

一项 In Vivo CAR-T 治疗晚期恶性肿瘤（多发性骨髓瘤、淋巴瘤、白血病、实体瘤）I期研究

TM20260016

进行中 招募中

I期研究

CAR-T细胞

靶点: BCMA/GPRC5D/DLL3等

药物介绍

全球首创体内原位 in Vivo CAR-T 细胞治疗产品 (V001)

V001由深圳普瑞金研发，为全球首创体内原位in Vivo CAR-T疗法，依托慢病毒载体实现在体T细胞定向改造，无需体外细胞制备与清淋预处理，具备给药便捷、安全性高、可量产等核心优势，有效解决传统CAR-T制备周期长、流程复杂、毒副作用大、治疗费用高昂等行业痛点，为复发难治多发性骨髓瘤患者提供全新高效治疗方案。2025年与全球细胞治疗巨头吉利德/Kite Pharma 达成了价值 16.4 亿美元的平台级战略合作，有望全球彻底改变多发性骨髓瘤治疗格局。

基本信息

登记号	TM20260016
申请人名称	深圳普瑞金生物药业有限公司
药物名称	V001
药物类型	CAR-T细胞
适应症	多发性骨髓瘤
国内入组数	50 - 200 人

试验设计

试验分类	安全性, 有效性, 药代动力学, 药效动力学
试验分期	I期
设计类型	单臂试验
随机化方式	非随机化
盲法设置	开放
试验范围	国内试验

试验目的

主要研究目的	评价静脉输注 V001（靶向BCMA、GPC5D、DLL3等）注射液治疗晚期恶性肿瘤的 安全性和耐受性 。
次要研究目的	1. 初步评估V001（靶向BCMA、GPC5D、DLL3等）注射液治疗晚期恶性肿瘤的 有效性 ； 2. 获得V001（靶向BCMA、GPC5D、DLL3等）注射液在人体内的 药代动力学(PK) 和 药效动力学(PD) 数据。
探索性目的	评估V001（靶向BCMA、GPC5D、DLL3等）注射液的 免疫原性 和 药物代谢 等。

试验分组

试验组

组别名称	v001
给药剂型	注射剂
药物规格	TU
用法用量	1次用药
用药周期	1次用药

对照组

本研究为单臂试验，无对照组

受试者入排标准

性别要求：男 + 女 (男女不限) 年龄要求：最小 18 岁

✓ 入选标准 (Inclusion Criteria)

- ✓ 年龄≥18周岁，男女不限；
- ✓ 血液系统恶性肿瘤患者 ECOG 评分 0~2 分，且预期生存时间≥3个月；
- ✓ 预期生存时间≥3个月；
- ✓ 根据 Cockcroft-Gault 公式计算的肌酐清除率 (CrCl) ≥45 mL/min；

✓ 肝脏功能需达到以下标准：

a) 丙氨酸转氨酶 (ALT) 和天冬氨酸转氨酶 (AST) $\leq 3.0 \times$ 正常值上限 (ULN)；对于肝转移患者，ALT 和 AST $\leq 5.0 \times$ ULN；

b) 总胆红素 (TBIL) 和碱性磷酸酶 (AKP 或 ALP) $\leq 2.0 \times$ ULN (先天性高胆红素除外，例如 Gilbert 综合征，直接胆红素可 $\leq 1.5 \times$ ULN)；对于肝和/或骨转移的患者，碱性磷酸酶 $\leq 5.0 \times$ ULN；

✓ 左心室射血分数 (LVEF) $\geq 45\%$ (经超声心电图检查或 MUGA 检查证实)；

✓ 育龄期女性的血妊娠检测必须为阴性，且不在哺乳期内；

✓ 具有生育能力的男性和育龄期女性必须同意从签署知情同意书开始，直至研究药物使用后 1 年内，采用有效的避孕措施；

✓ 具有生育能力的男性和育龄期女性必须同意从签署知情同意书开始，直至研究药物使用后 1 年内，不能捐献精子或卵子 (卵母细胞) 等生殖细胞；

✓ 受试者本人或其监护人同意参加本临床试验并签署知情同意书 (ICF)，表明其理解本临床试验的目的和程序并且愿意参加研究；

✓ 确诊为多发性骨髓瘤的患者，在所有标准疗法治疗后仍疾病进展或对标准治疗不耐受，目前可用的治疗方法预后有限；

✓ 骨髓样本流式检测对应靶点 FcRH5 蛋白表达阳性；

✓ 符合以下一项或多项：

a) 血清 M 蛋白水平 ≥ 0.5 g/dL；

b) 或尿 M 蛋白水平 ≥ 200 mg/24h；

c) 或血清受累游离轻链 ≥ 10 mg/dL 且血清游离轻链 κ/λ 比值异常；

d) 或外周血循环中克隆性浆细胞超过 20% 或浆细胞绝对计数超过 $2 \times 10^9/L$ (适用于浆细胞白血病患者)；

✓ 骨髓功能检查结果符合以下要求：

a) 血红蛋白 (Hgb) ≥ 80 g/L (筛选前 1 周内未进行过红细胞输注，允许使用重组人促红细胞生成素)；

b) 中性粒细胞绝对计数 (ANC) $\geq 0.75 \times 10^9/L$ (筛选前 1 周内未使用过粒细胞集落刺激因子 G-CSF，或筛选前 2 周内未使用过聚乙二醇化 G-CSF)；

c) 血小板计数 (PLT) $\geq 50 \times 10^9/L$ ；

d) 淋巴细胞计数 (ALC) $\geq 0.5 \times 10^9/L$ ；

e) CD3 阳性 T 细胞绝对计数 $\geq 0.15 \times 10^9/L$ 。

✗ 排除标准 (Exclusion Criteria)

✗ 对研究药物成分 (含慢病毒载体、辅料) 具有已知或高度怀疑的严重过敏反应史者；

✗ 有活动性中枢神经系统 (CNS) 侵犯或有相关脑膜受累临床症状者；

✗ 存在未得到有效控制的全身活动性感染，或筛选前 4 周内接种过活疫苗者；

✗ 合并临床上严重的、未受控制的心脑血管疾病，如严重心律失常、不稳定心绞痛、心肌梗死或心功能不全 (NYHA 评级 $> II$ 级) 者；

✗ 合并活动性自身免疫性疾病 (如系统性红斑狼疮、干燥综合征、重度类风湿关节炎等)，需要全身系统性使用皮质激素或免疫抑制剂治疗者；

✗ 乙肝表面抗原 (HBsAg) 阳性且 HBV-DNA 高于检测下限、或丙肝抗体阳性、或梅毒抗体阳性、或人类免疫缺陷病毒 (HIV) 抗体阳性者；

✗ 妊娠期或哺乳期女性，或计划在回输治疗后 1 年内进行生育的受试者；

✗ 研究者判断因任何其他严重的精神或躯体合并症，可能显著增加受试者风险或干扰试验结果评估者。

终点指标

● 主要终点指标

评估静脉输注 V001 注射液的安全性和耐受性，确定最大耐受剂量（MTD）及限制性毒性（DLT）。（原图显示：无特定临床疗效主要指标，主要聚焦于安全探索）。

● 次要终点指标

初步评估受试者的客观缓解率（ORR）、无进展生存期（PFS），测定体内 V001 细胞拷贝数变化（药代动力学 PK）以及患者血清细胞因子水平变化（药效动力学 PD）。

研究中心与组长单位

李

李宁

医学博士 · 主任医师 · 研究中心主要研究者 (PI)

职称

主任医师

最高学位

医学博士

研究方向

恶性肿瘤免疫治疗

所属科室

肿瘤科



中国医学科学院肿瘤医院

医院地址：北京市 朝阳区潘家园南里17号 | 组长单位及临床研究执行机构