国内首个“突破性疗法”即将花落传奇

强于大市（维持）

日期：2020 年 08 月 10 日

事件：

近日，CDE 官网显示，南京传奇生物自主研发的 LCAR-B38M CAR-T 细胞自体回输制剂拟被纳入突破性疗法。

投资要点：

- **国内首个“突破性疗法”呼之欲出，产品全球商业化可期**

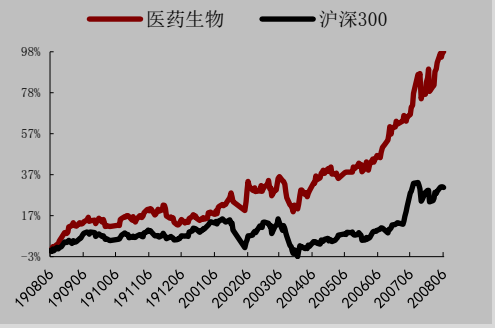
此次拟纳入的 CAR-T 疗法，是今年 7 月 8 日国家药监局发布《突破性治疗药物审评工作程序（试行）》文件后，中国拟纳入的首个突破性疗法。该文件规定，公示 5 日内无异议的即纳入突破性治疗药物程序。考虑到该产品优异的临床试验结果，LCAR-B38M 成为首个突破性疗法确定性极高。在海外市场，LCAR-B38M 分别被 FDA、EMA 认定为突破性疗法和优先药物，也有望成为全球首个批准用于治疗多发性骨髓瘤（MM）的 CAR-T 疗法。南京传奇通过与强生签署共同开发针对多发性骨髓瘤的 CAR-T 细胞疗法全球战略合作协议，未来将进一步加强全球布局和市场推广，商业化前景预期非常乐观。

- **在研产品整体临床效果优异，预计销售市场将表现火热**

相比于现有疗法的治疗效果，LCAR-B38M 和其他 CAR-T 疗法均有不俗的提升。也预示着 CAR-T 疗法在 MM 中治疗前景将更为明确，淋巴瘤 CAR-T 产品上市后销售额的快速提升，预计将复制在 MM 治疗市场。目前，全球针对 MM 的 CAR-T 产品数量较多，未来 MM 的 CAR-T 治疗市场的竞争烈度将有所提升。但是 LCAR-B38M 具有一定的先发优势和临床效果优势，预计将进一步催化商业运作向好。此次如国内突破性疗法最终成功认定，也将进一步吸引创新药市场关注和支付体系的相关建设。在 CAR-T 产品疗效优势和 CAR-T 研发进展不断推进的行业大背景下，预计销售市场将进一步保持火热，并随适应症拓展不断扩大。

- **投资建议：**随着 CAR-T 细胞疗法在多发性骨髓瘤、淋巴瘤、部分实体肿瘤的进展，CAR-T 细胞疗法的市场热度和规模将进一步提升，重点关注 CAR-T 产品和进展较快的行业个股。同时，此次“突破性疗法”评定的首次尝试，带动国内创新药物的审评审批进一步与海外接轨，对于国内创新药物发展具有明显的积极意义。建议持续关注创新药物行业发展和优质个股。
- **风险因素：**后续研究成果不及预期的风险、商业化推进缓慢的风险。

医药生物行业相对沪深 300 指数表



数据来源：WIND，万联证券研究所

数据截止日期： 2020 年 08 月 06 日

相关研究

万联证券研究所 20200805_行业快评_AAA_CAR-T 实体瘤治疗动态快评

万联证券研究所 20200803_行业周观点_AAA_医药生物行业周观点(07/27-07/31)

万联证券研究所 20200730_行业动态跟踪_AAA_CAR-T 行业动态追踪报告

分析师： 姚文
执业证书编号：S0270518090002
电话：02160883489
邮箱：yaowen@wlzq.com.cn

研究助理： 王政晔
电话：02160883489
邮箱：wangzm@wlzq.com.cn

万联证券

目录

1、多发性骨髓瘤流行病学和治疗选择.....3
1.1 全球流行病学现状：.....3
1.2 治疗方案选择.....3
2、现有临床试验进展情况和产品优势.....4
3、市场空间持续扩大.....5
4、投资建议.....6
5、风险提示.....6

图表 1：多发性骨髓瘤全球流行病学现状.....3
图表 2：复发性多发性骨髓瘤的治疗选择.....3
图表 3：LCAR-B38M 拟纳入突破性疗法.....4
图表 4：LCAR-B38M 细胞疗法所获全球认可概览.....4
图表 5：目前正在开展的针对多发性骨髓瘤 CAR-T 疗法.....4
图表 6：现有临床试验结果汇总.....4
图表 7：靶向 BCMA 的多发性骨髓瘤创新药物最近临床最佳疗效比较.....5
图表 8：近十年中国 60 周岁以上人口数（亿）及比重.....5
图表 9：13-18 年公立医疗终端两品种销售情况（万）.....5

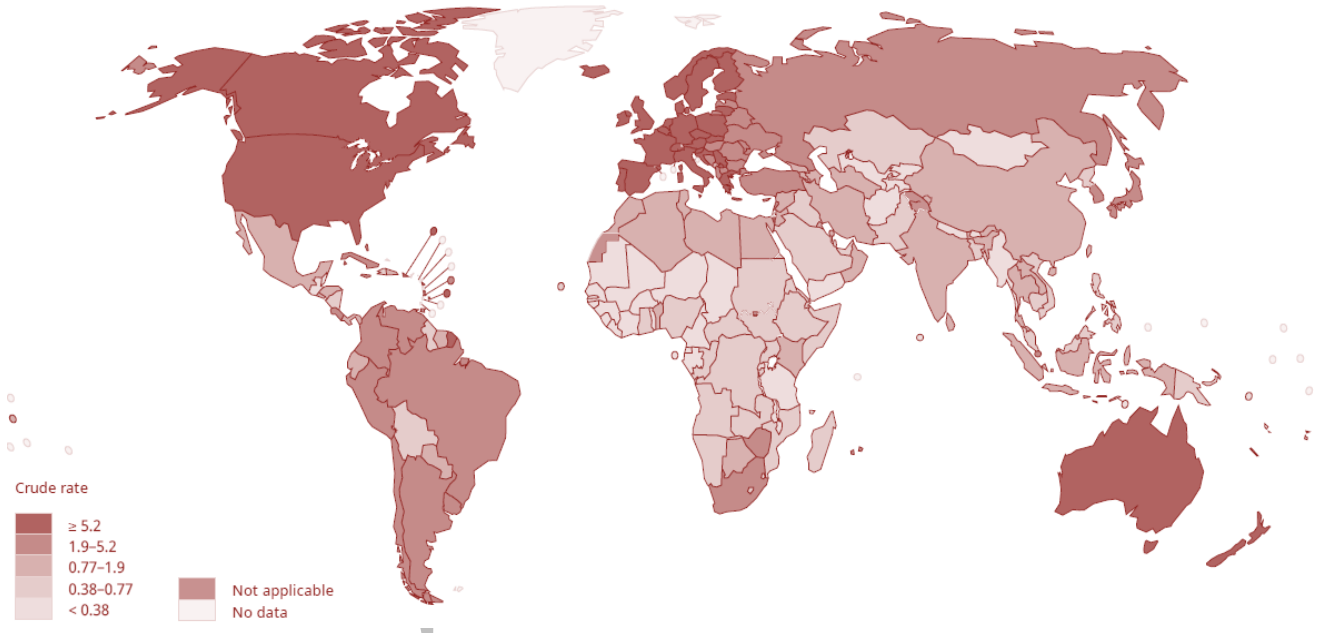
万联证券

1、多发性骨髓瘤流行病学和治疗选择

1.1全球流行病学现状：

从MM全球发病情况看，MM的主要发病区域集中在北美、欧洲和大洋洲地区，东亚和非洲地区发病率相对较低。但是我国MM发病率呈逐年增高状态，且发病年龄呈年轻化趋势。据最新数据统计，中国MM发病率为1.6/10万。

图表1：多发性骨髓瘤全球流行病学现状



资料来源：GLOBOCAN 2018，万联证券研究所

1.2治疗方案选择

虽然目前我国MM诊治水平取得了长足进步，逐渐与国际水平接轨，但MM仍属于非根治性疾病，大部分患者最终都会复发，其治疗仍然面临很大挑战。在治疗选择上，过去主要为来那度胺、硼替佐米、地塞米松的两药或三药联合治疗。随着更多创新药物的上市，更多治疗选择逐渐涌现，包括伊沙佐米、达雷妥尤单抗等。但是国内多发性骨髓瘤诊治指南已经将CAR-T治疗作为非常重要的治疗方案，未来随着临床试验的进一步进展和学术支持，未来CAR-T在MM治疗地位有望进一步提升。

图表2：复发性多发性骨髓瘤的治疗选择

首先推荐进入适合的临床试验，尤其是 CAR-T 临床试验
使用以前化疗方案再治疗
伊沙佐米/来那度胺/地塞米松
达雷妥尤单抗/来那度胺/地塞米松
达雷妥尤单抗/硼替佐米/地塞米松
达雷妥尤单抗/伊沙佐米/地塞米松
地塞米松/环磷酰胺/依托泊苷/顺铂±硼替佐米
地塞米松/沙利度胺/顺铂/阿霉素/环磷酰胺/依托泊苷±硼替佐米

资料来源：多发性骨髓瘤诊治指南，万联证券研究所

此次拟纳入的LCAR-B38M CAR-T疗法，是今年7月8日国家药监局发布《突破性治疗药物审评工作程序（试行）》文件后，中国拟纳入的首个突破性疗法。该疗法在包括中国、美国、欧盟等多个国家和地区即将或已经获得突破性疗法认定。南京传奇通过与

强生签署共同开发针对多发性骨髓瘤的CAR-T细胞疗法全球战略合作协议，未来将进一步加强全球布局和市场推广，商业化前景预期非常乐观。

图表3：LCAR-B38M拟纳入突破性疗法

序号	受理号	药品名称	注册申请人	申请日期	公示日期	公示截止日期	提出异议
1	CXSL1700201	LCAR-B38M CAR-T细胞自体回输制剂（简称：LCAR-B38M细胞制剂）	南京传奇生物科技有限公司	2020-07-10	2020-08-05	2020-08-12	

资料来源：CDE，医麦客，万联证券研究所

图表4：LCAR-B38M细胞疗法所获全球认可概览

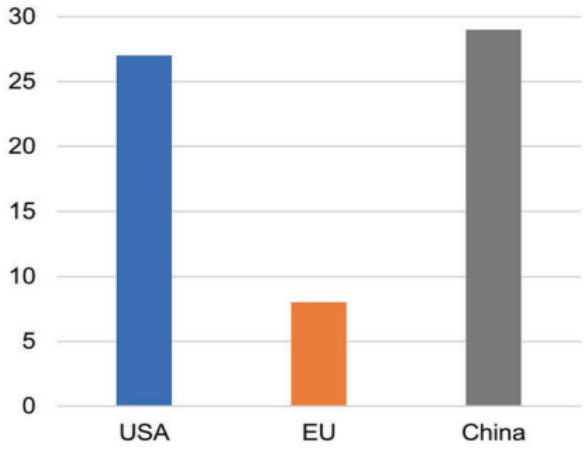
时间	事件
2017 年	NMPA 受理临床试验申请
	与杨森达成全球合作和许可协议
2018 年	NMPA 临床实验批件
	FDA 的 IND 批准
2019 年	FDA 授予 Janssen 的 JNJ-4528（LCAR-B38M）孤儿药资格
	获得欧洲药品管理局（EMA）优先药物认定。
	FDA 突破性疗法认定
2020 年	EMA 授予孤儿药资格
	CDE 拟纳入突破性疗法

资料来源：CDE，南京传奇公司官网，EMA，万联证券研究所

2、现有临床试验进展情况和产品优势

目前，50多款针对MM的CAR-T疗法仍在进行中，其中中美两国是全球临床进展的主要推动者。从临床结果看，CAR-T疗法具有明显的疗效优势，并且随着技术进步，细胞因子释放综合征发生的严重程度已经明显减弱，进一步增强了产品的安全性和耐受性，显著的提升了临床应用的前景。

图表5：目前正在开展的针对多发性骨髓瘤CAR-T疗法



资料来源：Leukemia，万联证券研究所

图表6：现有临床试验结果汇总

Endpoint	Pooled proportion (95% CI)
Response	
ORR	84% (78–89%)
CR	43% (32–53%)
MRD-negativity	83% (67–92%)
Relapse	45% (27–64%)
Overall survival	84% (60–95%)
Safety	
CRS grades ≥3	15% (9–23%)
Neurotoxicity	17% (10–27%)

ORR overall response rate, *CR* complete response, *MRD* minimal residual disease, *CRS* cytokine release syndrome, *CI* confidence interval.

资料来源：Leukemia，万联证券研究所

与其他正在进行临床研究的产品相比，LCAR-B38M具有更为明显的临床疗效结果，并且在安全性方面具有一定的优势。预计在CAR-T整体推动MM治疗市场火热的预期上，LCAR-B38M更有望脱颖而出成为行业的领导者。

图表7：靶向BCMA的多发性骨髓瘤创新药物最近临床最佳疗效比较

项目	LCAR-B38M[a]	bb2121[b]	GSK2857916[c]	AMG420[d]
靶点	BCMA	BCMA	BCMA	BCMA
类型	CAR-T	CAR-T	ADC	BiTE
入组（例）	35	22	35	50
剂量	<1.5 百万/kg	>150 百万	<5mg/kg	进行中
反应率	100%	95.50%	60%	进行中
CR/sCR	74%	50%	8.60%	进行中
VGPR	21%	36.40%	42.90%	进行中
PR	5%		8.60%	进行中
mOS	15 月	11.8 月	7.9 月	进行中
主要副反应	CRS：71% 神经毒性 0%	CRS：63% 神经毒性 33%	角膜问题 63%； 血小板减少症 57%	进行中

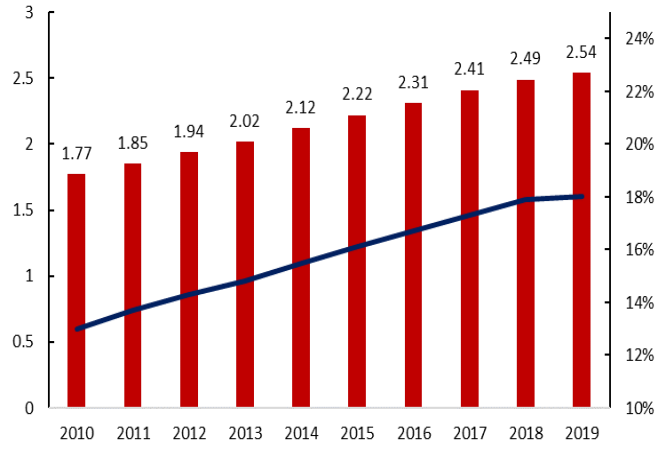
资料来源：南京传奇公司官网，万联证券研究所

a：2017asco等；b：2018 ASCO；c：2017 ASH；d：www.amgenpipeline.com

3、市场空间持续扩大

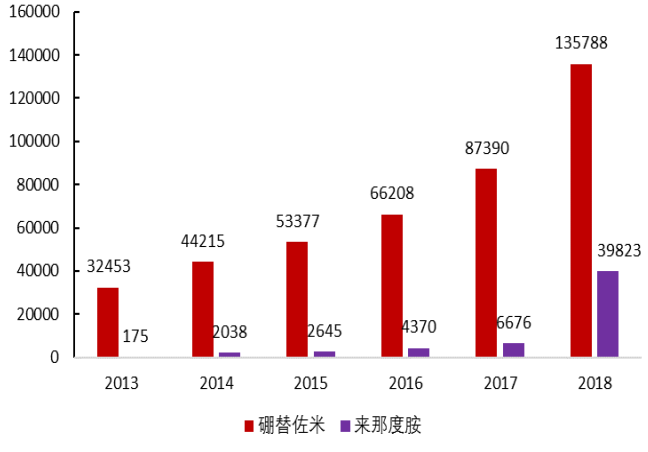
MM的治疗市场规模预计将伴随老龄化进程不断提升，根据国家统计局资料显示：目前我国60周岁以上人口数已由2010年的1.77亿增长至2019年的2.54亿，占总人口比重由13%提升至18%，同时中国人口老龄化趋势短期内无法逆转。而多发性骨髓瘤主要见于老年人群体，诊断时中位年龄在60岁以上，随着相关检查技术日趋成熟先进以及国内人口老龄化现象日益加重，预计未来每年国内新增患病数仍将保持较快增长。从来那度胺、硼替佐米的销售不断攀升的情况看，也进一步印证了我们的观点。

图表8：近十年中国60周岁以上人口数（亿）及比重



资料来源：统计局、万联证券研究所

图表9：13-18年公立医疗终端两品种销售情况（万）



资料来源：米内网、万联证券研究所

4、投资建议

随着CAR-T细胞疗法在多发性骨髓瘤、淋巴瘤、部分实体肿瘤的进展，CAR-T细胞疗法的市场热度和规模将进一步提升。同时，此次“突破性疗法”评定的首次尝试，带动国内创新药物的审评审批进一步与海外接轨，对于国内创新药物发展具有明显的积极意义。建议重点关注积极布局CAR-T相关品种和MM产品管线的创新药物个股标的。

5、风险提示

后续研究成果不及预期的风险、商业化推进缓慢的风险。

万联证券

行业投资评级

强于大市：未来6个月内行业指数相对大盘涨幅10%以上；
同步大市：未来6个月内行业指数相对大盘涨幅10%至-10%之间；
弱于大市：未来6个月内行业指数相对大盘跌幅10%以上。

公司投资评级

买入：未来6个月内公司相对大盘涨幅15%以上；
增持：未来6个月内公司相对大盘涨幅5%至15%；
观望：未来6个月内公司相对大盘涨幅—5%至5%；
卖出：未来6个月内公司相对大盘跌幅5%以上。
基准指数 ：沪深300指数

风险提示

我们在此提醒您，不同证券研究机构采用不同的评级术语及评级标准。我们采用的是相对评级体系，表示投资的相对比重建议；投资者买入或者卖出证券的决定取决于个人的实际情况，比如当前的持仓结构以及其他需要考虑的因素。投资者应阅读整篇报告，以获取比较完整的观点与信息，不应仅仅依靠投资评级来推断结论。

证券分析师承诺

本人具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格并注册为证券分析师，以勤勉的执业态度，独立、客观地出具本报告。本报告清晰准确地反映了本人的研究观点。本人不曾因，不因，也将不会因本报告中的具体推荐意见或观点而直接或间接收到任何形式的补偿。

万联证券

免责条款

本报告仅供万联证券股份有限公司（以下简称“本公司”）的客户使用。本公司不会因接收人收到本报告而视其为客户。
本公司是一家覆盖证券经纪、投资银行、投资管理和证券咨询等多项业务的全国性综合类证券公司。本公司具有中国证监会许可的证券投资咨询业务资格。在法律许可情况下，本公司或其关联机构可能会持有报告中提到的公司所发行的证券头寸并进行交易，还可能为这些公司提供或争取提供投资银行、财务顾问或类似的金融服务。
本报告为研究员个人依据公开资料和调研信息撰写，本公司不对本报告所涉及的任何法律问题做任何保证。本报告中的信息均来源于已公开的资料，本公司对这些信息的准确性及完整性不作任何保证。报告中的信息或所表达的意见并不构成所述证券买卖的出价或征价。研究员任何形式的分享证券投资收益或者分担证券投资损失的书面或口头承诺均为无效。
本报告的版权仅为本公司所有，未经书面许可任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制、刊登、发表和引用。
未经我方许可而引用、刊发或转载的，引起法律后果和造成我公司经济损失的，概由对方承担，我公司保留追究的权利。

万联证券股份有限公司 研究所
上海 浦东新区世纪大道1528号陆家嘴基金大厦
北京 西城区平安里西大街 28 号中海国际中心
深圳 福田区深南大道 2007 号金地中心
广州 天河区珠江东路 11 号高德置地广场