

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 18 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

2 月全球新药月度报告

Insight / March, 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

2 月重点药物介绍

利非伦塞—全球首款肿瘤浸润淋巴 (TIL) 疗法获 FDA 批准上市

2024 年 2 月 16 日，Iovance Biotherapeutics 宣布 FDA 已加速批准 AMTAGVI™ (Lifileucel) 用于治疗既往接受过 PD-1 阻断抗体治疗的不可切除或转移性黑色素瘤成年患者。这是全球唯一获批应用于实体瘤治疗的肿瘤浸润淋巴细胞 (TIL) 疗法。

玛仕度肽—全球首个申报上市的 GLP-1R/GCGR 双重激动剂

2024 年 2 月 7 日，信达生物的玛仕度肽上市申请获 CDE 受理，用于成人肥胖或超重患者的长期体重控制。双靶点平衡式的调节方式更有利于增强减重效力并改善代谢，高剂量组安全性和耐受性良好，其他适应症正逐步拓展。

2 月全球重点医药交易

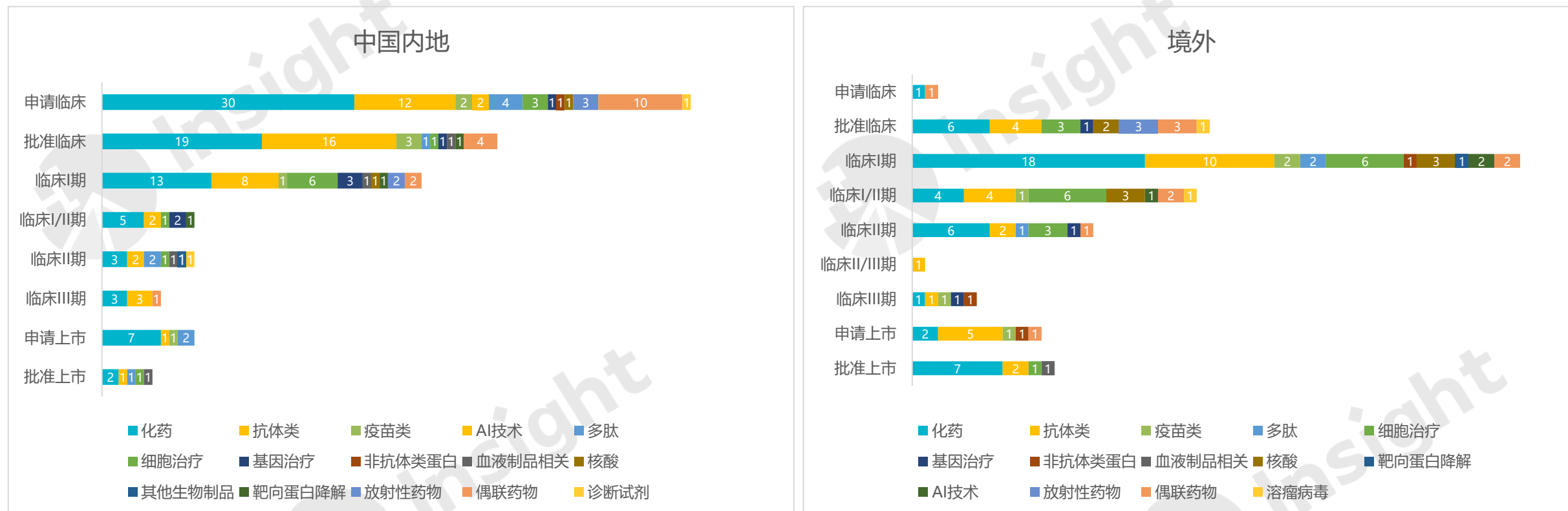
重磅交易—诺华 27 亿欧元收购 MorphoSys，加强肿瘤管线布局

2024 年 2 月 5 日，诺华宣布将以每股 68 欧元（总计约 27 亿欧元）价格收购 MorphoSys，进一步强化其在肿瘤领域的管线布局。本次收购重点在骨髓纤维化领域具有十足潜力的明星产品 Pelabresib，其 III 期结果达到主要终点；以及另一款 EZH1/2 蛋白双重抑制剂 Talmimetostat，正处在实体瘤或淋巴瘤的临床 I/II 期研究中。

01

全球新药进展概览

2 月首次进展到最高状态（中国内地/境外）的新药项目分析



- 2月进展到最高状态的项目中，全球共 303 个；其中进入中国内地最高状态的项目有 193 个，进入境外最高状态的项目有 124 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 42%，抗体类药物 23%，偶联药物为 9%。
- 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 36%，抗体类药物 23%，细胞治疗类药物为 15%。

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 0201-0229，【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

获批上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计，2 月全球获批上市 44 款新药（包括了 29 款新药, 4 款生物类似药和 10 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	恩曲替尼	化药	NTRK ALK ROS1	罗氏制药	实体瘤	中国	2024-02-08	否
	特泊替尼	化药	MET	康泰伦特药业-默克制药	非小细胞肺癌	美国	2024-02-15	否
	奥希替尼	化药	EGFR-T790M	阿斯利康制药	非小细胞肺癌	美国	2024-02-16	否
	帕博利珠单抗	单特异性抗体	PD-1	默沙东制药	胆道癌	中国	2024-02-04	否
	尼妥珠单抗	单特异性抗体	EGFR	百泰生物药业有限公司	头颈部鳞状细胞癌	中国	2024-02-04	否
	利非伦塞	TIL细胞疗法	/	Iovance Biotherapeutics	黑色素瘤	美国	2024-02-16	是
消化系统疾病	布地奈德口服混悬液 -Eohilia	化药	GR	武田药品工业株式会社	嗜酸性粒细胞性食管炎	美国	2024-02-12	是
感染性疾病	比克替拉韦+恩曲他 滨+丙酚替诺福韦	化药	Reverse transcriptase/RNaseH	吉利德制药	HIV感染	美国	2024-02-26	否

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

利非伦塞——全球首款 TIL 疗法药物获 FDA 批准上市

2024 年 2 月 16 日，Iovance Biotherapeutics 宣布 FDA 已加速批准 AMTAGVI™ (Lifileucel) 用于治疗既往接受过 PD-1 阻断抗体治疗的不可切除或转移性黑色素瘤成年患者，这是全球唯一获批应用于实体瘤治疗的肿瘤浸润淋巴细胞（TIL）疗法。

■ 机制介绍

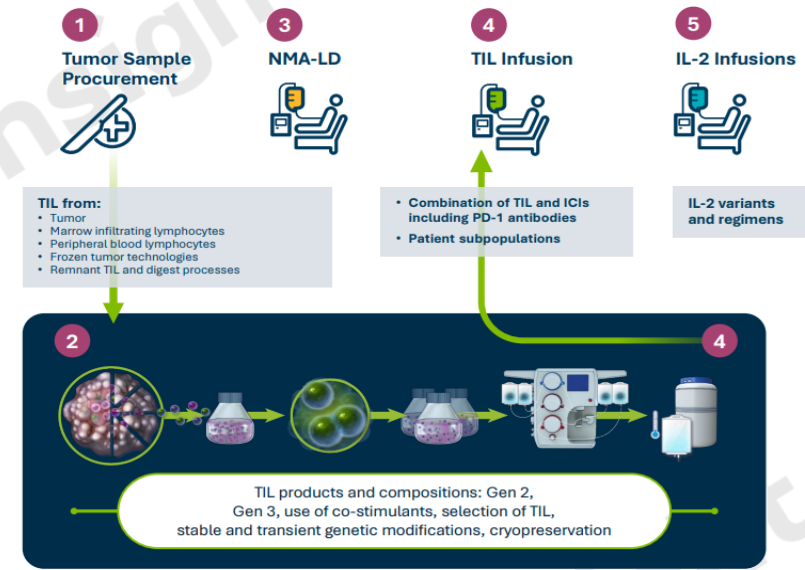
- 肿瘤浸润淋巴细胞（TIL）疗法是一种过继性细胞疗法，通过活检或手术从肿瘤部位分离采集浸润淋巴细胞，用白细胞介素 2（IL-2）在体外刺激并扩增，然后回输给患者体内进行治疗。有别于 CAR-T 疗法必须经过基因工程改造才能识别靶标的特点，TIL 直接来自肿瘤，可以识别更多独特的靶点。

■ 影响因素

- TIL 杀伤肿瘤细胞的能力会受到肿瘤微环境中多种因素的抑制，例如调节性 T 细胞（Treg）、髓源性抑制细胞（MDSC）和肿瘤相关巨噬细胞等免疫抑制亚群，以及免疫抑制分子和代谢物的增加。

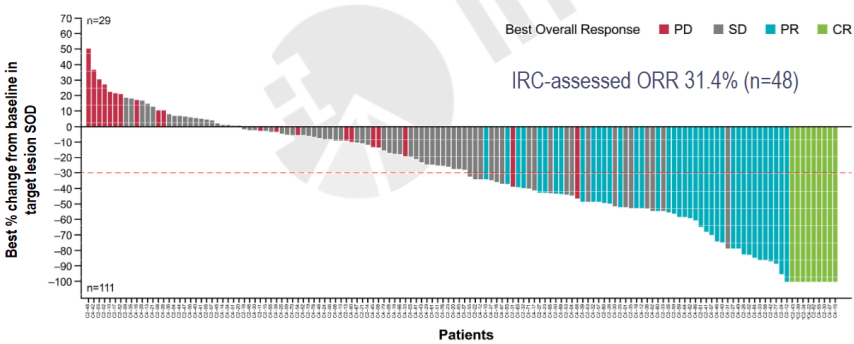
■ 联合治疗

- TIL 疗法与其他疗法的结合：① 联用 BRAF 抑制剂可以减少免疫抑制信号，促进肿瘤淋巴细胞浸润；② 联合 DCs 疗法，在 MHC 上负载肿瘤特异性抗原，激活抗原特异性 T 细胞；③ 联合 PD-L1 或 PD-1 阻断剂阻止 TIL 与肿瘤细胞之间 PD-1 和 PD-L1 的相互作用。值得一提的是 Lifileucel 联合帕博利珠单抗（PD-1）正在进行临床 III 期试验（NCT05727904）的招募。



细胞疗法	细胞来源	主要优势	技术难点
CAR-T	自体/异体外周血	- 靶向抗原特异性强（肿瘤表面） - 血液肿瘤疗效持久	- 细胞难获取，质量不均，对实体瘤效果差 - 易产生炎症因子风暴，受肿瘤微环境限制
TCR-T	自体/异体外周血	- 靶向抗原特异性强（肿瘤内部） - 免疫原性低	- 改造技术更精细，筛选最佳靶点难度大 - 易脱靶，易产生炎症因子风暴
NK/CAR-NK	自体/异体细胞、iPSC、NK 细胞系	- 细胞来源丰富，易制备 - 可靶向实体瘤	- 体外难扩增，转染效率低 - 细胞作用不持久
TIL	肿瘤组织	- 肿瘤识别率高，杀伤效果好 - 肿瘤趋向性精准，浸润性更强 - 无脱靶毒性	- 对肿瘤组织样本要求更高 - 体外制备难度大 - 需要大量 IL-2 等细胞因子

■ 关键临床数据：NCT02360579 (C-144-01/innovaTIL-01)



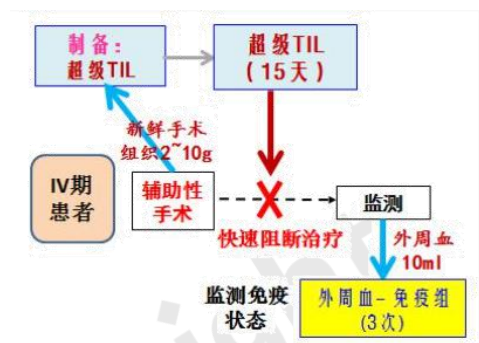
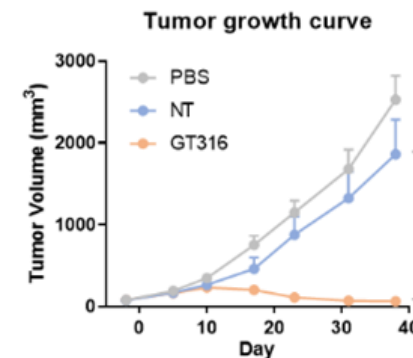
TIL 疗法国内布局 —— 沙砾生物领跑、各家技术平台赋能加持

■ 国内在研 TIL 疗法管线布局（部分）

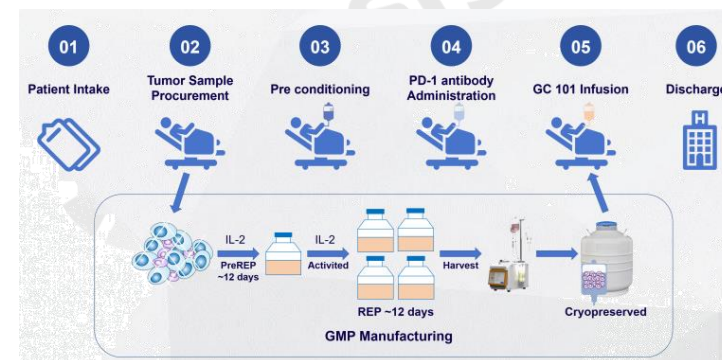
药品名称	企业	临床阶段及适应症
GT101	沙砾生物，勃林格殷格翰	临床 II 期: 宫颈癌 临床 I 期: 实体瘤
超强型 cTIL	北京卡替医疗	临床 II 期: 妇科肿瘤 临床 I 期: 实体瘤
GC101 TIL	上海君赛生物	临床 I / II 期: 黑色素瘤 临床 I 期: 胰腺癌, 肝胆系统肿瘤, 实体瘤, 乳腺癌
GT201	沙砾生物	临床中 (分期未知): 头颈部鳞状细胞癌, 宫颈癌, 非小细胞肺癌
HV-101	杭州厚无生物, 北京天科雅生物	临床 I / II 期: 卵巢癌, 乳腺癌, 子宫内膜癌, 宫颈癌
BST02	广州百吉生物	临床 I 期: 肝癌 批准临床: 肝细胞癌, 肝内胆管癌
GT316	沙砾生物	临床 I 期: 实体瘤
BEN101	毕诺济生物	临床 I 期: 实体瘤
C-TIL052A	西比曼生物	临床 I 期: 宫颈癌
GC203 TIL	上海君赛生物	临床 I 期: 妇科肿瘤
TIL-TCM	科医联创 (浙江) 生物	临床 I 期: 胰腺癌

■ **沙砾生物**是国内在 TIL 疗法项目上进展最快的企业，GT101 作为国内首个获批临床的项目，已经进展至关键临床 II 期。GT316 是基于 CRISPR/Cas9 技术的第三代基因编辑型 TIL 产品，在 T 细胞功能上改进优化，可有效拮抗 TIL 的耗竭及凋亡，促进 TIL 的增殖、杀伤和存续。

■ **卡替医疗**自研的超强型 cTIL 有别于传统的辅助性手术获得肿瘤组织中的 T 细胞，而是可以采用外周血来源的单采富集方式，突破 TIL 癌种的局限性，缩短细胞制备周期。同时解决肿瘤异质性、T 细胞微环境的抑制及数量扩增等难题，通过增强受体的方式，提升 T 细胞激活，推动向肿瘤部位浸润，以实现重症患者的逆转性治疗。



■ **君塞生物**依托其 DeepTIL® 细胞扩增平台，从不同类型的肿瘤组织中获得 TIL 细胞，不依赖 PBMC 作为滋养细胞，成本更低，且 GC101 作为全球首个无需清淋的 TIL 项目，无需接受任何剂量的 IL-2 注射，在普通病房即可接受治疗。



03

全球申请上市的新药

申请上市清单（部分）

据 Insight 数据库统计，2 月全球申请上市 61 款新药（包括 44 款新药、12 款改良新和 4 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	Nirogacestat	化药	γ-secretase	SpringWorks	硬纤维瘤	EMA	2024-02-01	否
	阿来替尼	化药	ALK RET	中外制药株式会社	非小细胞肺癌	美国	2024-02-01	否
	Vorasidenib	化药	IDH1 IDH2	施维雅	弥漫性胶质瘤	美国	2024-02-20	是
	阿达格拉西	化药	KRAS G12C	百时美施贵宝	结直肠癌	美国	2024-02-20	否
	特瑞普利单抗	单特异性抗体	PD-1	君实生物	鼻咽癌	新加坡	2024-02-01	否
	替索单抗维多汀	抗体偶联物ADC	FIII	Genmab	宫颈癌	EMA	2024-02-02	否
感染性疾病	普拉睾酮	化药	/	李氏大药厂	萎缩性阴道炎	中国	2024-02-05	否
皮肤疾病	本维莫德	化药	AHR	Dermavant Sciences	特应性皮炎	美国	2024-02-14	否
内分泌和代谢系统疾病	玛仕度肽	多肽	GLP1R GCGR	信达生物	肥胖	中国	2024-02-07	是

2024 年 3 月和 2024 年 4 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 3 月份预计还有 15 款药品会迎来 FDA 审评结论。2024 年 4 月份预计有 8 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
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
伊美司他	化药	Geron	骨髓增生异常综合征	2024-03-14
西达基奥仑赛	CAR-T	强生制药	多发性骨髓瘤	2024-03-15
Idecabtagene vicleucel	CAR-T	新基医药	多发性骨髓瘤	2024-03-15
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
吉维司他	化药	意大泛马克大药厂	杜氏肌营养不良症	2024-03-21
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
Marnetegrage 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

2024 年 3 月和 2024 年 4 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 3 月份预计还有 15 款药品会迎来 FDA 审评结论，2024 年 4 月份预计有 8 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
伊潘立酮	化药	Vanda Pharmaceuticals	双相I型障碍	2024-04-02
索米妥昔单抗*	抗体偶联物ADC	ImmunoGen	卵巢癌、输卵管癌和腹膜癌	2024-04-05
阿扑吗啡-SPN830	化药	Supernus Pharmaceuticals	帕金森病	2024-04-05
Anktiva	抗体类融合蛋白	ImmunityBio	非肌层浸润性膀胱癌	2024-04-23
地西洋	化药	Aquestive Therapeutics	癫痫	2024-04-28
Tovorafenib*	化药	Day One Biopharmaceuticals	胶质瘤	2024-04-30
缬苯那嗪	化药	Neurocrine Biosciences	迟发性运动障碍，亨廷顿舞蹈病-美国	2024-04-30
Mavorixafor*	化药	X4 Pharmaceuticals	WHIM 综合征	2024-04-30

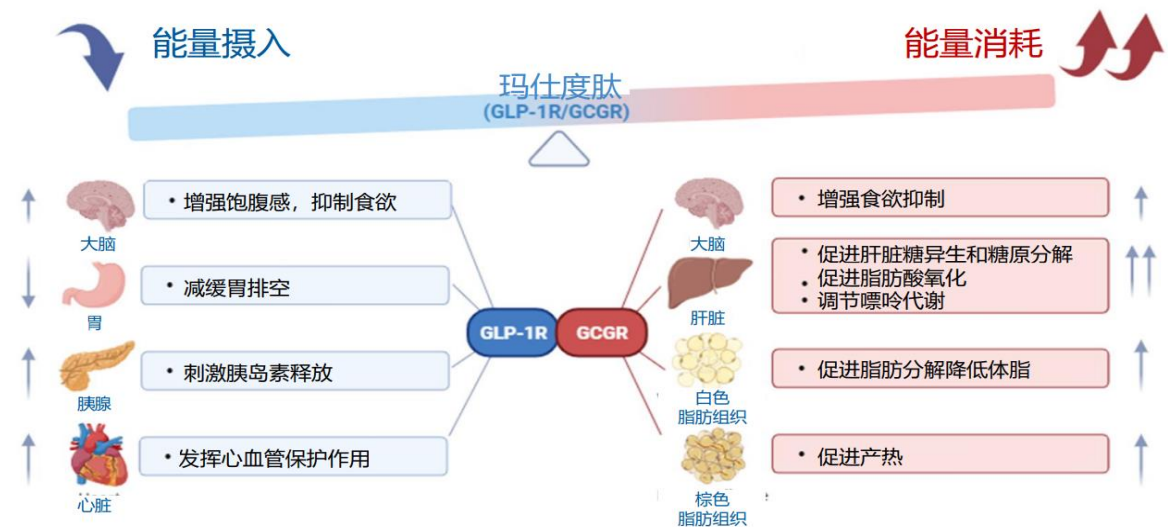
玛仕度肽—全球首个申请上市的 GLP-1R/GCGR 双重激动剂

2024 年 2 月 7 日，信达生物的玛仕度肽上市申请获 CDE 受理，用于成人肥胖或超重患者的长期体重控制。该产品在中国超重或肥胖受试者中的 III 期临床研究 GLORY-1 已达主要研究终点和所有关键次要终点，4 mg 组和 6 mg 组受试者体重和多项心血管代谢指标的改善均优于安慰剂组，具体临床结果尚未公布。

■ 玛仕度肽



作为一种人体内天然存在的胃泌酸调节素 (OXM) 类似物，玛仕度肽不仅可以通过激动 GLP-1R 促进胰岛素分泌、降低血糖和减轻体重，还可通过激动 GCGR 增加能量消耗增强减重疗效，同时改善肝脏脂肪代谢。



数据来源：Insight 数据库；企业官网：《中国肥胖预防和控制蓝皮书（2019）》

■ 国内超重/肥胖成年人治疗流程

超重	单纯性肥胖	超重或肥胖(伴代谢异常)	肥胖(伴有慢性病)
BMI: 24.0 ~ 27.9	BMI: ≥ 28.0 ; 或腰围: 男 ≥ 90 , 女 ≥ 85	BMI: ≥ 24.0 ; 或腰围: 男 ≥ 90 , 女 ≥ 85 ; 至少 1 项代谢异常	BMI: ≥ 28.0 ; 或腰围: 男 ≥ 90 , 女 ≥ 85 ; 至少 1 种慢性疾病
- 体重监测 - 营养干预 - 运动干预 - 行为矫正	- 体重及相关指标监测 - 营养干预 - 运动干预 - 行为矫正 - 药物治疗 (BMI ≥ 35.0)	- 体重及相关指标监测 - 营养干预 - 运动干预 - 行为矫正 - 药物治疗	- 体重及相关指标监测 - 专科评估与治疗 - 营养干预 - 运动干预 - 行为矫正 - 药物治疗 - 手术治疗 (BMI ≥ 35.0)

注意：以上用药流程需要在医生指导下进行；BMI：体质指数 (kg/m^2)；腰围的单位为 cm。

■ 玛仕度肽适应症临床布局

		获批上市(预计)
肥胖或超重 (2 mg/4 mg/6 mg)	GLORY-1 (III 期) 达成主要终点和次要终点，申请上市中	2024-12-20 或 2025-07-29
肥胖 (9 mg)	GLORY-2 (III 期)，招募中	2026 年
肥胖或超重 (6 mg)	DREAMS-3 (III 期)，vs 索马鲁肽，尚未招募	2025 年
2 型糖尿病 (2 mg/4 mg/6 mg)	DREAMS-1 (III 期)，招募完成	2025 年
	DREAMS-2 (III 期)，招募完成	2025 年
2 型糖尿病 (6 mg)	DREAMS-3 (III 期)，vs 索马鲁肽，尚未招募	2025 年
NASH	2023-3-22 批准 IND	

玛仕度肽—减重赛道：长效，口服，多靶点是发展趋势



GLORY-1 研究具体临床结果尚未公布，结合往期已公布的数据，治疗 48 周后，玛仕度肽 9 mg 组体重较基线的平均百分比变化与安慰剂组的治疗差值达 -18.7%，平均变化值达 17.8 kg，减重疗效快速强劲，且肝脂肪含量下降 73.3%，未发生严重不良事件，减重优势明显；热点减肥药物临床数据间接对比显示，多靶点产品减重数据更加亮眼，整体上，减重赛道长效，口服，多靶点是发展趋势。

	单靶点			双靶点		多靶点	
企业	诺和诺德	诺和诺德	礼来	礼来	礼来, 信达	勃林格殷格翰	礼来
产品	司美格鲁肽	口服司美格鲁肽	Orforglipron (口服)	替尔泊肽	玛仕度肽	Survodutide	瑞他鲁肽
靶点	GLP1R	GLP1R	GLP1R	GLP1R GIPR	GCGR GLP1R	GCGR GLP1R	GLP1R GIPR GCGR
适应症最高进度	批准上市	Ⅲ 期	Ⅲ 期	批准上市	申请上市	Ⅲ 期	Ⅲ 期
临床数据来源	Ⅲ 期	Ⅲ 期	Ⅱ 期	Ⅲ 期	Ⅱ 期	Ⅱ 期	Ⅱ 期
试验人数	1961	709	272	2539	328	387	338
入组标准	BMI ≥ 30; BMI ≥ 27, 且存在至少一种并发症: 高血压、血脂异常、阻塞性睡眠呼吸暂停或心血管疾病; ≥ 18 岁	BMI ≥ 30; BMI ≥ 27, 且存在至少一种并发症: 高血压、血脂异常、阻塞性睡眠呼吸暂停或心血管疾病; ≥ 18 岁	BMI ≥ 30; 27≤BMI < 30, 且存在至少一种并发症: 高血压、血脂异常、心血管疾病; 18-75 岁	BMI ≥ 30; BMI ≥ 27, 且存在至少一种并发症: 高血压、血脂异常、阻塞性睡眠呼吸暂停或心血管疾病; 成年人	BMI ≥ 28; BMI ≥ 24, 且存在至少一种并发症: 高血压、血脂异常、阻塞性睡眠呼吸暂停; 18-75 岁	BMI ≥ 27; 女性 ≥ 70kg; 男性 ≥ 80kg; 18-75 岁	30 ≤ BMI ≤ 50; 27≤BMI < 30, 且存在至少一种并发症: 高血压、血脂异常、心血管疾病; 18-75 岁
用药周期	皮下注射, 每周一次; 68 周	口服, 每天一次, 68 周	口服, 每天一次, 36 周	皮下注射, 每周一次, 72 周	皮下注射, 每周一次, 24 周 (9 mg, 48 周)	皮下注射, 每周一次, 46 周	每周一次 皮下注射, 48 周
方案	2.4 mg vs 安慰剂	50 mg vs 安慰剂	45 mg vs 安慰剂	5 mg/10 mg/15mg vs 安慰剂	3 mg/4.5 mg/6 mg/9 mg vs 安慰剂	0.6 mg/2.4 mg/3.6 mg/4.8 mg vs 安慰剂	1 mg/4 mg/8 mg/12 mg vs 安慰剂
减重	-14.9% vs -2.4%	-15.1% vs -2.4%	-12.4% vs -2.3%	-15.0%/-19.5%/-20.9% vs -3.1%	-6.7%/-10.4%/-11.3%/-18.6% vs 1.0%	-6.2%/-12.5%/-13.2%/-18.7% vs -2.8%	-8.7%/-17.1%/-22.8%/-24.2% vs -2.1%
安全性	AE: 恶心和腹泻; 因不良事件停止治疗: 4.5% vs. 0.8%	AE: 胃肠道反应, 多为轻度至中度。	AE: 胃肠道反应, 10% 至 17% 的参与者停止用药。	AE: 胃肠道反应; 因不良事件停止治疗: 4.3%/7.1%/6.2% vs 2.6%	AE: 腹泻、恶心和上呼吸道感染。(因不良事件停止治疗: 0%)	AE: 胃肠道反应。	AE: 胃肠道反应, 多为轻度至中度, 通过较低的起始剂量部分缓解。

双靶点/多靶点减肥药物竞争格局

全球上市的用于肥胖治疗的 GLP1R 药物有 4 款，国内仅贝那鲁肽获批，司美格鲁肽和替尔泊肽均处于申请上市阶段，国内减肥药市场前景广阔；双靶点领域，GLP1R | GIPR 靶点国内企业众多，博瑞、恒瑞和豪森正奋力抢滩，均进入临床 II 期，而 GCGR | GLP1R 靶点国内企业信达进度最快；GGG 靶点，国内市场上海民为生物领跑。

药品名称	成分类别	靶点	研发机构	全球适应症最高在研状态(肥胖)	中国适应症最高在研状态
贝那鲁肽(每天注射三次)	多肽	GLP1R	上海仁会生物制药股份有限公司	批准上市: 2 型糖尿病, 肥胖	批准上市: 2 型糖尿病, 肥胖
司美格鲁肽	多肽		诺和诺德	批准上市: 2 型糖尿病, 糖尿病患者的心血管事件二级预防, 肥胖, 肥胖患者的心血管事件二级预防	批准上市: 2 型糖尿病, 糖尿病患者的心血管事件二级预防, 申请上市: 肥胖
利拉鲁肽	多肽		诺和诺德	批准上市: 2 型糖尿病, 肥胖, 糖尿病患者的心血管事件二级预防	批准上市: 2 型糖尿病, 糖尿病患者的心血管事件二级预防
替尔泊肽	多肽		礼来	批准上市: 2 型糖尿病, 肥胖	申请上市: 2 型糖尿病, 肥胖
RAY1225	多肽		广东众生药业股份有限公司	临床 II 期: 肥胖, 2 型糖尿病	临床 II 期: 肥胖 , 2 型糖尿病
VK2735	多肽	GLP1R GIPR	Viking Therapeutics	临床 II 期: 肥胖	-
BGM0504	多肽		博瑞生物医药(苏州)股份有限公司	临床 II 期: 2 型糖尿病, 肥胖	临床 II 期: 2 型糖尿病, 肥胖
HRS9531	多肽		江苏恒瑞医药股份有限公司	临床 II 期: 肥胖, 2 型糖尿病, 多囊卵巢综合征	临床 II 期: 肥胖 , 2 型糖尿病, 多囊卵巢综合征
HS-20094	多肽		江苏豪森药业集团有限公司	临床 II 期: 2 型糖尿病, 肥胖	临床 II 期: 2 型糖尿病, 肥胖
Maridebart cafraglutide	抗体类融合蛋白		安进制药	临床 II 期: 肥胖	批准临床: 肥胖
玛仕度肽	多肽	GCGR GLP1R	信达生物, 礼来	申请上市: 肥胖	申请上市: 肥胖
Survodutide	多肽		勃林格殷格翰	临床 III 期: 肥胖	临床 III 期: 肥胖
Pemvidutide	多肽		Altimmune、Spitfire Pharma	临床 II 期: 肥胖, 代谢功能障碍相关脂肪性肝炎	-
Efinopegdutide	多肽		韩美制药、默沙东、强生	临床 II 期: 代谢功能障碍相关脂肪性肝炎, 代谢功能障碍相关脂肪性肝病, 肥胖, 2 型糖尿病	临床 II 期: 代谢功能障碍相关脂肪性肝炎
瑞他鲁肽	多肽		礼来	临床 III 期: 肥胖, 心血管系统疾病, 阻塞型睡眠呼吸暂停, 膝骨关节炎, 2 型糖尿病	临床 I 期: 肥胖
MWN101	抗体类融合蛋白	GCGR GIPR GLP1R	上海民为生物技术有限公司	临床 II 期: 肥胖, 2 型糖尿病	临床 II 期: 肥胖 , 2 型糖尿病

筛选条件: 【新药类型】: 新药, 【适应症】: 肥胖, 【全球适应症在研状态】: II 期及以上, 【项目状态】: 积极, 【靶点】: 双靶点/多靶点

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，2 月共收录 348 项最新临床验结果，下表展示部分重点临床试验结果信息，更多数据可通过 Insight 数据库 **临床试验结果模块** 查询。

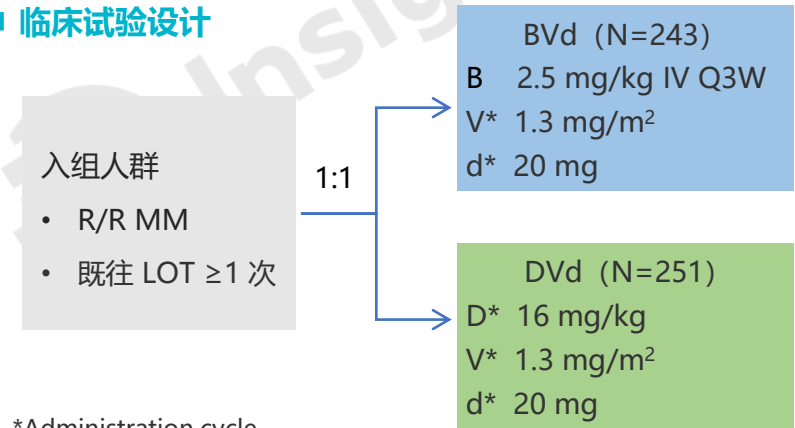
领域	试验代号	申办者	用药方案	靶点	成分类别	适应症	分期	有效性结果	结果倾向性	备注
肿瘤	COMPASSION-13	中山康方	卡度尼利单抗, 化疗, +/- 贝伐珠单抗	PD-1 CTLA-4	双抗	宫颈癌（晚期/转移, 复发）	II 期	ORR: 68.8% vs 92.3%; mPFS: 7.06 months vs _	积极	相较于 2022 ASCO 披露, 全人群 DCR 提升至近 100%
	FRUTIGA	和记黄埔	呋喹替尼; 紫杉醇	VEGFR1/2/3	化药	胃癌（晚期/转移）	III 期	mOS: 9.6 months vs 8.4 months mPFS: 5.6 months vs 2.7 months	积极	死亡风险降低 43%, 胃癌二线新选择
	KN046-203	康宁杰瑞	Erfonrilimab	PD-L1 CTLA-4	双抗	三阴性乳腺癌（晚期/转移）	II 期	ORR: 44.0%	积极	TNBC 一线疗法
非肿瘤	VENTURE	Viking Therapeutics	VK2735; 安慰剂	GLP-1R GIPR	多肽	肥胖	II 期	15 mg 每周一次口服, 13 周后体重相对基线变化: -14.6 kg vs -1.8 kg	积极	减重效果媲美礼来 Tirzepatide 顶线, Viking 股价飙升
	CTR20210246	智翔金泰生物	赛立奇单抗; 安慰剂	IL17A	单抗	斑块状银屑病（中度, 重度）	II 期	PGA (0/1): 74.4% vs 3.6% PASI75(12-week): 90.7% vs 8.6%	积极	国产首个 IL17i 获批在即
	TAK-861-2001	武田	TAK-861; 安慰剂	OX2R	化药	1型发作性睡眠病	II 期	Epworth Sleepiness Scale: 达到终点 WCR: 达到终点	积极	-
	RESTORE-1	信达生物	IBI311; 安慰剂	IGF1R	单抗	Graves眼病	II/III 期	眼球突出应答率: 85.8% vs 3.8%	积极	达到主要终点, 计划提交 NDA
	NCT02605837	夏尔制药	布地奈德口服混悬液-Eohilia; 安慰剂	GR	化药	嗜酸性粒细胞性食管炎	III 期	histological remission: 53.1% vs 1.0% DSQ (change from baseline): -10.2 vs -6.5	积极	2 月 12 日, 获 FDA 完全批准

DREAMM-7 研究 — 另辟蹊径，联合 Vd 治疗多发性骨髓瘤， mPFS 延长近两倍



Belantamab mafodotin (Blenrep) 是一款 BCMA 靶向抗体偶联药物，通过不可切割连接子与细胞毒素 MMAF 偶联而成。2 月 6 日，GSK 在 ASCO 全体会议上公布 Blenrep 联合硼替佐米加地塞米松 (BVd) 对比 daratumumab 联合硼替佐米加地塞米松 (DVd)，对于复发/难治多发性骨髓瘤 (R/R MM) 二线和后期治疗的 III 期临床研究结果。

■ 临床试验设计



*Administration cycle

V 1.3 mg/m² (D1, 4, 8, 11 of 21-day cycles (C); up to 8 C)

d 20 mg (D1, 2, 4, 5, 8, 9, 11, 12; up to 8 C)

D 16 mg/kg (21-day C), C1-3, Q1W, C4-8, Q3W, and Q4W from C 9 on)



Blenrep
大事记

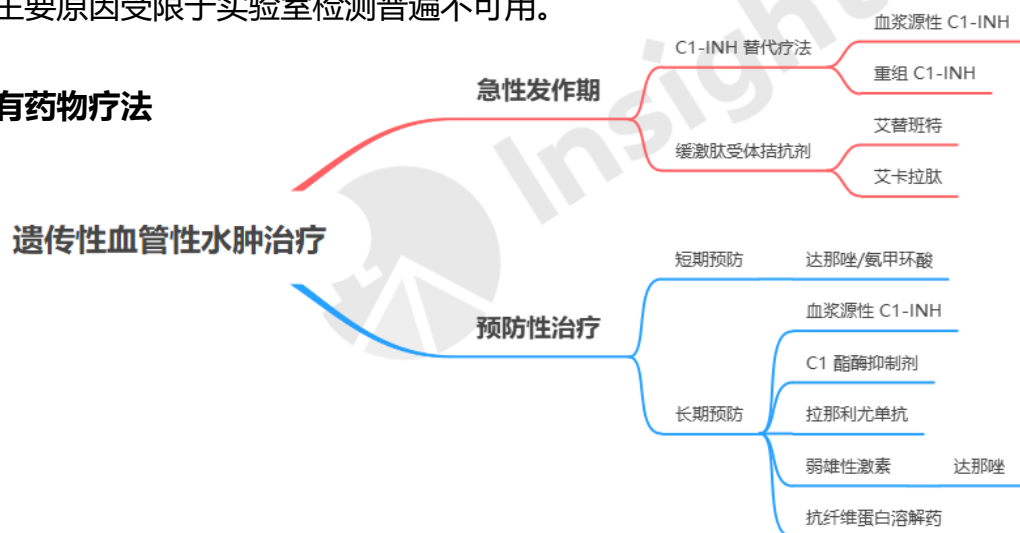
DREAMM-7 Results	BVd	DVd
mPFS, mo (95% CI) 主要终点	36.6 (28.4-NR)	13.4 (11.1-17.5)
ORR, n (%) [95% CI]	201 (82.7) [77.4-87.3]	179 (71.3) [65.3-76.8]
Stringent CR	34 (14.0)	13 (5.2)
CR / VGPR / PR	50 (20.6) / 76 (31.3) / 41 (16.9)	30 (12.0) / 73 (29.1) / 63 (25.1)
mDOR, mo (95% CI)	35.6 (30.5-NR)	17.8 (13.8-23.6)
Any AE, n (%)	242 (100)	246 (100)
SAE, n (%)	121 (50)	90 (37)
Ocular AE, n (%)	191 (79)	72 (29)
Fatal SAE: Any / Treatment-related, n (%)	23 (10) / 7 (3)	19 (8) / 2 (< 1)

- 2020 年 8 月 5 日，Blenrep 基于 DREAMM-2 临床试验获得来自 FDA 8 个月的加速审批。这项 II 期临床的单药 ORR 为 31%，在病情缓解的应答患者中，有 73% 的患者 DoR 大于 6 个月。
- 2022 年 11 月，其“头对头”优效性临床 DREAMM-3 试验效果不佳，中位无进展生存期 (mPFS) 分别为 11.2 个月和 7 个月，Blenrep 组更长，但不显著，因此未达主要终点，中位 DoR 亦未达到。
- 2022 年 12 月，GSK 宣布 Blenrep 撤出美国市场。
- DREAMM 系列临床试验仍在进行中，正在通过联合用药的方式寻找更多获益可能。

遗传性血管性水肿的流行病学与治疗药物现状

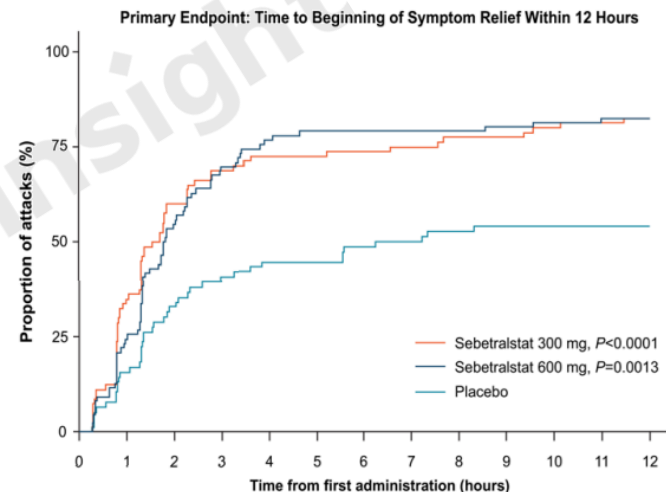
- **遗传性血管性水肿 (HAE)** 是一种常染色体显性遗传病，主要特征是深层真皮/皮下组织或粘膜/粘膜下组织的短暂性血管反应，局部血管通透性增加，发生界限清楚的血管性水肿但无荨麻疹，最常累及皮肤或上呼吸道及胃肠道的黏膜组织。水肿通常是自限性的，可在 2-4 日内自行消退，但喉头水肿有可能引发窒息。HAE 可能是由于 C1 抑制剂 (C1-INH) 缺乏/缺陷或其他机制所致，目前可通过基因鉴定：① C1-INH 缺乏所致的 HAE，其特征是抗原性和功能性 C1-INH 水平低；② 由于 C1-INH 功能障碍引起的 HAE，其特征为正常（或升高）的抗原性但功能性 C1-INH 水平低。
- 根据 Insight 流行病学数据库收录，HAE-1 是最主要的发病类型，2022 年西方人群中的患病率约为 1.1~1.6/十万，亚太地区的患病数量尚不明确，缺乏诊断的主要原因受限于实验室检测普遍不可用。

● 现有药物疗法



数据来源：Insight 数据库、KalVista 官网、WAO/EEACI HAE 诊疗指南（2021版）

AAAAI 2024 KONFIDENT 临床结果



- KalVista 于 2 月 13 日公布其首创 KLKB1 靶向口服崩解药物 sebetralstat 治疗 HAE 的关键性 III 期临床结果 (KONFIDENT)，与安慰剂相比，接受 300 mg 和 600 mg 剂量的患者在 HAE 发作时达到症状缓解的主要终点时间显著提前，分别为 1.61 h 和 1.79 h vs 6.72 h，差异具有高度的统计学意义。
- 同时，这项临床试验还分析不使用第二剂即可达到症状开始缓解的发作比例，分别为 93.9% 和 95.8%，而无需服用第二剂既可达到严重程度减轻的发作比例分别为 90.9% 和 95.9%，完全缓解率分别为 91.9% 和 84.8%，安全性分析结果中，一剂或两剂 sebetralstat 300 mg 或 600 mg 的安全性与安慰剂相当。
- 该试验的三个终点均是通过单剂量 300 mg sebetralstat 达到，这一给药剂量似乎适合大多数 HAE 发作患者。

首次进入 III 期临床的新药 (1)

根据 Insight 数据库，2024 年 2 月全球进入临床 III 期的新药项目有 16 个（12 款新药、3 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
四价人乳头瘤病毒疫苗(SII)	预防性疫苗	HPV	印度血清研究所有限公司	人乳头瘤病毒感染	2024-02-28	NCT06281119	肯尼亚, 莫桑比克, 南非
帕博利珠单抗-BAT3306	单特异性抗体	PD-1	百奥泰生物制药股份有限公司	非鳞状非小细胞肺癌	2024-02-28	NCT06280196	/
HB0017	单特异性抗体	IL17A	上海华奥泰生物药业股份有限公司, 华博生物医药技术(上海)有限公司	斑块状银屑病	2024-02-26	CTR20240521	中国
DEP114	暂未确定类别	/	EMS Pharma	过敏性鼻炎	2024-02-22	NCT06272409	/
DTT106	化药	/	EMS Pharma	勃起功能障碍	2024-02-20	NCT06264414	巴西
DEH113	化药	/	EMS Pharma	痛经	2024-02-20	NCT06268054	/
顺铂+长春碱-INT230-6	化药	TUB	Intensity Therapeutics, Portage Biotech	软组织肉瘤	2024-02-16	NCT06263231	/
Vusolimogene oderparepvec	溶瘤病毒	CSFR	Replimune	黑色素瘤	2024-02-16	NCT06264180	/

首次进入 III 期临床的新药 (2)

根据 Insight 数据库，2024 年 2 月全球进入临床 III 期的新药项目有 16 个（12 款新药、3 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
氨甲环酸-HY004	化药	PLG	Hyloris Pharmaceuticals	出血	2024-02-14	/	/
AYP-101	化药	/	AMlpharm	颞下脂肪堆积	2024-02-13	NCT06256445	/
[F-18]Flornaptitril	诊断用放射性药物	Amyloid Tau	David Geffen School of Medicine, Invicro, CereMark Pharma	阿尔兹海默病（PET 显像），创伤性脑损伤（PET 显像）	2024-02-12	NCT06254469	/
JY09	抗体类融合蛋白	GLP1R	北京东方百泰生物科技股份有限公司, 北京精益泰翔技术发展有限公司	2 型糖尿病	2024-02-14 2024-02-12	NCT06257966 NCT06254014	中国
LH-1801	化药	SGLT2	江苏联环药业股份有限公司, 中科院上海药物研究所	2 型糖尿病	2024-02-27 2024-02-04	CTR20240399 CTR20240385	中国
IBI343	抗体偶联物 ADC	CLDN-18.2	信达生物制药有限公司, Synaffix	胃癌, 胃食管交界处癌	2024-02-02	NCT06238843	中国
DIT112	化药	/	EMS Pharma	疼痛	2024-02-01	NCT06237231	/
VE303	微生物相关	/	Vedanta Biosciences, PureTech Health, CARB-X	艰难梭菌感染	2024-02-01	NCT06237452	/

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，2 月共有 16 款新药研发终止，1 款新药研发暂停，3 款新药适应症研发终止。

■ 研发进度终止/暂停新药清单如下表：

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
赛诺菲制药	SAR443216	三特异性抗体	CD28 CD3 HER2	临床 I 期	实体瘤，胃癌	疗效不佳
	SAR442257	三特异性抗体	CD28 CD3 CD38	临床 I 期	多发性骨髓瘤，非霍奇金淋巴瘤	
	KD033	抗体类融合蛋白	IL2/15R β γ c PD-L1	临床 I 期	实体瘤	
Inhibrx	ES101	双特异性抗体	4-1BB PD-L1	临床 I / II 期	非小细胞肺癌，小细胞肺癌	
富士胶片富山化学株式会社	Edonerpic	化药	A β	临床 II 期	阿尔兹海默病，轻度认知障碍，脑卒中	
Protagonist Therapeutics	PN-943	多肽	Integrin α 4 β 7	临床 II 期	溃疡性结肠炎	研发策略调整
Bavarian Nordic	TAEK-VAC	治疗性疫苗 病毒载体疫苗	Brachyury HER2	临床 I 期	实体瘤	
罗氏制药	Balovaptan	化药	AVPR1A	临床 III 期	自闭症谱系障碍	未知
	Rugonersen	ASO	UBE3A-ATS	临床 I 期	天使综合征	
	RO7300490	抗体类融合蛋白	CD40 FAP- α	临床 I 期	实体瘤	
	RO7428731	双特异性抗体	CD3 EGFRvIII	临床 I 期	胶质母细胞瘤	
	Basmisanil	化药	GABRA5	临床 II 期	唐氏综合征，运动障碍，认知障碍，15q 重复综合征	
	RO 7515629	双特异性抗体	CD3 HLA-G	临床 I 期	实体瘤	
Arrowhead Pharmaceuticals	ARO-SOD1	siRNA	SOD1	临床 I 期	肌萎缩侧索硬化症	
	HZN-457	siRNA	XDH	临床 I 期	痛风	
Revolution Medicines ¹	RMC-8839	化药	KRAS G13C	临床前	肺癌，肿瘤	
Roivant Sciences ²	Hemavant	化药	SF3B1	临床 I 期	慢性髓系白血病，骨髓增生异常综合征，急性髓系白血病	疗效不佳

数据来源：Insight数据库 ¹项目研发暂停 ²单一研发机构终止研发

研发进度终止的新药

根据 Insight 数据库，2 月共有 16 款新药研发终止，1 款新药研发暂停，3 款新药适应症研发终止。

■ 适应症研发终止新药

研发机构	药品名称	成分类别	靶点	终止适应症	适应症研发阶段	终止原因
苏州泽璟生物制药股份有限公司	奥贝胆酸镁	化药	FXR	代谢功能障碍相关脂肪性肝病	批准临床	研发策略调整
武田药品工业株式会社	TAK-861	化药	OX2R	2 型发作性睡病	临床 II/III 期	
Galapagos	GLPG5101	CAR-T	CD19	系统性红斑狼疮	临床 I 期	

06

重点医药交易

2 月据 Insight 数据库统计，共收录 70 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
2024-02-12	转让/收购	CymaBay Therapeutics	吉利德	Seladelpar	化药	PPARδ	交易总额：4300 百万美元
2024-02-05	转让/收购	MorphoSys	诺华	Pelabresib Tulmimetostat	化药	BET EZH1 EZH2	交易总额：2700 百万欧元 (2946.78 百万美元)
2024-02-26	合作 授权/许可	Neomorph	诺和诺德	molecular glue degraders	分子胶	未披露	交易总额：1460 百万美元
2024-02-07	授权/许可	Redx Pharma	贾兹制药	KRAS Inhibitor(Redx Pharma)	化药	KRAS G12D	首付款：10 百万美元 里程碑付款：870 百万美元
2024-02-15	合作、期权	Kelonia Therapeutics	Xyphos	CAR-T Cell therapies targeting up to two programs	CAR-T	未披露	交易总额：800 百万美元 首付款：40 百万美元 其他交易额：35 百万美元
2024-02-28	授权/许可	OSE Immunotherapeutics	艾伯维	OSE-230	单特异性抗 体	CMKLR1	首付款：48 百万美元 里程碑付款：665 百万美元
2024-02-24	授权/许可	Alteogen	默沙东	ALT-B4	酶	HYAL	首付款：20 百万美元 里程碑付款：432 百万美元
2024-02-09	授权/许可	Vicore Pharma	日本新药株式会社	C21	化药	AGTR2	首付款：10 百万美元 里程碑付款：275 百万美元

重磅收购——诺华 27 亿欧元收购 MorphoSys，加强肿瘤管线布局

2 月 5 日，诺华宣布将以每股 68 欧元（总计约 27 亿欧元）价格收购 MorphoSys，进一步扩大和补充肿瘤管线布局。收购完成后，诺华将获得 MorphoSys 包括 Pelabresib（BET 抑制剂，目前处于临床 III 期）和 Talmimetostat（EZH1/2 蛋白双重抑制剂，目前处于临床 I/II 期）在内的所有管线产品。

■ 有关骨髓纤维化

- JAK-STAT 信号通路异常活化是骨髓纤维化（MF）发病的主要机制，导致贫血、脾脏肿大及其他全身症状。由于骨髓纤维化不能有效造血，从而出现髓外造血，导致肝脾肿大。目前治疗骨髓纤维化药物研发方向主要是：①寻找疗效更好，安全性更高的 JAK 抑制剂；②开发与 JAKi 联合增效的新靶点药物；③开发用于芦可替尼不耐受或反应不佳患者。
- 据 Insight 数据库统计，目前共有 4 款药品获批骨髓纤维化，此次收购的 Pelabresib 已进展到临床 III 期，预计有望成为首个获批用于治疗骨髓纤维化的 BET 抑制剂。

药品成分	研发机构	靶点	适应症首次获批时间*
芦可替尼	Incyte Corporation, 诺华	JAK1/2	2011-11-16
Fedratinib	赛诺菲, 新基	FLT3 JAK2	2019-08-16
帕克替尼	S-BIO, 苏庇医药	ALK2 CSF1R FLT3 IRAK1 JAK2	2022-02-28
莫莫替尼	吉利德, 葛兰素史克	ALK2 JAK1/2	2023-09-15

*仅统计骨髓纤维化适应症首次获批时间

■ 已进入临床 II 期以上的 BET 抑制剂¹

药品成分	研发机构	全球最高状态	全球适应症最高在研状态
Pelabresib	Constellation、MorphoSys、诺华	临床 III 期	临床 III 期: 骨髓纤维化
Molibresib	葛兰素史克	临床 III 期	临床 III 期: NUT 中线癌
Apabetalone	Resverlogix、海普瑞药业	临床 III 期	临床 III 期: 糖尿病患者的心血管事件二级预防
NHWD-870 ²	文达医药、恒雅医药	临床 II 期	临床 II 期: 弥漫性大 B 细胞淋巴瘤, NUT 中线癌
AZD 5153 ²	阿斯利康、Sierra Oncology	临床 II 期	临床 II 期: 急性髓系白血病, 恶性外周神经鞘瘤
ZEN-3694	恒翼生物	临床 II 期	临床 II 期: 三阴性乳腺癌, 去势抵抗性前列腺癌, 卵巢癌、输卵管癌和腹膜癌, 鳞状非小细胞肺癌, 实体瘤
OPN-2853	Plexxikon、Opna Bio	临床 II 期	临床 II 期: 骨髓纤维化
Trotabresib	新基、百时美施贵宝	临床 II 期	临床 II 期: 实体瘤

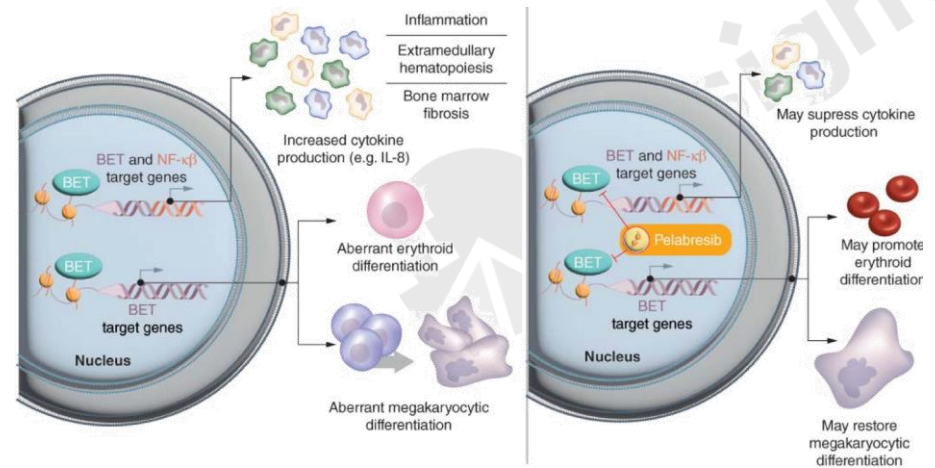
注：1) 仅统计积极状态项目；2) 对应的项目靶点为 BRD4（BET 下级靶点）

重磅收购—诺华 27 亿欧元收购 MorphoSys，加强肿瘤管线布局

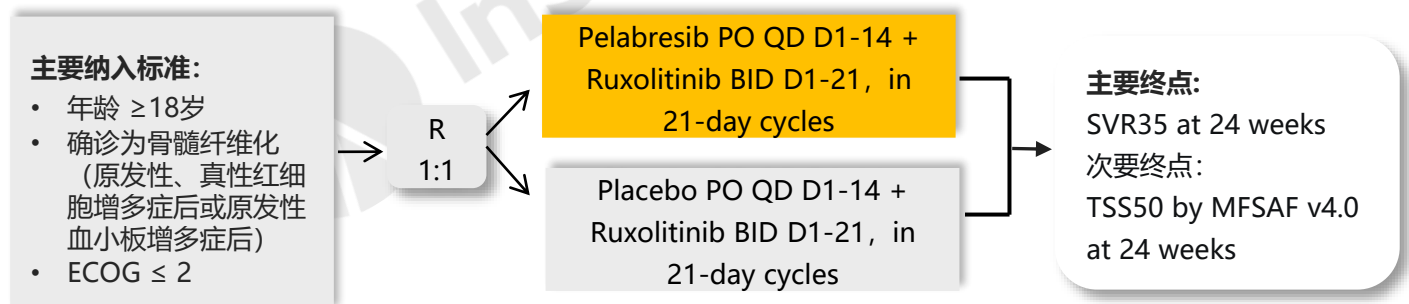
2023 年 11 月 20 日，MorphoSys 宣布了 Pelabresib 关键临床 III 期 MANIFEST-2 试验结果。研究结果表明，Pelabresib 联合芦可替尼对比芦可替尼单药用于未接受 JAK 抑制剂治疗的骨髓纤维化患者，主要终点脾脏体积较基线减少 35% 及以上 (SVR35) 显著提高 (66% vs 35%)。基于此，MorphoSys 预计在 2024 年中期向 FDA 和 EMA 提交 Pelabresib 联合芦可替尼治疗骨髓纤维化的上市许可申请。

■ Pelabresib

- Pelabresib 是一种口服小分子 BET 抑制剂 (BETi)，旨在改变 MF 患者 NF-κB 信号通路相关基因的表达。其已被证明有可能通过多种机制改变 MF 的自然病程，包括 NF-κB 控制的基因表达的重编程，可以调节 MF 中的巨核生成和关键 NF-κB 信号节点，导致在骨髓纤维化中起作用的促炎细胞因子减少。
- 临床前研究表明，BETi 和 JAKi 联合用药可协同减少脾肿大、骨髓纤维化和促炎细胞因子。



■ MANIFEST-2 研究



组名(N=430)	试验组	对照组	试验组Y1	对照组Y1
分组特征			intermediate-risk patients	intermediate-risk patients
干预药	Pelabresib 芦可替尼	安慰剂 芦可替尼	Pelabresib 芦可替尼	安慰剂 芦可替尼
SVR35 (24-week) 主要终点 达到	66%	35%	36%	66%
TSS50 (24-week) 次要终点	52%	46%	45%	55%
TSS at 24-week 次要终点	-15.99	-14.05	-12.74	-15.18

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