

国家药品监督管理局批准 尼卡利单抗注射液上市

文 / 国家癌症中心/国家肿瘤临床医学研究中心/中国医学科学院北京协和医学院肿瘤医院 贺飞

关键词：尼卡利单抗；全身型重症肌无力；单克隆抗体；FcRn靶点

2026年5月21日，国家药品监督管理局通过优先审评审批程序批准尼卡利单抗注射液上市。该药适应证为：与常规治疗药物联合，用于治疗抗乙酰胆碱受体（AChR）抗体或抗肌肉特异性酪氨酸激酶（MuSK）抗体阳性的成人和12岁及以上青少年全身型重症肌无力（gMG）。

一、gMG及其高发人群

gMG属于罕见慢性自身免疫性神经肌肉疾病。简单来讲，患者体内免疫系统产生的致病性免疫球蛋白G（IgG）抗体“认错了目标”，攻击神经肌肉接头处的关键信号接收蛋白，导致神经信号传递受阻，肌肉收缩功能出现异常。

该病的典型特征为波动性肌无力、易疲劳，表现为活动后加重、休息后缓解。常见症状包括眼睑下垂、肢体乏力、吞咽与咀嚼障碍；病情严重时可累及呼吸肌。临床上将gMG划分为眼肌型、全身型、重度激进型、迟发重度型、肌萎缩型五种类型，部分严重患者可进展至呼吸衰竭，出现重症肌无力危象。

gMG全球患病率为15~25/10万，年发病率为0.4~1.0/10万。国内发病呈现两个年龄高峰，分别为40岁之前与60岁之后，40岁以下患者以女性居多，60岁以上患者则以男性居多。

二、gMG的药物治疗与未被满足的临床需求

目前，gMG的常规治疗方案包括：①胆碱酯酶抑制剂，如溴吡斯的明；②糖皮质激素联合他克莫司、霉酚酸酯、硫唑嘌呤等免疫抑制剂。

尽管现有治疗药物种类丰富，但临床仍存在大量未被满足的用药需求——部分人群用药后疗效欠佳，还有患者因无法耐受药物带来的不良反应而被迫减药或停药，导致病症反复发作。

三、尼卡利单抗的临床疗效及安全性

尼卡利单抗属于全人源化IgG1单克隆抗体，作用靶点为新生儿Fc受体（FcRn），可凭借高亲和力结合并阻断该受体发挥作用。正常状态下，FcRn能够保护IgG（包括致病性IgG）免受溶酶体分解破坏，而尼卡利单抗可加速IgG降解，快速、显著降低血液内致病抗体浓度，从源头上减轻自身免疫对机体的伤害。

该药的获批依托一项国际多中心Ⅲ期关键性临床试验，试验采用双盲、随机、安慰剂对照设计。研究共计入组199例成人gMG受试者，受试者按照1:1比例分组，分别使用尼卡利单抗与安慰剂。给药方案为：尼卡利单抗先以30 mg/kg作为初始剂量，后续按15 mg/kg剂量维持治疗，每两周一次。24周双盲治疗周期数据表明，尼卡利单抗组相较安慰剂组对疾病改善效果突出，统计学差异达到预设标准。在后续研究中，观察到患者疾病控制效果稳定，药品整体安全性表现良好，未发现非预期的不良反应。

尼卡利单抗顺利获批上市，为gMG患者的长期管理提供了新的选择，有助于进一步改善国内患者的生存质量。**药物与人**

本文编辑：李修坤