

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

7 月全球新药月报-分析篇

Insight / August, 2024

为了帮助您及时追踪全球新药热点，Insight 将于每月第 5 工作日发布「新药月报-数据篇」，
第 10 工作日发布「新药月报-分析篇」，敬请关注！

目录

Contents

01

全球新药进展概览

02

全球获批上市新药

03

全球申请上市新药

04

重点临床试验与结果

05

研发进度终止的新药

06

潜在转化医学新靶点

07

重点医药交易事件

08

投融资概览

7 月重点药物介绍

FDA 批准礼来新药 Donanemab：阿尔茨海默病治疗领域取得重大突破

2024 年 7 月 2 日，礼来的抗 A β 单抗 Donanemab（商品名：Kisunla）获 FDA 批准上市，用于治疗成人早期症状性阿尔茨海默病，包括轻度认知功能障碍和轻度痴呆阶段且有确诊淀粉样蛋白病理改变的患者，这是 FDA 批准的第三款用于缓解阿尔茨海默病进展的药物。

苏底医药滚动提交 SEL-212 的生物制品许可申请，难治性痛风迎来新选择

2024 年 7 月 2 日，苏底医药宣布向 FDA 滚动提交 SEL-212 的生物制品许可申请。SEL-212 是一种四周给药一次的长效双组份制剂，关键临床患者耐受性良好，有望为难治性痛风患者提供潜在的新治疗选择。

7 月全球重点医药交易

礼来斥资 32 亿美元并购 Morphic，持续加强 IBD 管线

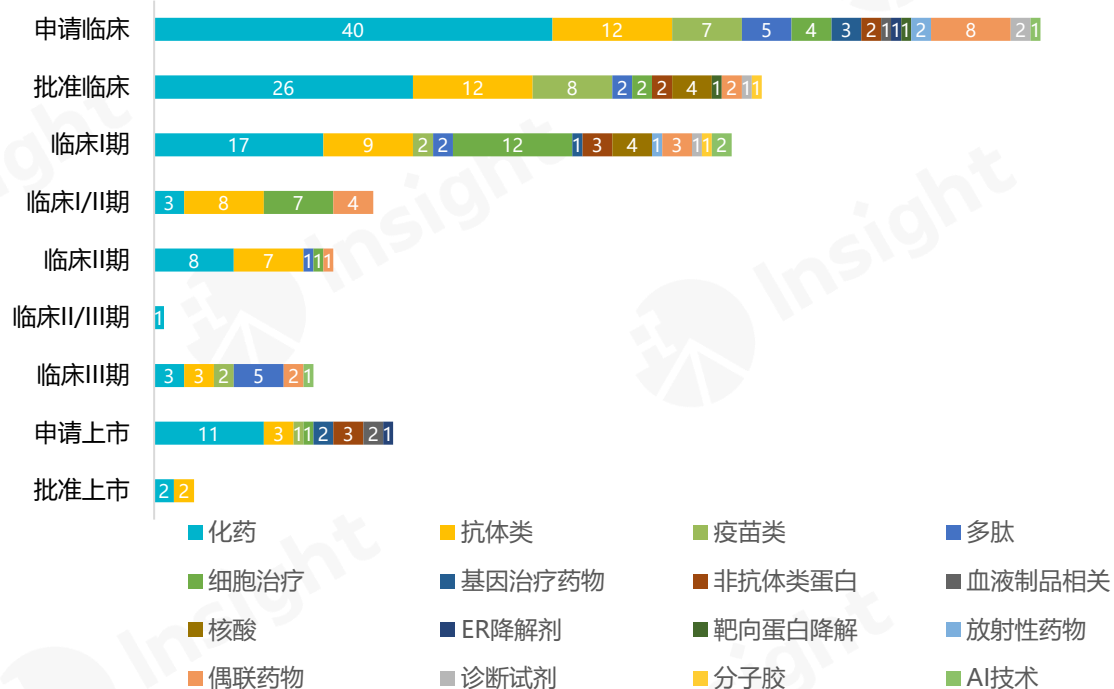
7 月 7 日，礼来制药和 Morphic Therapeutic 签署并购协议，将以每股 57 美元，总价 32 亿美元的价格收购 Morphic 的所有流通股，该收购价较此前该公司收盘价溢价高达 79%。并购消息发布次日，Morphic 股价上涨超 75%，该交易预计将于第三季度内完成。基于此次收购，礼来获得了 Morphic 管线中进展最快的选择性口服 $\alpha 4\beta 7$ 整合素小分子抑制剂 MORF-057，用于开发治疗炎症性肠病。

01

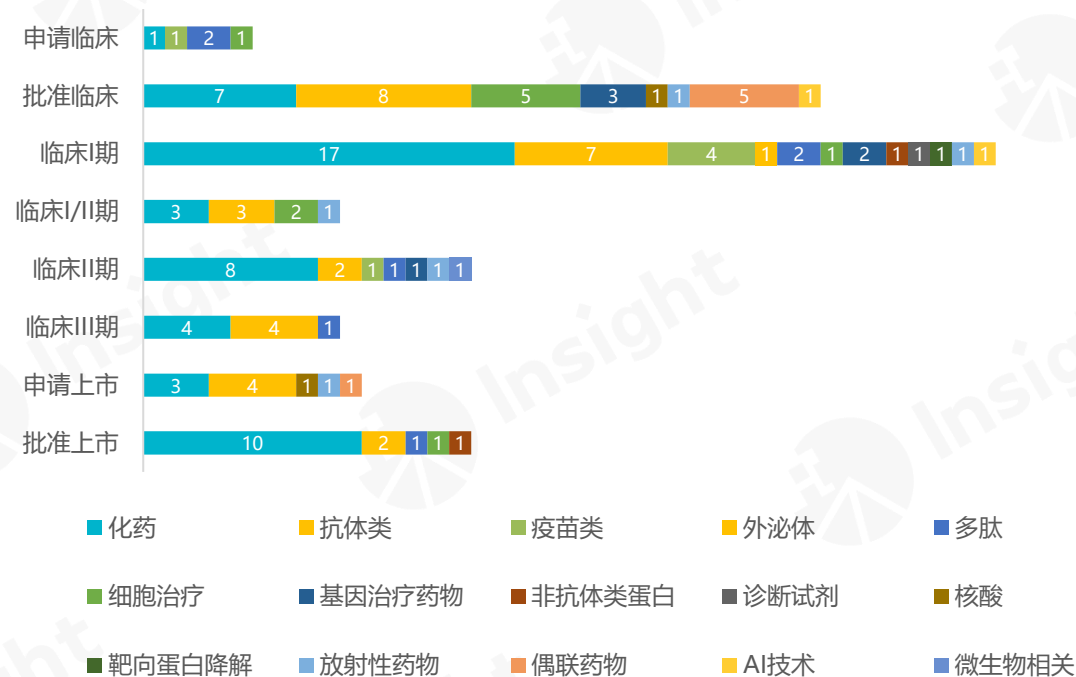
全球新药进展概览

7 月首次进展到最高状态（中国内地/境外）的新药项目分析

中国内地



境外



- 7 月进展到最高状态的项目中，进入中国内地最高状态的项目有 274 个，进入境外最高状态的项目有 131 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 40%，抗体类药物 20%，细胞治疗药物为 10%。
- 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 40%，抗体类药物 23%，细胞治疗类药物为 8%。

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 0701-0731，【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

全球获批上市新药

获批上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计，7 月全球获批上市 75 款新药（包括 21 款改良新和 5 款生物类似药），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	塞利尼索	化药	XPO1	德琪（浙江）医药科技有限公司	弥漫性大B细胞淋巴瘤	中国	2024-07-05	否
	Capivasertib	化药	AKT	阿斯利康制药	HR阳性、HER2阴性乳腺癌	英国	2024-07-17	否
	罗培干扰素α-2b	细胞因子类	IFNAR1	药华医药股份有限公司	真性红细胞增多症	中国	2024-07-05	否
	Dostarlimab	单特异性抗体	PD-1	葛兰素史克制药	子宫内膜癌	加拿大	2024-07-25	否
	达雷妥尤单抗皮下注射	单特异性抗体	CD38	强生制药	多发性骨髓瘤	美国	2024-07-30	否
免疫系统疾病	瑞利珠单抗	单特异性抗体	C5	阿斯利康制药	视神经脊髓炎	韩国	2024-07-11	否
	比吉利珠单抗	单特异性抗体	IL17A IL17F	优时比制药	强直性脊柱炎	中国	2024-07-19	否
血液系统疾病	伊普可泮	化药	CFB	诺华制药	阵发性睡眠性血红蛋白尿症	EMA	2024-07-18	否
	培妥罗凝血素α	凝血因子类	FIX	诺和诺德制药	A型血友病	中国	2024-07-05	否
神经系统疾病	Donanemab	单特异性抗体	Aβ	礼来制药	阿尔兹海默病	美国	2024-07-02	是
	Benzgalantamine	化药	AChE	Alpha Cognition	阿尔兹海默病	美国	2024-07-29	是
消化系统疾病	马昔巴特	化药	ASBT	Mirum Pharmaceuticals	进行性家族性肝内胆汁淤积症	EMA	2024-07-08	否
						美国	2024-07-25	否
内分泌和代谢系统疾病	替尔泊肽	多肽	GLP1R GIPR	礼来制药	肥胖	中国	2024-07-19	否
	塞美拉肽	多肽	MC4R	Rhythm Pharmaceuticals	肥胖	EMA	2024-07-31	否
皮肤疾病	A型肉毒杆菌毒素-QM1114-DP	其它蛋白	SNAP25 RHOB	高德美制药	面部皱纹	EMA	2024-07-30	否
呼吸系统疾病	度普利尤单抗	单特异性抗体	IL4R	再生元制药	慢性阻塞性肺疾病	EMA	2024-07-03	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

Donanemab——礼来阿尔兹海默病新药获 FDA 批准上市

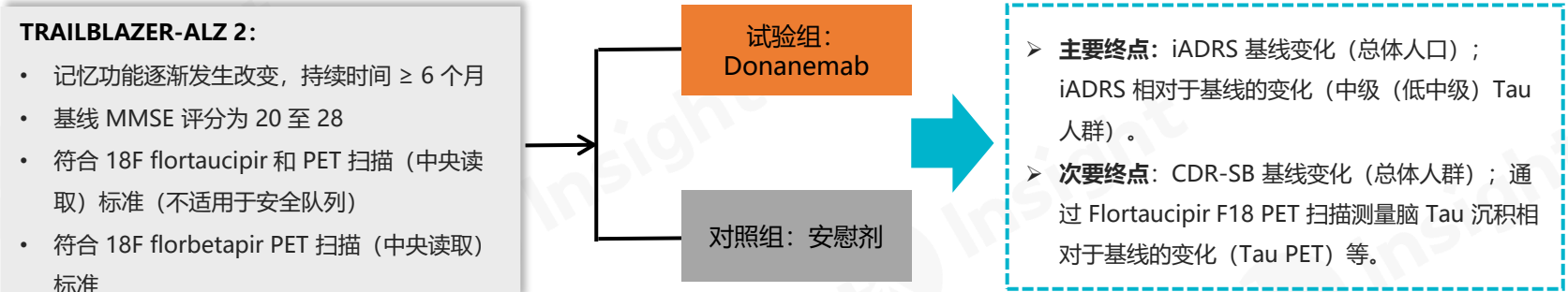


2024 年 7 月 2 日，礼来的抗 A β 单抗 Donanemab（商品名：Kisunla）获 FDA 批准上市，用于治疗成人早期症状性阿尔茨海默病（Alzheimer's disease, AD），包括轻度认知功能障碍（MCI）患者和轻度痴呆阶段 AD 且有确诊的淀粉样蛋白病理改变的患者，这是 FDA 批准的第三款用于缓解 AD 进展的药物。2023 年 1 月 19 日，FDA 就 Donanemab 的加速批准申请发出 CRL（Complete Response Letter），原因是提交文件中提供的具有至少 12 个月药物暴露数据的患者数量有限；2023 年第二季度，礼来重新向 FDA 递交了传统审批的上市申请，并在近一年后获得批准。Donanemab 已于 2023 年 10 月向 NMPA 提交上市申请，根据 Insight 数据库上市策略 & 时长预测分析，该药物预计在 2025 年 Q1 获批。

阿尔兹海默病及疗法

- AD 是一种发病进程缓慢，不可逆、进行性的神经退行性疾病。目前具体病因尚不明确，其特征是大脑的变化：包括淀粉样蛋白 β 斑块和神经原纤维缠结的形成，这些变化将导致神经元及其连接的丧失；
- 淀粉样蛋白级联假说**是阐释 AD 发病机制的主要学说之一：脑内淀粉样蛋白前体（amyloid protein precursor, APP）的异常代谢使得 β -淀粉样蛋白（ β -amyloid, A β ）产量增多、降解减少，引起 A β 大量聚积。**过量 A β 聚积形成淀粉样斑块，产生神经毒性；**
- Donanemab 是一种免疫球蛋白 G1 单克隆抗体，靶向仅存在于脑内淀粉蛋白斑块中不溶性、修饰的 N 端截短形式的 β -淀粉样蛋白；
- Donanemab 与 N 端截短型的 β -淀粉样蛋白结合，并通过小胶质细胞介导的吞噬作用清除斑块。

关键临床结果



	试验组 (N=860)	对照组 (N=876)	试验组 Y1 (N=588)	对照组 Y1 (N=594)
分组特征	combined population	combined population	low/medium tau population	low/medium tau population
干预药	Donanemab	安慰剂	Donanemab	安慰剂
iADRS (76-week) 主要终点	-10.19 (95%CI, -11.22 to -9.16)	-13.11 (95%CI, -14.10 to -12.13)	-6.02 (95%CI, -7.01 to -5.03)	-9.27 (95%CI, -10.23 to -8.31)
CDR-SB (76-week) 次要终点	5.25	5.80	4.64	5.13
Amyloid clearance (76-week) 次要终点	76.4% (95%CI, 72.87-79.57)	0.3% (95%CI, 0.08-1.05)	80.1% (95%CI, 76.12-83.62)	0% (95%CI, 0.00-0.81)

➢ 临床结果表明，在有淀粉样蛋白和 Tau 蛋白病理的早期有症状 AD 参与者中，在 Tau 蛋白低/中以及合并低/中和高 Tau 蛋白病理的人群中，Donanemab 显著减缓了 76 周时的临床进展。

Donanemab——礼来阿尔兹海默病新药获 FDA 批准上市



据 Insight 数据库统计，现在已进入临床 II 期及以上，**靶向 Aβ 用于 AD 治疗**的药物共 14 款（见下表，仅统计状态为积极的项目）。目前已获批上市的包括仑卡奈单抗、Donanemab 和 Aducanumab。除单抗外，已进入临床阶段的还有化药和多肽疫苗，其中进度最快的是 Valiltramiprosate。目前，国内 AD 用药大多针对脑部神经凋亡症状的改善，但早期干预效果差并无法实现彻底根治。中国作为世界上老年人口最多、老龄化速度最快的国家之一，在全球老龄化进程加速的背景下，AD 药物的研发将大有可为。

药品成分	研发机构	全球最高状态	中国内地最高状态	成分类别
仑卡奈单抗	BioArctic Neuroscience, 渤健制药, 卫材药业	批准上市 (中国内地, 美国, 日本)	批准上市	单特异性抗体
Donanemab	礼来制药	批准上市 (美国)	申请上市	单特异性抗体
Aducanumab	Neurimmune	批准上市 (美国)	临床 III 期	单特异性抗体
Remternetug	礼来制药	临床 III 期	临床 III 期	单特异性抗体
克瑞珠单抗	AC Immune	临床 III 期	临床 III 期	单特异性抗体
苏兰珠单抗	礼来制药	临床 III 期	临床 II/III 期	单特异性抗体
Valiltramiprosate	Bellus Health, Alzheon	临床 III 期	-*	化药
Sabirnetug	Acumen Pharmaceuticals	临床 II/III 期	-	单特异性抗体
SHR-1707	江苏恒瑞医药股份有限公司, Atridia	临床 II 期	临床 II 期	单特异性抗体
Contraloid Acetate	Priavoid	临床 II 期	-	化药
ACI-24	AC Immune, 武田药品工业株式会社	临床 II 期	-	治疗性疫苗, 多肽疫苗, 纳米颗粒疫苗
ABvac40	Araclon Biotech S.L.	临床 II 期	-	治疗性疫苗, 多肽疫苗
UB-311	联亚生技开发股份有限公司, Vaxxinity	临床 II 期	-	治疗性疫苗, 多肽疫苗
PBT-2	Alterity Therapeutics, Prana Therapeutics	临床 II 期	-	化药

数据来源：企业官网，Insight 数据库，*：中国内地暂未开展临床试验

03

全球申请上市新药

申请上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计，7 月全球申请上市 78 款新药（包括 19 款改良新和 8 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	他泽司他	化药	EZH2	和记黄埔	滤泡性淋巴瘤	中国	2024-07-04	否
	阿可替尼	化药	BTK	阿斯利康制药	套细胞淋巴瘤	中国	2024-07-05	否
	库莫西利	化药	CDK2 CDK4 CDK6	正大天晴	HR阳性、HER2阴性乳腺癌	中国	2024-07-18	是
	氟维司群	ER降解剂（SERD）	ER-α ER-β	正大天晴	HR阳性、HER2阴性乳腺癌	中国	2024-07-19	是
	特瑞普利单抗	单特异性抗体	PD-1	上海君实生物	肝细胞癌	中国	2024-07-17	否
	普基仑赛	CAR-T	CD19	重庆精准生物	急性淋巴细胞白血病	中国	2024-07-20	是
	依沃西单抗	双特异性抗体	VEGFA PD-1	中山康方生物	非小细胞肺癌	中国	2024-07-27	否
免疫系统疾病	乌帕替尼	化药	JAK1	艾伯维生物制药	巨细胞动脉炎	美国	2024-07-12	否
	巴托利单抗	单特异性抗体	FcRn	Samsung Biologics 佳曦控股有限公司 诺纳生物	重症肌无力	中国	2024-07-18	否
神经系统疾病	达利雷生	化药	OX2R OX1R	先声药业集团有限公司	失眠症	中国	2024-07-16	否
	八氢氨吡啶	化药	AChE BCHE	长春华洋高科技有限公司	阿尔兹海默病	中国	2024-07-24	是
消化系统疾病	奥维昔巴特	化药	ASBT	益普生制药	Alagille综合征	EMA	2024-07-26	否
内分泌和代谢系统疾病	SEL 212-Selecta	其他类别	mTOR Uric acid	苏庇医药	难治性痛风	美国	2024-07-02	是
	Crinecerfont	化药	CRHR1	Neurocrine Biosciences	先天性肾上腺皮质增生症	美国	2024-07-01	是

SEL-212 —— 双组分设计有望为难治性痛风患者带来新治疗选择

2024 年 7 月 2 日，苏庇医药宣布向 FDA 滚动提交 SEL-212 的生物制品许可申请，该申请是基于 DISSOLVE I & II 的关键研究结果。SEL-212 是一种四周给药一次的长效双组份制剂，有望为难治性痛风患者提供潜在的新治疗选择。

难治性痛风

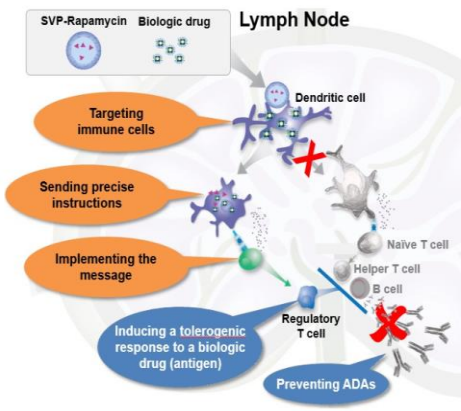
在《中国高尿酸血症与痛风诊疗指南 (2019)》中给出了明确的定义，具备以下三个条件中的其中一条，即可确定为难治性痛风：

- 1、单用或联用常规降尿酸药足量、足疗程，但血尿酸仍 $\geq 360 \mu\text{mol/L}$ ；
- 2、接受规范化治疗，痛风仍发作 ≥ 2 次/年；
- 3、存在多发性和（或）进展性痛风石。

对于难治性痛风患者来说，传统治疗可能无法有效控制病情，或者因为副作用而无法耐受，常伴有持续的关节炎症和尿酸结晶的沉积，导致关节损伤和功能障碍，仍需有效的治疗手段。

SEL-212 作用机制

- SEL-212 是一种**双组分产品**，将聚乙二醇重组尿酸酶 pegadricase 与含雷帕霉素纳米粒子 (ImmTOR™) 相结合；
- ImmTOR™ 通过诱导树突状细胞和抗原特异性 Treg 减少 pegadricase 的抗药抗体 (ADA) 形成；
- ADA 是由于对生物药物的不良免疫反应而产生的，从而降低了其疗效和耐受性，SEL-212 通过减少 ADA，从而改善 pegadricase 的治疗效果及耐受性。



关键临床结果

试验代号	DISSOLVE I & DISSOLVE II		
分组特征	SEL-212 (0.15 mg/kg)	SEL-212 (0.1 mg/kg)	安慰剂
sUA (<6mg/dL) 主要终点	51%	43%	8%
RR (Tophi) 次要终点	41%	43%	9%
sUA 次要终点	-60.8%	-52.2%	-2.1%
TEAE 次要终点	72.4% (42.5% gout flare)	70.5% (44.3% gout flare)	63.3% (43.3% gout flare)

难治性痛风竞争格局

据 Insight 数据库统计，难治性痛风在研的积极项目共 7 个，详见下表：

药品成分	成分类别	靶点	研发机构	适应症研发进度
培戈洛酶	酶	Uric acid	安进制药	批准上市 
SEL 212	酶 化药	Uric acid mTOR	苏庇医药 Selecta Biosciences	申请上市 
HZBio1	酶	Uric acid	远大生物，派金生物	临床 II 期 
WTX221	其他细胞治疗	/	西湖生物科技	临床 I 期 
培尿酸酶	酶	Uric acid	上海生物制品研究所	临床 I 期 
ProGly-Uricase	酶	Uric acid	GRO Biosciences	临床前

2024 年 8 月和 2024 年 9 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 8 月份预计还有 4 款药品会迎来 FDA 审评结论，2024 年 9 月份预计有 7 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
帕罗培特立帕肽	多肽	Ascendis Pharma	甲状旁腺功能减退症	2024-08-14
Seladelpar*	化药	CymaBay Therapeutics	原发性胆汁性胆管炎	2024-08-14
Linvoseltamab*	双特异性抗体	再生元制药	多发性骨髓瘤	2024-08-22
Axatilimab*	单特异性抗体	Incyte Corporation	移植物抗宿主病	2024-08-28
司帕生坦*	化药	Traverse Therapeutics	IgA肾病	2024-09-05
羟丁酸钠-FT218	化药	Avadel Pharmaceuticals	发作性睡病	2024-09-07
曲地匹坦	化药	Vanda Pharmaceuticals	胃轻瘫	2024-09-18
阿莫氯醇	化药	Zevra Therapeutics	C型尼曼匹克病	2024-09-21
帕博利珠单抗*	单特异性抗体	默沙东制药	胸膜间皮瘤	2024-09-25
曲司氯铵+ 占诺美林-KarXT	化药	百时美施贵宝制药	精神分裂症	2024-09-26
艾沙妥昔单抗*	单特异性抗体	赛诺菲制药	多发性骨髓瘤	2024-09-27

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，7 月共收录 299 个最新临床验结果。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	试验登记号/ 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	GBM-AGILE	Kazia Therapeutics	试验组: Paxalisib 对照组: SOC	PI3K mTOR	化药	胶质母细胞瘤	II/III	达到中位 OS 主要终点，新诊断未甲基化的 (NDU) 胶质母细胞瘤患者总体生存期提高了 3.8 个月，具有显著改善意义	积极	基于此研究结果，Kazia 表示将与 FDA 讨论是否加速批准 Paxalisib 上市
	NCT05379985	Revolution Medicines	试验组: RMC-6236	KRAS	非降解型分子胶	胰腺导管腺癌 (晚期/转移)	I	RMC-6236 单药作为二线疗法可延长携带 KRAS G12X 突变患者的 mPFS 达 8.1 个月，并使此类患者群体的 DCR 达 90%	积极	RMC-6236 是针对所有主要 RAS 突变型的首个靶向在研疗法
	KEYNOTE-PNC-34	Immutep	试验组: Eftilagimod alfa, 帕博利珠单抗	HLA class II	抗体类融合蛋白	头颈部鳞状细胞癌	II	一线组合疗法，可评估患者的 ORR 为 35.5%，DCR 为 58.1%。对照过往单药治疗临床结果显示与 Keytruda 联合疗法具有相对显著的优势	积极	PD-L1 阴性患者在接受不含化疗的治疗方案时所达到最佳治疗效果之一
	NCT05509530	徐州医科大学 上海雅科生物	试验组: YK-CAR-069	BCMA GPRC5D	CAR-T	多发性骨髓瘤	I	ORR= 86%，CR=62%，安全性结果良好	积极	全球首款 BCMA/GPRC5D 双特异 CAR-T 细胞疗法
非肿瘤	CT-996-201	Carmot Therapeutics	试验组: CT-996 对照组: 安慰剂	GLP1R	化药	肥胖	I	CT-996 组患者体重减轻达 7.3%，安慰剂组患者体重减轻 1.2%，两组差异具临床意义 (差异值 6.1%，p<0.001)	积极	每日一次给药，GLP1R 激动剂，首月减重超 6%，为 2 型糖尿病和慢性体重管理的潜在 “best-in-class” 口服疗法
	CTR20231695	甘李药业	试验组: GZR18 注射剂 对照组: 安慰剂	GLP1R	多肽	多肽	II	肥胖和超重受试者接受每两周一次 12 mg、18 mg、24 mg、48 mg 以及每周一次 24 mg GZR18 注射液治疗 30 周后，平均体重较基线变化百分比分别为 -11.15%、-13.22%、-14.25%、-17.29% 和 -17.78%，安慰剂组为 -0.99%；且 30 周时，试验组体重仍在持续下降	积极	长效 GLP1R 激动剂，30 周减重达 17.29%
	BROOKLYN	NewAmsterdam Pharma	试验组: Obicetrapib; 对照组: 安慰剂	CETP	化药	杂合子型家族性高胆固醇血症	III	达到主要终点，Obicetrapib 能够显著降低患者的 LDL-C 水平，且疗效可维持达一年	积极	每日一次，低剂量口服 CETP 抑制剂一年降低 LDL-C 水平 45%，有望改变 HeFH 的治疗格局

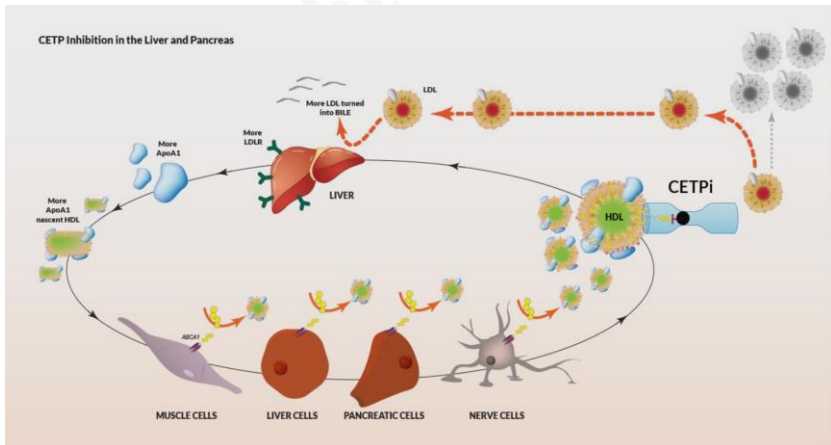
BROOKLYN——口服小分子 CETP 抑制剂结果披露，有望改变 HeFH 治疗格局



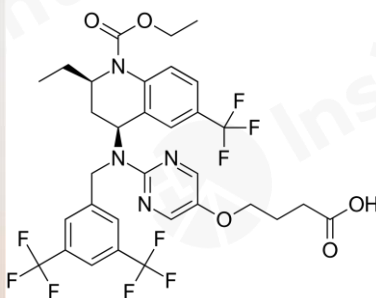
杂合子家族性高胆固醇血症（HeFH）是一种遗传性疾病，据 Insight 数据库收录，2023 年中国 HeFH 的患病率约为 4~5/千人。NewAmsterdam 的 Obicetrapib 是一款低剂量口服 CETP 抑制剂，用于降低低密度脂蛋白胆固醇（LDL-C）并预防重大不良心血管事件。2024 年 7 月 29 日，NewAmsterdam 宣布用于评估 Obicetrapib 对 HeFH 患者疗效的关键 III 期临床研究 BROOKLYN（NCT05425745）达到主要研究终点。

□ CETP 抑制剂

- HeFH 是一种罕见的脂质代谢性遗传病，其临床表现为 LDL-C 水平明显升高，并可能伴有黄色瘤、角膜弓、动脉粥样硬化和早发冠心病等；现有疗法主要包括他汀类药物、依折麦布、PCSK9 抑制剂以及 CETP 抑制剂等；
- 胆固醇酯转运蛋白（cholesteryl ester transfer protein, CETP）是一种由肝脏分泌的血浆糖蛋白，介导 HDL、VLDL、LDL 之间胆固醇酯和甘油三酯的双向转运；理论上，CETP 抑制剂可减少这些交换，降低胆固醇浓度，并具有抗动脉硬化和降低心血管风险的作用；
- Obicetrapib 是一种口服、低剂量、每日一次的 CETP 抑制剂，可有效降低 LDL-C 水平，并增加 HDL-C 和载脂蛋白 A1（ApoA1）的数量。



CETP Inhibition Cycle



Obicetrapib

□ 临床试验设计及结果

BROOKLYN:

- HeFH 病史
- LDL-C ≥ 70 mg/dL
- 筛选前至少 8 周接受最大耐受性脂质调节疗法

试验组：Obicetrapib
每日一次，一次 10 mg

对照组：安慰剂

主要终点：

- LDL-C at Day 84

次要终点：

- ApoB
- Lp(a)
- non-HDL-C
- HDL-C 等

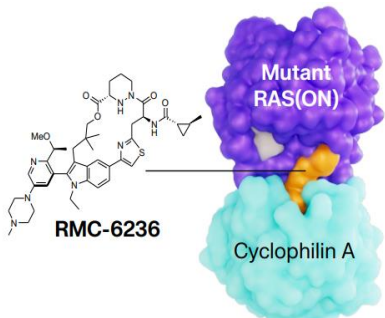
组别 (人数)	试验组 (N=236)	对照组 (N=118)
干预药	Obicetrapib	安慰剂
LDL-C (84-day)	-36.1%	+0.3%
LDL-C (365-day)	-31.1%	+10.3%
LDL-C (< 50 mg/dl)	24%	1%
LDL-C (< 100 mg/dl)	77%	40%

- ✓ 与安慰剂相比，在最大耐受的调脂治疗基础上，在第 84 天 Obicetrapib 实现了 LDL-C LS 平均百分比的降低 ($p < 0.0001$)，并在第 365 天保持这一趋势；
- ✓ 与安慰剂相比，Obicetrapib 在第 84 天降低了 36.3%，在第 365 天降低了 41.5%；
- ✓ 研究过程中，总体耐受性良好，安全性结果与安慰剂相当。

RMC-6236-001 ——pan RAS(ON) 抑制剂显著延长 PDAC 患者 mPFS

2024 年 7 月 15 日，Revolution Medicines 公布其 pan-RAS(ON) 抑制剂 RMC-6236 的 I b 期临床数据，本次公布的 2L+ PDAC 人群临床数据显示，RMC-6236 单药显著延长 mPFS、ORR 指标结果，优于目前化疗治疗组合结果；基于此积极结果，公司将积极推进 III 期关键性临床。

作用机制



RMC-6236 是一种可口服的三复合非降解型分子胶，可诱导细胞内分子伴侣 CYPA 与多种 RAS(ON) 亚型突变体之间形成复合物，从而破坏致癌信号传导和肿瘤生长。

PDAC 治疗现状

- PDAC 治疗手段有限，5 年生存率仅 9%、其中转移患者则仅为 3%。目前基本以 5-FU 和吉西他滨为基础的化疗组合。
- 基于目前治疗手段，2L PDAC 的 mPFS 在 2.0~3.5 个月，mOS 在 6.1~6.9 个月，ORR 不超过 17%。

First-Line (1L)

5-FU-based Regimens

FOLFIRINOX⁽¹⁾

NALIRIFOX⁽²⁾

Second-Line and Later (2L+)

Gemcitabine-based Regimens

Gemcitabine + nab-paclitaxel

Gemcitabine-based Regimens

Gemcitabine + Nab-paclitaxel⁽³⁾

5-FU-based Regimens

FOLFIRINOX

5-FU + LV + Nal-IRI

FOLFIRI

FOLFOX

Reported Efficacy

Study	Regimen	Treatment line	No. of patients	ORR (%)	Median PFS (months)	Median OS (months)
NAPOLI 1 ⁽⁴⁾	5-FU+LV+Nal-IRI	2L+	117	8	3.1	6.1
SWOG S1513 ⁽²⁾	FOLFIRI	2L	58	10	2.9	6.5
SWOG S1115 ⁽³⁾	FOLFOX	2L	62	7	2.0	6.7
SEQUOIA ⁽⁴⁾	FOLFOX	2L	284	6	2.1	6.3
QUILT-3.010 ⁽⁵⁾	Gemcitabine + nab-paclitaxel	2L	40	3	2.7	6.6
Trybeca-1 ⁽⁶⁾	Gemcitabine + nab-paclitaxel	2L	148	NA	3.5	6.9
GEMPAX ⁽⁷⁾	Gemcitabine + paclitaxel	2L	140	17	3.1	6.4
Gupta et al. ⁽⁸⁾	5-FU+LV+Nal-IRI	3L+	30	3	1.9	5.0
Enzler et al. ⁽⁹⁾	CBP501+cisplatin+nivolumab	3L+	36	6	1.9	5.1

试验结果

试验代号	NCT05379985		
干预药	RMC-6236		
适应症	胰腺导管腺癌（晚期/转移）		
分组特征	KRAS G12X 2L	RAS Mutant 2L	KRAS G12X 3L+
mPFS	8.1 months	7.6 months	4.2 months
ORR (14-week)	20% (KRAS G12X) ; 21% (RAS Mutant)		
ORR (20-week)	27% (KRAS G12X) ; 26% (RAS Mutant)		
DCR (14-week)	87% (KRAS G12X) ; 88% (RAS Mutant)		

- 安全性方面，≥3 级的不良反应发生率为 22%，有 28% 的患者需要调整剂量，但没有患者出现停药现象。

RASolute 302 试验设计

基于 RMC-6236 在 2L PDAC 患者中的表现，关键性 III 期临床试验 RASolute 302 将招募 460 名转移性 2L PDAC 患者，预计于 2024 年下半年开始，2026 年上半年获得 PFS 数据。

试验设计

Key Eligibility Criteria

- Confirmed PDAC
- 1 prior line of therapy in the metastatic setting
- ECOG PS 0-1

N = 460

R 1:1

RMC-6236 300 mg p.o. QD (N = 230)

Investigator's Choice SOC Chemotherapy⁽¹⁾ (N = 230)

终点指标

Primary Endpoints (RAS G12X)

- PFS, OS

Secondary Endpoints (All Patients)

- PFS, OS
- ORR, DOR
- QoL

已上市 KRAS 突变抑制剂 PDAC 治疗结果

- 索托拉西布在 KRAS G12C 突变胰腺癌的 I/II 期临床结果显示，在 38 例患者中，mPFS 为 3.98 个月、mOS 为 6.87 个月、ORR 为 21.1%。
- 阿达格拉西在 KRAS G12C 突变实体瘤的 II 期临床 KRYSTAL-1 试验结果显示，在 21 例胰腺癌患者中，mPFS 为 5.4 个月、mOS 为 8.0 个月、ORR 为 33.3%。

Endpoint	Phase I N=12	Phase II N=26	Combined Phase I/II N=38
ORR, n (%)	3 (25.0)	5 (19.2)	8 (21.1)
95% CI ^a	5.49, 57.19	6.55, 39.35	9.55, 37.32
Observed median DoR (range), months	2.8 (1.6, 2.8+)	3.3 (1.4+, 5.8)	2.8 (1.4+, 5.8)
DCR, n (%)	9 (75.0)	23 (88.5)	32 (84.2)
95% CI ^a	42.81, 94.51	69.85, 97.55	68.75, 93.98
Median PFS ^b , months	2.79	5.45	3.98
95% CI	1.22, 4.30	3.32, 7.82	2.79, 5.59
Median OS ^b , months	4.04	7.82	6.87
95% CI	1.71, 8.87	5.98, 10.68	4.96, 9.13

Tumor Type	ORR, % (95% CI)	Median PFS, Months (95% CI)	Median OS, Months (95% CI)
All patients	n = 57 35.1 (22.9 to 48.9)	n = 57 7.4 (5.3 to 8.6)	N = 64 14.0 (8.5 to 18.6)
Pancreatic cancer	n = 21 33.3 (14.6 to 57.0)	n = 21 5.4 (3.9 to 8.2)	n = 21 8.0 (5.2 to 11.8)

首次进入临床 III 期新药

据 Insight 数据库统计， 2024 年 7 月全球进入临床 III 期的新药项目有 19 个（包括 13 款新药、3 款改良新药和 2 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
贝伐珠单抗-K11	单特异性抗体	VEGF	绿竹生物 赛升药业	结直肠癌	2024-07-31	CTR20242804	中国内地
ESK-001	化药	TYK2	Alumis	斑块状银屑病	2024-07-29	/	/
诺如病毒疫苗	预防性疫苗 重组蛋白疫苗	Norovirus	智飞生物	诺如病毒感染	2024-07-29	NCT06524947	中国内地
德谷胰岛素+利拉鲁肽	多肽	GLP1R INSR	珠海联邦制药	2型糖尿病	2024-07-23	CTR20242558	中国内地
FDA018	抗体偶联物ADC (载荷: 伊立替康活 性代谢物: SN-38)	TROP2	复旦张江生物医药	三阴性乳腺癌	2024-07-22	NCT06519370 CTR20242630	中国内地
ANX 007	单特异性抗体 抗体片段	C1q	Annexon Biosciences	地图状萎缩	2024-07-19	NCT06510816	/
司美格鲁肽	多肽	GLP1R	华润双鹤药业	2型糖尿病	2024-07-18	CTR20242569	中国内地
冻干人用狂犬病疫苗 (人二倍体细胞)	预防性疫苗 灭活疫苗	RABV	普康生物技术	狂犬病	2024-07-18	CTR20242601	中国内地
BNC-210	化药	α7 receptor	Bionomics Ironwood Pharmaceuticals	社交焦虑障碍	2024-07-18	NCT06510504	美国
QLM2010	化药	/	齐鲁制药	化疗引起的恶心呕吐	2024-07-17	CTR20242556	中国内地

首次进入临床 III 期新药

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
XTMAB-22	单特异性抗体	RANKL	Xentria	骨质疏松	2024-07-17	NCT06504966	/
HS-20093	抗体偶联物ADC (连接子: 可裂解; 载荷: HS-9265)	B7-H3	豪森药业 葛兰素史克制药	小细胞肺癌	2024-07-12	NCT06498479 CTR20242440	中国内地
MT1013	多肽	CASR OGP	麦科奥特科技	继发性甲状旁腺功能亢进症	2024-07-12	/	中国内地
Elritercept	抗体类融合蛋白	ACVR2 Activin A Activin B GDF11 GDF8	Keros Therapeutics 豪森药业	骨髓增生异常综合征	2024-07-12	NCT06499285	/
Divarasib	化药	KRAS G12C	罗氏制药	非小细胞肺癌	2024-07-11	NCT06497556	/
LAENNEC	其它生物制品	/	GC Wellbeing	酒精性肝病 代谢功能障碍 相关脂肪性肝病	2024-07-10	NCT06493799	/
BGM0504	多肽 AI技术	GIPR GLP1R	博瑞生物	肥胖 2型糖尿病	2024-07-09	/	中国内地
奥贝胆酸+苯扎贝特	化药	FXR PPARα	Intercept Pharmaceuticals	原发性胆汁性胆管炎	2024-07-05	NCT06488911	/
乌苯美司-DFP-14323	化药	ANPEP	Delta-Fly Pharma Nippon Chemiphar	非小细胞肺癌	2024-07-03	/	日本

05

研发进度终止新药

研发进度终止的新药



据 Insight 数据库统计，2024 年 7 月共有 21 款新药研发终止，4 款新药适应症研发终止。

■ 研发进度终止新药清单(1/2)

终止研发机构	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
Incyte Corporation	Tuparstobart	单特异性抗体	LAG3	临床 II 期	头颈部鳞状细胞癌 Merkel细胞癌	研发策略调整
	Verzistobart	单特异性抗体	TIM-3	临床 II 期	头颈部鳞状细胞癌 Merkel细胞癌	
	INCB86550	化药	PD-L1	临床 II 期	非小细胞肺癌 尿路上皮癌 肾细胞癌 肝细胞癌 黑色素瘤	
	INCB99280	化药	PD-L1	临床 II 期	实体瘤 尿路上皮癌 肝细胞癌 透明细胞肾细胞癌 皮肤黑色素瘤 非小细胞肺癌 皮肤鳞状细胞癌	
	INCB99318	化药	PD-L1	临床 I 期	实体瘤	
	INCA32459	双特异性抗体	LAG3 PD-1	临床 I 期	肿瘤 黑色素瘤 头颈部鳞状细胞癌	
	INCB090244	化药	PD-L1	临床前	胶质瘤	
安进制药	AMG794	双特异性抗体	CD3 CLDN6	临床 I 期	非小细胞肺癌 卵巢上皮癌 子宫内膜癌 睾丸癌 三阴性乳腺癌	未知
罗氏制药	SPK-3006	基因治疗 (载体: AAV-Spark100)	GAA	临床 I /II 期	II型糖原贮积病	
	vopikitug	单特异性抗体	IL2RA	临床 I 期	实体瘤	
	RO7443904	双特异性抗体	CD19 CD28	临床 I 期	B细胞非霍奇金淋巴瘤	
百时美施贵宝制药	Alnuctamab	双特异性抗体	BCMA CD3	临床 III 期	多发性骨髓瘤	未知
赛诺菲制药	SP0273	mRNA疫苗 预防性疫苗	Influenza virus	临床 I 期	流感病毒感染	
	SAR442501	单特异性抗体	FGFR3	临床 II 期	软骨发育不良	

研发进度终止的新药



研发进度终止新药清单(2/2)

终止研发机构	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
葛兰素史克制药	GSK3494245	化药	20S Proteasome	临床 I 期	利什曼病	未知
	GSK4106647A	重组蛋白疫苗 预防性疫苗	HPV	临床 II 期	人乳头瘤病毒感染	
Day One Biopharmaceuticals	派吗色替	化药	MAP2K1 MAP2K2	临床 II 期	急性髓系白血病 胰腺癌 结直肠癌 黑色素瘤 卵巢上皮癌	
辉瑞制药	Fordadistrogene movaparvovec	基因治疗 (载体: AAV9)	DMD	临床 III 期	杜氏肌营养不良症	疗效不佳
强生制药	ADX-71149	化药	GRM2	临床 II 期	精神分裂症 重度抑郁症 局灶性癫痫发作	
瑛博进公司	Pamrevlumab	单特异性抗体	CCN2	临床 III 期	胰腺癌 特发性肺纤维化 杜氏肌营养不良症	财务问题
MEI Pharma	Voruciclib	化药	CDK9	临床 I 期	B细胞肿瘤 急性髓系白血病 滤泡性淋巴瘤 慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤 弥漫性大B细胞淋巴瘤 套细胞淋巴瘤 边缘区淋巴瘤 B细胞非霍奇金淋巴瘤 肿瘤 黑色素瘤	

适应症终止新药清单

终止研发机构	药品名称	成分类别	靶点	适应症研发阶段	终止适应症	终止原因
赛诺菲制药	Riliprubart	单特异性抗体	C1S	临床 I 期	冷凝集素病	研发策略调整
JCR Pharmaceuticals	Remestemcel-L	间充质干细胞MSC (细胞来源: 骨髓; 自体 / 异体: 异体; 是否基因修饰: 否)	/	临床 I / II 期	新生儿缺氧缺血性脑病	
Ventyx Biosciences	VTX958	化药	TYK2	临床 II 期	克罗恩病	疗效不佳
Sage Therapeutics 渤健制药	BIIB124	化药	GABR	临床 II 期	特发性震颤	

06

7 月潜在转化医学新靶点

7 月潜在转化医学新靶点

本月 Insight 早期研发情报数据库收录的潜在转化医学新靶点如下表，这些文献在数据库中的内容类型标签为靶点/标志物验证，更多新靶点可以移步 [Insight 数据库查询](#)。

疾病领域	期刊	靶点	适应症	文献概述	PMID
肿瘤	Nature	NBS1	肿瘤	这项研究揭示了癌细胞中的乳酸通过乳酸化 NBS1 蛋白来促进 DNA 修复，是介导化疗耐药的关键机制，并指出了抑制乳酸生成是一种有前途的癌症治疗策略。	38961290
	Nature	SMYD5	胃癌	该研究揭示了一种基于核糖体的表观遗传机制，赖氨酸甲基转移酶 SMYD5 通过直接调节核糖体输出，在癌症的恶性转化中发挥着关键作用，表明靶向 SMYD5 是一种治疗胃癌的重要策略。	39048817
	Cancer Discov	NPTX1	胰腺导管腺癌	该研究揭示了 NPTX1-AMIGO2 在 PDAC 转移定植中的作用机制，该信号通路增强了低氧生长，且对 HIF1α 的核内驻留和功能至关重要，具有药物开发潜力。	39028915
	Sci Transl Med	NCOA4	急性髓系白血病	该研究强调了 NCOA4 介导的铁蛋白自噬在维持白血病干细胞（LSC）静息状态和功能中的作用，通过靶向 NCOA4 干扰铁蛋白吞噬来抑制 LSCs 的存活和功能，为 AML 治疗提供了新的策略。	39047119
	Nat Commun	LILRB1	多发性骨髓瘤	研究揭示了 LILRB1 在调节胆固醇代谢和保护多发性骨髓瘤（MM）细胞免受铁死亡中的作用，表明 LILRB1 是 MM 患者一个有希望的治疗靶点。	38982045
	Nat Commun	TSG-6	胰腺癌	研究发现，TSG-6 在 ICT 耐药肿瘤微环境中表达增加，TSG-6 抑制剂与 ICT 联用改善了胰腺癌小鼠的治疗效果和生存率，表明 TSG-6 可以作为增强 ICT 在难治性肿瘤中响应率的治疗靶点。	38987547
	Nat Commun	RUNX1T1	神经母细胞瘤	该研究揭示了 RUNX1T1 在 MYCN 驱动的神经母细胞瘤中的重要作用，并展示了其作为转录抑制复合体的一部分在调控相关基因表达的功能，为治疗儿童神经母细胞瘤提供了新的分子靶点。	38992040
	Nat Commun	DUSP18	结直肠癌	这项研究揭示了 DUSP18 在肿瘤免疫逃逸中的关键作用，并提出与免疫检查点抑制剂联用作为一种潜在 CRC 疗法。	38992029
	Nat Commun	KDM1A	肝细胞癌	该研究揭示了肝脏转座子/KDM1A/HNF4A 调控轴在肝癌中的作用，KDM1A 介导的 HNF4A 抑制促进了肝癌细胞的增殖，强调了 KDM1A 作为一个有前途的治疗靶点。	38965210
	Sci Adv	NID2	胰腺导管腺癌	通过蛋白质组学分析揭示了 NID2 在胰腺癌发展中的作用，并展示了通过 CRISPRi 技术减少 NID2 表达可以降低肿瘤的侵袭性能力、增强对化疗的反应，突出了 NID2 作为 PDAC 共同靶点的潜力。	38959305

7 月潜在转化医学新靶点

疾病领域	期刊	靶点	适应症	文献概述	PMID
非肿瘤	Nature	IL-11	衰老	该研究揭示了 IL-11 在衰老过程中的负面影响，并表明通过抑制 IL-11 可以改善老年小鼠的代谢和肌肉功能，延长寿命，为开发新的抗衰老疗法提供了潜在的靶点和策略。	39020175
	Nature	RNU4-2	神经发育障碍	该研究识别出非编码 RNA RNU4-2 作为一个与神经发育障碍（NDD）相关的基因，为未被诊断的 NDD 患者提供了新的诊断依据，同时强调了非编码基因在罕见疾病中的重要性。	38991538
	Nature	TMEFF1	单纯疱疹性脑炎	该研究确定了 TMEFF1 作为一个神经元特异性限制因子，对预防中枢神经系统中 HSV-1 复制至关重要，为开发新的抗病毒策略提供了可能的靶点。	39048823 39048830
	Sci Transl Med	PI3Ky	炎症	这项研究强调了 PI3Ky 在调节炎症反应中的关键作用，支持将 PI3Ky 抑制剂作为抑制严重传染病中炎症反应的潜在治疗方法。	38959328
	Nat Commun	NMNAT2	神经退行性疾病	研究发现低水平的 NMNAT2 会导致视网膜对神经退行性损伤敏感性增加，通过基因治疗或药物增加 NMNAT2 驱动的 NAD 输出可有效保护神经元，表明 NMNAT2 是治疗神经退行性疾病的可成药靶点。	39048544
	Nat Commun	RNASE4	炎症性肠病	研究结果表明 RNASE4 是一种调节肠道菌群和代谢稳态的肠道抗菌蛋白，可能有助于减少 IBD 的发病风险和改善患者预后，因此，RNASE4 可以作为 IBD 的潜在诊断生物标志物和治疗靶点。	38987259
	Nat Commun	NRP1	肾纤维化	这项研究通过揭示 NRP1 在肾损伤和纤维化中的作用，为开发新的治疗策略提供了潜在的分子靶点，特别是对于 AKI 及其引起的慢性肾病的治疗。	38977708
	Nat Commun	SPINK4	炎症性肠病	研究揭示了 SPINK4 在 IBD 发病机制中的重要作用，并展示了其作为潜在治疗靶点和血清学生物标志物的价值。	38997284
	Nat Commun	RNF213	多发性硬化	这项研究揭示了 RNF213 在 CD4+ T 细胞特别是 Treg 细胞的分化中的重要性，并指出其在 IFN- β 治疗 MS 中的潜在作用，表明 RNF213 是治疗 Treg 相关疾病的有希望靶点。	39013878
	Nat Commun	KRT32	毛发红糠疹	这项研究提出 KRT32 的破坏性变异是毛发红糠疹（PRP）发展的重要驱动因素，为 PRP 的潜在治疗提供了新的分子靶点。	39048559
	Nat Commun	AKT2/SIRT5/TFEB	干性年龄相关性黄斑变性	该研究揭示了 AKT2/SIRT5/TFEB 信号通路在调控溶酶体功能中的重要性，进而影响 AMD 的疾病进展，表明该通路可以作为干性 AMD 的潜在治疗靶点。	39034314

08

重点医药交易事件

重点医药交易事件

据 Insight 数据库统计， 7 月共收录 107 条药品相关交易。下表展示交易总额 TOP15（仅统计新药、改良新、生物类似药，权益类型为开发/商业化权益）。

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
2024-07-29	合作, 期权	Flagship Pioneering	葛兰素史克制药	10 novel medicines and vaccines	疫苗类	未披露	首付款: 150 百万美元 里程碑付款: 7200 百万美元
2024-07-08	转让/收购	Morphic Therapeutic	礼来制药	MORF-057	化药	Integrin $\alpha 4\beta 7$	交易总额: 3200 百万美元
2024-07-24	合作	Dren Bio	诺华制药	Targeted Myeloid Engager and Phagocytosis Platform	双特异性抗体	未披露	首付款: 150 百万美元 里程碑付款: 2850 百万美元
2024-07-01	授权/许可	芬兰奥利安集团	默沙东制药	Opevesostat	化药	CYP11A1	里程碑付款: 1630 百万美元
2024-07-03	授权/许可	CureVac	葛兰素史克制药	GSK4382276A, CV0701, CV0601, Flu Pandemic mRNA(GSK)	预防性疫苗 mRNA疫苗	Influenza virus, SARS-CoV-2 S, SARS-CoV-2 S, H5N1	里程碑付款: 1050 百万欧元 (1145.97 百万美元) 首付款: 400 百万欧元 (436.56 百万美元)
2024-07-29	转让/收购	Nerio Therapeutics	勃林格殷格翰制药	PTPN1/2 inhibition(Nerio)	化药	PTPN1 PTPN2	交易总额: 1300 百万美元
2024-07-11	授权/许可	昱言生物	益普生制药	FS001	抗体偶联物ADC (连接子: 可裂解; 载荷: 拓扑异构酶 I 抑制剂)	ITGA2	交易总额: 1030 百万美元

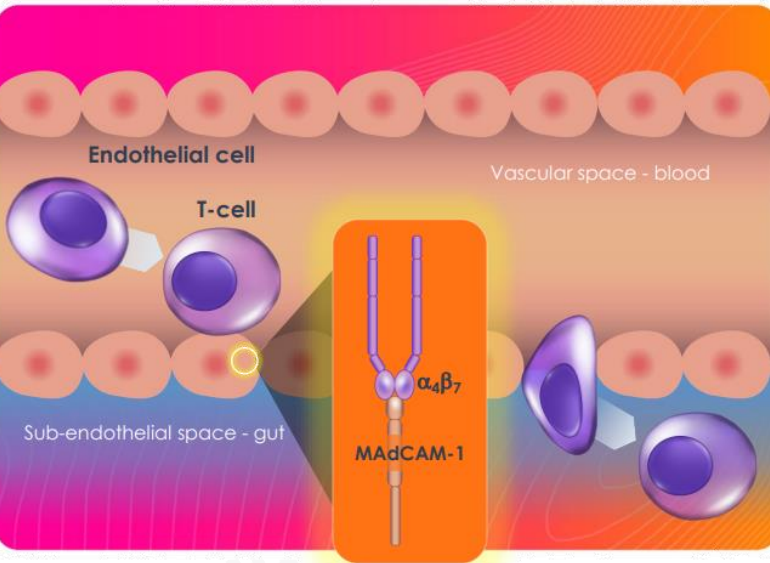
重点医药交易事件

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
2024-07-17	授权/许可	上海辐联医药	SK Biopharmaceuticals	铜[225Ac]-FL-091	治疗用放射性药物， 放射性核素偶联药物RDC (核素：225Ac)	NTSR1	交易总额：571.5 百万美元
2024-07-29	转让/收购	Ironshore Pharmaceuticals	Collegium Pharma	哌甲酯	化药	SLC6A2 5-HT1 receptor	里程碑付款：25 百万美元 首付款：525 百万美元
2024-07-23	授权/许可， 期权	Pinetree Therapeutics	阿斯利康制药	PTX-299	双特异性抗体	EGFR	首付款：45 百万美元 交易总额：500 百万美元
2024-07-31	授权/许可， 期权	百奥赛图	IDEAYA Biosciences	B7H3 x PTK7 BsADC	抗体偶联物ADC (载荷: 拓扑异构酶 I 抑制剂; 双抗/多抗: 双抗)	PTK7 B7-H3	里程碑付款：100 百万美元 交易总额：406.5 百万美元
2024-07-15	授权/许可	苏州澳宗生物	杭州中美华东	依达拉奉-TTYP01	化药	/	首付款：100 百万元 (15.83 百万美元) 里程碑付款：1185 百万元 (187.59 百万美元)
2024-07-09	授权/许可	康诺亚生物	Belenos Biosciences	CM512 CM536	双特异性抗体	IL13 TSLP /	首付款：15 百万美元 里程碑付款：170 百万美元
2024-07-26	授权/许可	苏州康宁杰瑞生物	厦门特宝生物	KN069	抗体类融合蛋白	GLP1R GIPR	首付款：1000 百万元 (158.3 百万美元)
2024-07-10	授权/许可	Ensol Biosciences	Spine Biopharma	SB-01	多肽	TGFB1	交易总额：155 百万美元

重磅收购—礼来斥资 32 亿美元并购 Morphic，持续加强 IBD 管线



7 月 7 日，礼来制药和 Morphic Therapeutic 签署并购协议，将以每股 57 美元，总价 32 亿美元的价格收购 Morphic 的所有流通股，该收购价较此前该公司收盘价溢价高达 79%。并购消息发布次日，Morphic 股价上涨超 75%，该交易预计将于第三季度内完成。礼来此次收购主要意图在于加强其自免管线的建设，Morphic 是一家以整合素为主要开发对象的公司，其推进最快的是一款选择性口服 $\alpha 4\beta 7$ 整合素小分子抑制剂（MORF-057），用于治疗炎症性肠病（IBD），目前已处于 II 期临床推进中。



Integrin $\alpha 4\beta 7$ 在 IBD 中的作用机制

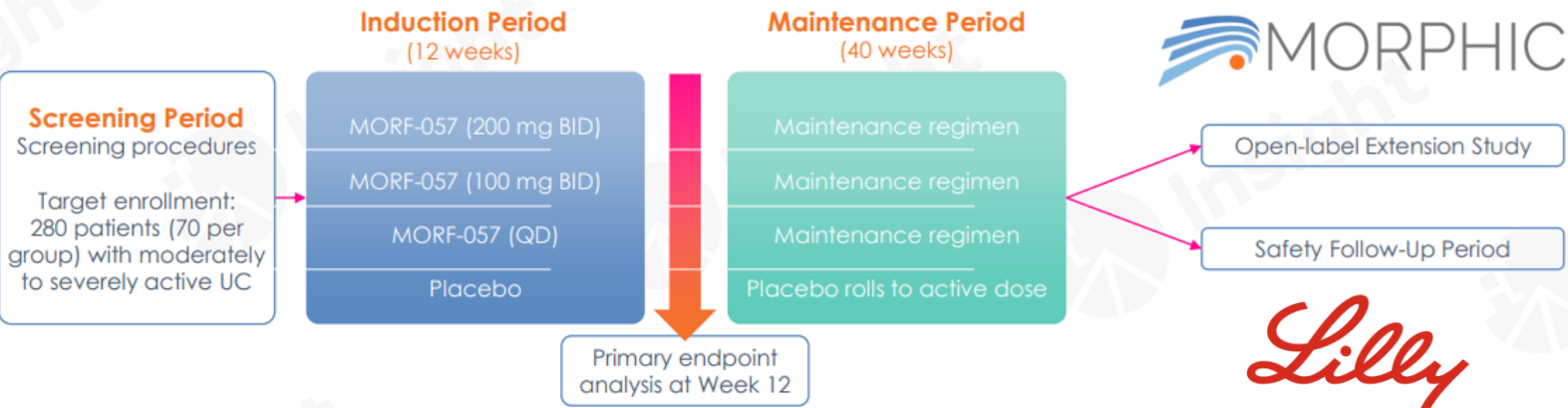
整合素 $\alpha 4\beta 7$ 表达于肠道归巢的记忆 T 淋巴细胞表面，与肠道血管内皮细胞表达的 MAdCAM-1 结合，介导记忆 T 淋巴细胞迁移至胃肠道黏膜下层。记忆 T 淋巴细胞的迁移是溃疡性结肠炎和克罗恩病的重要发病机制之一。抗整合素 $\alpha 4\beta 7$ 药物可特异性阻断整合素 $\alpha 4\beta 7$ 与肠道血管内皮细胞表达的 MAdCAM-1 结合，从而阻止 T 淋巴细胞从血管中迁移至胃肠道黏膜下层，进而减轻肠道局部炎症反应。

临床研究进展

EMERALD-1 的 IIa 期临床研究中，MORF-057 在第 12 周时的 Robarts 组织病理学指数 (RHI) 评分较基线显著降低了 6.4 分 ($p=0.0019$)，具有统计学意义，并在两项不同直肠出血评价维度的改良梅奥诊所评分 (mMCS) 中，分别实现了 45.7% 和 25.7% 的临床缓解。与武田制药已经上市单抗注射剂 ENTYVIO® 比较，MORF-057 这项结果似乎不被市场所接受，从 BID 口服给药的依从性以及 TNF 经治患者普遍疗效较差这两点，后续试验方案还将加以探索。

EMERALD-2 的 IIb 期临床研究中再次纳入 $\geq 30\%$ 的 TNF 经治及 MES=3 患者，设置主要终点是 12 周时 mMCS 测量的临床缓解率，并且还将进一步设置剂量探索和 PK/PD 指标以及安全性参数测量几个次要和探索性终点。

Endpoint @ Week 12		Overall (N=35)
Change in RHI, Mean (SD)		-6.4 (11.18) $p=0.0019$
RHI remission, n (%)		8 (22.9%)
Clinical response (mMCS) ¹ , n (%)		16 (45.7%)
Clinical remission (mMCS) ² , n (%)		9 (25.7%)
Endoscopic Response/Improvement ³ , n (%)		9 (25.7%)
Change from baseline to Week 12 in the Modified MCS, Mean (SD)		-2.3 (2.14)



重磅收购—礼来斥资 32 亿美元并购 Morphic，持续加强 IBD 管线

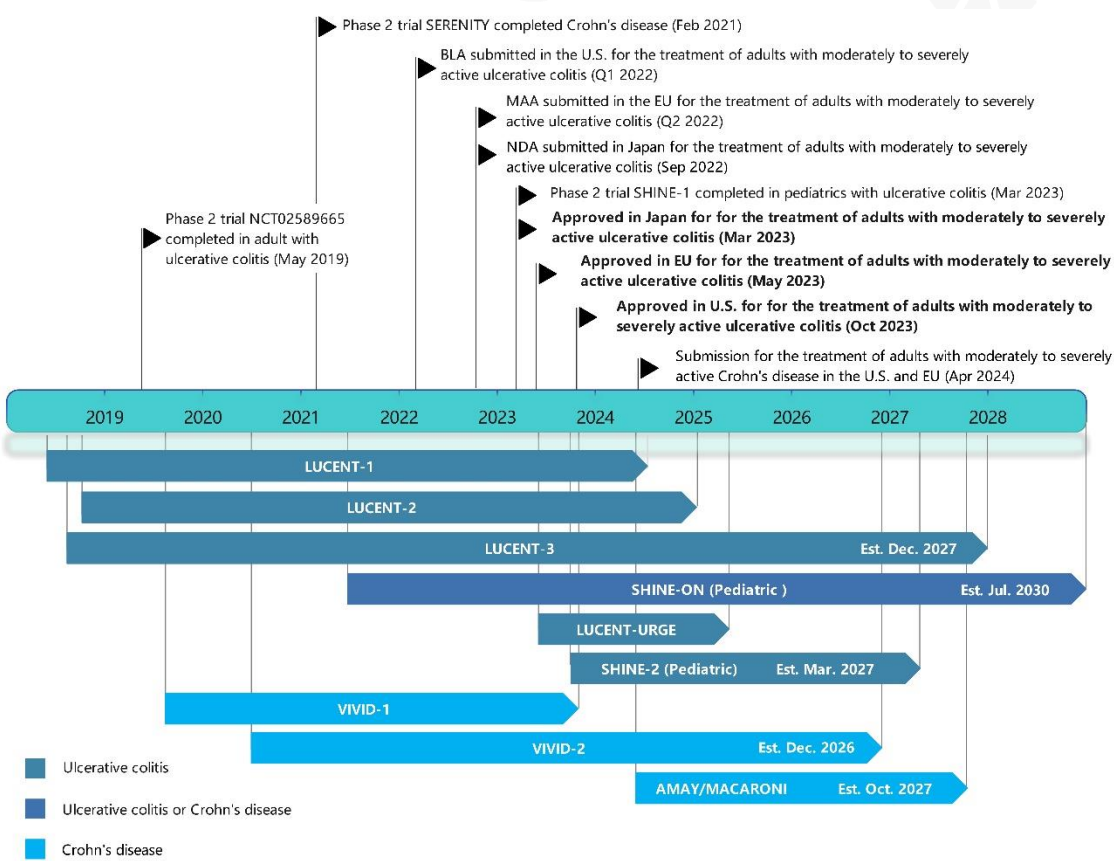
Integrin α4β7 在研产品进度 (共 32 款在研产品，仅展示已进入临床阶段的积极项目)

药品成分	研发机构	成分类别	全球适应症在研状态
维得利珠单抗	武田药品, 武田肿瘤, LeukoSite	单抗	批准上市: 克罗恩病, 溃疡性结肠炎, 贮袋炎 临床 III 期: 原发性硬化性胆管炎, 炎症性肠病移植术抗宿主病 临床 II 期: 麦胶性肠病, 胃炎 临床 I 期: 黑色素瘤, HIV 感染
维得利珠单抗-PB016	Polpharma Biologics	单抗	临床 III 期: 溃疡性结肠炎 临床前: 克罗恩病
GS-1427	吉利德制药	化药	临床 II 期: 溃疡性结肠炎 临床 I 期: 炎症性肠病
ABBV-1882	艾伯维生物	单抗	临床 II 期: HIV 感染
ABBV-382	艾伯维生物	单抗	临床 II 期: HIV 感染
MORF-057	礼来制药, Morphic Therapeutic	化药	临床 II 期: 溃疡性结肠炎, 克罗恩病 临床前: 炎症性肠病
PTG-100	Protagonist Therapeutics	多肽	临床 II 期: 溃疡性结肠炎 临床 I 期: 麦胶性肠病
SPY001	Spyre Therapeutics, Paragon Therapeutics	单抗	临床 I 期: 炎症性肠病
维得利珠单抗-AVT16	Alvotech, 史达德大药厂	单抗	临床 I 期: 免疫系统疾病
维得利珠单抗-HZBio2	智享生物, 杭州远大生物	单抗	临床 I 期: 克罗恩病, 溃疡性结肠炎
EA1080	卫材药业, EA制药株式会社, Ensho Therapeutics	化药	临床 I 期: 炎症性肠病, 克罗恩病
AJM347	卫材药业, EA制药株式会社	化药	临床 I 期: 炎症性肠病
NSHO-102	Ensho Therapeutics	化药	临床 I 期: 炎症性肠病

数据来源: Insight 数据库, 10.1007/s40265-023-01909-1

竞争格局分析

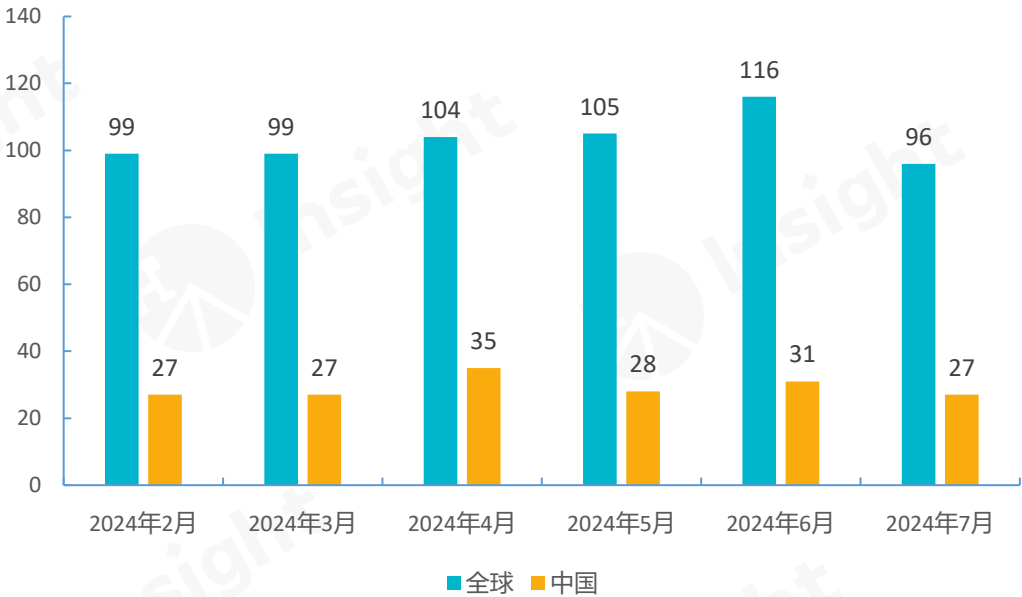
通过礼来制药管线布局可以看到，其在 IBD 这一适应症下已经拥有 7 条在研项目。其中 IL23A 单抗 Mirikizumab 去年已经分别在日本/EMA/美国获批溃疡性结肠炎，中国内地开展的克罗恩病和溃疡性结肠炎均已经处于临床 III 期，相信 Mirikizumab 也已经做好进入中国市场的准备，而此次收购无疑是借助口服剂型提高用药依从性的形式，进一步抢占日益增长的自免市场份额。



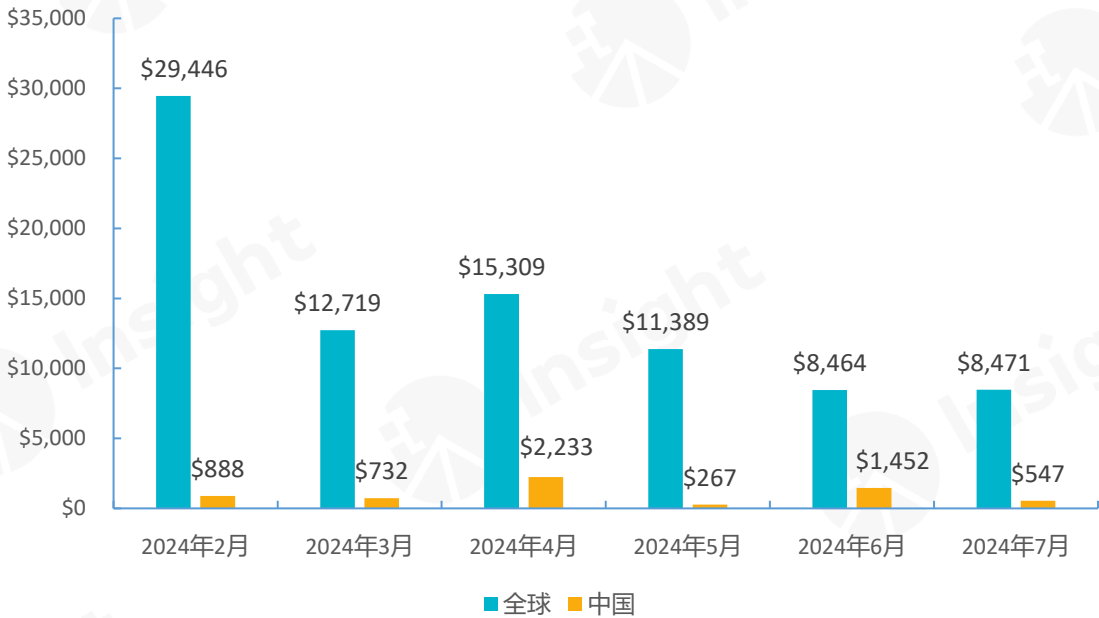
08

投融资概览

投融资事件



投融资金额 (单位: 百万美元)



统计说明:

- 1、仅统计药企投融资数据, 不包括医疗器械、纯生产供应商等非药企。
- 2、地区统一以融资企业总部所在地进行统计, 其中中国包括中国内地、中国香港、中国澳门、中国台湾
- 3、关于金额计算:
 - ①所有投融资金额以当月兑换至美元的平均汇率计算得到。
 - ②特殊金额计算标准: 数千万/数亿统一按 5 千万/亿计, 超 xx 亿/近 xx 亿元统一按 xx 亿元计, 未披露统一按 0 元记。

重点投融资事件

据 Insight 数据库统计， 7 月共收录 96 起投融资事件， 下表展示融资金额 TOP15。

项目名称	国家/地区	技术赛道	轮次	融资金额	投资机构	披露日期
IDEAYA Biosciences	美国	靶向疗法	增发	3.024 亿美元	未披露	2024-07-11
Cardurion Pharmaceuticals	美国	PROTAC	B轮	2.6 亿美元	Ascenta Capital, 谷歌风投, NEA, 富达国际, Millennium Management, Farallon Capital, Invus, Blue Owl, 康禧全球投资基金, Digitalis Ventures, Bain Capital Life Sciences, Bain Capital	2024-07-16
Beacon Therapeutics	美国	腺相关病毒载体, 酶	B轮	1.7 亿美元	Forbion, Oxford Sciences Innovation, 牛津大学, TCGX, Advent Life Sciences	2024-07-03
Artiva Biotherapeutics	美国	CAR-NK, NK细胞疗法, 单特异性抗体, 双特异性抗体, TCE, NKCE	IPO	1.67 亿美元	未披露	2024-07-18
Third Arc	美国	抗体药物	A轮	1.65 亿美元	Vida, Cormorant Asset Management, 高瓴资本, Omega Funds, Goldman Sachs, BVF Partners, T. Rowe Price Associates, Inc., Janus Henderson, Abrdn, Marshall Wace, Foresite Capital, Logos, AbbVie Ventures, Freepoint Capital Group	2024-07-23
Dren Bio	美国	单特异性抗体, 双特异性抗体, ADC	战略投资	1.5 亿美元	诺华	2024-07-24
Scorpion Therapeutics	美国	小分子	C轮	1.5 亿美元	Frazier Life Sciences, 美国光速, Willett Advisors, Omega Funds, Vida, Atlas Venture, Abingworth, 富达国际, Boxer Capital, EcoR1 Capital, Surveyor Capital, Invus, Wellington Management, Nextech Invest, Orbimed Advisors, Logos, Woodline Partners, Casdin Capital	2024-07-16
CatalYm	德国	单特异性抗体	D轮	1.5 亿美元	Canaan Partners, Bioqube, Forbion Growth Opportunities Fund, Omega Funds, Gilde Healthcare, Jeito Capital, Brandon Capital, NVF, Vesalius Biocapital	2024-07-16

项目名称	国家/地区	技术赛道	轮次	融资金额	投资机构	披露日期
NGM Biopharmaceuticals	美国	单特异性抗体，双特异性抗体，细胞因子，TCE	A+轮	1.22 亿美元	The Column Group	2024-07-17
Myricx Pharma	英国	ADC，靶向疗法	A轮	1.14 亿美元	British Patient Capital, Cancer Research Horizons, Brandon Capital, Novo Holdings, Abingworth, Sofinnova Partners	2024-07-08
Autobahn Therapeutics	美国	小分子	C轮	1 亿美元	Newpath Partners, Canaan Partners, Monograph Capital, Insight Partners, ARCH Venture Partners, Blue Owl, BVF Partners, Invus, Samsara BioCapital, 渤健制药, 百时美施贵宝, Pfizer Ventures, Section 32, Alexandria Venture Investments, GT创投	2024-07-24
Asceneuron	瑞士	小分子	C轮	1 亿美元	Novo Holdings, EQT Life Sciences, LSP Dementia Fund, Orbimed Advisors, SR One, M Ventures, Sofinnova Partners, GSK Venture Fund, JJDC	2024-07-16
SciRhom	德国	单特异性抗体	A轮	6300 万欧元	Andera Partners, Kurma Partners, Hadean Ventures, MIG, Wellington Partners, Bayern Kapital, HTGF, PhiFund Ventures	2024-07-09
Confo	比利时	小分子	B轮	6000 万欧元	Ackermans & van Haaren, Driehaus Capital Management, Quest for Growth, BioGeneration Ventures, MINTS, Capricorn Venture Partners, Fund+, Perceptive Advisors, Qbic fund, PMV, V-Bio Ventures, VIB, Wellington Partners	2024-07-26
Brenig Therapeutics	美国	小分子	A轮	6500 万美元	NEA, Orbimed Advisors, Torrey Pines Investment, BioGeneration Ventures	2024-07-23

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



添加助手小音，获取一对一服务↓↓↓
开通试用、报告反馈、满足个性化需求.....