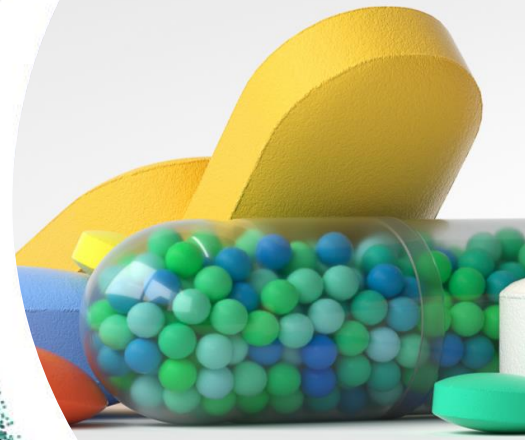
2025 年可能上市的主要药物

作为我们著名的季度展望报告的补充，Biomedtracker 很高兴能对一些预计将于 2025 年上市的主要后期药物进行更长远的展望。这些药物代表了新药类别、标准治疗的重大变化，和 / 或 Biomedtracker 和 Datamonitor Healthcare 所涵盖的广泛适应症的巨大市场机遇。

本演示文稿中的信息，包括获批可能性 (LOA) 评级和即将发生的催化剂事件，均为截至 2024 年 7 月的最新信息。

点击 ↗ 图标可在 Biomedtracker 上即时查看每种药物的更多详细信息。



目录

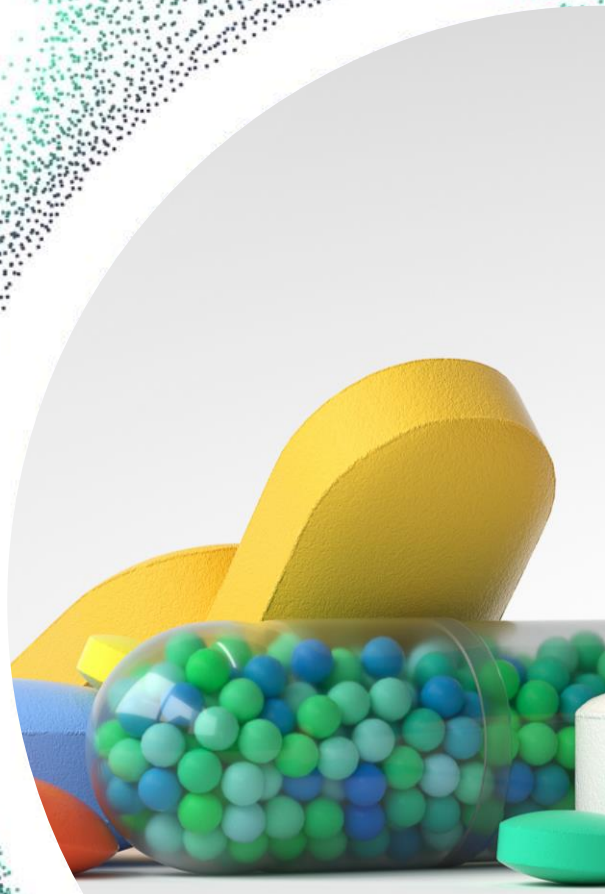
本报告涵盖以下适应症：

- **过敏**
  - 特应性皮炎（湿疹）
- **自身免疫 / 免疫学疾病 (A&I)**
  - 克罗恩病
  - 皮肌炎
  - 移植物抗宿主病 (GVHD) - 治疗
  - 免疫球蛋白 G4 相关疾病 (IgG4-RD)
  - 重症肌无力
  - 银屑病
  - 银屑病关节炎
  - 溃疡性结肠炎
- **心血管 (CV) 疾病**
  - 心肌病 - 扩张型
  - 慢性心力衰竭 - 射血分数保留（慢性 HFpEF）
  - 血脂异常 / 高胆固醇血症
  - 室上性心动过速
- **皮肤病**
  - 先天性鱼鳞病
- **内分泌疾病**
  - 肢端肥大症
  - 先天性肾上腺皮质增生症 (CAH)
  - 先天性高胰岛素血症 (CHI)
  - 1 型糖尿病
  - 糖尿病肾病
- **血液学疾病**
  - 范可尼贫血
  - 血友病 A
  - 血友病 A 和 B
  - 地中海贫血
- **传染病**
  - 真菌感染 - 全身性
  - HIV 预防
  - 脑膜炎球菌疫苗
  - 季节性流感疫苗
  - 泌尿道和生殖道感染（抗菌）
- **代谢疾病**
  - 杜氏肌营养不良症 (DMD)
  - 家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)
  - 肥胖症
  - 脊髓性肌萎缩症 (SMA)
- **神经病学疾病**
  - 纤维肌痛
  - 发作性睡病
  - 其他神经病学疾病
- **肿瘤学疾病**
  - 急性髓系白血病 (AML)
  - 膀胱癌
  - 慢性髓系白血病 (CML)
  - 结直肠癌 (CRC)
  - 胃癌
  - 头颈癌
  - 乳腺癌 (HER2+)
  - 乳腺癌 (HR+/HER2-)
  - 多发性骨髓瘤 (MM)
  - 非小细胞肺癌 (NSCLC)
  - 卵巢癌
  - 前列腺癌
  - 子宫（子宫内膜）癌
  - 华氏巨球蛋白血症
- **眼科学疾病**
  - 糖尿病性黄斑水肿
  - 糖尿病视网膜病变
  - 老花眼
- **精神病**
  - 双相情感障碍 (BD)
  - 重度抑郁症
  - 创伤后应激障碍
  - 精神分裂症
- **肾脏疾病**
  - C3 肾小球病 (C3G)
- **呼吸系统疾病**
  - 哮喘
  - 支气管扩张
  - 睡眠呼吸暂停

单击可直接跳转到任一疾病组

CITELINE
a norstella company

过敏



过敏

VTAMA | DRMT | LOA：与平均值相同 | ↗

特应性皮炎（湿疹）

Dermavant 的 Vtama (tapinarof) 是一种非类固醇外用药物，以芳基烃受体为靶点。Vtama 于 2022 年 5 月在美国获批用于治疗银屑病，其疗效与 Zoryve 相当，但也存在毛囊炎和接触性皮炎等副作用。2024 年 2 月，Dermavant 向 FDA 提交 Vtama 乳霜的补充 NDA，旨在治疗成人和 2 岁及以上儿童的特应性皮炎，ADORING 研究的有希望数据为此提供了支持。

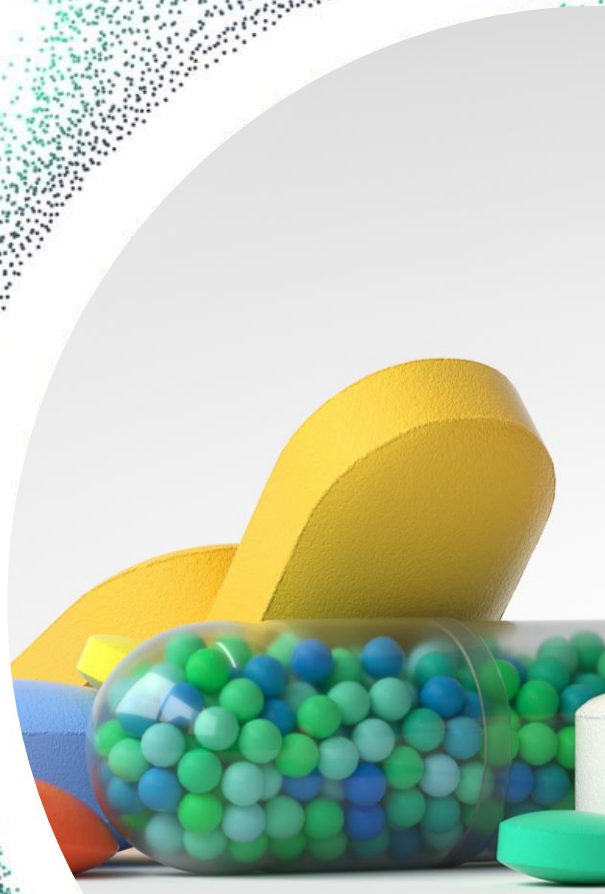
关键性 ADORING 1 研究表明，每日涂抹一次 1% Vtama 乳膏后，56% 的治疗组患者 EASI-75 评分（即湿疹面积和严重程度指数 [EASI] 较基线改善至少 75%）显著改善，而赋形剂组为 23%。此外，通过经验证的特应性皮炎研究者整体评估量表 (vIGA-AD) 评分测量，45% 接受 Vtama 治疗的患者达到疾病完全清除，而接受赋形剂治疗的患者为 14%。这些积极的研究结果得到了 ADORING 2 研究数据的证实。一旦获得批准，Vtama 将进入竞争日益激烈的湿疹外用药市场，其中包括 PDE4 抑制剂 Eucrisa（以疗效低而闻名）和 JAK 抑制剂 Opzelura，后者虽然强效，但带有黑框警告。与新近获批的 Zoryve 外用乳膏相比，因卓越疗效，Vtama 仍然是一个强有力的竞争对手。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症）

CITELINE
a norstella company

自身免疫 /

免疫学疾病



自身免疫 / 免疫学疾病

TREMFYA | JNJ | LOA：高于平均值 | ↗

克罗恩病 (CD)

GALAXI II/III 期试验中，强生的 Tremfya 在应答不足患者中取得了很好的疗效数据，并被定位为一种具有临床吸引力的管线药物，与其他选择性 IL-23 药物并驾齐驱。GALAXI 研究还包括一个 Stelara 参照组，结果显示 Tremfya 的缓解率在数值上优于该参照组。强生于 2024 年早些时候公布了 GALAXI 2 和 3 III 期试验的顶线结果，其中 200 mg 每 4 周一次和 100 mg 每 8 周一次的皮下给药均显示优于安慰剂和 Stelara，从而引发了人们期待 Tremfya 对市场的潜在影响。虽然 Tremfya 无法在临床缓解终点方面显示出优越性，但在临床缓解和内镜应答的复合终点方面，200 mg 每月给药一次产生的应答在统计学上显著优于 Ustekinumab。

Tremfya 已上市，用于治疗斑块状银屑病，并有望成为 CD 同类治疗药物中第 4 个上市药物。强生通过 Stelara 在炎症性肠病 (IBD) 领域积累了丰富经验，因此对 Tremfya 的推广战略充满信心。然而，Stelara 在 2023 年创造了超过 110 亿美元的收入，要填补这些空缺，难度可想而知。生物类似药的侵蚀迫在眉睫，强生将倚重 Tremfya 来挽回损失的收入。

标签：潜在重磅炸弹药物

自身免疫 / 免疫学疾病

HIZENTRA|CSL|LOA：与平均值相同|↗

皮肌炎

皮下注射免疫球蛋白并非自身免疫性疾病治疗领域的新药。然而，皮肌炎患者却无法选择这种疗法，他们通常需要繁琐的静脉注射免疫球蛋白和免疫抑制剂来控制症状。Hizentra 是一种通过皮下注射给药的人免疫球蛋白药物，已被批准用于治疗原发性免疫缺陷 (PI) 和慢性炎症性脱髓鞘性多发性神经病 (CIDP)。该药物目前正处于皮肌炎的后期临床开发阶段，预计将于 2024 年第三季度公布初步数据。从长远来看，Hizentra 将提供更方便的居家治疗方案。

标签：潜在重磅炸弹药物，标签扩展（新适应症）

自身免疫 / 免疫学疾病

JAKAFI | INCY | LOA：平均值 | ↗

移植物抗宿主病 (GVHD) - 治疗

Jakafi 是一款 JAK1/JAK2 抑制剂，由 Incyte 开发，作为 Ruxolitinib 缓释 (XR) 片剂，目前正在向 FDA 申请批准用于治疗慢性 GVHD 和急性 GVHD。2023 年 3 月，FDA 发布一份完整答复函 (CRL)，指出 FDA 目前无法批准该申请。虽然与新药申请 (NDA) 一起提交的研究达到了基于曲线下面积 (AUC) 参数的生物等效性目标，但 FDA 确定了额外的批准要求。

该药表现出较强的疗效，并得到了两项研究的支持，这两项研究旨在确定 Ruxolitinib XR 片剂与 Jakafi 片剂的相对生物利用度，并证明 RuxolitinibXR 片剂的剂量规格与 Jakafi 片剂成比例。试验还表明，该产品具有良好的耐受性和安全性特征，无非预期毒性反应。

此后，公司于 2023 年 12 月与 FDA 会晤，讨论 CRL 问题。由于 Jakafi 已获批用于其他适应症，如真性红细胞增多症和原发性骨髓纤维化，我们预计 Incyte 将满足 FDA 的额外要求，以支持对 CRL 作出正式回复，并有可能在 2025 年上市。

标签：新药类别

自身免疫 / 免疫学疾病

UPLIZNA | AMGN | LOA：高于平均值 | ↗

免疫球蛋白 G4 相关疾病 (IgG4-RD)

安进的 Uplizna (inebilizumab) 是一种抗 CD19 抗体，曾获批用于治疗视神经脊髓炎谱系疾病 (NMOSD)，已证实该药在治疗 IgG4 相关疾病 (IgG4-RD) 方面取得的疗效（尚无获批疗法），实现了一个重要里程碑。III 期试验显示，在一年内，与安慰剂组相比，Uplizna 组的 IgG4-RD 发作风险显著降低 87%，同时到达了所有关键次要终点，包括年化发作率、无发作和无治疗的完全缓解以及无发作、无皮质类固醇治疗的完全缓解。

Uplizna 的成功建立在 Rituxan 的使用上，Rituxan 是一种抗 CD20 抗体，是目前唯一一种有可能用于 IgG4-RD 患者长期治疗的非甾体类、超说明书使用疗法。研究显示，Rituxan 每六周给药一次可有效降低复发风险并逆转器官增大，这强调了 B 细胞在 IgG4-RD 发病机制中的作用。尽管直接比较数据有限，但 Uplizna 可通过靶向更广泛的 B 细胞谱系，提供更深入和更持久的疗效。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症）

自身免疫 / 免疫学疾病

UPLIZNA | AMGN | LOA：与平均值相同 | ↗

重症肌无力

虽然重症肌无力 (MG) 市场日益拥挤，但主要由补体抑制剂和新生儿 Fc 受体 (FcRn) 抑制剂所主导，前者靶向过度活跃的免疫应答，后者可降低触发这些应答的循环自身抗体。与之相反的是，Uplizna 通过耗尽产生所有抗体的 B 细胞，从而减少对异常免疫应答的刺激，这提供了一种新的作用机制。目前，Uplizna 正在 III 期 MINT 研究中进行评估，预计将于 2024 年下半年公布数据。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症）

自身免疫 / 免疫学疾病

ZORYVE TOPICAL FOAM|ARQT|LOA：高于平均值|↗

银屑病

虽然外用皮质类固醇可有效治疗银屑病，但安全性问题限制了长期用药。因此，人们需要安全有效的非类固醇替代品。Arcutis 已成功推出外用磷酸二酯酶 4 (PDE4) 抑制剂 Roflumilast，用于皮肤病的一线治疗，旨在取代外用皮质类固醇仿制药。这一举措使 Zoryve 外用乳膏 (0.3%) 获批用于斑块状银屑病，Zoryve 乳膏 (0.15%) 获批用于湿疹，Zoryve 泡沫剂 (0.3%) 获批用于脂溢性皮炎。Arcutis 预计，在 2024 年 7 月提交补充新药申请后，Zoryve 外用泡沫剂 (0.3%) 将获批用于治疗头皮和身体银屑病成人和青少年患者。

在治疗银屑病的外用乳膏取得临床成功的基础上，在 III 期 ARRECTOR 研究中，治疗 8 周后，Zoryve 外用泡沫剂显示出 33% 的 PASI 75 应答（经赋形剂组校正后），即银屑病面积和严重程度指数 (PASI) 评分较基线降低至少 75%，与 Zoryve 外用乳膏相当。与赋形剂治疗相比，39% 的 Zoryve 泡沫剂治疗患者头皮达到皮肤清除，而 25% 的患者身体达到清除。Zoryve 外用泡沫剂对头皮和身体银屑病均有疗效，为希望简化治疗方案的患者提供了一种方便选择。

标签：标签扩展（新适应症）

自身免疫 / 免疫学疾病

SOTYKTU | BMY | LOA：高于平均值 | ↗

银屑病关节炎

大多数治疗银屑病关节炎的药物都源自银屑病治疗药物，百时美施贵宝的 Sotyktu 也不例外。作为一种潜在重磅炸弹药物，口服酪氨酸激酶 2 (TYK2) 抑制剂 Sotyktu (deucravacitinib) 在改善银屑病方面显示出与 TNFα 抑制剂相当的疗效，这应该会提高那些不愿接受注射治疗的患者的接受度。Sotyktu 于 2022 年获批用于治疗中重度斑块状银屑病，但其没有其他 JAK 抑制剂的相关黑框警告。目前，该药物正在未经生物制剂治疗的银屑病关节炎患者中进行测试，这项 III 期研究于 2021 年 7 月开始，预计将于 2024 年下半年获得顶线结果。

标签：新药类别，潜在重磅炸弹药物，标签扩展（新适应症）

自身免疫 / 免疫学疾病

TREMFYA | JNJ | LOA：高于平均值 | ↗

溃疡性结肠炎 (UC)

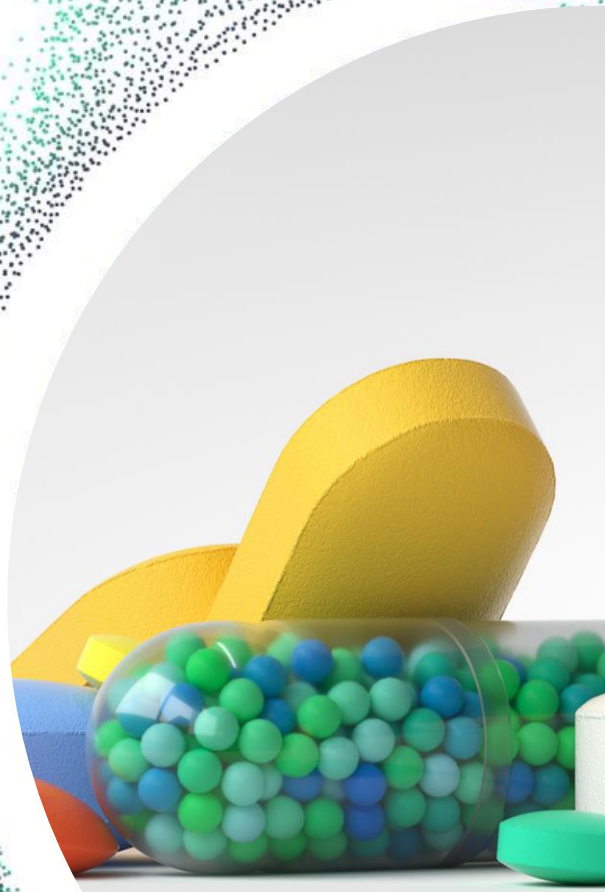
强生的 Tremfya (guselkumab) 是靶向 IL-23 的 p19 亚基的全人源 IgG1 单克隆抗体。相比之下，Stelara 与 IL-23 和 IL12 的 p40 亚基结合。因此，Guselkumab 可能会对 IL-23 产生更特异的抑制作用，并加入 Omvoh 和 Skyrizi 等药物的行列。该药物在 IIb/III 期试验中显示出良好前景，强生报告了 QUASAR 临床项目的首次疗效数据，可能是同类最佳数据，该项目在对常规治疗应答不足或不耐受的中重度活动性 UC 成人患者中评估 Tremfya。

虽然在 Stelara 生物类似药和 Omvoh 之后才进入市场，势必会对销售产生负面影响，但与 Omvoh 相比，Tremfya 将具有更好的商业影响力，因为强生在炎症性肠病方面拥有丰富的营销经验，将依靠 Tremfya 来弥补因 Stelara 和 Simponi 生物类似药的侵蚀而损失的收入。

标签：潜在重磅炸弹药物

CITELINE
a norstella company

心血管疾病



心血管疾病

ELAMIPRETIDE | MITO | LOA：低于平均值 | ↗

心肌病 - 扩张型

Barth 综合征是一种 X 连锁遗传病，主要影响男性，由编码 tafazzin 蛋白的基因突变引起。Tafazzin 蛋白对心磷脂至关重要，心磷脂是维持线粒体结构和功能所必需的线粒体膜组分。这是一种多系统疾病，患者可出现扩张型心肌病、中性粒细胞减少症、肌肉萎缩、生长迟缓、运动不耐受和喂养问题。Barth 综合征尚无获批的药物疗法，治疗方法包括采取干预措施来改善疾病相关体征和症状。

Stealth Biotherapeutics 的 Elamipretide 是一种短肽，可选择性地集中在线粒体内膜，减少缺血 / 再灌注期间活性氧的产生。这种机制可以保护线粒体，提高电子传递效率，维持线粒体呼吸和三磷酸腺苷水平，防止线粒体肿胀和去极化。

根据 SPIBA-001 III 期自然病史对照研究和 TAZPOWER 试验的积极数据，向 FDA 提交了 Elamipretide 治疗 Barth 综合征的新药申请。虽然数据参差不齐，但在 76 周后，Elamipretide 可使 6 分钟步行试验增加 90 米以上，并增加手部肌肉力量，提高运动耐量。Elamipretide 还可改善左心室每搏输出量。

FDA 于 2017 年授予 Elamipretide 快速通道认定，2018 年授予孤儿药认定，2020 年授予罕见儿科疾病认定。Stealth Biotherapeutics 已向 FDA 提交 Elamipretide 治疗 Barth 综合征的新药申请，并被授予优先审评资格；处方药用户付费法案 (PDUFA) 行动日期为 2025 年 1 月 29 日。

标签：首次批准，实践变化

心血管疾病

KERENDIA | BAYN | LOA：高于平均值 | ↗

慢性心力衰竭 – 射血分数保留（慢性 HFpEF）

慢性 HFpEF 的特征为尽管射血分数正常或接近正常，但心肌无法泵血以满足身体需求，这一直是心力衰竭 (HF) 治疗中最重要的未满足需求。尽管在 2020 年初，首批 HFpEF 治疗药物获得批准，治疗水平有了实质性的提高，但由于目前可用的药物主要针对临床症状，而非基础疾病机制，因此仍有大量需求未得到满足。非甾体类盐皮质激素受体拮抗剂 (MRA) Kerendia (finerenone) 希望通过靶向心力衰竭的主要过程，来减少心脏纤维化，改善心脏功能，同时克服在甾体类 MRA 中观察到的高钾血症问题。

Kerendia 首次获批用于治疗糖尿病肾病，目前正在 MOONRAKER 项目中接受心力衰竭方面的评估，预计将招募超过 15,000 名患者。该项目的首次成功来自 III 期 FINEHEARTS-HF 试验，该试验显示，对于左心室射血分数 (LVEF) ≥ 40% 的 HFpEF 患者（纽约心脏病学会 II-IV 级），Kerendia 可显著降低复合事件（心血管死亡和总 [首次和复发]HF 事件）的发生率，具有统计学意义和临床意义。虽然达到了主要终点，证明了 Kerendia 的安全性和耐受性特征也与之前的试验相符，但并未提供数值数据，且重要的是要看到获益程度，以及试验是否证明了 Kerendia 的高钾血症风险较甾体类 MRA 更低。由于整个 HF 领域的指南都推荐 MRA，强劲的研究结果使 Kerendia 很有可能会受到青睐，成为推进 HFpEF 治疗的新方法。根据 FINEARTS-HF 试验数据，2025 年可能会批准 HFpEF 的标签扩展，这将推动 Kerendia 销售额的增长。

标签：新药类别

心血管疾病

LERODALCIBEP|LIBT|LOA：高于平均值|↗

血脂异常 / 高胆固醇血症

LIB Therapeutics 公司的 Lerodalcibep 是一种靶向 PCSK9 的可注射重组融合蛋白，其可利用白蛋白延长半衰期，因此高胆固醇血症患者可以每四周进行一次低容量注射。相比之下，PCSK9 抑制剂单克隆抗体 (mAb)，如安进的 Repatha 和赛诺菲 /Regeneron 的 Praluent，如果单次注射，则必须每两周给药一次，而每月给药一次则需要多次注射或输注。此外，mAb 在室温下也不能保存超过 30 天，而 Lerodalcibep 在室温下可稳定保存长达 9 个月。如果获得批准，因便利性优势，Lerodalcibep 有可能比 mAbs 更受青睐，而且据报告，Lerodalcibep 制造成本更低，因此可以在价格上与 mAb 竞争。

III 期 LIBerate-HR 试验的积极结果表明，Lerodalcibep 对正在接受降脂治疗但 LDL-C 未达标的心血管 (CV) 疾病高风险患者具有治疗潜力，这部分患者对治疗方案有高度未满足需求。长期疗效结果显示，在现有口服药物的基础上，Lerodalcibep 可显著降低 LDL-C 水平，平均降低 50% 以上，≥ 90% 的 Lerodalcibep 组患者 LDL-C 降低≥ 50%，达到了欧洲心脏病学会制定的新目标建议。

该公司曾报告计划在 2024 年上半年申请 FDA 和 EMA 批准，用于治疗血脂异常 / 高胆固醇血症，但尚未提供额外计划更新。此外，Lerodaclibep 还在开发用于治疗杂合型家族性高胆固醇血症 (HeFH) 和纯合型家族性高胆固醇血症 (HoFH) 的药物。

标签：实践变化

心血管疾病

CARDAMYST | MIST | LOA：高于平均值 | ↗

室上性心动过速

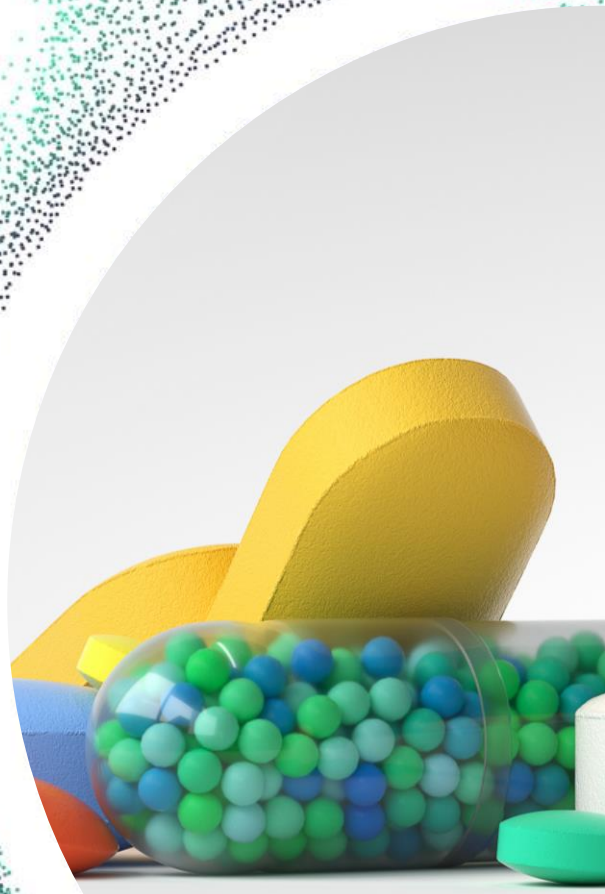
Cardamyst 是一种新型短效钙通道拮抗剂，经鼻给药，由 Milestone Pharmaceuticals 开发。NODE-303 研究主要针对阵发性室上性心动过速 (PSVT)，该研究的近期特设分析显示，该药物在治疗心房颤动伴快速心室率 (AFib-RVR) 方面的应用前景良好。研究结果已在 2023 年 5 月 19 日举行的 2023 年心律学会年会上公布。

NODE-303 研究让患者自行服用 Cardamyst。对 1024 次经治发作进行分析后发现，有 21 起 AFib-RVR 事件。其中，17 次发作的基线心室率 (VR) 为 110bpm 或更高。服用 Cardamyst 后，VR 的平均降幅显著，22 分钟时最大降幅为 27.4 bpm，60 分钟时的持续降幅为 16.2 bpm。在 60 分钟的窗口期内，有 6 次发作转为窦性心律。安全性数据显示，Cardamyst 的耐受性良好，不良事件主要与鼻腔给药部位相关，报告为轻度至中度。Milestone Pharmaceuticals 还在推进 ReVeRA 试验，这是一项在急诊科 AFib-RVR 患者中评估 Cardamyst 的 II 期双盲、安慰剂对照研究。初步研究结果表明，Cardamyst 可为急症治疗环境以外的 AFib-RVR 治疗提供显著优势，有可能减少急诊就诊需求。

根据 FDA 的指导，Milestone 于 2024 年 5 月 26 日重新提交了 Cardamyst 的新药申请 (NDA)，解决了之前拒绝提交 (RTF) 函中的反馈问题。重新提交的 NDA 包括重组数据集和重新格式化的文件，以便于 FDA 分析。FDA 已受理 NDA，决定的处方药用户付费法案 (PDUFA) 目标日期设定为自受理日期起 10 个月。

标签：新药类别，潜在重磅炸弹药物

皮肤病



皮肤病

QRX-003|ALM|LOA：与平均值相同|↗

先天性鱼鳞病

QRX003 是一种广谱丝氨酸蛋白酶抑制剂，由 Quoin Pharmaceuticals 公司开发，旨在模拟 LEKTI 蛋白的功能，有望成为 Netherton 综合征 (NS) 的潜在疗法。正在进行的 I 期开放标签临床试验在 10 例 NS 患者中评估 QRX003 给药 12 周的安全性和疗效。所有受试者在接受 QRX003 治疗的同时，还在继续接受超说明书全身治疗。

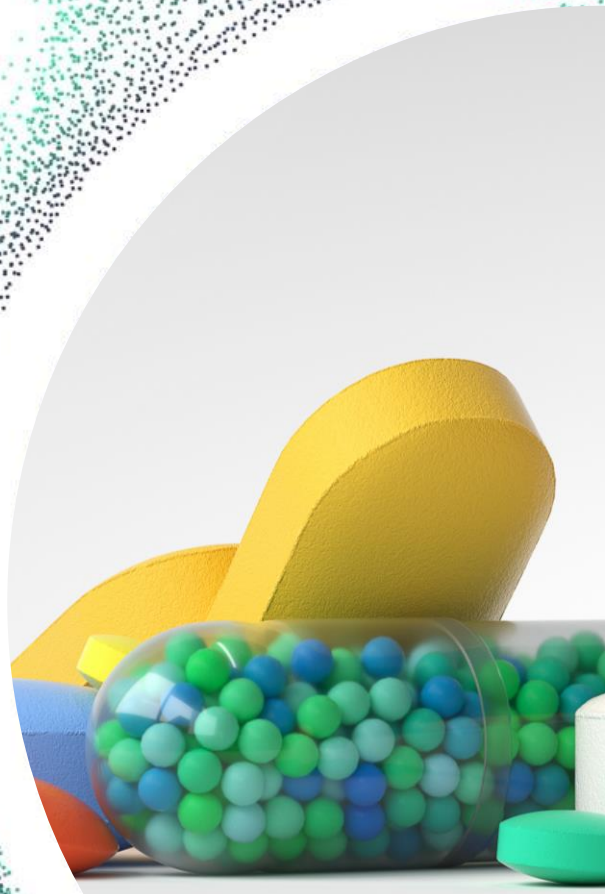
6 例可评估受试者的初步数据显示出令人鼓舞的结果。6 例受试者中有 5 例报告称，瘙痒症（瘙痒）显著改善，给药期结束时瘙痒症消失或可忽略不计。第 6 例患者的瘙痒症无变化。在皮肤外观方面，所有 6 例患者均表现出改善，其中 3 例在整个研究期间持续改善，而其余 3 例在治疗期间的不同阶段有所改善。此外，所有受试者均对 QRX003 的几项关键指标留下了积极印象。

该研究的安全性数据良好，未出现影响试验的治疗相关不良事件，为 QRX003 的进一步开发提供了支持。基于这些令人鼓舞的结果，Quoin Pharmaceuticals 计划于 2024 年底前在美国和欧盟获得 QRX003 的批准。

标签：新药类别，首次批准

CITELINE
a norstella company

内分泌疾病



内分泌疾病

OCLAIZ|CAMX|LOA：高于平均值|↗

肢端肥大症

肢端肥大症是一种罕见的、严重的慢性疾病，由良性垂体瘤导致生长激素 (GH) 过度分泌和胰岛素样生长因子 (IGF-1) 过量所引起。这些因素共同导致组织和骨骼异常生长，造成手、脚和面部五官增大，并引发一系列疾病症状，如疲乏、关节疼痛、肌无力、体重增加、睡眠呼吸暂停、头痛、多汗和感觉异常。肢端肥大症患者生活质量下降，并经常报告称治疗负担沉重。肢端肥大症的一线药物治疗以第一代注射用生长抑素受体配体 (SRL)、诺华的善宁（奥曲肽长效缓释剂 [LAR]）和益普生的 Somatuline（兰瑞肽 ATG）为代表。

Oclaiz 是一种即用型奥曲肽皮下注射剂，由 Camurus 公司开发。其设计方便用户每月一次的自我给药。III 期试验达到了主要和关键次要终点，且具有较高的统计学意义。在 ACCROINNOVA 1 研究中，72.2% 的 Oclaiz 组患者的 IGF-1 缓解低于 1 倍正常值上限 (ULN)，而安慰剂组为 37.5% (p=0.0018)。Oclaiz 组的 IGF-1 和 GH 缓解率均为 70%，安慰剂组为 37.5% (p=0.0035)，达到了关键次要终点之一，即第 22 周和第 24 周平均 IGF-1 ⩽ ULN 且第 24 周平均 GH 周期 <2.5 μg/L 的患者比例。肢端肥大症患者的生化控制往往较差或有限，这部分患者有大量未满足需求，ACROINNOVA 2 的数据显示，Oclaiz 能有效实现不同治疗史患者的生化控制。与肢端肥大症目前的一线药物治疗相比，这些数据结合 Oclaiz 给药的便利性，可能会提高疗效，增加便利性并改善生活质量。美国 FDA 指定该新药申请的 PDUFA 日期为 2024 年 10 月 17 日。如果获得批准，Oclaiz 将成为首个可居家皮下注射的生长抑素肽类似物，每月注射一次。

标签：首次批准，新药类别

内分泌疾病

CRINECERFONT | NBIX | LOA：高于平均值 | ↗

先天性肾上腺皮质增生症 (CAH)

先天性肾上腺皮质增生症 (CAH) 通常是由 21- 羟化酶 (21-OH) 突变导致的肾上腺激素（包括皮质醇和大多数醛固酮）生成不足所引起。如不及时治疗，CAH 可导致患者盐耗、脱水，甚至死亡。患者需要接受类固醇治疗，以纠正皮质醇缺乏，并降低由此刺激的高水平促肾上腺皮质激素 (ACTH)；高 ACTH 水平可导致雄激素水平过高，从而影响女性发育以及身材和生育能力。然而，治疗可能需要使用大剂量的糖皮质激素 (GC)，但这些药物有潜在的严重副作用，包括心血管风险增加、骨质流失、骨折、生长障碍、肌无力和感染风险增加。因此，无类固醇治疗方案是非常有必要的。

Crinecerfont 是一种口服、选择性促肾上腺皮质激素释放因子 1 型受体 (CRF1) 拮抗剂，由 Neurocrine Biosiences 公司开发，用于治疗 21-OH 缺乏引起的典型 CAH。这种非类固醇依赖性药物可阻断垂体中的 CRF1 受体，从而降低 ACTH 和肾上腺雄激素水平，同时希望生理剂量的糖皮质激素可降低长期类固醇治疗的并发症风险。成人 III 期研究数据显示，在第 24 周，在维持雄烯二酮控制的同时，与安慰剂相比，Crinecerfont 治疗可显著减少 GC 剂量（与基线相比，最小二乘均值 [LSM] 变化为 -27.3% 与 -10.3%，LS 均值差异 [LSMD] 为 -17.0%，p<0.001）。在 2-17 岁的儿童中，在第 4 周，与安慰剂相比，Crinecerfont 治疗可显著降低雄烯二酮含量（与基线相比，LSM 变化为 -196.8 ng/dL 与 +71.0 ng/dL，LSMD 为 -268 ng/dL，p<0.001）。重要的是，在第 28 周，在维持雄烯二酮控制的同时，30% 接受 Crinecerfont 治疗的受试者达到生理 GC 剂量（≤ 11 mg/m2/ 天氢化可的松当量），而安慰剂组无受试者达到生理 GC 剂量 (p = 0.0009)。Neurocrine Biosciences 已提交两项 Crinecerfont 新药申请 (NDA)（胶囊剂和口服制剂），用于治疗儿童、青少年和成人 CAH 患者。美国 FDA 授予这两项 NDA 优先审评资格，并将 PDUFA 目标日期分别定为 2024 年 12 月 29 日和 2024 年 12 月 30 日。目前，尚无非糖皮质激素疗法获得 FDA 批准用于 CAH。如果获得批准，Crinecerfont 将成为 70 年来首个治疗 CAH 的新疗法。

标签：首次批准，实践变化，新药类别

内分泌疾病

ZEGALOGUE | NVO | LOA：低于平均值 | ↗

先天性高胰岛素血症 (CHI)

Zealand Pharma 的 Dasiglucagon 是一种胰高血糖素类似物，已被批准作为 Zegalogue 用于治疗 6 岁及以上糖尿病患者的严重低血糖症，希望能够成为首个用于治疗 CHI 的胰高血糖素皮下注射剂，并可能于 2025 年在美国上市。CHI 是一种罕见的遗传性疾病，可导致机体产生过多的胰岛素，从而导致婴儿和儿童的低血糖症；内源性胰高血糖素可抵消胰岛素的作用。目前，CHI 的一线治疗药物包括二氮嗪，其作用原理是增加细胞对钾离子的通透性，导致胰腺 β 细胞极化，继而抑制胰岛素分泌。然而，二氮嗪也有副作用，如多毛症和体液潴留，这是接受大剂量静脉 (IV) 葡萄糖以维持血糖控制的新生儿面临的特殊问题。如果患者对二氮嗪无反应，则需要进行手术，以确定是否存在需要切除的局灶性病变。如果没有需要手术治疗的病变，则尝试强化药物治疗，如奥曲肽，可抑制 β 细胞释放胰岛素，但风险 - 获益特征欠佳。鉴于这一显著未满足需求，Zealand 希望将 Dasiglucagon 在严重低血糖症方面取得的成功（其于 2021 年获得 FDA 批准）延续到 CHI。

已于 2023 年 6 月向 FDA 提交 Dasiglucagon 的监管申请，用于预防和治疗 7 日龄或以上先天性高胰岛素血症儿童患者的低血糖（低血糖症）。值得注意的是，NDA 分为两部分，第 1 部分涉及长达 3 周的给药，而第 2 部分涉及超过 3 周的给药。两项关键性 III 期试验的数据和一项正在进行的 III 期长期扩展试验的中期结果为该申请提供了支持。尽管在 2023 年 12 月收到了完整答复函 (CRL)，但 CRL 仅指出了与第三方合同制造工厂相关的缺陷，并非针对 Dasiglucagon 的临床数据包或安全性。在 CRL 之后，Zealand 于 2024 年初重新提交其 NDA 的第一部分，FDA 已受理，并将处方药用户付费法案 (PDUFA) 日期定为 2024 年 10 月 8 日。如果获得批准，Zealand 计划在提交的第二部分完全批准之前，立即将 Dasiglucagon 商业化。

标签：实践变化

内分泌疾病

INPEFA | LXRX | LOA：低于平均值 | ↗

1 型糖尿病

尽管钠 - 葡萄糖协同转运蛋白 -2 (SGLT-2) 抑制剂在 2 型糖尿病中取得了成功，但考虑到糖尿病酮症酸中毒类风险增加的安全性问题，其对 1 型糖尿病却没有产生同样的影响。除口服给药外，已证实 SGLT-2 抑制剂在降低糖化血红蛋白 (HbA1c) 水平方面的临床获益大于单用胰岛素，以及在降低血压和减轻体重方面的获益，这一点很有吸引力，因为胰岛素使用患者往往会体重增加。

Lexicon Pharmaceutical 的 Sotagliflozin 在欧盟被批准作为 Zynquista 用于治疗 1 型糖尿病，在美国被批准作为 Inpefa 用于治疗心力衰竭。该公司重新申请批准 Sotagliflozin 作为胰岛素治疗的辅助药物，用于控制 1 型糖尿病和慢性肾脏病 (CKD) 患者的血糖，这被视为对 2019 年发布的完整答复函的答复。Lexicon 声称拥有大量关于 Inpefa 与胰岛素配伍治疗糖尿病和 CKD 患者的 III 期数据。该人群的 inTandem3 研究显示，在 CKD 和总队列中，Sotagliflozin 治疗导致 HbA1c、体重和收缩压出现相似的显著降低。如果 FDA 的咨询委员会相信 Sotagliflozin 可适当降低糖尿病酮症酸中毒风险，那么 Sotagliflozin 就有可能成为首款在美国获批用于治疗 1 型糖尿病的 SGLT-2 抑制剂。鉴于该类药物迄今为止的困境，这是一项相当大的成就。FDA 内分泌和代谢药物咨询委员会会议将于 2024 年 10 月召开，Sotagliflozin 的标签扩展可能在年底前获得批准，行动日期为 2024 年 12 月 20 日。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症）

内分泌疾病

OZEMPIC | NVO | LOA：高于平均值 | ↗

糖尿病肾病

糖尿病肾病又称糖尿病肾脏病，是 2 型糖尿病的常见并发症，涉及肾脏过滤器的结构和功能损伤。糖尿病肾病是终末期肾病的主要原因，与单纯糖尿病相比，其心血管 (CV) 疾病风险更高。诺和诺德公司的胰高血糖素样肽 -1(GLP-1) 受体激动剂 Semaglutide，已被批准作为 Ozempic 用于治疗 2 型糖尿病，以及作为 Wegovy 用于治疗肥胖症，该产品以其出色的血糖控制和减肥效果迅速成为全球重磅炸弹药物，也是首个具有专门的 2 型糖尿病肾病 (DN) 结局试验的 GLP-1 激动剂。

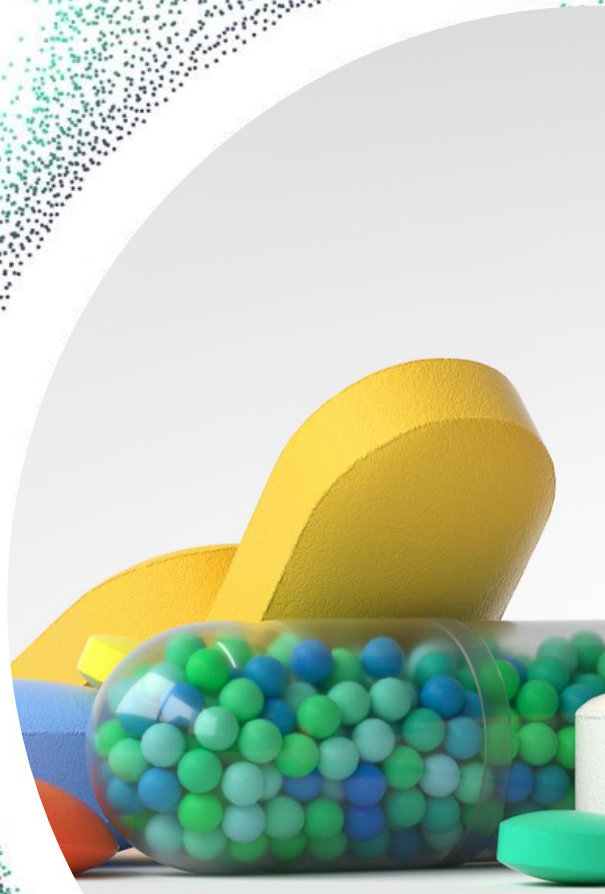
现在，在首个专门的 2 型 DN 结局试验 III 期 FLOW 试验中，Ozempic 已显示出 Ozempic 在肾脏、心血管和生存结局方面的明确获益。具体而言，与安慰剂组相比，Ozempic 组的复合主要终点（包括 CKD 进展、肾脏和 CV 疾病死亡的 5 个指标）风险显著降低 24%。尽管交叉试验的比较还未得到证实，但 SGLT-2 抑制剂 Jardiance 和 Farxiga 在其肾脏结局试验中更好地降低了主要终点（肾脏进展 /CV 死亡）风险（分别为 28% 和 39%）。对于 CV 结局，与安慰剂相比，Ozempic 可将主要心血管不良事件和全因死亡风险分别降低 18% 和 20%。此外，亚组分析未发现有一致的证据可表明 Ozempic 的获益异质性（使用或不使用基线 SGLT-2 抑制剂），这表明对这些患者同时使用两种疗法可能有价值。由于这些药物在疾病病理生理学的不同方面发挥获益，因此 Ozempic 与这些药物以及拜耳的非甾体类盐皮质激素受体拮抗剂 Kerendia (finerenone) 可能会产生协同效应。尽管还需要进一步的证据，但这可能代表着一种治疗模式转变，有希望改善患者的治疗结局并减缓糖尿病肾脏病进展。

诺和诺德于 2024 年第一季度提交了 Ozempic 的补充新药申请，预计将于 2025 年 1 月做出批准决定。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症），潜在重磅炸弹药物，实践变化

CITELINE
a norstella company

血液学疾病



血液学疾病

RP-L102|RCKT|LOA：与平均值相同|↗

范可尼贫血

RP-L102 是针对范可尼贫血 (FA) 互补组 A 的在研基因疗法，由 Rocket Pharmaceuticals 开发，其在全球 I/II 期临床试验中获得了可喜成果，欧洲药品管理局 (EMA) 因此接受其上市许可申请 (MAA)。这种利用慢病毒载体递送 FANC-a 基因的疗法，使患者中表现出显著的遗传校正，以及骨髓和外周血的载体拷贝数 (VCN) 持续增加。在随访超过 12 个月的 12 例患者中，8 例表现出持续的遗传校正、表型改善和稳定的血细胞计数。

重要的是，RP-L102 耐受性良好，无需进行细胞毒性预处理，未观察到显著的安全性问题，如骨髓发育不良、克隆优势或插入突变。

基于这些积极结果，Rocket Pharmaceuticals 正在推进监管申请，预计将于 2024 年上半年向美国食品药品监督管理局 (FDA) 提交 RP-L102 的生物制品许可申请 (BLA)。此次提交标志着在为 FA 患者提供这种潜在治愈性治疗方面迈出了重要一步。

标签：首次批准，实践变化

血液学疾病

MIM8 | NVO | LOA：高于平均值 | ↗

血友病 A

诺和诺德的双特异性抗体 Mim8 通过在凝血级联反应中桥接 fIXa 和 fX，“模拟”血友病 A 患者缺失的凝血 fVIII 的功能。事实证明，双特异性抗体类药物在治疗血友病 A 方面非常成功，罗氏的 Hemlibra (emicizumab) 在市场上占据主导地位。Hemlibra 的成功部分归功于其方便的皮下注射给药方案（每周一次、每两周一次或每月一次，而静脉注射 VIII 因子最多每周一次），且有和无抑制物的患者均可使用（因子治疗的常见并发症，约 30% 的患者会受到影响）。预计对这一庞大的患者群体来说，Mim8 也是如此，诺和诺德的另一个优势是改进了双特异性抗体类药物的便利性，Mim8 使用预充式注射笔来给药。

Mim8 在其 FRONTIER-2 III 期试验中获得了非常积极的数据，在既往未接受过因子 VIII 替代预防治疗的患者中，86%（每周一次）和 95%（每月一次）的患者零治疗出血。在既往接受过因子预防治疗的患者中，Mim8 每周给药一次和 Mim8 每给药月一次在减少出血（分别为 48% 和 43%）和零治疗出血（分别为 66% 和 65%）方面的疗效相似。这可能表明，从疗效的角度来看，与 Hemlibra 相比，Mim8 的药代动力学特征更平稳，真正支持每月给药一次。而据报告，Hemlibra 主要是每两周给药一次。

如果获得批准，Mim8 将不得不与深受患者和医生欢迎的 Hemlibra 竞争，以及上市的新型凝血因子替代产品，如赛诺菲的 Fitusiran，其优势在于可作为每月给药一次或每两月给药一次的皮下注射剂，用于有或无抑制物的血友病 A 和 B 患者。

诺和诺德已宣布计划在 2025 年上半年向 FDA 提交申请，如果成功，Mim8 将于 2025 年底获得首次批准。

标签：首次批准，潜在重磅炸弹药物

血液学疾病

FITUSIRAN | SNY | LOA：低于平均值 | ↗

血友病 A 和血友病 B

Fitusiran 是一种 RNA 干扰 (RNAi) 药物，靶向肝脏中的抗凝血酶，目的是提供更强的止血控制能力，而且与目前市场上销售的许多血友病治疗产品相比，用药更方便。目前正在研究这种 RNAi 候选药物是否可用于治疗所有血友病 A 和 B 患者，无论患者的因子抑制物治疗状态如何。除了目标人群广泛之外，与因子替代品相比，Fitusiran 的给药间隔更长（每两个月给药一次）。

III 期 ATLAS 临床试验表明，该药物疗效显著，中位年化出血率 (ABR) 为 1.08，与该领域的其他药物相当。遗憾的是，Fitusiran 一直受到安全性问题的困扰，这可能会限制其在 2025 年初获批后的使用。由于发生了血栓不良事件，该公司对试验安全协议进行了两次修订，其中最值得注意的是，在其 II 期试验中，有人因颅内血凝块死亡。因此，目前正在研究 Fitusiran 50 mg 每两个月一次的较低剂量给药方案。从 ATLAS-OLE 试验的现有数据来看，注射次数的减少似乎并没有影响其疗效。据报告，每年至少注射 6 次就能持续提供保护。令人鼓舞的是，这反而增强了其安全性特征，因为在最新给药方案中未再观察到血栓事件。赛诺菲已向包括 FDA 在内的多家监管机构申请批准 Fitusiran，预计 PDUFA 日期为 2025 年 3 月 28 日。

由于罗氏的双特异性抗体 Hemlibra (emicizumab) 的竞争，Fitusiran 将很难在血友病 A 领域占据市场份额，Hemlibra 靶向因子 IXa 和因子 X，被广泛认为是一种安全、方便、有效的疗法。然而，在血友病 B 市场上，为不符合基因治疗条件的患者提供便捷治疗方案的需求尚未得到满足。Fitusiran 可通过延长皮下给药时间（每两个月一次，而凝血因子替代治疗则是每 7-10 天一次）来满足这一尚未满足的需求；然而，这种疗法必须克服医生和患者对其安全性特征的不确定，而且最初可能只能用于抑制物人群，而该人群在市场上只占少数份额（估计为 1-5%）。

标签：首次批准，新药类别，潜在重磅炸弹药物

血液学疾病

PYRUKYND|AGIO|LOA：高于平均值|↗

地中海贫血

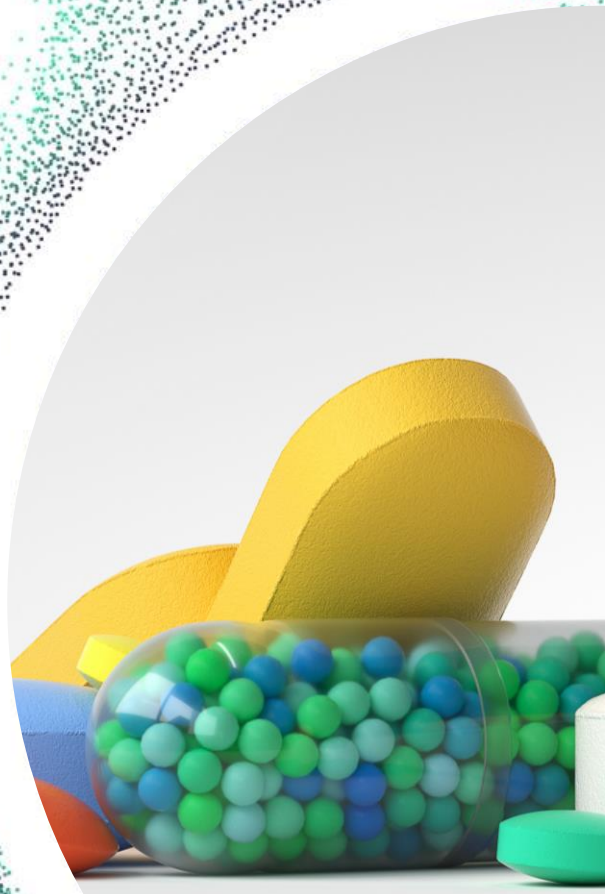
除输血和异基因造血干细胞移植外，β- 地中海贫血的疗法目前仅限于百时美施贵宝的 Reblozyl (luspatercept)，一种皮下注射给药的红细胞成熟剂，以及基因治疗，比如 Bluebird Bio 的 Zynteglo (betibeglogene autotemcel) 和 Vertex Pharmaceuticals 的 Casgevy (exagamglogene autotemcel)。虽然基因治疗总体上是一种有效的治疗方案，可使患者在一定时间内恢复到部分无病状态，但并非所有患者的身体和经济都符合条件。Agios Pharmaceuticals 的 Pyrukynd (mitapivat) 是一种同类首创的丙酮酸激酶激活剂，通过增加红细胞丙酮酸激酶的活性发挥作用，红细胞丙酮酸激酶是参与红细胞存活的关键酶。Pyrukynd 已在美国和欧盟获批用于治疗丙酮酸激酶 (PK) 缺乏症的成人溶血性贫血，并在全球 III 期 ENERGIZE 研究中证明了对非输血依赖性地中海贫血的疗效。此外，这种治疗药物是一种更方便的口服产品，可用于更广泛的目标人群。

AgiosPharmaceuticals 正计划于 2024 年底向 FDA 提交 Pyrukynd 治疗地中海贫血的上市申请，并有可能在 2025 年获得批准和上市。

标签：标签扩展（新适应症），实践变化，新药类别

CITELINE
a norstella company

传染病



BREXAFEMME | GSK | LOA：低于平均值 | ↗

真菌感染 - 全身性

2022 年 10 月，世界卫生组织 (WHO) 发布了一份对公共健康威胁最大的 19 种真菌名单，以促进新的研究和政策干预。针对真菌感染的新作用机制是解决这一问题的关键，葛兰素史克 (GSK) 和 SCYNEXIS 的 Brexafemme (ibrexafungerp; SCY-078) 正好符合这一要求。Brexafemme 是天然产物 Enfumafungin 的新型口服半合成衍生物，Enfumafungin 是一类结构不同的葡聚糖合成酶抑制剂，可破坏真菌细胞壁聚合物 ß-(1,3) D- 葡聚糖的合成。美国食品药品监督管理局 (FDA) 授予该药口服和静脉 (IV) 制剂快速通道、合格传染病产品 (QIDP) 和孤儿药认定 (ODD)，适应症为侵袭性念珠菌感染（包括念珠菌血症）和侵袭性曲霉菌感染。FDA 于 2021 年批准 Brexafemme 用于治疗外阴阴道假丝酵母菌病。

考虑到对新型抗真菌药物的广泛需求尚未得到满足，III 期 FURI 研究在无法耐受或对标准抗真菌治疗无应答的重度真菌感染患者中研究了口服 Ibrexafungerp。III 期 CARES 研究在全身性耳念珠菌感染（通常具有多重耐药性）患者中评估了口服 Ibrexafungerp。这些试验的综合数据显示，超过 60% 的患者达到完全或部分缓解或临床改善。在 III 期 MARIO 研究中，还研究了 Brexafemme 降阶梯治疗。该研究涉及接受过静脉注射棘白菌素类治疗的侵袭性念珠菌病患者，这是目前的标准治疗方案之一。尽管生产问题导致研究暂停（产品暂时退出市场），但该公司预计，随着新批次 Brexafemme 的生产，MARIO 研究将在不久的将来恢复，届时将恢复市场营销，并可能在 2025 年末扩展标签范围。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症），实践变化

SUNLENCA | GILD | LOA：高于平均值 | ↗

HIV 预防

Sunlenca [lenacapavir] 是吉利德的首个长效 HIV 疗法，也是一款同类首创的 HIV 衣壳抑制剂。这种长效皮下注射剂通过选择性地抑制 HIV-1 衣壳功能，从而抑制 HIV-1 的复制。在 II/III 期 CAPELLA 和 CALIBRATE 试验结果的支持下，Sunlenca 已于 2022 年取得监管成功，用于联合其他抗逆转录病毒药物治疗 HIV。

本品在 HIV 暴露前预防 (PrEP) PURPOSE 系列 III 期临床试验的首个试验中取得了进一步的临床成功，2024 年 6 月的报告显示，该产品在阻止 HIV 感染方面的疗效达到 100%（PURPOSE-1：顺性别妇女和少女）。此外，在这种情况下，Sunlenca 在统计学上优于吉利德现有的每日口服产品 Descovy 和 Truvada。这种优越性在一定程度上归功于其每年两次给药方案所带来的更高的依从性。事实上，约 93% 的受试者按时注射 Sunlenca；相比之下，认为 80-90% 的受试者对每日口服药物的依从性较低（依从性较低定义为对照药物的检出率较低或未检出）。该药物最初是在两项关键性 III 期试验中进行研究：PURPOSE-1（如前所述）和 PURPOSE2（于 2021 年 6 月启动），试验在男性 HIV 感染风险人群中研究了 Sunlenca。此外，吉利德公司还在 2023 年底启动了另外 3 项试验（PURPOSE3-5），以进一步调查 HIV 的地区分布和人口数量。在男性 HIV 感染高危人群中进行的 PURPOSE2 试验预计将于 2024 年底或 2025 年初提供首批中期数据，如果与 PURPOSE-1 的数据相结合，Sunlenca 有望在 2025 年底获批用于 HIV PrEP。

如果监管申请成功，Sunlenca 将与 GSK 的竞争对手 Apretude (Vocabria) 注射剂展开竞争，后者是一种每两个月一次、由医生肌肉注射的整合酶链转移抑制剂。尽管 Sunlenca 是第二款上市的注射剂，但到目前为止，它不仅在给药方案和给药方法上有优势，在临床疗效上也有优势。

标签：标签扩展（新适应症），实践变化，新药类别，潜在重磅炸弹药物

GSK3536819A|GSK|LOA：高于平均值|↗

脑膜炎球菌疫苗

GSK 的 GSK3536819A 是一种五价脑膜炎球菌疫苗，其将 GSK 已获许可的脑膜炎球菌疫苗 Bexsero（B 型脑膜炎球菌；MenB）和 Menveo（A、C、W-135 和 Y 型脑膜炎球菌疫苗；MenACWY）的抗原成分合并为一种候选疫苗。本品用于肌肉注射，分两次给药，每次间隔 6 个月。脑膜炎球菌病是一种严重感染，由革兰氏阴性脑膜炎奈瑟菌引起。脑膜炎奈瑟菌有多个血清群，但全球大多数疾病通常是由 A、B、C、W 和 Y 血清群引起，其中 B、C 和 Y 血清群在美国的发病率最高。然而，直到 2023 年 10 月，辉瑞的 Penbraya 成为美国首个获批的五价脑膜炎球菌疫苗，试图满足简化脑膜炎球菌疫苗接种计划和扩大血清群覆盖范围的需求，才有了针对所有 5 个血清群的单一脑膜炎球菌疫苗。辉瑞的 Penbraya 获批后，美国疾病预防控制中心 (CDC) 修订了指南，当 MenACWY 和 MenB 均适用于同一访视时，允许使用 Penbraya。不过，CDC 指出，GSK 和辉瑞的 MenB 疫苗不可互换。鉴于 Bexsero 在美国市场的主导地位，这一要求对 GSK3536819A 来说可能是一个优势，后者的给药间隔比辉瑞的 MenB 疫苗 Trumenba 短（1 个月与 6 个月），免疫原性也相当。五价脑膜炎球菌疫苗更方便使用，这一前景可以提高脑膜炎疫苗的总体覆盖率，并提高疫苗的接种率。

2023 年 3 月，关键性 III 期临床试验的顶线结果显示，在 10-25 岁的人群中，与 Bexsero 和 Menveo 相比，GSK3536819A 显示出统计学非劣效性。根据这些结果，GSK 向美国 FDA 提交了 GSK3536819A 的生物制品许可申请 (BLA)。美国 FDA 就该申请作出监管决定的处方药用户付费法案 (PDUFA) 行动日期为 2025 年 2 月 14 日。

标签：实践变化

mRNA-1010 | MRNA | LOA：高于平均值 | ↗

季节性流感疫苗

Moderna 的 mRNA-1010 是一种四价 mRNA 流感疫苗，可编码四种血凝素 (HA) 糖蛋白抗原（A/H1N1、A/H3N2、流感 B/Yamagata 和 B/Victoria 系），其设计与 Moderna 首次推出的 COVID-19 疫苗 mRNA-1273(Spikevax) 类似。mRNA 疫苗在 COVID-19 大流行期间取得成功后，开发人员开始利用这项技术，这种疫苗在流感疫苗产品线中越来越常见。在 COVID-19 大流行之后，由于公众对 mRNA 疫苗的积极评价，mRNA-1010 可能会获得大量市场份额。如果定价具有竞争力，可能会在老年细分市场占据相当大的份额。

Moderna 在 8,400 名年龄 >18 岁的成人中开展的 P303III 期试验取得了积极成果，目前计划向监管机构提交申请。结果显示，在所有四种毒株（A/H1N1、A/H3N2、流感 B/Yamagata、B/Victoria）中，mRNA-1010 达到了所有共同主要终点，与流感领域的主要竞争对手 GSK 的 Fluarix 相比，mRNA-1010 的血凝抑制 (HAI) 几何平均滴度和血清转换率更高。

mRNA-1010 也是 Moderna 目前研发管线中多种流感联合疫苗的关键成分。其中包括 mRNA-1083（由 mRNA-1010 及其可在冰箱稳定保存的下一代 COVID-19 疫苗 mRNA-1283 组成）和 mRNA-1045（mRNA-1010 和呼吸道合胞病毒 [RSV] 候选疫苗 mRNA-1345 的结合），以及 mRNA-1230（一种结合了 mRNA-1010/Spikevax/mRNA-1345 的流感 /COVID-19/RSV 三联疫苗策略）。

标签：实践变化

GSK2140944|GSK|LOA：高于平均值|↗

泌尿道和生殖道感染（抗菌）

GSK2140944 是同类首创的三氮杂苊烯类抗生素，具有独特的双重作用机制，可通过两种不同的 II 型拓扑异构酶靶向细菌 DNA 复制。双靶标方法限制了关键病原体（如淋病奈瑟菌）的抗生素开发。

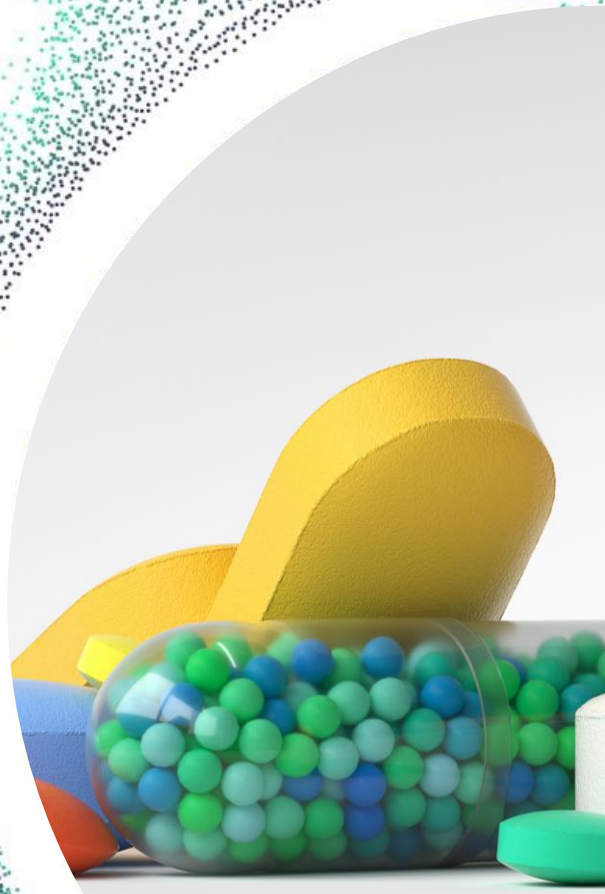
正在进行的关键性 III 期 EAGLE-1 试验达到了主要疗效终点，与标准治疗方案（头孢曲松联合阿奇霉素）相比，GSK2140944 显示出非劣效性。WHO 已将对抗菌药物耐药的淋病奈瑟菌确立为优先病原体。因为在许多国家，淋病奈瑟菌对环丙沙星的耐药性极高，对阿奇霉素的耐药性不断增加，对头孢克肟和头孢曲松的耐药性或敏感性降低的情况也在不断出现。据估计，目前全球每年新增淋病病例约 8000 万例，在 50 多个国家发现了耐药菌株。

在 EAGLE-1 试验取得成功之前，EAGLE-2 和 EAGLE-3 试验已证明 GSK2140944 对非复杂性泌尿道感染 (uUTI) 中发现的其他耐药菌株具有疗效。在这两项试验中，与标准治疗相比，显示出 GSK2140944 的非劣效性结果。在进一步更新的分析中，GSK2140944 在 EAGLE-3 试验中显示出优于呋喃妥因的统计学优势。根据 EAGLE-1 临床试验的结果，GSK 计划于 2024 年下半年向美国 FDA 提交新药申请 (NDA)。

标签：新药类别

CITELINE
a norstella company

代谢疾病



代谢疾病

DERAMIOCEL|CAPR|LOA：高于平均值|↗

杜氏肌营养不良症 (DMD)

Capricor 的 Deramiocel 是一种同种异体心脏球衍生细胞疗法，用于治疗杜氏肌营养不良症 (DMD)，目前正处于 III 期研发阶段，其作用机制有别于其他在研和已上市的 DMD 治疗方法。在整个开发过程中，Deramiocel 的安全性特征始终较强，这表明再生细胞疗法与基因疗法相比具有潜在优势。Deramiocel 旨在治疗晚期 DMD 患者，在疾病晚期的治疗上，Deramiocel 似乎没有任何的直接竞争对手。

迄今为止，已发布的疗效数据令人鼓舞。II 期 HOPE-2 试验显示，Deramiocel 组的上肢功能 2.0 (PUL 2.0) 评分在统计学上显著改善 2.4 分（骨骼肌功能保留；主要终点），以及心脏功能统计学显著改善。为期三年的开放标签扩展研究数据表明，与外部对照药物组相比，Deramiocel 组的 PUL2.0 评分在统计学上显著改善 3.7 分，左心室射血分数（心脏功能指标）稳定，这表明 Deramiocel 仍能让患者获益。对心脏功能的持续积极影响尤为重要，因为心肌病是 DMD 患者死亡的主要原因，目前尚无获批的治疗方法，这表明该领域的需求尚未得到满足。关键性 HOPE-3 试验的 III 期数据预计将于 2024 年第四季度公布。Capricor 最近宣布，它与 FDA 举行了一次积极的 BLA 前会议，离提交 BLA 越来越近。

标签：新药类别，实践变化，首次批准

代谢疾病

OLEZARSEN|IONS|LOA：高于平均值|↗

家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)

Ionis Pharmaceutical 的 Olezarsen 通过抑制载脂蛋白 C-III (APOC3) 的生成发挥作用，但其采用了 Ionis 的新一代配体偶联反义 (LICA) 技术来提高效力。APOC3 蛋白是富含甘油三酯的极低密度脂蛋白 (VLDL) 的关键成分。

截至 2024 年 6 月，在 III 期 BALANCE 试验取得积极结果后，Olezarsen 已在美国申请批准。该试验包含 80mg 每月给药一次，结果显示，与安慰剂组相比，给药组的甘油三酯水平 6 个月时在统计学上显著降低 73.7%，12 个月时降低 81.3%，且给药组的急性胰腺炎事件降低 100%。

FCS 是一种罕见的遗传性疾病，可导致甘油三酯水平极度升高，从而促使 2 型糖尿病的发生，也可引起急性胰腺炎，而急性胰腺炎有可能致命。这个领域存在高度未满足的治疗需求，目前尚无获得 FDA 批准的 FCS 治疗药物。目前，Ionis Pharmaceuticals 的 Waylivra 是唯一获批的 FCS 治疗药物，但仅在欧盟、加拿大和巴西有售。在美国，Olezarsen 已获得孤儿药认定，FDA 已授予其快速通道认定和突破性疗法认定，用于 FCS 治疗。

标签：首次批准，实践变化

PLOZASIRAN | ARWR | LOA：高于平均值 | ↗

家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)

Arrowhead 的 Plozasiran (ARO-APOC3) 也是一种 APOC3 抑制剂，通过 RNA 干扰 (RNAi) 发挥作用，RNAi 的作用机制是沉默基因表达，从而抑制 APOC3。

III 期 PALISADE 试验取得了积极成果，Plozasiran 达到了降低甘油三酯的主要终点，即在第 10 个月时 Plozasiran 25 mg 和 50 mg 剂量组（每季度给药）的中位甘油三酯分别降低 -80% 和 -78%。现在，它有可能成为美国 FDA 批准的第二个 FCS 治疗药物，仅次于 Olezarsen，预计将于 2024 年底前在美国提交 NDA。

Plozasiran 的一个潜在优势是其给药比 Olezarsen 更方便，每季度给药一次，而非每月一次，但医生有可能会担心延长给药间隔会出现安全性问题，因此还需要长期安全性数据。在美国和欧盟，Plozasiran 已获得孤儿药认定，FDA 已授予快速通道认定和突破性疗法认定，用于 FCS 治疗。

标签：首次批准，实践变化

代谢疾病

CAGRISEMA | NVO | LOA：平均值 | ↗

肥胖症

诺和诺德的 CagriSema 是一款复方制剂，包含其自家公司的 Semaglutide（重磅减肥产品 Wegovy 中的活性成分）与胰淀素激动剂 Cagrilintide。一项评估 CagriSema 安全性和药代动力学特征的 Ib 期试验数据显示，20 周后，与 Semaglutide 单药治疗相比，加用 Cagrilintide 可使平均体重下降百分比增加高达 7.4%，且安全性和耐受性特征可接受。此外，在一项为期 26 周的 II 期试验中，Cagrilintide 单药治疗可使体重减轻近 11%，而在一项 III 期试验中，Wegovy 在 68 周后使体重减轻近 15%。虽然还在等待肥胖症项目 III 期 REDEFINE 试验的结果，但人们对这款复方制剂充满期待，因其有可能使体重减轻≥ 20%，大于 Wegovy、Rybelsus（Semaglutide 口服制剂）和礼来的 Zepbound (Tirzepatide)。根据目前的一致预测，到 2030 年，其未来的销售潜力将达到 205 亿美元，领先于 Wegovy 和 Zepbound，但这包括在 2 型糖尿病领域的销售额（预计将于 2026 年获批），以及后续在 CV 疾病预防方面的标签扩展。

标签：首次批准，实践变化，潜在重磅炸弹药物

代谢疾病

ZOLGENSMA | NVS | LOA：已批准 | ↗

脊髓性肌萎缩症 (SMA)

Zolgensma 于 2019 年获得 FDA 批准，用于治疗 2 岁以下运动神经元存活基因 1 (SMN1) 突变的脊髓性肌萎缩症 (SMA) 患者，目前仍是唯一可用于治疗 SMA 的基因疗法。这些患者主要患有 1 型 SMA（病情最严重）。为了增加符合治疗条件的患者人数，诺华计划在 2025 年向 FDA 提交 sNDA，重点关注 Zolgensma 的鞘内制剂，该制剂的目标患者年龄不超过 18 岁，包括 2 型 SMA 患者（严重程度低于 1 型）。目前，Zolgesma 的营收受到符合用药条件的 SMA 患者出生率的限制。批准 sNDA 将为老年 SMA 患者提供一种一次性基因疗法，目前他们只能依靠其他疗法，即百健的 Spinraza 和罗氏的 Evrysdi，这两种长期治疗均通过调节 SMN2 基因来增加 SMN 蛋白的生成。

预计将于 2024 年获得 III 期 STEER 试验的顶线数据，该试验在 2-18 岁、初治、能独坐但无法行走的 2 型 SMA 患者中评估 Zolgensma。此外，III 期 STRENGTH 试验还将对中止 Spinraza 或 Evrysdi 治疗的 2-18 岁患者进行评估，预计将获得相关数据。

标签：标签扩展（现有适应症），实践变化

APITEGROMAB | SRRK | LOA：高于平均值 | ↗

脊髓性肌萎缩症 (SMA)

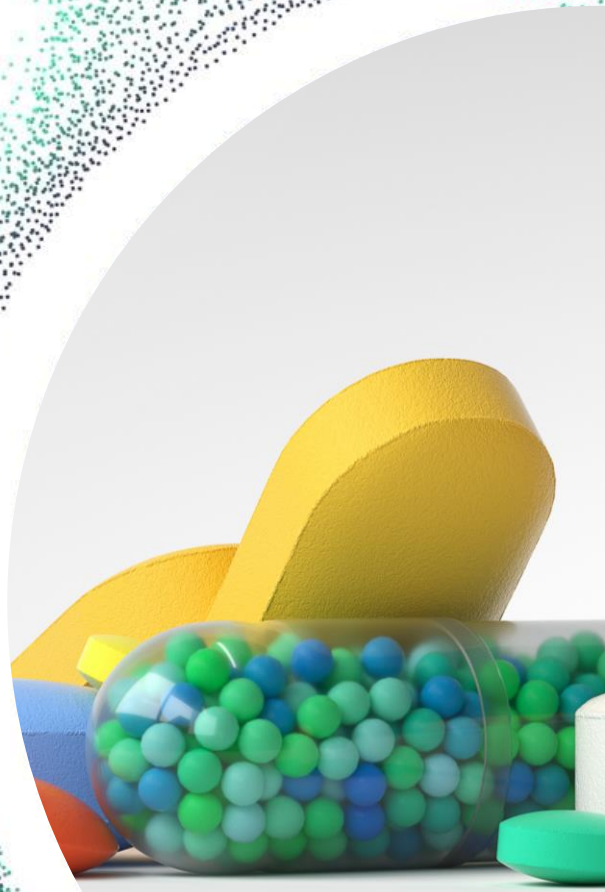
Scholar Rock 正在开发一种单克隆抗体 Apitegromab，旨在通过治疗肌肉萎缩和相关无力来改善 SMA 的运动功能。目前的 SMA 治疗以运动神经元为靶点，减缓运动神经元变性，但针对肌肉萎缩和相关无力的治疗仍是一项尚未满足的需求。Apitegromab 可抑制肌肉生长抑制素蛋白的活化，这种蛋白可调节肌肉分解。抑制肌肉生长抑制素的激活可减少肌肉分解，从而增加 SMA 患者的肌肉质量。

II 期 TOPAZ 试验的 6 个月中期分析结果表明，Apitegromab 有可能用作单药治疗或与 Spinraza 联合治疗。值得注意的是，3 个患者队列均无安慰剂或活性对照组，但所有 3 个队列的运动功能评分均一致改善，其中相当一部分患者 (34.5%) 的运动评分增加≥ 3 分，这为治疗效果的积极性提供了支持。最有希望的结果来自队列 3（已接受 Spinraza 治疗约 2 年的非卧床 2 型 SMA 患者），联合治疗使 Hammersmith 功能运动量表扩展版 (HFMSE) 评分的平均值大幅提高（+2.4 至 +5.6），并具有明显的剂量反应关系。长期数据显示，在早期终点达到的运动功能改善在 48 个月时持续存在（如果未进一步改善）。

一项在接受 Spinraza 或 Evrysdi 背景治疗的非卧床 SMA 患者中评估 Apitegromab 的 III 期试验正在进行中，预计将于 2024 年第四季度获得数据。如果取得积极成果，Scholar Rock 预计将于 2025 年启动 Apitegromab 商业产品的上市工作，用于治疗 SMA。

标签：新药类别，实践变化，首次批准

神经病学疾病



神经病学疾病

TONMYA | TNXP | LOA：低于平均值 | ↗

纤维肌痛

Tonmya 是盐酸环苯扎林舌下片剂，FDA 已批准其作为急性疼痛性肌肉骨骼疾病的辅助治疗，但通常超说明书使用于纤维肌痛，尤其是伴有失眠的患者。在长达十年的纤维肌痛 II 期和 III 期研发中，该药物的结果喜忧参半，这导致目前的 LOA 低于平均值。

积极的一面是，2020 年进行的 RELIEFIII 期试验表明，与安慰剂组的 1.5 个单位相比，

Tonmya 可使每日日记疼痛严重程度评分的每周平均值降低 1.9 个单位，在统计学上有显著改善。最近，另一项 III 期试验 RESILIENT 也在 2023 年底取得了类似的积极成果，Tonmya 在相同终点产生了 1.8 个单位的改善，而安慰剂为 1.2 个单位。值得注意的是，仅有约 20% 的纤维肌痛患者对疼痛治疗效果表示满意，因此在这一适应症的治疗方面还有很大的提升空间。在所有后期试验中，Tonmya 在睡眠质量测量方面也一致显示出统计学显著改善。尽管疼痛是纤维肌痛的主要问题，但睡眠障碍也很常见。

虽然该分子本身作为仿制口服片剂已广泛使用，但 Tonmya 独特的舌下给药绕过了肝脏的首过代谢，减少了一种被认为会随着长期使用而累积的代谢物的产生，且这也是口服制剂经常出现最终失效的原因。不过，迄今为止所有 Tonmya 研究均为 14 周或更短，因此尚无关于该药物是否会产生相同耐受性问题的数据。

Tonix 预计将于 2024 年下半年提交 Tonmya 的 sNDA。

标签：新药类别，标签扩展（新适应症）

神经病学疾病

AXS-12 | AXSM | LOA：高于平均值 | ↗

发作性睡病

Axsome 的 AXS-12 是一种高选择性、强效去甲肾上腺素再摄取抑制剂，目前正在开发用于发作性睡病的猝倒，迄今为止，已发布的 II 期和 III 期疗效和安全性数据均为积极数据。如果获得批准，AXS-12 将与几种超说明书使用疗法和上市疗法竞争，但应根据其对并发症（如认知症状、抑郁和焦虑）的疗效、是否快速起效以及可能未被美国禁毒局 (DEA) 列入管制分配来加以区分。计划在完成 III 期开放标签扩展试验后提交 NDA 申请，预计今年将获得数据。

CONCERT II 期研究的结果支持 FDA 授予 AXS-12 治疗惊厥的突破性疗法认定，其中，该药物达到了猝倒和 Epworth 嗜睡量表 (ESS) 终点，并具有统计学意义。在 SYMPHONY III 期试验中，AXS-12 达到了主要终点，在第 5 周显著减少每周猝倒发作（AXS-12 为 83%，安慰剂为 66%），并达到了几个次要终点，包括 ESS 显著减少、认知显著改善和猝倒缓解显著增加。55% 的 AXS-12 治疗组患者在五水平五维健康量表 (EQ-5D-5L) 焦虑 / 抑郁领域较基线有所改善，而安慰剂组患者为 32%。

如果获得批准，AXS-12 将与 JazzPharmaceuticals 的 Xyrem 竞争，后者已获得 FDA 批准，用于治疗发作性睡病的猝倒和白日过度嗜睡。AXS-12 在起效方面可能更胜一筹，从第一周开始，每周猝倒发作显著减少，而既往研究中，Xyrem 在 2 周时的主要终点有显著获益。与 Xyrem 以及该领域的其他竞争对手 Lumryz 和 Xywav 相比（均被 DEA 列入管制分配），AXS-12 还能在市场准入和安全性方面占据优势。Harmony Biosciences 的 Wakix 是唯一获批用于发作性睡病的猝倒和白日过度嗜睡的非管制药物，可能会对 AXS-12 构成最大威胁，尽管两者的作用机制不同。

标签：实践变化，首次批准

神经病学疾病

UPSTAZA | PTCT | LOA：平均值 | ↗

其他神经病学疾病

PTC 的 Upstaza 是一种在研基因疗法，采用腺相关病毒 (AAV) 传递人类芳香族 L- 氨基酸脱羧酶 (AADC) 基因，有望成为美国首个获批用于芳香族 L- 氨基酸脱羧酶缺乏症（AADC 缺乏症）的疗法，最早可在 2024 年底获得批准。AADC 缺乏症是一种极其罕见的遗传性基因疾病，通常在出生后第一年内出现症状。它是由 AADC 基因变异所引起，AADC 酶是产生多巴胺和 5- 羟色胺等所必需的酶，这些物质对大脑和神经系统的正常功能至关重要。这些物质对大脑信号传导和运动功能发展至关重要。

通过向患者脑内输注 Upstaza，预计病毒将携带 AADC 基因进入神经细胞，使其能够产生缺失的酶。因此，这有望使细胞产生正常运作所需物质，从而改善疾病症状。该疗法于 2022 年首次在欧洲获批用于治疗 AADC 缺乏症，此后于 2024 年 3 月提交 FDA 审查。在中国台湾进行的临床研究为这些监管申请提供了支持。FDA 于 2024 年 5 月授予该申请优先审评资格，如果获得批准，这将是美国首个用于 18 个月及以上 L- 氨基酸脱羧酶 (AADC) 缺乏症患者的疾病修饰疗法，直接注入大脑。

标签：实践变化

神经病学疾病

AT-007|APLT|LOA：高于平均值|↗

其他神经病学疾病

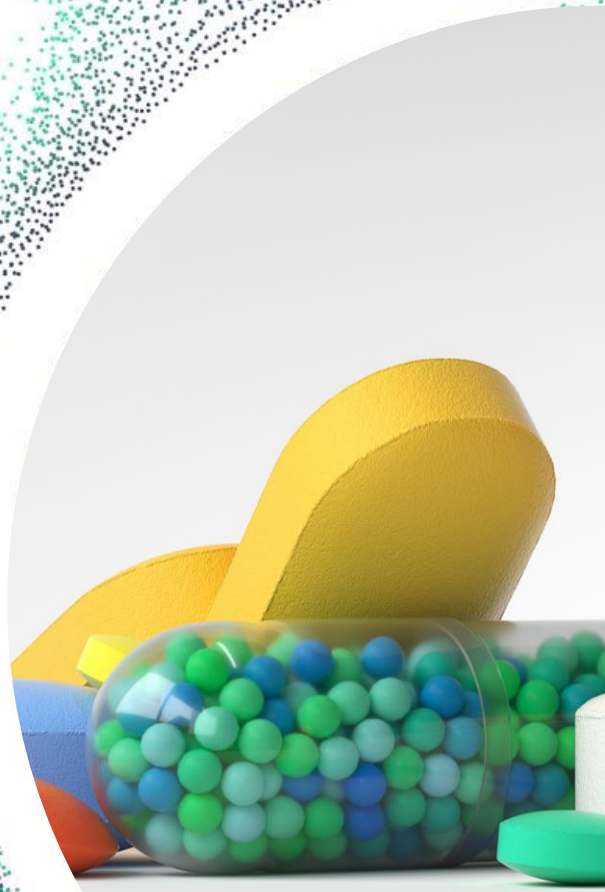
AT-007 是一种新型强效中枢神经系统 (CNS) 渗透性醛糖还原酶抑制剂，正在由 Applied Therapeutics 研发，有望成为首个获批用于山梨醇脱氢酶 (SORD) 缺乏症的疗法。SORD 缺乏症是一种遗传性疾病，由基因突变引起，突变导致体内无法产生 SORD 酶或 SORD 酶无法正常发挥功能，而这种酶负责代谢山梨醇。当机体缺乏这种酶时，山梨醇蓄积至毒性水平，可导致进行性神经病变。目前尚无 FDA 批准的专门针对 SORD 缺乏症的治疗方法。目前的标准疗法是治疗，重点是使用物理和职业治疗以及疼痛管理策略的姑息治疗。

Applied 计划在 2025 年第一季度初向 FDA 提交 AT-007 治疗 SORD 缺乏症的监管申请。该申请将得到 II/III 期 INSPIRE 研究数据的支持，该研究评估了 AT-007 在 SORD 缺乏症患者中的药效学疗效和临床获益。这项研究的初步结果表明，AT-007 治疗使山梨醇水平在统计学上显著降低。III 期 INSPIRE 试验的预设中期分析显示，在 90 天治疗期间，与安慰剂相比，AT-007 治疗使山梨醇水平平均降低约 52%。这些结果有力地证明了 AT-007 可以解决这种遗传性疾病的根本原因。如果这种疗法获得批准。

标签：实践变化

CITELINE
a norstella company

肿瘤学疾病



肿瘤学疾病

REVUMENIB | SNDX | LOA：平均值 | ↗

急性髓系白血病 (AML)

Syndax Pharmaceuticals 公司正在开发同类首创 menin 抑制剂 Revumenib，用于治疗携带 KMT2A 重排和 NPM1 突变的复发性 / 难治性 AML 成人和儿童患者，其 I/II 期 AUGMENT-101 试验数据支持在 2024 年第一季度提交 NDA。在中期分析时，该试验达到了主要终点，在过度预治疗的 KMT2Ar 研究人群中，完全缓解 / 完全缓解伴部分血液学恢复 (CR/CRh) 率为 23% (n=57)。此外，客观缓解率 (ORR) 为 63%（中位随访时间为 6.1 个月），70% 达到 CR/CRh 的 AML 患者达到微小残留病 (MRD) 阴性，这也支持其疗效。在治疗有效的患者中，39% 的患者另外接受了造血干细胞移植 (HSCT)，在数据截止时中位总生存时间 (OS) 为 8.0 个月。在 Syndax 提交 NDA 并于 2024 年 3 月被授予优先审评资格后，PDUFA 日期初步定为 2024 年 9 月；然而，FDA 通知该公司需要更多时间对 Syndax 提供的补充信息进行全面审查，但无需提供进一步的试验或生产数据。因此将 PDUFA 日期延长三个月，至 2024 年 12 月。

Revumenib 联合 Venclexta 和阿扎胞苷（BEATAML 试验）、Venclexta 和 Inqovi（SAVE AML 试验）以及氟达拉滨和阿糖胞苷（AUGMENT-102 试验）治疗携带 NPM1、NUP98r 或 KMT2Ar 突变的初诊以及复发性 / 难治性 AML 患者的早期试验数据，也显示了 Revumenib 作为联合治疗方案一部分的潜力，支持其进入未来的关键性试验。

标签：首次批准，新药类别，实践变化，潜在重磅炸弹药物

VESIGEL|URGN|LOA：高于平均值|↗

膀胱癌

UroGen 已完成 VesiGel 的 NDA 提交，这是一种丝裂霉素膀胱内溶液，用于治疗低级别中危非肌层浸润性膀胱癌 (LG-IR NMIBC)。疾病治疗通常包括内镜下肿瘤切除术或经尿道膀胱肿瘤切除术 (TURBT)，但是，LG-IR NMIBC 患者 TURBT 术后复发率高。VesiGel 的 NDA 申请得到了令人印象深刻的 ENVISION 长期数据的支持，ENVISION 是一项评估 VesiGel 作为 LG-IR NMIBC 化学消融疗法的 III 期单臂研究。VesiGel 达到了 ENVISION 的主要终点，首次灌注后 3 个月的 CR 率为 79.6%，在 3 个月时达到 CR 的患者 (n=108) 中有 82.3% 在 12 个月时持续缓解。如果 VesiGel 获得批准，它将成为首个获得 FDA 批准的 LG-IR NMIBC 非手术疗法，这凸显了这一患者群体尚未得到满足的治疗需求，以及 VesiGel 的巨大市场机遇。

如果 FDA 受理 VesiGel 的 NDA 申请，并授予优先审评资格，UroGen 预计 VesiGel 将于 2025 年上半年获得批准。

标签：首次批准

肿瘤学疾病

SCEMBLIX | NVS | LOA：平均值 | ↗

慢性髓系白血病 (CML)

诺华的 Scemblix 是第三代酪氨酸激酶抑制剂 (TKI)，目前已被批准用于既往接受过至少 3 线治疗的 CML 患者或 T315I 突变型 CML 患者。尽管该药物在这些领域中的使用率很高，其令人印象深刻的疗效和安全性数据也支持这一点，但这些患者群体相对较小，Scemblix 的市场潜力也因此受到限制。诺华目前正在寻求该药物的标签扩展，用于一线和二线治疗，FDA 已根据 III 期 ASC4FIRST 试验的数据授予本次提交优先审评资格。ASC4FIRST 的数据显示，Scemblix 在疗效和安全性终点上均优于第一代和第二代 TKI，包括重磅炸弹药物和市场领导者 Sprycel。在 ASC4FIRST 中，在第 48 周，与研究者选择的 TKI 组相比，Scemblix 组的主要分子学缓解率高了近 20%，这个获益前所未有。与伊马替尼和第二代 TKI 相比，该药的不良事件和治疗中止也更少。这些数据为 Scemblix 获得 FDA 和 EMA 批准奠定了坚实的基础，有望在所有 CML 患者中得到广泛应用。

虽然 Scemblix 拥有大量优势数据，但 CML 市场的通用化迫在眉睫，这可能会阻碍其在利润更丰厚的一线治疗中的应用，医生可能会选择更便宜但仍然有效的 TKI 仿制药。尽管如此，预计 Scemblix 仍将在复发性 / 难治性病例中得到广泛应用，并有望在 2028 年之前成为重磅炸弹药物。

标签：标签扩展（现有适应症），潜在重磅炸弹药物

GRANITE|GRTS|LOA：高于平均值|↗

结直肠癌 (CRC)

GRANITE 是 Gritstone bio 正在开发的一种基于新抗原的个性化疫苗。通过公司专有的机器学习平台 EDGE，对其进行改造，以引起针对每例患者确定的源于肿瘤突变的肿瘤特异性新抗原 (TSNA) 的显著 T 细胞应答（尤其是 CD8+ 细胞毒性 T 细胞）。

微卫星稳定 (MSS) 型 CRC 肿瘤患者占转移性结直肠癌 (mCRC) 病例的 80% 以上，这类患者存在巨大的未满足治疗需求。据我们的流行病学估计，到 2023 年，仅在美国和欧盟五国 (EU5)，GRANITE 的潜在患者人数就将超过 100,000 人，这意味着巨大的商业机会。CRC（包括 MSS 型肿瘤患者）的标准一线治疗通常是抗 VEGF 药物 (Avastin) 联合细胞毒性双药化疗，即骨架药物氟嘧啶（5- 氟尿嘧啶 [5-FU] 或卡培他滨]）联合奥沙利铂（FOLFOX 或 XELOX）或伊立替康（FOLFIRI 或 XELIRI）。II/III 期 GRANITE-CRC-1L 试验的 II 期部分在无进展生存期 (PFS) 和长期循环肿瘤 DNA (ctDNA) 应答方面的结果令人鼓舞，为几乎没有其他治疗方法的 MSS CRC 患者带来了希望。虽然这些是初步结果，而且来自相对较小的患者样本量，但令人鼓舞的是，新出现的趋势表明，接受 GRANITE、免疫检查点抑制剂和氟嘧啶 / 贝伐珠单抗联合疗法的患者可能会获益。

因此，鉴于有利的初步结果，再加上大量未满足需求和可寻址患者人群，GRANITE 有可能在 CRC 治疗领域取得巨大成功。

标签：首次批准，实践变化，潜在重磅炸弹药物

VYLOY|ASTELLAS|LOA：高于平均值|↗

胃癌

Vyloy 是一款同类首创的单克隆抗体，靶向细胞粘附蛋白 Claudin 18.2，Claudin 18.2 在约 40% 的胃癌中过表达。目前的胃癌治疗模式是通过一种可操作的生物标志物（即人表皮生长因子受体 2[HER2]）来区分患者。HER2 阴性疾病占市场的 80%，因此是药物进入最有利可图的领域。III 期 SPOTLIGHT 和 GLOW 试验研究了 Vyloy 联合化疗作为转移性或局部晚期 HER2 阴性胃癌的一线治疗的情况。这两项试验均达到了主要终点，即与安慰剂 + 化疗组相比，Vyloy+ 化疗组的 PFS 有所改善。随后，该公司于 2023 年 7 月提交了使用 Vyloy 的 BLA，但由于在对第三方制造工厂进行许可前检查期间发现了缺陷，FDA 于 2024 年 1 月 4 日签发了完整答复函。未提出与 BLA 临床数据相关的问题。安斯泰来于 2024 年 5 月 9 日重新提交 BLA，PDUFA 日期设定为 2024 年 11 月 9 日。如果该药物要获得批准，则需对患者进行 Claudin18.2 表达筛查，使胃癌生物标志物组合多样化。据估计，到 2028 年，Vyloy 将成为重磅炸弹药物。

对于 HER2 阴性胃癌患者来说，目前的治疗方案非常有限，百时美施贵宝公司的 PD-1 靶向抑制剂 Opdivo (nivolumab) 是唯一获准用于这种情况的靶向疗法。虽然 Opdivo 是胃癌领域的市场领导者，但预计 Vyloy 将抢占相当大的份额。两种药物的生存期数据看起来不相上下；不过，与 Opdivo 相比，Vyloy 的安全性特征可能有所改善。SPOTLIGHT 报告显示，安慰剂组和 Zolbetuximab 组的治疗相关不良事件发生率相似。另一方面，在 III 期 CheckMate 649 试验中，与安慰剂组相比，Opdivo 组的严重治疗相关不良事件发生率更高。这使得 Vyloy 成为一种极具吸引力的替代疗法，尤其是对免疫缺陷患者而言。Vyloy 还有可能在免疫原性较差的患者中开辟出自己的一片天地。Opdivo 获批的适应症与 PD-1 表达无关，CheckMate 649 试验在联合阳性评分 (CPS) ≥ 1 的 Opdivo 治疗患者中观察到生存获益，但 Opdivo 通常用于 CPS<1 的 HER2 阴性患者，这主要是由于这些患者缺乏有效的可用疗法。如果 Vyloy 获得批准，可以预见该药将抢走 Opdivo 在这些 PD-1 阴性 / PD-1 低水平患者中的市场份额。

标签：首次批准，实践变化，潜在重磅炸弹药物

肿瘤学疾病

PRGN-2012|PGEN|LOA：高于平均值|↗
INO-3107|INO|LOA：平均值|↗

头颈癌

Precigen 的 PRGN-2012 和 Inovio 的 INO-3107 正在开发用于复发性呼吸道乳头状瘤病 (RRP)，这是一种尚无获批全身治疗的疾病。RRP 是一种罕见的终身性疾病，由 HPV6 或 HPV11 感染引起。生长于呼吸道的良性乳头状瘤，可引起严重的嗓音障碍。目前该疾病的标准疗法是重复手术切除乳头状瘤，这种做法可能会导致不可逆的气管瘢痕。

PRGN-2012 是一款治疗性疫苗，通过复制缺陷型大猩猩腺病毒载体表达 HPV6 和 HPV11 抗原，从而引发 T 细胞免疫反应。一项关键 II 期试验招募了过去 12 个月内曾至少接受过三次手术的患者，其主要终点是完全缓解 (Cr) 率，定义为 PRGN-2012 治疗完成后在 12 个月期间不需要进行 RRP 手术的患者百分比（为期 12 周治疗期间，四次皮下注射 PRGN-2011）。在 2024 年 ASCO 年会上，该试验所报告的 CR 率为 51% (n=35)，无≥ 3 级不良事件。患者病情达到持久缓解，中位随访时间为 20 个月，目前尚未达到中位缓解持续时间；所有 CR 患者均保持缓解，未进行手术。除了 51% 的 CR 患者外，还有 35% 的患者报告了部分缓解（与治疗前 12 个月相比，治疗后 12 个月内手术次数减少），ORR 为 86%。Preigen 计划在 2024 年下半年通过加速审批途径提交 PRGN-2012 的 BLA 申请，如果获批，可能会在 2025 年开始推动该款药物的营销。2024 年 7 月启动了一项验证性单臂 III 期试验。

INO-3017 是一款基于 DNA 质粒、针对 HPV6 和 HPV11 的治疗性疫苗。一项关键 I/II 期试验招募了过去 12 个月内曾至少接受过两次手术的患者，肌肉注射 INO-3017，再通过专用设备 Cellectra 进行电穿孔。在试验的第 0 天和第 3、6 和 9 周分别给予一剂量 INO-3107，报告的 CR 率为 28%(n=32)，部分缓解率为 53%，ORR 为 81%。INO-3017 与 PRGN-2012 的区别在于前者不需要病毒载体，可以减少对中和抗体的担忧，并可以重复治疗。2024 年 8 月，Inovio 报告了该公司目前正在解决 Cellectra 设备的一次性给药组件的生产问题。他们计划先充分解决生产问题，再于 2025 年年中提交 BLA 申请，并要求获得优先审评资格。假设对 INO-3017 进行为期六个月的优先审评，则该款药物可能将在 2025 年年底或 2026 年年初获批，并将成为第一款在美国获批的基于质粒的药物。预计将于 2025 年年中启动一项随机、安慰剂对照的 III 期验证性研究。

标签：首次批准，实践变化，新药类别

ENHERTU | DSNKY | LOA：平均值 | ↗

乳腺癌 (HER2+)

Enhertu 是阿斯利康 (Astra Zeneca) 和第一三共 (Daiichi Sankyo) 联合出品的重磅抗体药物偶联物 (ADC)，靶向 TROP-2，在乳腺癌的其他亚型治疗中取得了巨大成功。2019 年 12 月，Enhertu 在美国首次获批用于 HER2+ 乳腺癌症领域，治疗既往接受过至少两线或抗 HER2 疗法并出现进展的患者。

为确认 Enhertu 在更具临床相关性的患者群体中的地位，启动了一项 III 期 DESTINY-Breast02 试验。该研究评估了 Enhertu 对转移性 HER2+ 乳腺癌患者的效果，这些患者曾接受过公认的二线标准疗法 -Kadcyla 的治疗。2023 年 5 月公布了 DESTINY-Breast02 试验的完整数据和亮点，该试验已达到主要终点，取得了极具前景的结果。Enhertu 组的 mPFS 为 17.8 个月，而医生选择疗法组为 6.9 个月。值得注意的是，更多分析显示 Enhertu 用于脑转移患者的 mPFS 评分（HR 为 0.35）也表现优异，该领域也存在着巨大的未满足治疗需求。对于接受过大量预治疗的脑转移患者，Enhertu 的数据相比 Tukysa 的 II 期 HER2CLIMB 研究结果具有很强的竞争力，从而巩固了 Enhertu 作为此类患者的最佳疗法的地位。DESTINY-Breast02 试验也达到了次要终点，中位 OS 显著增加了 12.7 个月。

鉴于这些成功结果，阿斯利康于 2023 年 7 月向美国和欧盟提交了 sNDA 申请，寻求将 Enhertu 作为三线治疗的全面批准。其 PDUFA 日期原先预计是 2024 年 5 月 27 日，但目前预计将会在 2024 年下半年获得监管部门批准。考虑到 Enhertu 的 PFS 和 OS 具有临床意义的改善以及相比以往试验所具有的安全性，预计获批可能性很高。尽管 Enhertu 作为三线治疗显示出巨大的临床获益，但在开具 ADC 处方时，由于该药物以二线标准疗法著称并且用于重复治疗时缺乏疗效，反而限制了其在治疗流程后期的应用。

标签：标签扩展（现有适应症），潜在重磅炸弹药物

DATOPOTAMAB DERUXTECAN|DSNKY|LOA：平均值|↗

乳腺癌 (HR+/HER2-)

2023 年 9 月，阿斯利康和第一三共公布了其强效 TROP2 靶向抗体药物偶联物 (ADC) 德达博妥单抗 (Dato-Dxd) 的积极顶线结果。在 HR+/HER2- 转移性乳腺癌患者中对该药物进行了研究，这些患者曾接受过内分泌疗法并出现进展，且在 III 期 TROPION-Breast01 试验中接受过 1-2 线全身性化疗。相比化疗组的 mPFS（4.9 个月），Dato-DXd 组的 mPFS 显示出具有临床意义的改善（6.9 个月）。尽管 OS 数据尚未成熟，但从中观察到了有利于 DatoDxd 的改善趋势。随后，DatoDxd 的生物制品许可申请 (BLA) 于 2024 年 4 月在美国获批，PDUFA 日期则定于 2025 年 1 月 29 日。

TROPION-Breast01 试验的数据与靶向 TROP2 的 ADC 药物 Trodelvy 的 III 期 TROPICS-02 试验结果相当，Trodelvy 已获批用于二线及后线治疗转移性疾病患者，但与 ADC 赛道佼佼者 Enhertu 相比，结果并不理想。此外，根据 TROPION-Breast01 委员会的数据，试验中出现了一例与治疗相关的死亡，由于接受过预治疗的转移性疾病患者还有其他治疗选择，并且考虑到 DatoDxd 的潜在长期安全风险，可能会导致其在医生可选的疗法列表中排名靠后。因此，尽管 Dato Dxd 具有明显的临床活性，OS 数据预计将向有利于该药物的方向发展，但试验结果不大可能证明 DatoDxd 是这一领域的明确领导者，假如获批，预计其只会占很小的市场份额。

标签：首次批准

INAVOLISIB|ROG|LOA：高于平均值 |↗

乳腺癌 (HR+/HER2-)

Inavolisib 是一款口服强效 PI3Kα 选择性抑制剂，也可促进突变 p110α 的降解。继 Truqap 于今年获批后，Inavolisib 将成为第三款在 HR+/HER2- 乳腺癌领域获批的 PI3K/AKT 抑制剂。在 III 期 INAVO120 试验中，对 Inavolisib 联合 Ibrance（一种 CDK4/6 抑制剂）和氟维司群（一种 ET）与安慰剂联合 Ibrance 和氟维司群作为 PIK3CA- 突变 HR+/HER2- 局部晚期或转移性乳腺癌患者的一线疗法进行了研究。据推测，PI3K 抑制剂与目前的标准疗法 ET 和 CDK4/6 抑制剂联合治疗，将显示出协同抗肿瘤作用。PIK3CA 是乳腺癌中最常见的突变癌基因之一，并可导致化疗和内分泌疗法出现耐药性，HR+HER2- 患者高达 40% 具有该突变。因此，INAVO120 试验针对的患者群体中存在多种未满足的需求。

在 2023 年的 SABCS 年会上，对 INAVO120 进行的主要分析表明 Inavolisib 极具潜力。inavolisib/Ibrance/ 氟维司群联合治疗组与安慰剂 /Ifrance/ 氟维司群对照组的 mPFS 分别为 15.0 个月与 7.3 个月，差异具有统计学意义。在 2024 年的 ASCO 年会上公布的数据突出了下一阶段的分析，两个组的 PFS2 分别为 24.0 个月和 15.1 个月，这一时间段是指从随机化开始到后线治疗结束的时间。此时的 OS 数据仍未成熟，但从中观察到了明显的积极趋势。

在过去，由于疗效不佳和耐受性差，以及与 CDK4/6 抑制剂的可联合性差，PI3K 抑制剂的成功率有限。一线治疗药物的高毒性和停药率（尤其是与阿培利司 (Piqray) 相关的停药率）使 inavolisib 有机会成为耐受性更好、选择性更强的 PI3K 抑制剂，从而有望作为 PIK3CA- 突变患者的新标准疗法。由于 inavolisib 具有强大疗效和治疗指数（部分源于其突变选择性作用机制），此款药物很可能在 2024 年 11 月 27 日的 PDUFA 日期后获批。

标签：首次批准，潜在的重磅疗法，改变临床实践

BLENREP | GSK | LOA：平均值 | ↗

多发性骨髓瘤 (MM)

作为一款抗 BCMA 抗体药物偶联物，Blenrep 有着坎坷的历史。尽管该药物在 2020 年 8 月分别获得了美国 FDA 和欧洲药品管理局的有条件批准，用于既往接受过至少四次治疗的复发 / 难治性多发性骨髓瘤患者，然而，当 DREAMM-3 确认性试验未能达到 PFS 主要终点后，上述管理机构于 2022/2023 年陆续撤回了批准。DREAMM-3 是一项头对头优势比较试验，比较了 Blenrep 单药治疗与 Pomalyst 联合 dex(Pd) 用于三线或后线治疗 MM 的疗效。令人感到惊讶的是，Blenrep 的另外两项 III 期试验 DREAMM-7 和 DREAMM-8 却报告了积极结果，这两项试验均招募了二线或后线治疗的患者。DREAMM-7 对布伦雷普 (Blenrep) 联合硼替佐米 (bortezomib) 和地塞米松 (Vd) 与达唑仑 (Darzalex) 联合 Vd 进行了比较。2024 年 2 月公布了该试验的数值结果，包括 PFS 主要终点出现具有统计学意义的显著增加（37 个月对比 13 个月；HR0.41），OS 出现改善的趋势 (HR0.57；p=0.00049)，随着随访时间的延长，该终点也可能达到统计学显著性标准 (p ≤ 0.00037)。DREAMM-7 试验还报告了通过完全缓解或更好的 (≥ CR) 率（35% 对比 17%），以及非常好的部分缓解或更好的 (≥ VGPR) (39% vs. 17%) 来衡量的 MRD 阴性率，显示该药物可诱导患者达到深度缓解。DREAM-8 试验比较了布伦雷普联合 Pd 与硼替佐米联合 Pd，2024 年的 ASCO 年会上公布了该试验的结果，令人印象深刻，中位无进展生存期（布伦雷普联合 Pd 组：尚未达到中位无进展生存期；硼替佐米联合 Pd 组：12.7 个月，中位随访期为 21.8 个月）出现具有统计学意义的改善，≥ CR 率（布伦雷普联合 Pd 组：40%；硼替佐米联合 Pd 组：16%）和患者的 MRD 阴性率、≥ VGPR（布伦雷普联合 Pd 组：32%；硼替佐米联合 Pd 组：5%）均出现改善。DREAM-8 中也显示出 OS 改善的趋势，将在更长的随访期后重新测量该参数。继 2024 年 7 月向欧盟监管机构提交 Blenrep 的申请后，我们预计 GSK 将于 2024 年下半年向美国和日本提交更多申请，并将于 2025 年获批用于二线或更后线治疗 MM。

与其他获批的 BCMA 靶向药（包括双特异性抗体和 CAR-T 疗法）不同，Blenrep 完全不要求住院治疗，其疗效并不取决于 T 细胞活性，因而可能会引起 T 细胞衰竭患者关注。因此，Blenrep 非常适合老年患者，包括不符合移植条件的患者和因既往治疗导致免疫系统退化的患者。鉴于 Blenrep 的积极疗效，我们预计该药物将会获批并成为复发 / 难治性多发性骨髓瘤的一种治疗选择。DREAMM-7 和 DREAMM-8 的治疗方案可用于来那度胺 (lenalidomide) 出现耐受的难治性患者（许多患者接受来那度铵进行维持治疗，因此早在二线就很常见该药物耐受）和既往接受过抗 CD38 抗体治疗的患者（随着越来越多患者接受基于 Darzalex 的一线治疗，抗 CD38 抗体二线治疗变得越来越常见）。Blenrep 的主要缺点是具有眼部毒性，与角膜病变相关，可导致视力下降，主要通过剂量中断来控制该副作用。普遍预测 Blenrep 的销售额到 2030 年将达到 9.66 亿美元。

标签：改变临床实践，潜在的重磅疗法

PATRITUMAB DERUXTECAN|MRK|LOA：高于平均值 |↗

非小细胞肺癌 (NSCLC)

Patritumab deruxtecan 是由默克 (Merck) 和第一三共联合开发的同类首创 HER3 靶向抗体药物偶联物 (ADC)，用于治疗 NSCLC。2023 年 12 月，FDA 根据关键 II 期 HERTHENA-Lung01 试验的积极结果，对 patritumab deruxtecan 用于治疗既往接受过两种或多种全身疗法治疗的局部晚期或转移性 EGFR 突变 NSCLC 成年患者的 BLA 申请进行了优先审评。然而，FDA 于 2024 年 6 月 26 日发布了一份完整回复函 (CRL)，原因是在检查该药物的第三方生产设施时发现了一些问题。值得注意的是 CRL 中未提出任何关于试验或临床数据的问题。因此，考虑到在医疗需求远远未得到满足的患者群体中开展的试验获得了令人鼓舞的结果，FDA 很可能会迅速作出批准决定。部分 NSCLC 患者（在西方约有 15%，在亚洲约有 40%）会出现 EGFR 基因突变，这是一个有着庞大商业利润的患者群体。HER3 是 EGFR 受体酪氨酸激酶家族的成员，在接受 EGFR 酪氨酸激酶抑制剂治疗后的晚期 EGFR 突变肿瘤中，约有 90% 会表达 HER3。

作为 NSCLC 全球开发计划的一部分，Patritumab deruxtecan 目前正作为单药疗法以及与其他疗法联合使用接受评估。其中包括一项 III 期 HERTHENA-Lung02 研究，在正接受第三代 EGFR TKI 治疗或治疗后疾病出现进展的 EGFR 突变局部晚期或转移性 NSCLC 患者中比较了 patritumab deruxtecan 和铂类化疗；一项 patritumabderuxtecan 联合奥西咪替尼治疗 EGFR 突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌患者的 I 期研究；以及一项在既往接受过治疗的晚期非小细胞肺癌患者中开展的 I 期研究。

标签：首次批准

IVONESCIMAB | SMMT | LOA：高于平均值 | ↗

非小细胞肺癌 (NSCLC)

Ivonescimab (SMT112) 是一款同类首创的四价双特异性抗体，靶向 VEGF 和 PD-1。Ivonescimab 的四价结构是设计用于与二聚体 VEGF 形成较大的复合物，从而对 PD-1 具有高度亲和力和增强的功能，以及在临床前研究中表现出强效的抗肿瘤活性。

HARMONi-A 研究对 Ivonescimab 联合化疗进行了评估，在无进展生存期 (PFS) 方面获得令人鼓舞的结果，显示该药物在 EGFR 突变的非鳞状 NSCLC 患者中具有潜在的应用价值，这些患者在接受第三代 EGFR 酪氨酸激酶抑制剂 (TKI) 治疗后出现进展。数据表明对于接受过 FLAURA (Tagrisso) 和 MARIPOSA (Rybrevant+Lazertinib) 方案后治疗失败的患者，Ivonescimab 联合化疗方案可能是一种替代治疗选择。Ivonescimab+ 化疗组合方案于 2024 年 5 月在中国获批用于治疗经 EGFR-TKI 治疗后出现进展的 EGFR 突变 NSCLC 患者。2024 年世界肺癌大会 (WCLC) 将会公布一项 III 期 HARMONi-2 试验的主要分析结果，该试验在 PD-L1 表达阳性 (PD-L1 TPS>1%) 的局部晚期或转移性 NSCLC 患者中评估了 Ivonescimab 相比 Keytruda 单药治疗的效果，以及将会公布一项围手术期 II 期研究的主要分析结果，该研究使用了 Ivonescilab 单药或联合化疗来治疗可切除的 NSCLC。因此，如果上述试验获得积极结果，Ivonescimab 将拥有巨大的市场潜力。

标签：首次批准，潜在重磅炸弹药物

AVUTOMETINIB|VSTM|LOA：平均值 |↗
DEFACTINIB|VSTM|LOA：高于平均值 |↗

卵巢癌

Verastem Oncology 正在开发其主要资产 avometinib（一种 Raf/MEK 抑制剂）和 defactinib（一种 FAK 选择性抑制剂），用于治疗既往至少接受过一次全身治疗的复发性 KRAS 突变的低级浆液性癌症 (LGSOC) 患者。LGSOC 是一种罕见的卵巢癌亚型，约占上皮性卵巢癌病例的 10%。众所周知的是这类恶性肿瘤对化疗应答不佳，突显了针对这种亚型研发有效新疗法的必要性。2024 年 3 月，美国 FDA 对用以联合治疗复发性 LGSOC 患者的阿伐替尼 / 德法替尼 (avutometinib/defactinib) 授予孤儿药和突破性疗法资格。RAMP-201 是一项以注册为目的的 II 期试验，该试验的中期数据报告了所有患者的 ORR 为 45%，KRAS 突变患者的 ORR 为 60%，KRAS 野生型患者的 ORR 为 29%。此外，在接受阿伐替尼 / 德法替尼联合治疗后，80% 的患者观察到肿瘤消退。基于这些初步数据，Verastem 启动了阿伐替尼和德法替尼的滚动提交 NDA，以寻求加速批准，预计将于 2025 年上半年获批。试验研究者预计将于 2024 年底获得 RAMP201 的成熟数据。

目前正在进行一项验证性的 III 期 RAMP301 研究，以评估该联合疗法与研究者选择的化疗或激素疗法对复发性 LGSOC 的疗效。该组合疗法在试验中表现出良好安全性和疗效，试验结果表明其具备与目前复发性 LGSOC 的标准疗法 - 激素疗法和铂类化疗一较高下的能力。

标签：首次批准，实践变化

PLUVICTO|NVS|LOA：平均值|↗

前列腺癌

同类首创的 PSMA 靶向放射性偶联物 Pluvicto 于 2022 年获批用于治疗既往接受过雄激素受体途径抑制剂 (ARPI) 和紫杉醇治疗的转移性去势抵抗性前列腺癌 (mCRPC) 患者。该药物获批改变了临床实践，为接受过大量预治疗、选择有限的患者提供了一种替代疗法。尽管 Pluvicto 的批准使用最初曾受限于生产和准入问题，但诺华 (Novartis) 正在努力解决这些供应链方面的问题，目前有四个工厂正在努力生产 Pluvicto，另外还有两个工厂已投入建设。

为将 Pluvicto 的标签扩展至前列腺癌治疗过程中的早期方案，诺华启动了一项 III 期 PSMAfore 试验，以研究该药物对未经紫杉醇治疗的 mCRPC 患者的疗效。诺华在 2022 年宣布 PSMAfore 试验已达到放射学无进展生存期 (rPFS) 的主要终点，Pluvicto 组的 rPFS 比 ARPI 对照组显著增加了 6.4 个月。之后由于 OS 分析数据尚未成熟，因而推迟了向 FDA 提交申请，提交申请前，中期分析扩展至需发生 75%OS 事件。在 2024 年 4 月的预定分析中，Pluvicto 在未经交叉调整的意向治疗人群中显示了 OS 风险比小于 1.0，凸显出该药物可带来持久的临床获益。延迟向监管部门提交申请之后，诺华宣布计划在 2024 年下半年重新提交。

尽管这个更大、更健康的患者群体可能会为 Pluvicto 带来可观的利润，但想要获批，不免要与标准疗法的市场领导者 Xtandi 和 Zyitga 以及放射疗法管线展开竞争。礼来公司也希望通过更实用的给药方案使其放射性偶联物管线药物 PNT2002 进入 mCRPC 领域，尽管该药物的 rPFS 数据（9.5 个月）相比 ARPI 对照组（6.0 个月）并不理想。尽管如此，Pluvicto 获批作为早期治疗方案将进一步推动前列腺癌领域中放射治疗药物类别的发展。

标签：标签扩展（现有适应症），潜在重磅炸弹药物

肿瘤学疾病

XPOVIO|KPTI|LOA：批准 |↗

子宫（内膜）癌

同类首创的 XPO1 抑制剂 Xpovio 是一款开发用于治疗子宫内膜癌的药物，目前正处于 III 期 SIENDO 和 XPORT-EC-042 试验中，以将该药物的治疗范围扩展至多发性骨髓瘤（于 2020 年获得了 FDA 批准）之外的其他疾病。这两项试验均评估了 Xpovio 用于经含铂和紫杉醇疗法（SIENDO）或含铂药物 (XPORT-EC-042) 治疗后的维持治疗，SIENDO 和 XPORT-EC-042 均针对经全身性治疗达到缓解的晚期 / 复发性子宫内膜癌患者。SIENDO 的主要结果显示意向治疗人群的中位 PFS 有所改善，但这些改善不具有临床意义。然而，在 2024 年的 ASCO 年会上公布的数据（来自预先指定的 TP53 野生型疾病患者亚组）显示，经一线铂类化疗后使用 Xpovio 进行维持治疗，其中位 PFS 达到 28.4 个月（相比之下，安慰剂组为 5.2 个月）。更值得注意的是，经 Xpovio 治疗的 TP53 野生型 /pMMR 子宫内膜癌患者的中位 PFS 为 39.5 个月（而安慰剂组仅为 4.9 个月）。这些数据对于 XPORT-EC-042 试验是个好消息，该试验仅关注 TP53 野生型患者。然而，Xpovio 也存在安全性问题，在接受该药物治疗的 TP53 野生型疾病患者中，有 90% 患者出现恶心，60% 出现呕吐，45% 出现腹泻，大多数事件为 1-2 级。不良事件导致 17% 的患者停止治疗，这并不是小问题，如果 Xpovio 想要跨过任何监管障碍，这些不良事件可能产生影响。

晚期 / 复发性子宫内膜癌预后不良，目前一线药物标准治疗（卡铂加紫杉醇）的中位 PFS 为 13 个月，中位 OS 为 37 个月。因此，来自 SIENDO 的数据传递出一个积极信号，即采用 Xpovio 的维持治疗可以改善这些结局。有半数的晚期 / 复发性病例与 TP53 野生型表型有关，反过来，该表型也与 pMMR 和 dMMR/MSI-H 肿瘤均相关，后一亚型是大部分免疫检查点抑制剂的靶点。Xpovio 维持治疗具有延长全身治疗应答的潜力，面临 pMMR 肿瘤（约占 TP53 野生型子宫内膜癌病例的 70%）的明显未满足的治疗需求，该药物可为这些患者提供急需的治疗选择，并带来广阔的商业前景。XPORT-EC-042 试验的数据现正备受期待。

标签：标签扩展（新增适应症）

LYNPARZA|AZN|LOA：高于平均值 |↗

子宫（内膜）癌

一项 III 期 DUO-E 试验在 III 或 IV 期的新诊断或复发性子宫内膜癌患者中评估了接受 Imfinzi 联合含铂化疗，随后接受 Imfinzi 联合 Lynparza 或 Imfinzi 单药作为维持治疗的效果。虽然试验的两个组均显示出疾病进展或死亡的风险有所下降，Imfinzi+Lynparza 组的临床结果优于 Imfinzi 单药组，然而，令人期待已久的 DUO-E 试验数据却显示疾病进展或死亡风险数据并未有助增强 Imfinzi 作为一线治疗竞争者的地位。Imfinzi 在这一领域的竞争对手包括葛兰素史克的 Jempelli 和默克公司的 Keytruda，对于相同指标，这两款药物分别在 RUBY 和 NRG-GY018 试验中显示出明显更高的比率，特别是在 dMMR/MSI-H 人群中。尽管如此，FDA 基于 Imfinzi 的 DUO-E 试验数据，于 2024 年 6 月批准其用于原发性晚期或复发性子宫内膜癌，即 dMMR。Imfinzi 的标签表明其将与卡铂和紫杉醇联合用药，随后使用该药物进行单药维持治疗。

DUO-E 试验的设计使 Imfinzi 得以与 Jempelli 和 Keytruda 实现差异化，加上 PARP 抑制剂 Lynparza 即可为临床需求提供支持。Imfinzi 单药或 Imfinzi+Lynparza 联合进行维持治疗，可获得令人印象深刻的中位 PFS 值，特别是在 dMMR 人群中，其 Imfinzi+Lynparz 组的中位 PFS 达到了惊人的 31.8 个月目前已向欧盟和日本的监管部门提交了 Imfinzi 和 Imfinzi+Lynparza 的申请并接受审查，欧盟的 CHMP 于 2024 年 7 月建议批准该组合用于治疗晚期或复发性 pMMR 子宫内膜癌。Imfinzi 也被推荐用于 dMMR 疾病患者。

DUO-E、RUBY 或 NRG-GY018 的中位 OS 数据尚不可用，但在各自的免疫检查点抑制剂方面，特别是在 dMMR/MSI-H 人群中，这些 OS 数据均显示出有利的趋势。尽管这些试验的随访时间不一致，而且各试验的组织学方法也存在差异，使我们无法对它们全面进行比较，但目前需要 Imfinzi，还包括 Jemperli 和 Keytruda 的 OS 成熟数据，以全面比较这三款产品。dMMR/MSI-H 亚型在子宫内膜癌中占比为 25-30%，对所有三种免疫检查点抑制剂而言，这都是一个巨大的商业机会。

标签：标签扩展（新增适应症）

肿瘤学疾病

CLR131|CLRB|LOA：平均值|↗

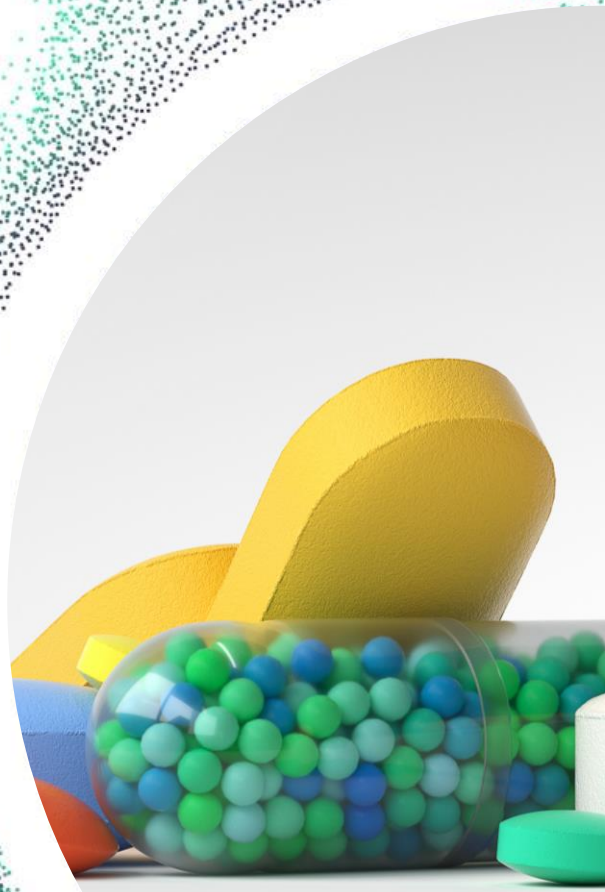
Waldenstrom 巨球蛋白血症 (WM)

Cellectar Biosciences CLR 131 (iopofosine I-131) 是一款可与磷脂结合的放射性药物，靶向存在于癌细胞上的脂筏。一项关键 II 期 CLOVER-WaM 试验正在评估四剂量固定疗程的 CLR131 用于三线或后线治疗 WM 患者（包括经 BTK 抑制剂治疗失败或应答不佳的患者）。2024 年 7 月公布了该试验 (n=55) 的最新数据，该试验达到了主要终点，主要缓解率 (MRR) 超过了 20% 的零假设，达到 56.4% (95% CI: 42%-67%)。该试验还报告了 ORR (80%) 和完全缓解 / 非常好的部分缓解率 (7.3%)。患者达到持续缓解，72% 的缓解患者在 18 个月时仍保持缓解。预计将于 2024 年第四季度向美国 FDA 提交 NDA 申请，由于获得快速通道资格认定，该公司将寻求为期六个月的优先审评。三线 WM 患者，特别是对 BTK 抑制剂耐药的患者，代表了尚未满足的医疗需求，因此 CLR131 可为这些患者的迫切需求提供治疗选择。CLR 131 也在一项 II 期试验中接受评估，以增加其他适应症，包括原发性中枢神经系统淋巴瘤和多发性骨髓瘤。

标签：首次批准、新药类别、改变临床实践

CITELINE
a norstella company

眼科



眼科学疾病

SUSVIMO|ROG|LOA：高于平均值|↗

糖尿病性黄斑水肿

罗氏的 Susvimo 于 2021 年获批用于湿性 AMD，后因植入物的隔膜或密封性出现问题，导致重复使用可能会失效，于 2022 年被召回。随着这些问题得到解决并在湿性 AMD 市场重新推出 Susvimo，罗氏已做好准备重返更广泛的眼科领域，预计该药物将于 2025 年获批用于治疗 DME。在 III 期 Pagoda 试验中，接受 Susvimo 治疗的 DME 患者在大约两年（112 周）内每六个月进行一次重复填充，使开始治疗一年时在视力提高方面所达到的改善（9.8 个视力表字母）得以维持。提高 9.8 个视力表字母类似于在视力表上提高两行。大约 95% 的个体不需要额外补充注射治疗。

该试验在一年内未报告眼内炎症事件，至 112 周的眼内炎症发生率为 0.7%，而对照组为 0.8%，因此该药物的安全性特性似乎很不错。正如其他眼科适应症一样，罗氏的 Susvimo 将满足患者对更长给药间隔和安全性的偏好，并将与 EyleaHD 和 Vabysmo 展开竞争，这两款药物的给药间隔均较短。

标签：标签扩展（新增适应症），改变临床实践

眼科学疾病

SUSVIMO | ROG | LOA：高于平均值 | ↗

糖尿病性视网膜病变

随着 III 期 PAVILION 试验获得积极结果，罗氏正在继续寻求获得眼科领域的另一项批准，将 Susvimo 用于治疗糖尿病性视网膜病变。该试验旨在每 36 周对糖尿病视网膜病变患者所使用的输液港系统 (PDS) 的疗效、安全性和药代动力学进行评估，试验结果令人印象深刻，视力改善程度达到糖尿病视网膜病变早期治疗量表 - 糖尿病视网膜病变严重程度量表 (ETDRS-DRSS) ≥ 2 步的患者在 Susvimo 组超过 80%，而对照组仅有 9%。

眼科领域的成功往往与合理的安全性和更长的给药间隔有关，罗氏试图通过 Susvimo 利用这两个优势。预计 Susvimo 将与市场领导者 Eylea HD 进行竞争，再生元 (Regeneron) 提交的 Eylea HD 高剂量版本申请已获批，将给药间隔延长至 16 周。相比其主要竞争对手 Eylea HD，Susvimo 的给药间隔更长，通过 PDS 重复填充替换 100mg/ml 的雷珠单抗，每 32 周一次。目前处于平衡的形势可能会逐渐偏向新型给药途径，正如使用 PDS 进行的研究表明，患者更偏好新型给药途径而不是传统的玻璃体内注射，超过 93% 的患者倾向前者。

标签：标签扩展（新增适应症），改变临床实践

眼科学疾病

LNZ-100|LENZ|LOA：高于平均值|↗

老花眼

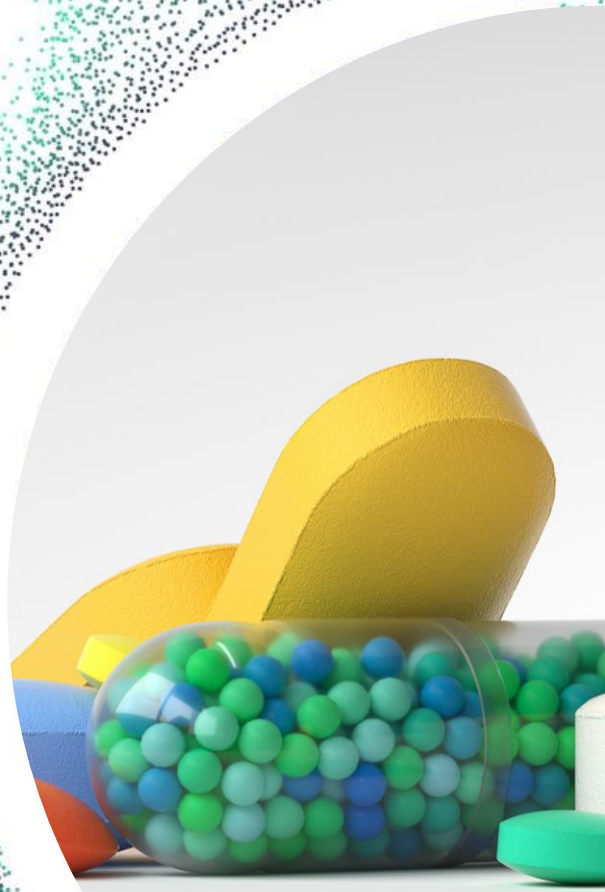
LENZ Therapeutics 正在开发 LNZ-100，这是一款含乙酰奎醚的滴眼液，用于治疗老花眼。该公司于 2024 年 8 月提交了 LNZ-100 的新药申请 (NDA)，该申请是基于 LNZ100 治疗老花眼的关键 III 期 CLARITY 研究。在 III 期 CLARITY 研究中，LNZ100 达到了改善近视的所有主要和次要终点，在近距离最佳矫正远视力 (BCDVA) 方面的视力增益达到三行或更多行，该改善具有统计学意义，，而在远视力的视敏度方面未出现一行或更多行的视力丧失，表明 LNZ100 具有良好的耐受性，在 CLARITY 研究中进行监测的 30000 多个治疗日内未观察到严重的治疗相关不良事件。

老花眼是一种影响全球约 18 亿人的疾病，其中美国占了 1.28 亿人。尽管目前已可通过矫正镜片和屈光手术等治疗抵消这种疾病的影响，但以滴眼液的形式提供一种非侵入性治疗选择来治疗近视，将为这一庞大的患者群体带来巨大的获益。

标签：潜在的重磅疗法，首次批准

CITELINE
a norstella company

精神病



NRX-101 | NRXP | LOA：高于平均值 | ↗

双相情感障碍 (BD)

NRX-101 是 NeuroRx 正在开发的 D- 环丝氨酸 (D-cycloserine) 和鲁拉西酮 (lurasidone) 的专利制剂，用于对具有自杀倾向的双相情感障碍 (BD) 抑郁症患者进行维持治疗和潜在紧急治疗。如果开发成功，NRX-101 将是第一款获批用于治疗这一特定患者群体的药物。目前针对自杀意念的标准疗法是电休克疗法，由于其有争议的历史而经常被污名化预期治疗方案是先给予初始稳定剂量的 NRX-100（氯胺酮，NeuroRx 公司），随后每日门诊给予口服 NRX-101 以维持病情缓解。在缓解 BD 和单相抑郁症的抑郁和自杀意念方面，虽然静脉注射和滴鼻给药氯胺酮表现快速而有效，但其使用与幻觉和解离症副作用以及可能被滥用有关，必须在受监管的医院或诊所环境中给药。NRX-101 可能会成为一款替代性、安全、非致幻、非成瘾的口服药物，以维持氯胺酮对有急性自杀意念的 BD 抑郁症患者的作用。

NeuroRx 计划在 2024 年提交两项 NDA：一项是寻求加速批准 NRX-101 用于治疗出现静坐不能症状的 BD 抑郁症患者（基于 II 期和 IIb/III 期试验数据），另一项是寻求批准 NRX-100 用于治疗有自杀倾向抑郁症。在 IIb/III 期试验中，与鲁拉西酮 (lurasidone) 相比，NRX-101 治疗显示自杀率降低了 33%，静坐不能症状减少了 76%。另一项 III 期试验将于 2024 年 12 月完成，该试验正在经氯胺酮治疗成功缓解后维持自杀意念患者中评估 NRX-101 对严重 BD 抑郁的缓解效果。NRX-101 已被美国 FDA 授予快速通道和突破性疗法资格认定。

标签：改变临床实践，首次批准

精神病

CAPLYTA | ITCI | LOA：高于平均值 |↗

重度抑郁症

Caplyta 于 2019 年 12 月首次获批用于精神分裂症，并于两年后的 2021 年 12 月将标签扩大至纳入双相情感障碍，特别是双相抑郁症。使用抗精神病药治疗重度抑郁症 (MDD) 具有悠久的历史，与其他非典型抗精神病药物一样，Caplyta 可调节血清素和其他单胺类物质，尤其是多巴胺，尽管尚未清楚其确切的作用机制。Intra-Cellular Therapies 决定进一步将该药物标签扩展至 MDD，为该药物带来广泛的潜在患者群体，尽管这样可能会使该药物用于降级治疗难治性患者。

在一项 III 期研究 403 试验中，研究将 Caplyta 用于单药治疗具有混合特征的 MDD 患者以及 I 和 II 双相患者。对于合并的患者群体，在第六周时与安慰剂组相比，Caplyta 组的 MADRS 总评分在统计学上显著降低了 5.7 分，在 MDD 亚群中，Caplyta 组比安慰剂组降低了 5.9 分。即使考虑到该药物曾成功治疗双相抑郁症患者并最终获批，这些结果很显眼，尽管并不令人意外。

在 2024 年 4 月和 6 月分别发布了 Caplyta 作为辅助药物的两项 III 期研究的数据。Caplyta 表现优异，501 和 502 研究在第六周时，Caplyta 组在 MADRS 总评分方面相比安慰剂组分别降低了 4.9 分 4.5 分。值得注意的是，这两项试验都报告了 Caplyta 队列的总体改善率为 14.7 分，因此报告的疗效差异是由于安慰剂组评分造成的，这表明在 III 期 adjunctive 项目中，近 1000 名患者的一致性表现令人感觉安心。另外两项辅助性 III 期 503 和 505 试验正在进行中。

Intra-Cellular 计划于 2024 年下半年提交 sNDA 申请，寻求于 2025 年推出该药物。

标签：标签扩展（新增适应症）

REXULTI | OTSUKA | LOA：高于平均值 | ↗

创伤后应激障碍

Rexulti 是一款非典型抗精神病药物，已被批准为重度抑郁症的辅助药物，也是精神分裂症和阿尔茨海默症所引起躁动的单药疗法。在 III 期试验中，Rexulti 作为舍曲林 (sertraline) 的辅助药物，在灵活剂量条件下，临床医生用创伤后应激障碍量表 (CAPS-5) 评分出现具有统计学意义的改善（19.2 分），但在固定剂量条件下，结果不具有统计学意义。在这些试验中，Rexulti 联合安慰剂、舍曲林联合安慰剂的结果均不具有统计学意义，这个结果与患者和提供者的观点相同，即目前可用的 PTSD 疗法仍然不足。

美国 FDA 仅批准了舍曲林和帕罗西汀 (paroxetine) 用于治疗 PTSD，二十多年来未有新疗法获批。有时候会将这两款药物结合心理治疗使用。考虑到近期禁用美替美胺 (midomafetamine) 治疗 PTSD 以及围绕该药物的使用争议，Rexulti 的安全性特征表现稳健，是一种为临床医生所熟悉的治理选择。预计 FDA 将于 2025 年 2 月对 Rexulti sNDA 作出批准决定。

标签：标签扩展（新增适应症），新药物类别

SEP-363856|SUMITOMO|LOA：高于平均值|↗

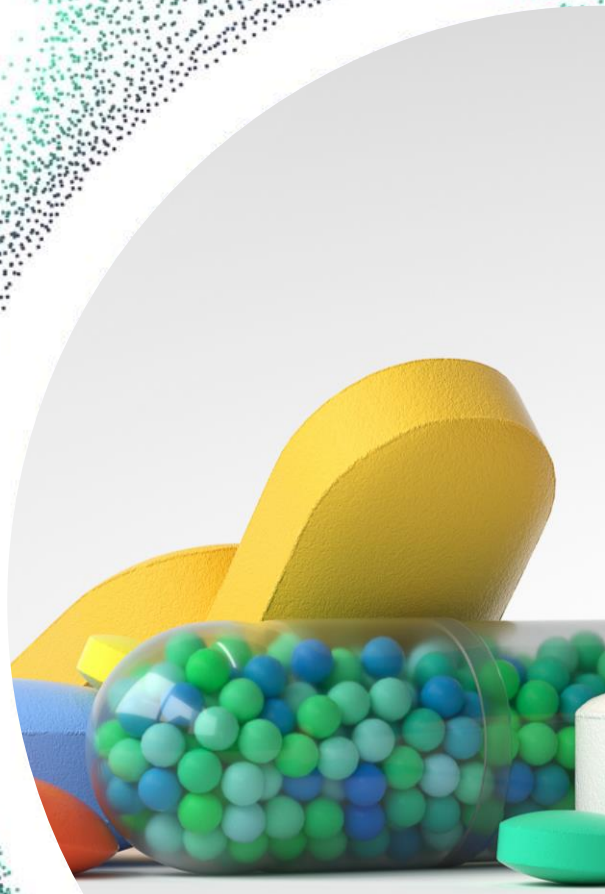
精神分裂症

SEP-363856 (ulotaront) 是一款新型精神分裂症候选药物，有可能成为同类首创 TAAR1 类激动剂，尽管迄今为止，该药物的试验结果令人喜忧参半。该药物由 Sunovion 发现，但开发、制造和商业化的专有权目前属于大冢 (Otsuka)。与现有的精神分裂症药物相比，SEP-363856 具有血清素 1A (5-HT1A) 激动剂活性，但不与多巴胺 D2 或 5-HT2A 受体结合，这些受体与代谢副作用和体重增加有关。由于该药物的新型作用机制，美国 FDA 于 2019 年 5 月授予该药物突破性疗法称号。尽管治疗精神分裂症的阴性症状是当务之急，SEP-363856 仍具有广阔的商业前景。

在精神分裂症急性发作患者中开展的 II 期研究结果令人满意，在第四周时与安慰剂相比，该药物在阳性和阴性综合征量表 (PANSS) 总评分出现具有统计学意义和临床意义的改善（50mg 组为 -17.2，安慰剂组为 -9.7，而 75mg 组为 11.9，安慰剂组为 -3.0）。治疗组总体停药率与安慰剂组类似，重要的是锥体外系症状的发生率也与安慰剂组相似，这表明该药物可以缓解与抗精神病药物相关的耐受性问题。III 期 DIAMOND 1 和 DIAMOND 2 试验的结果与 II 期数据明显相似；然而，由于安慰剂组的缓解率高，这些试验并未达到各自的主要终点。尽管尚不清楚接下来如何开展，但鉴于 II 期试验的积极数据和 III 期试验中 PANSS 分值的下降，大冢可能会继续为 SEP-363856 提交 NDA 申请。

标签：新药物类别，首次批准

肾脏病



肾脏病

FABHALTA | NVS | LOA：高于平均值 | ↗

C3 肾小球病 (C3G)

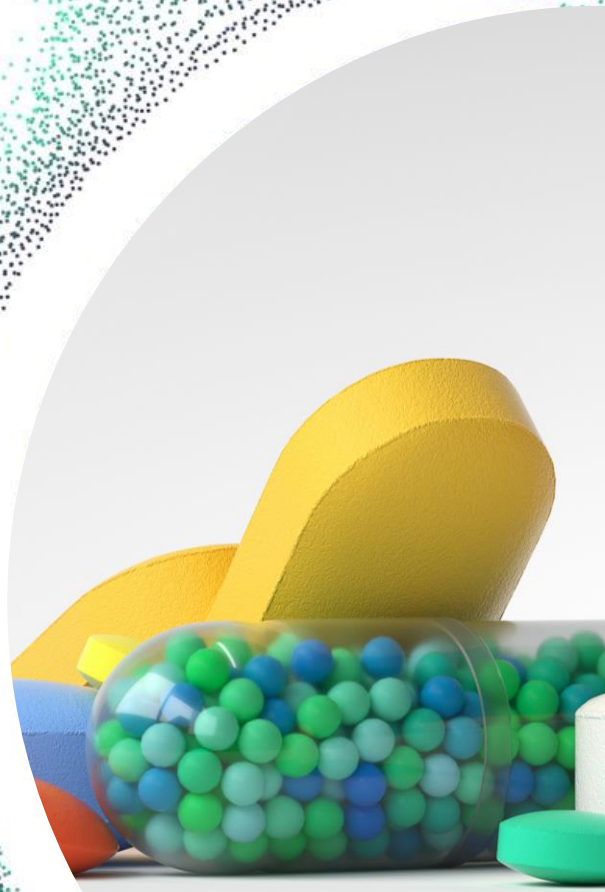
Fabhalta (iptacopan) 是诺华正在开发的一款口服 B 因子替代补体途径抑制剂，用于治疗 C3G。

在 2024 年 5 月 25 日欧洲肾脏协会 (ERA) 年会上公布了在 III 期 APPEAR-C3G 研究中 Fabhalta 相比安慰剂显示了积极的疗效和良好的安全性。与安慰剂加支持性护理组相比，接受 Fabhalta 治疗加支持性护理的患者在 6 个月时的蛋白尿水平（通过 24 小时尿蛋白 / 肌酐比值 [UPCR] 进行测量）降低了 35.1% (p=0.0014)。次要终点的其他数据，即肾功能指标之一的肾小球滤过率 (eGFR) 估算值显示，在 6 个月内 Fabhalta 组相比安慰剂组在数值上改善了 +2.2 mL/min/1.73 m2 (p=0.1945)。Fabhalta 组也未出现新的安全性信号。

C3G 是一种预后不良的罕见疾病，受影响患者有半数会在确诊后 10 年内进展为肾功能衰竭，需要进行透析或移植。目前尚未有 C3G 疗法获批，如果 Fabhalta 获批，将为其巨大潜力再添筹码。Fabhalta 曾于 2023 年 12 月获得美国 FDA 批准，并于 2024 年 5 月获得欧洲药品管理局批准用于治疗罕见血液病 - 阵发性睡眠性血红蛋白尿症 (PNH) 的成人患者，这一获批适应症可能会增加 Fabhalta 获批用于 C3G 的可能性。

标签：新药物类别，潜在的重磅疗法

呼吸系统疾病



呼吸系统疾病

BREZTRI AEROSPHERE|AZN|LOA：平均值 |↗

哮喘

Breztri Aerosphere 是一款获批用于治疗慢性阻塞性肺病的 ICS/LABA/LAMA 吸入联合疗法。目前，一项 III 期研究 (KALOS and LOGOS) 正对该疗法进行测试，顶线数据尚未公布。

封闭式 ICS/LABA/LAMA 三联组合疗法用于治疗有急性发作史的严重哮喘患者，这些患者经高剂量 ICS 和 LABA 治疗仍控制不佳。添加 LAMA 成分可能有助于更严重哮喘患者进一步放松气道，尽管部分医生仍对能否增加获益持怀疑态度。三联吸入疗法通过单一吸入器给药，有可能从目前使用的单独 ICS/LABA 和 LAMA 吸入疗法市场中分得一些份额。Trelegy Ellipta，首款 ICS/LABA/LAMA 三联吸入疗法已取得商业成功。Breztri Aerosphere 的 III 期数据即将发布，尽管其潜在的市场地位不高，但庞大的患者群体和肺病医生对其熟悉程度表明该药物还是有望成为重磅疗法。

标签：潜在的重磅疗法，标签扩展（新增适应症）

呼吸系统疾病

DEPEMOKIMAB|GSK|LOA：高于平均值|↗

哮喘

Nucala 和 Fasenra 的成功为白细胞介素 -5 (IL-5) 信号传导作为治疗嗜酸性粒细胞型严重哮喘患者的关键靶点奠定了基础。Depemokimab (GSK3511294) 是一款抗 IL-5 抗体，每六个月给药一次，开发该药物的目的是巩固葛兰素史克 (GSK) 此前通过 Nucala 所确立的市场地位，Nucala 是另一款抗 IL-15 抗体，每月给药，其专利将在未来三到四年内到期。在嗜酸性粒细胞型哮喘疗法市场上，Nucala 面临着 Fasenra 的直接竞争，根据我们的 KOL 采访，Fasenra 每两个月注射一次，是肺病医生首选疗法。

2024 年 5 月，葛兰素史克公布了 depemokimab 的两项关键试验 SWIFT-1 和 SWIFT-2 的积极结果。尽管尚未公布试验数值，但该药物在治疗一年后达到了降低哮喘发作年化率的主要终点，治疗组和安慰剂组发生的不良事件具有可比性。取得这些积极结果之后，葛兰素史克正在进行一项额外的 NIMBLE 研究，在经 Nucala 或 Fasenra 治疗患者中评估转为 Depemokimab 治疗的疗效。

标签：潜在的重磅疗法

呼吸系统疾病

BRENSOCATIB|INSM|LOA：高于平均值|↗

支气管扩张症

Brensocatib 是一款每日一次的口服药物，用于治疗非囊性纤维化支气管扩张症 (NCFB) 患者，该疾病的治疗选择有限。NCFB 患者会出现呼吸急促、持续咳嗽和反复感染、以及因气道炎症导致的粘液分泌过多等症状。该疾病可能是由于遗传性疾病、呼吸道既往感染、气道损伤、免疫缺陷状态或未知原因所引起的。NCFB 不仅带来了经济负担，还会增加全因死亡风险，主要是恶性肿瘤和呼吸道疾病相关死亡。Brensocatib 通过抑制二肽基肽酶 1 发挥作用，在病原体灭活和炎症介导过程中，该酶可激活中性粒细胞丝氨酸蛋白酶 (NSP)。NSP 作用失调会导致活性 NSP 过度分泌，从而导致破坏性炎症和中性粒细胞介导的炎症性疾病。

在一项 III 期 ASPEN 研究中，brensocatib 显示了令人信服的结果，包括 25mg 高剂量 brensocatib 相比安慰剂可使肺部疾病急性恶化的年发生率降低 19%、严重肺部疾病急性恶化减少 26%，急性恶化事件的间隔延长 18%，还可预防肺功能下降，使总体生活质量提高 3.8 个百分点。尽管该试验并未专门针对死亡率或降低呼吸道感染率进行研究，但这些顶线结果表明 brensocatib 具有缓解疾病的潜力。这些发现以及 brensocatib 的良好安全性表明该药物可以显著改善 NCFB 患者的生活质量。

标签：首次批准、新药类别、改变临床实践

呼吸系统疾病

ZEPBOUND|LLY|LOA：高于平均值 |↗

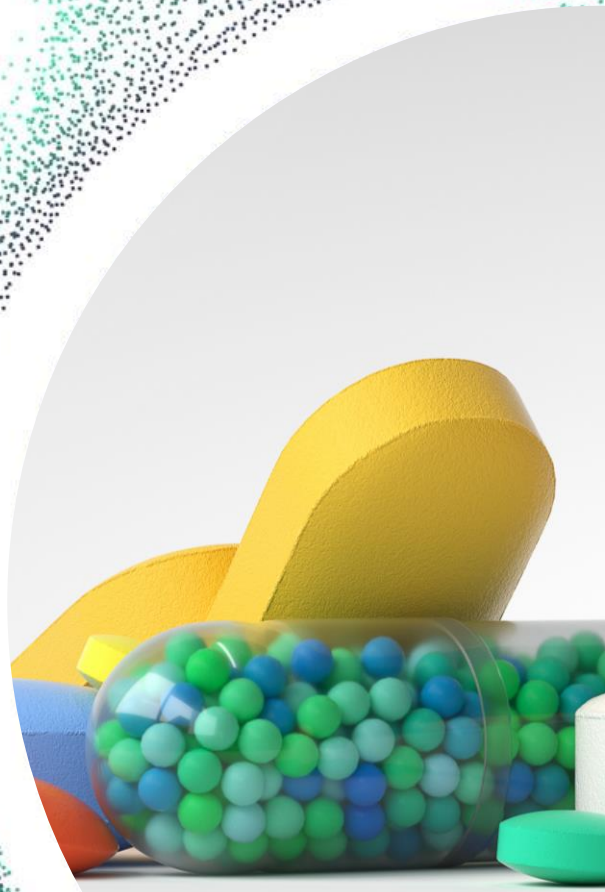
睡眠呼吸暂停

Zepbound 是一款 GIP（葡萄糖依赖性促胰岛素多肽）和 GLP-1（胰高血糖素样肽 -1）受体双重激动剂，将 GIP 和 GLP-1 肠促胰岛素的作用整合到一个分子中。OSA 患者通常肥胖，会出现浅快呼吸，或者会在睡眠期间停止呼吸。这些事件是由上呼吸道萎陷引起的。患者可能会出现血氧饱和度下降，许多人会在夜间打鼾或短暂醒来。由于睡眠中断，患者可能会出现日间症状，包括清晨头痛、日间过度嗜睡、疲劳、认知障碍和情绪变化。改变生活方式可能会有好处，例如改善睡眠卫生和减肥，但更严重的 OSA 可能需要机械性干预措施，例如经鼻持续气道正压通气 (CPAP)，甚至进行手术。由于后几种干预措施具有侵入性，比较理想的方法是通过药物治疗（如 zepbound）来改善 OSA。

III 期 SURMOUNT-OSA 临床试验达到了主要终点，替尔泊肽 (tirzepatide) 注射液 10mg 或 15mg 相比安慰剂可降低呼吸紊乱指数 (AHI)。基于上述结果，礼来 (Eli Lilly) 向美国 FDA 提交了 tirzepatide 用于治疗中度至重度 OSA 和肥胖症的申请，预计将于 2024 年 12 月 21 日获批。该药物资产有可能率先抢占市场，不仅为患者带来更广泛的心脏代谢获益，还为礼来这家大型制药公司增添销售额。

标签：潜在的重磅疗法，改变临床实践

附录



附录

CITELINE
a norstella company

涵盖的药物（按字母表顺序列出）：

APITEGROMAB |SRRK|
AT-007 |APLT|
AVUTOMETINIB |VSTM|
AXS-12 |AXSM|
BLENREP |GSK|
BRENSOCATIB |INSM|
BREXAFEMME |GSK|
BREZTRI AEROSPHERE |AZN|
CAGRISEMA |NVO |
CAPLYTA |ITCI|
CARDAMYST |MIST|
CLR 131 |CLRB|
CRINECERFONT |NBIX|
DATOPOTAMAB DERUXTECAN |DSNKY|
DEFACTINIB |VSTM|
DEPEMOKIMAB |GSK|
DERAMIOCEL |CAPR|
ELAMIPRETIDE |MITO|
ENHERTU |DSNKY|
FABHALTA |NVS|
FITUSIRAN |SNY|
GRANITE |GRTS|
GSK2140944 |GSK|
GSK3536819A |GSK|
HIZENTRA |CSL|
INAVOLISIB |ROG|
INO-3107 |INO|
INPEFA |LXRX|
IVONESCIMAB |SMMT|
JAKAFI |INCY|
KERENDIA |BAYN|
LERODALCIBEP |LIBT|
LNZ-100 |LENZ|
LYNPARZA |AZN|
MIM8 |NVO|
mRNA-1010 |MRNA|
NRX-101 |NRXP|
OCLAIZ |CAMX|
OLEZARSEN |IONS|
OZEMPIC |NVO|
PATRITUMAB DERUXTECAN |MRK|
PLOZASIRAN |ARWR|
PLUVICTO |NVS|
PRGN-2012 |PGEN|
PYRUKYND |AGIO|
QRX-003 |ALM|
REVUMENIB |SNDX|
REXULTI |OTSUKA|
RP-L102 |RCKT|
SCEMBLIX |NVS|
SEP-363856 |SUMITOMO|
SOTYKTU |BMY|
SUNLENCA |GILD|
SUSVIMO – DME |ROG|
SUSVIMO – DR |ROG|
TONMYA |TNXP|
TREMFYA – CD |JNJ|
TREMFYA – UC |JNJ|
UPLIZNA – IgG4-RD |AMGN|
UPLIZNA – MG |AMGN|
UPSTAZA |PTCT|
VESIGEL |URGN|
VTAMA |DRMT|
VYLOY |ASTELLAS|
XPOVIO |KPTI|
ZEGALOGUE |NVO|
CAGRISEMA |NVO|
ZOLGENSMA |NVS|
ZORYVE TOPICAL FOAM |ARQT|

点击直接跳转到任何药物页面

• 过敏 • A&I • CV • 皮肤病 • 内分泌疾病 • 血液学疾病 • 传染病 • 代谢疾病 • 神经病学疾病 • 肿瘤学疾病 • 眼科学疾病 • 精神病 • 肾脏疾病 • 呼吸系统疾病

BIOMEDTRACKER
CITELINE COMMERCIAL

CITELINE
a norstella company

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。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。

DATAMONITOR HEALTHCARE
CITELINE COMMERCIAL

Datamonitor Healthcare 为制药和医疗保健行业提供全面的业务信息解决方案。Datamonitor Healthcare 为全球制药和医疗保健市场提供治疗、战略和公司市场分析以及竞争情报方面的专业知识，帮助您最终做出有价值和盈利的决策。

版权所有 © 2024 Pharma Intelligence UK Limited (Citeline) - Norstella 旗下公司

本报告由 Citeline（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。