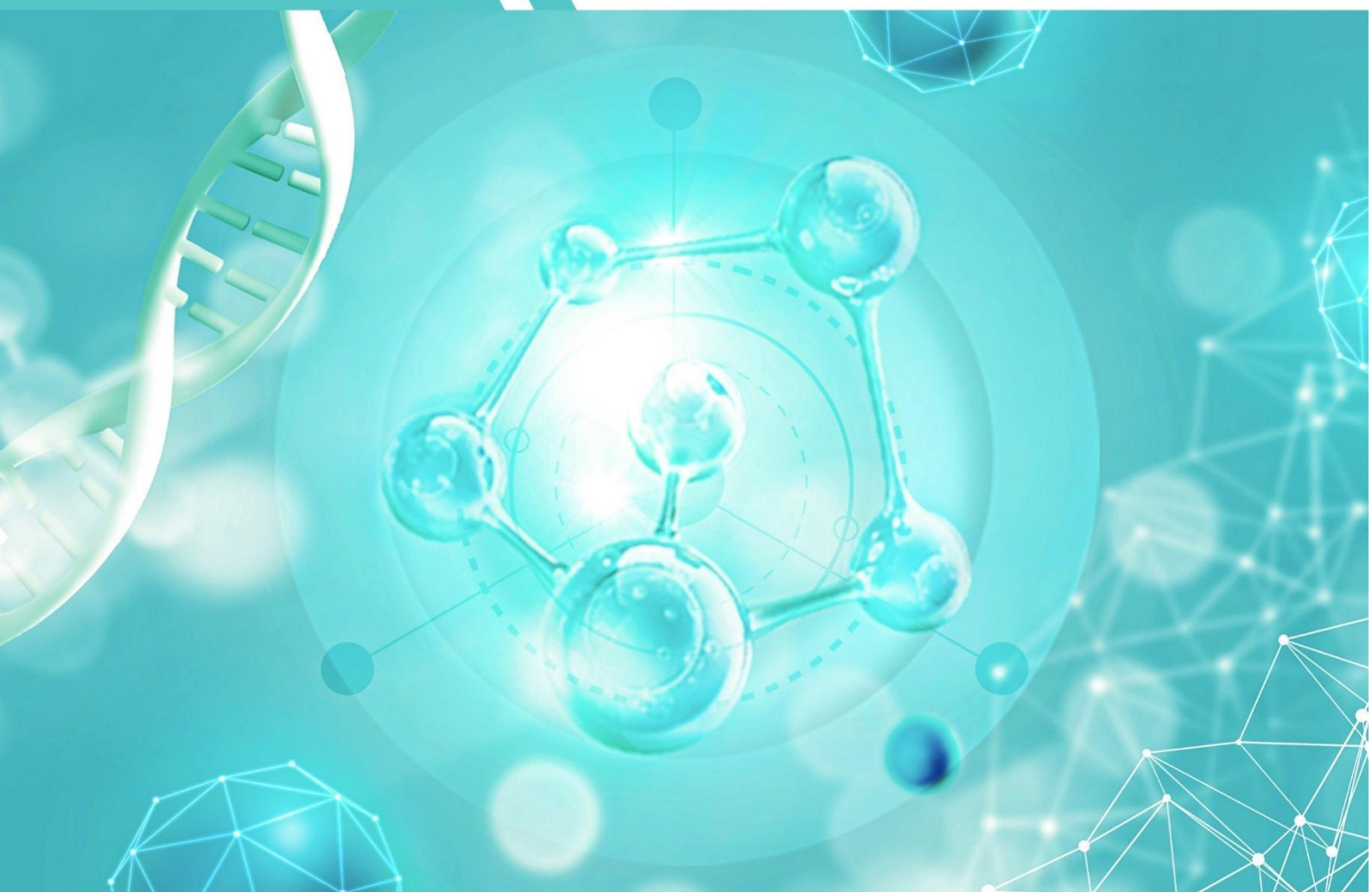


全球在研新药月报

— 2025 年 9 月



扫描二维码

申请摩熵医药数据库免费使用

www.pharnexcloud.com

目录

一、创新药最新政策速递	1
1.1 重点政策解读	1
➢ 国家药监局药审中心征求泛肿瘤药临床技术指导原则意见	1
➢ 国家药监局药审中心发布创新药研发期间风险管理计划撰写技术指导原则	1
➢ 国家药监局关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告	1
➢ 国家药监局药审中心发布创新药临床试验申请申报资料要求	2
➢ 国家药监局药审中心公开征求化学药品创新药晶型研究技术指导原则意见	2
二、本月国内新药注册申报分析	3
2.1 本月国内新药获批临床情况	3
2.2 本月国内新药获批上市情况	6
2.2.1 本月获批新药信息	6
2.2.2 本月获批新药简介	7
三、全球获孤儿药/突破性/快速通道资格认定品种盘点	9
四、全球在研创新药积极/失败临床结果 TOP20	11
➢ Antiva Biosciences 公司公布宫颈感染药物 ABI-2280 1b/2 期临床试验积极结果	13
➢ Upstream Bio 全球首创抗 TSLP 受体单抗 Verekitug 2 期临床取得积极结果	14
➢ 默沙东的 Enlicitide 治疗高胆固醇血症 3 期研究取得积极结果	14
➢ Ionis 的 Olezarsen 3 期研究取得积极结果，针对高甘油三酯血症	14
➢ 赛诺菲全球首创 OX40L 单抗 Amlitelimab 3 期研究成功	15
➢ 百利天恒公布 EGFR/HER3 双抗 ADC 伦康依隆妥单抗联合疗法 2 期积极数据	15
➢ 新元素药业痛风新药 ABP-671 全球 2b/3 期临床取得积极结果	15
➢ BioNTech 与 BMS 联合开发的 pumitamig 2 期临床试验中期数据公布	16
➢ Revolution Medicines 公布 daraxonrasib 临床 1 期试验最新进展	16
➢ Avidity Biosciences 治疗 DMD 突破性疗法亮眼数据公布	16
➢ Maze Therapeutics 公司公布 MZE782 1 期临床积极结果	17
➢ Purdue Pharma 公司公布 sunobinop 临床 1b 期初步积极结果	17
➢ 诺和诺德公布 cagrilintide 临床 3 期减肥结果	17

- 阿斯利康首创 IL-5R α 单抗本瑞利珠单抗 3 期 COPD 研究未达主要终点17
- 礼来口服 GLP-1RA orforglipron 在 3 期头对头研究中优于口服司美格鲁肽17
- Oruka Therapeutics 公司公布 ORKA-001 1 期临床试验中期数据18
- 罗氏口服 SERD 药物 Giredestrant 3 期研究成功18
- 百时美施贵宝首款 CELMoD 药物 3 期临床迎来关键胜利.....18
- 诺和诺德口服司美格鲁肽片减重药疗效结果公布19
- 康哲药业的磷酸芦可替尼乳膏特应性皮炎适应症国内 3 期临床达到主要终点.....19

五、全球创新药研发进展 TOP2020

- 迈威生物靶向 IL-11 单抗 9MW3811 针对病理性瘢痕的 2 期临床试验申请获受理.....21
- 恒瑞医药 1 类新药 HRS9531 注射液申报上市.....21
- 正大天晴的盐酸安罗替尼胶囊组合疗法新适应症申报上市.....21
- 赛诺菲用于延缓 1 型糖尿病进展的创新药替利珠单抗注射液在华获批.....21
- 扬子江药业新一代质子泵抑制剂菲优拉生获批上市22
- 诺诚健华的奥布替尼在新加坡获批用于治疗边缘区淋巴瘤.....22
- 荣昌生物的泰它西普新适应症申报上市，治疗干燥综合征.....22
- 强生的 INLEXZO 获 FDA 批准上市，治疗非肌层浸润性膀胱癌22
- 挚盟医药在研新药 CB03-154 获批在中国开展癫痫 2 期临床试验.....23
- 诺华重磅肺癌药物卡马替尼在中国获批新适应症23
- 石药集团/康宁杰瑞 HER2 双抗安尼妥单抗注射液申报上市23
- 默沙东来特莫韦片（II）在华获批上市24
- 康方生物癌症新药注射用 AK138D1 在中国获批临床.....24
- 拜耳 1 类新药 Gadoquatrane 注射液国内首次申报上市24
- 诺诚健华抗肿瘤 1 类新药被 CDE 纳入星光计划24
- 复宏汉霖 CDK4/6 抑制剂枸橼酸伏维西利胶囊在中国获批新适应症.....25
- 科伦博泰 1 类新药富马酸仑博替尼申报上市25
- 星曜坤泽乙肝联合疗法被 NMPA 纳入突破性治疗品种25
- 礼来治疗阿尔茨海默病药物多奈单抗在欧盟获批上市25
- 艾伯维向 FDA 递交帕金森小分子疗法上市申请26

一



创新药最新政策速递

9 月创新药相关政策一览表（部分）

发布日期	标题	颁发部门	信息分类
2025-09-04	针对泛肿瘤的抗肿瘤药物临床研究技术指导原则（征求意见稿）	国家药品监督管理局药品审评中心	其他
2025-09-12	创新药研发期间风险管理计划撰写技术指导原则（试行）	国家药品监督管理局药品审评中心	其他
2025-09-12	国家药监局关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告（2025 年第 86 号）	国家药品监督管理局药品审评中心	部门规范性文件
2025-09-12	国家药监局药审中心关于发布创新药临床试验申请申报资料要求等相关文件的通告（2025 年第 40 号）	国家药品监督管理局药品审评中心	部门规范性文件
2025-09-23	化学药品创新药晶型研究技术指导原则（征求意见稿）	国家药品监督管理局药品审评中心	其他

1.1 重点政策解读

➤ 国家药监局药审中心征求泛肿瘤药临床技术指导原则意见

9 月 4 日，国家药监局药审中心发布关于公开征求《针对泛肿瘤的抗肿瘤药物临床研究技术指导原则（征求意见稿）》意见的通知。针对泛肿瘤的抗肿瘤药物研发是当前新药研发的热点之一。由于泛肿瘤不同于传统基于病理组织定义的肿瘤，因此泛肿瘤药物的研发也有不同于常规抗肿瘤药物研发、需关注的问题。另一方面，泛肿瘤药物通常是针对肿瘤驱动因素的靶向治疗手段，因其治疗精准性而往往显示出突出的疗效。通过创新性的科学设计，将有利于加速疗效突出的抗肿瘤药物上市，尽早满足肿瘤患者，特别是伴有罕见突变的罕见肿瘤患者未满足的临床需求。本指导原则旨在阐述当前针对泛肿瘤药物临床研发中相关技术问题的考虑。本指导原则适用于抗肿瘤治疗性药物，不涵盖细胞治疗和基因治疗产品。本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认知，不能涵盖在抗肿瘤新药研发中遇到的所有情况，随着科学技术与试验方法的发展，相关内容将不断完善与更新。

➤ 国家药监局药审中心发布创新药研发期间风险管理计划撰写技术指导原则

9 月 12 日，国家药监局药审中心发布《创新药研发期间风险管理计划撰写技术指导原则（试行）》，该指导原则旨在规范创新药研发期间风险管理计划（DRMP）的撰写，确保临床试验中安全性风险的有效监测、识别、评估和控制，保障受试者安全，同时涵盖可能影响数据可靠性的风险，适用于创新药临床试验阶段的风险管理。该指导原则为申请人提供了系统性框架，强调全生命周期风险管理，有助于提升创新药研发的安全性和可靠性。

➤ 国家药监局关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告

9 月 12 日，国家药监局发布关于优化创新药临床试验审评审批有关事项的公告，通过政策引导与多方

协同，提升临床研发质量和效率，加速完成试点创新药临床试验申请审评审批，优化我国创新药临床试验研发生态。

药品审评审批制度改革以来，国家药监局持续优化临床试验管理，促进药物创新研发。2019 年实施 60 日默示许可后，药物临床试验审评审批效率大幅提升，通过一系列努力，我国药物临床试验审评审批平均用时缩减至约 50 个工作日，有力推动了创新药研发提速，支持了我国药物研发产业链融入全球研发体系，加快新药好药上市步伐。我国临床研发资源丰富，近年来我国药物临床试验机构和专业人员的经验、能力不断提升，早期、深入参与全球研发创新的条件已趋成熟。为此，国家药监局统筹现有审评审批资源，在 60 日默示许可基础上增设 30 日通道，在不影响 60 日默示许可通道审评审批效率的前提下，对部分有进一步加速需求的临床试验申请再提速。

➤ 国家药监局药审中心发布创新药临床试验申请申报资料要求

9 月 12 日，国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）发布了《创新药临床试验申请申报资料要求》等相关文件，旨在落实国家近期发布的医药改革政策，为创新药临床试验提供了更为明确的申报指南。

根据国家药监局最新公告，对符合要求的创新药临床试验申请，可在受理后 30 个工作日内完成审评审批。而纳入 30 日通道的中药、化学药品、生物制品 1 类创新药临床试验申请，应当满足以下条件之一：获国家全链条支持创新药发展政策体系支持的具有明显临床价值的重点创新药品种。国家药监局药品审评中心公布的符合条件的儿童创新药、罕见病创新药，以及中药创新药品种。全球同步研发品种（全球同步研发品种的 I 期、II 期临床试验，或我国药物临床试验机构主要研究者牵头/共同牵头开展的 III 期国际多中心临床试验）。同时，申请人需要承诺在获批后 12 周内启动临床试验。

文件强调了创新药生产工艺、质量研究及对临床试验风险的管控要求。另外，沟通交流机制也得到了优化，申请人需要简述与监管机构沟通交流的情况，包括历次沟通交流会议编号，监管机构给予书面反馈或召开会议列出主要反馈意见、双方达成的重要共识及遗留问题。这一机制有助于提高审评效率，减少因信息不对称导致的申报缺陷。

➤ 国家药监局药审中心公开征求化学药品创新药晶型研究技术指导原则意见

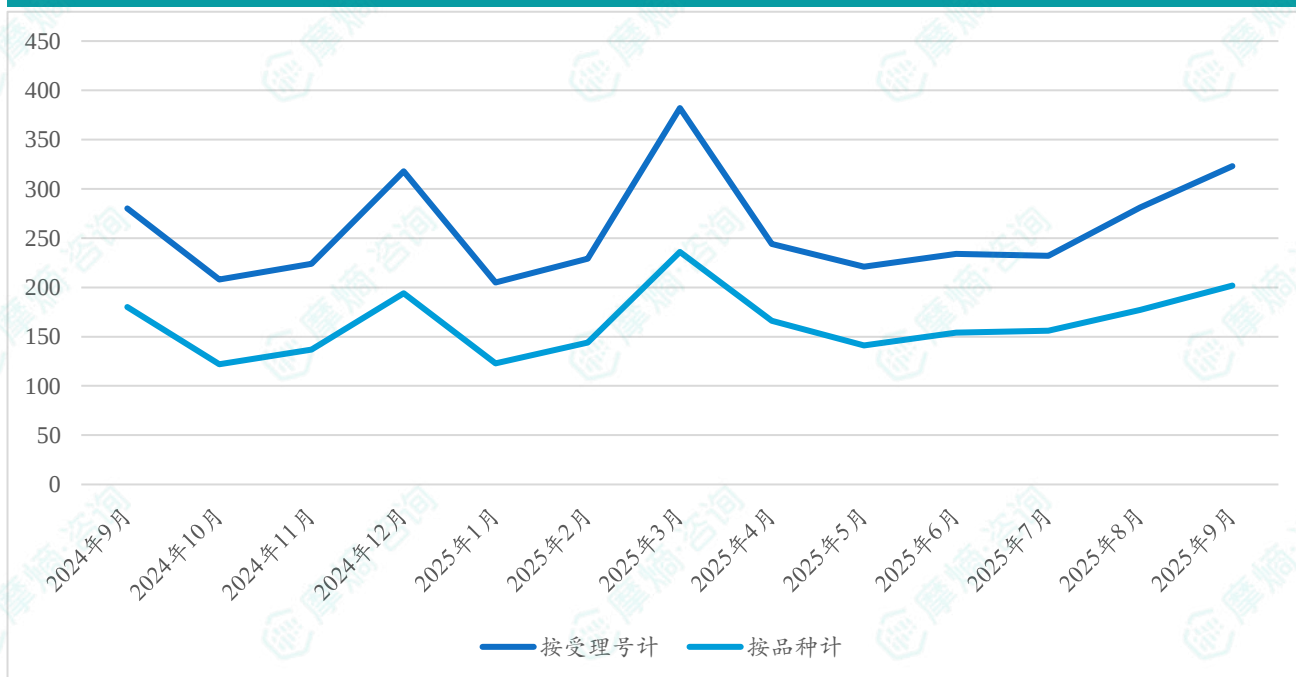
9 月 23 日，国家药监局药审中心网站公开征求《化学药品创新药晶型研究技术指导原则（征求意见稿）》意见，本指导原则结合创新药的特点和晶型研究的现状，并参考国内外晶型研究相关指导原则起草，旨在明确创新药晶型研究过程中的关注点及一般原则，涉及的晶型包括无水物、水合物、溶剂合物和无定型等。本指导原则适用于化学药品创新药的晶型研究。改良型新药品型的研究可参考本指导原则进行。应用本指导原则时，建议申请人同时参考药学研究相关技术要求，按照创新药研发一般规律开展研究。本指导原则仅代表药品监管部门当前的观点和认知，不具有强制性的法律约束力。随着科学研究的进展，本指导原则中的相关内容将不断完善与更新。



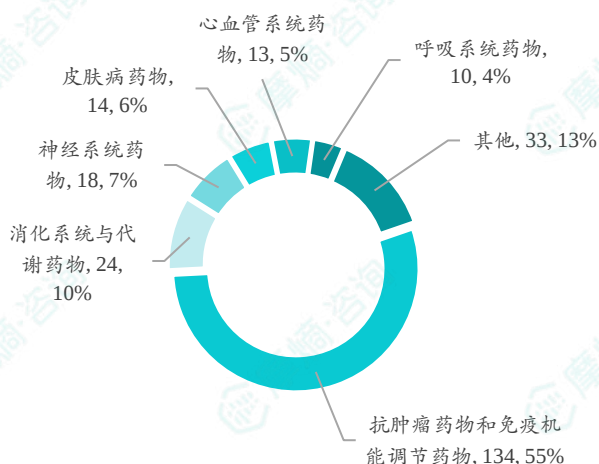
2.1 本月国内新药获批临床情况

根据摩熵医药数据库统计，2025 年 9 月共有 202 款新药获批临床（共计 323 个受理号），较上个月增加了 25 款，其中包括 85 款化药，109 款生物制品，8 款中药。本月获批临床受理号数量最多的新药为抗肿瘤药和免疫机能调节药物，有 134 个，占比 41%，消化系统与代谢药物获批数量也比较多，有 24 个。获批剂型主要为注射剂与片剂，分别有 167 个，98 个。

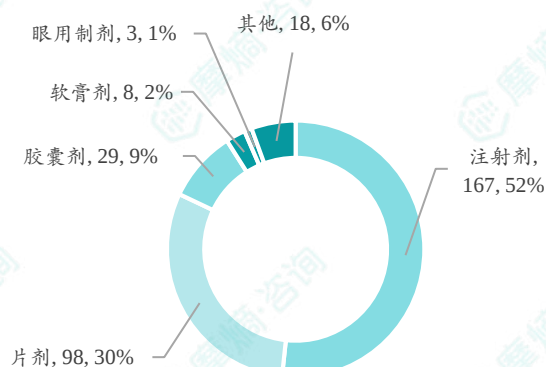
近一年获批临床新药数量



获批临床新药治疗领域分布（按受理号计）



获批临床新药剂型分布（按受理号计）



2025 年 9 月国内获批临床新药一览表（部分）

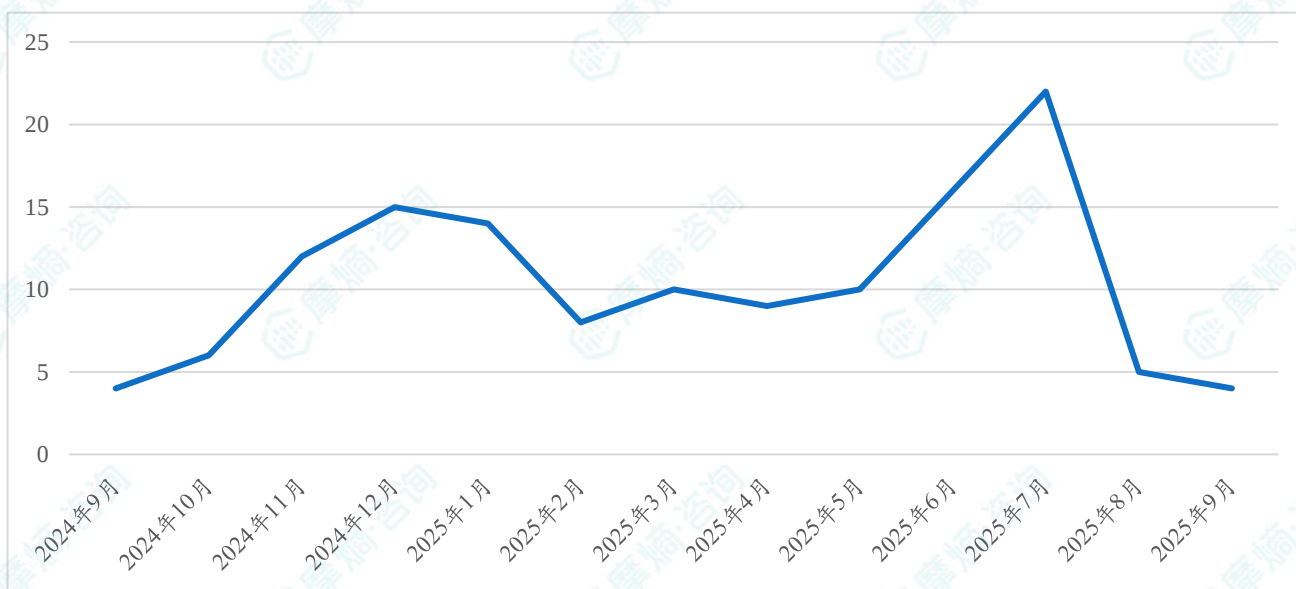
药品名称	注册类型	靶点（简）	临床默示许可适应症	CDE 企业名称	CDE 承办日期
PT886	治疗用生物制品:1	CD47、Claudin18.2	晚期实体瘤	凡恩世制药（北京）有限公司	2025-08-04
PF-08049820 水合物片	化药:1	——	中度至重度特应性皮炎 (AD) 和相关 2 型炎症性疾病	Pfizer Inc.; Pfizer (Beijing) Research and Development Co., Ltd.	2025-07-30
QLS1410 片	化药:1	CYP11B2	拟用于治疗未受控制的高血压	齐鲁制药有限公司	2025-07-29
AZD9592	治疗用生物制品:1	EGFR、c-Met、TOP1	晚期实体瘤	AstraZeneca AB; BSP Pharmaceuticals S.p.A.	2025-07-28
TJ101 注射液	治疗用生物制品:1	GHR	用于因内源性生长激素缺乏所引起的儿童生长缓慢	天境生物科技（杭州）有限公司	2025-07-16
注射用 AK138D1	治疗用生物制品:1	HER3、TOP1	晚期恶性肿瘤	中山康方生物医药有限公司	2025-07-15
扶正通淋丸	中药:1.1	——	良性前列腺增生	山东康众宏医药科技开发有限公司	2025-07-12
SGB-3383 注射液	化药:1	CFB	拟用于治疗补体介导的血液疾病（如阵发性睡眠性血红蛋白尿症、非典型溶血尿毒综合征）	苏州圣因生物医药有限公司	2025-07-10
Orforglipron 片	化药:1	GLP-1R	超重或肥胖成人患者的膝关节骨关节炎疼痛	Eli Lilly and Company; Lilly Suzhou Pharmaceutical Co., Ltd.	2025-07-10
HRS-2129 片	化药:1	——	成人骨关节炎疼痛	山东盛迪医药有限公司；上海恒瑞医药有限公司	2025-07-09

药品名称	注册类型	靶点（简）	临床默示许可适应症	CDE 企业名称	CDE 承办日期
Mezigdomide 胶囊	化药:1	CRBN	复发或难治性多发性骨髓瘤	Celgene Corporation; Bristol-Myers Squibb (China) Investment Co., Ltd.	2025-07-09
GR1803 注射液	治疗用生物制品:1	BCMA、CD3	系统性红斑狼疮	智翔(上海)医药科技有限公司; 重庆智翔金泰生物制药股份有限公司	2025-07-08
GZR101-80 注射液	治疗用生物制品:1	Insulin、INSR	1 型和 2 型糖尿病	甘李药业山东有限公司	2025-07-05
P052 注射液	化药:1	——	2 型糖尿病	惠升生物制药股份有限公司	2025-07-04
SHR-1139 注射液	治疗用生物制品:1	——	溃疡性结肠炎	广东恒瑞医药有限公司	2025-07-04
MK-7240 注射液	治疗用生物制品:1	TNFSF15	强直性脊柱炎	Merck Sharp & Dohme LLC	2025-07-04
BBT002 注射液	治疗用生物制品:1	——	中重度慢性阻塞性肺病	杉竹曜(北京)生物医药科技有限公司	2025-07-02
AZD2936	治疗用生物制品:1	PD-1、TIGIT	晚期或转移性非小细胞肺癌	AstraZeneca AB; AstraZeneca Global R&D (China) Co., Ltd.	2025-07-02
ALK2401 片	化药:1	——	周围神经病理性疼痛	艾立康(合肥)医药科技有限公司	2025-06-28
QLH12016 胶囊	化药:1	AR、UBE3	拟用于晚期前列腺癌	齐鲁制药有限公司	2025-06-27
ICP-332 片	化药:1	TYK2-JH1	结节性痒疹	广州诺诚健华医药科技有限公司	2025-06-27

2.2 本月国内新药获批上市情况

2.2.1 本月获批新药信息

近一年获批上市新药数量



2025 年 9 月国内获批上市的新药

药品名称	受理号	参考适应症	注册类型	申报企业名称	承办日期	靶点/作用机制
宗艾替尼片	JXHS2500002	用于治疗携带HER2（ERBB2）激活突变且既往接受过系统治疗的不可切除或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者	化药:1	Boehringer Ingelheim International GmbH; Hovione Farmaciencia S.A.; Boehringer Ingelheim (China) Investment Co.,Ltd	2025-01-15	HER2
泽美妥司他片	CXHS2400102	用于既往接受过至少 1 线系统性治疗的复发或难治外周 T 细胞淋巴瘤	化药:1	江苏恒瑞医药股份有限公司	2024-10-11	EZH2

药品名称	受理号	参考适应症	注册类型	申报企业名称	承办日期	靶点/作用机制
盐酸非苏拉生片	JXHS2300055	反流性食管炎	化药:5.1	Daewoong Pharmaceutical Co., Ltd.; Yangtze River Pharmaceutical Group Shanghai Haini Pharmaceutical Co., Ltd.	2023-06-27	ATP4A、Na ⁺ /K ⁺ - ATPases
雌二醇透皮喷雾剂	JXHS2400017	绝经后女性治疗中度至重度血管舒缩症 (vasomotor symptoms , VMS)	化药:5.1	Gedeon Richter Plc.; Gedeon Richter Romania SA; Gedeon Richter Pharmaceutical (China) Company Limited	2024-02-24	Estradiol

备注：（1）此处所列新药，主要是指国家药品监督管理局（NMPA）首次批准在中国上市的药品，包括新分子实体（以及包含有新分子实体的复方）、生物药、中药和疫苗。其中，新分子实体主要是化药注册分类下的 1 类（境内外均未上市的创新药）、5.1 类（境外上市的原研药申请在国内上市）；生物药主要为 NMPA 首次批准的国产及进口生物药。获批上市新药不包括生物类似物，新适应症、新剂型。（2）更多信息如获批临床品种全球上市及研发进展、相关靶点全局分析等，可通过摩熵医药全球研发数据库和（或）联系摩熵医药客服获取并下载 EXCEL 表格。

2.2.2 本月获批新药简介

➤ 勃林格殷格翰口服 HER2 抑制剂宗艾替尼片在华获批上市

9 月 1 日，中国国家药监局发布药品批准证明文件送达信息，批准勃林格殷格翰申报的 1 类创新药宗艾替尼片，该药单药适用于治疗存在 HER2（ERBB2）激活突变且既往接受过至少一种系统治疗的不可切除的局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者。公开资料显示，宗艾替尼片（zongertinib）是一款口服、不可逆 HER2 酪氨酸激酶抑制剂。由于该药物不与野生型 EGFR 结合，因而其相关毒性较低。该产品已经于今年 8 月 9 日获美国 FDA 加速批准上市，专门用于治疗经 FDA 批准检测证实肿瘤存在 HER2 酪氨酸激酶结构域（TKD）激活突变、且既往接受过全身治疗的不可切除或转移性非鳞状非小细胞肺癌的成年患者。值得一提的是，中国生物制药于 2024 年 4 月通过合作与勃林格殷格翰共同在中国大陆地区研发和商业化多款肿瘤药物管线，包括这款 zongertinib。

➤ 恒瑞医药 1 类新药泽美妥司他片获批上市

9 月 1 日，中国国家药监局发布药品批准证明文件送达信息，批准恒瑞医药申报的 1 类创新药泽美妥司他片上市，该药品适用于既往接受过至少 1 线系统性治疗的复发或难治外周 T 细胞淋巴瘤成人患者。公开资料显示，这是恒瑞医药研发的新型、选择性口服 EZH2 抑制剂 SHR2554，对野生型和突变型 EZH2 均表现出强抑制性。2024 年 6 月，SHR2554 治疗复发或难治外周 T 细胞淋巴瘤（PTCL）患者的 II 期临床试验（SHR2554-I-101）主要研究终点结果达到方案预设的优效标准。该研究 II 期阶段旨在评估 SHR2554 单药

2025 年 9 月全球在研新药月报

治疗复发或难治 PTCL 受试者的抗肿瘤疗效和安全性。主要研究终点为由独立影像评审委员会（IRC）基于 Lugano 2014 评估的客观缓解率（ORR）。截至 2024 年 6 月，共计 67 例患者接受 SHR2554 单药治疗，研究表明，与预设的历史数据相比，SHR2554 单药在复发或难治 PTCL 患者中取得了显著的且有临床意义的改善。

➤ 扬子江药业新一代质子泵抑制剂菲优拉生获批上市

9 月 5 日，国家药品监督管理局（NMPA）官网显示，扬子江与 Daewoong Pharmaceutical（大熊制药）合作开发的盐酸菲优拉生片（fexuprazan，曾用名：非苏拉赞）获批上市，根据其注册临床研究信息，推测其适应症为：用于治疗反流性食管炎。盐酸菲优拉生片是一款新型钾离子竞争性酸阻滞剂（P-CAB）、新一代质子泵抑制剂（PPI），能够可逆地阻断分泌胃酸的质子泵，治疗胃食管反流病。2021 年 3 月，扬子江药业子公司海尼药业与大熊制药就盐酸菲优拉生片达成合作。根据协议条款，海尼药业获得该药在中国的研发和商业化权益，向大熊制药最高支付 3800 亿韩元(3.38 亿美元)，包括 68 亿韩元首付款和 136 亿韩元里程碑付款。海尼药业负责盐酸菲优拉生片的临床开发和审批程序，扬子江药业负责整个市场销售。

➤ 吉瑞大药厂的雌二醇透皮喷雾剂获批上市

9 月 15 日，NMPA 批准我国首个雌二醇透皮喷雾剂上市，适应症为绝经后女性治疗中度至重度血管舒缩症（VMS）。中度至重度血管舒缩症（VMS）是更年期综合征中最常见的表现之一，其病因与雌激素，尤其是雌二醇水平下降及下丘脑体温调节功能紊乱密切相关。适当补充雌二醇是缓解更年期症状最为直接的治疗手段。女性健康是吉瑞大药厂的核心业务之一，产品管线主要包括用于育龄期女性的避孕药，以及绝经前后更年期综合征，此次获批的雌二醇透皮喷雾剂，便是核心产品之一。雌二醇是一种内源性雌激素，雌二醇可逆性地转化为雌酮，而雌二醇和雌酮均可转化为主要代谢产物雌三醇。临床上可作为激素替代疗法，治疗绝经后女性的雌激素缺乏症状，以及绝经后女性的血管舒缩症状（VMS），如潮热、盗汗等。

三



全球获孤儿药/突破性/快速通道资格认定品种盘点

9 月全球孤儿药/突破性/快速通道资格认定品种一览表（部分）

药品名称	靶点	适应症	参与研发的企业	全球最高研发阶段	特殊审批
elamipretide	NOS2、mPTP	巴特综合征	Atnahs Pharma UK Limited; Stealth BioTherapeutics Inc	批准上市	加速批准：美国：巴特综合征：2025-09-19
zongertinib	HER2	转移性非小细胞肺癌、非小细胞肺癌	勃林格殷格翰; 中国生物制药有限公司	批准上市	突破性疗法：美国：转移性非小细胞肺癌：2025-09-03
risankizumab	IL-23	银屑病关节炎、斑片状银屑病、克罗恩氏病、溃疡性结肠炎、银屑病、脓疱性银屑病	艾伯维; 勃林格殷格翰	批准上市	孤儿药：日本：脓疱性银屑病：2025-09-01
octreotide hydrochloride	SSTR	出血、腹泻、内分泌肿瘤、胰岛素瘤、肢端肥大症	Camurus AB	批准上市	孤儿药：美国：常染色体显性遗传性多囊肾：2025-09-08
sonpiretigene isteparvovec	OPSIN	视网膜色素病变、视网膜营养不良、施塔加特病	Nanoscope Technologies LLC	申请上市	再生医学先进疗法：美国：施塔加特病：2025-09-02
raludotatug deruxtecan	CDH6、TOP1	腹膜肿瘤、实体瘤、输卵管癌、转移性卵巢癌、子宫内膜癌、卵巢癌、原发性腹膜癌	第一三共制药; 默克	III 期临床	突破性疗法：美国：腹膜肿瘤：2025-09-15
obudanersen	UBE3A	天使综合征（Angelman 综合征）	Ionis 制药	III 期临床	突破性疗法：美国：天使综合征（Angelman 综合征）：2025-09-09

药品名称	靶点	适应症	参与研发的企业	全球最高研发阶段	特殊审批
GLSI-100	EGFR、HER2、GM-CSF	乳腺癌、HER2 阳性乳腺癌	Greenwich LifeSciences; NuGenerex Immuno-Oncology Inc	III 期临床	快速通道：美国：HER2 阳性乳腺癌：2025-09-10
etalanetug	Tau	阿尔茨海默大型痴呆	卫材; 伦敦大学学院	III 期临床	快速通道：美国：阿尔茨海默大型痴呆：2025-09-16
ligufalimab	CD47	鳞状细胞癌、头颈部鳞状细胞癌、转移性头颈癌	中山康方生物医药有限公司	III 期临床	孤儿药：美国：急性髓系白血病：2025-09-11
Olomorasib	KRAS G12C	非小细胞肺癌、转移性非小细胞肺癌	礼来	III 期临床	突破性疗法：美国：转移性非小细胞肺癌：2025-09-04 突破性疗法：美国：非小细胞肺癌：2025-09-04
emrusolmin	PRNP、SNCA	多系统萎缩	MODAG GmbH; 梯瓦	II 期临床	快速通道：美国：多系统萎缩：2025-09-09
NS-229	JAK1	变应性肉芽肿性血管炎	日本新药株式会社	II 期临床	快速通道：美国：变应性肉芽肿性血管炎：2025-09-09
ETX-101	SCN1A	Dravet 综合征	Encoded Therapeutics Inc; 西北大学范伯格医学院	II 期临床	再生医学先进疗法：美国：Dravet 综合征：2025-09-02
CNP-106	AChR	重症肌无力	Cour Pharmaceutical Development Co Inc	II 期临床	孤儿药：美国：重症肌无力：2025-09-12
RGT-61159	MYB	结肠直肠癌、腺样囊性癌	Rgenta Therapeutics	I 期临床	孤儿药：美国：腺样囊性癌：2025-09-03
MVX-220	UBE3A	天使综合征 (Angelman 综合征)	GEMMA Biotechnology; MavriX Bio LLC	I 期临床	快速通道：美国：天使综合征 (Angelman 综合征)：2025-09-22

四



全球在研创新药积极/失败临床结果 TOP20

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
9 月 1 日	Antiva Biosciences	ABI-2280	HPV structural protein	hrHPV 宫颈感染	1b/2 期数据：接受为期两周、累计 3 mg 剂量治疗的患者中，有 46% 在第 12 周实现 hrHPV 转阴，而安慰剂组仅为 16%。此外，ABI-2280 的疗效持久。
9 月 2 日	Upstream Bio	Verekitug	TSLPR	慢性鼻-鼻窦炎伴鼻息肉	2 期数据：第 24 周时，Verekitug 组经安慰剂组调整的鼻息肉评分降低了 -1.8 分 ($P<0.0001$)。此外，患者报告的鼻塞评分经安慰剂组调整后显著降低了 -0.8 分 ($P=0.0003$)。
9 月 2 日	默沙东	Enlicitide	PCSK9	高胆固醇血症	3 期数据：该研究成功达到了所有主要和关键次要终点。在第 24 周时，与安慰剂组相比，Enlicitide 组患者的 LDL-C 水平、非高密度脂蛋白胆固醇 (non-HDL-C)、载脂蛋白 B (ApoB) 水平和脂蛋白 (a) 水平均实现了具有统计学意义和临床意义的降低。
9 月 2 日	Ionis	Olezarsen	APOC3	高甘油三酯血症	3 期数据：其反义寡核苷酸 (ASO) 疗法 Olezarsen 可使患者的空腹甘油三酯相较安慰剂平均降低 72%，急性胰腺炎事件减少 85%，同时具备良好的安全性与耐受性。
9 月 4 日	赛诺菲	Amltelimab	OX40L	特应性皮炎	3 期数据：从无应答者填补角度（包括在第 24 周之前使用过抢救/禁用药物且数据缺失的患者）评估，Amltelimab (Q4W) 组、Amltelimab (Q12W) 组和安慰剂组达到 vIGA-AD 0/1 的患者比例分别为 21.1%、22.5% 和 9.2%，达到 EASI-75 的患者比例分别为 35.9%、39.1% 和 19.1%。
9 月 8 日	百利天恒	iza-bren	EGFR、HER3	非小细胞肺癌	2 期数据：ORR 100%，cORR 95%（2 例 PR 待确认），DCR 100%，mDoR 未达到。所有靶病灶均缩小：靶病灶缩瘤率 100%。
9 月 8 日	新元素药业	ABP-671	URAT1	痛风、高尿酸血症	2b/3 期数据：ABP-671 展现出优异的降尿酸作用，在血尿酸水平 <6 mg/dL ($360\mu\text{mol/L}$) 时达标率更高，在更严格的阈值 <5 mg/dL ($300\mu\text{mol/L}$) 和 <4 mg/dL ($240\mu\text{mol/L}$) 下同样表现出更优的达标情况。

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
9 月 9 日	BioNTech、BMS	pumitamig	PD-L1	小细胞肺癌	2 期数据：在 38 例可评估疗效的患者中，确认的客观缓解率为 76.3%（20 mg/kg 剂量组为 85.0%，30 mg/kg 剂量组为 66.7%），疾病控制率为 100%。肿瘤体积平均缩小了 56.7%，89.5% 的患者实现了早期肿瘤缩小。
9 月 10 日	Revolution Medicines	daraxonrasib	KRAS	转移性胰腺导管腺癌	1 期数据：携带 RAS G12X 突变或携带任何 RAS 突变患者，其确认客观缓解率（ORR）分别为 35% 与 29%，疾病控制率（DCR）则分别为 92% 与 95%，中位无进展生存期（PFS）约 8.5 个月与 8.1 个月，中位总生存期（OS）达 13.1 与 15.6 个月。
9 月 11 日	Avidity Biosciences	delpacibart zotadirsen	DMD	杜氏肌营养不良症	分析显示，在接受 del-zota 治疗的受试者中，总抗肌萎缩蛋白（dystrophin）最高恢复至正常水平的 58%。肌酸激酶（CK）水平较基线快速下降超过 80%，并在最长 16 个月的随访期间维持在接近正常的水平。此外，在接受一年治疗后，50% 的受试者 CK 水平恢复到正常范围。
9 月 15 日	Maze Therapeutics	MZE782	SLC6A19	苯丙酮尿症、慢性肾脏病	1 期数据：所有单递增剂量（SAD）和多递增剂量（MAD）组均观察到剂量依赖性的尿氨基酸排泄增加。在 240 mg 每日两次剂量队列中，观察到第 7 天 24 小时内尿 Phe 排泄量增加了 42 倍。
9 月 15 日	Purdue Pharma	sunobinop	OPRL1	间质性膀胱炎/膀胱疼痛综合征	1b 期数据：接受 sunobinop 治疗的患者中有 41% 报告其整体 IC/BPS 症状（包括膀胱疼痛减轻、尿急和尿频减少、单次排尿量增加）出现显著或中度改善，而安慰剂组的改善率仅为 9%。
9 月 16 日	诺和诺德	cagrilintide	AMYR	肥胖	3 期数据：经过 68 周的治疗，cagrilintide 组参与者的平均体重减轻达到 12.5 公斤，相当于体重的 11.8%，而安慰剂组仅减轻 2.5 公斤，即 2.3%。在 cagrilintide 治疗组中，31.6% 的参与者实现了至少 15% 的显著体重减轻，而安慰剂组仅有 4.7% 的参与者达到此目标。

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
9 月 17 日	阿斯利康	本瑞利珠单抗	IL-5R	慢性阻塞性肺疾病	3 期数据：试验虽然显示出数值上的改善,但未能达到主要终点的统计学显著性。
9 月 17 日	礼来	orforglipron	GLP-1R	2 型糖尿病	3 期数据：在 52 周时, orforglipron 所有剂量组均达到了主要终点和所有关键次要终点, 在糖化血红蛋白（A1C）和体重改善方面均优于口服司美格鲁肽。
9 月 22 日	Oruka Therapeutics	ORKA-001	IL-23	斑块状银屑病	1 期数据:ORKA-001 的半衰期约为 100 天, 增加了其每年给药一次的潜力。ORKA-001 具有良好的 PK 特征, 可实现更高的药物暴露水平, 从而可能带来更强的疗效和更长的停药后缓解期。
9 月 22 日	罗氏	Giredestrant	ER	乳腺癌	3 期数据: 该研究达到了主要终点, ITT 人群和 ESR1 突变亚组经 Giredestrant 联合依维莫司治疗后, PFS 均实现了具有统计学意义和临床意义的延长效果。
9 月 23 日	百时美施贵宝	iberdomide	CRBN	多发性骨髓瘤	3 期数据: iberdomide 联合标准治疗方案（达雷妥尤单抗及地塞米松）, 用于复发难治性多发性骨髓瘤（RRMM）患者, 在微小残留病（MRD）阴性率方面较对照组取得了具有统计学意义的显著改善。
9 月 23 日	诺和诺德	口服司美格鲁肽片	GLP-1R	肥胖	3 期数据：在 64 周时, 在所有患者依从治疗的情况下, 口服司美格鲁肽片 25 mg 组患者实现了 16.6% 的平均体重降幅, 而安慰剂组这一数字则为 2.7%; 口服司美格鲁肽片 25 mg 组患者中有 1/3 以上（34.4%）实现了 20% 及以上的体重降幅, 安慰剂组这一比例为 2.9%。
9 月 26 日	康哲药业	磷酸芦可替尼乳膏	JAK1、JAK2	特应性皮炎	3 期数据: 使用芦可替尼乳膏治疗 8 周, 达到研究者整体评估（IGA）评分为 0 或 1 分, 且较基线改善 ≥ 2 分的受试者比例, 显著高于安慰剂（63.0% vs 9.2%, $P < 0.001$ ）。

➤ Antiva Biosciences 公司公布宫颈感染药物 ABI-2280 1b/2 期临床试验积极结果

9 月 1 日, Antiva Biosciences 公司宣布, 其治疗 hrHPV 宫颈感染的局部外用疗法 ABI-2280 的 1b/2 期临床试验取得积极的顶线结果。ABI-2280 是一种 PMEG 二磷酸盐的无环核苷磷酸酯前药, 可经阴道由患者自行给药。该药物能快速被宫颈上皮细胞吸收, 达到有效治疗浓度, 同时最大限度减少全身暴露, 从而降低

系统性毒性风险。ABI-2280 具有独特的双重抗增殖和抗病毒作用机制：它通过直接抑制 HPV 复制所依赖的人类 DNA 聚合酶发挥作用，能诱导感染细胞凋亡，同时保护未感染的正常细胞。由于其靶点是人体 DNA 聚合酶而非特定病毒蛋白，ABI-2280 对所有 HPV 亚型均具有广谱活性，有望治疗全球范围内的各种 HPV 感染，且不易产生耐药性，并可能对免疫功能低下（如 HIV 感染者）的患者也有效。

此次公布的结果显示，该临床试验达到了主要终点和所有次要终点。在治疗第 12 周，接受 ABI-2280 治疗的患者 hrHPV 转阴率显著高于安慰剂组（具有统计学意义）。具体而言，接受为期两周、累计 3 mg 剂量治疗的患者中，有 46% 在第 12 周实现 hrHPV 转阴，而安慰剂组仅为 16%。此外，ABI-2280 的疗效持久。根据中期数据，在第 12 周实现 hrHPV 转阴的患者中，有 87% 在第 24 周仍维持 hrHPV 阴性状态。安全性方面，ABI-2280 表现出良好的耐受性，最常见的不良事件均为轻度或中度，且局限于用药部位。

➤ Upstream Bio 全球首创抗 TSLP 受体单抗 Verekitug 2 期临床取得积极结果

9 月 2 日，Upstream Bio 宣布 Verekitug (UPB-101) 治疗慢性鼻-鼻窦炎伴鼻息肉 (CRSwNP) 的 II 期 VIBRANT 研究取得了积极结果。Verekitug 是安斯泰来开发的一种靶向胸腺基质淋巴细胞生成素 (TSLP) 受体的新型重组全人免疫球蛋白 G1 (IgG1) 单克隆抗体，可与 TSLP 受体结合并抑制 TSLP 介导的促炎性信号传导，从而起到治疗哮喘等炎症性疾病的作用。VIBRANT 研究是一项全球性、多中心、随机、双盲、安慰剂对照临床试验 (n=81)，旨在评估 Verekitug (100mg，每 12 周 1 次，皮下注射) 治疗在背景治疗中接受鼻内皮质类固醇治疗的 CRSwNP 成人患者的疗效和安全性。研究的主要终点是第 24 周时内窥镜鼻息肉评分较基线的变化。结果表明，第 24 周时，Verekitug 组经安慰剂组调整的鼻息肉评分降低了 -1.8 分 ($P<0.0001$)。此外，患者报告的鼻塞评分经安慰剂组调整后显著降低了 -0.8 分 ($P=0.0003$)。其他关键次要终点也实现了显著改善，包括鼻窦混浊程度减轻、全身性皮质类固醇或鼻息肉手术需求减少以及总症状评分 (TSS) 下降。

➤ 默沙东的 Enlicitide 治疗高胆固醇血症 3 期研究取得积极结果

9 月 2 日，默沙东宣布 Enlicitide 治疗高胆固醇血症的 III 期 CORALreef Lipids 研究取得了积极结果。该研究是 Enlicitide 目前已完成的最大规模的 III 期研究。此前，该药物已顺利完成两项 III 期研究。CORALreef Lipids 研究是一项随机、双盲、安慰剂对照临床试验 (n=)，评估了 Enlicitide 在接受稳定降脂疗法（包括至少一种他汀类药物）治疗或对他汀类药物不耐受的有主要动脉粥样硬化性心血管疾病 (ASCVD) 事件史或首次 ASCVD 事件风险增加的高胆固醇血症成人患者中的疗效、安全性和耐受性。研究的主要终点是治疗第 24 周时低密度脂蛋白胆固醇 (LDL-C) 水平相对于基线的平均百分比变化。结果显示，该研究成功达到了所有主要和关键次要终点。在第 24 周时，与安慰剂组相比，Enlicitide 组患者的 LDL-C 水平、非高密度脂蛋白胆固醇 (non-HDL-C)、载脂蛋白 B (ApoB) 水平和脂蛋白 (a) 水平均实现了具有统计学意义和临床意义的降低。安全性方面，两个治疗组之间报告不良事件 (AE) 和严重不良事件 (SAE) 的患者比例没有临床意义的差异。两个治疗组因 AE 导致的停药率均较低且类似。

➤ Ionis 的 Olezarsen 3 期研究取得积极结果，针对高甘油三酯血症

9 月 2 日，小核酸龙头 Ionis 宣布，其在严重高甘油三酯血症 (sHTG) 患者中开展的关键性 3 期 CORE 和 CORE2 研究取得积极结果。数据显示，其反义寡核苷酸 (ASO) 疗法 Olezarsen 可使患者的空腹甘油三酯相较安慰剂平均降低 72%，急性胰腺炎事件减少 85%，同时具备良好的安全性与耐受性。基于此积极结果，Ionis 计划在年底前向美国 FDA 提交补充新药申请 (sNDA)，Ionis 的股价也顺势暴涨近 35%。Olezarsen 是一种靶向 APOC3 mRNA 的 ASO。此前，Olezarsen 已于 2024 年 12 月获得美国 FDA 批准用于作为饮食控

制的辅助治疗，以降低家族性乳糜微粒血症综合征（FCS）成人患者的甘油三酯。如果新适应症获得批准，Olezarsen 将拓展适应症成为 Ionis 旗下首款面向广泛人群的 ASO 疗法。

➤ 赛诺菲全球首创 OX40L 单抗 Amltelimab 3 期研究成功

9 月 4 日，赛诺菲宣布 Amltelimab 治疗特应性皮炎的 III 期 COAST 1 研究达到了所有主要终点和次要终点。Amltelimab 是赛诺菲开发的一款靶向 OX40L（OX40 配体）的全人源非 T 细胞耗竭性单克隆抗体，可阻断关键免疫调节因子 OX40L 与其受体 OX40 结合，并保持促炎性 T 细胞和调节性 T 细胞之间的平衡，进而起到治疗特应性皮炎、哮喘、化脓性汗腺炎等一系列免疫性疾病和炎症性疾病的作用。该药物是目前唯一一款 III 期阶段 OX40L 抗体。COAST 1 研究是一项全球性、多中心、随机、双盲、安慰剂对照临床试验（n=601），评估了 Amltelimab 对比安慰剂治疗患有中重度特应性皮炎的 12 岁及以上青少年和成人患者的有效性和安全性。在该研究中，试验组患者首先接受负荷剂量为 500mg（体重低于 40kg 则减为 250mg）的 Amltelimab 治疗，随后接受每 4 周 1 次（Q4W）或每 12 周 1 次（Q12W）的 Amltelimab（250mg，体重低于 40kg 则减为 125mg）治疗。结果显示，从无应答者填补角度（包括在第 24 周之前使用过抢救/禁用药物且数据缺失的患者）评估，Amltelimab（Q4W）组、Amltelimab（Q12W）组和安慰剂组达到 vIGA-AD 0/1 的患者比例分别为 21.1%、22.5%和 9.2%，达到 EASI-75 的患者比例分别为 35.9%、39.1%和 19.1%。若从治疗策略角度（包括在第 24 周之前使用过急救药物的患者）评估，Amltelimab（Q4W）组、Amltelimab（Q12W）组和安慰剂组达到 vIGA-AD 0/1 的患者比例分别为 26.5%、29.1%和 10.5%，达到 EASI-75 的患者比例分别为 46.0%、50.3%和 27.6%。此外，在两个治疗组中，在治疗期间观察到疗效逐渐增加，没有平台期。

➤ 百利天恒公布 EGFR/HER3 双抗 ADC 伦康依隆妥单抗联合疗法 2 期积极数据

9 月 8 日，百利天恒公布了奥希替尼联合其 EGFR/HER3 双抗 ADC 伦康依隆妥单抗（iza-bren）治疗局晚期或转移性 EGFR 突变非小细胞肺癌患者的 II 期临床研究数据：截至 2025 年 3 月 10 日，该研究共纳入 154 例患者接受不同剂量 iza-bren（EGFR×HER3 双抗 ADC）联合奥希替尼治疗，其中 40 例患者接受 iza-bren 2.5mg/kg D1D8 Q3W 联合奥希替尼一线治疗，研究结果如下：所有患者均为最佳应答：ORR 100%，cORR 95%（2 例 PR 待确认），DCR 100%，mDoR 未达到。所有靶病灶均缩小：靶病灶缩瘤率 100%。PFS 率和 OS 率双双突破：mPFS 未达到，12 个月 PFS 率 92.1%；mOS 未达到，12 个月 OS 率 94.8%。安全性可耐受：本研究中仅 2.4%患者接受过粒细胞集落刺激因子（G-CSF）一级预防治疗，iza-bren 联合奥希替尼安全可耐受，血液学毒性为主，≥G3 级中性粒细胞减少消退快（中位 6-7 天）且导致停药率低（0.8%）。未报告发热性中性粒细胞减少症。

➤ 新元素药业痛风新药 ABP-671 全球 2b/3 期临床取得积极结果

9 月 8 日，新元素药业公布了 ABP-671 的全球 IIb/III 期临床试验数据。该研究在美国、欧洲、澳洲、拉丁美洲和中国台湾等多地开展，采用“Treat-to-Target”策略，别嘌醇剂量最高可达 800mg。核心数据表现如下：

降尿酸水平（SUA）：ABP-671 展现出优异的降尿酸作用，在血尿酸水平<6 mg/dL（360μmol/L）时达标率更高，在更严格的阈值<5 mg/dL（300μmol/L）和<4 mg/dL（240μmol/L）下同样表现出更优的达标情况。痛风石与急性发作：在 15-28 周观察期内，ABP-671 显著降低急性痛风发作频率，风险下降率达 42%。至第 28 周时，受试者痛风石直径较基线出现显著减小，反应率达到 91%。安全性：推荐的 III 期临床剂量组总体不良事件发生率与安慰剂组相当。相较于其他降尿酸药物（如非布司他、苯溴马隆），ABP-671 迄今未

见心血管或肝毒性风险信号。

➤ **BioNTech 与 BMS 联合开发的 pumitamid 2 期临床试验中期数据公布**

9 月 9 日，BioNTech 与百时美施贵宝（Bristol Myers Squibb）公布其所联合开发的在研双特异性抗体 pumitamid 联合化疗，在全球随机 2 期临床试验中，用以治疗广泛期小细胞肺癌（ES-SCLC）患者的中期数据。结果显示，该疗法具有令人鼓舞的抗肿瘤活性，确认客观缓解率（cORR）达 76.3%，疾病控制率（DCR）达 100%。目前一项名为 ROSETTA-LUNG-01 的全球随机 3 期临床试验正在进行中，该研究评估 pumitamid 联合化疗与 PD-L1 抑制剂 atezolizumab 联合化疗相较，作为未经治疗 ES-SCLC 患者一线疗法的疗效与安全性。此次中期分析纳入了 43 例未经治疗的广泛期小细胞肺癌患者（队列 1），这些患者在两个剂量水平下接受了 pumitamid 联合标准化疗。截止至 2025 年 8 月 7 日，在 38 例可评估疗效的患者中，确认的客观缓解率为 76.3%（20 mg/kg 剂量组为 85.0%，30 mg/kg 剂量组为 66.7%），疾病控制率为 100%。肿瘤体积平均缩小了 56.7%，89.5% 的患者实现了早期肿瘤缩小。中位无进展生存期（mPFS）为 6.8 个月（20 mg/kg 剂量组为 6.3 个月，30 mg/kg 剂量组为 7.0 个月），而中位总生存期（mOS）在分析时尚未成熟。

➤ **Revolution Medicines 公布 daraxonasib 临床 1 期试验最新进展**

9 月 10 日，Revolution Medicines 宣布了其 RAS（ON）多重选择性抑制剂 daraxonasib（RMC-6236）临床 1 期试验的最新进展。初步结果显示，无论是 daraxonasib 单药治疗，还是联合化疗方案，在一线转移性胰腺导管腺癌（PDAC）患者中均展现出积极疗效。这些数据为公司计划于 2025 年第四季度启动的 3 期临床试验提供了有力支持。分析显示，在二线及以上（2L+）转移性 PDAC 患者中，接受每日一次（QD）300 mg daraxonasib 治疗的患者表现出良好的耐受性，安全性与既往数据一致。疗效方面，携带 RAS G12X 突变或携带任何 RAS 突变患者，其确认客观缓解率（ORR）分别为 35% 与 29%，疾病控制率（DCR）则分别为 92% 与 95%，中位无进展生存期（PFS）约 8.5 个月与 8.1 个月，中位总生存期（OS）达 13.1 与 15.6 个月。目前，daraxonasib 单药在二线转移性 PDAC 中的注册性 3 期临床试验 RASolute 302 正在进行中，预计今年完成全球患者入组，并于 2026 年公布数据。在一线转移性 PDAC 患者中，daraxonasib 300 mg QD 单药治疗同样取得了积极结果。截至 2025 年 7 月 28 日，该队列 40 例患者总体耐受性良好。在具足够随访时长的 38 例患者中，ORR 达 47%，DCR 达 89%，中位随访时间为 9.3 个月。多数患者在数据截止时仍在接受治疗，需进一步随访以确认获益的持久性。

➤ **Avidity Biosciences 治疗 DMD 突破性疗法亮眼数据公布**

9 月 11 日，Avidity Biosciences 宣布，其在研疗法 delpacibart zotadirsen（del-zota）在 EXPLORE44 和 EXPLORE44-OLE 试验中取得了积极的新数据。分析显示，持续接受 del-zota 治疗一年的杜氏肌营养不良症（DMD）患者在多项功能性指标上，显示疾病进展得到逆转，并且相比基线和自然病程呈现出“史无前例”的改善。Avidity 计划于 2025 年底向美国 FDA 提交 del-zota 的生物制品许可申请（BLA）。EXPLORE44 试验是一项随机、安慰剂对照、双盲的 1/2 期临床试验，入组患者为适用于外显子 44 跳跃治疗的杜氏肌营养不良症（DMD44）患者。EXPLORE44-OLE 则是一项开放标签、多中心试验，旨在评估 del-zota 在 DMD44 患者中的长期安全性、耐受性、药代动力学、药效学作用及疗效。分析显示，在接受 del-zota 治疗的受试者中，总抗肌萎缩蛋白（dystrophin）最高恢复至正常水平的 58%。肌酸激酶（CK）水平较基线快速下降超过 80%，并在最长 16 个月的随访期间维持在接近正常的水平。此外，在接受一年治疗后，50% 的受试者 CK 水平恢复到正常范围。该疗法曾在 2025 年 7 月获美国 FDA 授予突破性疗法认定，用于治疗适用于外显子 44 跳跃治疗的杜氏肌营养不良症患者。

➤ Maze Therapeutics 公司公布 MZE782 1 期临床积极结果

9 月 15 日, Maze Therapeutics 公司宣布, 其口服小分子药物 MZE782 在针对健康受试者的 1 期临床试验中取得积极结果。MZE782 是一种靶向溶质转运蛋白 SLC6A19 的口服小分子, 具备成为苯丙酮尿症(PKU) “best-in-class” 疗法, 以及慢性肾脏病 (CKD) “first-in-class” 疗法的潜力。该药物通过抑制 SLC6A19 蛋白功能, 减少苯丙氨酸 (Phe) 从肠道的吸收和在肾脏的重吸收, 从而能降低血浆 Phe 水平, 有望为 PKU 患者提供一种不受基因型限制的新疗法。对于 CKD, MZE782 通过减轻 SLC6A19 介导的重吸收引起的肾近端小管的超负荷代谢, 有望延缓疾病进展, 其机制与 SGLT2 抑制剂不同且可以互补。

此次公布的结果显示, 所有单递增剂量 (SAD) 和多递增剂量 (MAD) 组均观察到剂量依赖性的氨基酸排泄增加。在 240 mg 每日两次剂量队列中, 观察到第 7 天 24 小时内尿 Phe 排泄量增加了 42 倍。该指标是经过充分验证的 PKU 生物标志物, 且对 CKD 具有预测价值。MZE782 还表现出与 SGLT2 抑制剂类似的剂量依赖性初始估算肾小球滤过率 (eGFR) 下降, 提示其可能具有肾脏保护作用。此外, 该药物的安全性和耐受性良好, 未报告严重不良事件。

➤ Purdue Pharma 公司公布 sunobinop 临床 1b 期初步积极结果

Purdue Pharma 公司宣布, 其针对间质性膀胱炎/膀胱疼痛综合征 (IC/BPS) 的在研新药 sunobinop 的 1b 期临床研究取得了积极的初步结果。IC/BPS 是一种慢性、痛苦的泌尿系统疾病, 严重影响患者的生活质量。Sunobinop 是一种潜在 “first-in-class” 的口服化合物, 旨在结合并激活广泛存在于中枢和外周神经系统中的伤害感受素/孤啡肽 FQ 肽受体 (NOP), 该受体参与多种生理功能调节。

此次公布的结果显示, 在双盲治疗期结束时, 接受 sunobinop 治疗的患者中有 41% 报告其整体 IC/BPS 症状 (包括膀胱疼痛减轻、尿急和尿频减少、单次排尿量增加) 出现显著或中度改善, 而安慰剂组的改善率仅为 9%。安全性方面, 没有死亡、严重不良事件或因不良事件而停用 sunobinop 的报告。研究中观察到的最常见的不良事件是尿路感染和嗜睡。

➤ 诺和诺德公布 cagrilintide 临床 3 期减肥结果

9 月 16 日, 诺和诺德公布了其新一代胰淀素 (amylin) 类似物 cagrilintide 的 3 期 REDEFINE 1 试验的亚组分析数据, 结果显示该药物在体重减轻方面取得了显著且具有临床意义的结果。此次公布的 REDIEFINE 1 亚组分析数据聚焦于每周一次 2.4 毫克 cagrilintide 单药疗法结合生活方式干预, 针对患有肥胖症或超重并伴有体重相关合并症 (不含糖尿病) 的成年人。经过 68 周的治疗, cagrilintide 组参与者的平均体重减轻达到 12.5 公斤, 相当于体重的 11.8%, 而安慰剂组仅减轻 2.5 公斤, 即 2.3%。在 cagrilintide 治疗组中, 31.6% 的参与者实现了至少 15% 的显著体重减轻, 而安慰剂组仅有 4.7% 的参与者达到此目标。

➤ 阿斯利康首创 IL-5R α 单抗本瑞利珠单抗 3 期 COPD 研究未达主要终点

9 月 17 日, 阿斯利康宣布, 其 Fasenra (本瑞利珠单抗) 治疗慢性阻塞性肺疾病 (COPD) 的 III 期 RESOLUTE 试验虽然显示出数值上的改善, 但未能达到主要终点的统计学显著性。该试验中本瑞利珠单抗的安全性与耐受性特征与已知特性一致。公司将对 RESOLUTE 试验的完整数据集进行深入分析以进一步理解结果, 未来将与科学界分享相关发现。本瑞利珠单抗是阿斯利康开发的一款首创 IL-5R α 单抗, 目前已在美国、日本、欧盟和中国等 80 多个国家获批作为重度嗜酸性粒细胞性哮喘 (SEA) 的附加维持治疗, 并在美国和日本获批用于 6 岁及以上儿童及青少年的 SEA 治疗。该药物还在 60 多个国家获批用于治疗成人嗜酸性肉芽肿性多血管炎 (EGPA), 目前针对高嗜酸性粒细胞综合征 (HES) 的适应症正在接受监管审评。

➤ 礼来口服 GLP-1RA orforglipron 在 3 期头对头研究中优于口服司美格鲁肽

9 月 17 日，礼来公布了 ACHIEVE-3 研究的积极顶线结果，该研究是一项开放标签、随机的 3 期临床研究，在 1698 名经二甲双胍治疗血糖控制不佳的 2 型糖尿病成人参与者中，评估了 orforglipron 对比口服司美格鲁肽（按照已获批说明书用药）的安全性和有效性。该研究为期 52 周，在四个活性治疗组中对比了 orforglipron（12mg 和 36mg）与口服司美格鲁肽（7mg 和 14mg）在血糖控制和体重减轻方面的结果。在 52 周时，orforglipron 所有剂量组均达到了主要终点和所有关键次要终点，在糖化血红蛋白（A1C）和体重改善方面均优于口服司美格鲁肽。

➤ Oruka Therapeutics 公司公布 ORKA-001 1 期临床试验中期数据

9 月 22 日，Oruka Therapeutics 公司公布了其长效 IL-23p19 抗体 ORKA-001 的 1 期临床试验的中期数据。ORKA-001 是一种新型皮下注射的半衰期延长型单克隆抗体，靶向 IL-23p19，旨在为包括斑块状银屑病（PsO）在内的慢性皮肤病提供新的治疗方法。该药物在设计上与经过验证的 risankizumab 具有相似的表位结合和亲和力，有望实现每年给药一到两次的给药频率。

临床数据显示，ORKA-001 的半衰期约为 100 天，增加了其每年给药一次的潜力。ORKA-001 具有良好的 PK 特征，可实现更高的药物暴露水平，从而可能带来更强的疗效和更长的停药后缓解期。此外，该药物在试验中耐受性良好，安全性特征与 IL-23p19 类药物一致。

➤ 罗氏口服 SERD 药物 Giredestrant 3 期研究成功

9 月 22 日，罗氏宣布 Giredestrant 治疗乳腺癌的 III 期 evERA 研究取得了积极结果。新闻稿指出，这是第一个在头对头标准治疗的 III 期研究中取得积极结果的基于口服 SERD 的全口服方案。罗氏计划将数据提交至监管机构，尽快使患者能够获得最新治疗选择。Giredestrant 是罗氏自主研发的一款下一代口服选择性雌激素受体降解剂（SERD）和完全拮抗剂，旨在阻止雌激素与雌激素受体（ER）结合，诱导其降解，从而阻止或减缓癌细胞的生长。

evERA 研究乳腺癌是一项随机、开放标签、多中心临床试验，评估了 Giredestrant 联合依维莫司对比医生选择的内分泌疗法联合依维莫司治疗在辅助治疗或局部晚期/转移性环境中接受过 CDK4/6 抑制剂和内分泌疗法治疗的 ER 阳性且 HER2 阴性（ER+/HER2-）的局部晚期或转移性乳腺癌患者的疗效和安全性。结果显示，该研究达到了主要终点，ITT 人群和 ESR1 突变亚组经 Giredestrant 联合依维莫司治疗后，PFS 均实现了具有统计学意义和临床意义的延长效果。总生存期（OS）数据尚未成熟，但显示出明显的积极趋势。后续将继续随访以进行系统分析。安全性方面，Giredestrant 联合依维莫司的耐受性良好，不良事件与各自单药在既往研究中的已知安全性一致，未观察到新的安全性信号。

➤ 百时美施贵宝首款 CELMoD 药物 3 期临床迎来关键胜利

9 月 23 日，百时美施贵宝（BMS）宣布，其 III 期研究 EXCALIBER-RRMM 的预设中期分析显示，iberdomide（一种在研的 cereblon E3 连接酶调节剂，CELMoD）联合标准治疗方案（达雷妥尤单抗及地塞米松），用于复发难治性多发性骨髓瘤（RRMM）患者，在微小残留病（MRD）阴性率方面较对照组取得了具有统计学意义的显著改善。根据研究设计与数据监测委员会的建议，研究将不做改变继续进行，以评估另一共同主要终点——无进展生存期（PFS），以及关键次要终点——总生存期（OS）和安全性。研究中，iberdomide 与达雷妥尤单抗和地塞米松联合使用的安全性与既往研究基本一致。iberdomide 是一款分子胶蛋白质降解药物，属于新一代 cereblon E3 连接酶调节剂（CELMoD），通过靶向降解关键转录因子（如 Aiolos 和 Ikaros）发挥抗癌作用。iberdomide 是 BMS 收购 Celgene 获得的三种蛋白质降解药物之一，被 BMS 定位为 Revlimid 和 Pomalyst 等重磅血癌药物的后继者。

➤ 诺和诺德口服司美格鲁肽片减重药疗效结果公布

9 月 23 日, 诺和诺德 (Novo Nordisk) 宣布,《新英格兰医学杂志》(The New England Journal of Medicine) 近日发表了来自 3 期试验 OASIS 4 的结果。此项试验评估了在研的每日一次口服司美格鲁肽片 25 mg (Wegovy 片剂) 的有效性和安全性, 标志着诺和诺德在推进肥胖症治疗方面达成一项重要的里程碑。在此项为期 64 周的试验中, 口服司美格鲁肽片 25 mg 联合生活方式干预, 在 307 名肥胖或超重且伴有至少一种体重相关合并症但无糖尿病的成人患者中与安慰剂进行了对比。

结果显示, 在 64 周时, 在所有患者依从治疗的情况下, 口服司美格鲁肽片 25 mg 组患者实现了 16.6% 的平均体重降幅, 而安慰剂组这一数字则为 2.7%; 口服司美格鲁肽片 25 mg 组患者中有 1/3 以上 (34.4%) 实现了 20% 及以上的体重降幅, 安慰剂组这一比例为 2.9%。这些数字与此前进行的 Wegovy 注射液各项试验结果相当。

➤ 康哲药业的磷酸芦可替尼乳膏特应性皮炎适应症国内 3 期临床达到主要终点

9 月 26 日, 康哲药业宣布, 其皮肤健康业务公司德镁医药的创新药磷酸芦可替尼乳膏轻中度特应性皮炎 (AD) 的中国 III 期药物临床研究取得了积极结果。该试验是一项在中国人群开展的随机、双盲、安慰剂对照、多中心的临床研究, 共入组 192 例患者, 旨在评估产品治疗轻中度 AD 的安全性和有效性。该研究组长单位为上海市皮肤病医院, 主要研究者为史玉玲教授。产品用于轻中度特应性皮炎的中国 III 期临床研究成功达到主要终点, 即使用芦可替尼乳膏治疗 8 周, 达到研究者整体评估 (IGA) 评分为 0 或 1 分, 且较基线改善 ≥ 2 分的受试者比例, 显著高于安慰剂 (63.0% vs 9.2%, $P < 0.001$)。关键次要终点, 芦可替尼乳膏治疗 8 周达到湿疹面积及严重程度指数评分较基线至少改善 75% (EASI 75) 的受试者比例亦显著优于安慰剂 (78.0% vs 15.4%, $P < 0.001$)。安全性方面, 治疗期出现的不良事件 (TEAE) 的严重程度大多数为轻度或中度, 未发生导致研究药物用药终止的治疗期出现的不良事件 (TEAE), 整体安全耐受性良好。

五



全球创新药研发进展 TOP20

时间	公司	产品	靶点	适应症	国家	研发进展
9 月 1 日	迈威生物	9MW3811	IL-11	病理性瘢痕	中国	申请临床
9 月 2 日	恒瑞医药	HRS9531 注射液	GIPR、GLP-1R	肥胖	中国	申报上市
9 月 2 日	正大天晴	盐酸安罗替尼胶囊	FGFR、c-Kit、RET	腺泡状软组织肉瘤	中国	申报上市
9 月 3 日	赛诺菲	替利珠单抗注射液	CD3	1 型糖尿病	中国	获批上市
9 月 5 日	扬子江药业	盐酸菲优拉生片	ATP4A	胃食管反流病	中国	获批上市
9 月 8 日	诺诚健华	奥布替尼	BTK	边缘区淋巴瘤	新加坡	获批上市
9 月 9 日	荣昌生物	泰它西普	BLyS、APRIL	干燥综合征	中国	申报上市
9 月 9 日	强生	INLEXZO	/	非肌层浸润性膀胱癌	美国	获批上市
9 月 11 日	挚盟医药	CB03-154	KCNQ2、KCNQ3	癫痫	中国	获批临床
9 月 11 日	诺华	卡马替尼	c-Met	非小细胞肺癌	中国	获批上市
9 月 12 日	石药集团/康宁杰瑞	安尼妥单抗注射液	HER2	胃/胃-食管结合部腺癌	中国	申报上市
9 月 15 日	默沙东	来特莫韦片 (II)	gpA	巨细胞病毒感染	中国	获批上市
9 月 16 日	康方生物	注射用 AK138D1	HER3	晚期恶性肿瘤	中国	获批临床
9 月 16 日	拜耳	Gadoquatran e 注射液	/	核磁共振成像	中国	申报上市
9 月 16 日	诺诚健华	ICP-723 口崩片	RPTK、NTRK	实体瘤	中国	纳入星光计划
9 月 17 日	复宏汉霖	枸橼酸伏维西利胶囊	CDK4、CDK6	乳腺癌	中国	获批上市
9 月 22 日	科伦博泰	富马酸仑博替尼胶囊	RET	非小细胞肺癌	中国	申报上市

时间	公司	产品	靶点	适应症	国家	研发进展
9 月 23 日	星曜坤泽	HT-101 注射液	HBV RNA	慢性乙型肝炎病毒感染	中国	纳入突破性治疗
9 月 25 日	礼来	多奈单抗	A β	阿尔茨海默型痴呆	欧盟	获批上市
9 月 26 日	艾伯维	tavapadon	DRD1、DRD5	帕金森病	美国	申报上市

➤ 迈威生物靶向 IL-11 单抗 9MW3811 针对病理性瘢痕的 2 期临床试验申请获受理

9 月 1 日，迈威生物宣布，其靶向 IL-11 单抗创新药 9MW3811 针对病理性瘢痕的 2 期临床试验申请已获得中国国家药品监督管理局（NMPA）正式受理，有望于 2025 年底启动该临床试验。白介素-11（IL-11）是一种在慢性炎症和纤维化相关疾病中发挥关键作用的细胞因子，广泛参与肺、皮肤、肾脏和肝脏等多个器官的纤维化进程，并与衰老相关疾病的发生密切相关（Nature, 2024）。病理性瘢痕主要包括增生性瘢痕、瘢痕疙瘩、挛缩瘢痕等，在其形成过程中，IL-11 的作用尤为突出。9MW3811 是迈威生物自主研发的一款靶向人 IL-11 的人源化单克隆抗体。该产品通过高亲和力结合 IL-11，有效抑制 IL-11/IL-11R α 信号通路的异常激活，从而干预纤维化相关疾病的病理进展。其核心潜在优势包括：（1）更高的靶点亲和力与信号阻断能力；（2）超过一个月的长半衰期，更适用于需要长期给药的慢性疾病治疗。

➤ 恒瑞医药 1 类新药 HRS9531 注射液申报上市

9 月 2 日，中国国家药监局药品审评中心（CDE）官网公示，恒瑞医药申报的 1 类创新药 HRS9531 注射液的上市申请获受理，适应症为：本品适用于在控制饮食和增加运动基础上，初始体重指数（BMI）符合以下要求的成人的长期体重管理： $\geq 28\text{kg}/\text{m}^2$ （肥胖），或 $\geq 24\text{kg}/\text{m}^2$ （超重）并伴有至少一种体重相关合并症（例如高血糖、高血压、血脂异常、阻塞性睡眠呼吸暂停、脂肪肝等）。HRS9531 注射液是恒瑞医药自主研发的胰高血糖素样肽-1（GLP-1）和葡萄糖依赖性促胰岛素肽（GIP）双重受体激动剂，具有改善胰岛素抵抗、抑制食欲、降低血糖和减轻体重等作用。HRS9531 注射液已获得中国国家药监局（NMPA）批准用于开展 2 型糖尿病、超重或肥胖和阻塞性睡眠呼吸暂停适应症的临床试验。

➤ 正大天晴的盐酸安罗替尼胶囊联合疗法新适应症申报上市

9 月 2 日，正大天晴宣布其创新药组合——贝莫苏拜单抗注射液联合盐酸安罗替尼胶囊新适应症的上市申请获得中国国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）受理。这是该组合申报上市的第六个适应症，拟用于治疗晚期或不可切除腺泡状软组织肉瘤（ASPS）。与此同时，CDE 官网显示，盐酸安罗替尼胶囊目前已经被拟纳入优先审评，针对适应症即为晚期或不可切除腺泡状软组织肉瘤。贝莫苏拜单抗是一款创新人源化抗 PD-L1 单克隆抗体，盐酸安罗替尼胶囊是一款口服新型小分子多靶点酪氨酸激酶抑制剂。贝莫苏拜单抗联合安罗替尼这一联合疗法用于治疗广泛期小细胞肺癌、子宫内膜癌、肾细胞癌三项适应症已获批上市，一线治疗鳞状非小细胞肺癌和同步/序贯放化疗后未进展的局部晚期/不可切除非小细胞肺癌巩固治疗两项适应症上市申请正在审评中。免疫联合抗血管生成的组合治疗模式将为肿瘤患者提供更多元的治疗选择。

➤ 赛诺菲用于延缓 1 型糖尿病进展的创新药替利珠单抗注射液在华获批

9 月 3 日，赛诺菲宣布替利珠单抗注射液（teplizumab）获批上市，用于延缓成人和 8 岁及以上儿童 1 型糖尿病患者从 2 期进展至 3 期。替利珠单抗是 MacroGenics 开发的一款 CD3 单抗，通过与效应 T 细胞表面的 CD3 结合，抑制 T 细胞对胰岛 β 细胞的攻击，从而保护胰岛 β 细胞不受破坏。替利珠单抗的 Fc 段经氨

基酸修饰后，构成了 Fc 受体非结合（FNB）区域，可减少其与补体和 Fc 受体的结合从而降低相关毒性反应。2007 年 10 月，礼来与 MacroGenics 达成协议，以 6.41 亿美元的总交易额获得替利珠单抗的开发与商业化权益。不过，礼来在三年后终止了双方的合作。2018 年 5 月，Provention Bio 从 MacroGenics 手中收购了替利珠单抗的所有权益，并将其作为核心产品，公司也基于此募资 5600 万美元 IPO。2022 年 10 月，赛诺菲与 Provention Bio 达成合作，获得替利珠单抗的美国商业化权益。该产品在 2022 年 11 月获 FDA 批准上市。而后，赛诺菲出手 29 亿美元并购 Provention Bio，获得该产品的所有权益。

➤ 扬子江药业新一代质子泵抑制剂菲优拉生获批上市

9 月 5 日，国家药品监督管理局（NMPA）官网显示，扬子江与 Daewoong Pharmaceutical（大熊制药）合作开发的盐酸菲优拉生片（fexuprazan，曾用名：非苏拉赞）获批上市，根据其注册临床研究信息，推测其适应症为：用于治疗反流性食管炎。盐酸菲优拉生片是一款新型钾离子竞争性酸阻滞剂（P-CAB）、新一代质子泵抑制剂（PPI），能够可逆地阻断分泌胃酸的质子泵，治疗胃食管反流病。2021 年 3 月，扬子江药业子公司海尼药业与大熊制药就盐酸菲优拉生片达成合作。根据协议条款，海尼药业获得该药在中国的研发和商业化权益，向大熊制药最高支付 3800 亿韩元（3.38 亿美元），包括 68 亿韩元首付款和 136 亿韩元里程碑付款。海尼药业负责盐酸菲优拉生片的临床开发和审批程序，扬子江药业负责整个市场销售。

➤ 诺诚健华的奥布替尼在新加坡获批用于治疗边缘区淋巴瘤

9 月 8 日，诺诚健华宣布，宜诺凯（奥布替尼）已获得新加坡卫生科学局（HSA）的批准，用于治疗复发/难治性边缘区淋巴瘤（R/R MZL）成人患者。这是奥布替尼在新加坡获批的第二项适应症。奥布替尼是诺诚健华自主研发的具有高度靶标选择性的新型 BTK 抑制剂，可以避免脱靶相关的不良事件，改善安全性和有效性，旨在开发治疗血液肿瘤及自身免疫性疾病。边缘区淋巴瘤（MZL）是一类惰性 B 细胞非霍奇金淋巴瘤（NHL），主要影响中老年人群，年发病率在全球范围内呈上升趋势。经过一线治疗后，疾病进展/复发的 MZL 患者仍缺乏有效的治疗手段。今年 4 月，奥布替尼在中国获批用于一线治疗慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤（CLL/SLL）。此前，奥布替尼已在中国获批用于治疗既往至少接受过一次治疗的 CLL/SLL、套细胞淋巴瘤（R/R MCL）和边缘区淋巴瘤（R/R MZL），三项适应症均已纳入中国国家医保。

➤ 荣昌生物的泰它西普新适应症申报上市，治疗干燥综合征

9 月 9 日，荣昌生物宣布：该公司自主研发的 BLYS/APRIL 双靶点融合蛋白创新药泰它西普用于治疗干燥综合征（Sjogren's syndrome）的上市申请，已获中国国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）正式受理。此次申报基于一项多中心、随机、双盲、安慰剂对照的 3 期临床研究，旨在评价泰它西普用于治疗干燥综合征患者的有效性和安全性。8 月 13 日，荣昌生物宣布该研究达到方案设计的临床试验主要研究终点，研究结果显示泰它西普可持续有效改善干燥综合征患者的临床症状，展示出良好的有效性和安全性。详细临床试验数据将在近期举行的国际重大学术会议上公布。研究表明，自身反应性的 B 细胞过度活化是干燥综合征发病的重要病理基础。泰它西普是由荣昌生物自主研发的双靶点融合蛋白，通过同时抑制 B 淋巴细胞刺激因子（BLYS）和增殖诱导配体（APRIL）与 B 细胞表面受体结合，阻止 B 细胞异常分化和成熟，有效减轻机体的病理性免疫反应。2024 年，由多个权威机构联合发布的《B 细胞靶向药物治疗风湿免疫病中国专家共识》首次明确推荐泰它西普作为治疗干燥综合征的有效药物。

➤ 强生的 INLEXZO 获 FDA 批准上市，治疗非肌层浸润性膀胱癌

9 月 9 日，强生宣布 INLEXZO（吉西他滨膀胱内释放系统，TAR-200）获得 FDA 批准上市，用于治疗拒绝或不符合根治性膀胱切除手术、卡介苗（BCG）无反应、伴原位癌（CIS）、伴或不伴乳头状肿瘤的非

肌层浸润性膀胱癌 (NMIBC) 成人患者。INLEXZO 是 Taris Biomedical (在 2019 年 12 月被强生收购) 为希望保留膀胱的患者而设计的一种膀胱内药物释放系统 (iDRS)，能够将吉西他滨缓释到膀胱中。在门诊环境下，该系统可通过配套的导尿管和管心针在几分钟内植入膀胱，无需全身麻醉或进一步监测。FDA 此次批准主要是基于 IIb 期 SunRISe-1 研究队列 2 的积极结果。该研究是一项单臂、开放标签临床试验，评估了 INLEXZO 单药治疗 BCG 无反应、不符合或拒绝接受根治性膀胱切除术的伴 CIS、伴或不伴乳头状肿瘤的 NMIBC 患者的安全性和有效性。队列 2 的主要终点是任何时间点的完全缓解 (CR) 率，次要终点包括缓解持续时间 (DOR)。结果显示，接受 INLEXZO 治疗的患者中有 82.4% 达到 CR，这意味着治疗后未发现癌症迹象。这种高缓解率表现出很强的持久性，其中 51% 的患者保持了至少一年的 CR。

➤ 挚盟医药在研新药 CB03-154 获批在中国开展癫痫 2 期临床试验

9 月 11 日，上海挚盟医药科技有限公司宣布：公司自主研发的新一代 KCNQ2/3 钾离子通道开放剂 CB03-154 继今年 7 月获得中国国家药监局药品审评中心 (CDE) 针对渐冻症临床 2/3 期研究的批准后，又于近日获得 CDE 的临床试验批准，即将在中国开展针对难治性癫痫的 2 期临床试验。该临床试验是一项随机、双盲、安慰剂对照的多国家、多中心研究，旨在评价 CB03-154 作为添加治疗在 18-70 岁局灶性癫痫成人患者中的临床疗效、安全性和耐受性。CB03-154 是挚盟医药研发的新一代 KCNQ2/3 钾离子通道开放剂，具有良好的化学和代谢稳定性、体外和体内抗癫痫活性和药效、药代性质及安全性，同时也具有更为特异的离子通道选择性，有望克服第一代药物存在的安全性问题。目前，CB03-154 针对癫痫的临床研究也同步在澳大利亚开展。

➤ 诺华重磅肺癌药物卡马替尼在中国获批新适应症

9 月 11 日，诺华宣布其重磅抗肿瘤药物卡马替尼在中国成功获批新适应症，用于治疗携带间质上皮转化因子 (MET) 外显子 14 跳跃突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌 (NSCLC) 成人患者。在中国，肺癌的发病率和死亡率均居各类癌症之首，2022 年肺癌新发病例 106.06 万，占全部恶性肿瘤的 22.0%，死亡率占全部恶性肿瘤死亡的 28.5%。而在肺癌中，NSCLC 患者占比高达 80%-85%，且存在多种驱动基因突变。其中，METex14 跳跃突变是关键驱动基因之一。METex14 跳跃突变会导致 c-Cbl 酪氨酸结合位点丢失，从而引起蛋白酶体介导的 MET 蛋白降解率降低，使下游信号通路持续激活，进而促进肿瘤细胞的迁移、增殖和侵袭。卡马替尼是一种口服生物利用度高、高选择性的特异性 MET 受体酪氨酸激酶抑制剂，可有效抑制 MET 及 MET 介导的下游信号蛋白的磷酸化，从而抑制肿瘤细胞的增殖和迁移，并有效诱导细胞凋亡，展现出抗肿瘤活性。作为诺华在肺癌领域的核心产品之一，卡马替尼已于 2024 年在中国获批用于未经系统治疗的携带 METex14 跳跃突变的局部晚期或转移性 NSCLC 成人患者。此次新适应症的获批，进一步扩大了卡马替尼的适用人群。

➤ 石药集团/康宁杰瑞 HER2 双抗安尼妥单抗注射液申报上市

9 月 12 日，国家药品监督管理局 (NMPA) 药品审评中心 (CDE) 官网显示，石药集团和康宁杰瑞开发的安尼妥单抗注射液的上市申请已获受理，适应症为：联合化疗用于治疗至少接受过一种系统性治疗（必须包含曲妥珠单抗联合化疗）失败的人表皮生长因子受体 2 阳性 (HER2+) 局部晚期、复发或转移性胃/胃-食管结合部腺癌 (GC/GEJ)。安尼妥单抗最初由康宁杰瑞开发，它可以同时结合至两种不同的经临床验证的 HER2 表位 (表位 II 及 IV)，并保留野生型 Fc 区。这使得该药能够双重阻断 HER2 相关信号通路、增强与 HER2 受体的结合、减少细胞表面的 HER2 蛋白，及通过完整的抗体依赖性细胞介导的细胞毒性增强对肿瘤的杀伤效果。2021 年 8 月，石药集团获得了安尼妥单抗在中国的独家开发和商业化权益。本次新药上

市申请主要是基于一项关键 II/III 期临床试验，其期中分析结果显示，与现有标准治疗相比，安尼妥单抗联合化疗显著提高临床疗效，延长患者的无进展生存期（PFS）和总生存期（OS），且在安全性方面无新发安全性风险，心脏毒性发生率低，免疫原性低。此外，安尼妥单抗已于 2023 年 11 月 4 日获国家药监局药品审评中心授予突破性治疗药物认定，并已于 2025 年 8 月 28 日获优先审评审批资格。

➤ 默沙东来特莫韦片（II）在华获批上市

9 月 15 日，默沙东宣布其新型非核苷类巨细胞病毒（CMV）抑制剂来特莫韦（商品名：普瑞明）的全新剂型——来特莫韦片（II）在中国获批上市，用于接受异基因造血干细胞移植（HSCT）的巨细胞病毒（CMV）血清学阳性的成人和 6 个月及以上且体重 $\geq 6\text{kg}$ 的儿童受者[R+]预防巨细胞病毒感染和巨细胞病毒病。来特莫韦是国内首个且目前唯一可用于接受 HSCT 成人和儿童患者的 CMV 预防方案。来特莫韦片（II）包含 20mg/袋和 120mg/袋两种规格，满足了来特莫韦适应症内覆盖的各年龄和体重患者的剂量需求，此前，来特莫韦已在中国获批来特莫韦片与来特莫韦注射液两种剂型。

➤ 康方生物癌症新药注射用 AK138D1 在中国获批临床

9 月 16 日，中国国家药监局药品审评中心（CDE）官网公示，康方生物申报的 1 类新药注射用 AK138D1 获批临床试验默示许可，拟开发治疗晚期恶性肿瘤。公开资料显示，这是康方生物研发的差异化靶向人表皮生长因子受体 3（HER3）的抗体偶联药物（ADC），也是该公司首个进入临床阶段的 ADC 药物。今年 2 月，该产品治疗晚期恶性肿瘤的 1 期临床研究在澳洲完成首例受试者入组。根据康方生物公开资料介绍，注射用 AK138D1 是靶向 HER3 的 ADC，抗体部分为全人源化抗 HER3 IgG1 抗体 Patritumab，通过可裂解的连接子 MC-AAA（马来酰亚胺-丙氨酸-丙氨酸-丙氨酸）与拓扑异构酶 I 抑制剂 DXd 偶联而成。注射用 AK138D1 与肿瘤细胞上的 HER3 结合后，ADC 经过内化进入肿瘤细胞，随后其连接子被裂解并释放具有膜通透性的 DXd，进而导致 DNA 损伤和细胞凋亡。目前康方生物在澳洲开展针对 AK138D1 在晚期恶性肿瘤治疗中的安全性、耐受性、药代动力学和初步疗效的剂量递增和扩展的 1 期临床研究已完成患者入组。

➤ 拜耳 1 类新药 Gadoquatrane 注射液国内首次申报上市

9 月 16 日，CDE 官网显示，拜耳 1 类新药 Gadoquatrane 注射液在国内申报上市。根据该药的临床研究进度，推测本次申报适应症为用于核磁共振成像。Gadoquatrane 是拜耳开发的一种处于临床阶段的细胞外大环造影剂，用于增强 MRI 的对比度。这种低剂量钆基造影剂具有独特的四聚体结构，具有高稳定性和高弛豫率。今年 6 月和 7 月，拜耳已先后在日本、美国、欧盟递交了 Gadoquatrane 的上市申请，用于成人和儿科患者（包括新生儿）中枢神经系统（CNS）及其他身体部位的增强磁共振成像。拜耳新闻稿指出，一旦获批，Gadoquatrane 将成为美国和欧盟市场上剂量最低的大环钆造影剂（GBCA）。

➤ 诺诚健华抗肿瘤 1 类新药被 CDE 纳入星光计划

9 月 16 日，CDE 官网公示，依据《儿童抗肿瘤药物研发鼓励试点计划（星光计划）申报指南》，将诺诚健华的 ICP-723 口崩片纳入星光计划，拟开发儿童适应症：携带神经营养酪氨酸受体激酶（NTRK）融合基因的实体瘤。卓乐替尼（ICP-723）是一款新一代泛 TRK 抑制剂。今年 4 月，该药已在国内递交了首个新药上市申请，用于治疗携带 NTRK 融合基因的晚期实体瘤成人和青少年（12 周岁 $\leq$ 年龄 < 18 周岁）患者，该申请已被纳入优先审评。星光计划是 CDE 组织制定并于今年 5 月发布正式实施，旨在就抗肿瘤药物儿童人群研究过程中技术难点提供针对性指导，提高儿童抗肿瘤药物的研发效率，迄今为止，共有两款药物被纳入星光计划。

➤ 复宏汉霖 CDK4/6 抑制剂枸橼酸伏维西利胶囊在中国获批新适应症

9 月 17 日，复宏汉霖宣布，创新型 CDK4/6 抑制剂枸橼酸伏维西利胶囊新增适应症的药品注册申请获得中国国家药品监督管理局（NMPA）批准。本次获批适应症为用于激素受体（HR）阳性、人表皮生长因子受体 2（HER2）阴性（HR+/HER2-）局部晚期或转移性乳腺癌成人患者：与芳香化酶抑制剂联合使用作为初始内分泌治疗。此前，枸橼酸伏维西利胶囊已获批联合氟维司群用于既往接受内分泌治疗后出现疾病进展的 HR+/HER2- 的复发或转移性乳腺癌。枸橼酸伏维西利胶囊为复星医药子公司奥鸿药业开发的创新型小分子 CDK4/6 抑制剂，是一种口服、强效、高选择性、全新结构的创新小分子药物。研究表明，该新药能够显著延长患者中位无进展生存期，降低疾病进展的风险，整体安全性可控。该产品在中国的商业化推广由复宏汉霖负责。

➤ 科伦博泰 1 类新药富马酸仑博替尼申报上市

9 月 22 日，CDE 官网显示，科伦博泰 1 类新药富马酸仑博替尼胶囊上市申请获受理。用于治疗 RET 融合阳性局部晚期或转移性非小细胞肺癌（NSCLC）成人患者。这标志着我国在肺癌精准治疗领域又迈出了坚实的一步。仑博替尼是科伦博泰自主研发的第二代小分子选择性 RET 抑制剂，对常见的 RET 基因融合和突变具有广泛活性。作为一款新型下一代选择性 RET 抑制剂，该药物被定位为治疗 NSCLC、甲状腺髓样瘤（MTC）以及其他 RET 变异的高患病率实体瘤的精准治疗药物。临床前研究数据显示，仑博替尼在体外和体内对主要 RET 激酶表现出良好的抑制活性，在动物模型中也展现出优异的血脑屏障穿透能力，这为其治疗脑转移患者提供了理论基础。值得注意的是，该药物具有克服第一代 RET 抑制剂耐药的潜力，为临床治疗提供了新的解决方案。

➤ 星曜坤泽乙肝联合疗法被 NMPA 纳入突破性治疗品种

9 月 23 日，星曜坤泽宣布其自主研发的 HT-101 注射液联合 HT-102 注射液正式被中国国家药监局（NMPA）纳入突破性治疗品种，拟定适应症为治疗慢性乙型肝炎病毒感染。HT-101 是一款 GalNAc 偶联的 siRNA 创新药物，通过高特异性肝脏靶向，沉默乙肝病毒（HBV）的 mRNA，阻断多个病毒蛋白合成，达到抗 HBV 作用。HT-102 是针对 HBsAg 的全人源单克隆抗体，可阻止 HBV 再感染，清除体内循环中的含有 HBsAg 的亚病毒颗粒，减少亚病毒颗粒介导的免疫抑制。HT-101 注射液联合 HT-102 注射液理论上可同时针对外周血的 HBsAg 和靶向肝脏内多种 HBV 病毒蛋白，机制上互补，药效有潜在的协同作用。根据星曜坤泽新闻稿介绍，此次突破性疗法认定认定基于早期临床试验中展现出的显著抗病毒活性和良好安全性。HT-101 的 1b 期临床试验显示，所有剂量组患者在两次给药后 HBsAg 水平持续下降，高剂量组部分患者实现 HBsAg 清除。

➤ 礼来治疗阿尔茨海默病药物多奈单抗在欧盟获批上市

9 月 25 日，礼来宣布，欧洲委员会（EC）已授予 Kisunla（Donanemab，多奈单抗，也被简称为“D 药”）上市许可，用于治疗早期症状性阿尔茨海默病（AD）成人患者，包括患有轻度认知障碍以及患有轻度痴呆阶段 AD 且确认存在淀粉样蛋白病理的载脂蛋白 E（ApoE4）杂合子或非携带者。礼来新闻稿指出，在 III 期 TRAILBLAZER-ALZ 2 研究中，D 药在早期症状性 AD 患者身上展现了有意义的成果，显著减缓了认知和功能衰退。且患者越早被识别、诊断并用采取治疗，治疗效果越好。D 药基于 β 淀粉样蛋白（A β ）级联假说研发，于 2024 年 7 月获 FDA 批准上市，是继渤健/卫材的仑卡奈单抗后，全球第二款获 FDA 批准上市的 A β 单抗产品。此前，D 药已分别于美国、日本、中国及英国等地获批上市，但在欧盟的上市申请此前因严重的淀粉样蛋白相关影像学异常（ARIA）风险一直未被批准。

➤ 艾伯维向 FDA 递交帕金森小分子疗法上市申请

9 月 26 日，艾伯维（AbbVie）宣布已向美国 FDA 提交在研小分子 tavapadon 的新药申请（NDA），用于帕金森病治疗。Tavapadon 是一种新型选择性多巴胺 D1/D5 受体部分激动剂，被开发为每日一次口服疗法。申请主要基于 TEMPO 临床开发项目的结果，该项目全面评估了 tavapadon 在帕金森病不同患者群体中的疗效、安全性及耐受性。TEMPO 项目包含三项关键 3 期临床试验：TEMPO-1 与 TEMPO-2 在早期帕金森病患者中开展，结果显示患者在第 26 周时，运动障碍协会-统一帕金森病评定量表（MDS-UPDRS）第 2 和 3 部分综合评分上，与基线相较具有统计学显著改善。TEMPO-3 试验则评估 tavapadon 联合左旋多巴的疗效，结果表明患者处于“on”时期（症状得到良好控制且无运动障碍）明显延长。

版 权 声 明:

COPYRIGHT NOTICE:

本报告版权属于摩熵数科（成都）医药科技有限公司，并受法律保护。

转载、摘编或利用其它方式使用本报告文字或者观点的，应注明来源。

违反上述声明者，编者将追究其相关法律责任。

The copyright of this report belongs to BCPMdata Pharma Technology (Chengdu) Co.,Ltd., and is protected by law.

Those who reprint, extract or use the text or views of this report in other ways should indicate the source, and those who violate the above statement will be investigated for their relevant legal responsibilities.

摩熵咨询是摩熵数科旗下生物医药专业咨询服务品牌，由深耕医药领域多年的专业人士组成，核心成员均来自国际顶级咨询机构和行业标杆企业，涵盖立项、市场、战略、投资等从业背景，依托摩熵数科丰富的外部专家资源及全面的医药全产业链数据库，为客户提供专业咨询服务和定制化解决方案。

市场洞察与营销赋能

分析市场现状，洞察行业趋势，依托数据分析和深度研究，辅助商业决策。

立项评估及管线规划

提供疾病领域品种调研、专家访谈、品种立项、项目交易整套服务。

产业规划及研究服务

以数据为基础，为组织、园区、企业提供科学的决策依据和趋势线索。

多渠道数据分析及定制服务

帮助客户深入了解目标领域和市场情况，发现潜在机会，优化业务决策。

数据驱动决策，一站式生物医药咨询服务

- 销售数据，覆盖医院/药店/电商
- 真实世界数据，细分到科室
- 药品流向数据，细分到医院
- 500+医药行业研究报告
- 200+真实项目案例
- 1300+业内高端专家资源

官方网站：consult.pharnexcloud.com



定制需求/数据库咨询



薇薇：

18980413049

(微信同号)

数据库免费试用



扫一扫

立即申请

联系地址

(成都)：成都高新区天府大道北段1480号孵化园1号楼A座1-9号附1号2楼

(上海)：上海市浦东新区秋月路26号矽岸国际1号楼

(重庆)：重庆市渝中区平安国际金融中心2506-2