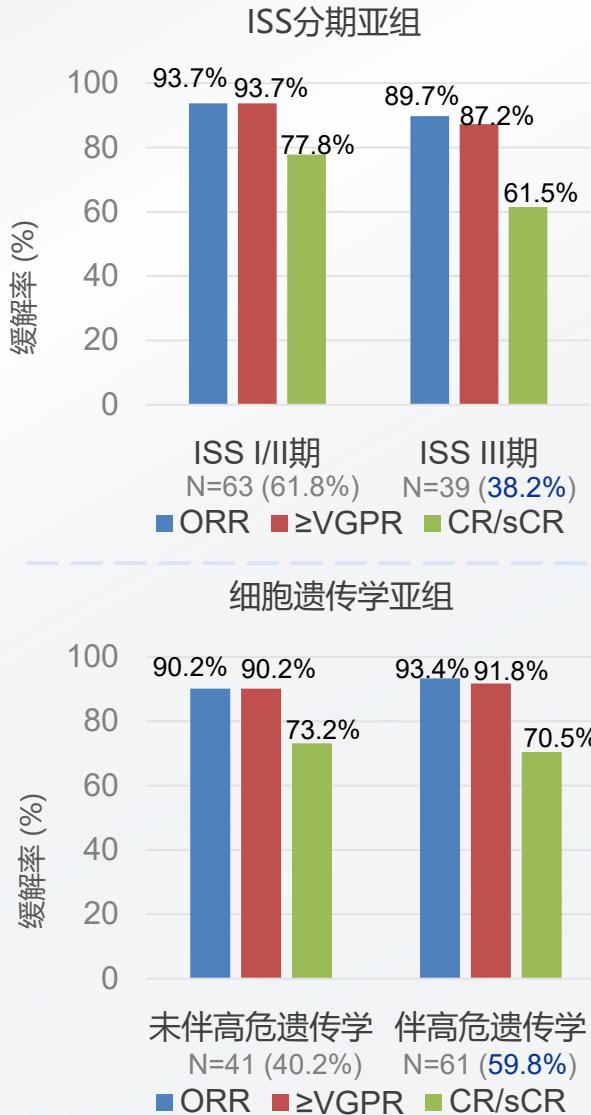
1. Chen W, et al. EHA 2024. 2024 Jun; Oral presentation S209

国际分期系统 (ISS) ; 总缓解率 (ORR) ; 完全缓解 (CR) ; 严格意义上的完全缓解 (sCR) ; 非常好的部分缓解 (VGPR) ; 中位缓解持续时间 (mDoR) ; 中位无进展生存期 (mPFS) ; 微小残留病灶 (MRD) ; 细胞因子释放综合征 (CRS)

# 泽沃基奥仑赛注射液：突出的有效性和可控的安全性



ASH 2024  
SOCIETY FOR HEMATOLOGY



## 长生存，深缓解

泽沃基奥仑赛治疗R/R MM具有更突出的临床获益：

### ◆ 基线差

BCMA CAR-T产品的临床疗效通常会受ISS III期和高危细胞遗传学的影响。尽管泽沃基奥仑赛关键Ⅱ期研究纳入较高比例的ISS III期和伴高危细胞遗传学的患者，其依旧显示出具有竞争力的有效性（如左图所示）。

### ◆ 疗效优

- II期研究<sup>1</sup>: ORR为87.5%， sCR/CR率79.2%
- I期研究<sup>2</sup>: **2年OS率为100%， 3年OS率为92.9%**
- II期研究<sup>3,4</sup>: ORR为92.2%， 预估的30个月OS率为87.7% (CR/sCR患者)

## 高质量，安全可耐受

泽沃基奥仑赛安全性更高，SAE发生率较低

### ◆ II、I期、II期研究

- ≥3级CRS发生率分别为0%、0%、6.9%
- ≥3级以上神经毒性发生率分别为4.2%、0%、0%
- 治疗相关的死亡发生率分别为0%、0%、1%

### ◆ ≥3级感染发生率及持续血液学毒性更低

- ≥3级感染发生率相对更低
- ≥3级持续超过30天血细胞计数降低发生明显更低

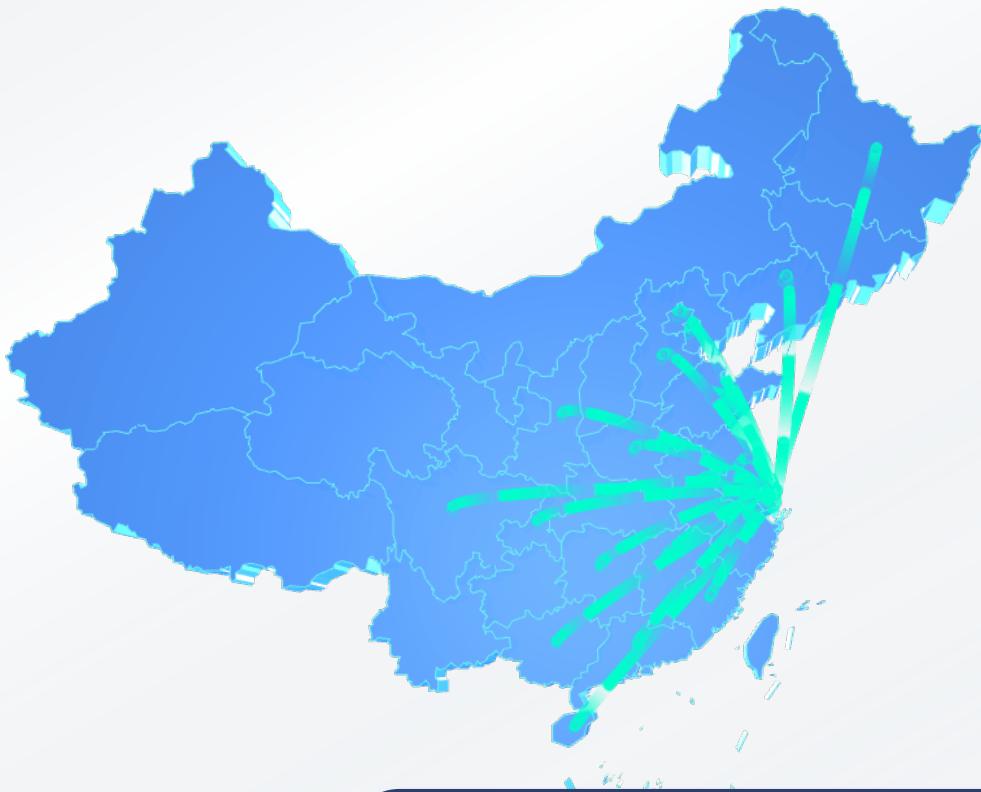
1. Yang M, et. al. *Haematologica*. 2022 Aug 1;107(8):1960-1965

2. Fu C, et. al. ASH 2023. 2023 Dec; Poster #4845

3. Chen W, et al. EHA 2024. 2024 Jun; Oral presentation S209

4. Chen W, et al. ASH 2024. 2024 Dec; Poster #4762

# 泽沃基奥仑赛注射液在中国的商业化



100+ 家

完成认证及备案的医疗机构

20+ 个

省市



- 2024年，获国家药品监督管理局批准上市，用于治疗复发或难治性多发性骨髓瘤
- 2025年，纳入《商业健康保险创新药品目录》
- 中国大陆独家商业化合作伙伴：



2025年1-9月获得

170 份

有效订单

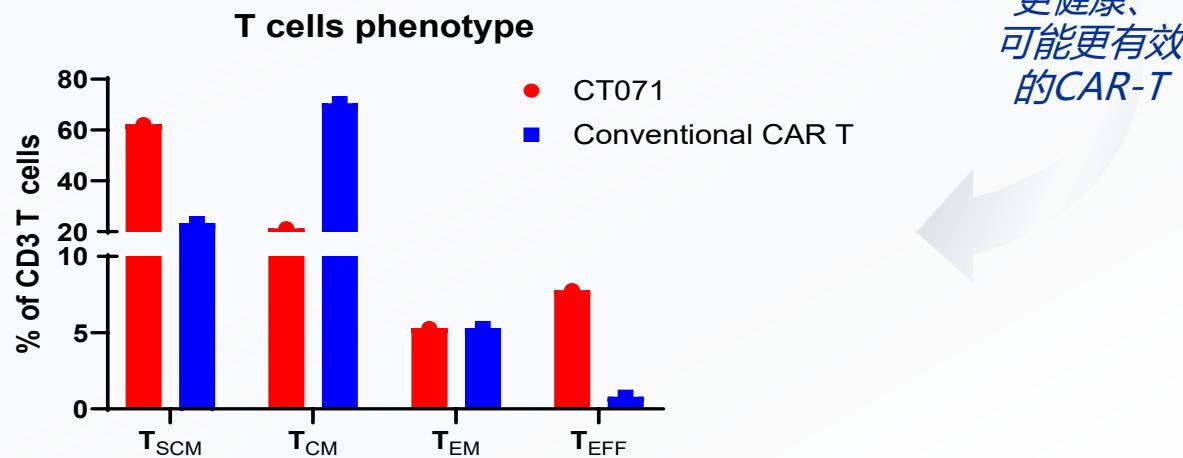
# CT071：基于CARcelerate®平台生产的、差异化的GPRC5D CAR-T



## 产品

- 靶向GPRC5D的全人源单链抗体 (scFV)
- 用于治疗复发/难治多发性骨髓瘤 (R/R MM) 或复发/难治原发性浆细胞白血病 (R/R pPCL)
- 专有的CARcelerate®技术平台

生产时间：



## 临床开发进度



- 中国研究者发起的针对R/R MM和PCL的临床试验(NCT05838131) **正在进行中**
- 中国研究者发起的针对新诊断的多发性骨髓瘤 (NDMM) 的临床试验(NCT06407947) **正在进行中**



- 已获得IND许可**: 针对R/R MM 或 R/R pPCL

# CT071治疗R/R MM：中国IIT展现良好安全性和深度缓解

ASH 2024  
CARSGEN



	$0.1 \times 10^6 \text{ cells/kg}$ (n=8)	$0.3 \times 10^6 \text{ cells/kg}$ (n=9)	All Patients (N=17)
R-ISS分期, No. (%)			
II	4 (50.0)	8 (88.9)	12 (70.6)
III	4 (50.0)	0	4 (23.5)
髓外疾病, No. (%)	2 (25.0)	2 (22.2)	4 (23.5)
高危细胞遗传学, No. (%)	6 (75.0)	6 (66.7)	12 (70.6)
中位治疗线数 (范围)	4 (1, 12)	5 (3, 7)	5 (1, 12)
ORR, No. (%)	8 (100)	8 (88.9)	16 (94.1)
CR/sCR率, No. (%)	5 (62.5)	4 (44.4)	9 (52.9)
VGPR或更好率, No. (%)	5 (62.5)	5 (55.6)	10 (58.8)
CR/sCR患者中MRD阴性( $<10^{-6}$ )*, No. (%)	5 (100)	4 (100)	9 (100)
CRS, No. (%)	6 (75.0)	5 (55.6)	11 (64.7)
1级, No. (%)	5 (62.5)	3 (33.3)	8 (47.1)
2级 No. (%)	1 (12.5)	2 (22.2)	3 (17.6)
ICANS, No. (%)	0	0	0
AE导致的死亡, No. (%)	0	0	0

复发/难治性多发性骨髓瘤 (R/R MM)；研究者发起的临床试验 (IIT)；修订的国际分期系统 (R-ISS)；客观缓解率 (ORR)；完全缓解 (CR)；严格意义上的完全缓解 (sCR)；非常好的部分缓解 (VGPR)；微小残留病灶 (MRD)；细胞因子释放综合征 (CRS)；免疫效应细胞相关神经毒性综合征 (ICANS)；不良事件 (AE)

\*百分比根据 CR/sCR 患者 (n=9) 计算。

数据截止日期：2024年6月21日

1. Du J, et al. ASH 2024. 2024 Dec; Poster #3451

# CT071治疗高危NDMM：中国IIT展现深度缓解，安全性良好



EHA2025

中国研究者发起的临床试验 (N=10)	
R2-ISS分期, No. (%)	
I	1 (10)
II	2 (20)
III	4 (40)
IV	3 (30)
髓外疾病, No. (%)	3 (30)
ECOG体力状态评分 , No. (%)	
1	10 (100)
高危细胞遗传学, No. (%)	6 (60)

中国研究者发起的临床试验 (N=10)	
ORR, No. (%)	10 (100)
sCR, No. (%)	7 (70)
VGPR, No. (%)	2 (20)
PR, No. (%)	1 (10)
第4周MRD阴性( $<10^{-6}$ ) , No. (%)	10 (100)
CRS, No. (%)	7 (70)
1级, No. (%)	7 (70)
ICANS, No. (%)	0
剂量限制性毒性	0
TRAE导致的死亡	0

新诊断的多发性骨髓瘤 (NDMM)；研究者发起的临床试验 (IIT)；客观缓解率 (ORR)；严格意义上的完全缓解 (sCR)；非常好的部分缓解 (VGPR)；部分缓解 (PR)；微小残留病灶 (MRD)；细胞因子释放综合征 (CRS)；免疫效应细胞相关神经毒性综合征 (ICANS)；治疗相关不良反应 (TRAE)

数据截止日期：2025年1月2日

1. Du J, et al. EHA 2025. 2025 Jun; Poster #PF1164



# 治疗实体瘤的自体CAR-T产品

# 胃癌、胰腺癌等实体瘤存在未被满足的医疗需求



		
胃癌 	新发病例数 ~2.6万 <sup>1</sup> • 可手术切除例数 ~1.0万 死亡例数 ~1.1万 <sup>1</sup>	新发病例数 ~35.9万 <sup>1</sup> • 可手术切除例数 ~30.0万 死亡例数 ~26.0万 <sup>1</sup>
	晚期胃癌的5年生存率为5-20%； 胃癌（3线+）客观缓解率为4.5%，中位无进展生存期<2个月，中位总生存期<6个月 (TAGS研究) <sup>2</sup>	
胰腺癌 	新发病例数 ~6.0万 <sup>1</sup> 死亡例数 ~4.9万 <sup>1</sup>	新发病例数 ~11.9万 <sup>1</sup> 死亡例数 ~10.6万 <sup>1</sup>
	胰腺癌5年生存率约为10%； 胰腺癌（2线+）无有效的标准治疗方法	

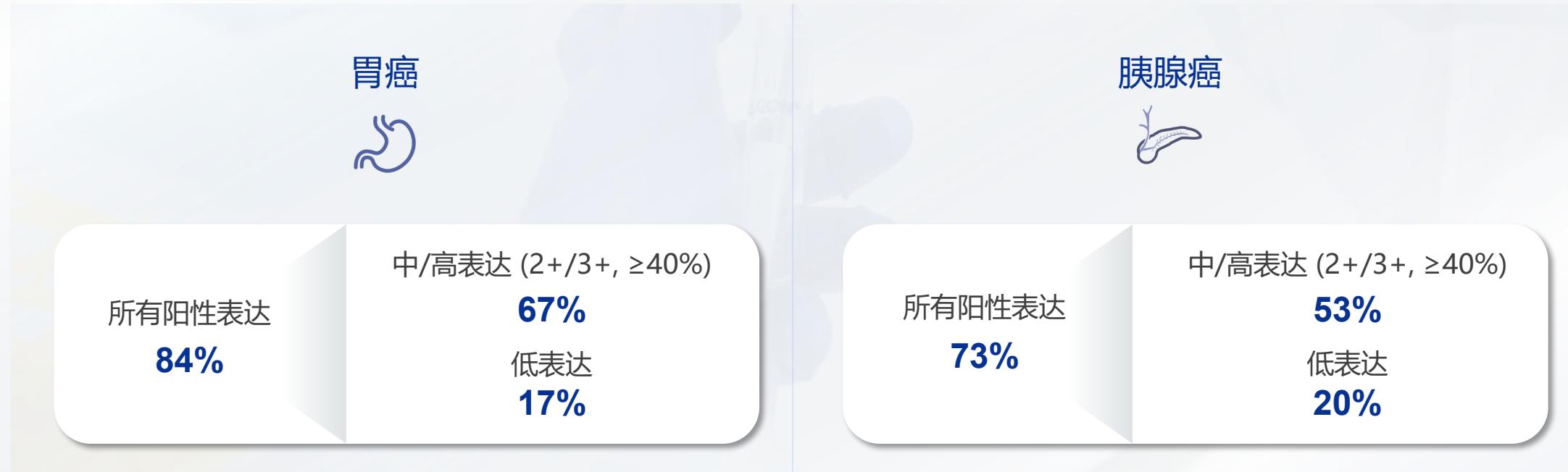
1. International Agency for Research on Cancer. Population factsheets. 2022

2. Shitara K, et al. *Lancet Oncol.* 2018 Nov;19(11):1437-1448

# 科济自主研发的Claudin18.2 IHC检测试剂盒



Claudin18.2 IHC检测试剂盒，具有高灵敏度



\*Claudin18.2在其他实体瘤中也有表达，例如在胆管癌中24%的样本呈中/高表达 ( $2+/3+, \geq 40\%$ )。

# 舒瑞基奥仑赛注射液 (CT041) : 全球潜在同类首创治疗Claudin18.2阳性实体瘤 CAR-T



产品	资格认定	临床开发计划
<ul style="list-style-type: none"><li>优化的scFv，提高了CAR-T细胞的稳定性和结合亲和力，有助于提高CAR-T细胞的疗效和安全性<sup>1</sup></li><li>创新的FNC（传统清淋方案+ 低剂量白蛋白结合型紫杉醇）预处理方案，增强CAR-T细胞的渗透和抗肿瘤效果</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>NMPA 突破性治疗药物品种</li><li>FDA 再生医学先进疗法</li><li>FDA 孤儿药</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>胃癌（3线+）中国确证性II期临床试验取得阳性结果；已递交新药上市申请；已纳入优先审评</li><li>胰腺癌辅助治疗中国I期临床试验：正在进行中</li><li>胃癌辅助治疗中国研究者发起的临床试验：正在进行中</li></ul>
合作		
	与美德纳公司 (Nasdaq: MRNA) 正进行合作开发，研究舒瑞基奥仑赛与美德纳的试验性Claudin18.2 mRNA癌症疫苗的组合效果。	临床探索扩展： <ul style="list-style-type: none"><li>其他Claudin18.2表达阳性肿瘤</li><li>早线治疗</li></ul>

1. Jiang H, et al. J Natl Cancer Inst. 2019;111(4):409-418

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期结果——《柳叶刀》主刊全文发表，2025 ASCO口头报告



THE LANCET

≡

ARTICLES · Volume 405, Issue 10494, P2049-2060, June 07, 2025

Download Full Issue

Claudin-18 isoform 2-specific CAR T-cell therapy (satri-cel) versus treatment of physician's choice for previously treated advanced gastric or gastro-oesophageal junction cancer (CT041-ST-01): a randomised, open-label, phase 2 trial

Changsong Qi, MD <sup>a</sup>, Chang Liu, MD <sup>b,\*</sup>, Prof Zhi Peng, MD <sup>c,\*</sup>, Prof Yanqiao Zhang, MD <sup>d,\*</sup>, Prof Jia Wei, MD <sup>e,\*</sup>, Prof Wensheng Qiu, MD <sup>f,\*</sup>. Prof Xiaotian Zhang, MD <sup>c</sup>, Prof Hongming Pan, MD <sup>g</sup>, Zuoxing Niu, MSc <sup>h</sup>, Prof Meng Qiu, MD <sup>i</sup>, Prof Yanru Qin, MD <sup>j</sup>, Prof Weijia Fang, MD <sup>k</sup>, Prof Feng Ye, MD <sup>l</sup>, Prof Ning Li, MD <sup>m</sup>, Prof Tianshu Liu, MD <sup>n</sup>, Prof Anwen Liu, MD <sup>o</sup>, Prof Xizhi Zhang, BSc <sup>p</sup>, Changlu Hu, BSc <sup>q</sup>, Prof Jun Zhang, MD <sup>r</sup>, Prof Jiwei Cui, MD <sup>s</sup>, Xiaoyan Lin, MD <sup>t</sup>, Shubin Wang, MD <sup>u</sup>, Prof Jian Zhang, MD <sup>v</sup>, Prof Tongyu Lin, MD <sup>w</sup>, Prof Xiujuan Qu, MD <sup>x</sup>, Prof Xianglin Yuan, MD <sup>y</sup>, Prof Jifang Gong, MD <sup>c</sup>, Prof Jian Li <sup>c</sup>, Wanwan Gao, MSc <sup>z</sup>, Lun Gai, MSc <sup>z</sup>, Yumeng Wang, MD <sup>z</sup>, Daijing Yuan, MSc <sup>z</sup>, Zonghai Li, PhD <sup>z</sup>, Prof Lin Shen, MD <sup>o,c</sup>. Show less

Affiliations & Notes ▾ Article Info ▾ Linked Articles (1) ▾

g

Search for...



2025 ASCO®  
ANNUAL MEETING

**Claudin18.2-specific CAR T cells (Satri-cel) versus treatment of physician's choice (TPC) for previously treated advanced gastric or gastroesophageal junction cancer (G/GEJC): Primary Results from a randomized, open-label, phase II trial (CT041-ST-01)**

Changsong Qi<sup>1</sup>, Chang Liu<sup>1</sup>, Zhi Peng<sup>1</sup>, Yanqiao Zhang<sup>2</sup>, Jia Wei<sup>3</sup>, Wensheng Qiu<sup>4</sup>, Xiaotian Zhang<sup>1</sup>, Hongming Pan<sup>5</sup>, Zuoxing Niu<sup>6</sup>, Meng Qiu<sup>7</sup>, Yanru Qin<sup>8</sup>, Weijia Fang<sup>9</sup>, Feng Ye<sup>10</sup>, Ning Li<sup>11</sup>, Tianshu Liu<sup>12</sup>, Yumeng Wang<sup>13</sup>, Daijing Yuan<sup>13</sup>, Zonghai Li<sup>13</sup>, Lin Shen<sup>1,\*</sup>

<sup>1</sup>Peking University Cancer Hospital, Beijing, China; <sup>2</sup>Harbin Medical University Cancer Hospital, Harbin, China; <sup>3</sup>Nanjing Drum Tower Hospital, Nanjing, China; <sup>4</sup>The Affiliated Hospital of Qingdao University, Qingdao, China; <sup>5</sup>Sir Run Run Shaw Hospital, Zhejiang University School of Medicine, Hangzhou, China; <sup>6</sup>Cancer Hospital of Shandong First Medical University, Jinan, China; <sup>7</sup>West China Hospital, Sichuan University, Chengdu, China; <sup>8</sup>The First Affiliated Hospital of Zhengzhou University, Zhengzhou, China; <sup>9</sup>The First Affiliated Hospital, Zhejiang University School of Medicine, Hangzhou, China; <sup>10</sup>The First Affiliated Hospital of Xiamen University, Xiamen, China; <sup>11</sup>Henan Cancer Hospital, Affiliated Cancer Hospital of Zhengzhou University, Zhengzhou, China; <sup>12</sup>Zhongshan Hospital, Fudan University, Shanghai, China; <sup>13</sup>CARSGEN Therapeutics Co., Ltd., Shanghai, China; \*Corresponding author

Changsong Qi, MD

2025 ASCO®  
ANNUAL MEETING

#ASCO25

PRESENTED BY: Changsong Qi, MD  
Presentation is property of the author and ASCO. Permission required for reuse, contact permissions@asco.org.

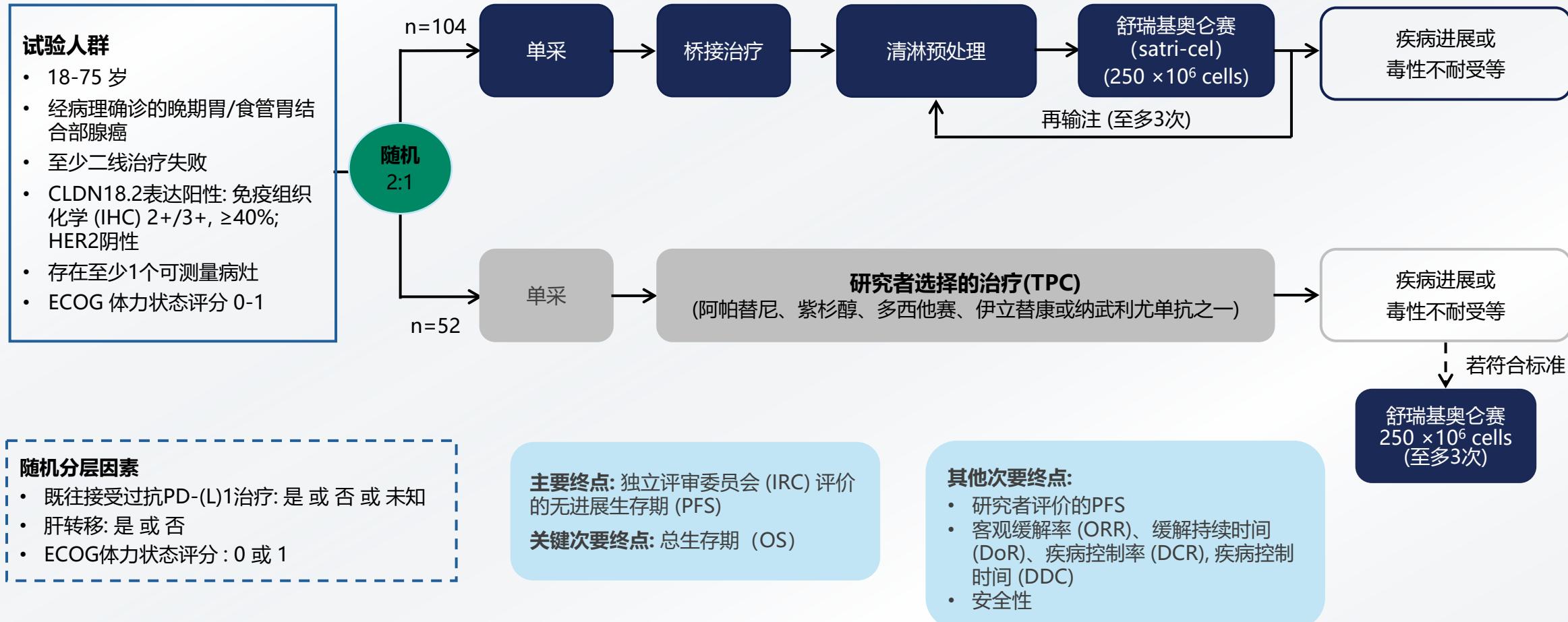
ASCO® AMERICAN SOCIETY OF  
CLINICAL ONCOLOGY  
KNOWLEDGE CONQUERS CANCER

1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003
2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期：试验设计



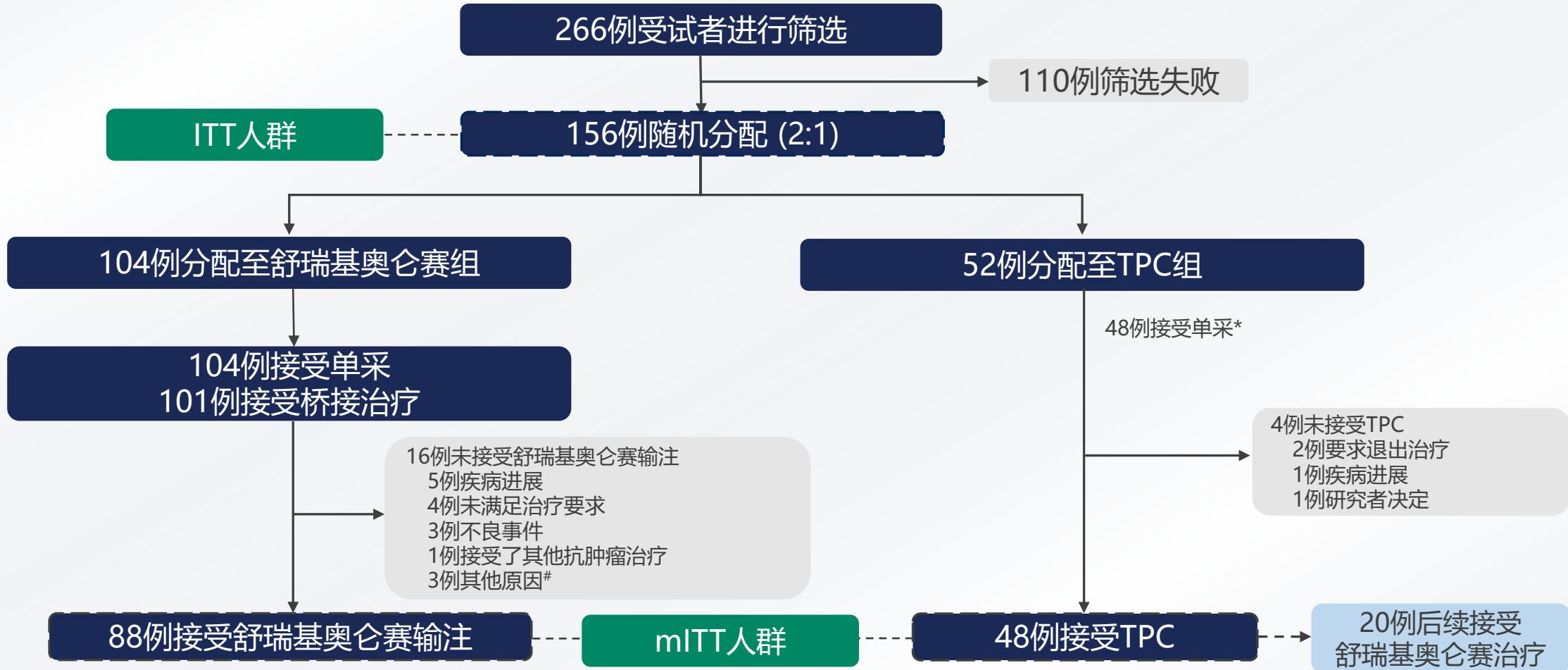
一项在中国开展的多中心、开放标签、随机对照临床试验 (CT041-ST-01)



1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003
2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

数据截止日期: 2024年10月18日

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期试验：受试者分布



1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003
2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

\*1例受试者经研究者评估未予单采，接受了研究者选择的治疗  
<sup>#</sup>3例受试者要求退出试验治疗

数据截止日期：2024年10月18日

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期试验：基线特征



基线特征	舒瑞基奥仑赛组 (n=104)	TPC组 (n=52)
年龄, 中位值 (四分位距), 岁	53.5 (45.0, 60.0)	50.5 (43.0, 58.0)
性别, n (%)		
男性	56 (53.8)	31 (59.6)
女性	48 (46.2)	21 (40.4)
种族, n (%)		
中国人群	104 (100%)	52 (100%)
ECOG体力状态评分 , n (%)		
0	17 (16.3)	8 (15.4)
1	87 (83.7)	44 (84.6)
肿瘤原发部位, n (%)		
胃	88 (84.6)	48 (92.3)
食管胃结合部	16 (15.4)	4 (7.7)
印戒细胞癌*	41 (39.4)	27 (51.9)
Lauren分型, n (%)		
肠型	21 (20.2)	12 (23.1)
弥漫型	45 (43.3)	26 (50.0)
混合型	29 (27.9)	8 (15.4)
未知	9 (8.7)	6 (11.5)
既往胃切除术, n (%)	49 (47.1)	31 (59.6)

\* 包含符合WHO病理分类标准的印戒细胞癌，及含有印戒细胞癌成分者

† 高表达：具有3+和2+CLDN18.2 表达的肿瘤细胞所占比例的总和≥70%；中表达：具有3+和2+CLDN18.2 表达的肿瘤细胞所占比例的总和≥40%但<70%

‡ 二线治疗包括二线治疗和一线治疗期间同时使用紫杉烷类（或蒽环类）、铂类及氟尿嘧啶类三种药物

基线特征	舒瑞基奥仑赛组 (n=104)	TPC组 (n=52)
CLDN18.2 表达, n (%) <sup>†</sup>		
中表达	24 (23.1)	10 (19.2)
高表达	80 (76.9)	42 (80.8)
既往治疗线数, n (%) <sup>‡</sup>		
2	76 (73.1)	42 (80.8)
≥3	28 (26.9)	10 (19.2)
既往系统性治疗用药, n (%)		
氟尿嘧啶类	101 (97.1)	52 (100)
紫杉烷类	96 (92.3)	47 (90.4)
铂类	103 (99.0)	50 (96.2)
抗PD-(L)1	81 (77.9)	42 (80.8)
转移器官数量, n (%)		
≤2	53 (51.0)	25 (48.1)
≥3	51 (49.0)	27 (51.9)
转移器官, n (%)		
腹膜	72 (69.2)	31 (59.6)
肝	21 (20.2)	10 (19.2)
肺	9 (8.7)	7 (13.5)
骨	8 (7.7)	9 (17.3)

1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003

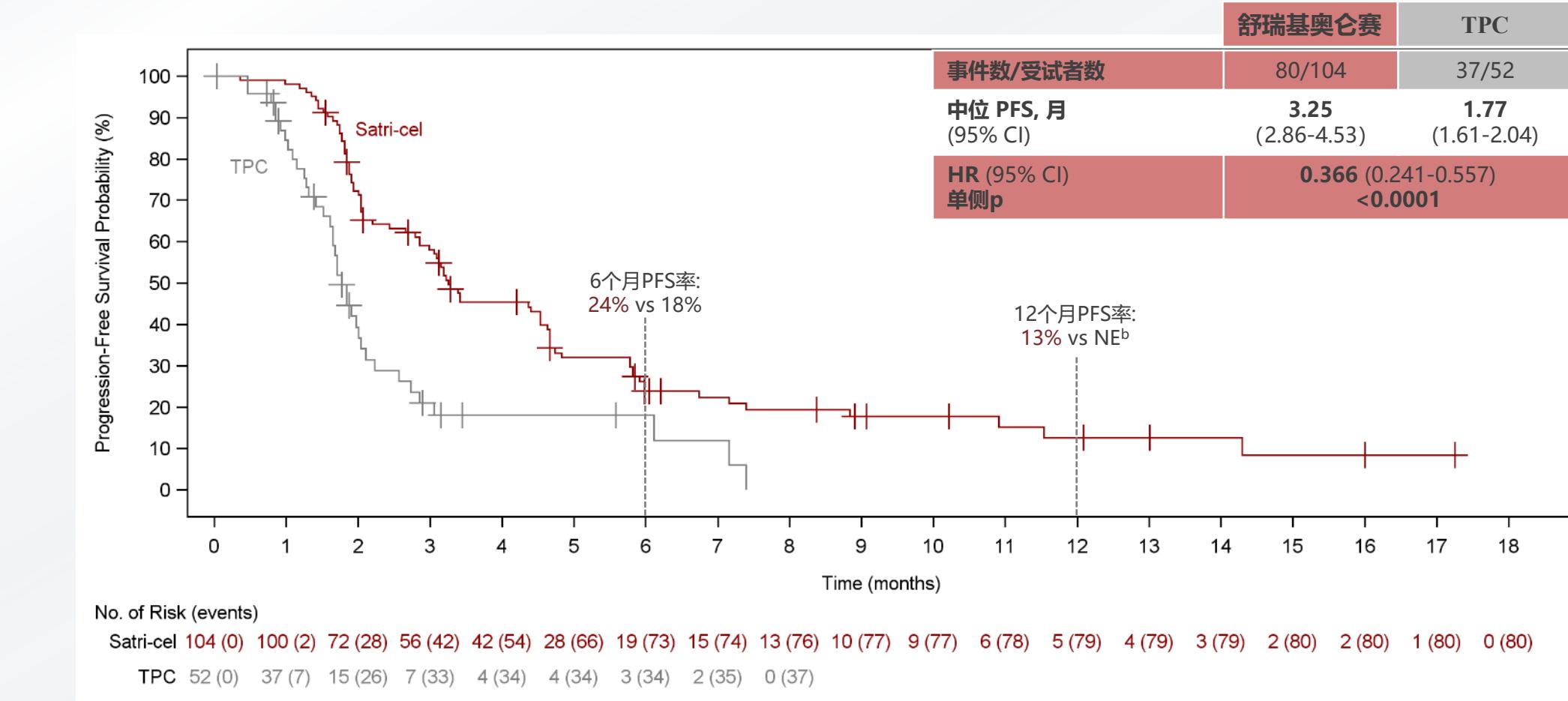
2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

数据截止日期：2024年10月18日

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期试验：主要终点IRC评价的PFS<sup>a</sup>



舒瑞基奥仑赛展现出具有统计学意义的PFS显著获益，主要终点达成



a: 依据RECIST v1.1标准

b: TPC组的12个月PFS率无法估算

数据截止日期: 2024年10月18日

中位随访时间: 9.07个月(舒瑞基奥仑赛组) vs 3.45个月 (TPC组)

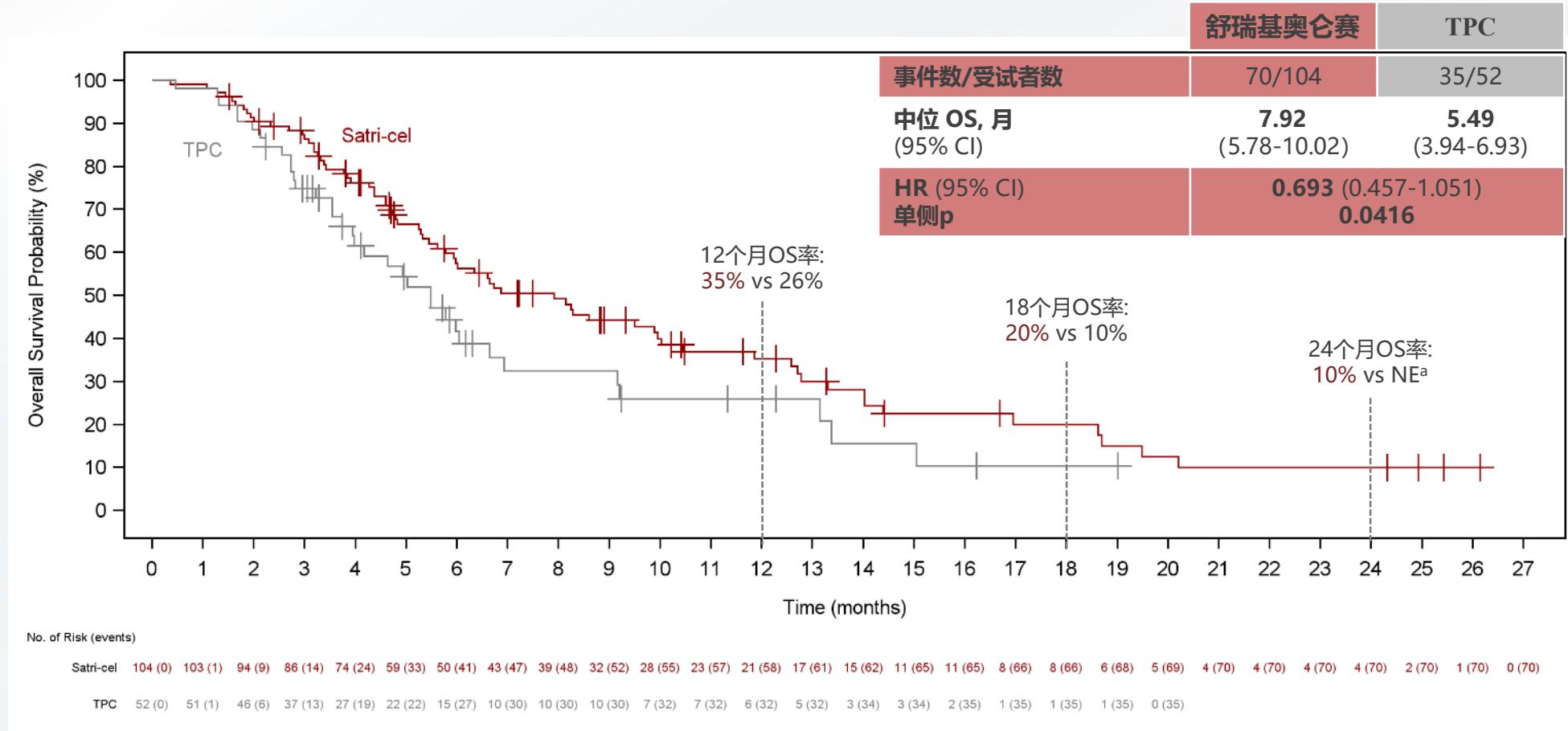
1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003

2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期试验：关键次要终点OS



## 舒瑞基奥仑赛展现出具有临床意义的OS获益



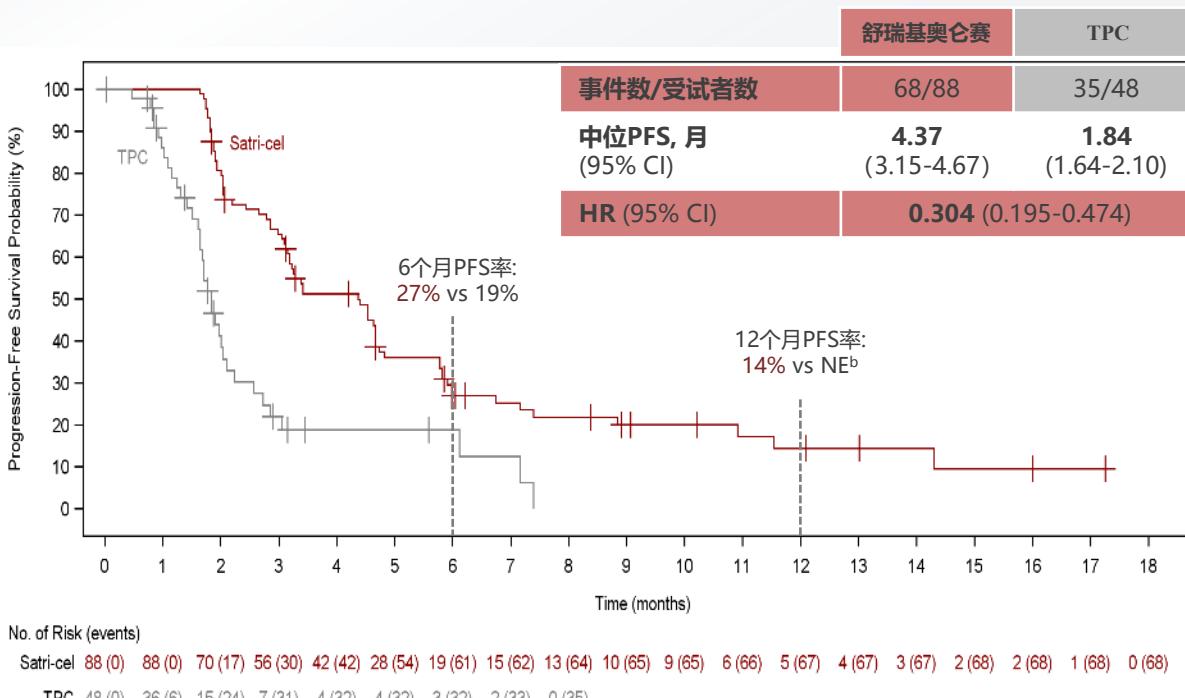
a: TPC组的24个月PFS率无法估算

数据截止日期: 2024年10月18日  
中位随访时间: 14.42个月(舒瑞基奥仑赛组) vs 11.33个月 (TPC组)

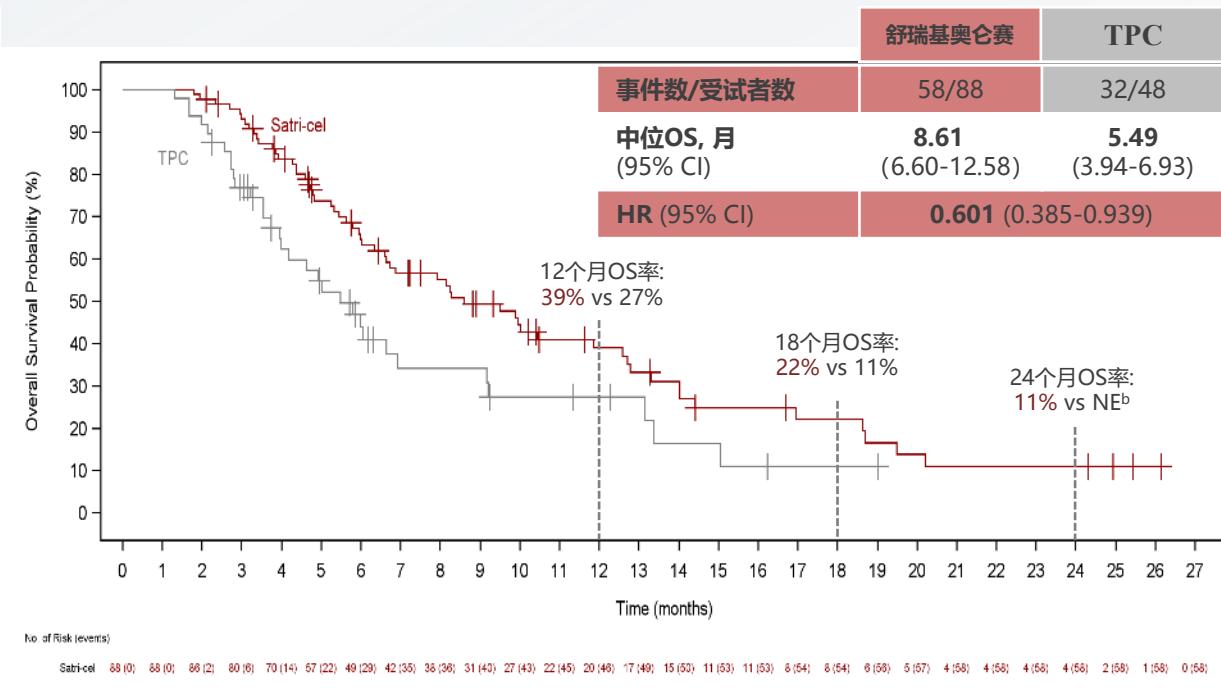
1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003
2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

在实际用药人群 (mITT) 中, 舒瑞基奥仑赛组的IRC评价的PFS及OS均明显优于TPC组

## IRC评价的PFS<sup>a</sup>



## OS



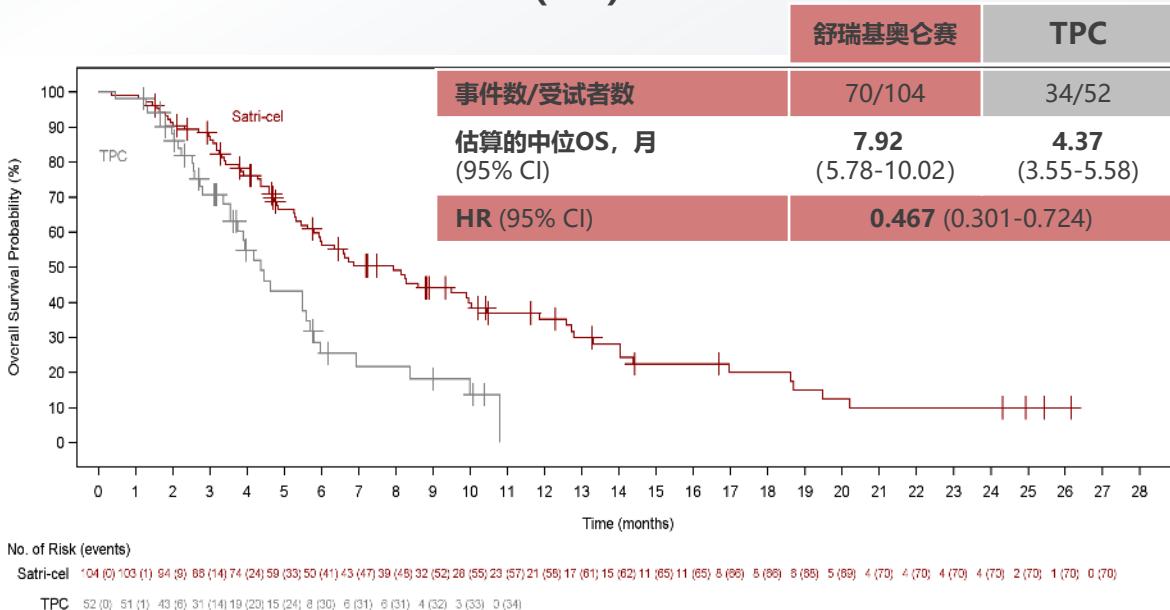
数据截止日期: 2024年10月18日

a: 依据RECIST v1.1标准 b: TPC组的率无法估算

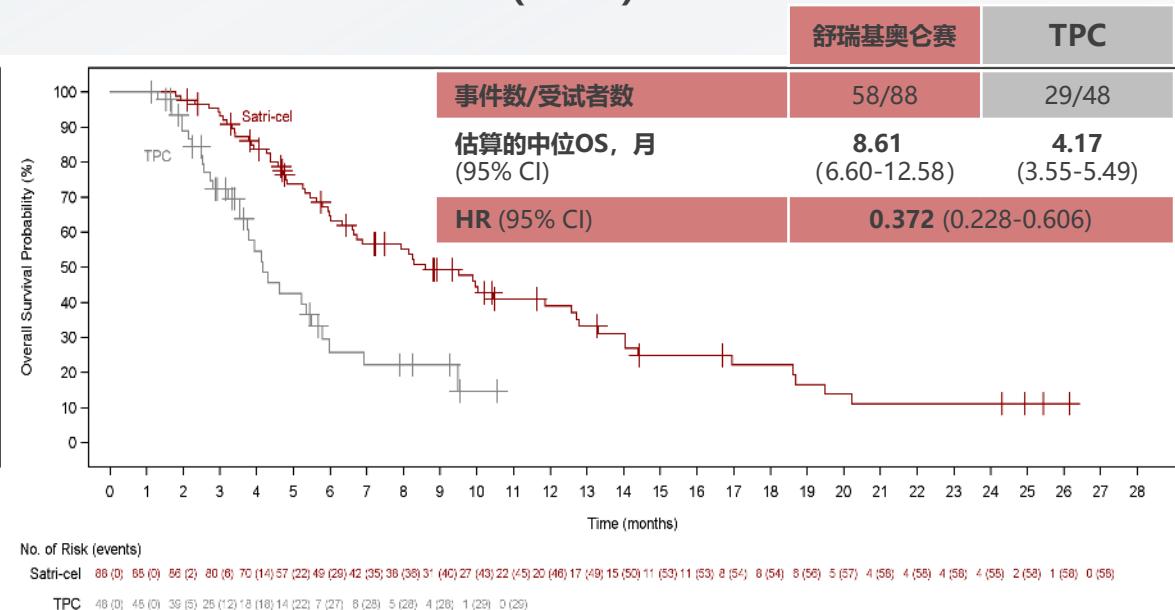
- Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003
- Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

## 采用RPSFT模型校正分析，舒瑞基奥仑赛组中位OS为TPC组的1.81-2.06倍 ITT 和 mITT 人群死亡风险降低分别达53%和63%

OS (ITT) - RPSFT



OS (mITT) - RPSFT



- TPC组中**42% (20/48)**的受试者接受了后续舒瑞基奥仑赛输注
- 在所有108例(舒瑞基奥仑赛组88例, TPC组20例)接受舒瑞基奥仑赛治疗的受试者中, **中位OS达9.17个月 (95% CI 6.64-12.58)**

数据截止日期: 2024年10月18日

a: RPSFT: 裁保持结构失效模型, 对TPC组后续接受舒瑞基奥仑赛输注受试者的生存时间进行了校正

CARSGEN THERAPEUTICS

Confidential

Copyrights reserved by CARsgen

1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003

2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期临床：可控的安全性



安全性事件, n (%)	舒瑞基奥仑赛组(n=88)		TPC组(n=48)	
	所有级别	≥3级	所有级别	≥3级
全部治疗后出现的不良事件 (TEAEs)	88 (100%)	87 (98.9%)	44 (91.7%)	30 (62.5%)
与治疗相关的TEAEs (TRAEs)	88 (100%)	87 (98.9%)	44 (91.7%)	27 (56.3%)
导致终止用药的TRAEs	0	0	2 (4.2%)	1 (2.1%)
导致死亡的TRAEs	1 (1.1%) <sup>[1]</sup>	1 (1.1%)	1 (2.1%) <sup>[2]</sup>	1 (2.1%)
细胞因子释放综合征 (CRS)	84 (95.5%)	4 (4.5%) <sup>[3]</sup>	0	0
免疫效应细胞相关神经毒性综合征 (ICANS)	0	0	0	0

试验治疗定义：舒瑞基奥仑赛组包括桥接治疗、清淋预处理及舒瑞基奥仑赛输注，TPC组为研究者选择的治疗

[1] 弥散性血管内凝血；[2] 凝血障碍；[3] 均为3级

数据截止日期：2024年10月18日

1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003
2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

# 舒瑞基奥仑赛注射液中国确证性II期临床研究总结



- ✓ 在全球范围内，这是**首个**CAR-T 细胞疗法在实体瘤中开展的确证性随机对照试验（RCT），也是CAR-T 细胞疗法在实体瘤领域中**首个**主要终点达成有效性的随机对照试验。
- ✓ 舒瑞基奥仑赛注射液对比标准治疗，在Claudin18.2 阳性、至少二线治疗失败的 G/GEJC 患者中展现出**统计学显著的PFS获益及具有临床意义的OS获益**。
- ✓ 本试验扩大了胃 / 食管胃结合部癌（G/GEJC）患者中 Claudin18.2 阳性的比例。
- ✓ 我们观察到，在许多患者中，**安全性可控且存在长期获益**。
- ✓ 这些结果支持舒瑞基奥仑赛注射液作为晚期G/GEJC潜在的**新标准治疗**，并为继续研究舒瑞基奥仑赛在晚期 G/GEJC 患者更早线治疗中的应用提供了强有力的依据。

1. Qi C, et al. ASCO 2025. 2025 May; Oral presentation #4003

2. Qi C, et al. *The Lancet* (2025). DOI: 10.1016/S0140-6736(25)00860-8

# 舒瑞基奥仑赛注射液中美临床试验数据（单臂研究）



	中国研究者发起的临床试验 (NCT03874897) <sup>1,2</sup> ASCO 2024, <i>Nature Medicine</i>	中国Ib期临床试验 (NCT04581473) <sup>3</sup> ASCO 2022	美国1b期临床试验 (NCT04404595) <sup>4</sup> ASCO GI 2024	
样本量, No.	51 G/GEJA*	14 G/GEJA	7 G/GEJA	12 PC
中位随访时间, 月	32.4*	8.8		8.9
ORR	54.9%*	57.1%	42.9%	16.7%
mPFS, 月	5.8**	5.6	5.7	2.7
mDoR, 月	6.4*	未发表	6.9	3.4
mOS, 月	9.0**	10.8	8.9	8.9
≥ 3级CRS, No.	0	1***	0	2
≥ 3级ICANS, No.	0	0		0
治疗相关死亡, No.	0	0		0

\*51例基线有靶病灶的G/GEJA患者接受了舒瑞基奥仑赛注射液单药治疗  
\*\*59例G/GEJA患者接受了舒瑞基奥仑赛注射液单药治疗  
\*\*\*1例患者发生的CRS与患者自身的疾病负担（胃癌的肺转移）相关，且在使用糖皮质激素治疗后完全恢复

胃/食管胃结合部腺癌 (G/GEJA)；胰腺癌 (PC)；客观缓解率 (ORR)；中位无进展生存期 (mPFS)；中位缓解持续时间 (mDoR)；中位总生存期 (mOS)；细胞因子释放综合征 (CRS)；免疫效应细胞相关神经毒性综合征 (ICANS)

1. Qi C, et al. ASCO 2024. 2024 Jun; Oral presentation #2501
2. Qi C, et al. *Nat Med* (2024). DOI: 10.1038/s41591-024-03037-z2
3. Qi C, et. al. ASCO 2022. 2022 Jun; Poster #4017
4. Botta G, et. al. ASCO GI 2024. 2024 Jan; Poster #356

有望在更早线或更早的疾病阶段展现出巨大的临床价值，为更广泛的患者群体提供更好的治愈机会

## 更易触达肿瘤

- 低疾病负担与低侵袭性
- 更易渗透组织

## 免疫系统条件更佳

- T细胞质量更好
- 可能产生更持久的缓解



# 舒瑞基奥仑赛注射液胃癌一线治疗后的序贯治疗，ORR达100%



No.	年龄/性别	一线治疗的BOR	舒瑞基奥仑赛 输注后的BOR	TTR
1	50/女	SD	PR	W4
2	55/女	PR	PR	W4
3	30/女	SD	PR	W4
4	48/男	SD	NN	无靶病灶
5	53/女	NE (无法耐受化疗，骨 髓抑制)	PR	W4

## 舒瑞基奥仑赛疗效亮点

- 在4例具有靶病灶的患者中**ORR达100%**, TTR为4周
- 1例NN患者病情稳定维持**超过15个月**
- 2例患者在输注舒瑞基奥仑赛后接受了**手术切除**, **截至目前仍存活**

客观缓解率 (ORR) ; 最佳总体缓解 (BOR) ; 首次应答时间 (TTR) ; 疾病稳定 (SD) ; 部分缓解 (PR) ; 不可评估 (NE) ; 非完全缓解非疾病进展 (NN)

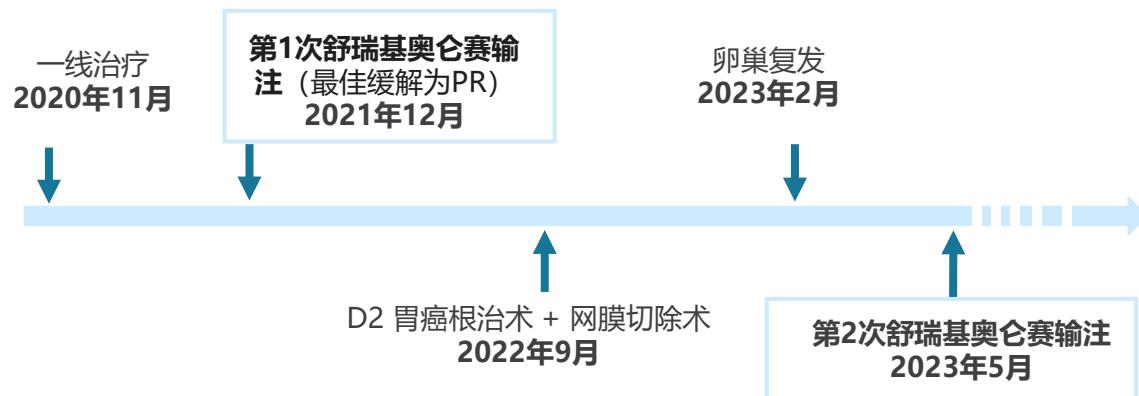
# 2例胃癌患者在输注舒瑞基奥仑赛注射液后接受了手术切除，实现长期生存（截至目前仍存活）



## 案例1

### 一线治疗

- 方案：POS (6个周期) + 替吉奥 (S-1) / 紫杉醇/肿瘤坏死因子 (TNF) 腹腔灌注 (4个周期)
- 一线最佳总体缓解：疾病稳定 (SD)

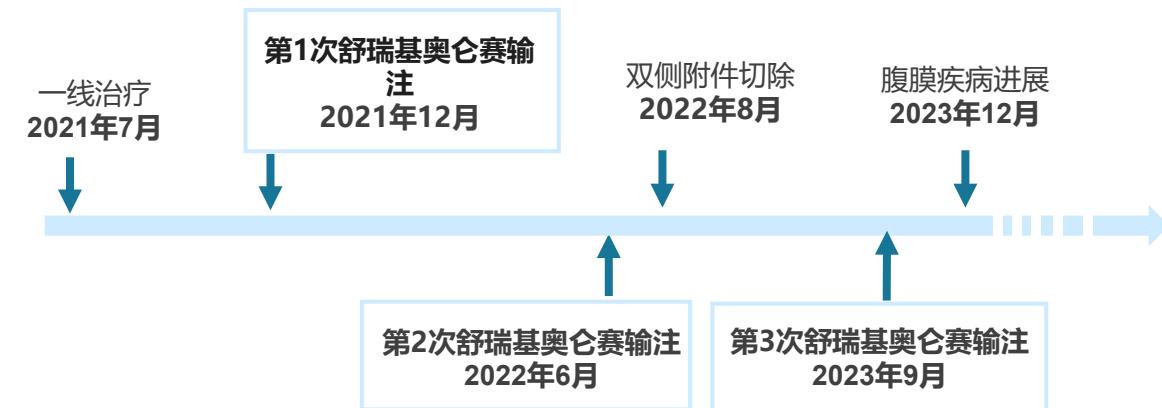


总生存期 (OS) : > 40.0个月  
(末次随访时间: 2025年4月)

## 案例2

### 一线治疗

- 方案：SOX (4个周期)
- 一线最佳总体缓解：部分缓解 (PR)



总生存期 (OS) : > 42.0个月  
(末次随访时间: 2025年6月)

# 舒瑞基奥仑赛注射液用于胰腺癌辅助治疗，使CA19-9水平显著下降



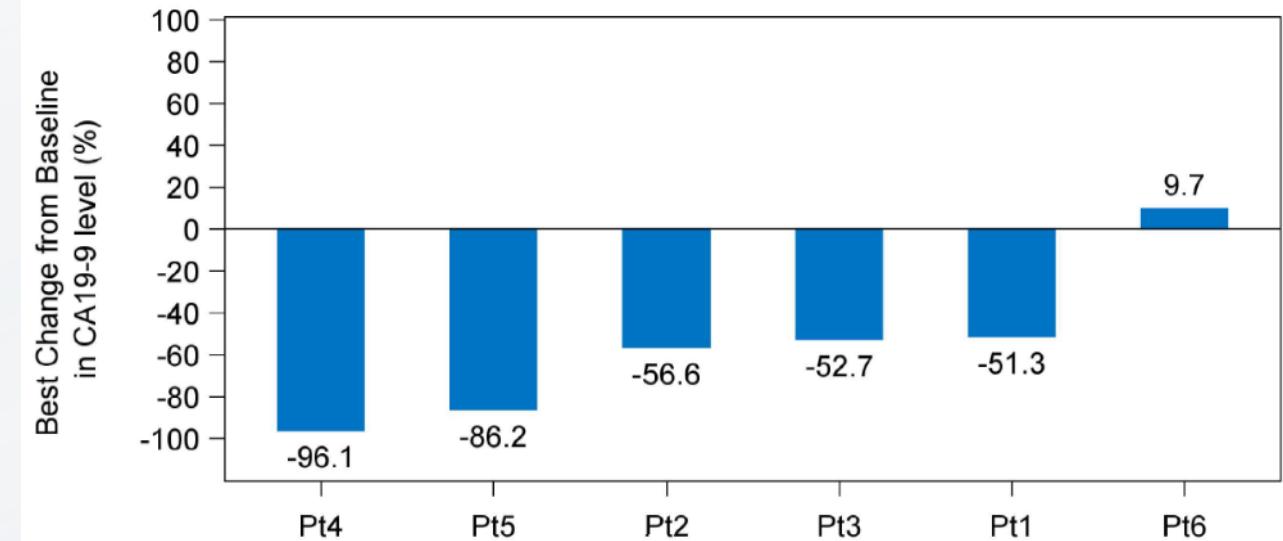
截至2025年4月11日（数据截止日期）期间，  
6例PC患者的中位随访时间为6.05个月

mDFS, mOS  
**未达到**

术后9个月DFS率  
**83.3%**

所有受试者在首  
次细胞输注后均  
出现1-2级CRS

未发生  
ICANS



- **5例 (83.3%)** 受试者接受细胞输注后出现**CA19-9水平显著下降**，降幅范围为51.3%~96.1%
- 其中1例受试者已完成输注后**52周随访**，**未出现疾病复发**

# 肝癌：全球第三大癌症死亡病因



## 2022年肝癌在美国和中国的流行病学数据<sup>1</sup>

	美国	中国
新发病例数	~4.3万	~36.8万
死亡例数	~3.1万	~31.7万

## 肝癌五年生存率

	全球 <sup>2</sup>	美国 <sup>3</sup>	中国 <sup>4</sup>
肝癌	18%	20%	12%

1. International Agency for Research on Cancer. Population factsheets. 2022

2. Lin L, et al. *Liver Cancer*. 2020 Sep;9(5):563-582

3. 2022 American Cancer Society medical information

4. Zheng R, et al. *Chinese Journal of Cancer Research*, 2018 Dec;30(6):571-579

# CT011：全球同类首创的GPC3自体CAR-T，肝细胞癌治疗潜力得到初步验证



## GPC3：高表达和高特异性

- GPC3在大约75%的肝细胞癌（HCC）中表达过高，并与疾病预后不良相关。

科济 IHC 检测GPC3表达

在肝细胞癌患者中的表达\*:

**70.7%**

- 此外，GPC3在其他癌症类型中也有过表达，例如超过60%的肺鳞状细胞癌（SCC）。

## CT011

CT011是一种用于治疗肝细胞癌的自体  
GPC3 CAR-T细胞候选产品。

### 临床开发情况



- I期临床试验 **已完成**
- 针对手术切除后出现复发风险的  
GPC3阳性的IIIa期肝细胞癌的I期临床  
试验 **正在进行中**

\*科济药业内部数据

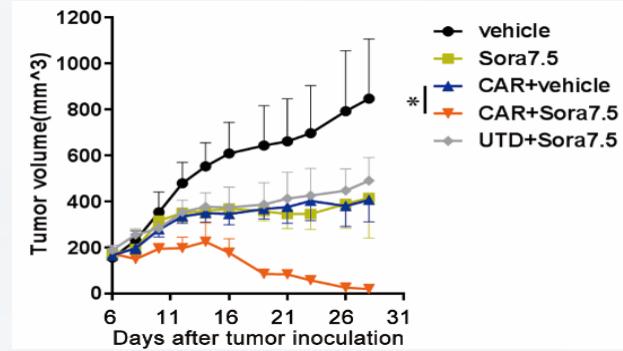
# GPC3 CAR-T与小分子药物联用治疗肝细胞癌：在《Molecular Therapy》首次发表



> Mol Ther. 2019 Aug 7;27(8):1483-1494. doi: 10.1016/j.ymthe.2019.04.020. Epub 2019 Apr 29.

## Combined Antitumor Effects of Sorafenib and GPC3-CAR T Cells in Mouse Models of Hepatocellular Carcinoma

Xiuqi Wu<sup>1</sup>, Hong Luo<sup>2</sup>, Bizihi Shi<sup>1</sup>, Shengmeng Di<sup>1</sup>, Ruixin Sun<sup>1</sup>, Jingwen Su<sup>1</sup>, Ying Liu<sup>1</sup>, Hua Li<sup>1</sup>, Hua Jiang<sup>3</sup>, Zonghai Li<sup>4</sup>



Molecular Therapy  
Commentary

Alliance of the Titans: An Effective Combination of a TKI with CAR T Cells

Andras Heczey<sup>1</sup>  
<https://doi.org/10.1016/j.ymthe.2019.07.008>



TYPE Case Report  
PUBLISHED 17 August 2022  
DOI 10.3389/fimmu.2022.963031

Long term complete response of advanced hepatocellular carcinoma to glypican-3 specific chimeric antigen receptor T-Cells plus sorafenib, a case report

截至2021年12月（文章发布时的最后随访），完全缓解状态已超过24个月，并持续维持。



(摄于2023年6月)

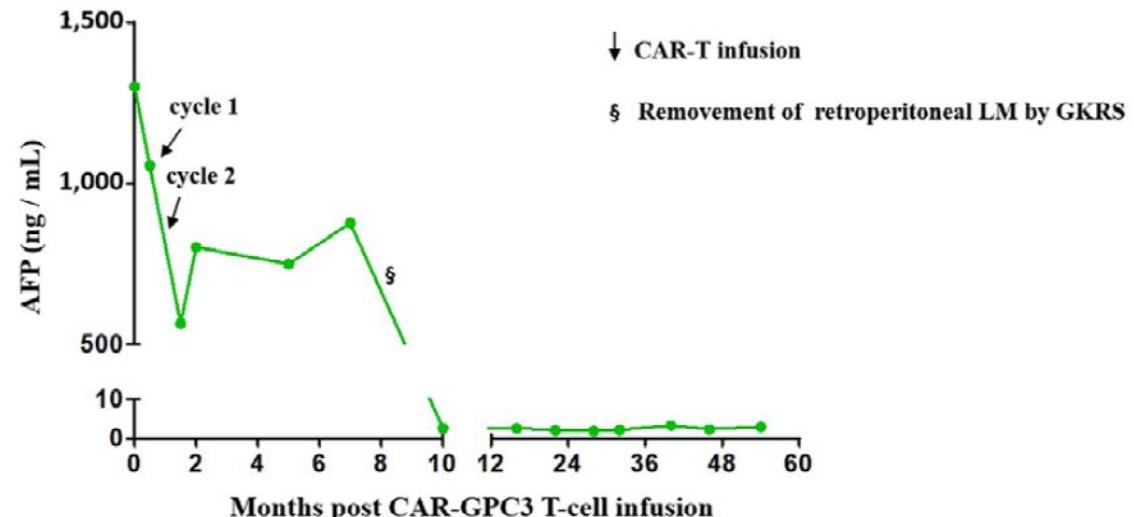
1. Wu X, Mol Ther. 2019 Aug 7;27(8):1483-1494

# 局部治疗结合GPC3 CAR-T治疗肝细胞癌案例：在《Cancer Communications》作为封面文章发表；2例均已约9年无病生存



2名患者在最近一次随访（2025年4月11日）时，仍处于无癌状态

## • 案例：54岁男性

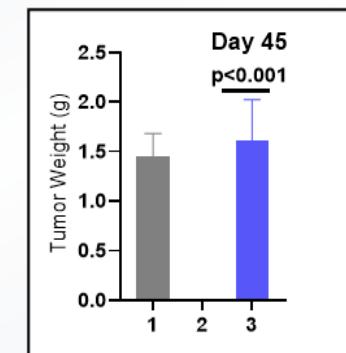
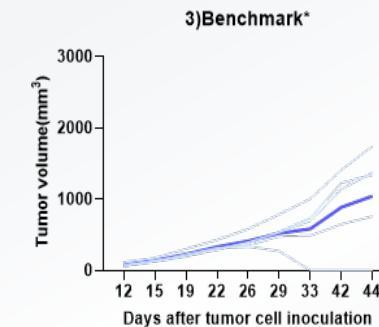
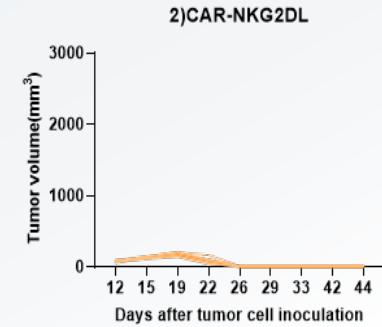
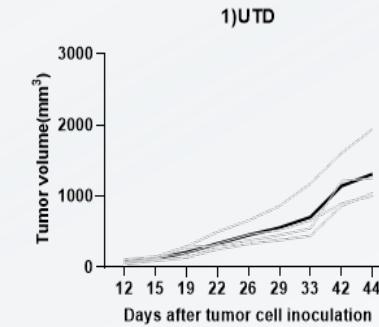
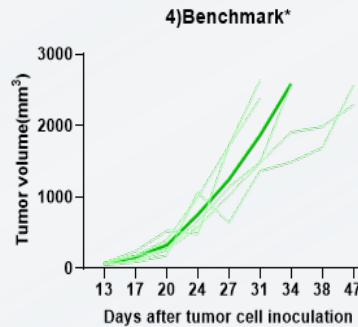
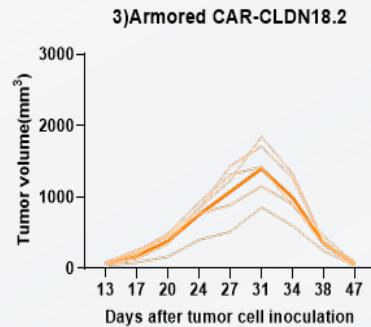
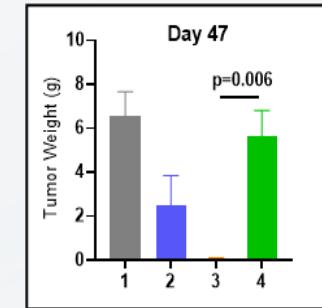
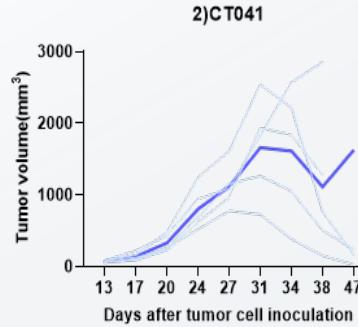
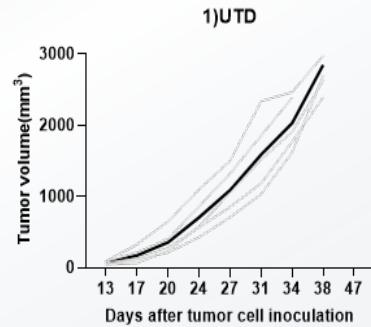


1. Shi Y, et al. *Cancer Commun (Lond)*. 2023 Jul

# 开发新一代CAR-T以解决实体瘤的重大挑战



下一代Claudin18.2 CAR-T在胃癌模型中展示出更强的疗效



基于舒瑞基奥仑赛改造的Armored CAR-T展示更优的疗效

自研CAR-NKG2DL T细胞可100%清除掉肝细胞癌



## 通用型CAR-T平台及管线产品

# 通用型 CAR-T 与自体 CAR-T 之间的现有疗效差距



治疗和结果	通用型BCMA CAR-T			自体 BCMA CAR-T
	ALLO-715 $3.2 \times 10^8$ cells, N=24 <sup>1</sup>	P-BCMA-ALLO1 <sup>2</sup> 所有组**: $0.25-6 \times 10^6$ cells/kg, N=72	C组**: $2 \times 10^6$ cells/kg N=23	ciltacel $0.5-1 \times 10^6$ cells/kg, N=97 <sup>3</sup>
入组人数	48	72	23 (包含2例二次回输)	113
开始治疗时间*	5	1	1	32
需要桥接治疗	0%	0%	0%	75%
ORR (mITT)	71%	54%	91%	98%
CR/sCR 率 (mITT)	25%	11%	22%	80%
$\geq$ VGPR 率 (mITT)	71%	33%	48%	95%
中位反应持续时间 (mDoR)	8.3 个月	7.7 个月***	未发表	未成熟****

\* ALLO-715时间计算为从入组到清淋；P-BCMA-ALLO1时间计算为从入组到开始研究治疗

\*\*共有四个组别：C组（环磷酰胺750 mg/m<sup>2</sup>/天 + 氟达拉滨30 mg/m<sup>2</sup>/天）剂量为 $2 \times 10^6$ ，B组（环磷酰胺1000 mg/m<sup>2</sup>/天 + 氟达拉滨30 mg/m<sup>2</sup>/天）剂量为 $2 \times 10^6$ ，S组（环磷酰胺300 mg/m<sup>2</sup>/天 + 氟达拉滨30 mg/m<sup>2</sup>/天）剂量范围为 $0.25-6 \times 10^6$ ，A组（环磷酰胺500 mg/m<sup>2</sup>/天 + 氟达拉滨30 mg/m<sup>2</sup>/天）剂量为 $2 \times 10^6$

\*\*\*A组和B组的中位反应持续时间为232天，这两组在数据截止时的随访时间为六个月或更长

\*\*\*\*中位随访时间18个月时，mDoR为21.8个月

1. Allogene Therapeutics. 2021. ASH 2021 Presentation. Accessed Nov 5, 2024

2. Poseida website news releases of phase 1 early results; Poseida Therapeutics. 2024. International Myeloma Society (IMS) 21st Annual Meeting and Exposition

3. ciltacabtagen autoleucel [Prescribing Information]. Janssen Biotech

# 通用型CAR-T细胞体内扩增相对有限



- 在通用型CAR-T中，供体T细胞会被宿主免疫系统识别并清除（HvGR），从而影响CAR-T细胞的存活，CAR-T细胞扩增有限
- 与自体CAR-T相比，通用型CAR-T体内扩增峰值显著更低。

## 自体和通用型 BCMA CAR-T 在多发性骨髓瘤患者中的应用

	通用型CAR-T ALLO-715 UNIVERSAL Phase I <sup>1*</sup>	自体CAR-T ciltacel CARTITUDE-1 <sup>2</sup>	自体CAR-T 赛恺泽 <sup>®</sup> LUMMICAR-1 Phase 1 <sup>3</sup>
中位 C <sub>max</sub> (copies/ug gDNA)	6,419*	47,806	202,543
清淋方案	<ul style="list-style-type: none"><li>氟达拉滨: 30 mg m<sup>2</sup>*3天;</li><li>环磷酰胺: 300 mg m<sup>2</sup>*3天;</li><li>ALLO-647 mAb**: 13mg/20mg/30mg*3天</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>氟达拉滨: 30 mg m<sup>2</sup>*3天;</li><li>环磷酰胺: 300 mg m<sup>2</sup>*3天;</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>氟达拉滨: 25 mg m<sup>2</sup>*3天;</li><li>环磷酰胺: 300 mg m<sup>2</sup>*3天</li></ul>

\*所有接受3.2 x 10<sup>8</sup>细胞治疗的 FCA 方案患者的数据 (N=24)

\*\*ALLO-647: 一种人源化抗 CD52 单克隆抗体, 用于选择性消耗 CD52 阳性的宿主淋巴细胞

1. Mailankody S, et al. *Nat Med.* 2023 Feb;29(2):422-429.

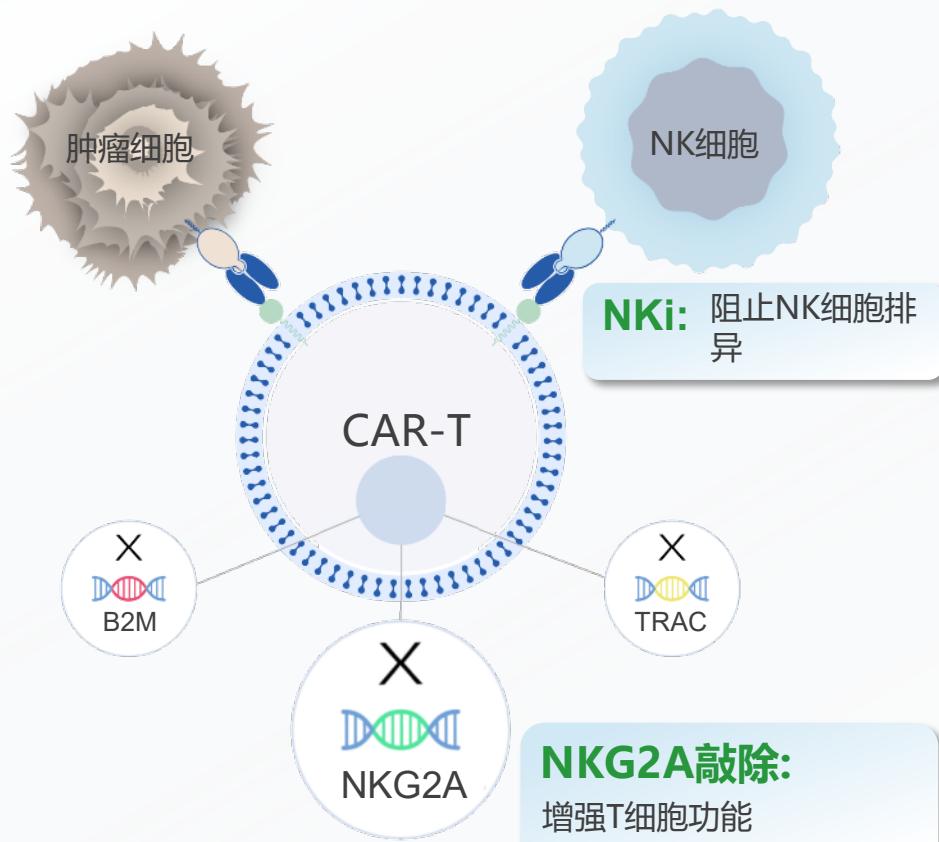
2. ciltacabtagene autoleucel [Prescribing Information]. Janssen Biotech

3. Chen W, et al. EHA 2024. 2024 Jun; Oral presentation S209

# THANK-uCAR®和优化后的THANK-u Plus®：解决HvGR问题的创新通用型CAR-T技术



## Target and Hinder the Attack of NK cells on Universal CAR T cells (THANK-uCAR®)



## 宿主抗移植物反应 (HvGR) 是目前通用型CAR-T最大的挑战

- 敲除B2M可以缓解来自宿主T细胞的HvGR，却会引起宿主NK细胞对uCAR-T细胞的杀伤，从而导致疗效有限。

## THANK-uCAR®更好地解决HvGR

- Anti-NKG2A CAR (NKi) 可以帮助杀伤激活的NK细胞，从而降低NK细胞对uCAR-T细胞的杀伤
- NK细胞可以作为uCAR-T细胞的“饲养细胞”，从而增强uCAR-T细胞的扩增
- NKG2A敲除，可以进一步增强T细胞功能

## THANK-u Plus®提升抵抗NK排斥和扩增的能力

- THANK-u Plus® 较THANK-uCAR®**增加了NK抑制性信号元件 (NKi binder)**，增强uCAR-T细胞抵抗NK细胞排斥的能力，拓宽适用范围

# 通用型CAR-T CT0590治疗R/R MM的中国IIT结果



CT0590是基于**THANK-uCAR®**技术开发的通用型BCMA CAR-T

患者 (适应证)	ISS 分期	既往治 疗线数	对 PI/IMiD 的耐受率*	基线水平时 NKG2A 在NK细胞中的 表达率	最佳总体缓解	DoR (月)	CAR基因最高 拷贝数 (copies/ $\mu$ g gDNA)
PT 1 (MM)	I	2	1	23	SD	NA	BLQ
PT 1-reinf (MM)							5,102
PT 2 (MM)	I	2	2	38	sCR	23	482,749
PT 3 (MM)	III	3	2	12	SD	NA	BLQ
PT 4 (MM)	III	3	2	NA	PR	4	BLQ
PT 4-reinf (MM)					PR	6.9	
#PT 5 (pPCL)	NA	3	2	46	sCR	20	280,863

- 达到sCR的两名患者，在NK细胞上的NKG2A表达水平相对较高。
- NK细胞上的基线NKG2A表达水平可能与CT0590的治疗效果有关。

数据截止日期：2024年4月22日

#这位患者是在同情使用的情况下进行用药的。

\* “2”表示双重类别的耐受性（对蛋白酶体抑制剂PI和免疫调节剂IMiD），“1”表示PT1患者对蛋白酶体抑制剂PI耐受。

# CT0596：靶向BCMA的通用型CAR-T细胞疗法 (THANK-u Plus®)



## THANK-u Plus®平台

- THANK-u Plus®扩增水平较THANK-uCAR®显著提升
- 在不同 NKG2A 表达水平 NK 细胞的存在下，THANK-u Plus®均可持续扩增

## CT0596

- 基于THANK-u Plus®, 开发了靶向BCMA的通用型CAR-T产品**CT0596**, 用于治疗R/R MM或PCL

## 临床开发进度与计划

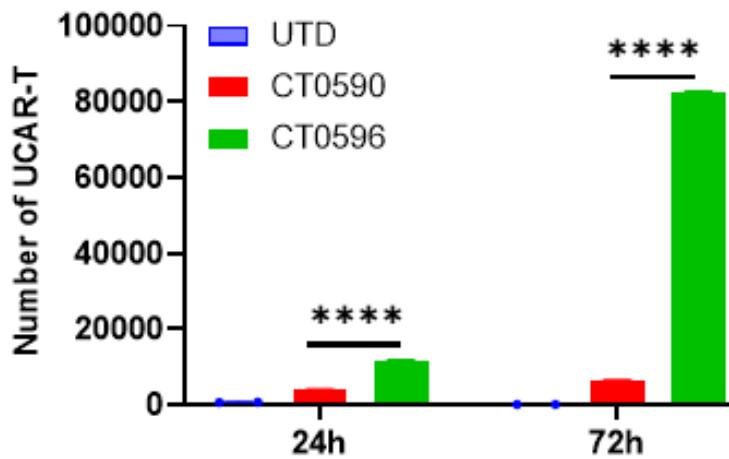
- CT0596用于治疗R/R MM或PCL的IIT正在开展：
  - ✓ 截至2025年5月6日，已经完成8例R/R MM患者的输注
  - ✓ 已经完成2例pPCL患者的输注
- 计划拓展其他浆细胞肿瘤以及自身免疫性疾病
- 预估2025年下半年提交浆细胞肿瘤IND申请

复发/难治性多发性骨髓瘤 (R/R MM) ; 浆细胞白血病 (PCL) ; 研究者发起的临床试验 (IIT)

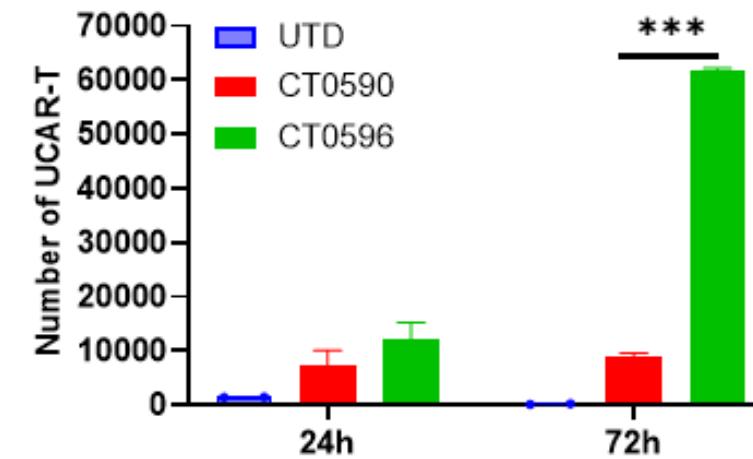
# CT0596：在不同NKG2A表达水平的NK存在下持续扩增，并且扩增水平显著提升



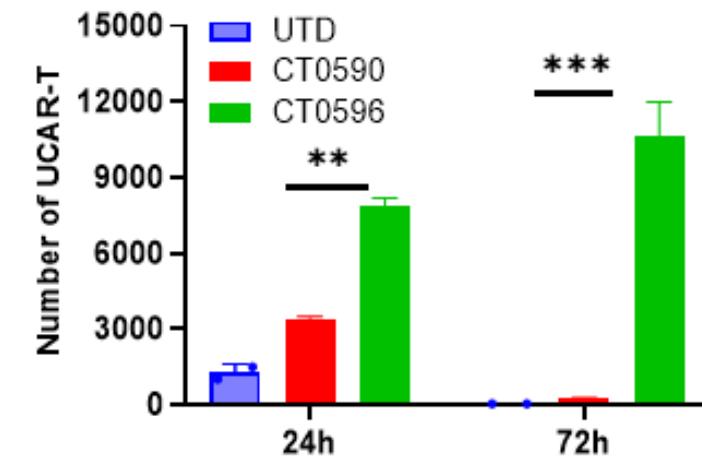
NKG2A表达：**高**



**中**



**低**



- CT0590 (THANK-uCAR<sup>®</sup>)：在NKG2A表达相对较低的NK细胞存在情况下，其扩增在72小时下降。
- **CT0596 (THANK-u Plus<sup>®</sup>)：**
  - ✓ 在面对NKG2A 高/中/低表达水平的NK细胞时，**72小时均有显著扩增**；
  - ✓ 在面对NKG2A 中/高表达水平的NK细胞时，**扩增能力比CT0590显著增加**。

# IIT患者基线特征



		患者(N=8)
多发性骨髓瘤		8 (100%)
中位年龄		63.5
初诊时免疫球蛋白类型, n (%)		
IgG		2 (25.0%)
IgA		4 (50.0%)
κ 轻链		2 (25.0%)
筛选时R-ISS分期, n (%)		
I		0
II		5 (62.5%)
III		3 (37.5%)
高危细胞遗传学, n (%)		
是		1 (12.5%)
髓外病变, n (%)		1 (12.5%)
中位既往治疗线数		4.5
中位浆细胞比例, n (%)		22.50 (0.5, 53.5)
中位NK细胞中NKG2A阳性比例, n (%)		20.75 (5.0, 36.7)
清淋剂量	全剂量	6 (75.0)
	减量	2 (25.0)
	$1.5 \times 10^8$	1 (12.5)
CT0596剂量	$3.0 \times 10^8$	5 (62.5)
	$4.5 \times 10^8$	2 (25.0)

- 清淋剂量：
  - 6 例患者接受了全剂量清淋治疗（即按方案给予氟达拉滨  $30\text{mg}/\text{m}^2$ / 天、环磷酰胺  $500\text{mg}/\text{m}^2$ / 天，连续给药 3 天）。
  - 另有 2 例患者在研究者评估下调整了清淋治疗剂量。
- 入组患者没有限制NKG2A的表达水平。
- 1例患者接受了2次输注。
- 目前还在剂量探索中，清淋剂量已经确定，细胞剂量可能会在更高的剂量 ( $6 \times 10^8$ ) 探索，以探索推荐剂量。

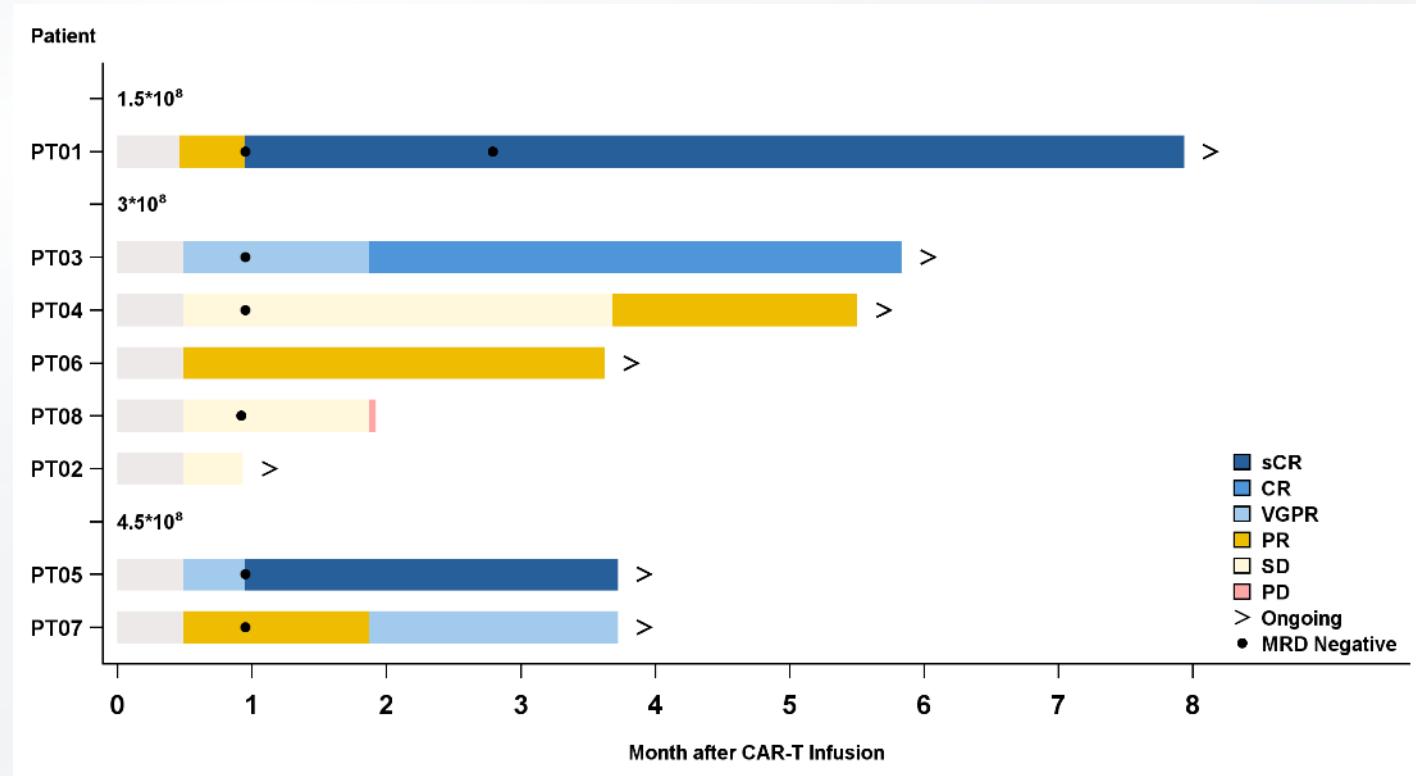
# CT0596具有可控的安全性特征



- 8 例患者均报告出现细胞减少症。
- 4 例患者出现 1 级细胞因子释放综合征 (CRS) , **无2级及以上CRS发生。**
- CRS 起效时间为输注后 2 (1-8) 天, 持续时间为 6 (2-10) 天。
- **未观察到ICANS或GvHD。**
- **无DLTs发生, 无患者因不良事件 (AE) 退出试验, 无因不良事件导致的死亡病例。**

	N (%)
治疗期间出现的不良事件 (TEAE)	8 (100.0)
严重的不良事件 (SAE)	2 (25.0)
3级及以上AE	8 (100)
治疗相关的TEAE	
3级及以上淋巴细胞减少症	8 (100)
3级及以上白细胞减少症	8 (100)
3级及以上血小板减少症	3 (37.5)
3级及以上中性粒细胞减少症	7 (87.5)
3级及以上贫血	2 (25.0)
3级及以上感染	0
CRS	4 (50.0)
免疫效应细胞相关神经毒性综合征 (ICANS)	0
移植物抗宿主病 (GvHD)	0
导致中断研究的不良事件	0
导致死亡的不良事件	0
剂量限制性毒性 (DLT)	0

# CT0596 能够诱导产生深度且持久的缓解



- 截至 2025 年 8 月 31 日，8 例已输注患者均为可评估疗效人群，中位随访时间为 4.14 个月（范围：0.9-7.9 个月）。
- ✓ 6 例患者达到 PR 及以上疗效：3 例 CR/sCR，均接受全剂量清淋预处理、1 例 VGPR 及 2 例 PR。6 例患者在第 4 周达到 MRD 阴性。
- ✓ PT01 截至 第 8 个月 仍持续达到 sCR 且 MRD 阴性。
- ✓ PT04 经第二次输注后，达到 PR 疗效，且 髓外疾病获得缓解。
- ✓ 在  $4.5 \times 10^8$  个的剂量水平下，患者 PT05 达到 sCR，患者 PT07 的治疗响应随时间持续加深。

# CT0596治疗2例复发/难治pPCL患者，均达到sCR



至数据截止日期（2025年10月17日），共入组2例复发/难治的pPCL患者

	pPCL-01	pPCL-02
患者	62岁男性，IgG-λ型	70岁男性，κ轻链型
既往治疗	ASCT+三类药物（PI、IMiD、CD38单抗）	三类药物（PI、IMiD、CD38单抗）
CAR-T治疗	两次输注，间隔约2个月	一次输注
安全性	2级CRS、4级血细胞减少、肺部感染	1级CRS、4级中性粒细胞减少和血小板减少
药代动力学	$C_{max}$ : 161,971 copies/μg gDNA；第8周仍维持 $10^3$	$C_{max}$ : 151,654 copies/μg gDNA
有效性	第4周和第8周均sCR；第4周骨髓MRD阴性 ( $<10^{-6}$ )	第4、8、12周均sCR；第4、12周骨髓MRD阴性 ( $<10^{-6}$ )

- 在疾病负荷较重，进展迅速的复发/难治pPCL中，CT0596展现了**强劲的肿瘤快速清除能力**
- 除了CAR-T治疗常见的CRS和血液学毒性以外未见其他器官显著毒性，**安全性可控**

# CT1190B：靶向CD19/CD20的通用型CAR-T细胞疗法 (THANK-u Plus<sup>®</sup>)



## THANK-u Plus<sup>®</sup>平台

- THANK-u Plus<sup>®</sup>扩增水平较THANK-uCAR<sup>®</sup>显著提升
- 在不同 NKG2A 表达水平 NK 细胞的存在下，THANK-u Plus<sup>®</sup>均可持续扩增

## CT1190B

- 基于THANK-u Plus<sup>®</sup>，开发了靶向CD19/CD20的通用型CAR-T产品**CT1190B，用于B细胞肿瘤或自免**

## 临床开发进度与计划

- CT1190B用于治疗复发/难治性B细胞非霍奇金淋巴瘤的IIT正在开展。
- 基于此平台技术的相关产品正在开展自身免疫领域的研究。

- 已入组共14例患者：
  - ✓ 3例滤泡淋巴瘤 (FL)；
  - ✓ 3例套细胞淋巴瘤 (MCL)；
  - ✓ 8例弥漫性大B细胞淋巴瘤 (DLBCL)。
- 已经完成了剂量爬坡研究，确定了清淋剂量，初步确定推荐的细胞剂量。

## 清淋剂量探索阶段

- 3例FL (细胞剂量 $3.0 \times 10^8$ ：1例,  $4.5 \times 10^8$ ：2例)
- 2例DLBCL (细胞剂量 $1.5 \times 10^8$ ：1例,  $4.5 \times 10^8$ ：1例)
- 1例MCL (细胞剂量 $4.5 \times 10^8$ ：1例)

## 推荐清淋剂量：氟达拉滨 $30\text{mg}/\text{m}^2 \times 3 +$ 环磷酰胺 $1000\text{mg}/\text{m}^2 \times 2$

- 2例MCL (细胞剂量  $6.0 \times 10^8$ ) ,
- 6例DLBCL (细胞剂量 $3.0 \times 10^8$ ：1例;  $4.5 \times 10^8$ ：1例;  $6.0 \times 10^8$ ：4例)

# CT1190B展现出疗效及安全性



数据收集截止至2025年10月17日，主要的安全性信号为CRS，和血细胞减少以及感染，未观察到DLT，未见ICANS，GVHD等其他不良反应。

## ➤ 氟达拉滨 $30\text{mg}/\text{m}^2 \times 3$ +环磷酰胺 $500\text{mg}/\text{m}^2 \times 3$ 的清淋剂量

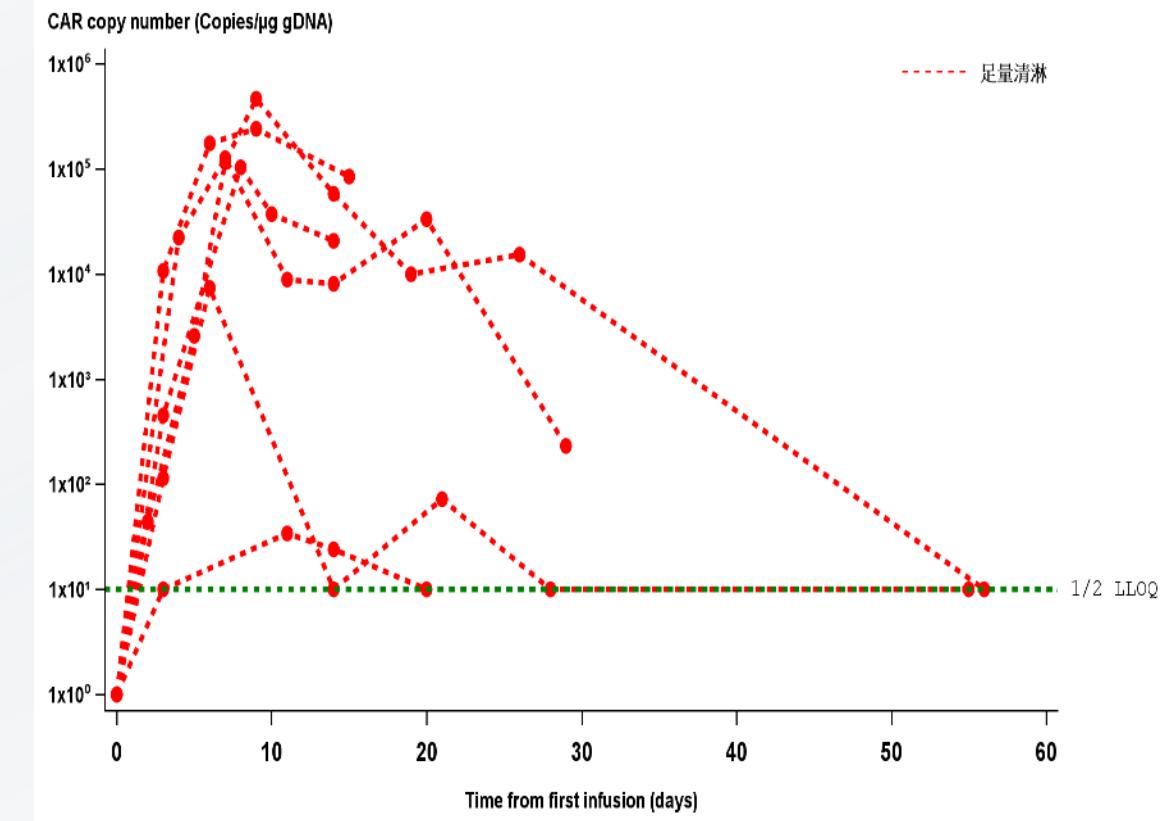
- 三例FL均达到CR，ORR100%，CRR100%。其中一例FL的患者经历了免疫化疗，PI3K抑制剂，化疗+自体造血干细胞移植，以及CD3CD20双抗治疗失败；一例FL的患者经历了免疫联合化疗+自体造血干细胞移植，CD19 CART治疗失败。扩增的拷贝数峰值达到 $10^3\text{-}10^4$  copies/ug gDNA。

## ➤ 氟达拉滨 $30\text{mg}/\text{m}^2 \times 3$ +环磷酰胺 $1000\text{mg}/\text{m}^2 \times 2$ 的清淋剂量

- 入组了8例患者，含2例MCL（细胞剂量 $6 \times 10^8$ ），6例DLBCL（细胞剂量 $3 \times 10^8$ ：1例； $4.5 \times 10^8$ ：1例； $6 \times 10^8$ ：4例）：
  - 有6例患者完成了疗效评估，ORR83.3%；CRR66.6%，含4例CR和1例PR；2例输注 $6 \times 10^8$ 细胞的DLBCL患者未到疗效评估时间；
  - 2例MCL患者均达到了CR；DLBCL患者中：2例CR，1例PR（自体CD19 CAR-T制备失败）和1例PD，2例未达疗效评估的DLBCL患者的扩增峰值达到了 $10^5$  copies/ug gDNA；
  - 在 $6 \times 10^8$ 剂量下，4例患者，3例达到CR。

# 推荐剂量下的PK

产品	适应症	Mean or Median Cmax (copies/ug)
CT1190B (通用型)	NHL	114564.5 (RD)
ALL-501 (通用型)	LBCL	1688
瑞基奥仑赛 (自体)	LBCL	25214.5~29693.5
Kymriah (自体)	LBCL	5210.33~6450



在推荐剂量下（足量清淋、细胞剂量达到 $6 \times 10^8$ ），共6例患者（4例DLBCL、2例MCL），CT1190B的中位C<sub>max</sub>达到 $10^5$ ，远超过目前上市的自体CAR-T产品（ $10^3$ ~ $10^4$ ）和在研的通用型CAR-T产品（ $10^3$ ）。

# CT0596和CT1190B的注册研究开发计划

我们将全力推进CT0596和CT1190B的注册临床研究，选择注册路径明确，可以进入优先临床审评的适应症进行快速切入，尽早让通用型CAR-T进入市场。

## CT0596

- 潜在适应症：R/R PCL, R/R MM
- 计划2026年开启IB期注册临床研究

## CT1190B

- 潜在适应症：R/R ALL, R/R DLBCL, R/R MCL, R/R FL
- 计划2026年开启IB期注册临床研究

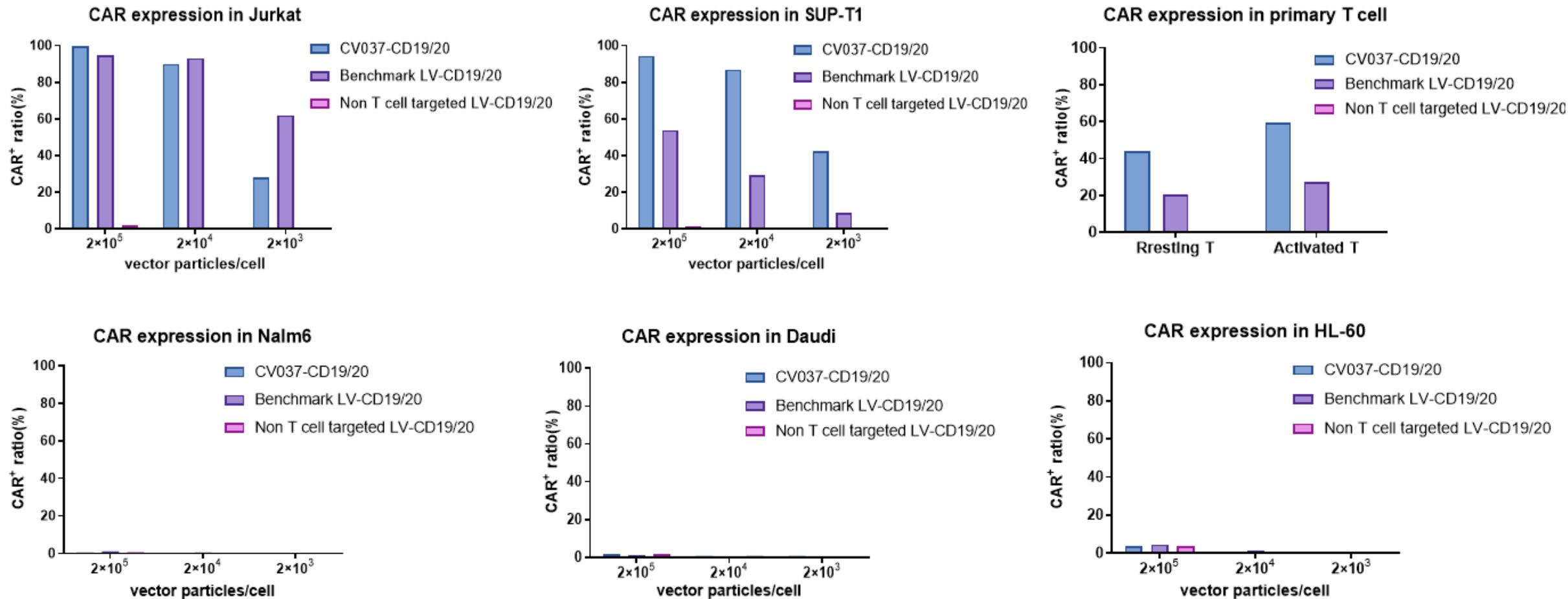
CT0596和CT1190B都计划在2026-2027考虑中美双报



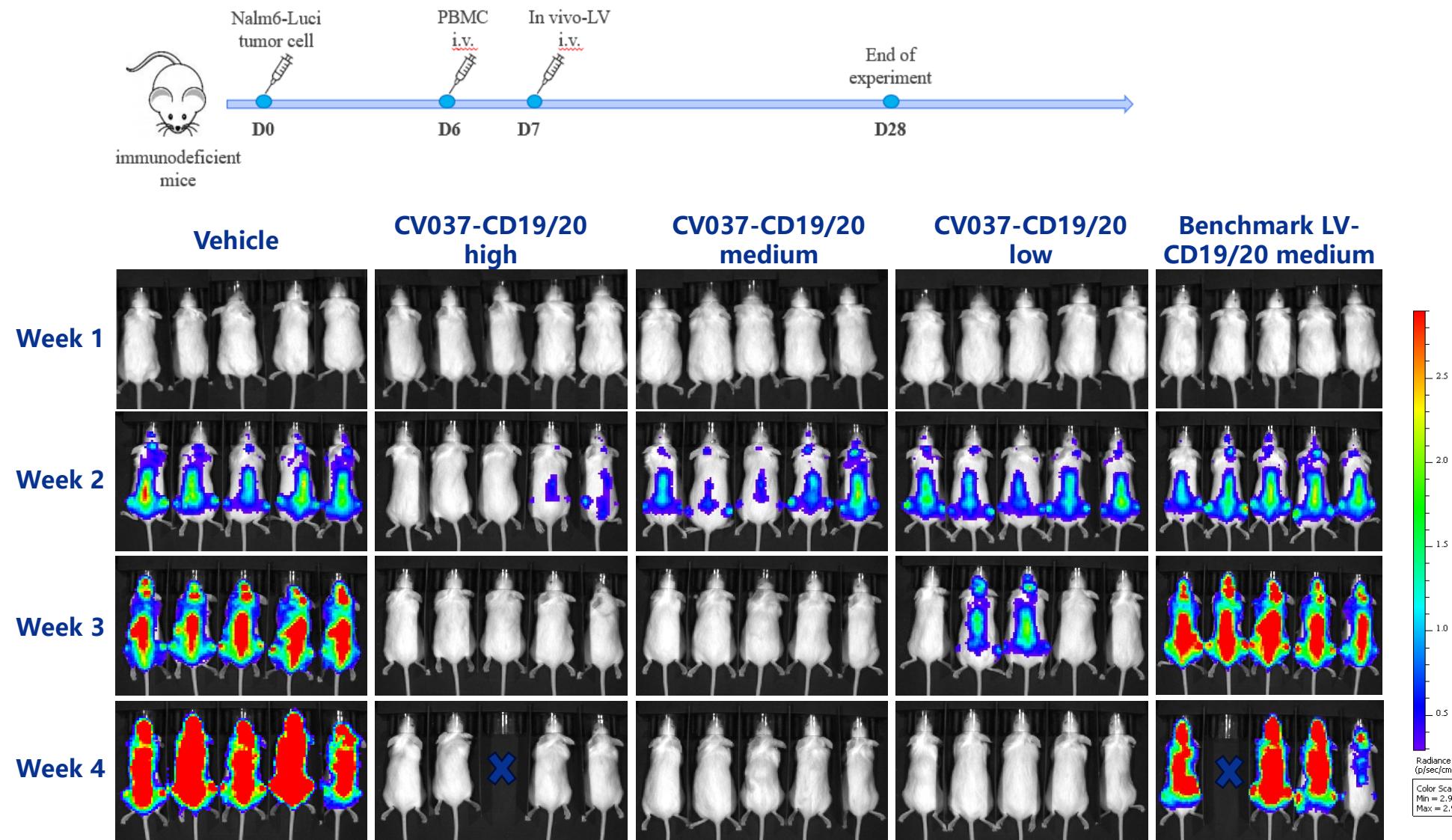
# **CD19/20 *in vivo* CAR-T**



# 科济自研基于慢病毒载体的VivoCV平台具有优异的T细胞转导能力和靶向特异性



# CD19/CD20靶向的in vivo CAR-T细胞显著抑制小鼠体内B细胞淋巴瘤的生长



# 经验丰富的高级管理团队



**李宗海 博士**

联合创始人、董事会主席、  
首席执行官、首席科学官



**王华茂 博士**

联合创始人、首席运营官



上海锐劲生物技术有限公司



**蒋华 博士**

早期研发副总裁



上海市肿瘤研究所  
SHANGHAI CANCER INSTITUTE



**罗毅 博士**

临床科学副总裁



Innovent  
信达生物制药



KELUN GROUP



**臧鹏 博士**

业务发展与战略规划  
副总裁



Bristol Myers Squibb



科创济世

Making Cancer Curable

