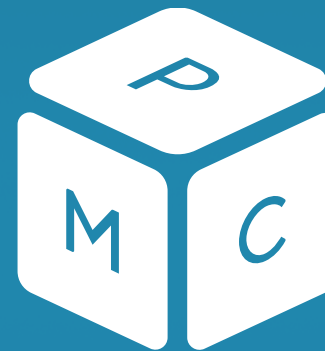


2024年11月全球新药

转化医学+研发/注册进展

2024-11

医药魔方全球新药研究团队



NextPharma全球新药数据库：聚焦临床开发数据 加速新药情报获取

管线产品检索

按技术、区域、作用机制的产品筛选

药品综述

管点产品检索

成熟、积极、消极靶点
靶点图谱

靶点疾病开发图景

药物

靶点

靶点热度

疾病

领域靶点热度分析

临床试验结果

基于方案、领域、靶点、治疗线的临床结果筛选

公司

公司产品线搜索

新闻、权益交易监控

企业类型筛选

公司概况页



扫码申请数据库试用


 NextPharma®

NextPharma®内网版

[咨询分析师](#)
[表头筛选](#)
[标签筛选](#)

三 关闭侧栏

- 基础查询
- 医药交易
- 新闻热点
- 临床结果
- 流行病学
- 转化医学
- 领域透视
- 靶点星阵
- 机会池
- CGT
- 知识卡片
- 研究报告
- 订阅中心
- 帮助中心

基础查询

药品

请输入药品

靶点

请输入靶点

研发机构

请输入研发机构

疾病

请输入疾病

药理类型

全部

抗体偶联药物

mRNA疫苗

溶瘤病毒

CAR T细胞疗法

干细胞疗法

RNAi疗法

反义疗法

双特异性抗体

PROTAC

更多

药品类别一

全部

微创新

生物类似药

药品类别二

全部

化药

生物

中药

其他

药品类别三

全部

first-in-class

potential first-in-class

独家细分市场

复方

多肽

抗体

疫苗

核酸

基因疗法

细胞疗法

血液制品

中成药

中药单体

放射性药物

降解类药物

肿瘤免疫

更多

疾病领域

全部

感染领域

肿瘤领域

血液领域

精神领域

皮肤领域

心脑血管领域

神经领域

呼吸领域

消化领域

骨骼肌内领域

免疫领域

泌尿生殖领域

眼科领域

耳鼻喉领域

内分泌及代谢领域

麻醉镇痛领域

药物过量/中毒领域

罕见疾病领域

诊断试剂领域

其他领域

研发阶段(单疾病)

全部

临床前

申报临床

I期临床

II期临床

III期临床

申请上市

批准上市

最高研发阶段 全球

全部

临床前

申报临床

I期临床

II期临床

III期临床

申请上市

批准上市

最高研发阶段(中国)

全部

临床前

申报临床

I期临床

II期临床

III期临床

申请上市

批准上市

阶段开始日期 全球

自定义

yyyy-mm-dd

~

yyyy-mm-dd

阶段开始日期(中国)

自定义

yyyy-mm-dd

~

yyyy-mm-dd

里程碑事件

首次批准上市(全球)

yyyy-mm-dd

~

yyyy-mm-dd

研发机构所在国家/地区

全部

中国(内地)

中国(港澳台)

美国

日本

欧洲

俄罗斯

印度

韩国

更多

原研机构所在国家/地区

全部

中国(内地)

中国(港澳台)

美国

日本

欧洲

俄罗斯

印度

韩国

更多

原研机构权益地区

全部

全球

中国(内地)

美国

欧洲

日本

其他

研发机构评分

全部

5分

4分

3分

2分

1分

研发机构类型

全部

公司

高校院所

医院

政府机构

全球研发状态

全部

Active

Inactive

Unknown

研发赛道排名

全部

中国Top1

中国Top3

中国Top5

中国Top1(中国企业)

中国Top3(中国企业)

中国Top5(中国企业)

全球Top1

全球Top3

全球Top5

审评审批类型

全部

重大专项(中国)

特殊审批(中国)

优先审评(中国)

突破性疗法(美国)

突破性疗法(中国)

突破性疗法(日本)

突破性疗法(欧洲)

紧急使用授权

附条件批准(中国)

加速批准(美国)

附条件批准(欧洲)

附条件早期批准(日本)

交易情况

全部

无交易

有交易

交易金额(百万)/美元 总金额

最小额度

~

最大额度

重置

检索

收起筛选

共 14 条

检索: 药品类别一 = (创新药) AND 最高研发阶段(全球) = (批准上市) AND 疾病领域 = (肿瘤领域) AND 药理类型 = (抗体偶联药物)

列表

可视化

自定义列

订阅

导出

对比	药品名称	药品类别一	靶点	作用机制	研发机构	疾病	全球阶段	全球研发状态	药品类别二	药品类别三	欧洲阶段	欧洲阶段开始
☐	吉妥珠单抗 隆米星	创新药	CD33 成熟	anti-CD33抗体偶联药物	Wyeth(Pfizer); Celltech(UCB) 原研	急性髓系白血病; 骨髓增生异常综合征; 急性早幼粒细胞白血病; 慢性髓系白血病; 急性淋巴细胞白血病 (+0)	批准上市	Active	抗体; 可降解连接器; linker [链接]; payload [calicheamicin]; first-in-class; 偶联药物	生物	批准上市	2018-04-19

• 本报告中涉及到的主要数据均来自于NextPharma全球新药数据库。如需了解数字背后的详细数据，请扫描左侧二维码申请查看&申请试用。

福利1：免费订阅医药行业最新动态邮件

想及时获取医药行业
最新热点动态及机会？



扫描二维码免费订阅

福利限时开放中....

魔方新闻日报

每日早8:00发送, 快速知晓医药行业重点/热点事件

- 组织架构调整及人事变动
- 企业投融资及授权交易
- 药物研发和注册进展
- 人物专访、专家观点和综合性深度分析

新药动态日报(英文版)

纵览每日全球医药行业每日热点和前沿事件

- 监管机构审评审批动态
- 最新药物临床试验进展
- 全球重磅交易/合作事件
- 前沿转化医学文献追踪
- 全球重要学术会议梳理
- 魔方精选行业研究报告

核心行业数据监测周报

总结上一周核心行业数据, 更新竞争格局, 了解热门事件

- 中国境内重点赛道药物申报动态
- 中国境内招采和政策要闻
- 全球重点临床结果和热门投融资事件
- 重点公司战略和管线进展、前沿医学、行业分析等

福利2：免费订阅医药行业最新交易/投融资事件消息，支持预警第一时间推送至微信手机端

查询结果通知

文章标题: 美国生物科技公司Civi Biopharma宣布完成近亿美元授权交...

发布时间: 2024-10-2

发布媒体: ---

查看详情

查询结果通知

文章标题: 信立泰拟斥5000万美元向子公司 Salubris Bio增资

发布时间: 2024-10-21

发布媒体: ---

查看详情

扫描右侧二维码关注医药魔方数据库公众号
在底部菜单栏-订阅助手即可完成订阅



数据来源

- 官方公开披露的信息

数据分析范围

- 2024年11月，全球转化医学、最新药物注册/研发进展
- 包含传统定义药品，如化药和生物制品等，及其相关公司技术等
- 不包含战略技术合作类、CMO类、CRO类

CONTENT

1

2024年11月转化医学

- 转化医学里程碑关注

2

2024年11月注册进展

- 2024年11月全球批准新药
- 2024年11月FDA授予突破性疗法资格

3

2024年11月研发进展

- 早期研发项目进展
- 关键3期进展

4

2024年11月全球新药研发进展附录



01.转化医学

- 2024年11月转化医学里程碑关注

2024年11月转化医学里程碑关注 (1/2)

PMID	期刊	标题	药物 (当前最高阶段)	靶点	疾病	主题类型
39447570	Cell	Adaptive multi-epitope targeting and avidity-enhanced nanobody platform for ultrapotent, durable antiviral therapy.			病毒感染	技术
39437779	Cell	Potent efficacy of an IgG-specific endoglycosidase against IgG-mediated pathologies.		ENGASE	免疫相关疾病	药物发现
39567689	Nature	Gliocidin is a nicotinamide-mimetic prodrug that targets glioblastoma.	Gliocidin(临床前)	IMPDH2	胶质母细胞瘤	药物发现
39567685	Nature	Broadly inhibitory antibodies to severe malaria virulence proteins.			疟疾	结构
39556016	N Engl J Med	Phase 1 Study of AAV9.LAMP2B Gene Therapy in Danon Disease.	RP-A501(II期临床)	LAMP-2	糖原贮积病IIb型	初步临床
39541470	Science	Ribozyme-activated mRNA trans-ligation enables large gene delivery to treat muscular dystrophies.	duchenne syndrome gene therapy (北海康成)(临床前)	not available	假肥大性肌营养不良	技术
39542025	Nature	Engineered receptors for soluble cellular communication and disease sensing.			实体瘤	技术
39537919	Nature	Intravenous and intracranial GD2-CAR T cells for H3K27M ⁺ ⁺ diffuse midline gliomas.	GD2.BB.z-iCasp9-CAR T cells(I期临床)	GD2	弥漫性中线胶质瘤	初步临床

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库

2024年11月转化医学里程碑关注 (2/2)

PMID	期刊	标题	药物 (当前最高阶段)	靶点	疾病	主题类型
		Positive Topline Results of ISM001-055 for the Treatment of Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF) Developed Using Generative AI	ISM001-055(II期临床)	TNIK	特发性肺纤维化	初步临床
39415001	Nature	Probiotic neoantigen delivery vectors for precision cancer immunotherapy.			肿瘤	药物发现
39443795	Nature	Transgelin 2 guards T cell lipid metabolism and antitumour function.		TAGLN2	肿瘤	靶点/标志物
39537932	Nature	NK2R control of energy expenditure and feeding to treat metabolic diseases.	EB1002(临床前)	NK2	代谢疾病	药物发现

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库

NK2R通过控制能量消耗和食物摄入治疗代谢性疾病

- 结合减少食物摄入和增加能量消耗是治疗肥胖和 2 型糖尿病等心脏代谢疾病的主流策略
- 基于GIPR/GLP-1R药物减重效果显著，但未满足肥胖且患有2 型糖尿病的减重需求，且仅减少了食物摄取但无法促进能量消耗
- 虽然基于GCGR的药物能够促进能量消耗，但会伴随着一些副作用，因此需要多靶点偶联（GIPR/GLP-1R）减轻这些不良影响
- 本篇研究表明神经激肽2受体（NK2R）的激活能够抑制中枢食欲并增加外周的能量消耗，在糖尿病和肥胖动物模型中，NK2R激活可显著降低体重、血糖、甘油三酯和胆固醇，并改善胰岛素抵抗

NK2R基因与HbA1c水平相关

GPCR在心脏代谢适应症中具有治疗潜力，其是最具成药性的蛋白质，研究者根据与HbA1c水平相关显著性分析，对 380 多个无气味 GPCR 的基因座进行了排序，最显著关联基因是NK2R

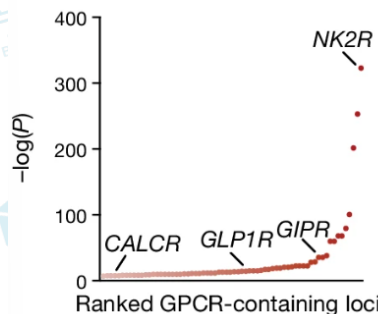


图1 来自T2D-KP的381个无气味GPCR基因座 (±50kb) 的HbA1c关联的排序P值

长效NK2R激动剂开发与作用机制研究

- 在饮食诱导肥胖小鼠模型中，EB1002单次给药后在24小时内显著增加了氧气消耗、脂肪酸氧化和食物摄入量，7天内体重持续下降，同时增强了胰岛素敏感性
- 在能量消耗方面，EB1002显著提高了线粒体生物合成相关基因（如PGC-1α）的表达水平，表明其通过增加线粒体活性来促进能量消耗
- 在食欲抑制方面，NK2R激动作用独立于瘦素信号传导。EB1002处理的小鼠下丘脑的弓状核（ARC）和室旁核（PVN）中的c-Fos表达显著增加，表明EB1002可能通过激活这些区域的神经元来实现对食欲的抑制

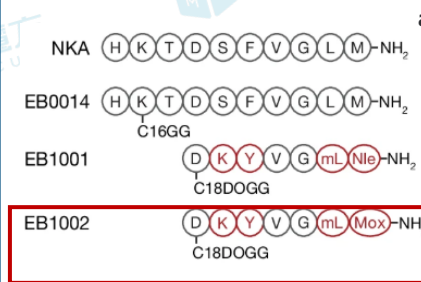


图2 NKA与长效NK2R激动剂的开发和优化

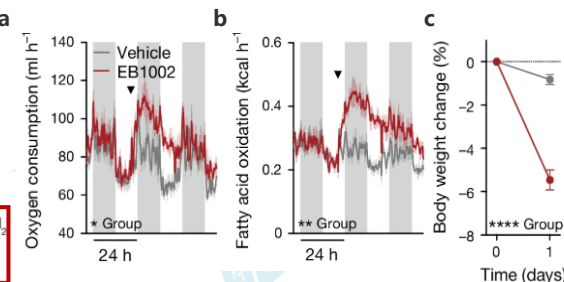


图3 单次注射EB1002后，小鼠 a)耗氧量；b) 脂肪酸氧化变化；c) 24h内体重变化；d) 2天内体重变化（正常进食的第五天注射EB1002/载体）

非人类灵长动物模型

非人类灵长类动物模型中，同样观察到NK2R激动剂对体重、血糖水平、甘油三酯、胆固醇水平和胰岛素抵抗的显著改善

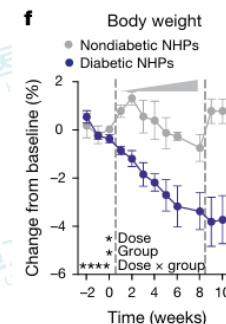


图4 糖尿病、非糖尿病恒河猴模型体重变化

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库；Redenti A et al. *Nature*. 2024 Oct 16.

数据说明：HbA1c: 糖化血红蛋白；NKA: 神经激肽A，内源性NK2R配体



02.全球新药注册进展

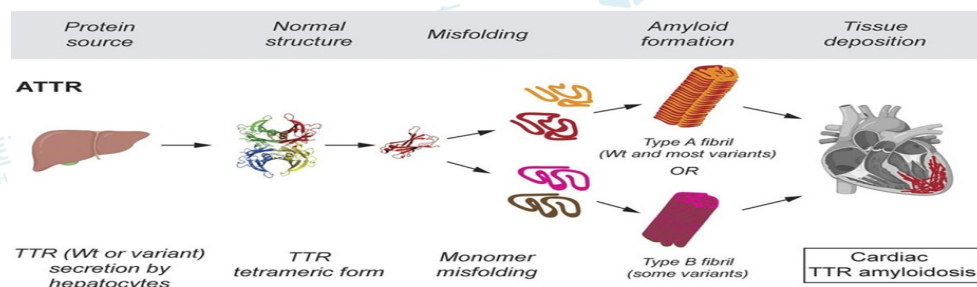
- 全球监管机构批准药品
- FDA授予突破性疗法资格

2024年11月全球监管机构批准药品——Attruby (acoramidis)

- FDA批准Attruby (acoramidis) 上市, 用于治疗ATTR-CM成人患者, 以减少心血管死亡和心血管相关住院率; Attruby是首个在药物标签上标注可几乎完全稳定TTR的产品, 同时可以保留TTR蛋白转运甲状腺素和维生素A的功能

ATTR-CM发病机制

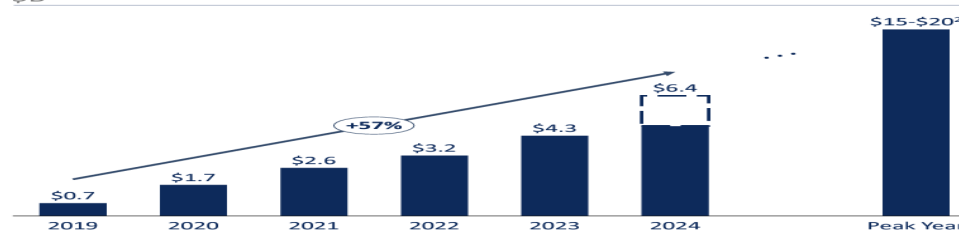
- 肝脏产生结构异常/不稳定的TTR蛋白并错误折叠, 其在体内以淀粉样蛋白的形式积聚, 在包括心脏、神经和消化系统在内的多个组织中造成严重的并发症



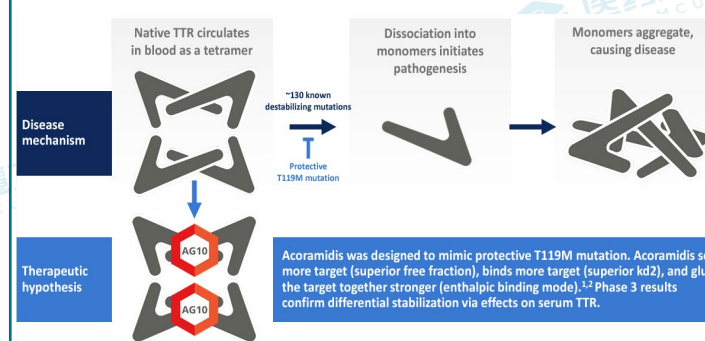
ATTR市场规模

- 2023年ATTR产品市场规模已达43亿美元, 预计2024年达到64亿美元, 未来有望达到150-200亿美元的规模;
- Leerink Partners分析师认为, 至2030年, acoramidis的销售额可能达到18亿美元

Global annual ATTR market sales¹
\$B

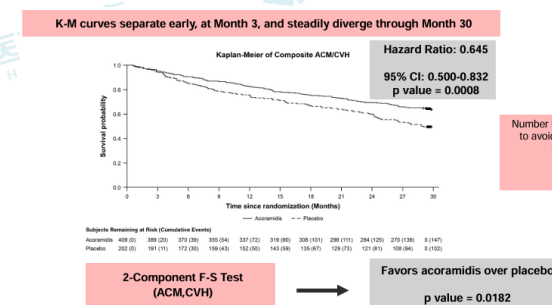


acoramidis作用机制



- acoramidis是一种新一代口服、强效的TTR小分子稳定剂;
- 被设计旨在模拟具有保护作用的TTR T119M突变的功能, 维持TTR蛋白的正常四聚体构象, 防止具有毒性的淀粉样蛋白的产生

ATTRIBUTE-CM (NCT03860935) Phase 3 多中心注册性临床



- 在第30个月, 与安慰剂相比, acoramidis组综合ACM和CVH事件减少42%;
- 在第30个月, acoramidis组CVH事件的累计频率与安慰剂相比减少了50%;
- acoramidis起效迅速, 在接受治疗后仅3个月时, 首次发生ACM或CVH事件所需时间就与安慰剂组产生差异

数据来源: 医药魔方NextPharma®数据库; BridgeBio官网; Masri A et al. J Nucl Med. 2020;61:965-970.

数据说明: ATTR-CM, 转甲状腺素蛋白介导的淀粉样变性心脏病; TTR, 转甲状腺素蛋白; ACM, 全因死亡率; CVH, 心血管相关住院

Copyright © PHARMCUBE ALL RIGHT RESERVED 2024

2024年11月全球监管机构批准药品——Attruby (acoramidis)

- 同月，Intellia宣布在研基因编辑疗法nexiguran ziclumeran (nex-z) 显示出对心脏病进展相关生物标志物的稳定或改善
- NTLA-2001是第一个通过静脉系统给药的体内CRISPR/Cas9基因编辑疗法，支持4小时内一次性静脉输注给药

1期试验结果更新

试验设计： 开放标签、两部分的1期临床研究，旨在评估Nex-z在ATTR-CM和ATTR-PN患者中的安全性及疗效

主要终点： 安全性、耐受性、PD、血清TTR水平

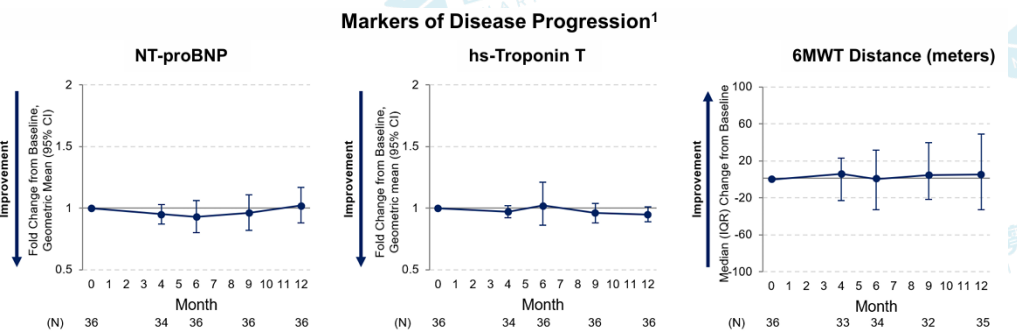
次要终点： NT-proBNP, hs-Troponin T, 6MWT, 心肺运动试验、心脏影像学、KCCQ评分

临床结果：

(1) ATTR-CM队列：**显示出疾病稳定或改善的证据**，66%的患者在NT-proBNP, hs-Troponin T, 6MWT三个标志物中均表现出稳定或改善。第12个月时，平均血清 TTR 降低 90%；

(2) ATTRv-PN队列：接受0.3 mg/kg或更高剂量的患者 (n=33) 中，12个月时血清TTR平均降低91%，NIS、mNIS+7等多项临床指标均观察到病情的稳定或改善趋势

(3) 安全性：Nex-z的总体耐受性良好，最常见的不良事件为输注相关反应 (IRRs)，大多为轻至中度，未导致任何患者停药



目前获批/在研TTR疗法

机制	药物	药物类型	公司	研发阶段	
				ATTR-PN	ATTR-CM
阻断蛋白合成	patisiran	RNAi	Alnylam	批准上市	申报上市 (inactive)
	vutrisiran	RNAi	Alnylam	批准上市	申请上市
	eplontersen	ASO	Ionis	批准上市	3期临床
	inotersen	ASO	Ionis	批准上市	2期临床 (Inactive)
	nex-z	基因编辑	Intellia	3期临床	3期临床
	ART001	基因编辑	锐正基因	1/2期临床	1/2期临床
稳定TTR四聚体	YOLT-201	基因编辑	尧唐生物	1/2期临床	1/2期临床
	氯苯唑酸	小分子	Pfizer	批准上市	批准上市
移除淀粉样蛋白	acoramidis	小分子	BridgeBio	3期临床	批准上市
	ALXN2220	单抗	Astra Zeneca	/	3期临床
	PRX004	单抗	Novo Nordisk	/	2期临床

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库; Intellia官网;

数据说明：ATTR-CM, 转甲状腺素蛋白介导的淀粉样变性心脏病; TTR, 转甲状腺素蛋白; ATTRv-PN, 遗传性转甲状腺素蛋白介导的淀粉样变多发性神经病

FDA授予突破性疗法资格药物——Libevitug (HH-003)

- FDA授予libevitug突破性疗法资格，用于治疗慢性丁型肝炎病毒（HDV）感染； libevitug是一种anti-Pre-S1单抗，通过阻断病毒与受体钠离子-牛磺胆酸共转运蛋白（NTCP）结合来抑制病毒进入肝细胞

丁型肝炎 治疗格局

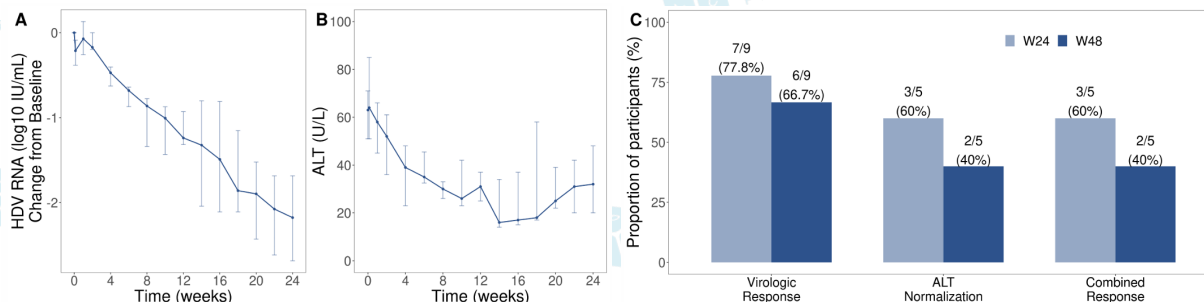
- 约5%的慢性HBV感染者同时感染了HDV，丁型肝炎最严重的慢性病毒性肝炎，可迅速发展为肝硬化和肝细胞癌；
- HDV感染主要使用干扰素进行治疗，但只有约30%的患者可以达到HDV RNA清除；
- 目前，全球仅有一款丁型肝炎特异性疗法获批——bulevirtide，这是一款NTCP抑制剂，2020年7月于欧洲附条件批准上市，2023年7月转为常规批准；但bulevirtide疗效有限，仍不能达到功能性治愈（即HBsAg消除）；

HBV/HDV 早期进入

- HBV/HDV表面具有3种包膜蛋白：SHB、MHB、LHB，这三种蛋白N末端结构域不同；LHBN端PreS1结构域介导HBV/HDV进入肝细胞；
- 2012年，华辉安健创始人李文辉博士团队首次报道了乙肝、丁肝病病毒功能性受体NTCP，确定了PreS1与NTCP的特异性相互作用

Libevitug II期临床结果

- 用药方案：**20 mg/kg HH-003，Q2W IV，24周 (N=9)
- 疗效性：**HDV RNA相较于基线中位变化：**-2.18 log₁₀ IU/mL (24周)**；**-1.98 log₁₀ IU/mL (48周)**
- 安全性：**1名患者出现治疗相关不良反应，表现为腹部不适 (1级) 和虚弱 (2级)



靶向NTCP/PreS1管线布局 (IND-APP)

药品名称	作用机制	研发机构	疾病	最高研发阶段
bulevirtide	NTCP抑制剂	Gilead Sciences	慢性乙肝;丁型肝炎	批准上市
libevitug	anti-PreS1单抗	华辉安健	慢性乙肝;丁型肝炎	II期临床
贺普拉肽	NTCP抑制剂	贺普药业	慢性乙肝;丁型肝炎	I期临床
HH-006	anti-PreS1单抗	华辉安健	慢性乙肝;丁型肝炎	I期临床
PreS1胶束	/	普瑞斯万	慢性乙肝	申报临床

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库；Watashi K, et al. Nat Rev Microbiol. 2024 Nov 21; Negro F, Lok AS. JAMA. 2023;330(24):2376-2387.

数据说明：SHB, MHB, LHB, 小, 中, 大HBV表面蛋白



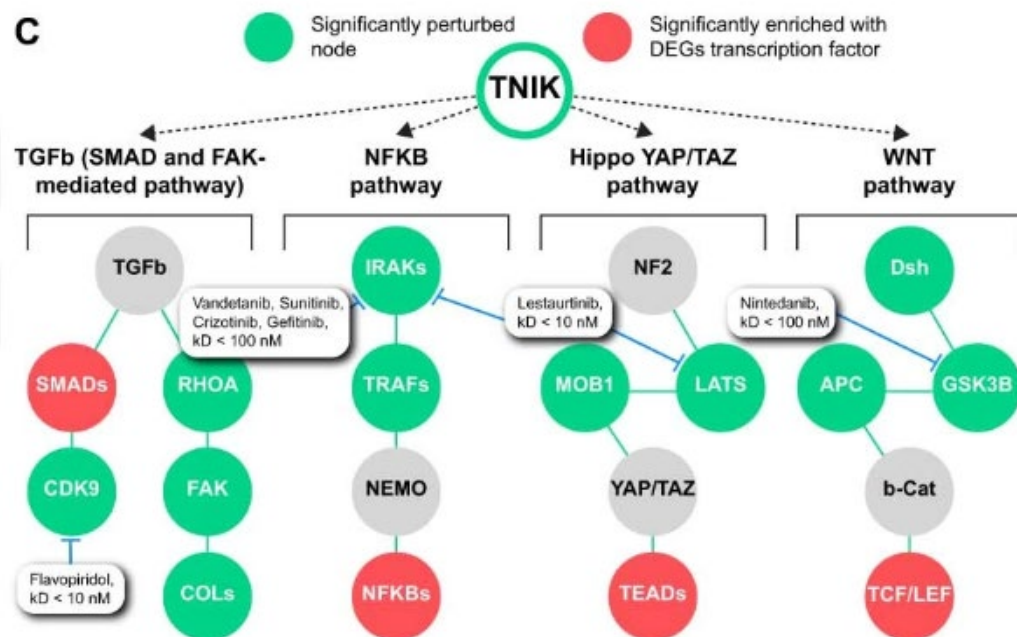
03.全球新药研发进展

- 英矽智能公布ISM001-055治疗特发性肺纤维化的2a期试验结果
- 礼来公布muvalaplin治疗脂蛋白(a)增高的2期临床结果
- OSE Immunotherapeutics公布lusvertikimab治疗UC的2期试验结果
- Emraclidine治疗精神分裂症II期试验未达到主要终点；泰地格贝普 α 治疗脊髓性肌萎缩症III期试验未达到主要终点

英矽智能公布ISM001-055治疗特发性肺纤维化的2a期试验结果

- ISM001-055是首个AI驱动发现的，潜在选择性靶向TNIK的高亲和力小分子抑制剂，也是处于全球研发赛道排名第一的产品
- 本月公布的IIa期试验顶线数据显示，高剂量组在FVC和生活质量方面显示出显著改善，英矽智能将继续推进该药物的开发

□ TNIK调节多个已知是发展纤维化条件原因的信号通路



- TNIK与IPF相关基因紧密相关，通过AI分析工具表明，TNIK激活了这些通路。此外，对TNIK的抑制具有解决纤维化相关疾病的潜力
- ISM001-055的IC₅₀为31nM，且对绝大多数酶(除ALK4、DDR1、FMS、TGFR1、YES、MINK和MAP4K4外)的至少10倍以上

Phase 1: 78例新西兰健康人

- PK数据:** 健康受试者中表现出良好的PK特征，给药7天后未发现明显蓄积，与此前临床前模型的预测结果一致
- 安全性/耐受性:** 研究期间并未产生死亡或严重不良事件 (SAE) 报告。该研究报告了1例停药事件，受试者处于MAD队列30 mg QD剂量组，因流感样疾病终止研究，该不良事件与研究药物无关。所有治疗相关不良反应 (AE) 均为轻度，并已在研究结束时得到恢复。

Phase 2a: 71例中国患者

- 安全性/耐受性/PK数据:** 安全性、耐受性良好，主要药物相关不良事件为轻中度，14.8%腹泻，14.8%肝功能异常
- 有效性数据:** 治疗12周，60 mg QD最高剂量组 vs 安慰剂ppFVC相较于基线平均变化3.05% vs -1.84%

FVC	60 mg QD 最高剂量组	+98.4 mL
	安慰剂	-62.3 mL

Phase 2a: 计划招募60例美国患者，预计2026年完成英矽智能计划与监管机构进行关键性试验的讨论

数据来源: 医药魔方NextPharma®数据库; 1. Ren F, Aliper A, Chen J, et al. *Nat Biotechnol*. Published online March 8, 2024. 2. NCT05154240; 3. NCT05938920; 4. NCT05975983

治疗特发性肺纤维化的在研管线格局 (1/2)

- 目前尚无治愈IPF的方案，已获批产品不能提高患者肺功能，仅能延缓肺功能下降和病情进展，且多因副作用导致治疗中断，因此临床亟需安全、有效的抗纤维化治疗药物；截至目前共有131款药品（包括创新药和微创新）处于IND或临床研发阶段

IPF诊疗路径

非药物治疗

- 氧疗：改善患者的缺氧状况
- 机械通气：极少数IPF患者进行肺移植之前的过渡方式。对于终末期肺纤维化患者，不能降低病死率
- 肺康复：针对有症状及日常生活能力下降的慢性肺疾病患者的干预手段
- 肺移植：改善IPF患者生活质量，提供生存率

药物治疗

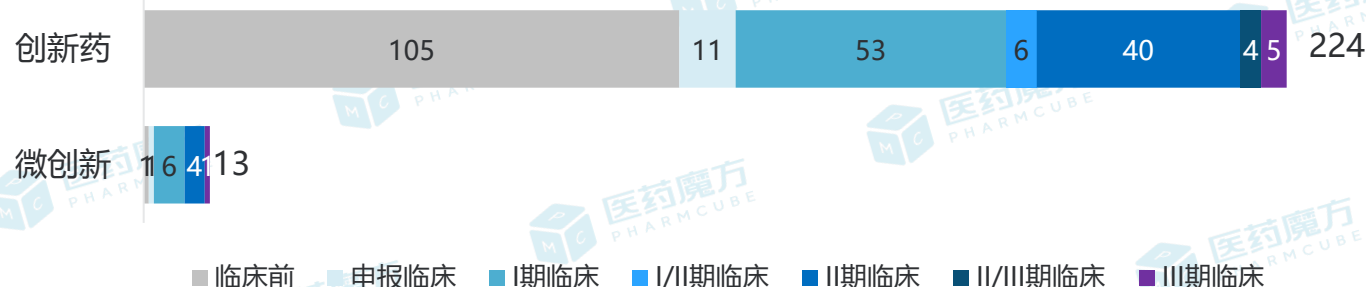
酌情使用：

- 吡非尼酮：适用于轻到中度肺功能障碍的IPF患者
- 尼达尼布：适用于轻到中度肺功能障碍的IPF患者
- N-乙酰半胱氨酸（仅中国专家共识）

根据《中国IPF及进展性肺纤维化患者诊疗状况及生命质量调研报告》显示，IPF患者目前使用吡非尼酮和尼达尼布的使用比例相近，少数患者会联用两种药物，超90%患者报告了药物相关不良反应

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库

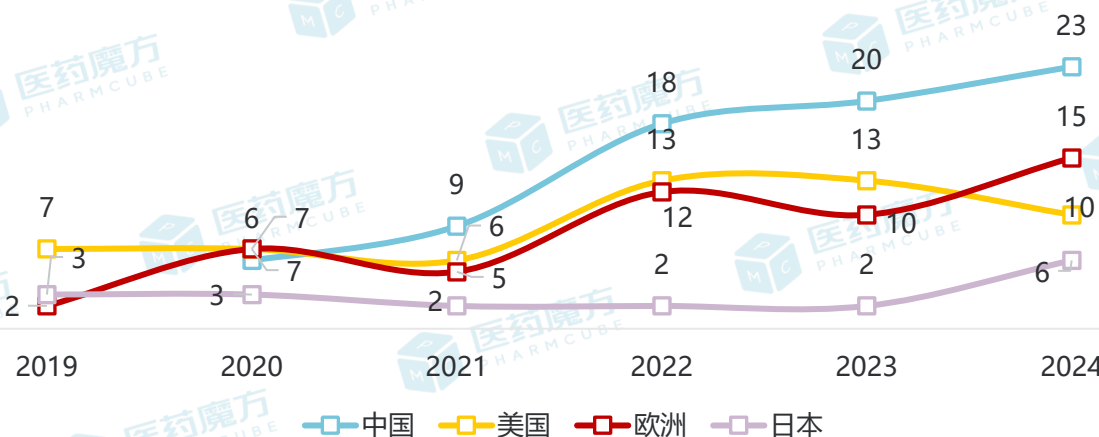
IPF在研药物分布情况：267处于临床前-申请上市阶段，此外，86款开发失败



- 此外，尼达尼布中国仿制药已有6家通过一致性评价；吡非尼酮有1家通过一致性评价

IPF在研药物临床试验开展情况（创新药+微创新，Phase 1-3）

- 近年在中国开展的IPF的试验数量有所增长



治疗特发性肺纤维化的在研管线格局（2/2）

- 临床研究的药物主要集中在抗纤维化、抗氧化、抗炎，以及靶向凝血级联反应的方向，其中，BI和BMS两款药物进展最快

IPF在研代表药物进展（不完全统计）

分类	药品名称	研发机构	靶点	作用机制	研发阶段	临床结果
靶向成纤维细胞	BMS-986278	BMS	LPAR1	LPAR1	III期临床	积极
	nerandomilast	BI	PDE4B	PDE4B抑制剂	III期临床	积极
	安罗替尼	正大天晴;Advenchen Laboratories	FGFR;c-Kit;PDGFRβ;VEGFR1/2/3;EGFR	抑制剂	II/III期临床	/
	cudetaxestat	Galecto; Blade Therapeutics			II期临床	积极
	BBT-877	Bridge Biotherapeutics	autotaxin	autotaxin抑制剂	II期临床	积极
	HW021199	人福医药			II期临床	/
	CC-90001	BMS	JNK1	JNK1抑制剂	II期临床	2期终止
	ARO-MMP7	Arrowhead;Sarepta	MMP-7	RNAi疗法	I/II期临床	/
	XFB-19	Xfibra	CEBPB	CEBPB抑制剂	I期临床	/
	LTI-03	Aileron Therapeutics	CAV1	CAV1片段	I期临床	积极
	SRN-001	siRNAgen	AREG	RNAi疗法	I期临床	/
靶向上皮细胞	bexotegrast	Pliant Therapeutics	αvβ6; αvβ1	αvβ1/αvβ6抑制剂	II/III期临床	积极
凝血级联反应	PZ-235	Oasis Pharmaceuticals	PAR2	PAR2抑制剂	临床前	/
干细胞疗法	REGEN001	吉美瑞生	/	干细胞疗法	II期临床	积极
吸入剂	BNC-1021	BONAC;Toray Industries	TGF-β1	RNAi疗法	I期临床	积极
	Tyvaso（微创新）	Mochida;United	PGI2	PGI2类似物	III期临床	/

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库

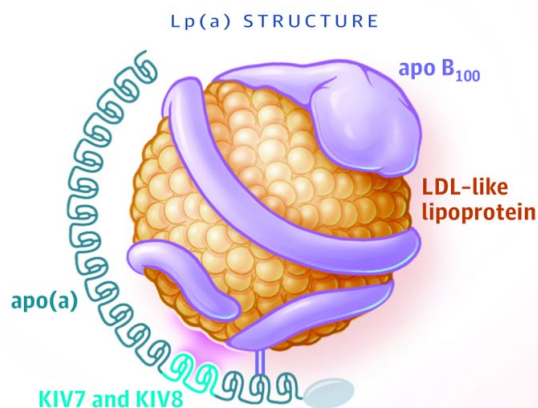
礼来公布muvalaplin治疗脂蛋白(a)增高的2期临床结果

- Muvalaplin是全球首款进入临床的抑制Lp(a)形成的小分子药物。
- Muvalaplin治疗脂蛋白(a)增高的1期J2O-MC-EKBA试验和2期KRAKEN试验结果均表现积极。

Lipoprotein(a)结构

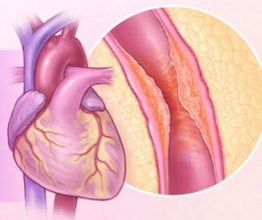
A Structure of lipoprotein(a) (Lp[a])

Lp(a) is a **low-density lipoprotein (LDL)-like lipoprotein** with **apolipoprotein(a) [apo(a)]** bonded to **apolipoprotein B₁₀₀ (apo B₁₀₀)**



Initial noncovalent bond of **apo(a) kringle domains 7 and 8 (KIV7 and KIV8)** to lysine residues of **apo B₁₀₀**, followed by the formation of a covalent disulfide bond

Increased levels of Lp(a) are an independent and causal risk factor for atherosclerotic cardiovascular disease and cannot be modified by diet or exercise.



- Lp(a)简介：**在动脉粥样硬化性心血管疾病和主动脉瓣狭窄中均存在因果作用。一项研究显示Lp(a)水平升高会导致心血管疾病风险增加。
- Lp(a)组装步骤：**首先apo(a)通过Kringle IV (KIV) 7和8结构域与apoB100赖氨酸残基的非共价结合，随后形成共价二硫键。
- Muvalaplin作用机制：**可通过结合KIV7和8结构域，破坏apo(a)和apoB100之间的初始非共价相互作用，从而阻止二硫键和Lp(a)的形成。

2期KRAKEN试验临床结果 (NCT05563246)

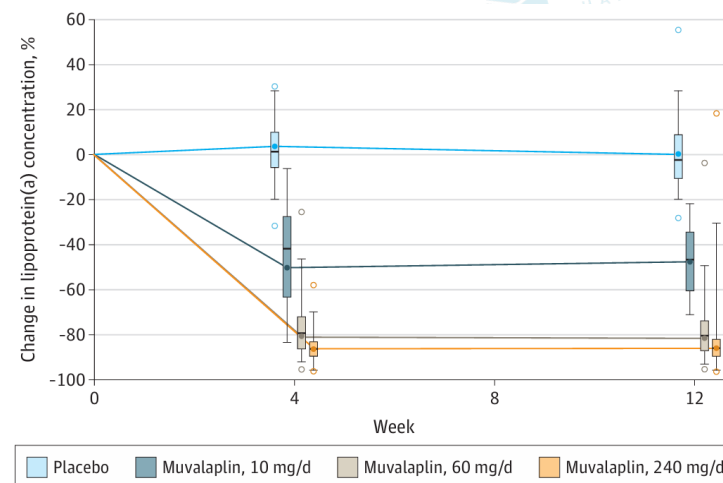
• 试验人群

患者基线特征：Lp(a)水平 ≥ 175 nmol/L

剂量组	Muvalaplin 10 mg/d	Muvalaplin 60 mg/d	Muvalaplin 240 mg/d	安慰剂
入组人数	n = 34	n = 63	n = 68	n = 67

• Lp(a)变化 (主要终点)

治疗第12周时，使用完整测定法检测的Lp(a)变化百分比分别为



- 安慰剂组为 0.5%
- 经安慰剂调整后为47.6%
- 经安慰剂调整后为81.7%
- 经安慰剂调整后为85.8%

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库；Nicholls SJ, et al. JAMA. 2023 Sep 19;330(11):1042-1053；Nissen SE et al. JAMA. Published online November 18, 2024.

数据说明：Lipoprotein(a): 脂蛋白(a); apolipoprotein(a): apo(a), 载脂蛋白(a); apo B100 protein:载脂蛋白B (在肝脏合成，是VLDL组装所必需的)

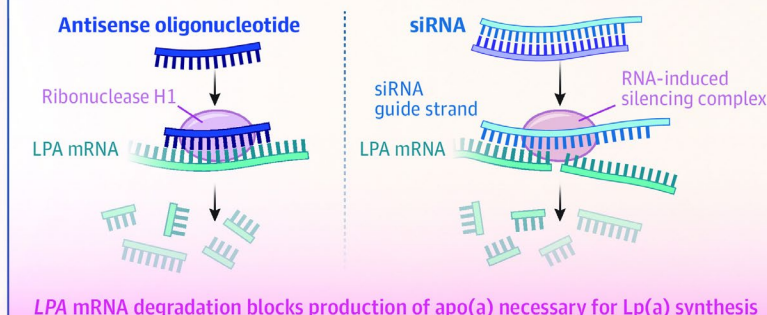
降低Lipoprotein(a)水平的全球在研管线

- 降低Lipoprotein(a)水平的主流疗法包括两种：抑制apo(a)的合成，阻碍Lp(a)的组装
- 降低Lp(a)的药物临床试验已经进入白热化阶段，小分子口服抑制剂后来者居上，与RNAi疗法并驾齐驱

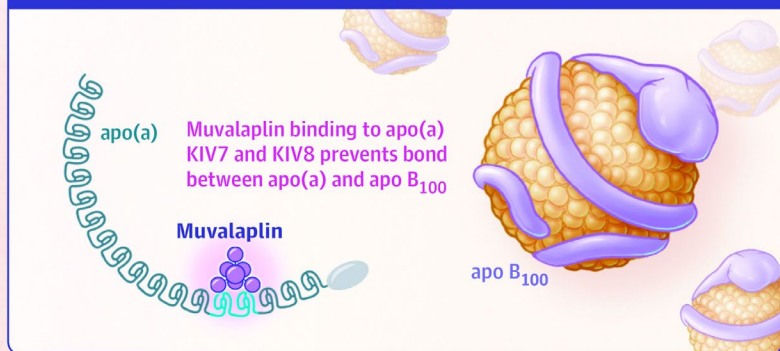
降低Lp(a)水平的在研疗法机制概览

B Mechanisms of action of investigative therapies to lower Lp(a) levels

Injectable RNA-based therapies: Antisense oligonucleotides and small interfering RNA (siRNA) prevent translation of LPA messenger RNA (mRNA)



Oral small molecule inhibitor therapy: Muvalaplin binds to apo(a) to prevent formation of Lp(a)



降低Lp(a)水平的在研管线#

药品名称	作用机制	研发机构
pelacarsen apo(a) III期临床	反义疗法	NOVARTIS
olpasiran apo(a) III期临床	反义疗法	AMGEN
lepodisiran apo(a) III期临床	RNAi疗法	Novo Nordisk, Lilly
zerlasiran apo(a) II期临床	RNAi疗法	SILENCE THERAPEUTICS
Kylo-11 apo(a) I期临床	RNAi疗法	甘宝利
muvalaplin apo(a)/ApoB II期临床 YS2302018*	抑制剂	Lilly
CTX320 Lp(a) I期临床	基因编辑疗法	CRISPR THERAPEUTICS

反义疗法vs. RNAi疗法vs. Lp(a)抑制剂

	反义疗法	RNAi疗法	Lp(a)抑制剂
代表药品	pelacarsen	olpasiran	muvalaplin
临床试验	1期临床 NCT02414594	2期临床 NCT04270760	2期临床 NCT05563246
临床结果	58名健康志愿者	281名ASCVD且Lp(a) > 150 nmol/L的患者	233名ASCVD、DM或FH且Lp(a) ≥ 175 nmol/L的患者
临床结果	SAD队列 (10/20/40/80/120mg) ; MAD队列 (10/20/40mg)	10/75/225mg, q12w; 225mg, q24w	10/60/240mg/d, 12 weeks
临床结果	第30天, 120mg vs 安慰剂的Lp(a)变化水平: -85.3% vs +2.8%	第36周, 75mg vs 安慰剂的Lp(a)变化水平: -97.4% vs +3.6%	第12周, 240mg/d的Lp(a)经安慰剂调整后变化: -85.8%

* 2024年10月, AstraZeneca与石药集团达成许可, AstraZeneca获得在全球开发、制造及商业化YS2302018的独家授权, 交易总金额2,020百万美元。

数据来源: 医药魔方NextPharma®数据库; Nicholls SJ, et al. JAMA. 2023 Sep 19;330(11):1042-1053.

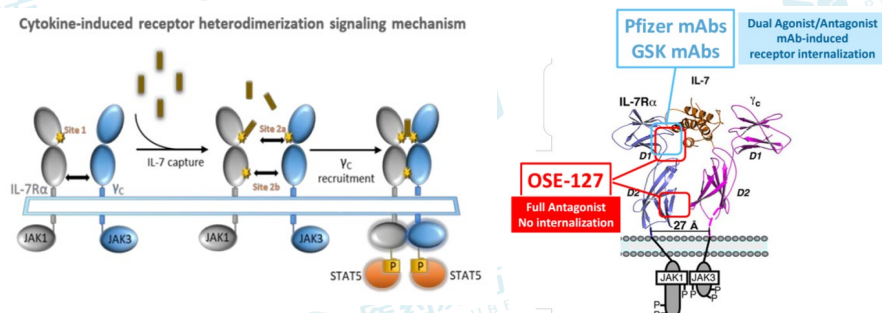
数据说明: #增补数据不纳入统计; 在研机构只展示有权益企业或拥有全球权益企业; ASCVD: 动脉粥样硬化性心血管疾病; DM: 糖尿病; FH: 家族性高胆固醇血症

OSE Immunotherapeutics公布lusvertikimab治疗UC的2期试验结果

- IL-7单抗lusvertikimab在治疗中重度溃疡性结肠炎（UC）的2期CoTikiS研究中达到了主要终点和关键次要终点
- 全球UC市场在2022年为72亿美元，预计到2032年将达到108亿美元，复合年增长率为5.1%

Lusvertikimab作用机制及优势

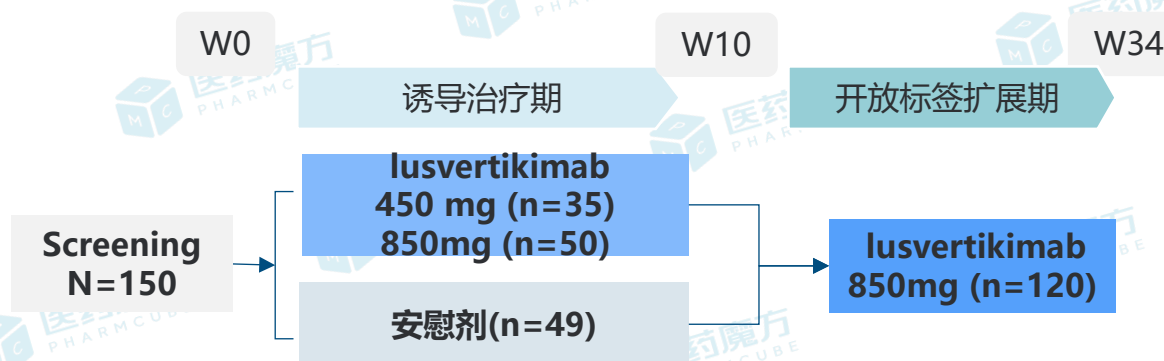
- IL-7促进组织中的慢性炎症，IL-7R通路在抗TNF-IBD无应答者中过表达；
- IL-7R由IL-7Rα链和γ链2个亚基组成。既往开发的anti-IL7R单抗可能会作用于IL-7Rα，造成幼稚和记忆T、B淋巴细胞减少；此外某些anti-IL7R单抗还具有激动剂特性，导致缺乏体内疗效；
- lusvertikimab靶向IL-7R特定的“site 1/2b”表位，是首款可阻止受体内化和信号传导的IL-7R**完全拮抗剂**，不会诱导淋巴细胞减少或多克隆T细胞功能，同时对TSLP信号轴不产生影响



	OSE IMMUNOTHERAPEUTICS	32 BIO Bristol Myers Squibb	zurabio	Pfizer	gsk
Isotype	IgG4	IgG1	IgG1	IgG1	IgG1
MoA	- Non-Internalizing ¹ - Full Antagonist IL7R - No Depletion	- TSLP Antago - T-cell Decrease	- Internalizing - Antago + Partial Agonist IL7R - TSLP Antago - T-cell Decrease ²	- Internalizing - Antago + Partial Agonist IL7R	- Internalizing - Antago + Partial Agonist IL7R
Phase	2	2a	1b	Discontinued	Discontinued
Indication	Ulcerative Colitis (IBD) (Completion Enrollment Q1 2024)	Atopic Dermatitis (Initiated Q4 2022) Alopecia Areata (Initiated Q3 2023)	Alopecia Areata (not initiated)	Multiple Sclerosis (discontinued after Phase 1 High Immunogenicity ^{3,4})	

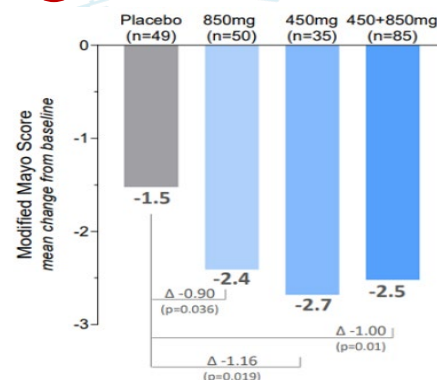
CoTikiS试验设计

- 试验类型：随机、双盲、安慰剂对照试验
- 入组人群：对标准治疗和生物制剂无反应或反应不足的中重度UC患者

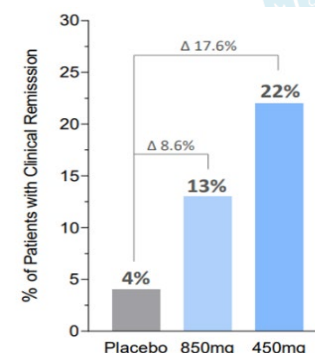


试验结果 (10周)

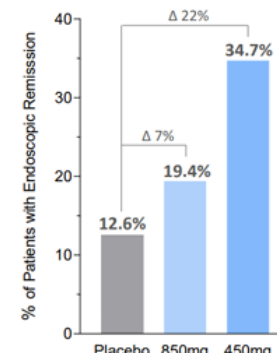
主 MMS评分改善



次 临床缓解



次 内镜缓解



数据来源：医药魔方NextPharma®数据库；OSE Immunotherapeutics官网；Belarif L, J Clin Invest. 2019 Apr 2;129(5):1910-1925; Belarif et al. Nature Communication (2018).

数据说明：IL-7, 白介素-7; UC, 溃疡性结肠炎; MMS, 改良Mayo评分, 是一种基于三个参数（大便频率、直肠出血和内窥镜分值）的9分制评分系统; IBD, 炎症性肠病

Emraclidine治疗精神分裂症II期试验未达到主要终点 泰地格贝普 α 治疗脊髓性肌萎缩症III期试验未达到主要终点

abbvie

Emraclidine - 精神分裂症

- 2023年, Abbvie以87亿美元收购Cerevel Therapeutics, 获得了emraclidine及其它神经领域候选药物
- emraclidine两项2期试验均**未达到主要终点**, 第六周PANSS总分变化相较于安慰剂组并没有显著地统计学差异
- 试验结果公布后, Abbvie股价下跌12%, 竞争对手BMS股价上涨12%

II期试验结果

表 PANSS总分相较于基线变化 (第6周)

	EMPOWER-1			EMPOWER-2		
	Placebo (N= 127)	Emraclidine 10mg QD (N = 125)	Emraclidine 30mg QD (N = 127)	Placebo (N = 128)	Emraclidine 15mg QD (N = 122)	Emraclidine 30mg QD (N = 123)
Baseline (SD)	98.3 (8.16)	97.6 (7.65)	97.9 (7.89)	97.4 (8.22)	98.0 (8.49)	97.2 (7.75)
LS Mean (95% CI)	-13.5 (-17.0, -10.0)	-14.7 (-18.1, -11.2)	-16.5 (-20.0, -13.1)	-16.1 (-19.4, -12.8)	-18.5 (-22.0, -15.0)	-14.2 (-17.6, -10.8)

Cobenfy使用前需要检测肝酶指标, 服用期间需注意食物影响, 同时可能造成尿潴留等副作用, 需要在使用期间持续监测心脏指标; 虽然emraclidine对M4具有高选择性, 理论上具有更好的安全性, 但目前2期试验的失败使得该药物的开发前景变得不太明朗

数据来源: 医药魔方NextPharma®数据库

biohaven

泰地格贝普 α - 脊髓性肌萎缩症

- 第48周时, 与安慰剂+SOC组相比, 泰地格贝普 α 治疗组运动功能测量量表 (MFM-32) 评分变化**未显示统计学差异**; 亚组分析中发现, **白人受试者** (占比87%; n=180) 在所有时间点都显示出MFM-32的**显著改善** (p<0.05)。而非高加索人群安慰剂反应高于预期; Biohaven将与监管机构进一步讨论后续计划;
- 在身体成分分析中, 与安慰剂+SOC组相比, 泰地格贝普 α 组总体脂肪量的百分比变化减少幅度更大 (p=0.008), 瘦肌肉质量和骨密度增加幅度也更大。鉴于此, **Biohaven 计划在 2024 年第四季度将泰地格贝普 α 推进至肥胖2期研究中。**

靶向myostatin治疗肥胖临床在研管线

药品	作用机制	研发机构	研发阶段 (肥胖)
apitegromab	anti-myostatin单抗	Scholar Rock	II期临床
RG6237	anti-myostatin单抗	Chugai	I期临床
trevogrumab	anti-myostatin单抗	Regeneron;Sanofi	II期临床
EL-22	益生菌;anti-myostatin抗体	Elevai Labs	I期临床

2024年10月, Scholar Rock宣布其开发的apitegromab治疗SMA 3期试验达到主要终点。Apitegromab是一种anti-myostatin单抗, 而泰地格贝普 α 除了抑制myostatin外, 还会抑制其它TGF- β 超家族成员, 例如GDF11和Activin A, GDF11和myostatin似乎具有相反的作用



04. 全球新药研发进展附录

2024年11月全球新药注册进展附录 (1/3)

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-04	DFD-29 (米诺环素缓释胶囊)	酒渣鼻	Journey Medical Corporation宣布，美国FDA已批准Emrosi™（盐酸米诺环素缓释胶囊，40 mg）用于治疗成人玫瑰痤疮的炎性病变。该药物与Dr. Reddy's Laboratories合作开发，在第三阶段试验中显示出对现有治疗方法的显著优越性。公司计划于2025年初在美国市场推出Emrosi，旨在将其确立为玫瑰痤疮治疗的新标准。该批准基于积极的试验结果，未报告重大安全问题，预计该药物将为玫瑰痤疮患者提供独特的治疗选择。
2024-11-05	他拉唑帕尼	去势抵抗前列腺癌	辉瑞的创新药物泰泽纳®（甲苯磺酸他拉唑帕利胶囊）在中国获批用于治疗携带HRR基因突变的转移性去势抵抗性前列腺癌（mCRPC）。这一批准标志着中国前列腺癌精准医学的重要里程碑。泰泽纳®是一种具有双重作用机制的PARP抑制剂，是中国唯一获批用于该适应症的药物，并与恩扎卢胺联合使用。临床试验显示，该组合显著降低55%的疾病进展或死亡风险，并改善HRR基因突变患者的临床结局。
2024-11-05	纳武利尤单抗	尿路上皮癌	百时美施贵宝的药物欧狄沃®（纳武利尤单抗）联合顺铂化疗在中国获批用于晚期尿路上皮癌的一线治疗。这是中国首次批准此类治疗，为患有这种癌症的患者提供了一种新的治疗选择。该批准基于临床试验，显示该联合疗法在改善患者预后方面优于单独化疗。
2024-11-06	阿伐可泮	ANCA相关性血管炎	安进的新药特福尼®(阿伐可泮胶囊)已在中国获批用于治疗ANCA相关性血管炎。这是国内首个口服选择性补体C5a受体（C5aR）小分子抑制剂，为这种罕见炎症性疾病的患者提供了新的治疗选择。该药物适用于成人严重、活动性ANCA相关性血管炎的辅助治疗，与标准糖皮质激素治疗联合使用。临床试验显示，特福尼®在维持疾病缓解和降低复发风险方面优于传统治疗。
2024-11-06	度普利尤单抗	嗜酸性粒细胞性食管炎	Regeneron制药公司和赛诺菲宣布，Dupixent（dupilumab）已获得欧盟批准，用于治疗1至11岁儿童的嗜酸性食管炎（EoE）。这一批准基于第三阶段试验数据，显示使用Dupixent治疗的儿童在组织学疾病缓解方面显著优于安慰剂。Dupixent是欧盟首个获批用于该年龄段的药物，解决了年轻患者因EoE而进食困难的关键需求。
2024-11-08	obecabtagene autoleucel	B细胞急性淋巴细胞白血病	Autolus Therapeutics获得FDA批准其AUCATZYL®（obecabtagene autoleucel）用于治疗复发/难治性B细胞急性淋巴细胞白血病（r/r B-ALL）成人患者。这是首个无需REMS计划的CAR T疗法。批准基于FELIX临床试验，AUCATZYL在有效患者中显示出63%的总体完全缓解率。该疗法的安全性可控，严重细胞因子释放综合征和免疫效应细胞相关神经毒性综合征的发生率较低。
2024-11-11	艾加莫德α PH20 SC	慢性炎症性脱髓鞘性多发性神经病	再鼎医药和argenx宣布，中国国家药品监督管理局（NMPA）已批准VYVGART Hytrulo用于治疗慢性炎症性脱髓鞘性多发性神经病（CIDP）。这是中国首个也是唯一一个获得NMPA批准的CIDP治疗方案，彰显了再鼎医药在开发创新疗法方面的专业能力。该批准基于ADHERE研究的积极结果，显示中国参与者的临床改善显著，并显著降低复发风险。
2024-11-11	nipocalimab	干燥综合征	强生公司宣布，美国食品药品监督管理局（FDA）已授予尼泊卡利单抗用于治疗中重度干燥综合征（SjD）的突破性疗法认定（BTD）。干燥综合征是一种常见的自身抗体疾病，目前尚无获批的先进疗法。此认定基于第二阶段DAHLIAS研究的积极结果，该研究显示，接受尼泊卡利单抗治疗的参与者在第24周的系统疾病活动性改善超过70%，相比之下，安慰剂组的改善较少。尼泊卡利单抗是一种研究中的FcRn阻断剂，是首个获得干燥综合征BTD的疗法。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药注册进展附录 (2/3)

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-12	VAX-31	肺炎球菌感染	Vaxcyte宣布其VAX-31疫苗项目针对侵袭性肺炎球菌病（IPD）的重要监管更新。美国FDA已批准VAX-31用于婴儿的研究性新药申请，并授予其成人突破性疗法认定。VAX-31是一种31价肺炎球菌结合疫苗，旨在覆盖美国成人中超过95%的IPD和五岁以下儿童中94%的IPD。公司计划在2025年1月前启动婴儿的二期研究，并在2025年中期启动成人的三期研究。
2024-11-13	eladocagene exuparvovec	芳香族氨基酸脱羧酶缺乏症	PTC Therapeutics获得FDA批准其基因疗法KEBILIDI™（eladocagene exuparvovec-tneq），用于治疗AADC缺乏症，这是美国首次批准直接注入大脑的基因疗法。该疗法针对儿童和成人，解决了一种罕见的遗传性疾病，该疾病影响多巴胺合成，对运动功能至关重要。批准基于临床试验结果，显示运动发展里程碑的改善。
2024-11-15	revumenib	急性白血病	Syndax制药公司宣布，美国FDA批准Revuforj®（revumenib）作为首个用于治疗携带KMT2A易位的复发或难治性急性白血病患者menin抑制剂，适用于一岁及以上的患者。该批准基于AUGMENT-101试验，该试验显示患者的缓解率为21%。Revuforj预计将于2024年11月在美国上市。该药物在临床上显示出显著的益处，相较于现有疗法提供了新的治疗选择，尤其是对预后不佳的KMT2A易位患者。安全性评估中常见的不良反应包括分化综合征和QTc延长。
2024-11-18	索米妥昔单抗	输卵管癌 腹膜癌 卵巢癌	艾伯维公司获得欧洲委员会批准，ELAHERE®（mirvetuximab soravtansine）用于治疗叶酸受体α（FRα）阳性、铂耐药性卵巢癌患者。这是十年来欧盟首次批准针对该病症的新疗法，为患者提供了一种新的靶向治疗选择。该批准基于MIRASOL三期试验，显示与化疗相比，患者的无进展生存期和总生存期显著改善。
2024-11-20	泽尼达妥单抗	胆道癌	Jazz Pharmaceuticals宣布美国FDA加速批准Ziihera®（zanidatamab-hrii）用于治疗先前治疗过的、不可切除或转移性HER2阳性胆道癌（BTC）成人患者。Ziihera是美国首个获批用于该病症的双HER2靶向双特异性抗体，在HERIZON-BTC-01试验中显示52%的客观反应率和14.9个月的中位反应持续时间。持续批准可能取决于正在进行的3期HERIZON-BTC-302试验的结果。
2024-11-20	马塔西单抗	A型血友病 B型血友病	辉瑞的HYMPAVZI™（marstacimab）已获得欧洲委员会批准，用于治疗12岁及以上无抑制剂的重度A型或B型血友病患者。这是欧盟首个每周一次的皮下注射治疗B型血友病的药物，也是首个使用预填充笔或注射器治疗A型或B型血友病的药物。该批准基于三期研究结果，显示与常规预防相比，出血率显著降低。
2024-11-20	佐利替尼	非小细胞肺癌 癌症脑转移	Alpha Biopharma获得国家药品监督管理局（NMPA）批准，推出Zorifertinib片剂（Zorifer®），这是全球首个专门针对脑转移的肺癌的EGFR-TKI。这一创新药物用于特定EGFR突变和中枢神经系统转移的晚期非小细胞肺癌（NSCLC）的初始治疗。EVEREST试验是一项大规模国际研究，显示Zorifertinib在控制颅内病变和改善无进展生存期方面具有显著益处。该药物有效穿透血脑屏障，解决了未满足的临床需求，为肺癌和脑转移患者带来了新的希望。
2024-11-20	NX-5948	小淋巴细胞性淋巴瘤 慢性淋巴细胞白血病	Nurix Therapeutics的药物NX-5948获得了欧洲药品管理局的PRIME资格认证，旨在治疗复发或难治性慢性淋巴细胞白血病（CLL）和小淋巴细胞性淋巴瘤（SLL）。该认证授予那些满足未被满足的医疗需求并在早期临床数据中显示潜在益处的药物。NX-5948是一种选择性降解布鲁顿酪氨酸激酶（BTK）的药物，在早期试验中显示出希望，特别是对于那些在BTK和BCL-2抑制剂治疗后癌症进展的患者。关键试验预计将在2025年开始。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药注册进展附录 (3/3)

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-21	贝组替凡	肾细胞癌 胰腺神经内分泌肿瘤 希佩尔-林道综合征 血管母细胞瘤	默沙东的HIF-2α抑制剂维利瑞®（贝组替凡）已在中国获批，用于治疗von Hippel-Lindau (VHL) 病相关的肾细胞癌、中枢神经系统血管母细胞瘤或胰腺神经内分泌肿瘤的成人患者。VHL病是一种由VHL抑癌基因突变引起的罕见遗传病，导致多器官肿瘤。贝组替凡的获批为中国VHL病患者提供了新的治疗选择，标志着该领域治疗发展的重要里程碑。
2024-11-22	GSK3844766A	RSV感染	GSK宣布在日本扩大Arexvy的批准范围，将50-59岁因潜在健康状况而面临严重RSV疾病风险的成年人纳入其中。这是日本首次批准针对该年龄组的RSV疫苗，旨在预防如肺炎和住院等严重后果。此决定基于一项全球III期试验，显示该年龄段的免疫原性不劣于60岁及以上人群，且安全性一致。
2024-11-27	Menveo (MenACWY-CRM)	流行性脑脊髓膜炎	GSK宣布，欧洲委员会已批准其Menveo脑膜炎球菌疫苗的新型全液体版本，该疫苗可预防由A、C、W和Y群引起的侵袭性脑膜炎球菌病 (IMD)。这种新配方简化了疫苗接种过程，因为它在使用前不需要重组，使医疗提供者更容易施用。该批准基于两项IIb期试验的积极结果，这些试验表明，全液体疫苗的免疫原性、耐受性和安全性与现有配方相当。
2024-11-27	Rapibloc (Landiolol)	室上性心动过速 房颤 房扑	AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH获得了美国FDA对Rapiblyk™ (landiolol) 的批准，用于在重症监护环境中治疗室上性心动过速，包括心房颤动和心房扑动。该批准基于五项涉及317名成年人的临床研究，显示landiolol能够有效快速降低心率，并对血压影响最小。该药物为美国患者提供了一种新的治疗选择，标志着AOP Health在扩展其在美国市场解决罕见疾病和重症护理需求的使命方面取得了重要里程碑。
2024-11-27	索米妥昔单抗 利纳西普	Cryopyrin蛋白相关周期性综合征 卵巢癌	华东医药的子公司杭州中美华东制药有限公司获得NMPA批准两款创新药：爱拉赫®和炎朵®。爱拉赫®由中美华东与ImmunoGen（现为AbbVie的一部分）合作开发，是针对叶酸受体α的ADC药物，用于治疗铂类耐药卵巢癌，是中国、美国和欧盟首个也是唯一一个获批的此类药物。炎朵®与Kiniksa Pharmaceuticals合作开发，用于治疗罕见的自身免疫性疾病CAPS。
2024-11-27	瑞波西利	HR阳性乳腺癌	诺华公司获得欧洲委员会批准，将Kisqali® (ribociclib) 与芳香化酶抑制剂联合用于激素受体阳性、HER2阴性早期乳腺癌高复发风险患者的辅助治疗。该批准基于III期NATALEE试验，该试验显示，当Kisqali与内分泌治疗联合使用时，疾病复发风险显著降低。试验显示复发风险降低25.1%，惠及包括无淋巴结转移的患者在内的广泛患者群体。
2024-11-27	OC-01 (伐尼克兰鼻喷剂)	干眼病	箕星药业宣布，中国国家药品监督管理局已批准酒石酸伐尼克兰鼻喷雾剂的新药上市申请，用于治疗干眼症。该鼻喷雾剂以星特润®为商品名，是一种选择性胆碱能受体激动剂，通过激活三叉神经副交感通路促进天然泪液分泌，从而稳定泪膜。此次批准基于全球超过1000例患者的临床研究和中国的1期和3期试验，显示出泪液分泌和干眼症状的显著改善。这
2024-11-27	安罗替尼 贝莫苏拜单抗	子宫内膜癌	中国生物制药的贝莫苏拜单抗注射液联合盐酸安罗替尼胶囊的新适应症已获国家药品监督管理局批准，用于治疗既往系统性抗肿瘤失败且不适合进行根治性手术或放疗的非MSI-H或非dMMR的复发性或转移性子宫内膜癌。这是该联合疗法在不到7个月内获得的第二个适应症批准，显示出其在中国医药市场的潜力。该联合疗法还在探索肺癌、肾癌和软组织肉瘤等其他癌症的治疗方案，展现了免疫联合抗血管生成治疗的广阔前景。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药研发进展（积极）附录（1/6）

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-01	司美格鲁肽	代谢相关脂肪性肝炎 肝纤维化	诺和诺德宣布了ESSENCE试验第一部分的积极结果，这是一项评估semaglutide 2.4 mg治疗代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）和中度至重度肝纤维化的三期研究。试验显示，与安慰剂相比，semaglutide在72周时显著改善了肝纤维化并解决了脂肪性肝炎。具体而言，37%的semaglutide患者显示肝纤维化改善，62.9%实现了脂肪性肝炎的解决。该药物耐受性良好，诺和诺德计划于2025年在美国和欧盟申请监管批准。
2024-11-03	CIN-110 CIN-109	肥胖	CinFina Pharma, 一家CinRx的投资组合公司，在2024年ObesityWeek®上展示了其肥胖药物CIN-109和CIN-110的有前景的第一阶段研究结果。CIN-110是一种PYY3-36类似物，在单次递增剂量研究中显示出显著的热量摄入减少和体重减轻，并且胃肠道副作用最小。CIN-109是一种GDF-15类似物，在多次递增剂量研究中表现出显著的体重减轻和瘦体重的保留。两种药物均耐受性良好，表明其作为下一代肥胖治疗的潜力。
2024-11-07	MaaT013	移植物抗宿主病	MaaT Pharma是一家临床阶段的生物技术公司，将在2024年ASH年会上展示其药物MaaT013的最新进展。MaaT013在治疗类固醇难治性胃肠道急性移植物抗宿主病（GI-aGvHD）中表现出良好的效果，特别是在先前接受过ruxolitinib治疗的患者中。来自欧洲早期使用计划（EAP）的154名患者的数据表明，MaaT013具有较高的反应率和延长的生存期，24个月的总体生存率为42%。第三阶段ARES试验已完成，结果预计在2025年1月公布。
2024-11-08	in-vivo mRNA CAR-M (Carisma+Moderna)	实体瘤 肝细胞癌	Carisma Therapeutics Inc.与Moderna合作，公布了其针对肝细胞癌（HCC）的抗GPC3体内CAR-M疗法的有前景的临床前数据。该疗法利用mRNA/LNP技术直接在体内生成CAR-M细胞，靶向并摧毁表达GPC3的癌细胞。临床前结果显示，在同系和人源化肿瘤模型中，显著减少了肿瘤并抑制了转移，且在小鼠中耐受性良好。这种新颖的方法为GPC3+实体瘤，包括HCC，提供了一种潜在的现成治疗方案，并将推进至临床开发阶段。
2024-11-08	tezepelumab	慢性鼻-鼻窦炎伴鼻息肉	安进和阿斯利康宣布，TEZSPIRE® (tezepelumab-ekko) 在治疗慢性鼻窦炎伴鼻息肉（CRSwNP）的3期WAYPOINT试验中取得了积极结果。试验显示，与安慰剂相比，TEZSPIRE显著减少了鼻息肉的大小和鼻塞，表明其作为新治疗选择的潜力。该试验是一项双盲、安慰剂对照研究，涉及严重CRSwNP的成年人。TEZSPIRE靶向TSLP，这是一种参与炎症的细胞因子，已被批准用于治疗严重哮喘。结果将很快与监管机构和科学界分享。
2024-11-11	ALG.APV-527	实体瘤	Aptevo Therapeutics和Alligator Bioscience宣布其ALG.APV-527的1期试验取得了令人鼓舞的中期结果。ALG.APV-527是一种用于治疗表达5T4抗原的实体瘤的首创双特异性抗体。试验显示出良好的安全性和耐受性，未观察到严重的肝毒性，这在其他4-1BB靶向治疗中是常见问题。值得注意的是，56%的可评估患者达到了疾病稳定状态，其中包括一名结肠癌患者超过六个月和一名乳腺癌患者超过11个月。
2024-11-11	EBX-102	肝硬化	EnteroBiotix宣布其用于肝硬化的微生物疗法EBX-102在1b期试验中取得积极结果。研究表明，EBX-102具有安全性和耐受性，并在肝病患者的肝病患者中显示出潜在疗效。主要发现包括改善肠道微生物群、减少炎症标志物以及提高心理健康评分，表明可能存在肠脑轴效应。EBX-102具有高细菌多样性和稳定性，在治疗肝脏和胃肠道疾病方面显示出进一步发展的潜力。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药研发进展（积极）附录（2/6）

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-12	revumenib	急性髓系白血病	Syndax制药公司宣布，Revumenib在复发或难治性突变NPM1急性髓性白血病（AML）的AUGMENT-101二期试验中取得了积极结果。试验达到了主要终点，完全缓解率为23%，在重度预处理人群中的总体反应率为47%。安全性良好，仅有5%的患者因不良事件而停止治疗。这些结果支持Revumenib作为R/R mNPM1 AML治疗的潜力，预计将在2025年上半年提交补充新药申请。公司预计Revumenib将在2024年底获得FDA对R/R KMT2A重排急性白血病的批准。
2024-11-13	替尔泊肽	2型糖尿病 肥胖 糖尿病前期	礼来公司宣布了SURMOUNT-1三期研究的结果，显示tirzepatide显著降低了糖尿病前期和肥胖或超重成人进展为2型糖尿病的风险。在176周的治疗期间，近99%的参与者保持无糖尿病状态，15毫克剂量的平均体重减少为22.9%。研究还表明tirzepatide在改善血糖控制和心脏代谢风险因素方面有积极作用。tirzepatide以Zepbound®和Mounjaro®的名义销售，是一种双重GIP和GLP-1受体激动剂，已获批用于体重管理和糖尿病控制。
2024-11-13	INO-3106	复发性呼吸道乳头状瘤	INOVIO制药公司宣布其研究性DNA药物INO-3107的新免疫学数据，该药物针对HPV-6和HPV-11感染的复发性呼吸道乳头状瘤病（RRP）患者。数据显示，INO-3107诱导了新的克隆T细胞的扩增，这些细胞渗透到气道组织中，减少了RRP患者的手术需求。这支持了INO-3107的作用机制，即引发抗原特异性免疫反应。研究结果将在第36届国际乳头状瘤病毒会议上展示，强调INO-3107作为RRP治疗选择的潜力。
2024-11-13	来那帕韦 恩曲他滨+替诺福韦二吡呋酯	HIV-1感染	吉利德科学公司在HIV Glasgow会议上展示了其3期PURPOSE 2试验的完整结果，展示了lenacapavir这种注射用HIV-1衣壳抑制剂在HIV预防中的疗效和安全性。试验表明，每年两次的lenacapavir将HIV感染率降低了96%，优于每日一次的Truvada。FDA已授予lenacapavir用于PrEP的突破性疗法认定，吉利德计划在2024年底前开始监管申请。公司还在制定全球获取策略，以确保lenacapavir的广泛可用性。
2024-11-14	nipocalimab	干燥综合征	强生公司旗下的杨森国际公司宣布，2期DAHLIAS研究显示，研究性FcRn阻断剂nipocalimab在治疗中重度干燥综合征方面取得了积极成果。研究表明，经过24周的治疗，疾病活动评分显著改善，IgG和自身抗体水平，特别是抗Ro抗体显著降低。Nipocalimab耐受性良好，无重大安全问题，并达到了研究的主要终点。这些发现表明，nipocalimab可能成为干燥综合征的靶向治疗选择，满足该患者群体的未被满足的需求。
2024-11-15	seladelpar	原发性胆汁性胆管炎 瘙痒症	吉利德科学公司宣布了Livdelzi（seladelpar）用于原发性胆汁性胆管炎（PBC）的3期ASSURE研究的积极结果。研究显示81%的参与者在第30个月实现了持久的生化反应，近一半的参与者实现了碱性磷酸酶（ALP）水平的正常化。Livdelzi还降低了瘙痒的严重程度，其中27%的参与者瘙痒几乎消失。该药物显示出强大的安全性，没有报告严重不良事件。
2024-11-15	efruxifermin	代谢相关脂肪性肝炎	Akero Therapeutics在第75届AASLD肝脏会议上展示了其2b期HARMONY研究的新分析，展示了efruxifermin（EFX）在治疗代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）中的疗效。研究显示，超过40%的参与者在接受EFX 50mg治疗96周后，肝纤维化显著逆转，而安慰剂组为0%。基于AI的数字病理学证实了这些改善。此外，30%的EFX 50mg接受者几乎完全逆转了MASH相关疾病。这些发现支持EFX作为MASH的有前景疗法，正在进行的3期试验将进一步评估其益处。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药研发进展（积极）附录（3/6）

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-15	efimosfermin alfa	肥胖 代谢相关脂肪性肝炎 糖尿病	波士顿制药公司宣布了efimosfermin alfa（BOS-580）在治疗因代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）引起的F2/F3纤维化的二期试验中取得的积极结果。研究显示，在24周内，efimosfermin显著改善了纤维化并解决了MASH问题，而没有加重纤维化。efimosfermin还提供了心代谢益处，如减少肝脏脂肪和改善血糖控制，且具有良好的安全性。公司计划在2025年推进至后期开发，强调efimosfermin作为MASH的良好耐受、每月一次治疗的潜力。
2024-11-16	替尔泊肽	射血分数保留的心力衰竭 肥胖	根据SUMMIT三期试验，礼来公司的tirzepatide在减少肥胖和射血分数保留的心力衰竭（HFpEF）成人 心力衰竭事件恶化风险方面显示出38%的显著效果。研究还表明，该药物改善了心力衰竭症状、身体限制、运动能力，并显著减轻体重。tirzepatide降低了系统性炎症，并使堪萨斯城心肌病问卷临床总结评分（KCCQ-CSS）提高了近25分。礼来公司已向全球监管机构提交tirzepatide用于HFpEF和肥胖治疗的审批申请，可能为这些患者设定新的护理标准。
2024-11-16	nexiguran ziclumeran	转甲状腺素蛋白淀粉样变性心肌病	Intellia Therapeutics宣布其nexiguran ziclumeran（nex-z）在1期试验中取得了令人鼓舞的结果，这是一种基于CRISPR的基因编辑疗法，用于治疗转甲状腺素蛋白（ATTR）淀粉样变性。研究显示，单次剂量的nex-z可导致血清TTR水平的快速、深度和持久降低，并在心脏和神经病变标志物中显示出疾病稳定或改善的证据。该疗法耐受性良好，最常见的不良事件是轻度至中度的输液相关反应。
2024-11-17	nucesiran	转甲状腺素蛋白淀粉样变	Alnylam制药公司宣布了其RNAi治疗药物nucesiran（ALN-TTRsc04）用于治疗转甲状腺素蛋白（ATTR）淀粉样变性的1期中期数据。研究显示，单剂量300 mg或更高剂量可在第15天迅速且持续地将血清TTR水平降低超过90%，并维持六个月。结果表明，该药物有可能实现半年或一年一次的给药，为ATTR淀粉样变性提供了一种新的治疗模式。Nucesiran在所有剂量下均耐受良好，无显著安全问题，Alnylam计划在2025年初分享3期开发计划。
2024-11-18	acoramidis	转甲状腺素蛋白淀粉样变性心肌病	BridgeBio Pharma公司公布了acoramidis用于治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变性心肌病（ATTR-CM）的开放标签延伸（OLE）研究的积极结果。研究显示，acoramidis在36个月时显著降低了全因死亡率（ACM）和心血管相关住院率（CVH），分别减少36%和46%，并在42个月时观察到持续的益处。这些发现强调了acoramidis早期干预的重要性，目前该药物正在美国食品药品监督管理局（FDA）和欧洲药品管理局（EMA）审查中以获得批准。该药物显示出良好的耐受性，没有新的安全问题。
2024-11-18	obicetrapib	杂合子型家族性高胆固醇血症	NewAmsterdam Pharma在2024年AHA科学会议上展示了其3期BROOKLYN试验的额外数据，强调了obicetrapib在异质性家族性高胆固醇血症（HeFH）患者中的疗效。试验达到了其主要终点，与安慰剂相比，LDL-C水平在第84天减少了36.3%，在第365天减少了41.5%。次要终点，包括Lp(a)和ApoB的减少，也显示出显著改善。Obicetrapib耐受性良好，其安全性与安慰剂相当，表明其有潜力成为现有疗法无法充分管理的高LDL-C患者的新治疗选择。
2024-11-18	bexotegrast	原发性硬化性胆管炎	Pliant Therapeutics在2024年肝脏会议上展示了其Bexotegrast项目的有前景数据。Bexotegrast是一种口服抑制剂，针对αvβ6和αvβ1整合素，在原发性硬化性胆管炎（PSC）患者中显示出显著改善胆汁淤积和肝纤维化标志物和症状的效果，来自INTEGRIS-PSC二期试验的数据表明该药物耐受性良好，并展示了抗纤维化和抗胆汁淤积活性。此外，Pliant还识别了PSC的新型血清和尿液生物标志物，有助于预测疾病进展。Bexotegrast已获得FDA和EMA的快速通道和孤儿药资格认定，用于IPF和PSC。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药研发进展（积极）附录（4/6）

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-18	地尼法司他	代谢相关脂肪性肝炎	Sagimet Biosciences在2024年AASLD肝脏会议上展示了其FASN抑制剂denifanstat的有希望的数据。FASCINATE-2的2b期试验显示，denifanstat显著改善了难治性MASH患者的肝纤维化，AI和传统病理学均证实了其抗纤维化活性。临床前研究还表明其可能的心血管益处，因为FASN抑制在小鼠模型中减少了动脉粥样硬化。这些发现支持将denifanstat推进到3期试验，强调其治疗MASH及相关心血管问题中的潜力。
2024-11-18	FT596 FT522	自身免疫性疾病 B细胞淋巴瘤	Fate Therapeutics在2024年ACR Convergence上展示了其FT522的I期研究初步数据，该产品是现成的CAR NK细胞产品，针对复发/难治性B细胞淋巴瘤和B细胞介导的自身免疫性疾病，无需条件化疗。FT522显示出良好的安全性、完全反应和活细胞的持久性，选择性靶向CD19+ B细胞。公司还在探索FT522作为自身免疫性疾病的附加疗法。
2024-11-18	EO2002	角膜水肿	Emmecell宣布其非手术细胞疗法EO2002在治疗角膜水肿的第一阶段试验中取得积极结果。试验显示，150,000细胞组的视力平均提高11个字母，角膜健康显著改善。该疗法表现出良好的安全性，没有严重不良事件。EO2002提供了一种非手术替代角膜移植的方法，可能通过单个供体角膜治疗多个眼睛。Emmecell计划将EO2002推进到第三阶段试验。
2024-11-18	JNJ-2113	斑块状银屑病	强生公司宣布，icotrokinra（JNJ-2113）在治疗中重度斑块型银屑病的三期试验中取得了积极结果。研究显示，该药物显著改善了皮肤清除情况，24周时74%的患者达到了皮肤清晰或几乎清晰的状态。该药物的安全性与安慰剂相当。这些结果表明，icotrokinra可能为银屑病患者提供一种方便的每日一次口服治疗选择。进一步的研究正在进行中，全面结果将在即将召开的医学会议上公布。
2024-11-19	VK2809	代谢相关脂肪性肝炎	Viking Therapeutics在2024年第75届肝脏会议上展示了其VK2809的2b期VOYAGE研究的积极结果。VK2809是一种肝脏选择性甲状腺激素受体β激动剂，在经活检确认的NASH/MASH患者中显示出显著的肝脂减少和NASH解决及纤维化改善。研究还表明，VK2809通过降低血浆脂质具有潜在的心脏保护益处。该药物耐受性良好，大多数不良事件为轻度或中度。这些发现表明VK2809是代谢紊乱的有前景的治疗选择，Viking正在其他治疗领域进行持续研究。
2024-11-19	司美格鲁肽	代谢相关脂肪性肝炎	诺和诺德宣布了ESSENCE三期试验的积极结果，该试验评估了semaglutide 2.4 mg在治疗伴有中度至重度肝纤维化的代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）中的疗效。试验达到了其主要终点，显示出与安慰剂相比，肝纤维化显著改善和脂肪性肝炎的解决而没有恶化肝脏状况。次要终点也显示肝酶和非侵入性测试的改善。这些发现表明，semaglutide 2.4 mg可能成为MASH的潜在治疗方法，这种疾病影响着美国每20名成年人中的一人，诺和诺德计划在2025年寻求监管批准。
2024-11-19	dapirolizumab pegol	系统性红斑狼疮	Lupus Therapeutics与UCB和Biogen合作，宣布dapirolizumab pegol（DZP）在治疗中重度系统性红斑狼疮（SLE）的3期PHOENYCS GO试验中取得积极结果。试验显示，DZP达到了其主要终点，在所有器官系统中显著改善疾病活动性，与标准护理相比，严重疾病发作减少了50%。通过靶向CD40配体，DZP提供了一种新颖的狼疮治疗方法，成为一种有前景的治疗选择。受这些结果的鼓舞，UCB和Biogen计划在2024年启动第二个3期试验PHOENYCS FLY。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药研发进展（积极）附录 (5/6)

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-19	VRON-0200-AdC6	慢性乙肝	Virion Therapeutics报告了VRON-0200首次人体研究的积极结果，这是一种旨在实现慢性乙型肝炎（HBV）功能性治愈的新型检查点修饰免疫疗法。1b期试验表明，VRON-0200安全且耐受性良好，无严重不良事件。研究显示，32%的患者T细胞反应增加5.5倍，乙型肝炎表面抗原（HBsAg）水平下降，表明病毒的免疫控制。
2024-11-19	OCU410	斯特格氏病 地图样萎缩 先天性黑蒙症 干性年龄相关性黄斑变性	生物技术公司Ocugen, Inc.宣布了OCU410的初步数据，这是一种用于治疗干性年龄相关性黄斑变性（dAMD）继发的地理萎缩（GA）的新型基因疗法。第一阶段试验显示无严重不良事件，病变生长减少，患者视功能改善。OCU410是一种单剂量治疗，解决了补体通路以外的多种疾病方面，为目前治疗选择有限的GA患者提供了潜在突破。
2024-11-19	帕博利珠单抗+重组人玻璃酸酶	非小细胞肺癌	默沙东公司宣布其用于治疗转移性非小细胞肺癌（NSCLC）的皮下注射帕博利珠单抗与贝拉透明质酸酶阿尔法和化疗结合的三期试验取得了积极结果。试验表明，皮下注射帕博利珠单抗的药代动力学不劣于静脉注射形式的KEYTRUDA与化疗结合使用。这种新方法可能改善患者体验并提高可及性。
2024-11-19	elebsiran	慢性乙肝	Brii Biosciences Limited在2024年AASLD肝脏会议上展示了其第二阶段ENSURE研究的新数据，强调了siRNA（elebsiran）与PEG-IFNα联合治疗慢性HBV感染的疗效。研究显示，联合疗法在HBsAg清除率方面优于单用PEG-IFNα，200 mg和100 mg elebsiran组的清除率分别为26.3%和33.3%，而PEG-IFNα组为5.6%。
2024-11-19	dapirolizumab pegol	系统性红斑狼疮	UCB和Biogen在美国风湿病学会展示了dapirolizumab pegol（DZP）的三期数据，显示其对系统性红斑狼疮（SLE）疾病活动的显著减少。PHOENYCS GO研究表明，DZP达到了其主要终点，与单独标准护理相比，反应率提高了14.6%。DZP在次要终点上也显示出改善，包括减少类固醇使用和减少严重发作。该药物通过靶向CD40L通路，为SLE提供了一种有前景的治疗选择，特别是对受该病影响较大的女性有益。
2024-11-19	tobevibart elebsiran bulevirtide	丁型肝炎	Vir Biotechnology宣布其针对慢性乙型肝炎（CHD）的第二阶段SOLSTICE试验取得了积极结果，显示tobevibart和elebsiran的组合在第24周实现了100%的病毒学抑制，并持续到第60周。试验显示，到第60周，80%的参与者的HDV RNA不可检测，且未报告严重不良事件。基于这些结果以及与FDA的会议，Vir计划在2025年启动第三阶段ECLIPSE项目。
2024-11-20	PYX-201	头颈部鳞状细胞癌 实体瘤	Pyxis Oncology宣布其PYX-201的1期临床试验初步结果令人鼓舞，这是一种创新的抗体药物偶联物（ADC），靶向肿瘤细胞外基质中的Extr domain-B纤维连接蛋白。试验显示，在重度预处理的头颈部鳞状细胞癌（HNSCC）患者中，客观缓解率为50%，疾病控制率为100%。PYX-201耐受性良好，安全性良好。Pyxis还与默克公司合作，评估PYX-201与KEYTRUDA®联合治疗多种癌症的效果，试验将于2025年初开始。
2024-11-20	obicetrapib+依折麦布	动脉粥样硬化 心血管风险 杂合子型家族性高胆固醇血症	NewAmsterdam Pharma宣布其3期TANDEM临床试验的积极结果，该试验评估了obicetrapib和ezetimibe的固定剂量组合在ASCVD或HeFH患者中的效果。试验达到了所有共同主要终点，显示LDL-C水平显著降低约50%，与安慰剂相比。超过70%的患者达到了低于55 mg/dL的LDL-C水平。该组合耐受性良好，安全性结果与先前研究一致。这些发现支持全球监管申请，并突显了一种潜在的新治疗选择，适用于对现有疗法反应不足的心血管疾病患者。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

2024年11月全球新药研发进展（积极）附录（6/6）

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-25	sotatercept	肺动脉高压	默沙东宣布，其用于治疗高死亡风险肺动脉高压（PAH）患者的WINREVAIR（sotatercept-csrk）在第三阶段ZENITH试验中达到了主要终点。该试验显示，与安慰剂相比，WINREVAIR显著降低了发病率或死亡率事件的风险，导致研究提前结束。参与者将通过开放标签扩展研究获得WINREVAIR。WINREVAIR是一种抑制活化素信号的药物，已在美国和36个国家获得批准，并已提交日本批准申请。结果显示WINREVAIR在PAH管理中的潜在变革性作用。
2024-11-25	醋酸阿比特龙 capiivasertib	激素敏感性前列腺癌	根据CAPitello-281三期试验，阿斯利康的TRUQAP®（capiivasertib）与阿比特龙和雄激素剥夺疗法（ADT）结合使用，在PTEN缺乏的转移性激素敏感性前列腺癌（mHSPC）患者中显示出显著改善的影像学无进展生存期（rPFS）。这是首个在此特定前列腺癌亚型中显示益处的AKT抑制剂组合。尽管总体生存数据尚不成熟，但早期趋势表明可能改善。试验继续评估总体生存作为次要终点。TRUQAP的安全性已知数据一致，但高血糖和腹泻是显著的副作用。
2024-11-26	MaaT033	肌萎缩侧索硬化症	MaaT Pharma宣布其MaaT033在肌萎缩侧索硬化症（ALS）患者中的1b期试验取得积极结果，达到了安全性和耐受性的主要终点。该试验在法国的15名参与者中进行，显示MaaT033在两个月期间耐受性良好。初步微生物组分析证实了口服胶囊的成功植入。数据安全监测委员会支持推进至第2阶段，进一步数据预计在2025年初公布。MaaT033是一种基于微生物组的疗法，旨在改善ALS患者的生存率，这是一种治疗选择有限的进行性神经退行性疾病。
2024-11-26	maridebart cafraglutide	2型糖尿病 肥胖	安进公司宣布了其用于肥胖和2型糖尿病的双特异性抗体-肽偶联物MariTide的二期研究的积极结果。研究显示，MariTide在没有2型糖尿病的个体中平均减重可达20%，在有该病症的个体中减重可达17%，且未达到减重平台。此外，它改善了代谢参数，并将HbA1c水平降低了最多2.2个百分点。该治疗总体耐受性良好，最常见的副作用是胃肠道不适。安进计划推进名为“MARITIME”的三期项目。
2024-11-27	来那帕韦	HIV-1感染	吉利德科学公司宣布，《新英格兰医学杂志》发表了其第三阶段PURPOSE 2试验的完整结果。该试验评估了每年两次使用lenacapavir在顺性别男性和性别多样人群中预防HIV的效果。研究显示，HIV感染减少了96%，lenacapavir优于每日一次的Truvada®方案。该药物耐受性良好，没有显著的安全问题。吉利德计划利用这些结果支持lenacapavir作为暴露前预防（PrEP）的全球监管申请，并计划在2024年底前开始。

2024年10月全球新药研发进展（消极）附录（1/1）

文章日期	全球新药	疾病	研究进展
2024-11-12	他米巴罗汀 阿扎胞苷	骨髓增生异常综合征	Syros制药公司宣布，其SELECT-MDS-1三期试验中，tamibarotene与azacitidine联合用于RARA基因过表达的高危骨髓增生异常综合征（HR-MDS）患者的研究未达到主要终点，即完全缓解率。试验显示，治疗组的CR率为23.8%，对照组为18.8%，无统计学显著性。因此，Syros将终止该研究并审查数据。公司计划评估tamibarotene项目的下一步措施。
2024-11-18	EP262 EP547	慢性自发性荨麻疹 胆汁淤积性瘙痒症	Incyte宣布，由于观察到某些体内毒理学发现，暂停其MRGPRX2（INCB000262）用于慢性自发性荨麻疹的二期研究的入组。公司正与FDA合作以确定未来步骤。同时，MRGPRX4（INCB000547）在胆汁淤积性瘙痒症的二期研究数据不支持进一步开发。公司正在评估其MRGPRX2项目的未来及潜在的备选分子。
2024-11-18	NGN-401	瑞特综合征	Neurogene公司更新了其针对Rett综合征的NGN-401基因疗法的1/2期临床试验。一名接受高剂量治疗的参与者报告了严重不良事件（SAE），导致全身性高炎症综合征。FDA允许试验以较低剂量继续进行，而高剂量组已暂停。试验中未报告其他SAE，Neurogene致力于参与者的安全并与FDA保持透明。公司正在调整试验方案，并预计不会在2024年底前完成低剂量组的招募。
2024-11-20	dalzanemdor	认知障碍 亨廷顿氏病	Sage Therapeutics宣布了针对亨廷顿病相关认知障碍的dalzanemdor（SAGE-718）二期DIMENSION研究的结果。研究未能达到其主要终点，dalzanemdor在改善认知功能方面与安慰剂相比没有显示出统计学上的显著差异。尽管该药物耐受性良好且没有新的安全问题，公司决定不再继续开发dalzanemdor。这一决定也导致正在进行的PURVIEW研究的关闭。
2024-11-25	AL002	阿尔茨海默病	Alector公司宣布其用于早期阿尔茨海默病治疗的AL002在INVOKE-2二期试验的结果。试验显示，尽管AL002实现了持续的靶点结合和小胶质细胞激活，但未能达到减缓阿尔茨海默病进展的主要终点。在次要终点或阿尔茨海默病生物标志物上也未观察到显著效果。基于这些结果，Alector决定停止长期扩展研究。。
2024-11-26	tiragolumab 阿替利珠单抗	非小细胞肺癌	罗氏发布了关于III期SKYSCRAPER-01研究的更新，该研究评估了tiragolumab与Tecentriq®（atezolizumab）的组合与单独使用Tecentriq在PD-L1高表达、局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）患者中的效果。该研究涉及534名患者，未达到其主要终点——总生存期。然而，安全性概况保持一致，没有发现新的安全问题。详细结果将在2025年公布。罗氏继续评估其研究项目，并预计明年将在不同环境中获得更多III期研究数据。
2024-11-26	PTC-857	肌萎缩侧索硬化症	PTC Therapeutics宣布其针对ALS患者的Utreloxastat药物的第二阶段CardinALS试验结果，该试验未能达到主要和次要疗效终点。尽管在疾病进展和死亡率方面有一些数值改善和生物标志物相关性，但研究未显示显著效果。Utreloxastat被证明是安全且耐受性良好的，但由于缺乏疗效，暂不计划进一步开发。

数据来源：医药魔方NextPharma®数据库
数据说明：注册进展/研究进展概述由AI生成

免责声明 Disclaimer of liability

本报告由医药魔方制作,未经医药魔方许可,严禁将本报告大规模传阅。

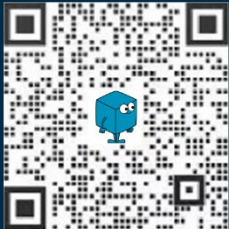
医药魔方不对本报告内的数据做超出客户服务协议之外的承诺。本报告不构成任何立项、投资、交易建议。阅读者应审慎使用本报告信息,如因阅读者使用不当造成损失,医药魔方概不负责。医药魔方不会因为接收人收到本报告而视其为客户。

对本报告有任何疑问和建议或者是数据上的需求,欢迎扫码添加魔方君企业微信联系。

This report is produced by PharmCube and is only available for paid users of PharmCube. Mass distribution or circulation of this report without permission is strictly prohibited.

PharmCube does not make any commitments beyond the customer service agreement for the data in this report. Information in this report should not be considered project initiation or personalized investment/business advice. The receipt of this report does not necessarily make a recipient a PharmCube client.

For any inquiries, suggestions or needs for data, please scan the QR code or reach us by e-mail.



Contact us

Email: hi@pharmcube.com

Tel: 010-64736966

021-66292268

医药魔方 | 数据智略与咨询

Data Intelligence & Consulting

感谢陪伴 THANK YOU



关注医药魔方数据库
众多行业报告免费下载