

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

4 月全球新药月度报告

Insight / May, 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

最新早期管线进展

07

重点医药交易

08

投融资概览

4 月重点药物介绍

Tovorafenib —— 儿童脑瘤新药泛 RAF 激酶抑制剂获批上市

2024 年 4 月 24 日，Day One 公司开发的泛 RAF 激酶抑制剂 Tovorafenib 获 FDA 加速批准上市，用于治疗 6 个月及以上的复发或难治性儿童低级别胶质瘤 (pLGG) 患者，包括 BRAF 融合或重排，或 BRAF V600 突变。该药物是 FDA 批准的首个用于 BRAF 融合或重排的儿童脑瘤治疗药物。

Suzetrigine —— 精准抑制 Nav1.8 疼痛信号，滚动申请上市

2024 年 4 月 18 日，Vertex 宣布 FDA 同意其滚动提交 Suzetrigine 用于中度至重度急性疼痛的新药上市申请。Suzetrigine 是全新机制的非阿片类镇痛药，有望撬动数十亿美元市场，开创疼痛治疗领域新格局。

4 月全球重点医药交易

重磅交易：Vertex 49 亿美元收购 Alpine，加强自免管线布局

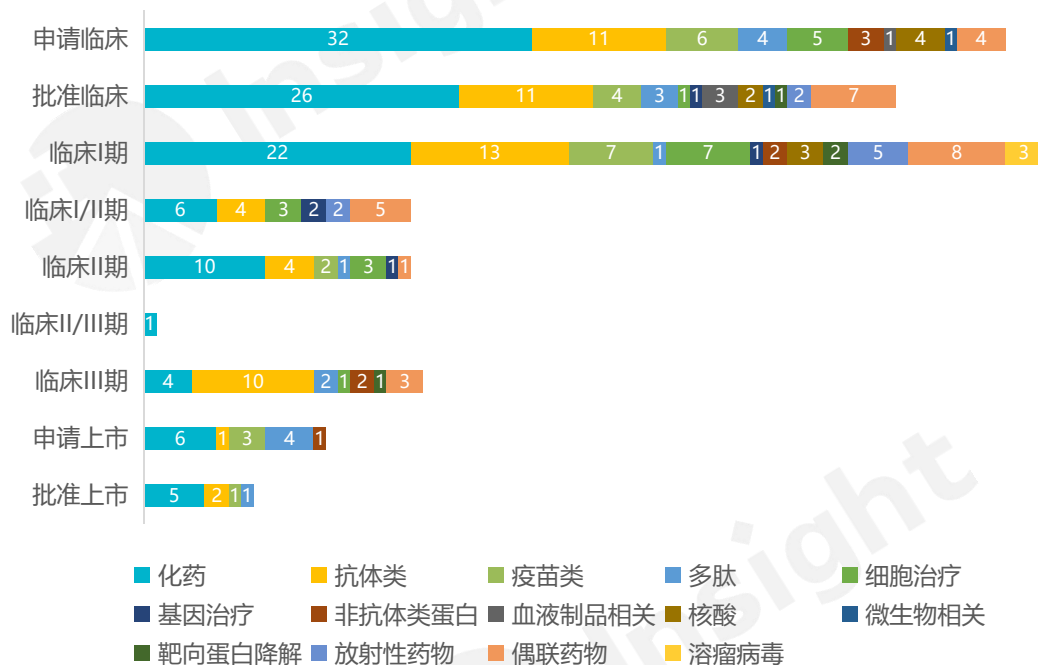
4 月 10 日，Vertex Pharmaceuticals 宣布与 Alpine Immune Sciences 达成最终协议，将以每股 65 美元收购 Alpine，预计交易总额达 49 亿美元，该交易预计将于 2024 年第二季度完成。此次收购 Vertex 将获得 Alpine 核心产品 Povetacicept，这是一款同时针对 BAFF 和 APRIL 的双重拮抗剂，目前已进展至临床 I/II 期开发治疗自身抗体相关肾小球疾病。

01

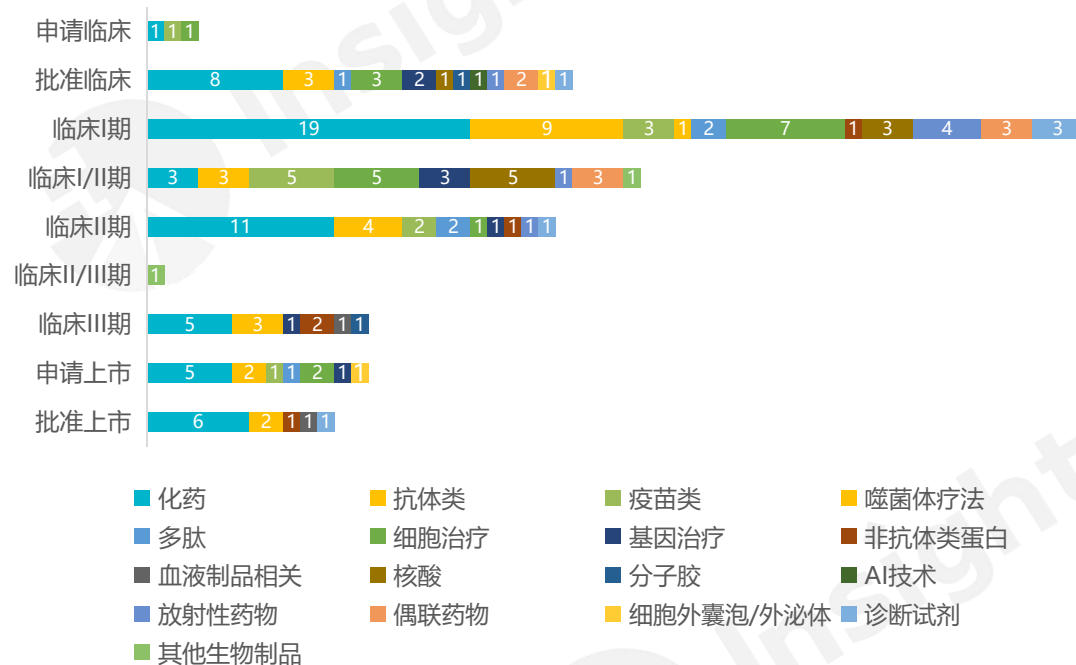
全球新药进展概览

4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



- 4月进展到最高状态的项目中，全球共 427 个；其中进入中国内地最高状态的项目有 280 个，进入境外最高状态的项目有 156 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%，偶联药物为 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 37%，抗体类药物 17%，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 0401-0430, 【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）

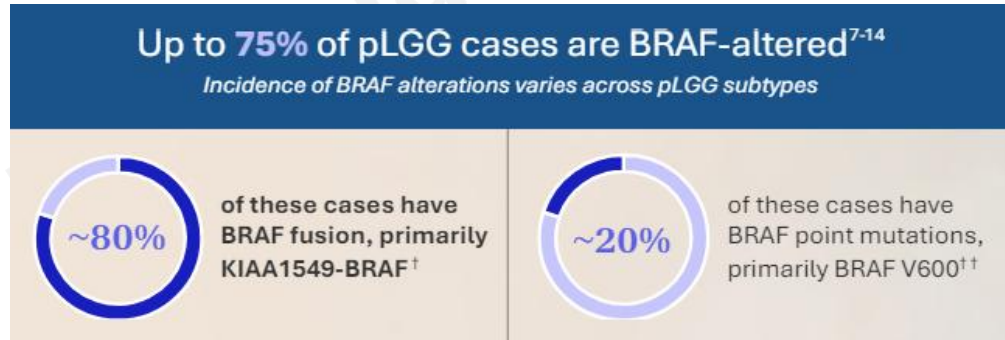
据 Insight 数据库统计 4 月全球获批上市 76 款新药（包括了 55 款新药、7 款生物类似药和 13 款改良新药），下表展示了部分获批新药完整清单获取方式详见文末。

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	SNA001	多肽	TSHR	苏州智核生物医药科技有限公司	甲状腺分化癌	中国	2024-04-11	是
	奥希替尼	化药	EGFR-T790M	阿斯利康制药	非小细胞肺癌	韩国	2024-04-17	否
	阿来替尼	化药	ALK RET	罗氏制药	非小细胞肺癌	美国	2024-04-18	否
	佩米替尼	化药	FGFR1 FGFR2 FGFR3	信达生物制药（苏州）有限公司	胆道癌	中国澳门	2024-04-22	否
	恩扎卢胺	化药	AR	安斯泰来制药	激素依赖性前列腺癌	EMA	2024-04-23	否
	Tovorafenib	化药	BRAF	Day One Biopharmaceutical	低级别胶质瘤	美国	2024-04-23	是
血液系统疾病	Danicopan	化药	CFD	阿斯利康制药	阵发性睡眠性血红蛋白尿症	美国	2024-04-01	否
	伊普可泮	化药	CFB	诺华制药	阵发性睡眠性血红蛋白尿症	中国	2024-04-26	否
	Exagamglogene autotemcel	基因编辑疗法 造血干细胞HSC	BCL11A	Vertex Pharmaceutic	β地中海贫血 镰状细胞病	加拿大	2024-04-01	否

Tovorafenib —— 儿童脑瘤新药泛 RAF 激酶抑制剂获批上市

2024年4月24日，Day One 公司开发的泛 RAF 激酶抑制剂 Tovorafenib 获 FDA **加速批准上市**，用于治疗 6 个月及以上的复发或难治性儿童低级别胶质瘤（pLGG）患者，包括 BRAF 融合或重排，或 BRAF V600 突变。该药物是 FDA 批准的首个用于 BRAF 融合或重排的儿童脑瘤治疗药物。

■ 儿童低级别胶质瘤（pLGG）



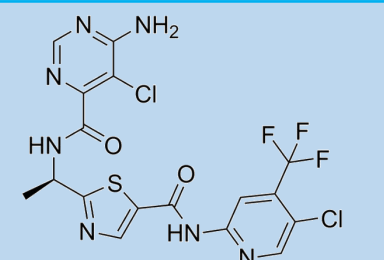
- pLGG 是一种儿童常见的脑部肿瘤，约占所有中枢神经系统肿瘤的 30~50%。美国 75% 的 pLGGs 是由 RAF 改变引起的异常信号驱动的，其中约 80% 是 KIAA1549-BRAF 基因融合，约 20% 的 pLGGs 患儿具有 BRAF V600E 激活突变。

■ 传统疗法的不足

手术	化疗	放疗
并发症的风险；切除可能受到肿瘤位置的限制；基于肿瘤位置和切除程度的功能缺陷。	需要留置导管和每周输液；发生中性粒细胞减少、过敏反应、恶心呕吐和周围神经病变等风险。	神经认知影响；血管增生和中风的风险；继发性恶性肿瘤的风险；血管增生和中风的风险。

- 23 年 3 月份 FDA 批准了达拉非尼联合曲美替尼用于治疗 1 岁及以上患有低级别胶质瘤的儿科患者，但仅适用于 BRAF V600E/K 突变患者。

■ Tovorafenib

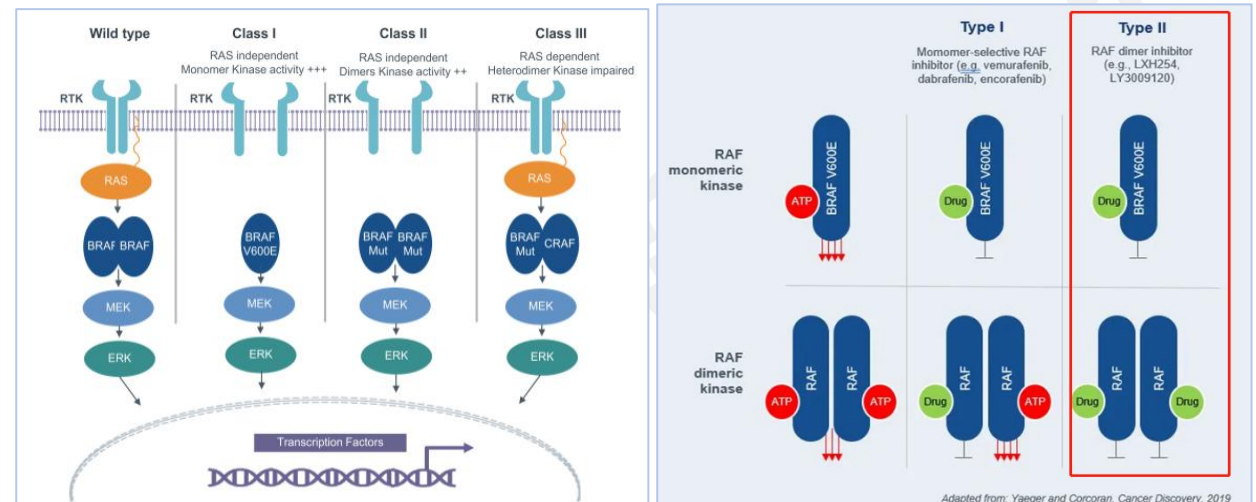


片剂：100 mg，口服混悬液：25 mg/ml

每周一次，380 mg/m²

6 个月及以上患有复发性或难治性 pLGG 患者，BRAF 融合或重排或 BRAF V600 突变

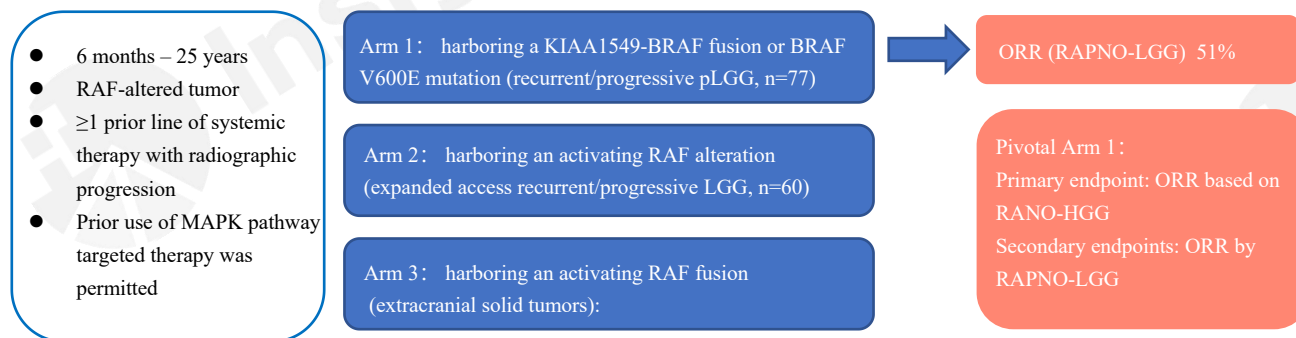
Tovorafenib 是 II 型 RAF 抑制剂，可以同时靶向 BRAF 蛋白的单体和二聚体形式，且具有更高的脑渗透性。第一代 RAF 抑制剂存在脑渗透性不佳问题，或与 BRAF V600E/K 结合会刺激生成 RAF 激酶二聚体，在 RAF 野生型细胞中引起反常激活，会导致肿瘤的复发，为了避免耐药或反常激活，I 型 RAF 抑制剂需要与 MEK 抑制剂联合使用。



Tovorafenib —— 儿童脑瘤新药泛 RAF 激酶抑制剂获批上市

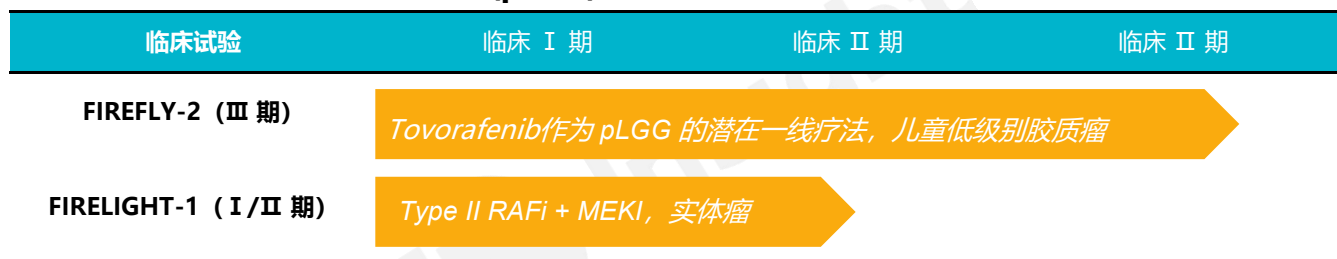
此次加速获批是基于 FIREFLY-1 临床 II 期试验的数据。FIREFLY-1 旨在评估 tovorafenib 作为每周一次的单药疗法治疗 6 个月至 25 岁患有复发或进展性 pLGG 患者的疗效与安全性，这些患者的肿瘤携带激活 BRAF 突变。该试验依据不同评估标准对患者进行评估，结果显示 ORR: 67% (RANO-HGG), 53% (RANO-LGG), 51% (RAPNO-LGG), mDOR: 13.8 个月 (RAPNO-LGG)、14.4 个月 (RANO-LGG)、16.6 个月 (RANO-HGG)。

■ 临床试验设计及结果



Response (IRC)	RAPNO-LGG n=76	RANO-LGG N=76	RANO-HGG N=69
ORR,* n (%)	39 (51)	40 (53)	46 (67)
95% CI	40-63	41-64	54-78
CBR,* n (%)			
SD of any length of time	62 (82)	63 (83)	64 (93)
SD ≥12 months	43 (57)	46 (61)	54 (78)
BOR,* n (%)			
CR	0	0	12 (17)
PR	28 (37)	20 (26)	34 (49)
MR	11 (14)	20 (26)	n/a
SD	23 (30)	23 (30)	18 (26)
SD <12 months	19 (25)	17 (22)	10 (14)
SD ≥12 months	4 (5)	6 (8)	8 (12)
PD	13 (17)	11 (14)	4 (6)
NE	1 (1)	2 (3)	1 (1)
Median DOR, months	13.8	14.4	16.6
95% CI	11.3-NR	11.0-NR	11.6-NR
Median TTR, months	5.3	5.5	3.0
Range	1.6-11.2	1.6-11.3	2.6-16.6

■ Tovorafenib 潜在的临床布局 (pLGG)



- FIREFLY-2: 评估 tovorafenib 作为 6 个月至 25 岁 pLGG 患者的一线治疗，第一位患者于 2023 年 3 月接受给药。
- FIRELIGHT-1: 将 tovorafenib 作为单一疗法或联合疗法，由两项子研究组成。子研究 1 是 tovorafenib 作为单一疗法治疗 12 岁及以上患有 MAPK 通路改变的复发性、进行性或难治性实体瘤患者的 2a 期试验，因观察到患者反应持续时间有限，于 2023 年 11 月停止该单一疗法研究；同时抑制 RAF 和 MEK 已被证明可产生协同抗肿瘤活性，子研究 2 即为 tovorafenib 和 pimasertib(MEKI) 联合试验，受试者为 12 岁及以上患有各种 MAPK 改变的实体瘤的患者，第一位患者于 2022 年 5 月接受给药。

03

全球申请上市的新药

申请上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计 4 月全球申请上市 57 款新药，包括 41 款新药、11 款改良新和 3 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	SH-201	化药	/	Shorla Oncology	白血病	美国	2024-04-08	是
	普萘洛尔-XZ21026	化药	ADRB	四川奥邦古得药业有限公司 成都利尔药业有限公司	婴儿血管瘤	中国	2024-04-19	是
	阿帕替尼	化药	VEGFR2	江苏恒瑞医药股份有限公司	三阴性乳腺癌 HR阳性、 HER2阴性乳腺癌	中国	2024-04-23	否
	氟唑帕利	化药	PARP1	江苏恒瑞医药股份有限公司	三阴性乳腺癌 HR阳性、 HER2阴性乳腺癌	中国	2024-04-23	否
	达希替尼	化药	ALK ROS1	轩竹生物科技股份有限公司 先声药业有限公司	非小细胞肺癌	中国	2024-04-25	是
	德达博妥单抗	抗体偶联物 ADC	TROP2	第一三共株式会社	HR阳性、HER2阴性乳腺 癌	美国	2024-04-02	否
内分泌和代谢 系统疾病	醋酸曲普瑞林微球- Gensci006	多肽	GNRHR	长春金赛药业有限责任公司	中枢性性早熟	中国	2024-04-18	是
感染性疾病	脊髓灰质炎灭活疫苗	预防性疫苗 灭活疫苗	Poliovirus	深圳康泰生物制品股份有限 公司	脊髓灰质炎病毒感染	中国	2024-04-12	是
其它	Suzetrigine	化药	Nav1.8	Vertex Pharmaceuticals	急性疼痛	美国	2024-04-18	是

Suzetrigine —— 精准抑制 Nav1.8 疼痛信号，滚动申请上市

2024 年 4 月 18 日，Vertex 宣布 FDA 同意其滚动提交 Suzetrigine 用于**中度至重度急性疼痛**的新药上市申请。Suzetrigine 是全新机制的**非阿片类镇痛药**，有望撬动数十亿美元市场，开创疼痛治疗领域新格局。

疼痛

疼痛是一种由实际或潜在的组织损伤造成的生理感受，按照疼痛持续时长可分为急性疼痛和慢性疼痛，二者之间的区别是以疼痛发作后经历的时间长度而定。止痛药分类如下所示：

止痛药

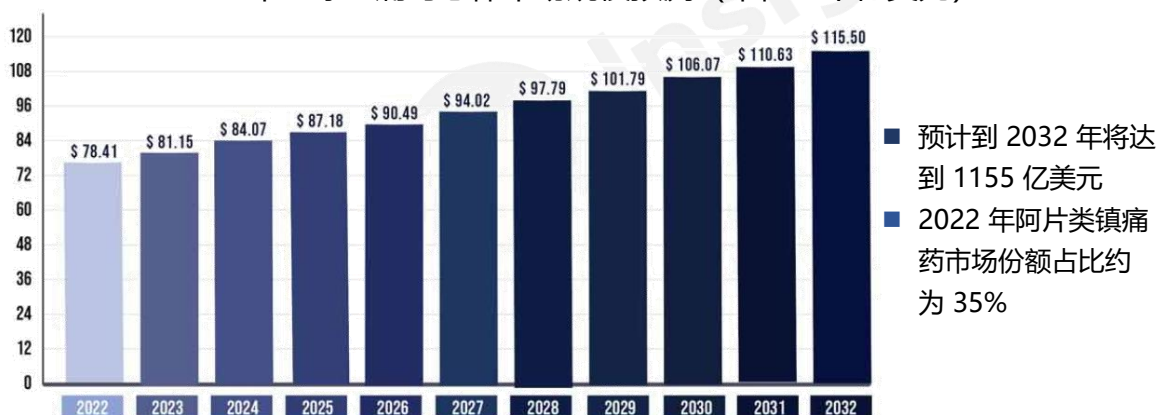
非甾体抗炎药

- ✓ 用于慢性疼痛或轻至中度疼痛症状
- ✓ 非选择性 COX 抑制剂和 COX-2 特异性抑制剂
- ✓ 胃肠道不良反应(AE)

阿片类镇痛药

- ✓ 用于急性疼痛或中至重度疼痛症状
- ✓ 通过结合阿片受体，从而抑制痛觉传导
- ✓ 具有成瘾性，需防止滥用

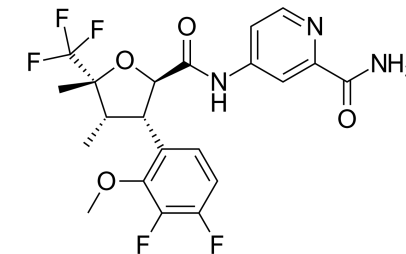
2023 至 2032 年全球止痛药总体市场规模预测（单位：十亿美元）



关于 Suzetrigine

- 钠离子通道亚型 **Nav1.8** 选择性抑制剂，无成瘾性
- 除急性疼痛*外，还有糖尿病周围神经痛#、腰骶神经根病适应症正在进行临床试验

* FDA BTB、Fast Track认定；#FDA BTB认定



Suzetrigine 关键临床结果

关键 III 期临床试验表明：相较于安慰剂，Suzetrigine 治疗组 48 小时内疼痛强度差异的时间加权总和评分 (SPID48) 显著降低

试验登记号	终点指标	Suzetrigine	HB/APAP*	安慰剂
NCT05558410	SPID48 主要终点	118.4	/	70.1
	SPID48 次要终点	118.4	111.8	/
	time to ≥2-point reduction in NPRS 次要终点	119 mins	/	480 mins
NCT05553366	SPID48 主要终点	99.9	/	70.6
	SPID48 次要终点	99.9	120.1	/
	time to ≥2-point reduction in NPRS 次要终点	240 mins		480 mins

*HB/APAP: 羟考酮/对乙酰氨基酚，常用止痛药组

Suzetrigine ——开发兼具安全性和非成瘾性的新机制止痛药之路仍漫长

临床试验阶段的活跃的 Nav1.8 选择性抑制剂有 12 款，除 Suzetrigine 外进展最快的是 HRS4800 和 JMKX000623，目前处于临床 II 期；国内布局企业有济民可信、恒瑞医药、海博为医药、费米子科技等。

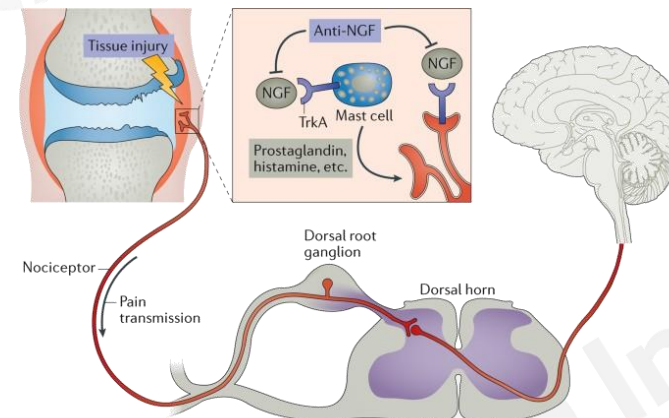
靶点	药品名称	研发机构	研发进度(全球)	研发进度(中国)
	Suzetrigine	Vertex Pharmaceuticals	申请上市(FDA)	/
	JMKX000623	江西济民可信集团(Originator) 芬兰奥利安集团(Licensee)	临床 II 期	临床 II 期
	HRS4800	江苏恒瑞医药股份有限公司	临床 II 期	临床 II 期
	VX 150	Vertex Pharmaceuticals	临床 II 期	/
	LTG-001	Latigo Biotherapeutics	临床 I 期	/
	PF-06305591	辉瑞制药	临床 I 期	/
Nav1.8	VX-973	Vertex Pharmaceuticals	临床 I 期	/
	HBW-004285	成都海博为药业有限公司	临床 I 期	临床 I 期
	VX-993	Vertex Pharmaceuticals	临床 I 期	/
	ODM-111	芬兰奥利安集团	临床 I 期	/
	VX-128	Vertex Pharmaceuticals	临床 I 期	/
	FZ008-145	费米子科技(Originator) 健康元药业(Licensee)	批准临床	批准临床

现状：业内一直在探索研发新机制的止痛药，不仅要求能够媲美阿片类药物的镇痛效果，而且强调安全性和非成瘾性

难点：痛觉信号产生与传输过程中有众多离子通道，而同一种离子通道有多种亚型，不同亚型功能不同但结构相似、同源性高，使得部分靶向某一种特定亚型分子的设计和研发难度倍增

在研的疼痛新机制靶点，除 Nav1.8 以外，还有神经生长因子 **NGF**、钠离子通道亚型 **Nav1.7** 等

NGF 镇痛作用机制图



- NGF 整体发展并不顺畅，进展较慢
- Tanezumab、Fasinumab 相继遇挫
- 国内企业也在这个靶点上探索开发，如 SSS40(三生制药)、EP9001A(优洛生物)、DA002(达石药业) 等

Nav1.7 在研状况

据 Insight 统计，布局疼痛领域的 Nav1.7 靶向药物共有 60 款，但适应症活跃药物仅为 26 款，绝大部分药物进度为临床前；再生元制药、第一三共制药、Vertex 等也在该靶点上探索开发中

2024年5月和2024年6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，2024年5月份预计还有3款药品会迎来FDA审评结论，2024年6月份预计有18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
Lisocabtagene maraleucel*	CAR-T	百时美施贵宝制药	滤泡性淋巴瘤	2024-05-23
Prademagene zamikeracel*	基因治疗 角质形成细胞	Abeona Therapeutics	隐形遗传营养不良型大疱性表皮松解症	2024-05-25
Lisocabtagene maraleucel*	CAR-T	百时美施贵宝制药	套细胞淋巴瘤	2024-05-31
阿米吡啉	化药	Catalyst Pharmaceuticals	兰伯特-伊顿综合征	2024-06-04
呼吸道合胞病毒疫苗-GSK 3844766A*	预防性疫苗 重组蛋白疫苗	葛兰素史克	呼吸道合胞病毒感染	2024-06-07
Elafibranor*	化药	益普生制药 Genfit	原发性胆汁性胆管炎	2024-06-10
Tarlatamab*	双特异性抗体	安进制药	小细胞肺癌	2024-06-12
瑞普替尼*	化药	百时美施贵宝制药	实体瘤	2024-06-15
伊美司他	化药	Geron	骨髓增生异常综合征	2024-06-16
21价肺炎球菌多糖结合疫苗-V116*	预防性疫苗 多糖结合疫苗	默沙东制药	肺炎链球菌感染	2024-06-17
阿莫氯醇	化药	LadRx Corporation	C型尼曼匹克病	2024-06-21
贝林妥欧单抗*	双特异性抗体	安进制药	B细胞急性淋巴细胞白血病	2024-06-21
艾加莫德皮下注射*	单特异性抗体 抗体片段	Argenx	慢性炎性脱髓鞘性多发性神经病	2024-06-21

2024年5月和2024年6月FDA新药PDUFA清单



药品成分	成分类别	研发机构	申报适应症	PDUFA 日期
替洛利生*	化药	Harmony Biosciences	发作性睡病	2024-06-21
帕博利珠单抗*	单特异性抗体	默沙东制药	子宫内膜癌	2024-06-21
阿达格拉西*	化药	再鼎医药	结直肠癌	2024-06-21
德帕瑞妥单抗*	抗体偶联物ADC	第一三共株式会社 默沙东制药	非小细胞肺癌	2024-06-26
恩塞芬汀	化药	Verona Pharma	慢性阻塞性肺疾病	2024-06-26
度普利尤单抗*	单特异性抗体	赛诺菲制药	慢性阻塞性肺疾病	2024-06-27
Epcoritamab*	双特异性抗体	Genmab	滤泡性淋巴瘤	2024-06-28
Marnetegrane autotemcel*	基因治疗 造血干细胞HSC	Rocket Pharmaceuticals	白细胞黏附缺陷症1型	2024-06-30

04

重点临床试验与结果

重点临床试验结果 (部分)

据 Insight 数据库统计, 4 月共收录 587 项最新临床实验结果, 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	备注
肿瘤	AK104-302, COMPASSION-15	康方生物	卡度尼利单抗+化疗 vs 安慰剂+化疗	PD-1 CTLA-4	双抗	胃癌 胃食管交界处癌	III 期	mOS: 15 months vs 10.8 months	积极	达到主要终点, 首个 PD-1/CTLA-4 双抗一线胃癌疗法
	FUGEN	浦润奥生物	伯瑞替尼 vs 替莫唑胺或顺铂联合依托泊苷	MET	化药	胶质母细胞瘤	II/III 期	mOS: 6.31 months vs 3.38months	积极	胶质母细胞瘤临床结果首次公布
	PETRA	阿斯利康	Saruparib	PARP1	化药	乳腺癌	I/II 期	ORR: 48.4% mPFS: 9.1 months	积极	近半数患者获得缓解
	JS001sc-001-I	君实生物	特瑞普利单抗-JS001SC	PD-1	单抗	鼻咽癌	I 期	ORR: 100% VS 92.3% VS 92.3%	积极	首次公布结果
非肿瘤	SURMOUNT-OSA	礼来	替尔泊肽 vs 安慰剂	GIPR GLP1R	多肽	阻塞型睡眠呼吸暂停, 肥胖	III 期	AHI (52-week): -27.4 VS -4.8 VS -30.4 VS -6.0 AHI (52-week): -55.0% VS -5.0% VS -62.8% VS -6.4%	积极	主要终点和关键次要终点均达到, 计划提交监管申请
	APPLAUSE-IgAN	诺华	伊普可泮 vs 安慰剂	CFB	化药	IgA肾病	III 期	UPCR (at 9 months): reduction 38.3% vs placebo	积极	已提交 FDA 加速审批, 有望成为首款专门针对替代补体通路的 IgAN 疗法
	Level Up	艾伯维	乌帕替尼 vs 度普利尤单抗	JAK1	化药	特应性皮炎	III/IV 期	WP-NRS 0/1: 30.2% VS 15.5% EASI90 (16-week): 40.8% VS 22.5%	优效	头对头试验, 疗效数据优于度普利尤
	KARDIA-2	阿尔尼拉姆制药	Zilebesiran+标准疗法 vs 安慰剂+标准疗法	AGT	siRNA	高血压	II 期	SBP 终点达到	积极	长效高血压疗法, 降压效果可持续至 6 个月

LEVEL UP 研究—乌帕替尼治疗中重度特应性皮炎头对头度普利尤单抗研究成功

4月25日艾伯维宣布，头对头 III/IV 期 LEVEL UP 研究中，乌帕替尼治疗中重度特应性皮炎 (AD) 患者的疗效数据优于度普利尤单抗，达到了 EASI 90 (严重程度指数评分较基线至少改善 90%) 和 WP-NRS 0/1 (最严重瘙痒数字评定量表评分 0/1) 的主要终点。安全性方面，LEVEL UP 研究未发现新的安全信号，两组最常见的不良事件 (AE) 均为鼻咽炎，严重 AE 发生率相同 (0.9%)。

纳入标准:

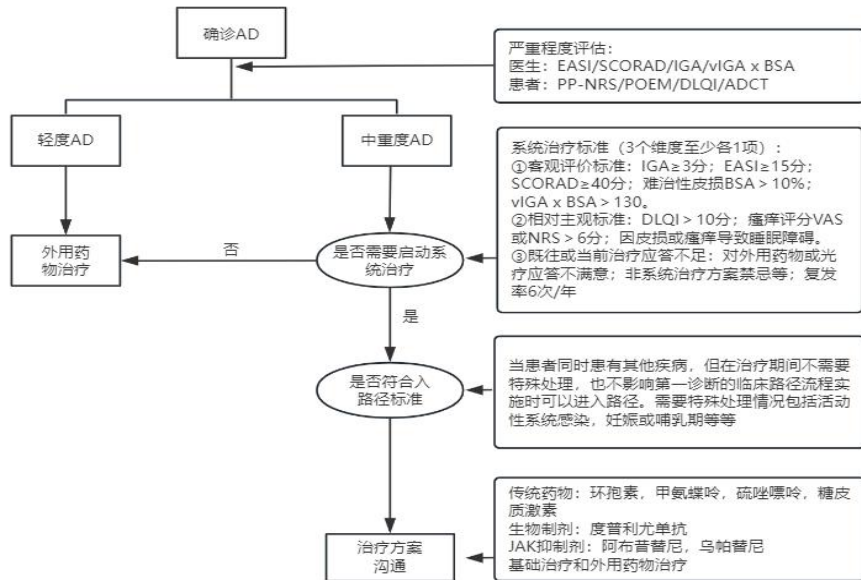
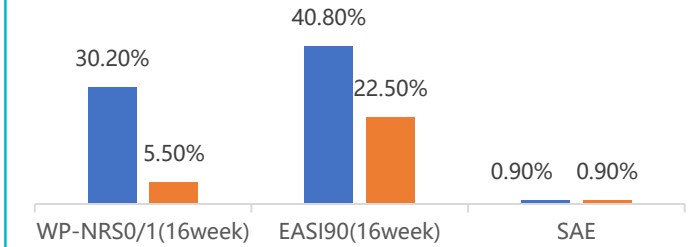
- 12 岁至 64 岁症状在基线前至少 3 年，且符合 Hanifin 和 Rajka 标准。
- EASI 评分 ≥ 16 ; vIGA-AD 评分 ≥ 3 且 BSA 参与程度 $\geq 10\%$ 。
- WP-NRS 的基线周平均值 ≥ 4 。

乌帕替尼组: 第一阶段: 15 mg 口服给药, 一天一次。合格的受试者第二阶段: 30 mg 口服给药, 一天一次。

度普利尤单抗组: 体重 ≥ 60 kg, 起始剂量为 600 mg, 随后每两周 1 次给药 300 mg, < 60 kg 的青少年患者, 起始剂量为 400 mg, 随后每两周 1 次 200 mg。

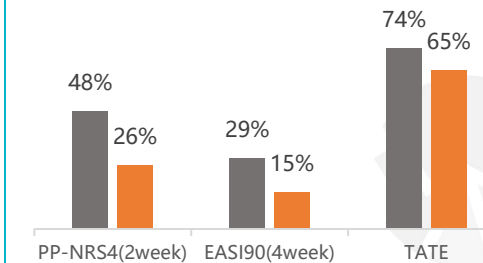
- 主要终点: EASI 90 and WPNRS 0/1(16-week)
- 次要终点: EASI90 (16-week); WP-NRS > 1 的参与者 WP-NRS 0/1(16-week); WP-NRS ≥ 4 的参与者 (WP-NRS) ≥ 4 (16-week); EASI 75(2-week); EASI 100(16-week)。

LEVEL UP 头对头研究结果
■ 乌帕替尼 ■ 度普利尤单抗

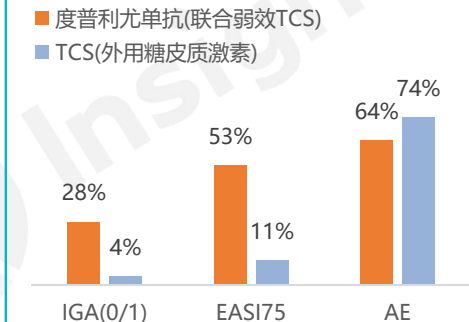


药品	类别	获批适应症(中国)
度普利尤单抗	单抗	治疗外用药物控制不佳或不建议使用外用药物6个月及以上儿童和成人中重度特应性皮炎。可与或不与外用皮质类固醇联合使用。
阿布昔替尼	JAK1 抑制剂	其他系统治疗应答不佳或不适宜的12岁及以上青少年和成人难治性中重度特应性皮炎患者。
乌帕替尼	JAK1 抑制剂	其他系统治疗应答不佳或不适宜的12岁及以上青少年和成人难治性中重度特应性皮炎患者。

JADE DARE 头对头研究
■ 阿布昔替尼 ■ 度普利尤单抗



Liberty AD研究(年龄为6个月-5岁)



阿布昔替尼疗效数据优于度普利尤, 但出现不良事件的比例更大一些; 度普利尤单抗虽疗效不是最佳, 但适用于治疗 6 个月及以上全年龄段特应性皮炎患者。

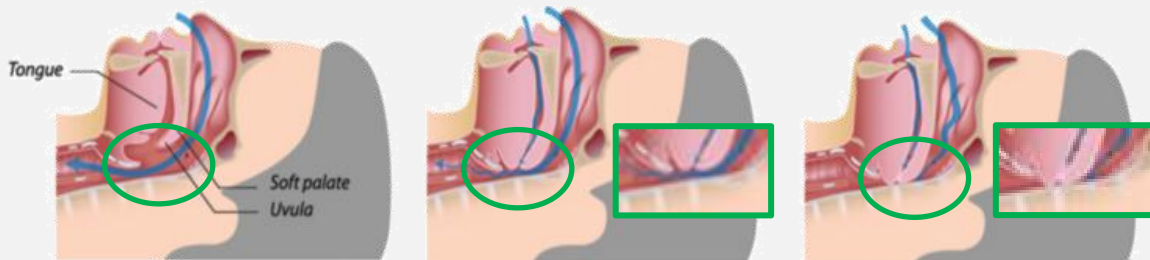
SURMOUNT-OSA 研究 — “溢出效应” 进一步得验证

4月17日，礼来宣布替尔泊肽用于治疗中度至重度阻塞性睡眠呼吸暂停(OSA)合并肥胖的 III 期 SURMOUNT-OSA 临床研究达到主要终点，礼来将向美国 FDA 和其他监管机构递交上市申请；除降糖、减重适应症以外，替尔泊肽有望开拓新市场。

关于 OSA

阻塞性睡眠呼吸暂停是最常见的睡眠呼吸暂停类型，系睡眠过程中喉咙或上气道反复闭合引起的。

治疗可应用经鼻持续气道正压通气、口腔矫正器，对难治病例可行手术治疗。治疗积极则预后良好。未经治疗的患者有患高血压、心房颤动和其他心律失常、心力衰竭以及因嗜睡引起的机动车碰撞和其他事故而受伤或死亡的风险。



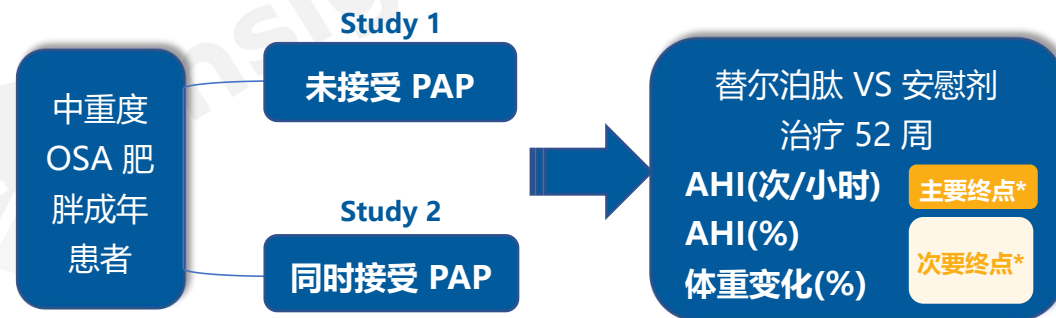
正常呼吸

部分阻塞-鼾症

完全阻塞-OSA

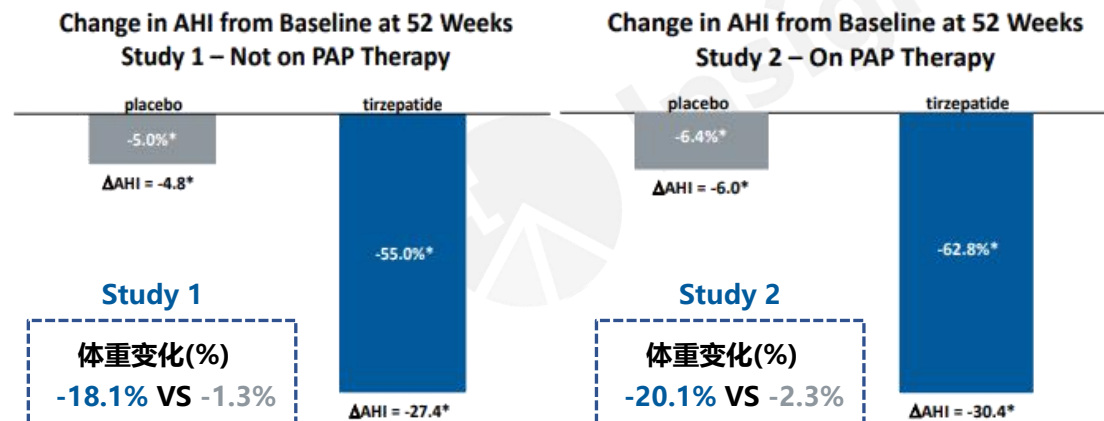
- 患者群：
 - 全世界约有 10 亿人受到影响，其中大多数人没有得到诊断和治疗；
 - 8~16% 的成年人存在一定程度的 OSA 症状。在男性和肥胖（即 BMI ≥30）人群中的发病率分别是正常人的 4 倍和 7 倍；

临床试验设计



PAP: 正压通气
AHI: 呼吸暂停低通气指数
*: 较基线变化

试验结果



首次进入 III 期临床的新药(1)

根据 Insight 数据库, 2024 年 4 月全球进入临床 III 期的新药项目有 27 个 (22 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
特瑞普利单抗-JS001SC	单特异性抗体	PD-1	君实生物	非鳞状非小细胞肺癌	2024-04-30	CTR20241554	中国
SG301	单特异性抗体	CD38	杭州尚健生物	多发性骨髓瘤	2024-04-30	CTR20241042	中国
OCU400	基因治疗	NR2E3	Ocugen, 康希诺生物	视网膜色素变性	2024-04-29	NCT06388200	美国
INM 004	抗体片段	Stx1, Stx2	Inmunova	溶血尿毒综合征	2024-04-29	NCT06389474	阿根廷
HR17031	多肽	GLP1R, INSR	恒瑞医药	2 型糖尿病	2024-04-29 2024-04-28	CTR20241516 CTR20241529	中国
咪达唑仑+氯胺酮-MELT-300	化药	GABRA, GRIN	Melt Pharmaceuticals	镇静	2024-04-25	NCT06383273	美国
ESG401	抗体偶联物ADC	TROP2	上海诗健生物	HR 阳性、HER2 阴性乳腺癌	2024-04-25	NCT06383767、 CTR20241439	中国
替度鲁肽-PJ009	多肽	GLP2R	重庆派金生物	短肠综合征	2024-04-18	CTR20241372	中国
埃本利单抗	单特异性抗体	PD-1	勃林格殷格翰制药	软组织肉瘤, 粘液纤维肉瘤, 未分化多形性肉瘤	2024-04-17	NCT06370871	/
自体外周血干细胞(首尔大学医院)	干细胞疗法	/	首尔大学医院	心肌梗死	2024-04-15	NCT06364150	/
补体C1抑制蛋白	其它血液制品	C1R, C1S	奥克特珐玛	遗传性血管性水肿	2024-04-12	NCT06361537	罗马尼亚
洛索洛芬	化药	COX	广东莱恩医药	眼部术后疼痛, 眼部术后炎症	2024-04-11	CTR20241022	中国
曼多奇单抗	单特异性抗体	IL4R	康方生物	特应性皮炎	2024-04-11	NCT06383468、 CTR20241231	中国
Becotatug	单特异性抗体	EGFR	石药集团, 上海津曼特生物	非小细胞肺癌	2024-04-11	NCT06380348、 CTR20241252	中国
Golcadomide	分子胶降解剂	CRBN, IKZF1, IKZF3	百时美施贵宝, 新基医药	B 细胞淋巴瘤	2024-04-10	NCT06356129	中国, 美国, 日本等

首次进入 III 期临床的新药(2)

根据 Insight 数据库, 2024 年 4 月全球进入临床 III 期的新药项目有 27 个 (22 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
JJH201501	化药	SLC6A4	吉贝尔药业, 镇江圣安医药	抑郁症	2024-04-09	CTR20241229	中国
促红素α (Megalabs)	细胞因子类	EPOR	Megalabs	贫血	2024-04-08	NCT06352138	乌拉圭
TPX-4589	抗体偶联物ADC	CLDN-18.2	Turning Point Therapeutics, 礼新医药	胃癌 胃食管交界处癌	2024-04-08	NCT06351020、 CTR20240955	中国
QX005N	单特异性抗体	IL4R	江苏荃信生物, Seneca Biopharma	结节性痒疹, 特应性皮炎	2024-04-07	ChiCTR2400082720、 CTR20241068	中国
AD-209	化药	/	Addpharma	原发性高血压	2024-04-04	NCT06348576	韩国
Naporafenib	化药	BRAF, RAF1	诺华制药, Erasca	黑色素瘤	2024-04-03	NCT06346067	美国
SHR-A1904	抗体偶联物ADC	CLDN-18.2	恒瑞医药, 默克	实体瘤	2024-04-03	NCT06350006、 CTR20241158	中国
MK-1084	化药	KRAS G12C	默沙东, Astex Pharmaceuticals, 大鹏药品 工业株式会社	非小细胞肺癌	2024-04-03	NCT06345729	美国
Botensilimab	单特异性抗体	CTLA4	Agenus	胃癌 胃食管交界处癌, 食管腺癌	2024-04-03	NCT06346197	法国
普洛西单抗	单特异性抗体	VEGFR2	康方生物	胃癌 胃食管交界处癌	2024-04-02	NCT06341335、 CTR20241225	中国
单倍体造血干细胞移植+脐 带血 (苏大一院)	造血干细胞HSC	/	苏州大学附属第一医院	T 细胞急性淋巴细胞白血病	2024-04-01	NCT06381817	中国
邦瑞替尼	化药	JAK2	杭州广良生物, 华东医药, 杭州邦顺制药, 杭州澳津生物	真性红细胞增多症	2024-04-01	CTR20240873	中国

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，4 月共有 7 款新药研发终止，7 款新药适应症研发终止。

■ 研发进度终止新药清单

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
贝达药业股份有限公司	BPI-43487	化药	FGFR4	临床 I 期	实体瘤	疗效不佳
	BPI-421286	化药	KRAS G12C	临床 I 期	实体瘤	
PTC Therapeutics	Unesbulin	化药	TUB	临床 II/III 期	平滑肌肉瘤	研发策略调整
成都苑东生物制药股份有限公司	EP-00931+EP0093A	化药	MOR	临床前	疼痛	
Carisma Therapeutics	CT-0508	CAR-巨噬细胞	HER2	临床 I 期	实体瘤	
	CT-1119	CAR-其他细胞	MSLN	临床前	实体瘤	
云南沃森生物技术股份有限公司	AdC68-19S	病毒载体疫苗 预防性疫苗	SARS-CoV-2 S	临床 II 期	2019 冠状病毒感染	其他

■ 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
科兴生物制药股份有限公司	重组人干扰素α-2b	细胞因子类	IFNAR	宫颈炎，阴道炎	批准临床	研发策略调整
赛诺菲制药	Oditrasertib	化药	RIPK1	肌萎缩侧索硬化症	临床 II 期	疗效不佳
罗氏制药	萨特利珠单抗	单特异性抗体	IL6R	重症肌无力	临床 III 期	
吉利德制药	莫洛利单抗	单特异性抗体	CD47	三阴性乳腺癌	临床 II 期	未知
歌礼制药有限公司	ASC43F	化药	FXR THRβ	代谢功能障碍相关脂肪性肝炎	临床 I 期	
阿斯利康制药	ION455	ASO	HSD17B13	代谢功能障碍相关脂肪性肝炎	临床 I 期	
	AZD5055	化药	PORCN	特发性肺纤维化	临床 I 期	

06

最新早期管线进展

国内企业最新早期管线进展



据 Insight 数据库统计，4 月共收录最新公布的全球新药项目 756 个。下表仅展示部分企业最新公布的早期候选项目，及当前靶点、同类型药物全球竞争格局。

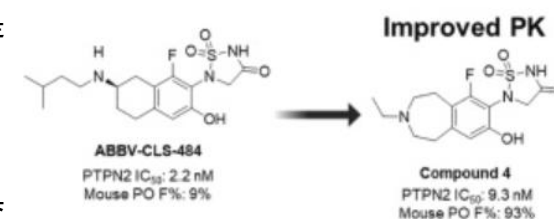
研发机构	药品成分	靶点	成分类别	适应症	全球最高状态	竞争格局概述（只统计活跃项目）
普罗凯融	CD276-targeted CAR-NK	B7-H3	CAR-NK	食管鳞癌	临床前	同靶点同类项目 2 个，最快处于临床前，潜在 FIC
信达生物	IBI352g4a	PVRIG	单特异性抗体	肿瘤	临床前	MNC 有布局，同靶点同类项目 11 个，最快进入 I/II 期临床
宜明昂科	IMM7211b	ACVR2A	抗体类融合蛋白	骨质疏松,肌肉减少症	临床前	ACVR2A×未知靶点，已有ACVR2A融合蛋白获批上市
百奥赛图	BCG021	4-1BB CD40	双特异性抗体	肿瘤	临床前	同靶点同类项目有3款，最快进入 I/II 期
百奥赛图	BCG023	FRα MUC1	抗体偶联物ADC (双抗)	卵巢癌,乳腺癌,非小细胞肺癌	临床前	同靶点首个，FIC
Jecho Laboratories 杰科生物	HER2/HER3-targeting bispecific ADC	HER2 HER3	抗体偶联物ADC (双抗)	乳腺癌	临床前	同靶点同类项目 3 个，最快进入I期临床
圣域生物	SYX1097	POLQ	化药	肿瘤	临床前	MNC 有布局，同靶点同类项目 22 个，最快进入 I/II 期临床，合成致死潜力靶点
百诚医药	BIOS-0625	RIPK1	化药	炎症性肠病,银屑病,关节炎,肿瘤,结肠炎	临床前	MNC 有布局，同靶点同类项目 35 个，最快进入 II 期临床
百诚医药	BIOS-0623	HRH3	化药	瘙痒,疼痛	临床前	30 个项目，最快已获批上市
丽珠医药 健康元	GWT1抑制剂(丽珠)	GWT1	化药	真菌感染	临床前	MNC 有布局，同靶点同类项目8个，最快进入 III 期临床
朗睿生物	LB-2159	ALK NTRK ROS1	化药, AI技术	实体瘤	临床前	同靶点同类项目有 5 款，最快获批上市

- PVRIG 作为一种新兴的共抑制受体，近年来越来越多被关注，且已有临床数据证明 PVRIG+TIGIT+PD-1 联用具有良好的协同作用。全球进展最快的 PVRIG 单抗是 Compugen 和 BMS 合作的 COM701，在 2023SITC 大会上公布的最新结果显示，在经过大量既往治疗的患者中三药联用**疾病控制率达到 45%** (NCT04570839)。
- 目前，全球 PVRIG 靶点的药物共有 23 款（包括单抗、双抗、三抗），其中国内企业有 19 款，包括恒瑞、君实、百济神州等均有布局，但是都处于早期阶段，未来与 PD-1/ TIGIT 的联用探索或大有可为，值得持续关注。

数据来源：Insight 数据库，企业新闻，文献，会议等 备注：仅展示有靶点信息公布、且尚处于临床前的早期项目

国外企业最新早期管线进展

- 国外企业最新候选管线中，英矽智能通过 AI 驱动药物发现平台，公开了三个靶点 4 款潜在候选新药。其中，值得关注的是 PTPN1/PTPN2 靶点。
- 在癌症免疫治疗领域，艾伯维的 ABBV-CLS-484 是第一个进入临床阶段的活性位点磷酸酶抑制剂，其发现过程在 2023 年发表在《Nature》，目前处于临床 I 期。英矽智能 PTPN1/PTPN2 抑制剂是在 ABBV-CLS-484 的基础上进行优化，该候选分子在具有同等生物活性的基础上，展现了更强的体内吸收和口服生物利用度。



研发机构	药品成分	靶点	成分类别	适应症	全球最高状态	竞争格局概述 (只统计活跃项目)
辉瑞制药	EP300 selective PROTACS(Pfizer)	p300	PROTAC	多发性骨髓瘤,非霍奇金淋巴瘤	临床前	同靶点同类项目 14 个, 最快处于临床前, 潜在 FIC
勃林格殷格翰	AAV9.RS-mIL-12	IL12R	溶瘤病毒	肝细胞癌	临床前	同靶点同类项目 27 个, 最快进入 II 期临床
武田制药	COBRA targeting Her2(Takeda)	CD3 HER2	双特异性抗体	肿瘤	临床前	同靶点同类项目 14 个, 最快进入 I 期临床
强生制药	HBV mRNA vaccine	HBcAg HBsAg HDP	治疗性疫苗 mRNA疫苗	乙型病毒性肝炎	临床前	同靶点同类项目 2 个, 最快处于临床前, 潜在 FIC
Janssen Research & Development	CK1δ Inhibitor(杨森)	CSNK1D	化药	精神障碍	临床前	同靶点同类项目 7 个, 最快进入 I 期临床
帝人株式会社	TPM-1116	OX2R	化药	发作性睡病	临床前	MNC 有布局, 同靶点同类项目 29 个, 最快获批上市
英矽智能	PoIθ抑制剂(英矽智能)	POLQ	化药 AI技术	肿瘤	临床前	MNC 有布局, 同靶点同类项目 22 个, 最快进入 I/II 期临床, 合成致死潜力靶点
英矽智能	ISM2196	WRN	化药 AI技术	肿瘤	临床前	MNC 有布局, 同靶点同类项目 11 个, 最快进入 I 期临床
英矽智能	ISM9342A	WRN	化药 AI技术	肿瘤	临床前	MNC 有布局, 同靶点同类项目 11 个, 最快进入 I 期临床
英矽智能	compound 4(英矽智能)	PTPN1 PTPN2	化药 AI技术	肿瘤	临床前	MNC 有布局, 同靶点同类项目 2 个, 最快进入 I 期临床

07

重点医药交易

重磅交易

4 月据 Insight 数据库统计，共收录 94 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，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
2024-04-05	转让/收购	Shockwave Medical	强生制药	未披露	未披露	未披露	交易总额：13100 百万美元
2024-04-10	转让/收购	Alpine Immune Sciences	Vertex Pharmaceuticals	Povetacicept	抗体类融合蛋白	BAFF APRIL	交易总额：4900 百万美元
2024-04-23	合作	WAVE Life Sciences	葛兰素史克制药	two oligonucleotide programs	RNA编辑 siRNA	未披露	交易总额：3300 百万美元 里程碑付款：12 百万美元
2024-04-17	合作	IGM Biosciences	赛诺菲制药	three immunology/inflammation targets IgM agonist antibodies	抗体-暂未确定类别	未披露	交易总额：3195 百万美元
2024-04-30	合作	PeptiDream	诺华制药	novel macrocyclic peptides	多肽偶联药物PDC 放射性核素偶联药物RDC 治疗用放射性药物 诊断用放射性药物	STAT6	首付款：180 百万美元 里程碑付款：2710 百万美元
2024-04-09	合作、期权	Nurix Therapeutics	赛诺菲制药	STAT6 degraders(Nurix Therapeutics)	PROTAC	STAT6	首付款：55 百万美元 里程碑付款：2500 百万美元 其他交易额：22 百万美元
2024-04-30	转让/收购	Deciphera Pharmaceuticals	小野制药	瑞派替尼 Vimseltinib	化药	KIT PDGFRA CSF1R	交易总额：2400 百万美元
2024-04-29	合作	Repertoire Immune Medicine	百时美施贵宝制药	Type 1 Diabetes(Repertoire) Multiple Sclerosis(Repertoire)	治疗性疫苗 mRNA疫苗	未披露	首付款：65 百万美元 里程碑付款：1800 百万美元

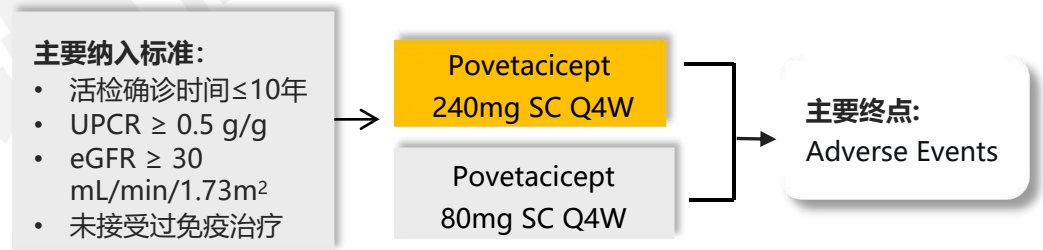
重磅收购—Vertex 49 亿美元收购 Alpine，加强自免管线布局

4月10日，Vertex Pharmaceuticals 宣布与 Alpine Immune Sciences 达成最终协议，将以每股 65 美元收购 Alpine，预计交易总额达 49 亿美元，该交易预计将于 2024 年第二季度完成。此次收购 Vertex 将获得 Alpine 核心产品 Povetacicept (ALPN-303)，这是一款同时针对 BAFF 和 APRIL 的双重拮抗剂，目前已进展至临床 I/II 期开发治疗自身抗体相关肾小球疾病，其在 IgA 肾病方面显示出了同类产品中最优的潜在疗效。

■ 已进入临床阶段的 BAFF/APRIL 双重抑制剂

项目	研发机构	全球最高研发进度	在研适应症
泰它西普	荣昌生物	批准上市	批准上市: 系统性红斑狼疮 申请上市: 类风湿关节炎 临床 III 期: 视神经脊髓炎, 重症肌无力, 干燥综合征, IgA 肾病 临床 II 期: 多发性硬化, 狼疮肾炎, 血小板减少症, 弥漫性皮肤系统性硬化症 批准临床: 幼年系统性红斑狼疮 临床前: IgG4 相关性疾病
阿塞西普	百时美施贵宝 Vera	临床 III 期	临床 III 期: 狼疮肾炎, IgA 肾病 临床 II/III 期: 系统性红斑狼疮 临床 II 期: 类风湿关节炎, 视神经炎, 多发性硬化
Povetacicept	Alpine	临床 I/II 期	临床 I/II 期: IgA 肾病, 狼疮肾炎, 膜性肾病, ANCA 相关性小血管炎 临床 I 期: 系统性红斑狼疮, 免疫性血小板减少症 临床前: 重症肌无力, 自身免疫性脑炎
AUR200	安斯泰来	申请临床	申请临床: 自身免疫性疾病

■ RUBY-3 试验 IgA 肾病最新结果

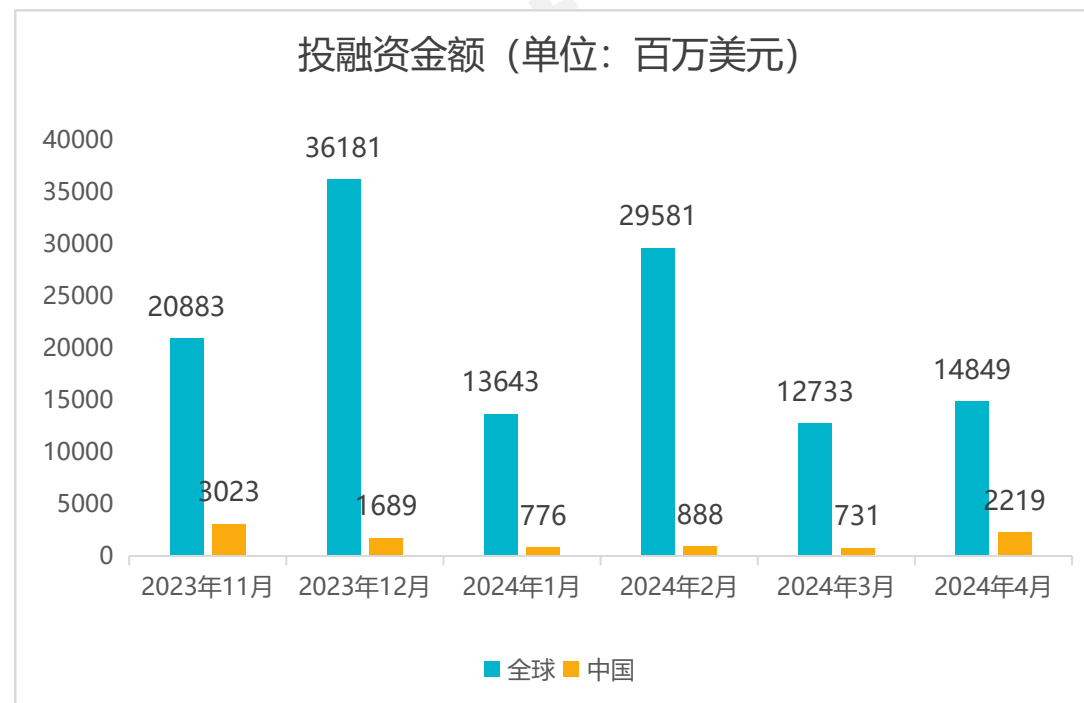
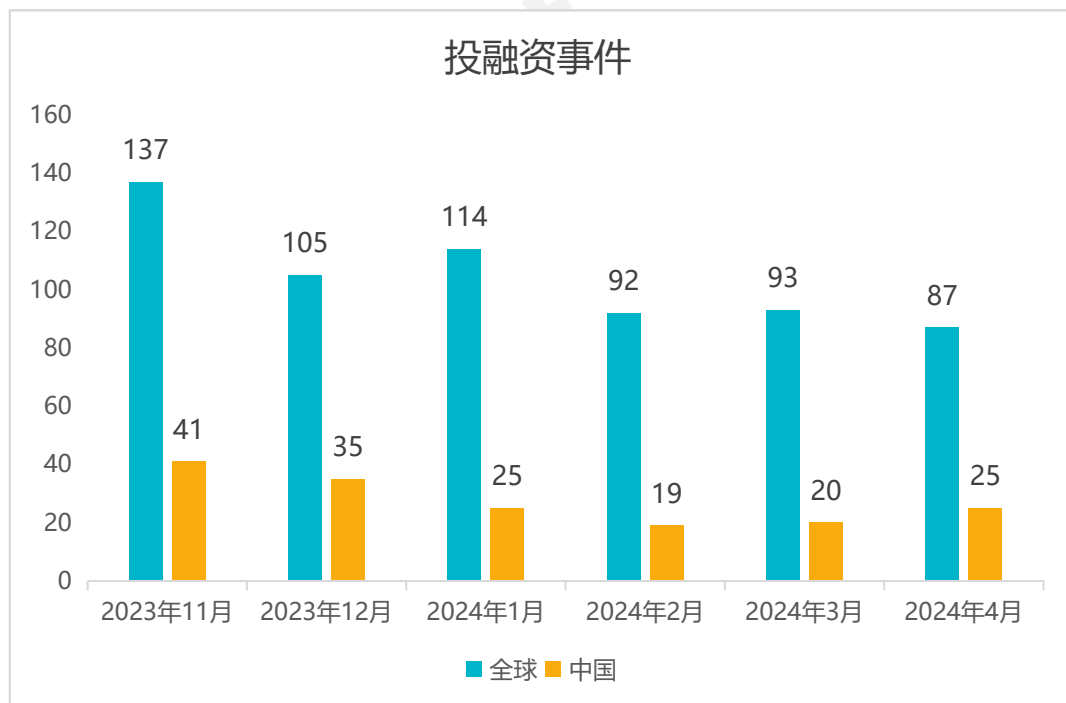


组别 (N=430)	试验组1 (N=12)	试验组2 (N=29)
分组特征	80mg	240mg
干预药	Povetacicept	Povetacicept
UPCR (36-week)	-64.1%	
UPCR (48-week)	-78.0%	
remission (36-week)	67%	
remission (48-week)	100%	
TEAE 主要终点	58%	34%
infection 主要终点	17%	28%

08

投融资概览

近半年医药企业投融资概览



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。

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