关于 Insight 数据库

Insight 数据库（db.dxy.cn）是丁香园在药学领域建立的数据情报平台，专注于医药行业 17 年，为药企、投资公司、CRO 等国内外 3000 多家企业提供全球新药、临床试验结果、品种筛选、企业分析等整合分析解决方案以及申报进度、临床试验、上市产品、一致性评价、市场准入等国内外药品全生命周期基础数据。

Insight 数据库为企业提供**数据准确、功能好用、专业交付**的数据情报产品，助力企业决策更精准，工作更高效。

关于 Insight 自研报告

Insight 自研报告是由 Insight 医药分析师整合分析输出的报告，数据来源以 Insight 数据库中的数据为主。目前分为全球新药月报、行业研究专题报告等类型，可通过关注【Insight 数据库】公众号及时获取相关内容。

扫码关注 【Insight 数据库】 公众号
持续获取行业动态、自研报告等内容

1 月全球新药月度报告

Insight / February, 2024

目录

Contents

01 全球新药进展概览

02 全球获批上市的新药

03 全球申请上市的新药

04 重点临床试验与结果

05 研发进度终止的新药

06 重点医药交易

1 月重点药物介绍

Danicopan—全球首个补体因子 D 抑制剂在日本获批上市

2024 年 1 月 19 日，阿斯利康（AZ）宣布其 first-in-class 口服补体因子 D 抑制剂 Voydeya（danicopan）在日本获批上市，用于治疗治疗阵发性夜间血红蛋白尿（PNH）患者，作为 C5 抑制剂疗法的附加药物。

索乐匹尼布—国内首个SYK抑制剂申请上市

2024 年 1 月 11 日，和黄医药宣布索乐匹尼布用于治疗成人原发免疫性血小板减少症（ITP）患者的 NDA 已获 NMPA 受理并予以优先审批。2022 年 1 月，索乐匹尼布被正式纳入突破性治疗品种。

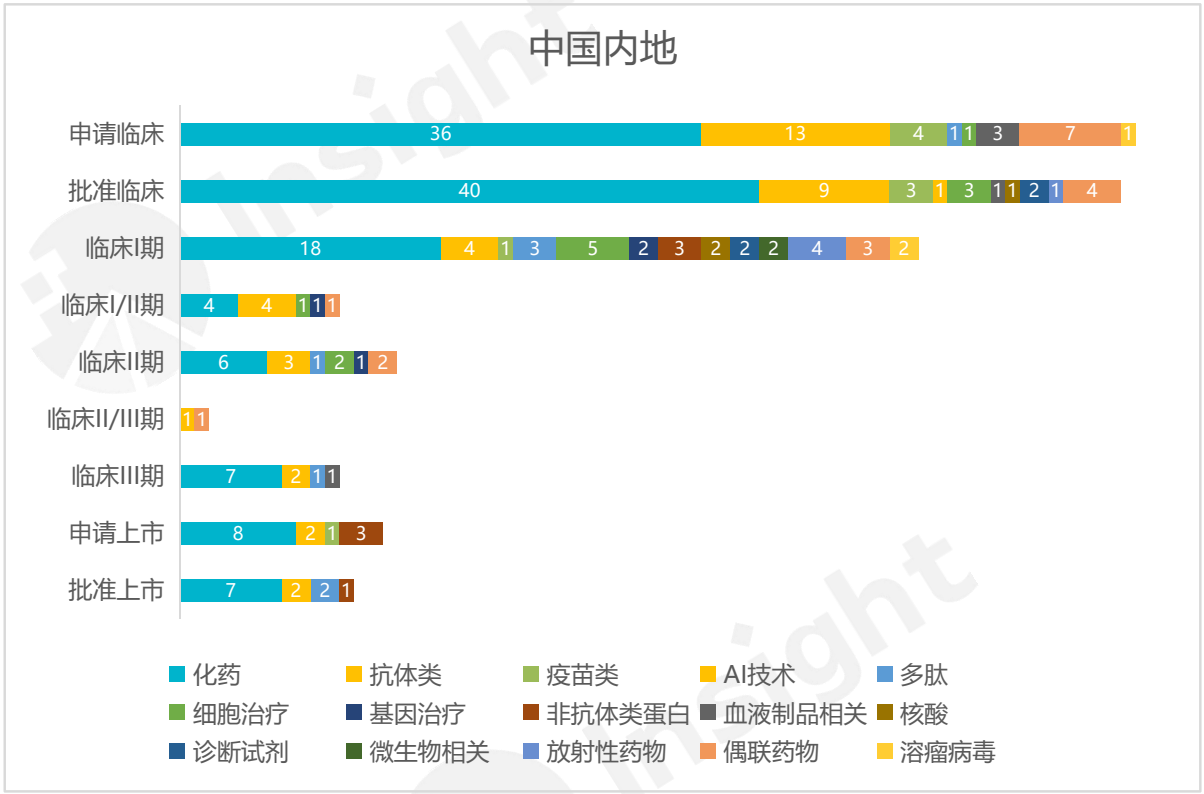
1 月全球重点医药交易

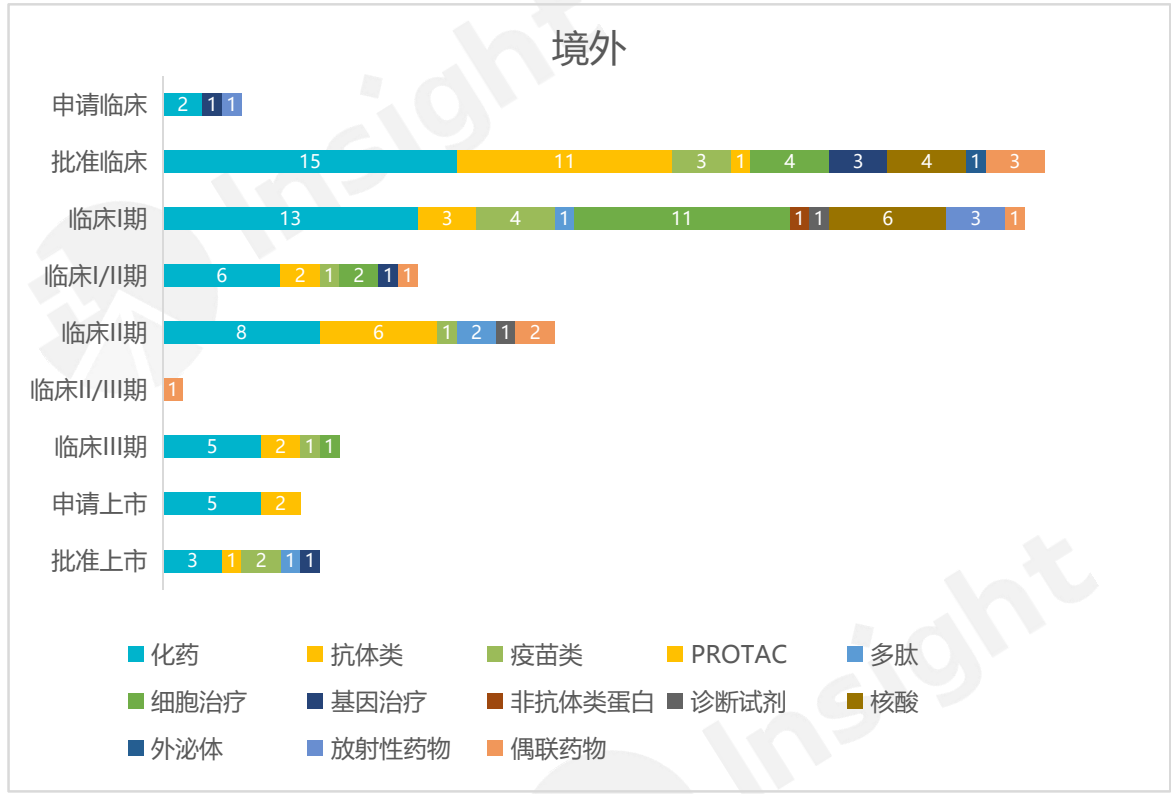
重磅交易—舶望制药将多款 RNAi 疗法授权诺华

1 月 7 日，舶望制药宣布已与诺华达成两项独家许可和合作协议，根据第一份协议，舶望将一款针对心血管疾病 I 期产品的全球开发和商业化权益授予诺华，同时，诺华还将拥有针对心血管疾病的最多额外 2 个靶点化合物的选择权；根据第二份协议，舶望将针对心血管疾病的另一款处于 I/II 期产品的大中华区以外开发和商业化权益授予诺华。

01 全球新药进展概览

1 月首次进展到最高状态（中国内地/境外）的新药项目分析





- 1 月进展到最高状态的项目中，全球共 367 个；其中进入中国内地最高状态的项目有 241 个，进入境外最高状态的项目有 147 个。
- 进入中国内地最高状态的重点成分类别上，占比前三的分别是化药 52%，抗体类药物 17%，偶联药物为 8%。
- 进入境外最高状态的重点成分类别上，占比前三的分别是化药 39%，抗体类药物 18%，细胞治疗类药物为 12%。

数据来源：Insight 数据库
数据说明：【申请临床/批准临床】进度根据国内外公开渠道披露信息统计整理
筛选方法：【中国内地/境外最高状态时间】为 0101-0131，【中国内地/境外最高状态】去除【临床前、临床中(分期未知)、暂无进度】；项目统计中在中国内地和境外存在的临床前/临床 0 期非最高进度不展示

02

全球获批上市的新药

重点获批上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计，1 月全球获批上市 71 款新药（包括了 40 款新药, 9 款生物类似药和 19 款改良新药），下表展示了部分获批新药，完整清单获取方式详见文末。

疾病领域	药品名称	成分类别	靶点	企业	适应症	地区	获批时间	是否首次获批
肿瘤	特瑞普利单抗	单特异性抗体	PD-1	上海君实生物医药科技股份有限公司	非小细胞肺癌	中国	2024-01-02	否
	替雷利珠单抗	单特异性抗体	PD-1	百济神州有限公司	肝细胞癌	中国	2024-01-03	否
	他拉唑帕利	化药	PARP2 | PARP1	辉瑞制药	去势抵抗性前列腺癌	EMA	2024-01-08	否
	阿达格拉西	化药	KRAS G12C	Mirati Therapeutics	非小细胞肺癌	EMA	2024-01-10	否
	伊鲁阿克	化药	ALK | ROS1	齐鲁制药集团有限公司	非小细胞肺癌	中国	2024-01-16	是
神经系统疾病	吡仑帕奈	化药	AMPAR	卫材药业	局灶性癫痫发作	日本	2024-01-18	否
	泰吉利定	化药	MOR	江苏恒瑞医药股份有限公司	术后疼痛	中国	2024-01-31	是
内分泌和代谢系统疾病	恒格列净+二甲双胍-HR20033	化药	SGLT2 | AMPK	江苏恒瑞医药股份有限公司	2型糖尿病	中国	2024-01-05	是
	加格列净	化药	SGLT2	惠升生物制药股份有限公司	2型糖尿病	中国	2024-01-19	是

数据来源：Insight 数据库

备注：获批上市包含首次获批、新适应症获批、及同适应症在不同地区获批

Danicopan—全球首个补体因子 D 抑制剂在日本获批上市

2024 年 1 月 19 日，阿斯利康（AZ）宣布其 first-in-class 口服补体因子 D 抑制剂 Voydeya（danicopan）在日本获批上市，用于治疗治疗阵发性夜间血红蛋白尿（PNH）患者，作为 C5 抑制剂疗法的附加药物。

■ PNH 发病机制 & 流行病学

- 造血干细胞上 PIG-A 基因突变，该基因负责合成锚蛋白，导致红细胞上锚蛋白缺乏，补体系统激活攻击红细胞；
- 临床表现：**血管内溶血**、骨髓造血功能衰竭和血栓形成；
- 全球发病率约为 1~2/百万，中国发病率约在 1/10万左右，亚洲地区发病率相较西方更高。

■ PNH 现有治疗手段

- 抗 C5 疗法为国际公认的标准疗法，主要局限性为**血管外溶血**和较频繁的静脉输注给药方式
- 阿斯利康手握 3 款上市药物，实现 PNH 全面覆盖，罗氏，诺华和再生元等紧随其后

药品名称	作用机制	原研公司	研发阶段	给药方式
依库珠单抗	anti-C5 单抗	阿斯利康	批准上市	静脉注射，每周一次
瑞利珠单抗	anti-C5 单抗	阿斯利康	批准上市	静脉注射，每8周一次
Pegcetacoplan	anti-C3 环肽	Apellis	批准上市	皮下注射，每周两次
伊普可泮	B 因子抑制剂	诺华	批准上市	口服，每日两次
Danicopan	D 因子抑制剂	阿斯利康	批准上市	口服，每日三次
珂罗利单抗	anti-C5 单抗	罗氏	申请上市	皮下注射，每4周一次
Zilucoplan	anti-C5 多肽	优时比	Ⅲ 期	/
Pozelimab	anti-C5 单抗	再生元	Ⅲ 期	/
Cemdisiran	anti-C5 siRNA	再生元	Ⅲ 期	/
Nomacopan	anti-C5 重组蛋白	Akari Therapeutics	Ⅲ 期	/

■ Danicopan 关键临床：ALPHA（NCT04469465）

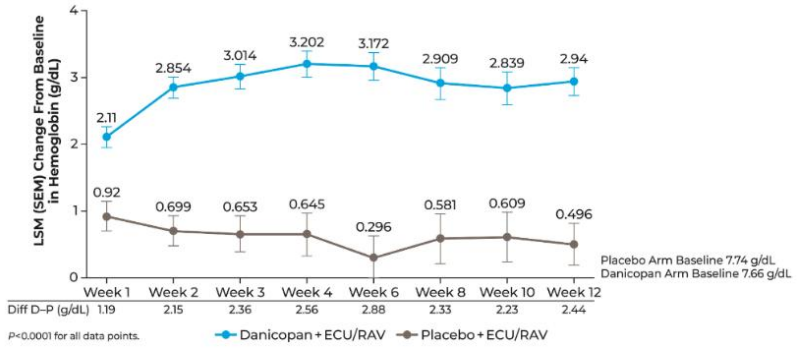
研究人群：**依库珠单抗**或**瑞利珠单抗**治疗至少 6 个月后发生**血管外溶血**的 PNH 成年患者

试验人数：73

试验设计：国际多中心、随机、双盲、安慰剂对照

试验方案：**Danicopan vs 安慰剂**

主要终点：12 周时，血红蛋白浓度相对基线的变化



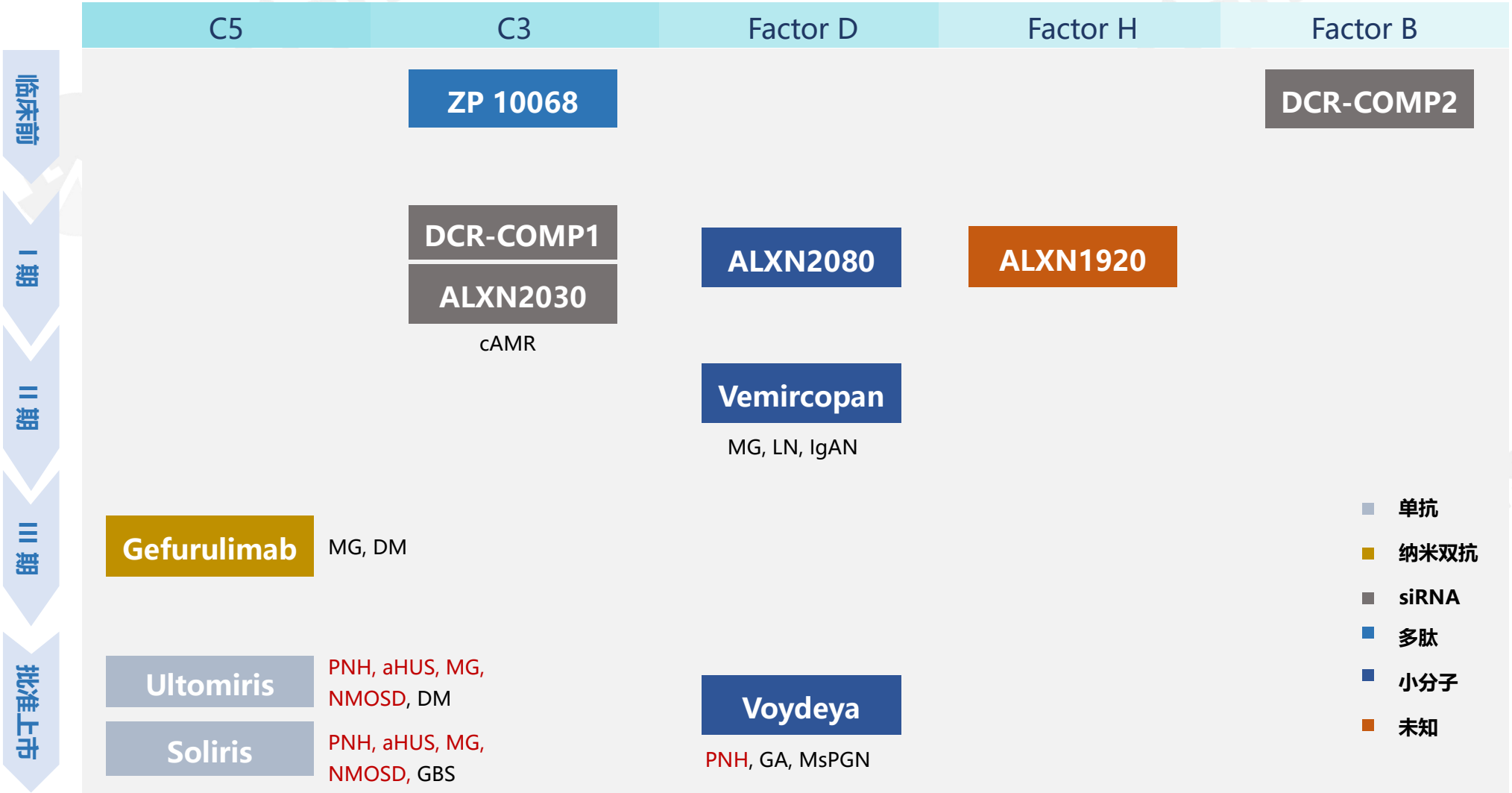
■ 临床结果

- 12 周时，Danicopan 治疗组患者的血红蛋白水平较基线的变化优于安慰剂组 (2.94 g/dL vs. 0.50 g/dL；p<0.0001)，研究达到主要终点；
- 关键次要终点达到，包括避免输血和 FACIT 疲劳评分变化。

数据来源：Insight 数据库；企业官网

Danicopan—全球首个补体因子 D 抑制剂在日本获批上市

- 阿斯利康 2020 年末收购 Alexion，进军罕见病领域，重点核心战略包括：**补体系统、骨骼疾病和淀粉样变性、基因治疗。**
- 就补体系统， AZ 涉足以下几大补体平台，包括 C5、C3、D 因子、H 因子、B 因子等，同时药物形态多样，包括**单抗，纳米双抗，siRNA，口服小分子**等。



aHUS=非典型溶血性尿毒症综合征;
MG=重症肌无力;
NMOSD=视神经脊髓炎谱系障碍;
DM=皮肌炎;
GBS=急性炎症性脱髓鞘性多发性神经病;
cAMR=慢性抗体介导排斥反应;
LN=狼疮肾炎;
IgAN=IgA肾病;
GA=地图样萎缩;
MsPGN=膜增生性肾小球肾炎

03 全球申请上市的新药

重点申请上市清单（部分）

据 Insight 数据库统计，1 月全球申请上市 54 款新药，包括 41 款新药、7 款改良新和 5 款生物类似药。下表展示了部分申请上市新药，完整清单获取方式详见文末。

疾病领域	药品名称	成分类别	靶点	企业	适应症	地区	申请时间	是否首次申请
肿瘤	瑞基奥仑赛	CAR-T	CD19	上海药明巨诺生物科技有限公司	套细胞淋巴瘤	中国	2024-01-04	否
	卡度尼利单抗	双特异性抗体	PD-1|CTLA4	中山康方生物医药有限公司	胃癌	中国	2024-01-05	否
	替索单抗维多汀	抗体偶联物ADC	FIII	Genmab	宫颈癌	美国	2024-01-09	否
	瑞齐替尼	化药	EGFR-T790M	上海倍而达药业有限公司	非小细胞肺癌	中国	2024-01-25	否
	兰泽替尼	化药	EGFR-L858R|EGFR-Ex19del|EGFR-T790M	强生制药	非小细胞肺癌	中国	2024-01-26	否
感染性疾病	B型流感嗜血杆菌结合疫苗	多糖结合疫苗|预防性疫苗	Hib	罗益（无锡）生物制药有限公司	流感嗜血杆菌感染	中国	2024-01-20	是
神经系统疾病	维卡格雷	化药	P2RY12	江苏威凯尔医药科技有限公司	冠心病|周围动脉疾病|缺血性卒中	美国	2024-01-03	是

数据来源：Insight 数据库

备注：申请上市包含首次申请、新适应症申请、及同适应症在不同地区申请

2024 年 2 月和 2024 年 3 月 FDA 新药 PDUFA 清单

根据 FDA 公布的新药申请 PDUFA 日期，下表汇总了近两个月 FDA 会做出审评决定的药品清单（包括新药和改良新），2024 年 2 月份预计还有 2 款药品会迎来 FDA 审评结论，2024 年 3 月份预计有 13 款药品会迎来 FDA 审评结论。

药品成分	成分类别	研发机构	申报适应症	PDUFA 日期
利非伦塞*	TIL细胞疗法	Iovance Biotherapeutics	黑色素瘤	2024-02-24
Roluperidone	化药	Minerva Neurosciences	精神分裂症	2024-02-26
氯倍他索纳米混悬液-APP13007	化药	Eyenovia	眼部术后炎症|眼部术后疼痛	2024-03-04
格拉替雷-GA Depot	化药	Viatris|Mapi Pharma	多发性硬化	2024-03-08
马昔巴特	化药	Mirum Pharmaceuticals	进行性家族性肝内胆汁淤积症	2024-03-13
Lisocabtagene maraleucel*	CAR-T	百时美施贵宝制药	慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤	2024-03-14
Resmetirom*	化药	Madrigal Pharmaceuticals	代谢功能障碍相关脂肪性肝炎	2024-03-14
氟替卡松鼻喷剂-Xhance	化药	OptiNose	慢性鼻窦炎	2024-03-16
Atidarsagene autotemcel*	基因增补|造血干细胞HSC	Orchard Therapeutics	异染性脑白质营养不良	2024-03-18
Sotatercept*	抗体类融合蛋白	默沙东制药	肺动脉高压	2024-03-26
伐达度司他	化药	Akebia Therapeutics	慢性肾性贫血	2024-03-27
Marnetegragene autotemcel*	基因增补|造血干细胞HSC	Rocket Pharmaceuticals	白细胞黏附缺陷症1型	2024-03-31
奥德罗奈昔单抗*	双特异性抗体	再生元制药	滤泡性淋巴瘤|弥漫性大B细胞淋巴瘤	2024-03-31
贝派度酸	化药	Esperion Therapeutics	高血脂患者的心血管事件二级预防	2024-03-31
贝派度酸+依折麦布-Esperion	化药	Esperion Therapeutics	高血脂患者的心血管事件二级预防	2024-03-31

数据来源：Insight 数据库　　*：优先审评

索乐匹尼布—国内首个SYK抑制剂申请上市

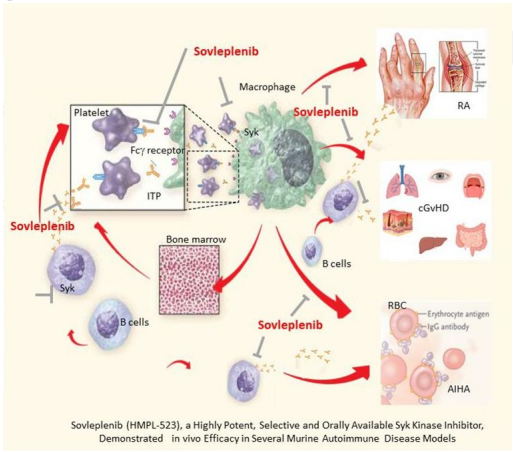
2024 年 1 月 11 日，和黄医药宣布索乐匹尼布用于治疗成人原发免疫性血小板减少症（ITP）患者的 NDA 已获 NMPA 受理并予以优先审批。2022 年 1 月，索乐匹尼布被正式纳入突破性治疗品种。据 **Insight 流行病学模块**，中国免疫性血小板减少症的新发人数（患病率）为 37779（2.7/十万），患病人数（患病率）为 176209（12.5/十万）。这显示，用于慢性血液型疾病长期治疗的 SYK 抑制剂市场仍是一片蓝海。

■ 国内 ITP 治疗现状

- 原发免疫性血小板减少症（ITP）是临床常见的出血性疾病，以缺乏明确特异性病因的孤立性血小板减少为特征。
- 尽管有多种疗法可用，仍有许多药物敏感性有限的患者面临抗药性难题，亟需新机制疗法填补空白。
- 2018 年，**全球首款** SYK 抑制剂福坦替尼获 FDA 批准上市用于治疗成人 ITP，但**目前国内尚无此类药物获批。**

紧急治疗 迅速提升血小板计数至安全水平	免疫球蛋白
	甲泼尼龙
	重组人血小板生成素
一线治疗	糖皮质激素
	人免疫球蛋白
二线治疗	促血小板生成药物：重组人血小板生成素；艾曲泊帕
	利妥昔单抗
	重组人血小板生成素联合利妥昔单抗
	脾切除术
三线治疗	设计良好的前瞻性多中心临床试验：全反式维甲酸联合达那唑；地西他滨
	其他

■ 索乐匹尼布



Sovleplenib (HMPL-523), a Highly Potent, Selective and Orally Available Syk Kinase Inhibitor, Demonstrated in vivo Efficacy in Several Murine Autoimmune Disease Models

- SYK 是 Fc 受体和 B 细胞受体信号传导通路的关键组成部分，其异常调节与多种过敏性疾病、自身免疫性疾病和 B 细胞恶性肿瘤有关。
- 索乐匹尼布是**国内首款**用于治疗血液恶性肿瘤和自身免疫性疾病的新型、高选择性的口服 SYK 抑制剂。
- 除 ITP 外，用于治疗自身免疫性溶血性贫血及复发或难治性成熟 B 细胞淋巴瘤等适应症的临床试验正在进行中。

■ 临床结果对比（索乐匹尼布 vs 福坦替尼）

登记号	临床 I 期（NCT03951623）		临床 III 期（NCT04132050）	
适应症	免疫性血小板减少症			
干预药	索乐匹尼布（N=24）	索乐匹尼布（N=20）	福坦替尼（N=22）	安慰剂（N=12）
ORR	50.0%, 33.3%, 68.8% and 233.3% at 100-400 mg dose cohorts	80%	45%	0%

- 2021 年 8 月，创响生物获得福坦替尼在中国内地及港澳地区的独家开发和商业化权利，目前尚未在国内开展临床试验；
- 2023 年 8 月，和黄医药宣布索乐匹尼布的关键 III 期临床 ESLIM-01 达到主要终点，结果表明接受索乐匹尼布治疗的患者持续应答率取得了具有临床意义和统计学意义的显著改善。

数据来源：Insight 数据库；PubMed

■ SYK抑制剂竞争格局

据 Insight 数据库，全球共 53 个 SYK 相关的药物在研，其中处于积极状态且已进入临床阶段的共 16 个，均为化药。已在国内布局临床的共 4 个，分别是索乐匹尼布、TQB3473、OT-202 和 SYHX1901；SYK 相关的双/多靶点抑制剂多针对成熟靶点，如 SYK/JAK 双靶点抑制剂赛度替尼和 SYHX1901，SYK/VEGFR 双靶点抑制剂 OT-202 及多靶点抑制剂 Tuspetinib 及 PUR1800 等，适应症多为自身免疫性疾病或血液肿瘤。

药品成分	研发机构	全球最高状态	中国内地最高状态	靶点	适应症
福坦替尼	Rigel，Grifols，橘生药品，创响生物	批准上市	批准临床	SYK	批准上市: 免疫性血小板减少症
索乐匹尼布	和记黄埔	申请上市	申请上市		申请上市: 免疫性血小板减少症
Entospletinib	吉利德，Kronos，CGI，Beat AML	临床 Ⅲ 期	-		临床 Ⅱ 期: 慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤
IC-265	兆科，李氏大药厂，IACTA	临床 Ⅱ 期	-		临床 Ⅱ 期: 过敏性结膜炎, 干眼症
Cevidoplenib	Oscotec，Genosco，百时益	临床 Ⅱ 期	-		临床 Ⅱ 期: 免疫性血小板减少症, 类风湿关节炎
PRT-2761	OraPharma，Alexion，Portola	临床 Ⅱ 期	-		临床 Ⅱ 期: 过敏性结膜炎
lanraplenib	吉利德，Kronos Bio	临床 Ⅱ 期	-		临床 Ⅱ 期: 类风湿关节炎, 干燥综合征, 皮肤型红斑狼疮, 狼疮肾炎
TQB3473	正大天晴	临床 I 期	临床 I 期		批准临床：免疫性血小板减少症
GSK 2646264	葛兰素史克	临床 I 期	-		临床 I 期: 慢性自发性荨麻疹, 皮肤型红斑狼疮
赛度替尼	Alexion，Portola，Dermavant，上海仑胜，Aciex，Roivant	临床 Ⅱ/Ⅲ 期	-	SYK | JAK1 | JAK2 | JAK3	临床 Ⅰ/Ⅱ 期: B细胞非霍奇金淋巴瘤, 慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤
OT-202	欧康维视	临床 Ⅱ 期	临床II期	SYK | VEGFR2	临床 Ⅱ 期: 干眼症
SYHX1901	石药	临床 Ⅱ 期	临床II期	SYK | JAK	临床 Ⅱ 期: 斑块状银屑病
R348	Rigel	临床 Ⅱ 期	-	SYK | JAK3	临床 Ⅱ 期: 干眼症
R932333	Rigel	临床 Ⅱ 期	-	SYK | JAK	临床 Ⅱ 期: 盘状红斑狼疮, 系统性红斑狼疮
Tuspetinib	韩美制药，Aptose	临床 I /Ⅱ期	-	FLT3 | SYK | KIT | JAK1 | JAK2 | RPS6KA3	临床 I /Ⅱ 期: 急性髓系白血病, 骨髓增生异常综合征, 慢性粒单核细胞白血病
PUR1800	强生，PULMATRiX，RespiVert	临床 I 期	-	SRC | SYK | MAPK14	临床 I 期: 慢性阻塞性肺疾病

*研究阶段为临床前、非积极及近三年不活跃的项目不纳入统计；适应症指最高阶段的积极适应症

数据来源：Insight 数据库

04 重点临床试验与结果

重点发布结果的临床试验（部分）

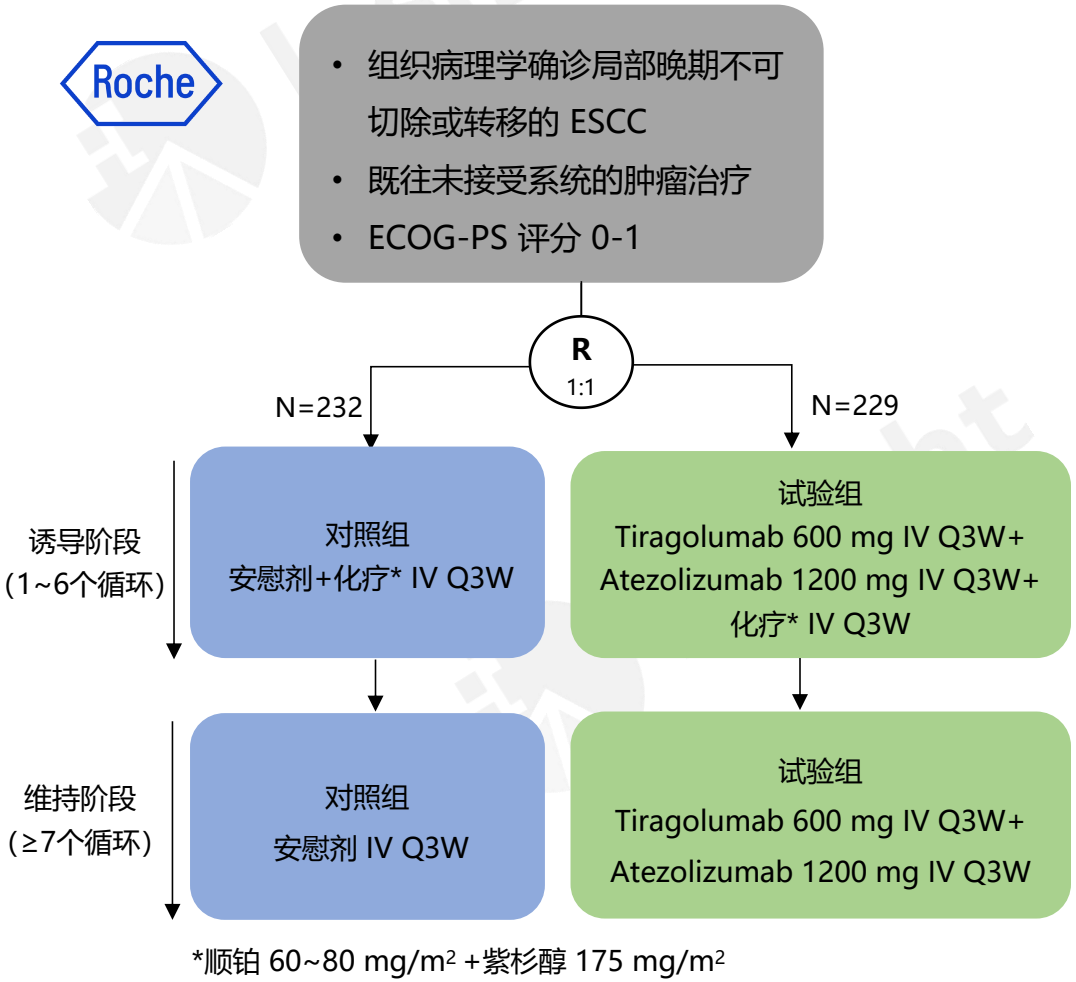
据 Insight 数据库统计，1 月共收录 408 个最新临床验结果（包括新药、改良新和生物类似药）。下表展示部分重点临床试验结果，更多数据可通过 Insight 数据库 **临床试验结果模块** 查询。

领域	试验代号	申办者	用药方案	靶点	成分类别	适应症	分期	有效性结果	结果倾向性	备注
肿瘤	SKYSCRAPER-08	罗氏	**Tiragolumab** + 阿替利珠单抗 + 化疗；安慰剂+ 化疗	TIGIT	单抗	食管鳞癌 (局部晚期，复发，不可切除)	Ⅲ 期	**mPFS:** 6.2 months vs 5.4 months; **mOS**: 15.7months vs 11.1 months	积极	全球首款 TIGIT 单抗首次披露食管鳞癌积极数据
	EVOKE-01	吉利德	**戈沙妥珠单抗**；多西他赛	TROP2	ADC	非小细胞肺癌 (晚期/转移)	Ⅲ 期	**OS**：未达到终点	不佳	-
	NETTER-2	诺华	**Lutathera** + 奥曲肽；奥曲肽	SSTR2	RDC，PDC	胃肠胰神经内分泌肿瘤 (晚期/转移)	Ⅲ 期	**mPFS**：22.8 months vs 8.5 months	积极	首个在一线治疗 Ⅲ 期临床中展现积极数据的核药疗法
非肿瘤	NCT05553366	Vertex	**VX-548**；HB/APAP；安慰剂	Nav1.8	化药	急性疼痛 (中度，重度)	Ⅲ 期	**SPID**：99.9 vs _ vs 70.6 **SPID**：99.9 vs 120.1 vs _	积极	首个公布积极结果的全新作用机制的镇痛药 [1]
	NCT05558410							**SPID**：118.4 vs _ vs 70.1 **SPID**：118.4 vs 111.8 vs _		
	NCT05661734		**VX-548**					Proportion of Participants Reporting Good, Very Good, or Excellent on PGA：83.2 %		
	NCT05184322	先为达	**口服伊诺格鲁肽-XW004**；安慰剂	GLP1R	多肽	肥胖	Ⅰ 期	30 mg 每日一次口服，6 周后体重相对基线变化：-6.8% vs -0.9%	积极	首个国产口服长效多肽 GLP-1 公布临床 I 期结果
	ENERGIZE	Agios	**Mitapivat**；安慰剂	PKR	化药	β地中海贫血；α地中海贫血	Ⅲ 期	**Hemoglobin response**: 42.3% vs 1.6%	积极	非输血依赖性地中海贫血患者的潜在首种口服疗法
	GLORY-1	信达	**玛仕度肽**；安慰剂	GCGR/GLP1R	多肽	肥胖	Ⅲ 期	body weight：达到终点 body weight (≥5% Reduction)：达到终点	积极	首个国产双靶点减肥药披露 Ⅲ 期临床结果；潜在 BIC

数据来源：Insight 数据库　1. 研究达到 NPRS 以及 SPID48 主要终点，即相比安慰剂显著改善；关键次要终点没有达到，即相比阿片类药物，没有达到优效

Tiragolumab—— ASCO-GI 发布两项积极临床结果

Tiragolumab： 作为首个获得 FDA 授予突破性疗法认定（BTD）的抗 TIGIT 单抗，此前相继在小细胞肺癌、非小细胞肺癌的 Ⅲ 期临床上遭遇滑铁卢，近日罗氏在 2024 ASCO-GI 大会上公布了 Tiragolumab 联合 Atezolizumab（PD-L1），在亚洲地区开展治疗食管鳞癌的 Ⅲ 期临床试验。相较于对照， tira + atezo + CT 的试验方案可显著改善患者的无进展生存期（PFS）和总生存期（OS）。



*顺铂 60~80 mg/m² +紫杉醇 175 mg/m²

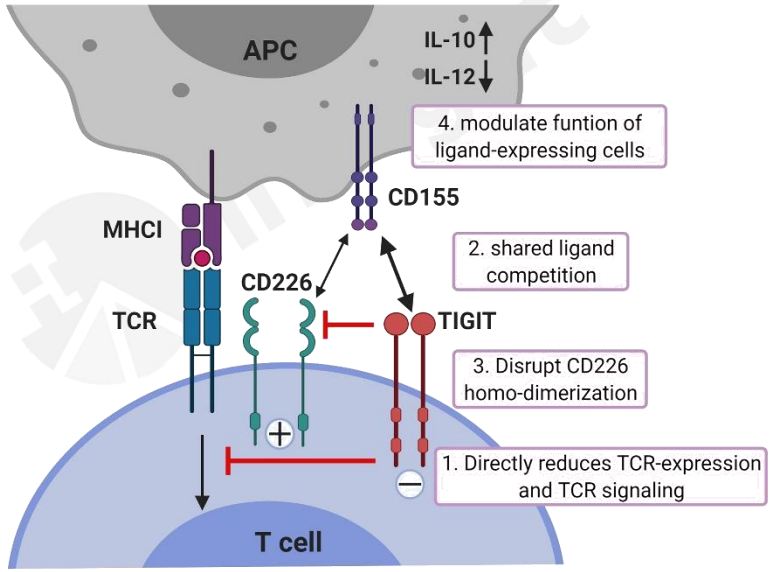
	试验组	对照组
mPFS (IRF) 主要终点	6.2 months	5.4 months
	HR=0.56（95% CI，0.45-0.70），P<0.0001	
mOS 主要终点	15.7 months	11.1 months
	HR=0.70（95% CI，0.55-0.88），P=0.0024	
mPFS (INV) 次要终点	7.0 months	5.5 months
	HR=0.57（95% CI，0.46-0.72）	
ORR 次要终点	59.7%	45.5%
mDoR 次要终点	7.1 months	4.3 months
TRAE（grade 3/4） 次要终点	59.6%	56.4%
TRAE（grade 5） 次要终点	2.6%	0.9%

- **SKYSCRAPER-08** 试验结果表现积极，达到双主要终点，在统计学和临床维度上都有意义，相比于化疗， tira + atezo + CT 的 mOS 改善 4.6 个月。然而基于 2023 版食管癌-鳞癌分层诊疗指南，顺铂+氟嘧啶/紫杉醇+免疫检查点抑制剂已是一线疗法下新的护理标准， 而对照组选用安慰剂+化疗的试验设计方案显然不能满足当下的诊疗需求。TIGIT 靶点前路如何未可知，不过罗氏还开发了 Tiragolumab + Atezolizumab 的复方产品，针对实体瘤的 Ⅱ 期临床尚在招募中。

数据来源：2024 ASCO-GI，Insight 数据库

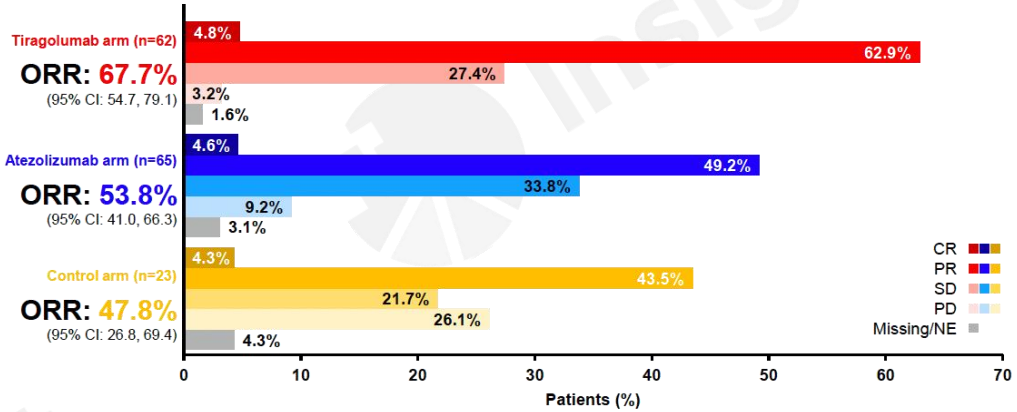
Tiragolumab—— ASCO-GI 发布两项积极临床结果

● TIGIT 作用机制

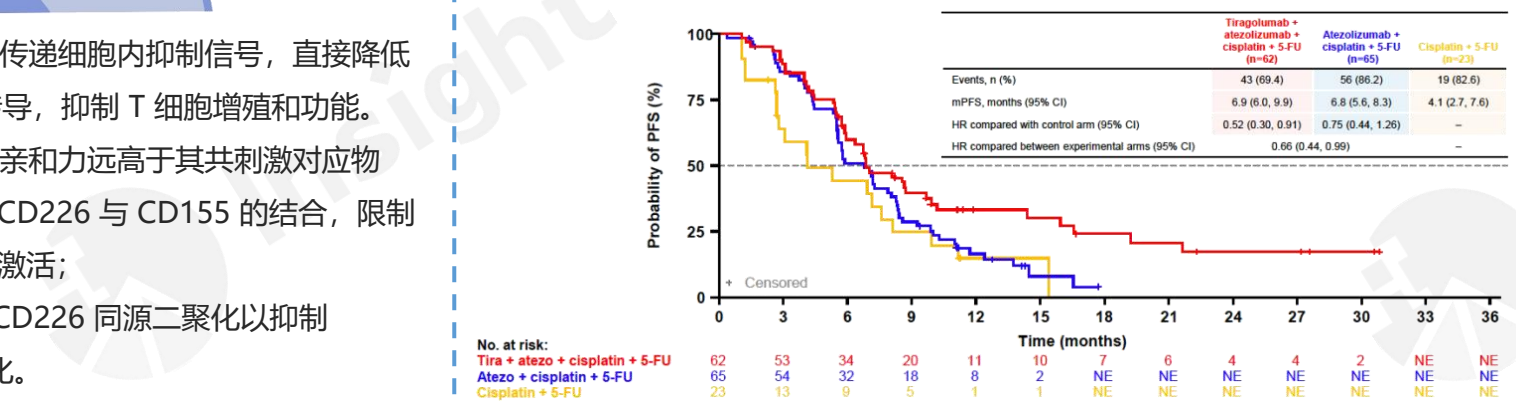


1) TIGIT 与 CD155 结合并传递细胞内抑制信号，直接降低 TCR 表达和 TCR 信号传导，抑制 T 细胞增殖和功能。
2) TIGIT 与 CD155 的结合亲和力远高于其共刺激对应物 CD226，因此可以取代 CD226 与 CD155 的结合，限制 CD226 介导的相关通路激活；
3) 以顺式方式结合并破坏 CD226 同源二聚化以抑制 CD226 介导的T细胞活化。
4) TIGIT 与抗原呈递细胞（APC）上的 CD155 结合，触发级联反应减少 IL-12 的分泌，诱导 IL-10 增加并释放，从而间接抑制 T 细胞。

➢ 在本次 2024 ASCO-GI 大会上，罗氏另一项关于食管癌一线治疗的 Ⅰb/Ⅱ 期临床试验结果也同期出炉，纳入既往未接受过系统治疗的局晚期不可切除或转移的食管癌患者，设置两个试验组，在化疗的基础上联合 Atezolizumab ± Tiragolumab。



➢ tira + atezo + CT 在主要终点 ORR 上有显著优势，CR/PR 均明显高于 atezo + CT 试验组及 CT 对照组。



➢ 在次要终点 mPFS 方面，三组分别为 6.9 个月，6.8 个月和 4.1 个月，两试验组间 HR 为 0.66（0.44-0.99）。 ORR 和 mPFS 获益在所有预先指定的亚组中基本一致。

➢ 研究结论：与 CT 和 atezo + CT 相比，tira + atezo + CT 观察到 INV 评估的 ORR 和 PFS 具有临床意义的改善以及 OS 改善的趋势， 这一结果支持了 tira 和 atezo 与 CT 联合的贡献， 安全性与个体治疗的已知风险一致。

数据来源： 2024 ASCO-GI， Insight 数据库，doi:10.3389/fimmu.2021.699895

首次进入 Ⅲ 期临床的新药 (1)

根据 Insight 数据库，2024 年 1 月全球进入临床 Ⅲ 期的新药项目有 16 个（10 款新药、4 款改良新药和 1 款类似药），详细信息见下表。

药品成分	成分类别	靶点	研发机构	Ⅲ 期临床适应症	进入临床 Ⅲ 期时间	临床登记号	开展地区
Alnuctamab	双特异性抗体	CD3 | BCMA	百时美施贵宝制药，新基医药	多发性骨髓瘤	2024-01-31	NCT06232707	中国，美国，日本等
GD-11	化药	/	江苏万高药业股份有限公司	缺血性卒中	2024-01-30	CTR20240274	中国
阿昔替尼玻璃体内植入物-OTX-TKI	化药	KIT | PDGFRB | VEGFR	Ocular Therapeutix	湿性年龄相关性黄斑变性	2024-01-25	NCT06223958	美国
非马沙坦+达格列净-BR1019	化药	AGTR1 | SGLT2	Boryung Pharmaceutical	2 型糖尿病，原发性高血压	2024-01-24	NCT06220773	韩国
CT-3505	化药	ALK	首药控股（北京）股份有限公司	非小细胞肺癌	2024-01-19	CTR20240005	中国
对乙酰氨基酚+羟考酮缓释片-EP0009XR	化药	COX | OPR	成都苑东生物制药股份有限公司	术后疼痛	2024-01-18	CTR20240058	中国
多塞平	化药	HRH1 | HRH2 | SLC6A4 | SLC6A2	力品药业（厦门）股份有限公司	失眠症	2024-01-17	CTR20240056	中国

数据来源：Insight数据库

首次进入 Ⅲ 期临床的新药 (2)

根据 Insight 数据库，2024 年 1 月全球进入临床 Ⅲ 期的新药项目有 17 个（10 款新药、5 款改良新药和 1 款类似药），详细信息见下表。

药品成分	成分类别	靶点	研发机构	Ⅲ 期临床适应症	进入临床 Ⅲ 期时间	临床登记号	开展地区
A型肉毒杆菌毒素-HU-045	其它蛋白	RHOB | SNAP25	韩国 Huons 制药株式会社	面部皱纹	2024-01-16	NCT06205797	/
bidridistrogene xeboparvovec	基因增补	SGCB	Sarepta Therapeutics，Myonexus Therapeutics	肢带型肌营养不良症 2E 型	2024-01-16	/	/
司美格鲁肽	多肽	GLP1R	正大天晴药业集团股份有限公司	2 型糖尿病	2024-01-12	CTR20240069	中国
Ifinatamab deruxtecan	抗体偶联物ADC	B7-H3	第一三共株式会社，默沙东制药	小细胞肺癌	2024-01-12	NCT06203210	/
安达替尼	化药	EGFR-T790M | EGFR-Ex20Ins | EGFR-L858R	北京鞍石生物科技有限公司	非鳞状非小细胞肺癌	2024-01-09	CTR20240057	中国
ACP-204	化药	HTR2A	Acadia Pharmaceuticals	阿尔兹海默病	2024-01-08	NCT06194799	美国
缬沙坦+左氨氯地平-HMK-JST-080	化药	AGTR | L-Type Calcium Channel | N-type Calcium Channel	浙江和沐康医药科技有限公司	原发性高血压	2024-01-04	CTR20233802	中国
KN057	单特异性抗体	TFPI	康宁杰瑞生物制药，苏州康宁杰瑞生物科技有限公司	B 型血友病，A 型血友病	2024-01-04	CTR20234255、CTR20234254	中国
凝血因子IX	凝血因子类	FX	广东双林生物制药有限公司	B 型血友病	2024-01-03	CTR20240019	中国

数据来源：Insight数据库

05

研发进度终止的新药

研发进度终止的新药

根据 Insight 数据库，1 月共有 11 款新药研发终止，1 款新药研发暂停。

研发机构	药品名称	成分类别	靶点	最高阶段	最高阶段适应症	终止原因
ADC Therapeutics*	ADCT-901	抗体偶联物ADC	KAAG1	临床Ⅰ/Ⅱ 期	实体瘤	研发策略调整
Allakos	Lirentelimab	单特异性抗体	SIGLEC8	临床 Ⅲ 期	嗜酸性十二指肠炎，嗜酸性粒细胞性胃炎，胃炎	
Hookipa Pharma	HB-300#	治疗性疫苗	PAP|PSA	批准临床	去势抵抗性前列腺癌	
Vicore Pharma	沙利度胺-VP02	分子胶	IKZF1|IKZF3	临床前	特发性肺纤维化	
渤健制药*	Aducanumab	单特异性抗体	Aβ	批准上市	阿尔兹海默病	
蓝图药物公司	BLU-451	化药	EGFR-Ex20Ins	临床 Ⅰ/Ⅱ 期	肿瘤	
蓝图药物公司*	BLU-945	化药	EGFR-C797S | EGFR-Ex19del | EGFR-L858R | EGFR-T790M	临床Ⅰ/Ⅱ 期	非小细胞肺癌	
葛兰素史克制药	GSK4429016A	重组蛋白疫苗|预防性疫苗	/	临床Ⅰ期	肺炎克雷伯菌感染	未知
葛兰素史克制药*	GSK 4182137	单特异性抗体	SARS-CoV-2 S	临床Ⅰ/Ⅱ 期	2019冠状病毒感染	
	VIR-2482	单特异性抗体	M2 protein	临床 Ⅱ 期	甲型流感病毒感染	
罗氏制药*	克瑞珠单抗	单特异性抗体	Aβ	临床 Ⅲ 期	阿尔兹海默病	其他
	Semorinemab	单特异性抗体	Tau	临床 Ⅱ 期	阿尔兹海默病	

*该研发机构终止项目研发 # 项目研发暂停

数据来源：Insight数据库

06

重点医药交易

重磅交易

1 月据 Insight 数据库统计，共收录 97 条药品相关交易。下表展示交易总额 TOP8（仅统计新药、改良新、生物类似药，未披露金额的不计入）。

交易时间	交易类型	转让方	受让方	项目	成分类别	靶点	交易金额
2024-01-07	授权/许可 期权	舶望制药	诺华	cardiovascular asset	siRNA	未披露	交易总额：4165 百万美元 首付款：185 百万美元
2024-01-23	转让/收购	Inhibrx	赛诺菲	INBRX-101	抗体类融合蛋白	SERPINA1	首付款：1700 百万美元 其他交易额：496 百万美元
2024-01-08	转让/收购	Ambrx Biopharma	强生	ARX517 Anvatabart opadotin ARX305	抗体偶联物ADC	PSMA HER2 CD70	交易总额：2000 百万美元
2024-01-03	合作	瑞博生物	勃林格殷格翰	非酒精性或代谢功能障碍相关脂肪性肝炎创新疗法	siRNA	未披露	交易总额：2000 百万美元
2024-01-04	期权 合作	Umoja Biopharma	艾伯维	UB-VV111	CAR-T	CD19	交易总额：1440 百万美元
2024-01-09	转让/收购	Aiolos Bio	葛兰素史克	SHR-1905	单特异性抗体	TSLP	首付款：1000 百万美元 里程碑付款：400 百万美元
2024-01-02	合作	Voyager Therapeutics	诺华	HD(Voyager) VY-SMN101	其他基因治疗 基因增补	HTT、MSH3 SMN1	首付款：100 百万美元 里程碑付款：1200 百万美元
2024-01-02	授权/许可	宜联生物	罗氏	YL211	抗体偶联物ADC	MET	首付款：50 百万美元 里程碑付款：1000 百万美元

数据来源：Insight 数据库；企业官网　　筛选方法：【交易时间】为 0101-0131，【项目类型】为【药品】，不包括终止交易事件和企业收购完成事件。

重磅交易—舶望制药将多款 RNAi 疗法授权诺华

1 月 7 日，舶望制药宣布已与诺华达成两项独家许可和合作协议，根据第一份协议，舶望将一款针对心血管疾病 I 期产品的全球开发和商业化权益授予诺华，同时，诺华还将拥有针对心血管疾病的最多额外 2 个靶点化合物的选择权；根据第二份协议，舶望将针对心血管疾病的另一款处于 I/II 期产品的大中华区以外开发和商业化权益授予诺华。根据协议条款，舶望将获得 1.85 亿美元的首付款，潜在的期权和里程碑付款以及商业销售的分级特许权使用费，总价值达 41.65 亿美元。

■ **舶望制药已进入临床阶段管线**

项目	适应症	临床 I 期	临床 II 期
BW-20507	**乙型病毒性肝炎**		
BW-00163	**高血压**		
BW-20805	**遗传性血管性水肿**		
BW-00112	**高脂血症**		
BW-20829	**高脂蛋白(a)血症**		

- 舶望制药专注于开发 siRNA 药物研究，据 Insight 数据库统计目前公司共布局了 28 款 siRNA 药物，其中心血管领域药物共 11 款，已有 4 款已进入临床开发阶段。
- 诺华在小核酸领域已布局 10 多款药物，涉及心血管疾病、神经系统疾病、癌症等领域，但在心血管领域布局较少，仅英克司兰钠和 ALN-PCS02 两款药物，此次交易可帮助诺华扩大心血管小核酸疗法。

■ **诺华小核酸疗法药物布局**

*已撤市

药品成分	靶点	成分类别	全球最高阶段及适应症
福米韦生*	IE2	ASO	批准上市: 巨细胞病毒性视网膜炎
英克司兰钠	**PCSK9**	**siRNA**	**批准上市: 原发性高胆固醇血症,混合型高脂血症,杂合子型家族性高胆固醇血症,高血脂患者的心血管事件二级预防,高胆固醇血症,家族性高胆固醇血症**
阿普卡生	PRKCA	ASO	临床 III 期: 非小细胞肺癌
Pelacarsen	APOA	ASO	临床 III 期: 高血脂患者的心血管事件二级预防,高脂蛋白(a)血症,高脂血症
ISIS 5132	RAF1	ASO	临床 II 期: 小细胞肺癌,非小细胞肺癌,前列腺癌,结直肠癌,乳腺癌
ALN-PCS02	**PCSK9**	**siRNA**	**临床 I 期: 高胆固醇血症**
NIO752	Tau	ASO	临床 I 期: 进行性核上性麻痹,阿尔兹海默病,轻度认知障碍

数据来源：Insight 数据库；企业官网

重磅交易—舶望制药将多款 RNAi 疗法授权诺华

■ **近一年内心血管领域的核酸药物相关交易**

交易时间	交易类型	转让方	受让方	项目	成分类别	靶点	交易金额
2024-01-07	授权/许可 期权	舶望制药	诺华	cardiovascular asset	siRNA	未披露	交易总额：4165 百万美元 首付款：185 百万美元
2023-07-28	授权/许可	Ionis Pharmaceuticals	阿斯利康	Eplontersen (仅商业化权)	ASO	TTR	首付款：20 百万美元 里程碑付款：3600 百万美元
2023-07-24	合作 授权/许可	阿尔尼拉姆制药	罗氏	Zilebesiran	siRNA	AGT	首付款：310 百万美元 里程碑付款：2800 百万美元
2023-12-25	授权/许可	瑞博生物	齐鲁	RBD7022	siRNA	PCSK9	交易总额：700 百万元 (110.81 百万美元)
2023-06-27	授权/许可	Lipigon Pharmaceuticals	成都先衍生物	Lipisense	ASO	ANGPTL4	交易总额：91 百万美元
2023-12-18	授权/许可	Ionis Pharmaceuticals	大冢制药	Donidalorsen (仅商业化权)	ASO	KLKB1	首付款：65 百万美元 特许权使用费：20%-30%
2023-03-09	授权/许可	阿尔尼拉姆制药	Medison Pharma	PATISIRAN Givosiran Lumasiran	siRNA	TTR ALAS1 HAO1	/
2023-12-27	合作、期权	圣因生物	信达生物	SGB-3908	siRNA	AGT	/
2024-01-29	授权/许可	苏庇医药	Acino Pharma	Inotersen（仅商业化权） Volanesorsen（仅商业化权）	ASO	TTR APOC3	/

数据来源：Insight 数据库； 筛选方法：【交易时间】为 2023-01-31至2024-01-31，【项目类型】为【药品】，不包括终止交易事件和企业收购完成事件。

Thank You.

声明

本报告所发布的信息以及所表达的意见仅为提供信息参考之目的，不构成决策建议理由和依据

报告中所包含的信息是我们于发布之时从我们认为可靠的渠道获得，但我们对本报告所发布的信息、观点以及数据的准确性、可靠性、时效性及完整性不作任何明确或隐含的保证

报告所发布的信息、观点以及数据有可能发布日之后的情势或其他因素的变更而不再准确或失效，在相关信息进行变更或更新时不会另行通知或更新报告

扫码加 Insight 助手微信，
领取完整数据清单