CITELINE COMMERCIAL

报告

2024 年第三季度展望报告

2024 年 6 月

由以下机构为您提供：

BIOMEDTRACKER
CITELINE COMMERCIAL

MEDDEVICETRACKER
CITELINE COMMERCIAL

目录

关于作者 4
执行摘要 4
免责声明 4
2024 年第二季度展望报告之 Biomedtracker 重大影响药物催化事件评选结果 5
药物 7
用于治疗急性髓系白血病 (AML) 的 Revumenib 7
用于治疗斑秃的 CTP-543 8
用于治疗阿尔茨海默病 (AD) 的 Alpha-1062 9
用于治疗脑癌– 恶性胶质瘤；间变性星形细胞瘤 (AA) 和巨细胞瘤 (GBM) 的 Vorasidenib 10
用于治疗皮肤 T 细胞淋巴瘤 (CTCL) —— 非霍奇金淋巴瘤 (NHL) 的 Lymphir 11
用于治疗胃食管反流病 (GERD) 的 Voquezna 12
用于治疗胃轻瘫的 Tradipitant 13
用于治疗移植物抗宿主病 (GVHD) 的 Axatilimab 14
用于治疗多发性骨髓瘤 (MM) 的 Linvoseltamab 15
用于治疗 C 型尼曼匹克病的 IB1001 16
用于治疗 C 型尼曼匹克病的 Miplyffa 17
用于治疗帕金森病 (PD) 的 IPX203 18
用于治疗外周动脉疾病 (PAD) 的 Humacyl 19
用于治疗原发性胆汁性胆管炎 (PBC) 的 Seladelpar 20
用于治疗瘙痒症的 Nemolizumab 21
用于治疗精神分裂症的 KarXT 22
用于治疗滑膜肉瘤的 Afami-cel 23
医疗器械 24
Stryker 收购 Artelon 24
Eversense 365 天传感器获得集成连续血糖监测系统 (iCGM) 资格认定 25
用于愈合伤口的 HemoStyp 纱布 26
交易 27
阿斯利康完成收购 Amolyt Pharma 27
百健完成收购 Human Immunology Biosciences 27
默沙东完成收购 Eyebiotech Limited 28

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

诺华完成收购 Mariana Oncology 28

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

关于作者

Biomedtracker 药物信息数据库可提供独立的调查服务，信息全面，操作简洁直观，为您带来专属的研发药物临床评估与基于患者的收益预测。制药、生物技术及投资行业的客户通过 Biomedtracker 洞悉每种重要疾病和适应症治疗药物的竞争格局、获批可能性、商业潜力以及未来数据和监管催化事件。近年来，Biomedtracker 已成为提供客观信息、循证临床评估和全球管线药物投资研究的领导者。有关直接访问 Biomedtracker 的更多信息，请发送电子邮件至 BiomedSupport@sagientresearch.com。

执行摘要

本报告预测 2024 年第三季度 24 款药物、医疗器械、诊断、交易构成的催化事件，并分析每一款药物的阶段/处方药用户付费法案 (PDUFA) 评审成功概率及就它们所处的特定阶段、药物类别、疾病组分析总体获批概率 (LOA)。这些数据点由 Pharmapremia 和 Biomedtracker 共同提供，其中 Pharmapremia 是 Citeline 的药物开发基准产品，它利用 Biomedtracker 的药物批准数据和 LOA 数据，帮助做出药物管线的优先级、合作及收购方面的知情决策。催化事件的结果详见我们的 2024 年第二季度展望报告第 6 页。在本报告末尾，我们列出了截至 2024 年第三季度的重大药物影响催化事件清单。

免责声明

本报告由 Sagient Research（出版商）出版。本报告的信息来源可靠，尽管我们已尽可能发布准确的信息，但您对本报告的选择、适用性及使用承担全部责任。并且您承认出版商不对本报告所含信息或建议的准确性、特定用途的适用性做出任何明示或暗示的保证，也不承担任何责任。出版商在此明确声明，作者或撰稿人个人在本报告中表达的任何观点或意见均为其个人观点和意见，不一定反映出版商的观点/意见。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

2024 年第二季度展望报告之 Biomedtracker 重大影响药物催化事件评选结果

发生日期	牵头公司	产品	市场	催化事件	LOA 是否可预测结果	结果前 LOA	结果后 LOA
4/23/24	Day One Biopharmaceuticals	Ojemda	肿瘤学疾病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	94%（高于平均值 2%）	100%（与平均值相同）
6/27/24	Verona Pharm	Ohtuvayre	呼吸系统疾病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	99%（高于平均值 2%）	100%（与平均值相同）
4/5/24	Basilea Pharmaceutica	Zeftera	传染病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	否	88%（高于平均值 5%）	100%（与平均值相同）
6/20/24	Botanix Pharmaceuticals	Sofdra	皮肤病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	99%（高于平均值 2%）	100%（与平均值相同）
5/24/24	Elevar Therapeutics	Rivoceranib	肿瘤学疾病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	否[1]	93%（高于平均值 1%）	93%（高于平均值 1%）
5/24/24	江苏恒瑞医药	卡瑞利珠单抗	肿瘤学疾病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	否[1]	93%（高于平均值 1%）	93%（高于平均值 1%）
4/8/24	Supernus Pharmaceuticals	SPN-830	神经病学疾病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	87%（与平均值相同）	46%（与平均值相同）
6/18/24	默沙东	CAPVAXIVE	传染病	生物制品许可申请 (BLA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	99%（高于平均值 6%）	100%（与平均值相同）

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

4/29/2024	X4 Pharmaceuticals	Xolremdi	自身免疫 / 免疫学疾病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	99%（高于平均值 5%）	100%（与平均值相同）
5/31/2024	Moderna	mRESVIA	传染病	BLA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	99%（高于平均值 6%）	100%（与平均值相同）
4/24/2024	Utility Therapeutics	Pivya	传染病	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期	是	93%（与平均值相同）	100%（与平均值相同）

[1]先前 LOA 无变化

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

药物

用于治疗急性髓系白血病 (AML) 的 Revumenib

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Revumenib	Syndax Pharmaceuticals, Inc.	艾伯维	急性髓系白血病 (AML)	2024/09/26	NDA –首次评审（实时肿瘤学评审 [RTOR]）的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	肿瘤学疾病	新分子实体 (NME)	86.0%	90.0%	均值

Revumenib 是一种口服小分子 Menin- 混合谱系白血病 1 (MLL1) 抑制剂，对 MLL 重排和核磷蛋白 1 (NPM1) 突变的白血病有效。2023 年 12 月，Syndax Pharmaceuticals 宣布根据美国食品药品监督管理局 (FDA) 实时肿瘤学评审 (RTOR) 计划提交 Revumenib 新药申请 (NDA)，用于治疗成人和儿童复发或难治性 (R/R) KMT2A 重排 (KMT2Ar) 急性白血病。关键性 I/II 期 AUGMENT-101 研究数据为该申请提供了支持。

I/II 期 AUGMENT-101 研究在复发性 / 难治性 KMT2Ar 或 NPM1 突变的 AML 和急性淋巴细胞白血病 (ALL) 患者中评估了 Revumenib。2023 年 12 月首次公布的 AML 组试验结果令人鼓舞，该药物在 KMT2Ar 人群中达到了较高的完全缓解 / 完全缓解伴部分血液学恢复 (CR/CRh) 率，这尤其令人印象深刻，因为患者之前曾多次复发，其中 72% 曾接受过 Venclexta 治疗。12 例患者在造血干细胞移植 (HSCT) 和 Revumenib 维持治疗后维持复合完全缓解，6 例患者在截止时维持微小残留病 (MRD) 阴性缓解，1 例患者从 MRD 阳性转为 MRD 阴性。3 例患者在移植后接受 Revumenib 维持治疗一年以上，维持治疗的安全性特征良好。

Venclexta 与低甲基化药物或低剂量阿糖胞苷联合使用，是当前不适合强化化疗的初治 AML 患者的标准治疗，但 Venclexta 治疗后复发患者的治疗选择有限。骨髓移植是唯一的治愈选择，在这种情况下，任何治疗的目的都是达到允许移植的稳定缓解，而由于 Revumenib 可产生有临床意义的持久缓解，因而非常具有前景。2024 年 3 月，Syndax 宣布美国 FDA 已授予 NDA 优先评审资格，处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标行动日期指定为 2024 年 9 月 26 日。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗斑秃的 CTP-543

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
CTP-543	Sun Pharmaceuticals	不适用	斑秃	2024/07/01 2024/07/31	新药申请 (NDA) – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	肿瘤学疾病	NME	99.0%	91.0%	**高于**

Sun Pharmaceuticals 的 CTP-543 是一种口服的氘代 Ruxolitinib 类似物，可选择性地抑制 Janus 激酶 JAK1 和 JAK2。2023 年 10 月，美国食品和药物管理局 (FDA) 接受了 Deuruxolitinib 治疗成人中重度斑秃的新药申请 (NDA)。CTP-543 被授予该适应症的突破性疗法认定和快速通道认定，处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期指定为 2024 年 7 月。

该 NDA 的提交是基于 2 项关键性 III 期试验 THRIVE-AA1 和 THRIVE-AA2，这两项试验涉及超过 135 家临床研究中心的 1200 多例患者。这些试验的数据已在 2023 年美国皮肤病学会 (AAD) 年会和第 31 届欧洲皮肤病与性病学会大会上公布。两项研究均显示，与安慰剂相比，8 mg 和 12 mg 组中达到主要终点（脱发严重程度工具 [SALT] 评分 ≤ 20）的患者比例明显更高。在 THRIVE-AA1 试验中，第 24 周时，12 mg 每日两次剂量组 41.5% 的患者和 8 mg 每日两次剂量组 29.6% 的患者达到 SALT 评分 ≤ 20，而安慰剂组仅为 0.8%。在 THRIVE-AA2 试验的第 24 周终点时，12 mg 组 38.3% 的患者和 8 mg 组 33% 的患者达到主要终点，而安慰剂组仅为 0.8%。此外，在毛发患者报告结局满意度 (SPRO) 量表中，8 mg 和 12 mg 组分别有 47% 和 52% 的患者表示“ 满意 ”或“ 非常满意 ”，而安慰剂组仅为 2%。在两项试验的 8 mg 组中，Deuruxolitinib 的耐受性良好，发生了 1 例治疗相关严重不良事件，但 8 mg 剂量组的患者满意度显著高于安慰剂组。

CTP-543 是治疗斑秃的有力竞争药物，斑秃是一种 FDA 批准药物很少的适应症。JAK 抑制剂的黑框警告以及竞争药物辉瑞的 Litfulo (Ritlecitinib) 和礼来的 Olumiant (Baricitinib)，可能会影响其市场渗透。但该研发者认为，安全性和有效性数据表明，Deuruxolitinib 是治疗斑秃的最佳选择。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗阿尔茨海默病 (AD) 的 Alpha-1062

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Alpha-1062	Alpha Cognition, Inc.	不适用	阿尔茨海默病 (AD)	2024/07/27	NDA - 首次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	神经病学疾病	NME	87.8%	65.0%	**均值**

ALPHA-1062 是一种缓释口服片剂，由 Alpha Cognition 开发，用于治疗轻度至中度阿尔茨海默病。该药是加兰他敏的前药，旨在将胃肠道副作用降至最低。2023 年 9 月向美国 FDA 提交新药申请 (NDA)，随后于 2023 年 12 月被 FDA 受理。

在一项关键性 III 期生物利用度研究中，ALPHA-1062 在健康成年志愿者体内的生物利用度与氢溴酸加兰他敏缓释片 (ER) 相当。与氢溴酸加兰他敏 ER 相比，ALPHA-1062 的曲线下面积和峰值暴露量分别达到了约 107% 和 127%。该数据进一步描述了 ALPHA-1062 的迟释特征，并通过表征与速释和缓释产品相比的治疗和可接受暴露量，为 NDA 数据集提供了支持。

该 NDA 的处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标日期指定为 2024 年 7 月 27 日。该公司进行的 4 项研究结果表明，ALPHA-1062 与加兰他敏和加兰他敏 ER 具有生物等效性，这为该申请提供了支持。所有 ALPHA-1062 研究中记录的不良事件发生率均低于 2%，且未观察到失眠。该公司计划在获得 FDA 批准后，在长期护理 (LTC) 细分市场推出商业化产品。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗脑癌– 恶性胶质瘤；间变性星形细胞瘤 (AA) 和巨细胞瘤 (GBM) 的 Vorasidenib

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Vorasidenib	Les Laboratoires Servier	Royalty Pharma plc (RPRX)	脑癌 – 恶性胶质瘤；间变性星形细胞瘤 (AA) 和巨细胞瘤 (GBM)	2024/08/20	NDA - 首次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	肿瘤学疾病	NME	86.0%	90.0%	**高于**

Servier 正致力于通过其潜在的首个靶向治疗药物 Vorasidenib，在异柠檬酸脱氢酶 (IDH) 突变癌症领域获得第六个管线批准。Vorasidenib 是突变型 IDH1/2（异柠檬酸脱氢酶 1 和 2）酶的口服、选择性、高度脑渗透性的双重抑制剂，用于治疗 IDH 突变型弥漫性胶质瘤。约 80% 的低级别胶质瘤患者体内的代谢酶 IDH1 和 IDH2 发生突变。这些患者的可用治疗方案仍然仅限于肿瘤切除术，随后酌情进行放疗和化疗。Vorasidenib 目前正在美国接受优先评审，处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标行动日期指定为 2024 年 8 月 20 日。

此次提交是基于关键性 III 期 INDIGO 临床试验的结果，该试验达到了根据盲态独立审查委员会 (BIRC) 设定的主要终点无进展生存期 (PFS)，并在预设的第二次期中分析达到关键次要终点至下一次干预时间 (TTNI)。Vorasidenib 和安慰剂的中位 PFS 分别为 27.7 个月和 11.1 个月。Vorasidenib 未达到中位 TTNI ，安慰剂的中位 TTNI 为 17.8 个月。研究还显示，Vorasidenib 平均每 6 个月可使肿瘤体积缩小 2.5%，而随机分配至安慰剂组的患者平均每 6 个月肿瘤体积增大 13.9%。

除了美国的新药申请 (NDA)，Servier 还申请了其他地区的监管审查，如欧洲、加拿大、澳大利亚、以色列和巴西。其中许多申请与 Orbis 项目有关，这意味着 2024 年 8 月 20 日的美国批准决定对于 Servier 和 Vorasidenib 来说将是至关重要的一天，它将决定这种潜在同类首创疗法的成败。如果 Vorasidenib 获批用于治疗这些高危低级别 IDH 突变型胶质瘤患者，它将相对没有竞争对手。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗皮肤 T 细胞淋巴瘤 (CTCL) 非霍奇金淋巴瘤 (NHL) 的 Lymphir

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Lymphir	Citius Oncology, Inc.	Citius Pharmaceuticals	皮肤 T 细胞淋巴瘤 (CTVL) – NHL	2024/08/13	生物制品许可申请 (BLA) – 第二次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
BLA	肿瘤学疾病	生物制剂	93.4%	49.0%	**均值**

Lymphir (I/ONTAK) 是改良版 ONTAK，ONTAK 是一种融合蛋白，由与白细胞介素 -2 (IL-2) 融合的白喉毒素片段组成。2014 年，由于生产过程中的蛋白纯化问题，卫材自愿将 ONTAK 撤出市场，而 Lymphir 的设计则避免了这些问题。应 FDA 的要求，Lymphir 的 III 期试验于 2013 年启动，但在 2016 年，卫材将 Lymphir 的全球独家经营权（日本和亚洲除外）授予 Dr. Reddy’s，后者又于 2021 年将这些权利出售给 Citius。2021 年，Lymphir 在日本获批用于治疗复发性或难治性外周 T 细胞淋巴瘤 (PTCL) 和复发性或难治性皮肤 T 细胞淋巴瘤 (CTCL)。Citius 目前正在美国申请批准用于治疗既往接受过至少一次全身治疗的复发性或难治性皮肤 T 细胞淋巴瘤 (CTCL) 患者，预计 FDA 将于 2024 年 8 月做出决定。

Lymphir III 期研究是一项在持续性或复发性 CTCL 受试者中开展的关键性、多中心、开放标签、单组研究。2022 年 4 月发布的顶线结果显示，Lymphir 险些错过试验的主要终点，即客观缓解率 (ORR) 的 95% 置信区间 (CI) 下限是否能超过 25.0%，而该试验下限正好达到 25.0%。不过，该公司指出，FDA 将评估 95% CI 的下限是否会超过将在 BLA 评审期间确定的临床相关缓解率。有鉴于此，该药物仍有机会获得批准。

Citius 于 2022 年 9 月提交 BLA，但随后于 2023 年 7 月收到完整答复函。FDA 要求 Citius 强化产品检测，以及在上市申请评审期间与 FDA 商定的额外控制措施。没有与安全性和疗效临床数据包或拟定处方信息相关的问题。该公司于 2024 年 2 月重新提交 BLA，并作为 II 类重新提交接受评审，PDUFA 日期为 2024 年 8 月 13 日。如果获批，这将是 Citius 在美国的首个获批产品。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗胃食管反流病 (GERD) 的 Voquezna

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Voquezna	Phathom Pharmaceuticals, Inc.	大冢制药，武田制药	胃食管反流病 (GERD)	2024/07/19	补充新药申请 (sNDA) - 首次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
已获批准	胃肠病学疾病（非炎症性肠病）	NME	99.9%	67.0%	**均值**

Voquezna（伏诺拉生）是一种钾竞争性酸阻滞剂，以片剂给药，用于治疗成人糜烂性食管炎。该药由 Phathom Pharmaceuticals 开发。该公司提交了 Voquezna 作为成人非糜烂性胃食管反流病 (NERD) 相关胃灼热日常治疗的补充新药申请 (sNDA)，美国 FDA 于 2023 年 12 月受理。

该 sNDA 的提交是基于 III 期 PHALCON-NERD-301 试验的疗效和安全性数据。PHALCON-NERD-301 是一项在美国 NERD 患者中开展的双盲随机试验，旨在评估伏诺拉生与安慰剂在 4 周内对胃灼热的控制效果，随后是为期 20 周的活性治疗扩展期，以评估伏诺拉生的长期治疗效果。试验中，伏诺拉生 10 mg 和 20 mg 组达到了主要终点，即 4 周内胃灼热缓解（伏诺拉生 10 mg 和伏诺拉生 20 mg 组的平均缓解率分别为 46.4% 和 46.0%，而安慰剂组的缓解率为 27.5%；伏诺拉生 10 mg 和 20 mg 组与安慰剂组相比，$p < 0.0001$）。在试验最初的 4 周双盲、安慰剂对照阶段，伏诺拉生的总体耐受性良好。所有伏诺拉生组的总体不良事件与安慰剂组相当，且与既往研究报告的结果一致。
Voquezna 目前已在美国和日本获批。FDA 指定该申请为 10 个月的标准评审，处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标行动日期为 2024 年 7 月 19 日。

由于该药物目前在等待批准，Phathom 预计将于 2024 年第三季度投入商业运营。该公司还计划将开发 Voquezna 为“按需”在研治疗药物，用于缓解非糜烂性 GERD 成人患者发作性胃灼热，这是一种新型给药治疗方案，质子泵抑制剂 (PPI) 目前尚未在美国获批。由于目前约有 3800 万美国成人患有非糜烂性 GERD，因此提供多种给药方案将大大有助于缓解 GERD 方面尚未得到满足的需求。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于胃轻瘫治疗的 Tradipitant

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Tradipitant	Vanda Pharmaceuticals, Inc.	礼来	胃轻瘫治疗	2024/09/18	NDA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	胃肠病学疾病（非炎症性肠病）	NME	99.9%	47.0%	**低于**

Tradipitant 是一种口服小分子神经激肽 -1 受体 (NK-1R) 拮抗剂，于 2012 年 4 月获得礼来的全球独家授权，目前正由 Vanda Pharmaceuticals 进行开发。2023 年 12 月，Vanda Pharmaceuticals 宣布，美国食品药品监督管理局 (FDA) 已受理 Tradipitant 用于治疗胃轻瘫症状的新药申请 (NDA)。提交的 NDA 包括 II 期 2301 和 III 期 3301 研究的结果，以及一项为期 12 周的大型开放标签研究的证据和扩展使用计划的数据。

II 期 2301 研究在 141 例胃轻瘫意向治疗 (ITT) 人群患者中评估了 Tradipitant（85 mg，每日两次）与安慰剂的疗效，为期 4 周。顶线结果令人鼓舞，因为根据患者的每日日记，Tradipitant 达到了主要终点，即恶心评分变化（Tradipitant 组变化 -1.2，安慰剂组变化 -0.7，p = 0.0099），并达到了相关终点，即无恶心天数改善（Tradipitant 组的天数增加 28.8% 的，安慰剂组增加 15.0%，p = 0.0160）。Tradipitant 的耐受性也值得注意，Tradipitant 治疗组患者的不良事件发生率与安慰剂治疗组相当。相比之下，唯一获得 FDA 批准用于治疗胃轻瘫的药物甲氧氯普胺却带有黑框警告，由于可能产生严重的副作用，其使用期限不超过三个月。

III 期 3301 研究的顶线结果并不乐观。该研究未能达到主要终点，即与安慰剂相比，第 12 周时恶心严重程度的变化。初步分析发现了一些潜在的混杂因素，这些因素可能掩盖了之前在 II 期 Tradipitant 研究中观察到的药物有益作用，其中包括两个治疗组之间急救药物使用的基线不平衡，以及观察到部分患者对研究药物的依从性较差。在将患者组的分析限制为基线时未使用急救药物，并校正依从性差的患者组后，Vanda 发现了药物对多种症状产生影响的有力证据，包括第 12 周主要终点的显著变化。

根据处方药用户付费法案 (PDUFA)，美国 FDA 已指定 2024 年 9 月 18 日为做出决定的目标日期。根据结果，Tradipitant 有可能成为自 1979 年以来首个获得美国批准的胃轻瘫治疗药物。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗移植物抗宿主病 (GVHD) 的 Axatilimab

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Axatilimab	Syndax Pharmaceuticals, Inc.	Incyte, UCB	移植物抗宿主病 (GVHD) – 治疗	2024/08/28	BLA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
BLA	自身免疫 / 免疫学疾病	生物制剂	96.7%	85.0%	高于

Syndax Pharmaceuticals 及其合作伙伴 Incyte 希望抗集落刺激因子 1 受体 (CSF-1R) 抗体 Axatilimab 能为慢性移植物抗宿主病 (cGVHD) 患者带来新的治疗选择。CSF-1R 是一种细胞表面蛋白，被认为能控制单核细胞和巨噬细胞的存活和功能，已证明通过 CSF-1 受体抑制信号传导可减少疾病介导的巨噬细胞及其单核细胞前体的数量。cGVHD 是供体来源的造血细胞对受体组织的免疫应答，是异基因造血干细胞移植后的严重并发症，可能危及生命，可持续数年。据估计，约 40% 的移植受者会发生慢性 GVHD。

自 2021 年 9 月起，这两家公司根据全球独家共同开发和共同商业化许可协议，开发用于治疗 cGVHD 的 Axatilimab。根据 2023 年 7 月首次发布的 AGAVE-201 试验的积极数据，于 2023 年 12 月在美国提交了 Axatilimab 的生物制品许可申请 (BLA)，用于既往接受过至少 2 线全身治疗失败的慢性移植物抗宿主病 (cGVHD) 成人和儿童 (≥ 6 岁) 患者，随后于 2024 年 2 月获得优先评审资格，处方药用户付费法案 (PDUFA) 行动日期指定为 2024 年 8 月 28 日。

全球 II 期 AGAVE-201 剂量范围试验在 241 例既往接受过 2 种治疗后疾病进展的复发性或难治性活动性 cGVHD 成人和儿童患者中评估了 Axatilimab 的疗效、安全性和耐受性。Axatilimab 取得了具有临床意义的结果，总体耐受性良好，安全性特征可管理，且符合 CSF-1R 抑制剂的作用机制。具体来说，该试验达到了主要终点，即接受 0.3 mg/kg（每 2 周一次）、1.0 mg/kg（每 2 周一次）和 3.0 mg/kg（每 4 周一次）Axatilimab 治疗的患者，在治疗前 6 个月内的总缓解率 (ORR) 分别显示为 74%、67% 和 50%。此外，在接受 0.3 mg/kg Axatilimab 治疗的缓解者中，60% 的患者在第 12 个月时维持缓解，并伴随 cGVHD 症状负荷减少，在 0.3 mg/kg 队列中，以改良 Lee 症状学量表评分至少改善 7 分来衡量，55% 的患者症状出现了具有临床意义的改善。

尽管最近强生的 Imbruvica 标签扩展在治疗一线或多线全身治疗失败后的 cGVHD 方面取得了进展，但对于在较早治疗线中出现疾病进展的患者来说，仍存在大量未满足的需求。Axatilimab 的新机制为目前市场上的治疗方法提供了一种与众不同的方法和机制，而这又可能为遭受这种严重疾病的患者带来希望。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗多发性骨髓瘤 (MM) 的 Linvoseltamab

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Linvoseltamab	Regeneron Pharmaceuticals, Inc.	不适用	多发性骨髓瘤 (MM)	2024/08/28	BLA - 首次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
BLA	肿瘤学疾病	生物制剂	93.5%	90.0%	**高于**

Regeneron 的 Linvoseltamab 是一种在研 BCMAxCD3 双特异性抗体，旨在桥接多发性骨髓瘤细胞上的 B 细胞成熟抗原 (BCMA) 与表达 CD3 的 T 细胞，以促进 T 细胞活化和对癌细胞的杀伤。Linvoseltamab 将于 2024 年 8 月 22 日获得美国食品药品监督管理局 (FDA) 的批准决定，用于治疗既往接受过至少 3 种治疗后进展的复发性 / 难治性 (R/R) 多发性骨髓瘤 (MM) 成人患者。MM 是第二大常见血癌，其特征是癌性浆细胞（MM 细胞）增殖，挤走骨髓中的健康血细胞，浸润其他组织，并造成可能危及生命的器官损伤。目前的治疗方法可以延缓病情进展，但大多数患者最终都会出现疾病进展，需要接受其他治疗。

该 BLA 得到了一项研究 linvoseltamab 治疗 R/R MM 的 I/II 期关键性试验 (LINKER-MM1) 数据的支持。这项试验的数据已在 2024 年 6 月举行的欧洲血液学协会年会上公布。在 14 个月的中位随访时间中，观察到 71% 的客观缓解率 (ORR)，由独立审查委员会确定 50% 的患者达到或超过完全缓解 (CR)，63% 的患者达到或超过非常好的部分缓解 (VGPR)。中位缓解持续时间 (DOR) 为 29 个月，中位总生存期 (OS) 为 31 个月。在 12 个月时，维持缓解的估计概率为 81%，无进展的概率为 70%。这样的疗效显示优于强生的 Tecvayli (teclistamab-cqyv) 和辉瑞的 Elrexfio (elranatamab-bcmm)，前者的中位随访时间为 30 个月，报告的 ORR 和 ≥ CR 率分别为 63% 和 46%；后者的中位随访时间为 18 个月，报告的 ORR 和 ≥ CR 率分别为 61% 和 37%。Tecvayli 的中位 DOR 和中位 OS 分别为 24 个月和 22 个月，Elrexfio 的中位 DOR 和中位 OS 分别为未达到和 25 个月。Tecvayli 和 Elfirexo 均已在美国和欧盟获批。美国批准用于既往接受过 4 种治疗后病情进展的患者，而欧盟批准用于既往接受过 3 种治疗后病情进展的患者。

如上所述，靶向 BCMAxCD3 的双特异性药物越来越多，其他候选药物也在开发中，包括百时美施贵宝公司正在研究的 alnuctamab。一些公司已经退出，艾伯维表示不会在 2023 年 9 月继续与合作伙伴 Harpoon Therapeutics 合作开发靶向 BCMA 的 T 细胞衔接器候选药物。然而，Linvoseltamab 将会是第三个进入市场的候选药物，在公司第三季度的财报电话会议上，Regeneron 总裁 George Yancopoulos 试图消除人们对其竞争前景的担忧，并指出他相信 Linvoseltamab 将具有“同类最佳”的疗效和安全性。一项确证性 III 期试验 LINKER-MM3 于 2023 年 9 月启动，目前正在招募患者。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗 C 型尼曼匹克病的 IB1001

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
IB1001	IntraBio Inc.	不适用	C 型 尼曼匹克病	2024/09/24	PDUFA/ 批准决定 （美国）
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	代谢疾病	NME	84.2%	83.0%	**高于**

IBI1000 是一种口服的改良氨基酸（乙酰亮氨酸）。乙酰亮氨酸在神经系统疾病中的作用方式尚不清楚，但 IB1001 被认为具有独特的转运机制，可将药物输送到靶组织（包括穿过血脑屏障到达中枢神经系统），并使溶酶体和线粒体功能恢复正常。IntraBio 正在开发 IB1001，用于目前尚无 FDA 批准疗法的多种孤儿药适应症，如 C 型尼曼匹克病 (NPC)。

2024 年 1 月，向美国食品药品管理局提交 (FDA) N- 乙酰 -L- 亮氨酸 (IB1001) 的新药申请 (NDA)，用于治疗 C 型尼曼匹克病 (NPC)。随后，该申请于 2024 年 3 月获得优先评审资格，处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标行动日期为 2024 年 9 月 24 日。此前，IB1001 还被授予快速通道认定、孤儿药认定和罕见儿科疾病认定。该 NDA 的提交，是基于针对成人和儿童 NPC 患者的关键性 III 期试验 (IB1001-301) 的结果以及 IB1001 的跨国 IIb 期试验数据。关键性 III 期试验的结果显示，IB1001 达到了治疗 C 型尼曼匹克病的主要终点和关键次要终点。53 名成人和儿童 NPC 患者被随机分配接受口服 IB1001 或安慰剂治疗，为期 12 周。与安慰剂组相比，IB1001 治疗组患者的共济失调等级量表 (SARA) 评分降低 1.37 分，具有统计学意义和临床意义。该试验还达到了次要终点，即改良共济失调等级量表 (mSARA) 和研究者评估的临床总体印象变化。这些数据与之前完成的 II 期试验的结果一致。

在管线中，IB1001 正在与几种治疗药物竞争，力争成为 FDA 批准的首个 NPC 治疗药物。Cyclo Therapeutics 公司正在招募 Trappsol Cyclo（一种静脉注射的 β- 环糊精）的 III 期试验人员。在给药频率方面，Trappsol Cyclo 优于 IB1001，每两周静脉给药一次（家庭输注），而 IB1001 则需要每日给药三次。然而，IB1001 是口服给药，有些患者可能更喜欢。

Zevra Therapeutics 公司的 Miplyffa III 期试验数据好坏参半，自开发 IB1001 的 Orphazyme 公司（去年被 Zevra 收购）于 2021 年 6 月收到 FDA 完整答复函以来，开发进展一直有限。此外，Mallinckrodt 的 VTS-270 在其 NPC IIb/III 期试验中未能达到主要终点。如果在欧洲获批，IB1001 将面临 NPC 唯一获批治疗药物 Zavesca 的竞争。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗 C 型尼曼匹克病的 Miplyffa

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Miplyffa	Zevra Therapeutics, Inc.	LadRx Corporation	C 型尼曼匹克病	2024/09/21	NDA – 第二次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	代谢疾病	NME	84.2%	82.0%	**低于**

Miplyffa 是一种热休克蛋白放大器，通过激活分子伴侣蛋白，可以修复或降解被认为会引起许多疾病的受损蛋白，从而为细胞提供保护，防止异常蛋白。目前，Zevra Therapeutics 正与 LadRx 公司合作开发该药物，用于治疗 C 型尼曼匹克病。2022 年 5 月，Zevra Therapeutics 收购 Orphazyme，随后该药的开发工作转交给 Zevra Therapeutics 公司。

根据 II/III 期研究的结果，Orphazyme 最初于 2020 年 7 月向美国 FDA 滚动提交新药申请 (NDA)。然而，由于需要更多的定性和定量证据来进一步证实 5 域 NPC 临床严重程度量表 (NPCCSS) 的有效性和解释，尤其是吞咽域，该公司于 2021 年 6 月收到完整答复函 (CRL)。此外，FDA 在 CRL 中指出，除了单个 II/III 期临床试验外，还需要更多的数据来加强确证性证据，以支持 NDA 的获益 - 风险评估。

2023 年 12 月，Zevra Therapeutics 提交了对 CRL 的答复，提供了更多证据来支持使用 NPCCSS，并开展了更多研究来支持 NPCCSS 的潜在作用机制。因此，Zevra Therapeutics 认为自己已经解决了这些问题。重新提交的新数据来自多项非临床研究、自然病史比较、美国和欧盟正在进行的早期准入计划生成的真实世界数据，以及来自 II/III 期临床试验的为期 4 年的 III 期开放标签扩展 (OLE) 数据。OLE 的顶线结果表明，根据 NPCCSS 测量，从安慰剂转为 Miplyffa 治疗的患者的病情减轻程度与早些时候在安慰剂对照试验中随机接受 Miplyffa 治疗的患者相似。此外，在 4 岁及 4 岁以上的预定义亚组患者，以及接受 Miglustat 常规临床治疗的患者中，发现尽早开始 Miplyffa 治疗的获益大于延后开始治疗，这表明 Miplyffa 治疗可改变疾病进展。

美国 FDA 已确认收到 NDA 重新提交文件，并将 PDUFA 行动日期设定为 2024 年 9 月 21 日。FDA 还计划在决定日期之前，在计划召开的咨询委员会会议上提交重新提交文件，以供讨论。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗帕金森病 (PD) 的 IPX203

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
IPX203	Amneal Pharmaceuticals, Inc.	Zambon	帕金森病 (PD)	2024/08/07	NDA – 第二次评审的 PDUFA 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	神经病学疾病	NME	87.8%	65.0%	**高于**

IPX203 是一种新型口服卡比多巴和左旋多巴 (CD/LD) 缓释胶囊制剂，正在开发用于治疗帕金森病 (PD)。IPX203 收到了 FDA 关于其 PD III 期临床项目（2018 年启动）的特殊方案评估。Amneal 正在根据关键性 III 期 RISE-PD 研究的结果，寻求 FDA 批准 IPX203。2022 年 8 月，该公司向 FDA 提交 NDA 申请，但却收到了完整答复函，称 IPX203 卡比多巴成分的安全性尚未无充分的科学证据。此后，Amneal 重新提交 NDA，并提供更多数据，预计 FDA 将于 2024 年 8 月作出批准决定。

III 期 RISE-PD 研究是一项随机对照研究，在伴有运动症状波动的 PD 患者中比较 IPX203 与速释 CD/LD 的安全性和疗效。这项研究的顶线结果令人鼓舞，在第 13 周双盲治疗期结束时，与速释 CD/LD 相比，IPX-203 较基线的 “good on” 时间更长，试验达到主要终点。与速释 CD/LD 组相比，IPX-203 组每次给药的 “good on” 时间多 1.55 小时（多约 70%）。

开发 IPX203 是该公司生命周期战略的一部分，目的是推出新一代版本的 Rytary，Rytary 是 Amneal 公司于 2015 年推出的 CD/LD 缓释制剂。与 Rytary 相比，IPX203 的主要优势在于方便患者，因为其给药频率较少，而对于一些患者来说，这将是改善生活质量的关键。然而，如果 IPX203 获得批准，它有可能难以与更便宜的 Rytary 仿制药竞争，后者预计将在专利到期后于 2025 年上市。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗外周动脉疾病 (PAD) 的 Humacyl

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Humacyl	Humacyte, Inc.	Fresenius	外周动脉疾病 (PAD)	2024/08/07	BLA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
BLA	心血管病	生物制剂	75.0%	80.0%	**高于**

Humacyte 正在通过 Humacyl 平台，采用独特的生物反应器细胞培养工艺和随后的多步脱细胞工艺，去除组织工程血管中的细胞成分，开发人类无细胞血管 (HAV)。Humacyte 的 HAV 是一种工程替代血管，具有耐用性、抗感染性和现成性，可解决血管组织修复和替换方面的长期限制，包括其他生物植入物和合成移植物经常出现的组织不相容和排斥反应。Humacyte 正与 Fresenius 合作，促使 Humacyl 平台获得批准。

2023 年 12 月，Humacyte 向美国食品和药物管理局 (FDA) 提交 HAV 的生物制品许可申 (BLA)，寻求批准将人类无细胞血管 (HAV) 用于不适合合成移植物和自体静脉使用不可行的四肢血管创伤后紧急动脉修复。V005 II/III 期临床试验结果以及乌克兰
战时损伤治疗结果为 BLA 申请提供了支持。2024 年 2 月下旬，FDA 受理并授予 Humacyte (BLA) 优先评审资格，并将处方药用户付费法案 (PDUFA) 行动日期指定为 2024 年 8 月 10 日。该优先评审与 FDA 于 2023 年 5 月授予的再生医学先进疗法 (RMAT) 认定相一致。

V005 试验结果是对 Humacyte HAV 的肯定，试验成功达到了研究的主要结局。在主要患者人群中，HAV 的 30 天次级通畅率（血流量）为 90.2%，而合成移植物的历史报告为 81.1%。此外，全部 HAV 患者和四肢患者的初级通畅率（无干预情况下的血流量）分别为 81.2% 和 84.3%。重要的是，HAV 在截肢率（HAV 四肢的截肢率为 9.8%，而移植物的历史数据为 20.6%）和感染率（HAV 四肢的感染率为 2%，而移植物的历史数据为 8.9%）方面普遍有所改善。外周动脉疾病 (PAD) 可导致血管狭窄，限制肢体血流，是美国患者截肢的主要原因之一。因此，血流量和截肢率的改善对于确定 HAV 是否能满足这一尚未被满足的需求具有重要意义。

考虑到积极数据和良好的安全性特征，再加上具有竞争力的现成设计（可节省外科医生的宝贵时间）和 RMAT 认定，预计 Humacyte 在商业化的道路上不会遇到任何困难。如果获批用于这个领域，可为患者和医生提供急需的替代方案。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗原发性胆汁性胆管炎 (PBC) 的 Seladelpar

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Seladelpar	吉利德科学公司	强生，Kaken	原发性胆汁性胆管炎 (PBC)	2024/08/07	NDA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	自身免疫 / 免疫学疾病	NME	87.7%	85.0%	**高于**

Seladelpar (MBX-8025) 是一种强效选择性过氧化物酶体增殖物激活受体 (PPAR) δ 激动剂，正在开发用于治疗原发性胆汁性胆管炎 (PBC)。Seladelpar 可减少肝细胞和患者的胆汁酸合成。它还具有重要的抗炎活性，可抑制固有巨噬细胞和招募巨噬细胞的活化及其炎症介质的释放。虽然吉利德科学在该研发领域处于领先地位，但强生和 Kaken Pharmaceutical 也参与尝试将 Seladelpar 投放市场，用于治疗 PBC。

2023 年 12 月，CymaBay Therapeutics 向美国食品药品监督管理局 (FDA) 提交 Seladelpar 新药申请 (NDA) 以及优先评审资格申请，用于治疗原发性胆汁性胆管炎，包括对熊去氧胆酸反应不足或不耐受的无肝硬化或代偿性肝硬化成人患者的瘙痒症。2024 年 2 月，FDA 授予此 NDA 申请优先评审资格，并将处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标行动日期定为 2024 年 8 月 14 日。2024 年 3 月，吉利德科学宣布完成收购 CymaBay Therapeutics。合并后，CymaBay 成为吉利德的全资子公司。Seladelpar 之前已被授予突破性疗法认定、孤儿药认定和优先药物 (PRIME) 认定。通过安慰剂对照 III 期 RESPONSE 和 ENHANCE 研究、长期开放标签 ASSURE 研究以及既往 II 期研究，在超过 500 例 PBC 受试者中评估了 Seladelpar 的疗效和耐受性特征，这些数据为该 NDA 申请提供了支持。

继 ENHANCE 和 ASSURE 试验取得令人鼓舞的结果之后，在原发性胆汁性胆管炎 (PBC) 患者中进行的 Seladelpar III 期 RESPONSE 研究也取得了积极数据，这对 CymaBay 来说无疑是一场胜利。共有 61.7% 接受 Seladelpar 治疗的患者达到主要复合终点（与 12 个月时血清碱性磷酸酶和胆红素相关），而安慰剂组为 20%。研究也达到了次要终点（碱性磷酸酶恢复正常），并且药物表现出良好的安全性特征，瘙痒症在统计学上显著减轻。碱性磷酸酶 (ALP) 是 PBC 患者预后的独立预测因子，因此这些数据应该会对批准产生影响。

虽然交叉试验检查必须谨慎，但 Seladelpar 的疗效可能是同类最佳，其缓解率为 61.7%（安慰剂为 20%），而 Intercept 的 Ocaliva 为 47%（安慰剂为 10%），Genfit 的 Elafibranor 为 51%（安慰剂为 4%）。另外，与安慰剂组相比，Seladelpar 组的瘙痒症在统计学上显著减轻。这将是 Elafibranor 和 Ocaliva 之间的一个主要区别，后者对瘙痒的改善在统计学上并不显著。瘙痒是最突出的症状，医生非常注重治疗瘙痒症的获益。由于风险 —— 获益特征令人印象深刻，因此 Seladelpar 应该可以获批用于治疗 PBC。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗瘙痒症的 Nemolizumab

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Nemolizumab	Galderma S.A.	中外制药，Maruho 罗氏	瘙痒症	2024/08/14	BLA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
BLA	过敏	生物制剂	92.3%	91.0%	**均值**

Nemolizumab 是一种靶向白细胞介素 -31 受体α的人源化单克隆抗体，可阻断 IL-31 的信号传导。2024 年 2 月，Galderma 宣布，美国 FDA 已受理其 nemolizumab 的生物制品许可申请 (BLA)，用于治疗结节性痒疹以及患有中度至重度特应性皮炎的青少年和成人患者。该 BLA 目前正在接受 FDA 的优先审批，预计决定日期为 2024 年 8 月 14 日。向监管机构提交的 Nemolizumab 治疗结节性痒疹的数据是基于 III 期 OLYMPIA 临床试验项目的数据。

III 期 OLYMPIA 临床试验项目包括两项关键性、随机、双盲、安慰剂对照研究（OLYMPIA 1 和 OLYMPIA 2），旨在评估 Nemolizumab 在结节性痒疹受试者中的疗效和安全性，还包括一项额外的长期扩展研究。OLYMPIA 2 试验成功达到了主要和次要终点。使用研究者总体评估评分进行评估，与安慰剂组 (11%) 相比，Nemolizumab 治疗组 (38%) 达到皮损清除或几乎清除的患者人数显著更多。使用峰值瘙痒数字评定量表 (PP-NRS) 进行的测量显示，接受 Nemolizumab 治疗的患者中，瘙痒减轻 4 分或更多的比例超过 35%。III 期 OLYMPIA 1 试验的后续结果证实了 OLYMPIA 2 试验的结果，即根据 PP-NRS 评分测量，58.4% 的 Nemolizumab 治疗患者达到至少 4 分的瘙痒减轻，而安慰剂组为 16.7%；使用研究者总体评估 (IGA) 评分进行评估，26.3% 的 Nemolizumab 治疗患者达到皮损清除或几乎清除，而安慰剂组为 7.3%。

III 期 OLYMPIA 临床试验项目取得的积极结果使 Nemolizumab 在结节性痒疹市场处于有利地位。目前，唯一获批的其他治疗药物是赛诺菲的 Dupixent，因此 Galderma 在进入这一领域时几乎不会遇到竞争。如果获批，这将是靶向 IL-31 受体的结节性痒疹的唯一治疗方法。根据 PDUFA，Galderma 预计 FDA 将于 2024 年 8 月对该疗法做出决定，并于 2024 年 12 月对应用于特应性皮炎治疗做出决定。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗精神分裂症的 KarXT

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
KarXT	百时美施贵宝公司	PureTech Health，再鼎医药	精神分裂症	2024/09/26	NDA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
NDA	精神病	NME	81.8%	91.0%	**高于**

KarXT (Karuna Therapeutics) 旨在靶向毒蕈碱系统，其包括两种成分：一种是处于临床阶段的新型毒蕈碱乙酰胆碱受体激动剂 Xanomeline，另一种是 FDA 批准的毒蕈碱受体拮抗剂曲司氯铵，后者不能穿透中枢神经系统。

2023 年 9 月，美国食品药品监督管理局 (FDA) 受理 KarXT 治疗成人精神分裂症的 NDA，并将处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期定为 2024 年 9 月 26 日。KarXT 的新药申请 (NDA) 以 EMERGENT 项目的疗效和长期安全性数据为依据，该项目将 KarXT 作为精神分裂症治疗药物进行评估。该项目包括已完成的 EMERGENT-1、EMERGENT-2 和 EMERGENT-3 试验（检验 KarXT 相比安慰剂的疗效和安全性），以及正在进行的重点关注长期安全性的 EMERGENT-4 和 EMERGENT-5 试验。在所有 3 项安慰剂对照试验中，与安慰剂相比，KarXT 均能降低阳性和阴性症状量表 (PANSS) 总分，且具有统计学意义和临床意义，达到了主要终点。通过 PANSS 阳性、PANSS 阴性和 PANSS 阴性 Marder 因子分量表测量，还显示 KarXT 治疗能够减轻精神分裂症阳性和阴性症状，这是试验的次要终点。

在这些试验中，KarXT 总体耐受性良好，最常见的不良事件是轻度至中度胆碱能效应。重要的是，KarXT 无现有抗精神病药物的常见副作用，如体重增加、嗜睡和运动障碍。

KarXT 的一个重要竞争对手是 Cerevel 的候选药物 Emraclidine，后者同样靶向毒蕈碱乙酰胆碱受体，目前处于 III 期临床阶段。不过，KarXT 的开发进度更快，很可能因率先上市而获益。除了一项小型 Ib 期研究外，Emraclidine 已公布的试验数据有限。该研究报告的 PANSS 总分降低与 KarXT 试验中观察到的相似，即在 EMERGENT 研究中，与第 5 周相比，第 6 周测量的 3 种试验剂量的 PANSS 总分分别降低 11.1 分、11.9 分和 12.7 分。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

用于治疗滑膜肉瘤的 Afami-cel

药物	公司	合作伙伴	适应症	日期范围	预期催化事件
Afami-cel	Adaptimmune Therapeutics	不适用	滑膜肉瘤	2024/08/04	BLA – 首次评审的处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期
阶段	**疾病组**	**药物类别**	**组 / 类 (PoS)**	**组 / 类 LOA**	**BMT LOA 观点**
BLA	肿瘤学疾病	生物制剂	93.4%	90.0%	**高于**

Afami-cel 是一种靶向 MAGE A4 癌抗原的工程化 T 细胞受体 (TCR) 疗法，由 Adaptimmune Therapeutics 开发，拟作为晚期滑膜肉瘤的单剂量治疗。

Adaptimmune Therapeutics 近期宣布，美国食品药品监督管理局 (FDA) 已受理 Afami-Cel 的生物制品许可申请 (BLA)，并授予优先评审资格，处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标行动日期为 2024 年 8 月 4 日。Afami-cel 的 BLA 申请得到了关键性 SPEARHEAD-1 试验数据的支持，该试验达到主要疗效终点总缓解率。约 39% 接受 Afami-cel 治疗的患者显示临床缓解，中位缓解持续时间约为 12 个月。SPEARHEAD-1 试验的患者中位总生存期 (mOS) 约为 17 个月，而既往接受过 2 种或 2 种以上治疗的滑膜肉瘤患者的历史中位总生存期不到 12 个月。此外，70% 对 Afami-cel 有反应的患者在治疗后 2 年仍存活。在 2021 年的美国临床肿瘤学会 (ASCO) 年会上，Afami-cel 在过度预治疗滑膜肉瘤患者中显示出 41% 的总缓解率 (ORR) 和 86.2% 的疾病控制率。鉴于滑膜肉瘤对常规免疫治疗的反应不佳，如 SARC028 试验中滑膜肉瘤对 PD-1 治疗的耐药性所示，因此 Afami-cel 意义重大。然而，圆细胞脂肪肉瘤的评估结果却不尽如人意，且只评估了 4 个肿瘤。

2023 年 7 月，Adaptimmune 宣布，基于 I 期试验数据显示出了 ADP-A2M4 在滑膜肉瘤患者中的疗效、早期持久性和可耐受的安全性，欧洲药品管理局 (EMA) 批准 ADP-A2M4 进入其 PRIME 计划。由此启动了 SPEARHEAD-1 试验，加拿大、法国、西班牙、英国和美国的研究中心开始招募晚期滑膜肉瘤和黏液性 / 圆细胞脂肪肉瘤 (MRCLS) 患者。SPEARHEAD-1 试验旨在支持 ADPA2M4 的注册，以治疗这些疾病。此外，FDA 还授予靶向 MAGE-A4 的特异性肽段增强亲和力受体 (SPEAR) T 细胞孤儿药认定 (ODD) 和再生医学先进疗法 (RMAT) 认定，分别用于治疗软组织肉瘤和滑膜肉瘤。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

医疗器械

Stryker 收购 Artelon

治疗	公司	合作伙伴	市场	日期范围	预期催化事件
软组织修复（包括韧带和肌腱修复）	Stryker	不适用	骨科生物材料	2024 年第三季度	完成收购 Artelon

Stryker 对 Artelon 的收购预计将于 2024 年第三季度完成，Artelon 是一家私营公司，专门生产用于足踝和运动医学手术的软组织固定产品。Artelon 总部位于美国佐治亚州，公司销售一种生物材料 FLEXBAND，旨在帮助患者恢复软组织的自然强度和弹性，以达到治愈效果。此次收购将加强 Stryker 在软组织固定市场的产品提供，强化 Stryker 在韧带和肌腱重建解决方案领域的地位。

2024 年 6 月，Stryker 宣布达成最终协议，收购 Artelon 所有已发行和流通股份。该交易须满足惯例成交条件。在交易完成之前，Stryker 和 Artelon 将继续作为独立实体运营。Stryker 没有公布收购条款。

迄今为止，全球已有超过 6 万例的植入 Artelon 的 FLEXBAND。韧带和肌腱损伤后，手术修复可能无法恢复强度和弹性的自然平衡。这种失衡会导致恢复时间长、持续疼痛、功能丧失以及关节炎和畸形等长期问题。FLEXBAND 由医疗器械常用的两种聚合物组合制成：聚己内酯和聚氨酯尿素。然后将这些纤维编织成基质，基质上有专为结缔组织细胞设计的孔隙。该材料于 2019 年首次获得美国 FDA 510(k) 批准使用。

Artelon 的 FlexBand、FlexPatch 和 FlexBand Plus 产品用于在肌腱和韧带修复手术期间加强通过缝合或其他固定装置修复的软组织；应用范围包括加强肩袖、髌骨、跟腱、肱二头肌、股四头肌腱、内侧副韧带、外侧副韧带、弹簧韧带、三角韧带、尺侧副韧带或其他肌腱或关节外韧带。这些产品提供可降解支架，可融入患者自身组织。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

获得集成连续血糖监测 (iCGM) 系统认定的 Eversense 365 天传感器

医疗器械	公司	合作伙伴	市场	日期范围	预期催化事件
Eversense	Senseonics	Dexcom Roche	1 型糖尿病	现在 – 2024/08/31	FDA 510(k) 许可

Senseonics 是一家医疗器械公司，致力于为糖尿病患者开发和销售唯一的长期植入式连续血糖监测 (CGM) 系统。这款处方 CGM 系统最初于 2022 年获得 FDA 批准，用于 18 岁及 18 岁以上的糖尿病患者，可连续测量血糖水平长达 180 天（或 6 个月），并替代指尖血糖 (BG) 测量，用于糖尿病治疗决策。第 21 天后，仍需每天测量一次指尖 BG 以进行校准，当症状与 CGM 信息不符或服用四环素类药物时，也需测量指尖血糖（Senseonics, 2024a）。

Eversense 系统有 3 个简单组件：传感器、智能发送器和移动应用程序。Eversense 通过使用 Eversense 插入器将一个小型传感器植入上臂皮下进行监测血糖。传感器上方佩有一个智能发射器，可将血糖数据传输至移动应用程序，以显示实时读数。发射器可拆卸、可充电，可提供独特的“贴身”振动警报。该移动应用程序每 5 分钟实时显示和更新血糖读数，并具有直观的图形界面，可在读数超出范围时提醒用户。该应用程序还可为最多 5 人提供远程监控 (Senseonics, 2024a)。

竞争对手雅培和 Dexcom 的 CGM 采用经皮传感器，插入皮肤后可持续 7-14 天，而 Eversense 是唯一一款可连续读数 6 个月的植入式传感器，每年仅需更换两次传感器 (Senseonics, 2024a)。

iCGM 资格认定

2024 年 4 月，Eversense 成为首款获得 FDA 集成 CGM (iCGM) 资格认定的全植入式 CGM，这表明该产品可与作为自动胰岛素输送 (AID) 系统的一部分的兼容胰岛素泵集成。获得该资格认定是 Senseonic 增长战略的关键部分 (Senseonics, 2024b)。据该公司称，Eversense CGM 系统是一种全植入式 CGM 选择，尤其适用于 AID 治疗，因为该系统是 (Senseonics, 2024b)：

- 目前最持久的 CGM（目前获准可连续佩戴 6 个月，正在等待 365 天的批准；见下文）
- 在关键低血糖目标中最准确的 CGM
- 警报检测最可靠的 CGM
- 唯一具有可拆卸发射器的 CGM（可拆卸而不会浪费传感器或增加预热期）。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

365 天传感器 —— 等待批准

Senseonic 的产品线包括世界上最持久的 365 天 /1 年植入式、每周校准一次的 CGM。2023 年 9 月，Senseonics 宣布最后一名研究患者完成 ENHANCE 关键性临床研究的 365 天访视，该研究旨在评估 Eversense 植入一年和连续血糖测量的安全性和有效性。(Senseonics, 2024a)。

基于 ENHANCE 研究，Senseonics 希望新型 365 天 Eversense 能在未来几个月内获得 FDA 批准。公司于 2024 财年第一季度提交了 iCGM 资格认定 510(k) 申请 (Senseonics, 2024d)。公司还将利用这个下一代传感器平台 2024 年第一季度，Senseonics 的营业收入为 510 万美元，同比增长 22%。Senseonic 2024 财年上半年的收入预计约为 1000 万美元，与 2023 财年上半年相比增长约 16% (Senseonics, 2024d)。

Senseonics 总裁兼首席执行官 Tim Goodnow 博士表示：“今年是 Senseonics 硕果累累的开局之年，我们将继续扩展 Eversense 的功能，让更多的糖尿病患者受益。在获得 iCGM 资格认定后，我们的下一代 365 天 CGM 系统已向 FDA 提交申请，现在 Eversense 平台的地位达到了前所未有的高度 ”(Senseonics, 2024a)。

用于伤口愈合的 HemoStyp 纱布

医疗器械	公司	合作伙伴	市场	日期范围	预期催化事件
HemoStyp Gauze	United Health Products	不适用	伤口愈合	现在 – 2024/09/17	上市前批准 (PMA) 批准决定

2024 年 3 月 21 日，United Health Products 宣布已向 FDA 提交 HemoStyp 可吸收止血纱布的上市前批准 (PMA) 申请。虽然不能保证获批，但 PMA 申请的标准评审期为 180 天，因此在 2024 年第三季度宣布批准决定的可能性更大。据 United Health Products 称，HemoStyp 是一种中和再生纤维素，应用于开放性伤口时，可在数秒内实现止血。纤维素成分的优点包括生物相容性、可吸收性以及无有害化学物质或动物副产品。

在临床试验研究的所有手术类别中，HemoStyp 在 Lewis 出血量表 1 级和 2 级情境下的止血速度快于 Surgicel（爱惜康 / 强生的可吸收止血纱）。在 Lewis 2 级情境中，20% 使用 Surgicel 处理的患者在 10 分钟测试窗口内未实现止血，而 100% 的 HemoStyp 患者在 2 分钟内实现止血。据 United Health Products 称，这些研究结果的影响包括可减少输血、缩短手术室时间和降低死亡率。

United Health Products 为牙科、兽医和急救医学市场提供各种止血产品；HemoStyp PMA 申请代表着该公司向人类外科手术市场的进军。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

交易

阿斯利康完成收购 Amolyt Pharma

预期日期范围：2024/07/01 – 2024/09/30

阿斯利康已就收购 Amolyt Pharma 达成最终协议，Amolyt Pharma 专注于开发用于罕见内分泌及相关疾病的治疗肽。预计交易将于 2024 年第三季度完成。阿斯利康将以现金和无债务的方式收购 Amolyt Pharma 的所有流通股，总对价高达 10.5 亿美元。这包括交易完成时的 8 亿美元预付款，以及 Amolyt Pharma 股东在达到特定监管里程碑时获得额外 2.5 亿美元或有付款的权利。

Amolyt Pharma 成立于 2008 年，目前正在开发用于治疗服务不足的罕见内分泌疾病的差异化治疗肽临床管线。Eneboparatide (AZP-3601) 是一种在研的每日皮下注射甲状旁腺激素受体 1 (PTHR1) 激动剂，用于治疗甲状旁腺功能减退症，目前处于 III 期临床阶段。预计该项目将于 2025 年上半年获得顶线数据。AZP-3813 是一种肽生长激素受体拮抗剂，目前处于 I 期临床阶段，是治疗肢端肥大症的潜在候选药物。Amolyt 预计将于 2024 年上半年发布顶线数据。

百健完成收购 Human Immunology Biosciences

预期日期范围：2024/07/01 – 2024/09/30

2024 年 5 月，渤健宣布达成协议，以 11.5 亿美元预付款收购 Human Immunology Biosciences (HIBio)，并额外支付 6.5 亿美元潜在里程碑付款，潜在总价值为 18 亿美元。通过此次收购，渤健将获得 II 期 Felzartamab 项目，Felzartamab 正在开发用于治疗肾移植受者原发性膜性肾病 (PMN) 和抗体介导的排斥反应 (AMR)。

HIBio 成立于 2021 年，总部位于加利福尼亚州，是一家生物技术公司，致力于开发免疫介导疾病的疗法。I-Mab Biopharma 拥有 Felzartamab 和 HIB210 在中国以外地区的权益，2022 年，HI-Bio 从 MorphoSys（该公司最近于 2024 年 2 月被诺华收购）获得这项权益，交易总价值为 10.2 亿美元，MorphoSys 还获得了 HIBio 15% 的股权。Felzartamab 是一种全人源抗 CD38 单克隆抗体，已获得 FDA 授予的突破性疗法认定 (BTD) 和孤儿药认定 (ODD)，用于治疗肾移植受者的 PMN 和 AMR。目前正在进行 IgA 肾病的 II 期研究，并计划进行 PMN 和 AMR 的 III 期研究。HIB210 是一种抗 C5aR1 抗体，用于治疗一系列补体介导疾病，目前处于 I 期临床阶段。HIBio 还在开发肥大细胞项目，用于治疗免疫介导疾病，目前处于发现阶段。

渤健预计以现金作为收购资金，也可能动用其循环信贷协议为交易提供资金。就在收购协议签署前几天，渤健选择不行使与 Ionis 公司共同许可和开发 BIIB121（用于治疗天使综合征）的选择权。渤健希望保留 HIBio 的人才，并在旧金山湾区建立团队，以扩大开发工作。目前预计该交易将于 2024 年第三季度完成。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

默沙东完成收购 Eyebiotech Limited

预期日期范围：2024/07/01 – 2024/09/30

2024 年 5 月 29 日，默沙东与英国私营生物技术公司 Eyebiotech 达成最终协议。根据合并协议的条款，默沙东将预付 13 亿美元的现金，并根据指定开发、监管和商业里程碑的实现情况支付高达 17 亿美元获利能力付款。

Eyebiotech 成立于 2021 年，目前正在开发候选药物，旨在预防和治疗与视网膜血管渗漏相关的视力丧失，视网膜血管渗漏是视网膜疾病的已知风险因素。其主要候选药物 Restoret (EYE103) 是一种潜在同类首创四价三特异性抗体，可作为 Wingless 相关整合位点信号通路的激动剂。该产品在糖尿病性黄斑水肿 (DME) 和新生血管性年龄相关性黄斑变性患者的 Ib/IIa 期试验中取得了积极结果。预计该项目将于 2024 年下半年进入关键性 IIb/III 期 DME 研究。在管线中，EyeBio 还有一个未公开的临床前候选药物，可与 Restore 形成互补。该公司计划在今年年底前公开其机制，并将其转入 I/II 期研究。

这家新锐公司于 2022 年 2 月启动 A 轮融资，由 V Health Investors 领投 6500 万美元，Samsara BioCapital、Jeito Capital 和 MRL Ventures 也参与其中。2023 年 11 月，BBain Capital Life Sciences、Omega Funds 和 Vertex Ventures 等新投资者加入这轮融资，使融资总额达到 1.3 亿美元。

此次收购将为默沙东进入眼科领域提供踏板。预计 Restoret 将与拜耳 /Regeneron 的 Eylea (aflibercept) 和罗氏的 Vabysmo(faricimab-svoa) 展开竞争。

诺华完成收购 Mariana Oncology

预期日期范围：2024/07/01 – 2024/09/30

2024 年 5 月 2 日，诺华签订协议，以 10 亿美元的预付款收购私人控股的 Mariana Oncology 公司，并在完成预定里程碑后再支付高达 7.5 亿美元获利能力付款。

该公司成立于 2020 年，原名 Curie Therapeutics，一年后更名为 Mariana Oncology，专注于开发精准放射性药物，即肿瘤靶向分子（配体）与治疗性放射性同位素（一种放射性粒子）配对，将射线运送至肿瘤部位。Mariana 的综合平台涵盖靶标生物学和基于大环肽的发现和优化。该公司拥有一系列放射配体疗法 (RLT) 项目，从先导化合物的结构优化到早期开发，涉及一系列实体瘤适应症，包括先导化合物 MC-339，这是一种基于锕的 RLT，正在研究用于治疗小细胞肺癌。诺华目前有两个获批的 RLT，即 Lutathera (lutetium 177 dotatate) 和 Pluvicto (lutetium 177 vipivotide tetraxetan)，分别用于罕见的神经内分泌肿瘤和转移性去势抵抗性前列腺癌。诺华希望通过 Mariana 的加盟，加强其 RLT 管线，包括前列腺癌以及其他临床前研究和发现项目。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）

Biomedtracker Pharma Intelligence

2024 年第三季度影响巨大的催化事件

Meddevicetracker Pharma Intelligence

公司	符号	产品	适应症	阶段	催化事件标题	预期结束日期	催化事件 ID
Emergent BioSolutions, Inc.	EBS	ACAM2000	Monkeypo+P2:P294	BLA	PDUFA for sBLA	2024/09/06	194684
Nymox Pharmaceutical Corporation	NYMX	Nymozarfex	前列腺癌	II 期	Approval Decision	2024/08/31	185039
Cosette Pharmaceuticals, Inc.	Vyleesi	糖尿病肾病	IIb 期	Phase IIb BREAK	2024/09/30	184419	184419
Cosette Pharmaceuticals, Inc.	Vyleesi	女性性唤醒障碍	已获批准	Phase III Women	2024/09/30	190021	190021
罗氏	RHHBY	Pegasys	真性红细胞增多症 (PV)	研究者发起	Supplemental Eur	2024/09/02	200675
罗氏	RHHBY	Pegasys	原发性血小板增多症 (ET)	研究者发起	Supplemental Eur	2024/09/02	200676
诺华	NVS	Atrasentan	局灶节段性肾小球硬化 (FSGS)	II 期	Phase II AFFINIT	2024/08/31	184139
诺华	NVS	Atrasentan	Alport 综合症	II 期	Phase II AFFINIT	2024/08/31	184140
诺华	NVS	Atrasentan	糖尿病肾病	II 期	Phase II AFFINIT	2024/08/31	184141
Zevra Therapeutics, Inc.	ZVRA	Miplyffa	C 型尼曼匹克病	NDA	FDA Advisory Pan	2024/07/31	194722
Zevra Therapeutics, Inc.	ZVRA	Miplyffa	C 型尼曼匹克病	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/21	193899
Sentynl Therapeutics Inc.		Zokinvy	丁型肝炎 (HDV)（抗病毒）	III 期	Pre-NDA meeting	2024/08/31	183048
葛兰素史克	GSK	Mosquirix（含单磷酸脂质 A [MPL] 佐剂）	疟疾	II 期	Phase II - Top-Lin	2024/07/31	172564
MannKind Corporation	MNKD	Afrezza	2 型糖尿病	已获批准	Phase III INHALE	2024/09/30	189113
Annovis Bio, Inc.	ANVS	Buntanetap	帕金森病 (PD)	III 期	Phase III ANVS-2	2024/07/31	184512
Windtree Therapeutics, Inc.	WINT	Istaroxime	急性失代偿性心力衰竭 - 射血分数降低（急性 HFrEF）	II 期	SEISMiC Extensio	2024/09/30	193736
强生	JNJ	Opsumit	肺动脉高压 (PAH)	已获批准	Phase III TOMOR	2024/09/30	186834
Puma Biotechnology, Inc.	PBYI	Nerlynx	人表皮生长因子受体 2 (HER2) 阳性乳腺癌	已获批准	Phase II - w/cape	2024/09/30	172274
Puma Biotechnology, Inc.	PBYI	Nerlynx	HER2 阳性乳腺癌	已获批准	Phase II FACT 2 -	2024/09/30	146298
吉利德科学公司	GILD	Seladelpar	原发性胆汁性胆管炎 (PBC)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/14	193686
阿斯利康	AZN	Fasenra	嗜酸粒细胞增多综合征 (HES)	III 期	Phase III NATRO	2024/08/31	157930
Viridian Therapeutics, Inc.	VRDN	VRDN-001	甲状腺眼病 (TED)	III 期	Phase III THRIVE	2024/09/30	179413
Travere Therapeutics, Inc.	TVTX	Filspari	免疫球蛋白 A(IgA) 肾病（Berger 病）	已获批准	PDUFA for sNDA	2024/09/05	197251
FibroGen, Inc.	FGEN	Pamrevlumab	胰腺癌	III 期	Phase II/III Precis	2024/09/30	190507
FibroGen, Inc.	FGEN	Pamrevlumab	胰腺癌	III 期	Phase III LAPIS -	2024/09/30	164818
阿斯利康	AZN	Lynparza	子宫（子宫内膜）癌	NDA	Supplemental Ap	2024/09/03	196422
VistaGen Therapeutics, Inc.	VTGN	Fasedienol	社交焦虑障碍 (SAD)	III 期	Phase III PALISA	2024/09/30	176478
Northwest Biotherapeutics, Inc.	NWBO	DCVax-L	脑癌（恶性胶质瘤；AA 和巨细胞瘤 [GBM]）	III 期	Approval Decision	2024/09/30	193820
默沙东	MRK	Winrevair	肺动脉高压 (PAH)	已获批准	EU Approval Deci	2024/09/30	200672
强生	JNJ	Uptravi	肺动脉高压 (PAH)	已获批准	Phase III SALTO	2024/09/30	187561
Sumitovant Biopharma Ltd.		Myfembree	子宫内膜异位症	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181853
勃林格殷格翰		Jardiance	2 型糖尿病	已获批准	European Approv	2024/07/31	192833
Aeterna Zentaris Inc.	AEZS	Macrilen	矮小症 / 生长激素缺乏症	已获批准	Phase III DETEC	2024/09/30	200313
Jasper Therapeutics, Inc.	JSPR	Briquilimab	荨麻疹	I/II 期	Phase Ib/IIa BEA	2024/09/30	189340
CSL Limited	CSL	Hizentra	皮肌炎	III 期	Phase III RECLAI	2024/09/30	196529
Alfasigma S.p.A.		Ocaliva	原发性胆汁性胆管炎 (PBC)	已获批准	European Conditi	2024/09/30	200681
Jazz Pharmaceuticals plc	JAZZ	Zepzelca	小细胞肺癌 (SCLC)	已获批准	CMA Approval De	2024/08/31	179494
Alzheon Inc.		ALZ-801	阿尔茨海默病 (AD)	III 期	Phase III APOLLO	2024/09/30	167684
罗氏	RHHBY	Actemra（皮下注射剂）	类风湿性关节炎	已获批准	PDUFA for Biosim	2024/08/31	179465
阿斯利康	AZN	FluMist Quadriv	季节性流感	已获批准	European Approv	2024/07/26	200024
Apogenix AG		Asunercept	脑癌（恶性胶质瘤；AA 和巨细胞瘤 [GBM]）	美国境外开发	Phase II CAN008	2024/08/31	190993
Phathom Pharmaceuticals, Inc.	PHAT	Voquezna	胃食管反流病	已获批准	PDUFA for sNDA	2024/07/19	193440
诺和诺德	NVO	Rybelsus	肥胖症	III 期	Phase III OASIS 4	2024/07/31	193231
Noema Pharma		NOE-101	三叉神经痛	II/III 期	Phase IIb/III Libra	2024/09/30	175188
Melinta Therapeutics, Inc.		Solithera	呼吸道感染	美国境外开发	Approval Decision	2024/07/31	176394
Melinta Therapeutics, Inc.		Solithera	耳部感染（抗菌）	美国境外开发	Approval Decision	2024/07/31	176396
Diamyd Medical AB	DMYDB	Diamyd	1 型糖尿病	III 期	Phase III DIAGNO	2024/08/15	199366
赛诺菲	SNY	Dupixent	慢性阻塞性肺疾病	BLA	PDUFA for sBLA	2024/09/27	195098
优时比	UCB	Dapirolizumab	系统性红斑狼疮 (SLE)	III 期	Phase III - Top-Li	2024/09/30	161413
Akebia Therapeutics, Inc.	AKBA	Vafseo	慢性肾病引起的贫血	III 期	FDA Response to	2024/08/31	186143
Incyte Corporation	INCY	Monjuvi	弥漫性大 B 细胞淋巴瘤 (DLBCL) - NHL	已获批准	Phase II/III B-MIN	2024/09/30	152354
卫材	4523:JP	Leqembi	阿尔茨海默病 (AD)	已获批准	CHMP Opinion	2024/07/31	184236
卫材	4523:JP	Leqembi	阿尔茨海默病 (AD)	已获批准	European Approv	2024/08/31	184237
葛兰素史克	GSK	Brexafemme	念珠菌病	已获批准	Phase IIIb VANQ	2024/09/30	189240
Bausch Health Companies Inc.	BHC	Mytesi	胃肠道疾病	已获批准	Phase III OnTAR	2024/07/23	187366
Tris Pharma, Inc.		TRN-228	急性疼痛	I 期	Phase III - Registr	2024/08/31	190759
Equillium, Inc.	EQ	EQ001	移植物抗宿主病 (GVHD)	III 期	Phase III EQUAT	2024/09/30	199194
Transposon Therapeutics, Inc.	TPN-101	其他神经病学疾病	美国境外开发	Phase IIa - Toplin	2024/08/31	192882	
NewAmsterdam Pharma BV	NAMS	Obicetrapib	血脂异常 / 高胆固醇血症	III 期	Phase III BROOK	2024/09/30	178885
葛兰素史克	GSK	Jesduvroq	慢性肾病引起的贫血	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/31	176685
诺华	NVS	Kisqali	激素受体 (HR) 阳性 / HER2 阴性乳腺癌	已获批准	Supplemental CH	2024/08/31	192637
Biotron Limited	BIT:AU	BIT225	COVID-19 治疗	美国境外开发	Phase II BIT225-0	2024/09/30	187208
默沙东	MRK	Keytruda	间皮瘤	BLA	PDUFA for sBLA	2024/09/25	199906
Biofrontera AG	BFRA	Ameluz	皮肤癌 - 基底细胞癌 (BCC)	III 期	Phase III - w/BF-R	2024/09/30	190083
Vanda Pharmaceuticals, Inc.	VNDA	Tradipitant	胃轻瘫治疗	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/18	193373
AbbVie Inc.	ABBV	Skyrizi	溃疡性结肠炎 (UC)	已获批准	Supplemental Ap	2024/09/30	190513
辉瑞	PFE	Braftovi	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	CHMP Suppleme	2024/09/30	192501

Biomedtracker Pharma Intelligence

2024 年第三季度影响巨大的催化事件

Meddevicetracker Pharma Intelligence

公司	符号	产品	适应症	阶段	催化事件标题	预期结束日期	催化事件 ID
Omeros Corporation	OMER	Narsoplimab	移植相关性血栓性微血管病 (TA-TMA)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/30	174813
Poxel SA	POXEL	PXL770	肾上腺脑白质营养不良	I 期	Phase IIa - PoC S	2024/09/30	170467
田边三菱制药集团	ND0612	帕金森病 (PD)	NDA	PDUFA for NDA –	2024/08/31	197029	197029
罗氏	RHHBY	Tecentriq	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	Phase III IMpower	2024/09/30	162694
GeNeuro SA	GNRO	GNbAC1	COVID-19 治疗	美国境外开发	Phase II PASC (E	2024/09/30	182357
阿斯利康	AZN	Imfinzi	子宫（子宫内膜）癌	已获批准	Supplemental Ap	2024/09/02	196418
阿斯利康	AZN	Imfinzi	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	PDUFA for sBLA	2024/08/31	192857
阿斯利康	AZN	Imfinzi	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	FDA Advisory Pan	2024/07/25	200549
阿斯利康	AZN	Imfinzi	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	FDA Advisory Pan	2024/07/23	200550
GlycoMimetics, Inc.	GLYC	Uproleselan	急性髓系白血病 (AML)	III 期	Phase II/III w/7+3	2024/07/31	198909
Galderma S.A.	GALD	Nemolizumab	瘙痒症	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/14	196531
强生	JNJ	Balversa	膀胱癌	已获批准	European Approv	2024/09/02	190857
Neuren Pharmaceuticals Limited	NEU	NNZ-2591	天使综合征	II 期	Phase II AS-001 (	2024/09/30	169840
HEMA Biologics		SEVENFACT	血友病 A 和血友病 B	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	178902
诺和诺德	NVO	Awiqli	2 型糖尿病	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/30	188973
诺和诺德	NVO	Awiqli	1 型糖尿病	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/30	189013
Amneal Pharmaceuticals, Inc	AMRX	IPX203	帕金森病 (PD)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/07	196388
Alpha Cognition, Inc.	ACOG	Alpha-1062	阿尔茨海默病 (AD)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/27	191301
罗氏	RHHBY	ReS19-T	阿尔茨海默病 (AD)	美国境外开发	Phase IIa - PK/PD	2024/08/31	177038
Mayne Pharma Group Limited	MYX:AU	Estelle	避孕	已获批准	Phase III MIT-Es0	2024/09/30	187424
Agios Pharmaceuticals, Inc.	AGIO	Pyrukynd	丙酮酸激酶缺乏症	已获批准	Phase III ACTIVA	2024/09/30	183752
Regeneron Pharmaceuticals, Inc.	REGN	Ordspono	滤泡性淋巴瘤 (FL)	III 期	Conditional Appro	2024/09/02	190240
Regeneron Pharmaceuticals, Inc.	REGN	Ordspono	弥漫性大 B 细胞淋巴瘤 (DLBCL) - NHL	III 期	Conditional Appro	2024/09/02	190241
辉瑞	PFE	Beqvez	血友病 B	已获批准	European Approv	2024/08/05	188888
Radius Health, Inc.		RAD011	天使综合征	临床前	Phase III SCOUT-	2024/09/30	177455
Oryzon Genomics S.A.	ORY	Vafidemstat	Phelan-McDermid 综合征 (PMS)	美国境外开发	Pilot Study - Topli	2024/07/31	170154
罗氏	RHHBY	Vabysmo	视网膜静脉阻塞 (RVO) 引起的黄斑水肿（眼科）	已获批准	Supplemental Ap	2024/09/02	191188
Aldeyra Therapeutics, Inc.	ALDX	Reproxalap	干眼症（眼科）	III 期	Phase III ADX-10	2024/09/30	200305
Palatin Technologies, Inc.	PTN	PL-8177	溃疡性结肠炎 (UC)	II 期	Phase II PL8177-	2024/09/30	157207
Cerevel Therapeutics Holding	CERE	CVL-865	癫痫发作性疾病（癫痫）	II 期	Phase II REALIZE	2024/09/30	161523
武田制药	TAK	Adzynma	血栓性血小板减少性紫癜 (TTP)	已获批准	Approval Decision	2024/08/05	190130
赛诺菲	SNY	PRV-3279	系统性红斑狼疮 (SLE)	II 期	Phase IIa PREVA	2024/09/30	174845
礼来公司	LLY	Donanemab	阿尔茨海默病 (AD)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/30	189371
Cyclo Therapeutics, Inc.	CYTH	Trappsol Cyclo	C 型尼曼匹克病	III 期	Phase III Transpo	2024/09/06	199999
Clearside Biomedical, Inc.	CLSD	CLS-AX	湿性年龄相关性黄斑变性（湿性 AMD）（眼科）	I/II 期	Phase IIb ODYSS	2024/09/30	184635
Scholar Rock, LLC	SRRK	Apitegromab	肥胖症	II 期	Phase II Proof-of-	2024/09/30	191925
Levicept Ltd		LEVI-04	骨关节炎疼痛	美国境外开发	Phase IIa -Top-Li	2024/09/30	193594
Apellis Pharmaceuticals, Inc.	APLS	Syfovre	C3 肾小球病	III 期	Phase III VALIAN	2024/09/30	187529
诺和诺德	NVO	Zegalogue	高胰岛素血症 / 低血糖症	已获批准	European Approv	2024/08/31	188831
葛兰素史克	GSK	志贺氏菌苗 (GSK)	胃肠炎	II 期	Phase I/II Dose Fi	2024/07/31	196724
Abivax S.A.	ABVX	Obefazimod	溃疡性结肠炎 (UC)	III 期	Phase II - Follow	2024/09/30	194878
强生	JNJ	Darzalex Faspr	多发性骨髓瘤 (MM)	已获批准	Phase III CEPHE	2024/09/30	186838
ABVC Biopharma, Inc.	ABVC	ABV-1505	注意力缺陷多动障碍	IIb 期	Phase IIb BLI-100	2024/07/31	189974
Les Laboratoires Servier		Vorasidenib	脑癌（恶性胶质瘤；AA 和巨细胞瘤 [GBM]）	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/20	196671
Rakuten Medical, Inc.		ASP-1929	头颈癌	III 期	Phase III LUZERA	2024/09/30	184560
Viatris Inc.	VTRS	Glatiramer Acetate	多发性硬化症 (MS)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/31	189957
百济神州	BGNE	Tevimbra	非小细胞肺癌 (NSCLC)	III 期	Phase II AdvanTI	2024/07/31	185474
绿叶制药集团	2186	LY03005	重性抑郁障碍 (MDD)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/30	156247
Sage Therapeutics Inc.	SAGE	SAGE-324	特发性震颤	IIb 期	Phase IIb KINETI	2024/09/30	193504
MiNA Therapeutics Limited		MTL-CEBPA	肝细胞（肝）癌	II 期	Phase II - OUTRE	2024/07/31	174884
Affibody AB		ABY-035	化脓性汗腺炎	II/III 期	Phase III - Topline	2024/09/30	197257
OSE Immunotherapeutics	OSE	OSE-127	溃疡性结肠炎 (UC)	美国境外开发	Phase II CoTikiS -	2024/09/30	187542
GRI Bio, Inc.	GRI	GRI-0621	特发性肺纤维化 (IPF)	II 期	Phase IIa - Interim	2024/09/30	183419
Coherus BioSciences, Inc.	CHRS	FYB203	湿性年龄相关性黄斑变性（湿性 AMD）（眼科）	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/07/01	189007
Incyte Corporation	INCY	INCB57643	骨髓纤维化 (MF)	I 期	Phase III POC - T	2024/09/30	169188
Sun Pharmaceutical Industrie	SUNP	CTP-543	斑秃	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/31	191576
Corcept Therapeutics Incorporated	CORT	Miricorilant	抗精神病药物引起的体重增加	II 期	Phase II GRATIT	2024/07/31	175256
Corcept Therapeutics Incorporated	CORT	Miricorilant	抗精神病药物引起的体重增加	II 期	Phase II - GRATIT	2024/07/31	175257
Syndax Pharmaceuticals, Inc	SNDX	Axatilimab	移植物抗宿主病 (GVHD)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/28	193952
IntelGenx Technologies Corp	IGXT	Montelukast Ve	阿尔茨海默病 (AD)	II 期	Phase IIa BUENA	2024/09/30	189837
Science Corp.		PRIMA	干性年龄相关性黄斑变性（干性 AMD）/ 地图样萎缩（眼科）	美国境外开发	PRIMAvera (EU) -	2024/09/30	164768
Actinogen Medical Ltd	ACW	Xanamem	重性抑郁障碍 (MDD)	美国境外开发	Phase II XanaCID	2024/08/15	178349
Chemomab Therapeutics Ltd	CMMB	CM-101	原发性硬化性胆管炎 (PSC)	II 期	Phase IIa SPRIN	2024/09/30	173381
百时美施贵宝公司	BMY	KarXT	精神分裂症	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/26	191327
Impel Pharmaceuticals, Inc.	IMPL	INP-105	孤独症谱系障碍（孤独症）	II 期	Phase IIa - Toplin	2024/07/31	174743
Sorrento Therapeutics, Inc.	SRNEQ	Abivertinib	非小细胞肺癌 (NSCLC)	III 期	Pre-NDA Meeting	2024/07/30	179645
艾伯维	ABBV	AGN-151586	皱纹	III 期	Phase III – M21-5	2024/07/31	192205

Biomedtracker Pharma Intelligence

2024 年第三季度影响巨大的催化事件

Meddevicetracker Pharma Intelligence

公司	符号	产品	适应症	阶段	催化事件标题	预期结束日期	催化事件 ID
Philogen S.p.A.	PHIL	Fibromun	软组织肉瘤	IIb 期	Phase III - FIBRO	2024/09/30	170319
Philogen S.p.A.	PHIL	Fibromun	软组织肉瘤	IIb 期	Phase II - FLASH	2024/09/30	170320
Adaptimmune Therapeutics plc	ADAP	Afami-cel	滑膜肉瘤	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/04	193438
Genexine Inc.	95700	GX-188E	头颈癌	美国境外开发	Phase II - w/GX-I7	2024/09/30	184105
辉瑞	PFE	Giroctocogene	血友病 A	III 期	Phase III AFFINE	2024/09/30	163179
Arcturus Therapeutics Ltd.	ARCT	ARCT-810	鸟氨酸转氨甲酰酶缺乏症	I 期	Phase II - Top-line	2024/07/01	176400
礼来公司	LLY	Mazdutide	肥胖症	II 期	Phase III High Do	2024/07/31	184326
礼来公司	LLY	Mazdutide	2 型糖尿病	I 期	Phase III DREAM	2024/09/30	199058
Humacyte, Inc.	HUMA	Humacyl	外周动脉疾病 (PAD)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/10	193553
Alvogen, Inc.		NRX-101	慢性疼痛	II 期	Phase II - Top-line	2024/08/31	190605
Revolution Medicines, Inc.	RVMD	Ameile	非小细胞肺癌 (NSCLC)	II 期	CHMP (European	2024/09/30	182850
Revolution Medicines, Inc.	RVMD	Ameile	非小细胞肺癌 (NSCLC)	II 期	Approval Decision	2024/08/31	182851
Revolution Medicines, Inc.	RVMD	Ameile	非小细胞肺癌 (NSCLC)	II 期	Approval Decision	2024/07/31	178149
Ascendis Pharma A/S	ASND	TransCon PTH	甲状旁腺功能减退症	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/14	192932
罗氏	RHHBY	Piasky	阵发性睡眠性血红蛋白尿症 (PNH)	已获批准	EU Approval Deci	2024/09/02	189730
Idorsia Pharmaceuticals Ltd	IDIA	TRYVIO	高血压（全身性）	已获批准	European Approv	2024/07/01	184568
Cardiff Oncology, Inc.	CRDF	Onvansertib	结直肠癌 (CRC)	II 期	Phase II CRDF-00	2024/09/30	189980
Delta-Fly Pharma, Inc.	4598	DFP-10917	急性髓系白血病 (AML)	III 期	Phase III - Top-Li	2024/08/31	188994
AB2 Bio Ltd.		Tadekinig Alfa	自身免疫性疾病	III 期	Phase III - Top-Li	2024/07/31	163858
基石药业（苏州）	2616	舒格利单抗	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	Approval Decision	2024/08/05	185296
Abliva AB	ABLI	KL-1333	MELAS（线粒体脑肌病、乳酸酸中毒和卒中样发作）综合征	II 期	Phase II FALCON	2024/08/15	188920
诺华	NVS	Pluvicto	前列腺癌	已获批准	Phase III PSMAdd	2024/09/30	181542
甘李药业		Basalin	2 型糖尿病	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/09/30	188686
甘李药业		Basalin	1 型糖尿病	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/09/30	188679
Spruce Biosciences, Inc.	SPRB	Tildacerfont	先天性肾上腺皮质增生症 (CAH)	IIb 期	Phase IIb CAHme	2024/09/30	162812
Lykos Therapeutics		Midomafetamin	创伤后应激障碍 (PDST)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/11	193549
Rocket Pharmaceuticals Inc.	RCKT	Kresladi	自身免疫性疾病	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/30	190868
SIFI S.p.A.		Akantior	抗寄生虫和抗原虫	临床前	European Commi	2024/08/05	177992
Syndax Pharmaceuticals, Inc	SNDX	Revumenib	急性髓系白血病 (AML)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/26	193955
Indivior plc	INDV	AEF0117	大麻使用障碍	II 期	Phase IIb SICA 2	2024/09/30	181709
康方生物		Penpulimab	鼻咽癌	BLA	PDUFA for BLA (	2024/09/30	192967
Nevakar, Inc.		NVK-002	近视性黄斑变性 (MMD)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/30	188396
Valneva SE	VLA	Ixchiq	基孔肯雅病毒	已获批准	Approval Decision	2024/09/30	192250
Liquidia Corp.	LQDA	Yutrepia	肺动脉高压 (PAH)	已获批准	NDA Approval	2024/07/31	189697
Prestige Biopharma Pte. Ltd.		Tuznue	HER2 阳性乳腺癌	美国境外开发	Meeting with FDA	2024/07/31	181173
Integrative Research Laborat	IRLABA	Pirepemat	帕金森病痴呆 (PDD)	美国境外开发	Phase IIb Fall Rat	2024/09/30	184964
瑞石生物医药	SHR0302	斑秃	II 期	Phase III - Top-Li	2024/07/31	174799	179494
基石药业（苏州）	2616	CS1003	肝细胞（肝）癌	III 期	Phase III - CS100	2024/09/30	191174
RadioMedix, Inc.		AlphaMedix	神经内分泌肿瘤 (NET)	II 期	Phase II Naive Pa	2024/09/30	187604
Genmab A/S	GMAB	Epkinly	弥漫性大 B 细胞淋巴瘤 (DLBCL) - NHL	已获批准	Phase III - Top-Li	2024/08/31	184067
IntraBio Inc.		IB1001	C 型尼曼匹克病	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/24	195112
Arcutis Biotherapeutics, Inc.	ARQT	Zoryve Topical	特应性皮炎（湿疹）	NDA	PDUFA For sNDA	2024/07/07	190928
BBS-Bioactive Bone Substitu	BONEH	Artebone	骨折和机械缺陷	美国境外开发	Artebone CE Mar	2024/09/30	140173
辉瑞	PFE	Penbraya	脑膜炎球菌疫苗和其他脑膜炎球菌特异性药物（抗菌药物）	已获批准	CHMP Opinion	2024/09/30	190623
上海复宏汉霖生物制药有限公司	2696	HLX-10	小细胞肺癌 (SCLC)	III 期	European Approv	2024/09/30	185984
Arbutus Biopharma Corporati	ABUS	AB-729	乙型肝炎 (HBV) 治疗 (抗病毒)	II 期	Phase IIa - POC -	2024/09/30	174873
Biocon, Ltd.	BIOS	门冬胰岛素生物类似药 (Biocon)	2 型糖尿病	BLA	Meeting with FDA	2024/08/31	184636
Himalaya Therapeutics		HTBA3021	实体瘤	II 期	Phase II data SC	2024/08/31	198286
Regeneron Pharmaceuticals, Inc.	REGN	Linvoseltamab	多发性骨髓瘤 (MM)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/22	194310
Agenus Inc.	AGEN	Botensilimab	胰腺癌	II 期	Phase II ACTIVAT	2024/09/30	198123
Recursion Pharmaceuticals, Inc.	RXRX	REC-994	血管瘤	II 期	Phase IIa SYCAM	2024/09/30	200540
Applied Therapeutics Inc.	APLT	AT-007	一般代谢疾病	NDA	FDA Advisory Pan	2024/08/27	196874
Viatris Inc.	VTRS	Tyrvaya	神经营养性角膜病	II 期	Phase II - OLYMP	2024/08/31	174538
辉瑞	PFE	PF-07252220	季节性流感	III 期	Phase III Quadriv	2024/07/31	183251
COMPASS Pathways	CMPS	COMP360	重性抑郁障碍 (MDD)	III 期	Phase III COMP 0	2024/09/30	185503
Poxel SA	POXEL	PXL065	肾上腺脑白质营养不良	临床前	Phase IIa - PoC S	2024/09/30	170465
Visiox Pharma, LLC		PDP-716	青光眼 / 高眼压症（眼科）	NDA	PDUFA for NDA -	2024/09/30	180921
SIS Medical AG		OPN NC Super	冠状动脉疾病	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	184873
Emerald Health Pharmaceuticals Inc.		EHP-101	系统性硬化症	II 期	Phase IIa - Top-Li	2024/07/31	184290
AUG Therapeutics, LLC		AVTX-803	一般代谢疾病	III 期	Pivotal Trial - Top	2024/07/31	164853
InCarda Therapeutics, Inc.		InRhythm	房颤 / 房扑	III 期	Phase III RESTO	2024/07/31	169937
RAPT Therapeutics, Inc.	RAPT	RPT193	特应性皮炎（湿疹）	IIb 期	Phase IIb - Toplin	2024/09/30	181055
诺华	NVS	Avzivi	非小细胞肺癌 (NSCLC)	已获批准	Approval Decision	2024/08/05	200026
诺华	NVS	Avzivi	结直肠癌 (CRC)	美国境外开发	Approval Decision	2024/08/05	200032
Altavant Sciences, Inc.		Rodatristat Eth	肺动脉高压 (PAH)	IIb 期	Phase IIb ELEVA	2024/09/30	188295
ARS Pharmaceuticals, Inc.	SPRY	Neffy	过敏反应	NDA	European Approv	2024/09/30	188697
Shin Nippon Biomedical Laboratories, Ltd.	2395	STS101	偏头痛和其他	NDA	Meeting with FDA	2024/08/31	196327

Biomedtracker Pharma Intelligence

2024 年第三季度影响巨大的催化事件

Meddevicetracker Pharma Intelligence

公司	符号	产品	适应症	阶段	催化事件标题	预期结束日期	催化事件 ID
Alvotech	ALVO	Simlandi	类风湿性关节炎	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181414
Alvotech	ALVO	Simlandi	银屑病	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181415
Alvotech	ALVO	Simlandi	幼年特发性关节炎	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181418
Alvotech	ALVO	Simlandi	中轴型脊柱关节炎	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181419
Alvotech	ALVO	Simlandi	银屑病关节炎 (PsA)	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181420
Alvotech	ALVO	Simlandi	化脓性汗腺炎	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181421
Alvotech	ALVO	Simlandi	克罗恩氏病	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181423
Alvotech	ALVO	Simlandi	溃疡性结肠炎 (UC)	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181425
Alvotech	ALVO	Simlandi	葡萄膜炎（眼科）	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	181427
瑞迪博士实验室	RDY	Reditux	类风湿性关节炎	III 期	Biosimilar Approv	2024/08/31	189242
Axial Therapeutics, Inc.		AB-2004	孤独症谱系障碍（孤独症）	IIb 期	Phase IIb - Top-Li	2024/08/31	173324
诺和诺德	NVO	IcoSema	2 型糖尿病	III 期	Phase III Combin	2024/07/31	194504
诺和诺德	NVO	IcoSema	2 型糖尿病	III 期	Phase III Combin	2024/07/31	194506
Eagle Pharmaceuticals, Inc.	EGRX	CAL02	社区获得性肺炎 (CAP)	II 期	Phase II Severe P	2024/09/30	181091
Coherus BioSciences, Inc.	CHRS	Loqtorzi	鼻咽癌	已获批准	CHMP Opinion	2024/08/31	182306
Coherus BioSciences, Inc.	CHRS	Loqtorzi	鼻咽癌	已获批准	Approval Decision	2024/08/31	182308
Xspray Pharma AB	XSPRAY:S	Dasynoc	慢性髓系白血病 (CML)	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/31	196444
罗氏	RHHBY	Tecentriq（皮下注射剂）	非小细胞肺癌 (NSCLC)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/15	184798
罗氏	RHHBY	Tecentriq（皮下注射剂）	肝细胞（肝）癌	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/15	187240
罗氏	RHHBY	Tecentriq（皮下注射剂）	黑色素瘤	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/15	187244
罗氏	RHHBY	Tecentriq（皮下注射剂）	腺泡状软组织肉瘤 (ASPS)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/15	187250
罗氏	RHHBY	Tecentriq（皮下注射剂）	小细胞肺癌 (SCLC)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/09/15	187253
Aerie Pharmaceuticals, Inc.		AR-15512	干眼症（眼科）	III 期	Phase III COMET	2024/08/31	178330
百济神州	BGNE	Ociperlimab	非小细胞肺癌 (NSCLC)	III 期	Phase II AdvanTI	2024/07/31	185473
罗氏	RHHBY	Ocrevus（皮下注射剂）	多发性硬化症 (MS)	NDA	Approval Decision	2024/09/13	197010
AN2 Therapeutics, Inc.	ANTX	Epetraborole	非结核分枝杆菌 (NTM)	II/III 期	Phase II/III - Top-	2024/09/30	178425
Incyte Corporation	INCY	Zilurgisertib	骨髓纤维化 (MF)	I/II 期	Phase III POC - T	2024/09/30	169190
Edwards Lifesciences Corp.	EW	EVOQUE	心脏瓣膜手术	已获批准	FDA Advisory Pan	2024/07/31	192292
Moderna, Inc.	MRNA	mRESVIA	呼吸道合胞病毒 (RSV)	已获批准	Approval Decision	2024/09/03	189074
Laboratorios Salvat, S.A.		Clotrimazole	耳部感染（抗菌）	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/31	185981
Natera, Inc.	NTRA	Signatera	结直肠癌 (CRC)	美国境外开发	Phase III ALTAIR	2024/09/30	189778
诺和诺德	NVO	NN9389	2 型糖尿病	II 期	Phase II Dose Fin	2024/09/30	182560
IACTA Pharmaceuticals, Inc.		IC-265	干眼症（眼科）	II 期	Phase II - Top-Lin	2024/07/31	170704
默沙东	MRK	MK-7240	系统性硬化症相关间质性肺疾病 (SSc-ILD)	II 期	Phase II ATHENA	2024/09/30	178956
Algo Therapeutix S.A.S		ATX01	化疗诱导的周围神经病变 (CIPN)	II 期	Phase II - Topline	2024/08/31	179957
Algo Therapeutix S.A.S		ATX01	神经性疼痛	II 期	Phase II EASE - T	2024/08/31	190923
默沙东	MKKGY	Enpatoran	系统性红斑狼疮 (SLE)	II 期	Phase II WILLOW	2024/09/30	197606
SiSaf Ltd.		SIS-302-AA	斑秃	美国境外开发	Phase II - Top-Lin	2024/08/31	193698
Stereotaxis, Inc.	STXS	MAGiC 导管	房颤 / 房扑	美国境外开发	PMA Approval De	2024/08/31	197022
Stereotaxis, Inc.	STXS	MAGiC 导管	房颤 / 房扑	美国境外开发	CE Mark Approva	2024/08/31	197023
Ultimovacs ASA	ULTIMO	UV-1	头颈癌	美国境外开发	Phase II FOCUS -	2024/09/30	163088
Rare Thyroid Therapeutics International AB		Emcitate	内分泌疾病	II/III 期	Phase IIb/III - Top	2024/09/30	165080
Rare Thyroid Therapeutics International AB		Emcitate	内分泌疾病	II/III 期	Phase III ReTRIA	2024/09/30	189550
Lupin Limited	LPC	拓培非格司亭生物类似药 (Lupin)	白细胞减少症 / 中性粒细胞减少症	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/09/30	173783
强生	JNJ	Varipulse Cath	房颤 / 房扑	PMA	PMA Approval De	2024/09/19	197568
BiomX Inc.	PHGE	BX211	骨和关节感染（抗菌）	I/II 期	Phase I/II - Top-Li	2024/08/31	177605
安进	AMGN	Wezlana	银屑病	已获批准	Approval Decision	2024/07/01	198607
安进	AMGN	Wezlana	银屑病关节炎 (PsA)	已获批准	Approval Decision	2024/07/01	198615
安进	AMGN	Wezlana	克罗恩氏病	已获批准	Approval Decision	2024/07/01	198616
Sorrento Therapeutics, Inc.	SRNEQ	COVI-DROPS	COVID-19 治疗	II 期	Phase II US - Top	2024/08/31	174784
Artiva Biotherapeutics, Inc.		AlloNK	Hodgkin's Lymphom	II 期	Phase II - AFM13	2024/09/30	187903
ONL Therapeutics		ONL1204	孔源性视网膜脱离	II 期	Phase II - Top-Lin	2024/09/30	190519
Compass Therapeutics Inc.	CMPX	CTX-009	结直肠癌 (CRC)	II 期	Phase II COMPA	2024/09/30	183688
EuBiologics Co., Ltd.	206650	EuCorVac-19	COVID-19 预防	美国境外开发	Phase III Democr	2024/09/30	189346
argenx N.V.	ARGX	Vyvgart Hytrulo	干燥综合征	II 期	Phase II RHO (Po	2024/07/31	186238
Visus Therapeutics, Inc.		VT-1011	老花眼	III 期	Phase III BRIO-II	2024/09/30	175949
辉瑞	PFE	Paxlovid	COVID-19 治疗	已获批准	Phase III EPIC-Pe	2024/08/31	177231
Almatica Pharma		ALM004	未披露	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/16	190239
Acutus Medical, Inc.	AFIB	AcQBlate FOR	房颤 / 房扑	PMA	PMA Approval De	2024/07/31	181362
Azafaros B.V.		AZ-3102	GM2 神经节苷脂沉积症	新药临床试验申请 (IND)	Phase II - Top-Lin	2024/08/31	193516
Azafaros B.V.		AZ-3102	C 型尼曼匹克病	II 期	Phase II - Top-Lin	2024/09/30	193517
LumiThera, Inc.		Valeda Light D	干性年龄相关性黄斑变性（干性 AMD）/ 地图样萎缩（眼科）	De Novo	De Novo Approva	2024/09/30	193998
安进	AMGN	ABP 938	湿性年龄相关性黄斑变性（湿性 AMD）（眼科）	BLA	PDUFA for Biosim	2024/07/31	192481
强生	JNJ	Tiara TA	心脏瓣膜手术	美国境外开发	TIARA TA - CE M	2024/09/30	169946
甘李药业		Prandilin	1 型糖尿病	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/09/30	188680
Arcturus Therapeutics Ltd.	ARCT	Kostaive	COVID-19 预防	I/II 期	EU Approval Deci	2024/09/30	190742
NFL Biosciences	ALNFL	NFL-101	戒烟	美国境外开发	Phase II - CESTO	2024/07/31	171558

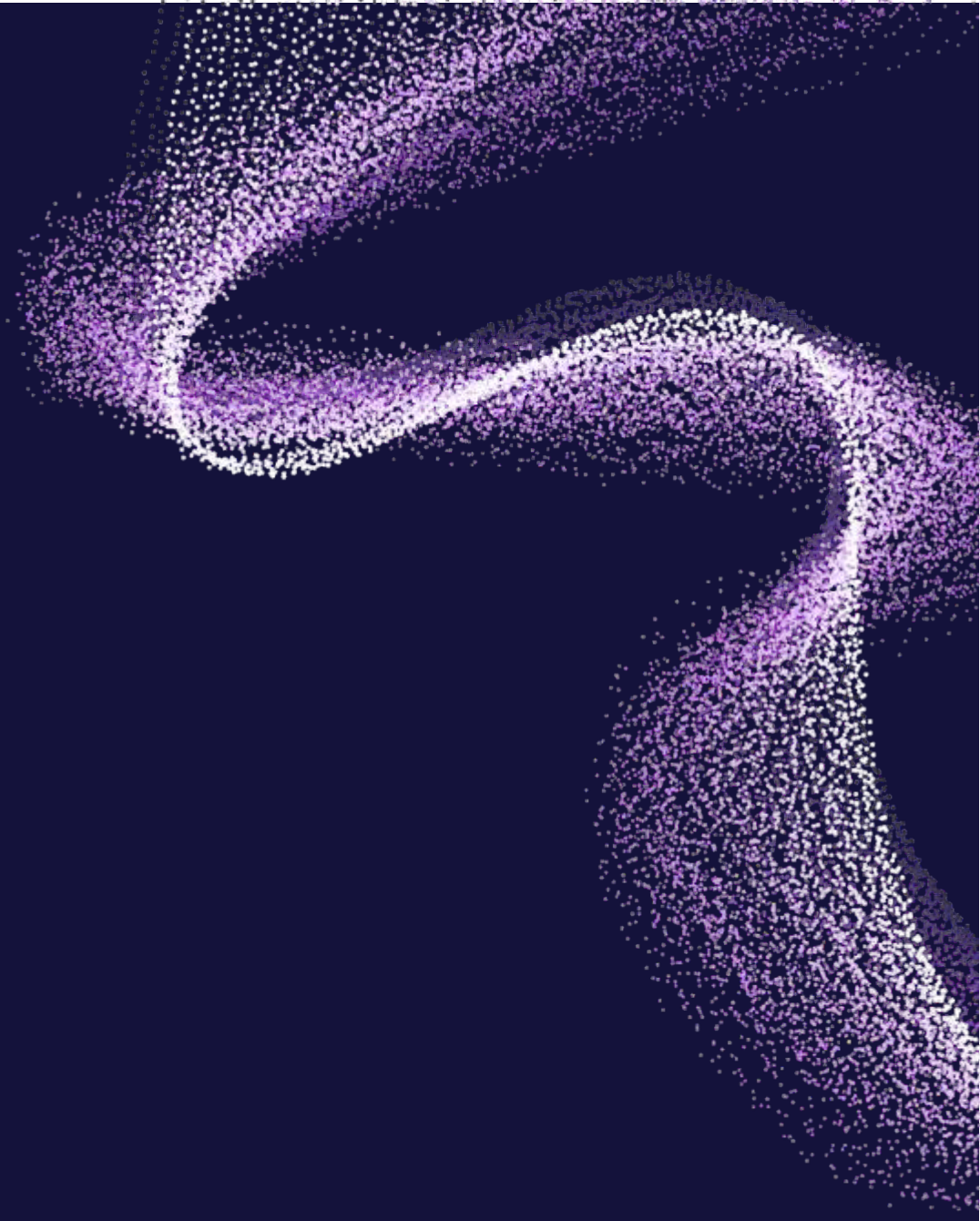
Biomedtracker Pharma Intelligence

2024 年第三季度影响巨大的催化事件

Meddevicetracker Pharma Intelligence

公司	符号	产品	适应症	阶段	催化事件标题	预期结束日期	催化事件 ID
Ironwood Pharmaceuticals, Inc.	IRWD	CNP-104	原发性胆汁性胆管炎 (PBC)	II 期	Phase IIa - Top-Li	2024/09/30	175484
强生	JNJ	Opsynvi	肺动脉高压 (PAH)	已获批准	CHMP Opinion	2024/09/30	188830
Nova Mentis Life Science Corp.	NOVA	Psilocybin (Nova)	脆性 X 综合征	临床前	Phase IIa - Prelim	2024/09/30	186720
Bioretec Ltd.		RemeOs	骨折和机械缺陷	已获批准	CE Mark Approva	2024/09/30	174034
Clairvoyant Therapeutics Inc.		Psilocybin (Clairvoyant)	酒精使用障碍	美国境外开发	Phase II CLARITY	2024/09/30	181481
PepGen Inc.	PEPG	PGN-EDO51	杜氏肌肉营养不良症 (DMD)	II 期	Phase II CONNE	2024/09/30	190895
美商永生		造血祖细胞 (HPC)- 脐带血疗法	缺血性卒中	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/31	176000
Celltrion, Inc.	68270	阿柏西普生物类似药 (Celltrion)	糖尿病性黄斑水肿（眼科）	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/07/01	189082
Celltrion, Inc.	68270	阿柏西普生物类似药 (Celltrion)	湿性年龄相关性黄斑变性（湿性 AMD）（眼科）	BLA	PDUFA for 351(k)	2024/07/01	189083
Appili Therapeutics Inc.	APLI	ATI-1801	利什曼病	III 期	Meeting w/FDA	2024/09/30	176500
诺和诺德	NVO	Semaglutide (NASH)	非酒精性脂肪性肝炎	III 期	Phase III ESSEN	2024/07/31	199525
Ashvattha Therapeutics LLC		D-4517.2	糖尿病性黄斑水肿（眼科）	II 期	Phase II Chronic	2024/08/31	192491
Ashvattha Therapeutics LLC		D-4517.2	湿性年龄相关性黄斑变性（湿性 AMD）（眼科）	II 期	Phase II Chronic	2024/08/31	192465
Saol Therapeutics		SL-1002	神经肌肉痉挛和痉挛状态	II 期	Phase II RAISE S	2024/09/30	176983
Saol Therapeutics		SL-1002	骨关节炎疼痛	II 期	Phase II COMPA	2024/09/30	176984
DermBiont, Inc.		SM-020	良性色素性病变	II 期	Phase II Seborrhe	2024/09/30	196738
DermBiont, Inc.		SM-020	皮肤癌 - 基底细胞癌 (BCC)	II 期	Phase IIa CT-217	2024/09/30	196744
MC2 Therapeutics A/S		MC2-25	瘙痒症	美国境外开发	Phase II - ITCHIN	2024/09/30	180298
H-CYTE Inc.	HCYT	SkinDisc	伤口愈合	美国境外开发	510(k) Clearance	2024/07/31	197150
Smart Immune SAS		SMART102	血癌	美国境外开发	Phase I/II - HTLP-	2024/07/31	181205
Aphaia Pharma AG		APH-012	肥胖症	II 期	Phase II - Top-Lin	2024/09/30	181658
Arthritis Innovation Corporation	F-14	术后疼痛	III 期	Phase III - Top-Li	2024/08/31	190576	179413
Osteal Therapeutics, Inc.		VT-X7	假体周围感染 (PJI)	II 期	Phase II - APEX -	2024/09/30	182088
Incyte Corporation	INCY	INCB99280	实体瘤	I/II 期	Phase II Checkpo	2024/07/31	190034
Incyte Corporation	INCY	INCB99280	皮肤癌 - 鳞状细胞癌 (SCC)	II 期	Phase II INCB 99	2024/07/31	190035
Modular Medical	MODD	MODD1 胰岛素泵	1 型糖尿病	510(k)	510(k) Approval D	2024/07/31	194871
Coya Therapeutics, Inc.	COYA	COYA-301	阿尔茨海默病 (AD)	II 期	Phase II - Topline	2024/09/30	189376
默沙东	MRK	MK-3475A	非小细胞肺癌 (NSCLC)	III 期	Phase III MK-347	2024/09/30	199760
Laboratorios Salvat, S.A.		SVT-15473	术后疼痛	NDA	PDUFA for NDA -	2024/07/31	186673
Curasight		uTRACE	前列腺癌成像	临床前	Phase II - Top Lin	2024/09/30	196542
Azurity Pharmaceuticals, Inc.		AZ-06	其他神经病学疾病	NDA	PDUFA for NDA -	2024/08/31	190004
Citius Oncology, Inc.		Lymphir	皮肤 T 细胞淋巴瘤 (CTCL)	BLA	PDUFA for BLA -	2024/08/13	196546
PharmaSens AG		NIIA Essential	2 型糖尿病	510(k)	510(k) Approval D	2024/09/30	194009
PharmaSens AG		NIIA Essential	1 型糖尿病	510(k)	510(k) Approval D	2024/09/30	194053
Norgine B.V.		Agilus	一般代谢疾病	美国境外开发	Approval Decision	2024/08/31	197624

CITELINE
COMMERCIAL



Citeline 为 **Norstella** 旗下公司，提供一整套互补性的商业智能产品，旨在满足医疗科学专业人士不断变化的需求，加快疗法与患者的双向联结。Citeline 全系产品以患者为中心，为临床、商业、监管决策提供分析数据，为企业发展创造实实在在的机会。

我们的全球分析师、记者、顾问团队紧扣制药、生物医学、医疗技术行业的脉搏，为您带来专业的洞察分析：主要疾病、临床试验、药物研发和审批、市场预测等等。有关全球最值得信赖的生命科学合作伙伴之一的更多信息，请访问 **Citeline.com**。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited 为 Citeline 公司旗下的公司（禁止在未授权的情况下影印）
Pharma Intelligence UK Limited 是一家于英格兰和威尔士注册的公司，公司编号 13787459，
注册经营地址：Suite 1, 3rd Floor, 11 - 12 St. James's Square, London, England, SW1Y 4LB