

登记号	CTR20230238	试验状态	进行中
申请人联系人	张晗	首次公示信息日期	2023-02-01
申请人名称	深圳普瑞金生物药业有限公司/普瑞金（深圳）生物技术有限公司/ 江苏普瑞金生物医药有限公司		

一、题目和背景信息

登记号	CTR20230238
相关登记号	CTR20201885
药物名称	靶向 BCMA 的嵌合抗原受体 T 细胞注射液
药物类型	生物制品
临床申请受理号	企业选择不公示
适应症	复发、难治性多发性骨髓瘤
试验专业题目	一项评价靶向 BCMA 的嵌合抗原受体 T 细胞注射液（CART-BCMA）治疗复发/难治性多发性骨髓瘤患者的有效性和安全性的 II 期开放、单臂、多中心临床研究
试验通俗题目	CART-BCMA 治疗复发/难治性多发性骨髓瘤的 II 期临床研究
试验方案编号	B03B00301-201
方案最新版本号	2.0
版本日期	2022-10-08
方案是否为联合用药	否

二、申请人信息

申请人名称	深圳普瑞金生物药业有限公司 普瑞金（深圳）生物技术有限公司 江苏普瑞金生物医药有限公司
-------	---

三、临床试验信息

1、试验目的	
主要目的：评价 CART-BCMA 治疗复发/难治性多发性骨髓瘤 3 个月 ORR（3 个月时间点至少达到 PR 或更佳）；	
2、试验设计	
试验分类	安全性和有效性
试验分期	II 期
设计类型	单臂试验
随机化	非随机化
盲法	开放
试验范围	国内试验
3、受试者信息	
年龄	18 岁(最小年龄)至无上限(最大年龄)
性别	男+女
健康受试者	无
入选标准	1. 根据 IMWG 诊断标准诊断为多发性骨髓瘤，并且同时满足以下条件：1）既往接受过至少 3 线多发性骨髓瘤治疗 2）至少包含一种蛋白酶体抑制剂和一种免疫调节剂；3）在接受末次治疗期间或之后 12 个月内出现有书面资料证明的疾病进展；

	2. 筛选时存在可测量病灶，定义为以下任何一种情况：1）血清 M 蛋白≥0.5g/dL（≥5g/L），2）尿 M 蛋白水平≥200 mg/24 小时；3）血清游离轻链（FLC）：血清 FLC 比值异常(<0.26 或>1.65)，且受累 FLC≥10 mg/dL（100mg/L）；			
	3. ECOG 评分（附录 2）0~1；			
	4. 预期生存时间≥3 个月；			
排除标准	1. 已知对 CART-BCMA 中包含的成分或研究中可能使用的药物（包括氟达拉滨、环磷酰胺、托珠单抗）的任何成份有变态反应、不耐受或禁忌症者，或既往发生过严重过敏反应的受试者；			
	2. 此前接受过任何 CAR-T（任何靶点的鼠源性 CAR-T 除外）治疗或其他基因修饰细胞治疗者，以及其他靶向 BCMA 的药物			
	3. 在单采前 12 周内接受自体造血干细胞移植（ASCT）或以往接受过异基因造血干细胞移植的患者			
	4. MM 伴髓外病变（单个最大横径 3cm 的髓外病灶除外），已知活动性中枢神经系统受累或有该病史或表现出多发性骨髓瘤脑膜/脊髓膜受累的临床体征，或有其他中枢神经系统疾病或意识障碍、精神疾病患者，6 个月内发生缺血性/出血性脑血管病的患者			
	5. 筛选时患有浆细胞性白血病或华氏巨球蛋白血症或 POEMS 综合征（多发性神经病、脏器肿大、内分泌病、单克隆蛋白和皮肤病变）或系统性淀粉样变性的患者			
4、试验分组				
试验药	序号	名称	用法	
	1.	中文通用名：靶向 BCMA 的嵌合抗原受体 T 细胞注射液： 英文通用名：CART-BCMA 商品名称：NA	剂型：注射液 规格：30ml/袋 用法用量：以静脉滴注方式一次性输注 用药时程：单次给药	
对照药	序号	名称	用法	
5、终点指标				
主要终点指标及评价时间	序号	指标	评价时间	终点指标选择
	1	由独立评审委员会（IRC）基于 2016 年国际骨髓瘤工作组（IMWG）疗效标准评估的 3 个月 ORR（3 个月时间点至少达到 PR 或更佳）	细胞回输后 3 个月	有效性指标
次要终点指标及评价时间	序号	指标	评价时间	终点指标选择
	1	由 IRC 基于 2016 年 IMWG 疗效标准评估的 6 个月 ORR、BOR、达到 sCR/CR 比率、MRD 阴性率、TTR、	细胞回输后 6 个月	有效性指标

		DOR、PFS 和 OS		
	2	根据 2019 年 ASTCT 标准判断 CRS、ICANS，根据 NCI CTCAE v5.0 标准判断 AE、SAE 的发生率及严重程度、异常有临床意义的实验室检查结果	主要随访期结束	安全性指标
6、数据安全监 查 委 员 会 (DMC)	无			
7、是否购买保 险	有			

四、研究者信息

序号	机构名称	(主要)研究 者	国家或地区	省(州)-城市
1	浙江大学医学院附属第一医院	蔡真	中国	浙江省 - 杭州市
2	华中科技大学同济医学院附属协和医院	梅恒/胡豫	中国	湖北省 - 武汉市
3	北京积水潭医院	鲍立	中国	北京市 - 北京市
4	河北大学附属医院	化罗明	中国	河北省 - 保定市
5	中南大学湘雅二医院	彭宏凌	中国	湖南省 - 长沙市
6	广州医科大学第一附属医院	黄振倩	中国	广东省 - 广州市
7	南昌大学第一附属医院	李菲	中国	江西省 - 南昌市
8	哈尔滨市第一医院血液肿瘤研究中心	王志国	中国	黑龙江省 - 哈尔滨市
9	温州医科大学附属第一医院	江松福	中国	浙江省 - 温州市
10	河南省肿瘤医院	房佰俊	中国	河南省 - 郑州市
11	河南省人民	朱尊民	中国	河南省 - 郑州市

	医院			
12	中国医科大学附属盛京医院	杨威	中国	辽宁省 -沈阳市
13	北京博仁医院	胡凯	中国	北京市 -北京市
14	安徽省肿瘤医院	丁凯阳	中国	安徽省 -合肥市
15	徐州医科大学附属医院	李振宇	中国	江苏省 -徐州市
16	山东第一医科大学附属肿瘤医院	李增军	中国	山东省 -济南市
17	空军军医大学附属西京医院	高广勋	中国	陕西省 -西安市
18	山西省肿瘤医院	苏丽萍	中国	山西省 -太原市
19	上海交通大学医学院附属瑞金医院	糜坚青	中国	上海市 -上海市
20	天津市第一中心医院	邓琦	中国	天津市 -天津市
21	上海交通大学医学院附属仁济医院	黄洪晖	中国	上海市 -上海市
22	中国医学科学院肿瘤医院深圳医院	秦燕	中国	广东省 -深圳市
23	首都医科大学附属北京同仁医院	王亮	中国	北京市 -北京市
24	中南大学湘雅三医院	李昕	中国	湖南省 -长沙市
25	河北医科大学附属医院第三医院	张金巧	中国	河北省 -石家庄市

五、伦理委员会信息

序号	名称	审查结论	批准日期/审查日期
1	华中科技大学同济医学院附属协和医院医学伦理委员会	同意	2022-11-19