

12 月全球新药月报-分析篇

Insight / January, 2026

为了帮助您及时追踪全球新药热点，Insight 将于每月第 5 工作日发布「新药月报-数据篇」，第 10 工作日发布「新药月报-分析篇」，敬请关注！

目录

Contents

- 01 全球新药进展概览
- 02 全球获批上市新药
- 03 全球申请上市新药
- 04 重点临床试验与结果
- 05 研发进度终止的新药
- 06 潜在转化医学新靶点
- 07 重点医药交易事件
- 08 投融资概览

12 月重点药物介绍

阿夫凯泰—在中国实现全球首发的第二代心肌肌球蛋白抑制剂

2025 年 12 月 17 日，赛诺菲宣布其阿夫凯泰 (Aficamten , 星舒平®) 正式获得中国国家药品监督管理局 (NMPA) 批准，用于治疗纽约心脏协会 (NYHA) 心功能分级 II-III 级的梗阻性肥厚型心肌病 (oHCM) 成人患者，以改善运动能力和症状，此次获批主要基于关键性全球 III 期临床研究 SEQUOIA-HCM 所取得的积极结果。阿夫凯泰在中国实现全球首发，批准早于美国和欧盟等其他国家和地区。阿夫凯泰片是肥厚型心肌病领域潜在“同类最佳”的治疗药物。

Baxdrostat—首个用于治疗难以控制高血压的 ALDOS 抑制剂申报上市

2025 年 12 月 2 日，阿斯利康宣布，其醛固酮合成酶 (ALDOS) 抑制剂 Baxdrostat 治疗难以控制 (未控制或难治性) 高血压的上市申请已获得 FDA 受理，并授予优先审评资格。如果获得批准，该药物有望成为首个获批治疗难以控制高血压的 ALDOS 抑制剂。

12 月全球重点医药交易

赛诺菲 22 亿美金收购，强化成人疫苗管线布局

12 月 24 日，赛诺菲与 Dynavax Technologies 达成合并协议，将通过赛诺菲全资子公司发起现金收购要约，以每股 15.50 美元的价格收购 Dynavax 全部流通股，总交易价值约为 22 亿美元，该价格较 Dynavax 前一交易日的收盘价溢价约 39%，此次收购为赛诺菲新增一款已上市的成人乙肝疫苗 (HEPLISAV-B®)，以及差异化的带状疱疹候选疫苗 (Z-1018) 和其他疫苗研发管线项目，旨在通过整合 Dynavax 的 CpG 1018 佐剂技术增强其在免疫领域的市场地位。

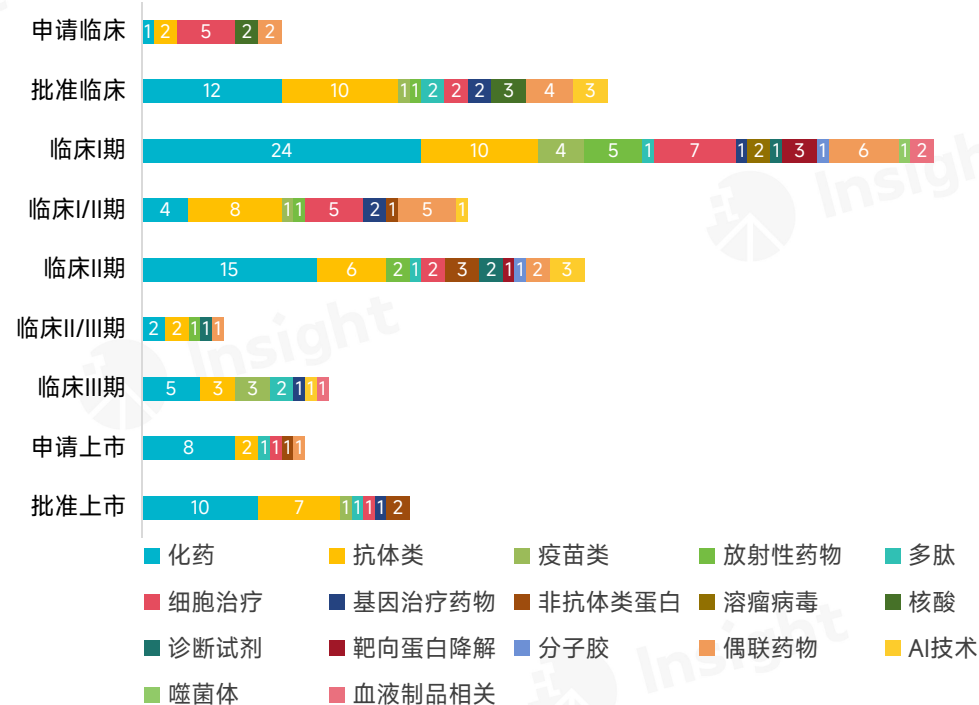
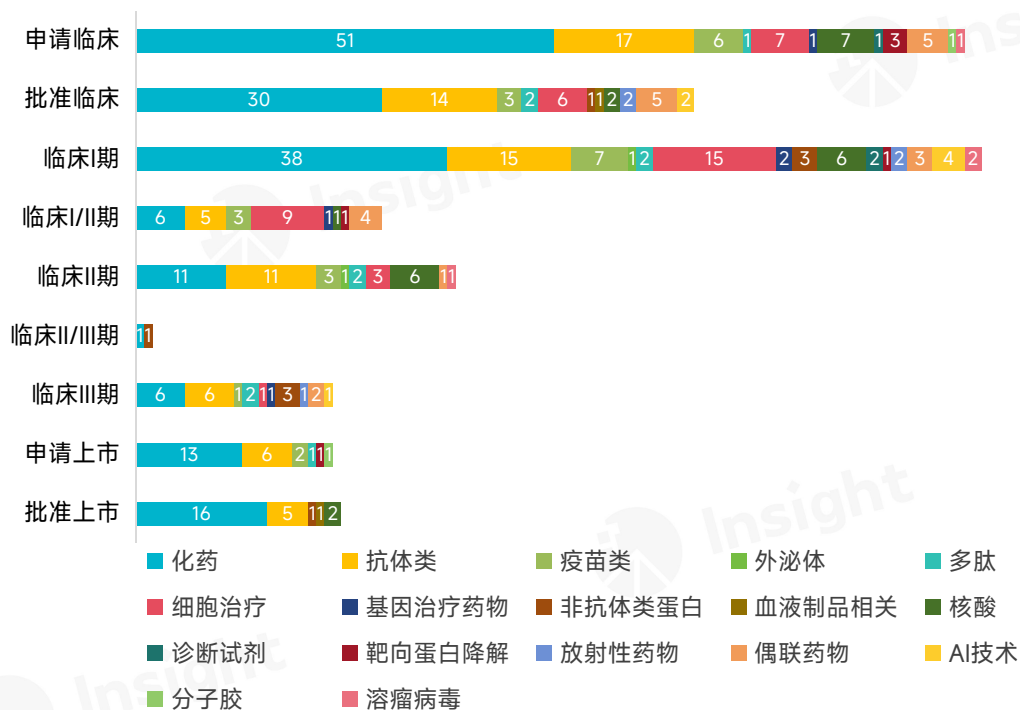
01

全球新药进展概览

12月首次进展到最高状态（中国内地/境外）的新药项目分析

中国内地

境外



- 12月进展到最高状态的项目中，进入中国内地最高状态的项目有 404 个，进入境外最高状态的项目有 228 个。
- 进入中国内地最高状态的重点成分类别上，占比前三的分别是化药 43%，抗体类药物 20%，细胞治疗 10%。
- 进入境外最高状态的重点成分类别上，占比前三的分别是化药 36%，抗体类药物 22%，细胞治疗 10%。

数据来源：Insight 数据库

数据说明：【申请临床/批准临床】进度根据国内外公开渠道披露信息统计整理

筛选方法：【中国内地/境外最高状态时间】为 1201-1231，【中国内地/境外最高状态】去除【临床前、临床中(分期未知)、暂无进度】；项目统计中在中国内地和境外存在的临床前/临床 0 期非最高进度不展示

02

全球获批上市新药

获批上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计，12 月全球获批上市 131 款新药，包括了 24 款改良新和 11 款生物类似药（包含首次获批上市、新适应症获批上市及同适应症在不同地区获批上市）。

疾病领域	药品成分	成分类别	剂型	靶点	企业	适应症	地区	获批时间	是否首次获批
肿瘤	库莫西利	化药	普通胶囊剂	CDK6 CDK4 CDK2	正大天晴药业集团股份有限公司	HR阳性、HER2阴性乳腺癌	中国	2025-12-09	是
	佐来曲替尼	化药	普通片剂	NTRK	北京诺诚健华医药科技有限公司	实体瘤	中国	2025-12-09	是
	匹米替尼	化药	普通胶囊剂	CSF1R	默克雪兰诺（北京）医药有限公司	腱鞘巨细胞瘤	中国	2025-12-16	是
免疫系统疾病	Etuvedigene autotemcel	基因治疗 造血干细胞HSC	注射剂	WAS	Fondazione Telethon	湿疹血小板减少伴免疫缺陷综合征	美国	2025-12-09	是
	贝罗曲司他口服颗粒	化药	颗粒剂	KLKB1	BioCryst Pharmaceuticals	遗传性血管性水肿	美国	2025-12-12	是
	阿尼鲁单抗皮下注射剂	单特异性抗体	皮下注射剂	IFNAR1	阿斯利康制药	系统性红斑狼疮	EMA	2025-12-16	是
心血管系统疾病	司妥吉仑	化药	普通片剂	REN	上海医药集团股份有限公司	原发性高血压	中国	2025-12-03	是
	艾曲帕米	化药	鼻用气雾剂/喷雾剂/粉雾剂	Calcium channel	Milestone Pharmaceuticals	阵发性室上性心动过速	美国	2025-12-12	是
	阿夫凯泰	化药	普通片剂	Myosin	Cytokinetics	梗阻性肥厚型心肌病	中国	2025-12-16	是
内分泌和代谢系统疾病	verenafusp alfa	抗体类融合蛋白	注射剂	IDS INSR	Generium Pharmaceutical	II型黏多糖贮积症	俄罗斯联邦	2025-12-16	是
	肠内营养剂	化药	口服乳剂	/	Clinigen Group	营养不良	日本	2025-12-22	是
	加硫酶-GNR071	酶	注射剂	GAGs	Generium Pharmaceutical	VI型黏多糖贮积症	俄罗斯联邦	2025-12-22	是

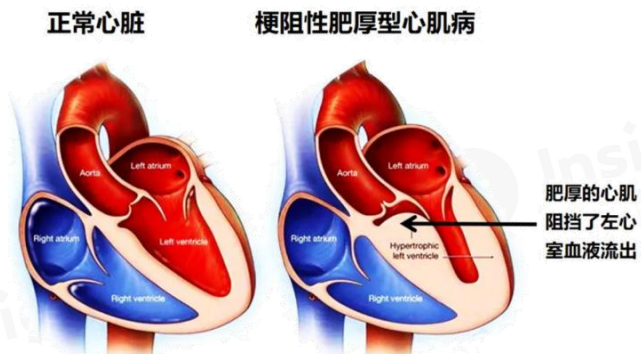
数据来源：Insight 数据库 备注：获批上市包含首次获批、新适应症获批、及同适应症在不同地区获批

阿夫凯泰—在中国实现全球首发的第二代心肌肌球蛋白抑制剂

2025年12月17日，赛诺菲宣布其阿夫凯泰（Aficamten，星舒平®）正式获得中国国家药品监督管理局（NMPA）批准，用于治疗纽约心脏协会（NYHA）心功能分级 II-III 级的梗阻性肥厚型心肌病（oHCM）成人患者，以改善运动能力和症状，此次获批主要基于关键性全球 III 期临床研究 SEQUOIA-HCM 所取得的积极结果。阿夫凯泰在中国实现全球首发，批准早于美国和欧盟等其他国家和地区。阿夫凯泰片是肥厚型心肌病领域潜在“同类最佳”的治疗药物。

■ 肥厚型心肌病及治疗现状

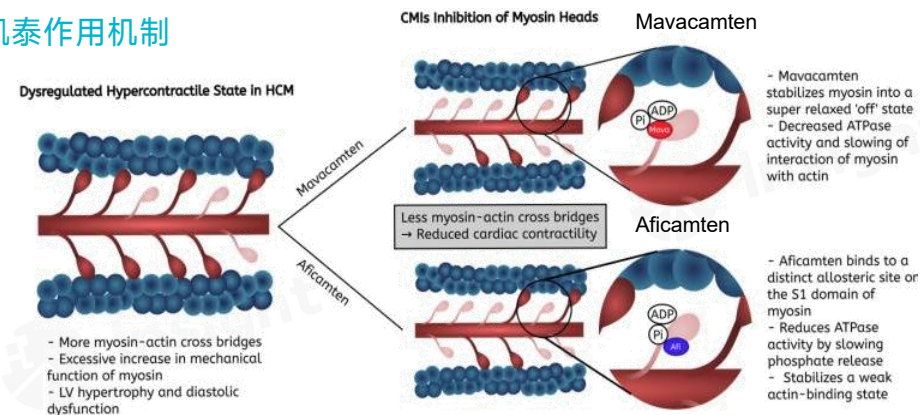
- HCM 是一种心肌增厚的疾病，增厚的心肌会使心脏更难泵血。患者会有心跳加快或心跳不规则、呼吸困难、胸部疼痛等症状。梗阻性肥厚型心肌病与非梗阻性肥厚型心肌病（nHCM）最主要的区别在于肥厚的心肌是否阻塞泵血流出。
- HCM 常由肌节蛋白基因突变引起，最常见的为 MYH7 或 MYBPC3 基因突变，造成心肌收缩异常、钙敏感性增加等而引起心肌肥厚。
- 据 Insight 统计，2024 年中国人群的 HCM 患病率为 80/十万，发病率在 6.9/十万。



- HCM 治疗的总体原则是减轻症状，改善心功能，延缓疾病进展。常规药物中 β 受体阻滞剂、钙通道阻滞剂可改善症状；介入治疗有室间隔肌切除术和酒精室间隔消融术。然而，这些治疗无法阻止疾病进展，手术治疗也会存在并发症且受限于患者意愿和身体状况等问题。
- 截至目前，全球已上市的 HCM 靶向药物仅有玛伐凯泰和阿夫凯泰，均为心肌肌球蛋白抑制剂，它们能从根本上逆转肥厚型心肌病基因变异导致的肌球蛋白与肌动蛋白过度结合，使心肌过度收缩状态解除，开辟了 HCM 治疗新角度。

数据来源：企业官网，Insight 数据库，Biomedicines. 2025 Jul 1;13(7):1619, Nat Cardiovasc Res 3, 1003-1016 (2024)

■ 阿夫凯泰作用机制



	玛伐凯泰	阿夫凯泰
药物类别	心肌肌球蛋白抑制剂	心肌肌球蛋白抑制剂
结合位点	与阿夫凯泰不同的变构位点	与 Blebbistatin 相同的变构位点
主要作用机制	减少可用于与肌动蛋白形成横桥循环的肌球蛋白头的数量	通过减缓磷酸盐 (Pi) 的释放来降低 ATPase 活性和降低心肌收缩力
与 Blebbistatin 的相互作用	不与 Blebbistatin 竞争	与 Blebbistatin 竞争 (互斥结合)
半衰期和稳态到达时间	半衰期长 (7 - 9 天)，约 6 周达到稳态	半衰期较短，24-48 小时内可逆，约 2 周内达到稳态

- 与玛伐凯泰相比，阿夫凯泰与工具化合物 Blebbistatin 在肌球蛋白上具有相同的变构结合位点。阿夫凯泰与该位点结合后可减缓磷酸盐释放，具有 ATP 周转率极低等特点，对肌球蛋白的抑制作用起效更快，可逆性也更强，这导致其半衰期更短。

阿夫凯泰—在中国实现全球首发的第二代心肌肌球蛋白抑制剂

■ SEQUOIA-HCM 试验设计及结果

- 试验设计：SEQUOIA-HCM 研究共纳入 282 例症状性 oHCM 患者，随机分配接受阿夫凯泰或安慰剂治疗，治疗时间长达 24 周，主要终点是心肺运动期间的测试 pVO_2 。

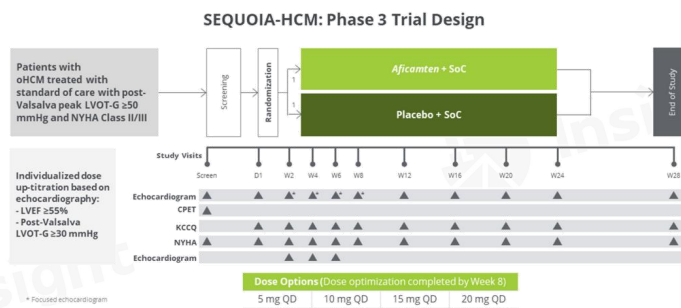
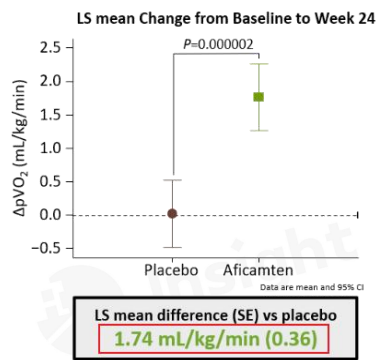
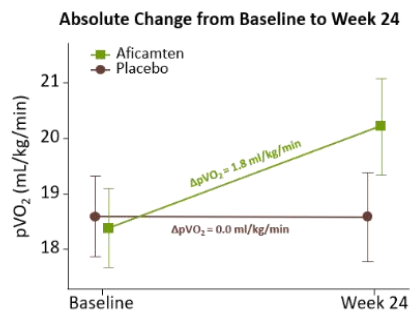


Figure 1. Primary Endpoint – Change in pVO_2



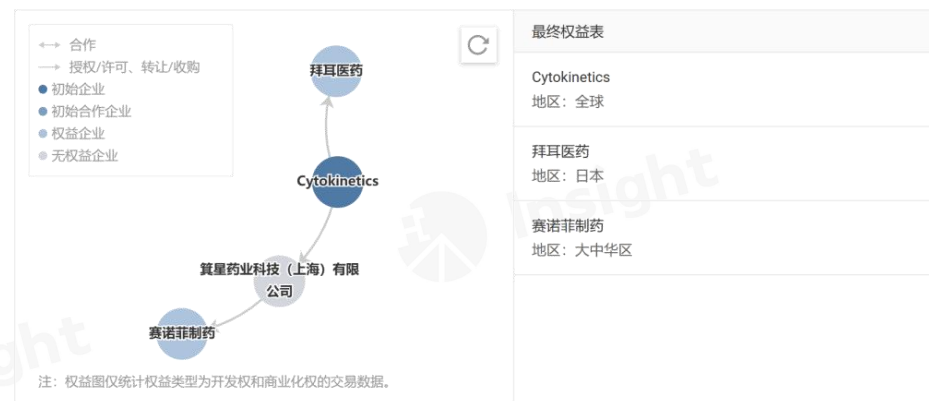
- 疗效方面取得积极结果
 - 改善运动耐量：治疗 24 周后， pVO_2 水平较基线升高 1.74 mL/kg/min；
 - 改善梗阻：治疗 24 周，相较于安慰剂组，LVOT-G 降幅达 50 mmHg；
 - 缓解症状：治疗 12 周时，NYHA 心功能分级改善 ≥ 1 级的患者比例为 48.6%；至 24 周提升至 58.5%，且 KCCQ-CSS 评分，阿夫凯泰治疗组患者在第 12 周和第 24 周时，KCCQ-CSS 评分均较安慰剂组高 7 分；提示症状改善具有持续性；
 - 减少 SRT 手术需求，88% 符合手术指征的患者不再需要手术；疾病相关生物标志物得到改善。
- 安全性上，阿夫凯泰具有良好的耐受性和安全性

数据来源：企业官网，Insight 数据库，J. Clin. Med. 2023, 12, 5710, J Am Heart Assoc. 2025, 3, 18, 14(6):e038758.

■ 阿夫凯泰与玛伐凯泰的临床结果对比总结

- 阿夫凯泰与玛伐凯泰作用原理大体相似，二者由同一团队研发，但在药物设计、作用靶点和药物代谢动力学方面有差异，使得阿夫凯泰具有半衰期短，可快速调整剂量，安全窗更宽，停药时的 LVEF 阈值可下调至 40%，而玛伐凯泰在 LVEF 低于 50% 时就需要减量甚至停药。
- 二者对 oHCM 均具有显著疗效，可降低左心室流出道梗阻、减轻症状负担、改善心脏生物标志物，并提高 oHCM 患者的运动能力。
- 此外，二者对非梗阻性肥厚型心肌病也有效。阿夫凯泰 nHCM III 期临床试验 ACACIA-HCM 已完成患者招募，顶线结果预计 2026 年上半年公布；针对 nHCM 患者的长期扩展研究 (FOREST-HCM) 36 周数据显示，阿夫凯泰可持续改善患者心功能与生活质量，且耐受性良好。

■ 医药交易



- 阿夫凯泰最初由 Cytokinetics 公司研发，2020 年 7 月箕星药业获得了阿夫凯泰的大中华区权益。2024 年 11 月拜耳引进了该药的日本权益，同年 12 月赛诺菲与箕星药业达成合作，获得了该药的大中华区权益。

03

全球申请上市新药

申请上市新药清单（部分）

据 Insight 数据库统计，12 月全球申请上市 74 款新药，包括了 18 款改良新和 5 款生物类似药（包含首次申请上市、新适应症申请上市及同适应症在不同地区申请上市）。

疾病领域	药品成分	成分类别	剂型	靶点	企业	适应症	地区	获批时间	是否首次申请
肿瘤	替恩戈替尼	化药	普通片剂	JAK1 AURKB AURKA JAK2 CSF1R FGFR VEGFR	药捷安康（南京）科技股份有限公司	胆道癌	中国	2025-12-19	是
	凡瑞格拉替尼	化药	普通片剂	FGFR1 FGFR2 FGFR3	和记黄埔医药（上海）有限公司	肝内胆管癌	中国	2025-12-24	是
	Iberdomide	分子胶降解剂	普通胶囊剂	IKZF1 IKZF3 CRBN	新基医药 百时美施贵宝制药	多发性骨髓瘤	中国	2025-12-27	是
免疫系统疾病	倍考奇拜单抗	单特异性抗体	皮下注射剂	IL17A	上海君实生物医药科技股份有限公司	斑块状银屑病	中国	2025-12-06	是
	Imsidolimab	单特异性抗体	皮下注射剂 注射剂	IL36R	Vanda Pharmaceuticals	泛发性脓疱型银屑病	美国	2025-12-15	是
	莱康奇塔单抗	单特异性抗体	皮下注射剂	IL17F IL17A	丽珠医药集团股份有限公司	斑块状银屑病	中国	2025-12-24	是
心血管系统疾病	Baxdrostat	化药	普通片剂	CYP11B2	阿斯利康制药 罗氏制药	高血压	美国	2025-12-02	是
内分泌和代谢系统疾病	Orforglipron	化药	普通胶囊剂 普通片剂	GLP1R	礼来制药	肥胖	美国	2025-12-18	是
	Adrabetadex	化药	注射剂	/	Mandos	C型尼曼匹克病	美国	2025-12-19	是
	Cagrilintide+司美格鲁肽- CagriSema	多肽	皮下注射剂 长效注射剂	GLP1R CTR AMYR	诺和诺德制药	肥胖	美国	2025-12-18	是
神经系统疾病	多塞平	化药	口腔贴片	HRH1 HRH2 SLC6A4 SLC6A2	力品药业（厦门）股份有限公司 厦门力卓药业有限公司	失眠症	中国	2025-12-13	是

Baxdrostat—首个用于治疗难以控制高血压的 ALDOS 抑制剂申报上市

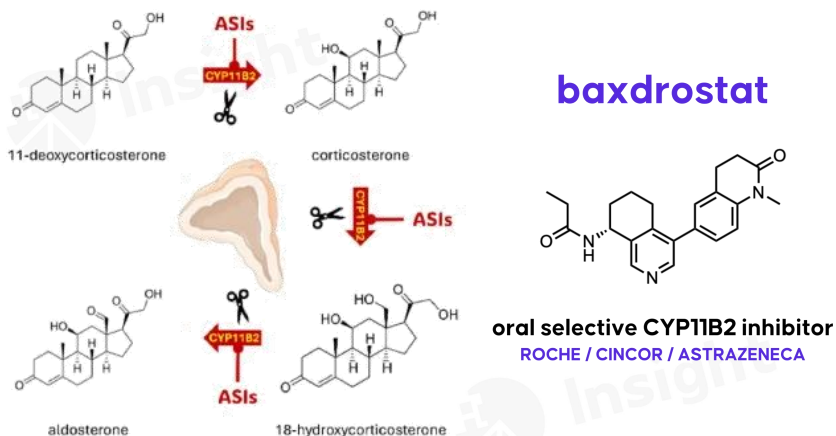
➢ 2025 年 12 月 2 日，阿斯利康宣布，其醛固酮合成酶（ALDOS）抑制剂 Baxdrostat 治疗难以控制（未控制或难治性）高血压的上市申请已获得 FDA 受理，并授予优先审评资格。如果获得批准，该药物有望成为首个获批治疗难以控制高血压的 ALDOS 抑制剂。Baxdrostat 最初由罗氏研发，2019 年罗氏将其全球独家权利授权给 CinCor Pharma 公司，2023 年阿斯利康以 18 亿美元的总交易额收购了 CinCor Pharma 从而获得了此款产品。

■ 背景介绍

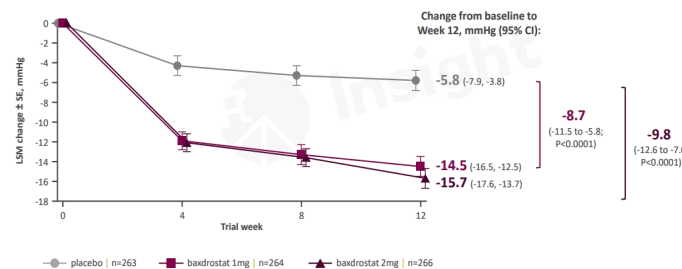
- 据统计，全世界有约 13 亿高血压患者，美国有 50% 接受多种药物治疗的高血压患者的血压仍难以控制，中国的高血压患者血压控制率也处于较低水平（15.3%）。
- 醛固酮失调是高血压的关键生物学驱动因素之一，可导致患者心血管和肾脏风险升高。因此，阻断醛固酮水平受肾素-血管紧张素-醛固酮系统（RAAS）是大部分现有降压药物的主要机制。
- 醛固酮合成酶参与醛固酮合成的最后三个关键步骤，而编码此酶的 CYP11B2 基因与编码皮质醇合成酶的 CYP11B1 基因的序列高度同源。如果 ALDOS 抑制剂的选择性不高，则会影响皮质醇合成水平，从而引起皮质醇紊乱相关的副作用。

■ 药物机制和关键临床结果

- Baxdrostat 是一种潜在的 first in class、口服、高选择性醛固酮合成酶抑制剂 (ASI)，旨在通过特异性抑制醛固酮的生成来降低血压。体外数据显示，其对醛固酮合成酶选择性是皮质醇合成酶的 100 倍以上。且其在标准降压疗法基础上，治疗难以控制（未控制或难治性）高血压患者的 III 期 BaxHTN 临床达到了主要终点、全部次要终点以及所有确认性次要终点。
- III 期 BaxHTN 临床试验数据：两个剂量（2 mg 和 1 mg，QD）的 Baxdrostat 治疗 12 周时，患者的平均坐位收缩压（SBP）均出现具有统计学意义和临床意义的显著降低，分别降低了 15.7 mmHg 和 14.5 mmHg。经安慰剂校正后，两个剂量组分别降低了 9.8 mmHg 和 8.7 mmHg（ $P < 0.001$ ）。在难治性高血压亚组与未控制高血压亚组中变化一致。两个剂量组在 12 周时达到坐位 SBP < 130 mmHg 的患者比例较安慰剂组提升近三倍。除此之外，患者的动态 24 小时平均收缩压、夜间动态平均收缩压、坐位舒张压和血清醛固酮浓度也显著降低。安全性方面，患者的整体耐受性良好，大多数不良事件为轻度，未发现非预期的安全性事件。



Primary outcome – change in seated-SBP
baxdrostat versus placebo, baseline to Week 12



Changes in seated SBP at Week 12 were consistent across all pre-specified subgroups with baxdrostat 2mg

Subgroup	baxdrostat 2mg n	placebo n	Least-squares mean difference (95% CI) in seated systolic blood pressure, mmHg
Overall	266	263	
Age, years			
<65	145	138	
≥65 to <75	88	91	
≥75	33	34	
Sex			
Female	103	102	
Male	163	161	
Race			
Black or African American	21	15	
Asian	72	72	
White	168	166	
Baseline hypertension			
Uncontrolled hypertension	67	71	
Resistant hypertension	199	192	
Baseline systolic blood pressure, mmHg			
<145	92	92	
≥145	174	171	
Baseline eGFR, mL/min/1.73m ²			
<60	30	29	
≥60	236	234	
Baseline body-mass index, kg/m ²			
<30	126	128	
≥30	140	135	

ALDOS 抑制剂竞争格局

- 全球积极在研的 ALDOS 抑制剂治疗药物共有 19 款，其中进入临床及以上阶段的共有 13 款。其中，仅诺华的奥西卓司他获批上市，该药最初研发用于治疗高血压，但因其药物选择性差，从 2008 年开始就一直处于 2 期临床阶段，后来开发用于治疗库欣综合征，取得积极疗效从而获批上市。而目前申请上市的高选择性的 ALDOS 抑制剂 Baxdrostat 不仅在难以控制高血压方面取得新突破，还有望用于治疗原发性醛固酮增多症（Spark-PA）以及慢性肾病（CKD）合并高血压患者（处于临床 III 期阶段）。
- 全球在研的 ALDOS 抑制剂中，适应症主要分布在高血压的治疗方面。值得关注的是，Mineralys 从田边三菱制药引进的 Lorundrostat 也属于高选择性 ALDOS 抑制剂，体外试验数据显示，Lorundrostat 对 ALDOS 的选择性是皮质醇合成酶的 374 倍。且其治疗高血压的两项关键性注册临床试验（III 期 Launch-HTN、II 期 Advance-HTN）也都达到了预设的主要终点。Mineralys 在 2025 财年季报中表示，计划于 2026 年一季度提交 NDA。

药品成分	靶点	研发机构	适应症全球最高状态
奥西卓司他 (Osilodrostat)	CYP11B1 CYP11B2	诺华	批准上市: 库欣综合征 临床II期: 原发性醛固酮增多症, 原发性高血压, 高血压 临床I期: 肾脏病
Baxdrostat	CYP11B2	罗氏, 阿斯利康, CinCor Pharma	申请上市: 高血压 临床III期: 慢性肾脏病, 心力衰竭, 降低心血管风险, 原发性醛固酮增多症 批准临床: 肾衰竭
Lorundrostat	CYP11B2	田边三菱制药	临床III期: 高血压 临床II期: 慢性肾脏病, 阻塞型睡眠呼吸暂停
Vicadrostat	CYP11B2	勃林格殷格翰	临床III期: 射血分数轻度降低的心力衰竭, 射血分数保持的心力衰竭, 慢性肾脏病, 射血分数降低的心力衰竭, 心血管事件二级预防 临床I期: 糖尿病肾病
SAL0140	CYP11B2	信立泰药业	临床II期: 高血压 批准临床: 慢性肾脏病, 原发性醛固酮增多症
Dexfadrostat	CYP11B2	Damian Pharma	临床II期: 原发性醛固酮增多症
LAE001	CYP11B2 CYP17A1	诺华, 来凯医药科技	临床I/II期: 去势抵抗性前列腺癌 批准临床: 前列腺癌
SYH2072	CYP11B2	翊石医药	临床I期: 高血压 批准临床: 原发性醛固酮增多症 临床前: 心血管系统疾病
VB19055	CYP11B2	扬厉医药	临床I期: 高血压
QLS1410	CYP11B2	齐鲁制药	临床I期: 原发性高血压, 高血压
JX09	CYP11B1 CYP11B2	Viamet, 箕星药业	临床I期: 高血压

2026 年 1 月和 2026 年 2 月 FDA 新药 PDUFA 清单

根据 FDA 公布的新药申请 PDUFA 日期，下表汇总了近两个月 FDA 会做出审评决定的药品清单（包括新药和改良新），2026 年 1 月份预计还有 3 款新药会迎来 FDA 审评结论，2026 年 2 月份预计有 6 款新药会迎来 FDA 审评结论。

药品成分	成分类别	剂型	研发机构	申报适应症	PDUFA 日期
溴莫尼定+卡巴胆碱-VT-101	化药	滴眼剂	Tenpoint Therapeutics	老视	2026-01-28
肾上腺素前药(舌下膜剂)-Anaphylm	化药	口溶膜剂	Aquestive Therapeutics	过敏	2026-01-31
Leniolisib*	化药	普通片剂	Pharming Group	激活PI3K-delta综合征	2026-01-31
帕博利珠单抗*	单特异性抗体	注射剂	默沙东制药	卵巢上皮癌	2026-02-20
Milsaperidone	化药	普通片剂	Vanda Pharmaceuticals	双相I型障碍，精神分裂症	2026-02-21
去氨加压素-ET-600	化药	口服溶液剂	Eton Pharmaceuticals	中枢性尿崩症	2026-02-25
那韦培肽	多肽	皮下注射剂	Ascendis Pharma	软骨发育不全	2026-02-28
Pegvaliase*	酶	皮下注射剂	拜玛林制药	苯丙酮尿症	2026-02-28
度普利尤单抗*	单特异性抗体	皮下注射剂	赛诺菲制药	过敏性鼻炎	2026-02-28

*: 优先审评

04

重点临床试验与结果

重点发布结果的临床试验（部分）



据 Insight 数据库统计，2025 年 12 月共收录 1451 个最新临床实验结果。下表展示部分重点临床试验结果，更多数据可通过 Insight 数据库 [临床试验结果模块](#) 查询。

领域	试验登记号/代号	申办者	用药方案	靶点	成分类别	适应症	分期	有效性结果	结果倾向性	备注
肿瘤	NCT05847348	远大医药	试验组: TLX591 CDx	PSMA	多肽偶联核素药物PRC	前列腺癌 (PET显像)	临床III期	检测肿瘤的总阳性预值 (PPV) 达 94.8%。	积极	取得顶线结果并达到主要临床终点，对于疑似生化复发的前列腺癌患者早期诊断具有积极意义。
	NCT05207787	江苏豪森药业	试验组: 瑞森替尼	RET	化药	非小细胞肺癌	临床I/II期	两队列 ORR 分别为 80.0% 和 83.3%; DCR 分别为 96.0%和 93.3%; 12mon-PFS 分别为 81.1%和79.3%。	积极	瑞森替尼已于今年 10 月向 NMPA 提交上市申请，用于治疗 RET 基因融合阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌成人患者
	NCT07002177	深圳福沃药业	试验组: FWD1802	ER- α ER- β	化药	HR阳性、HER2阴性乳腺癌	临床I/II期	后线 mESR1 阳性患者 ORR 达 41%，25mg 至 450mg 的所有测试剂量均观察到临床获益。	积极	处于口服 SERD 国产药物赛道中的领先水平，展现出有意的安全性特征和肿瘤疗效。
	NCT05023980	礼来制药, LOXO ONCOLOGY	试验组: 匹妥布替尼 对照组: 苯达莫司汀, 利妥昔单抗	BTK C481S BTK	化药	慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤	临床I期	匹妥布替尼组显著改善了经 IRC 评估的 PFS (HR: 0.199, p<0.0001)，24 个月 PFS 率为 93.4%	积极	12 月 29 日，根据 CDE 官网显示匹妥布替尼片新适应症上市申请获受理，推测适应症为 CLL/SLL。
	NCT05671510	广州昂科免疫	试验组: Gotistobart 对照组: 多西他赛	CTLA4	单特异性抗体	鳞状非小细胞肺癌	临床III期	试验组 12 个月 OS 为 63.1%，中位总生存期尚未达到，对照组 12 个月 OS 为 30.3%；中位总生存期为 10 个月，试验组的死亡风险较化疗组降低 54%。	积极	pH 敏感抗体设计与 CTLA-4 循环利用相结合，展现出老靶点新设计的研发策略优势
非肿瘤	NCT05628311 DREAMS-1	信达生物	试验组: 玛仕度肽 对照组: 安慰剂	GCGR GLP1R	多肽	2型糖尿病 (成人, 饮食运动治疗失败)	临床III期	6 mg 组糖化血红蛋白 (HbA1c) 较基线显著降低 2.02%，血糖达标率 (HbA1c<7%) 达 81.8%，远高于安慰剂组的 11.7%	积极	玛仕度肽入选中国临床多部减重及糖尿病专家共识，实现降糖、减重双重获益。
	NCT06108544 NCT06088043	武田药品	试验组: Zasocitinib 对照组: 安慰剂	TYK2	化药	斑块状银屑病	临床III期	超半数受试者在第 16 周达到皮损清除或几乎清除 (PASI 90)，平均约 30% 的受试者在第 16 周达到皮损完全清除 (PASI 100)	积极	武田制药计划自 2026 财年内向美国 FDA 及其他监管机构递交 Zasocitinib 新药上市申请
	NCT06015841	AC Immune	试验组: ACI-7104 对照组: 安慰剂	SNCA	治疗性疫苗 多肽结合疫苗 纳米颗粒疫苗	帕金森病	临床II期	达成预设免疫原性终点，受试者应答率达到 100%，血浆胶质纤维酸性蛋白 (GFAP) 和多巴胺转运体 (DaT) 的 SPECT 成像显示出疾病改善的趋势。	积极	该药为首款通过主动免疫治疗方式靶向 a-syn 相关病理机制，有望减缓帕金森病的疾病进展

Gotistobart—临床 III 期第一阶段研究结果公布，引领下一代 CTLA-4 药物开发

2025 年 12 月 7 日，BioNTech 与 OncoC4 共同宣布全球 III 期临床试验 PRESERVE-003 (NCT0567151) 非关键、剂量确证第一阶段的数据。该研究旨在评估新一代 CTLA-4 抗体 Gotistobart (BNT316/ONC-392) 用于治疗 PD-(L)1 耐药的转移性鳞状非小细胞肺癌 (sqNSCLC) 患者的有效性和安全性，结果显示较标准化疗，gotistobart 将死亡风险降低了一半以上，且安全性可控。

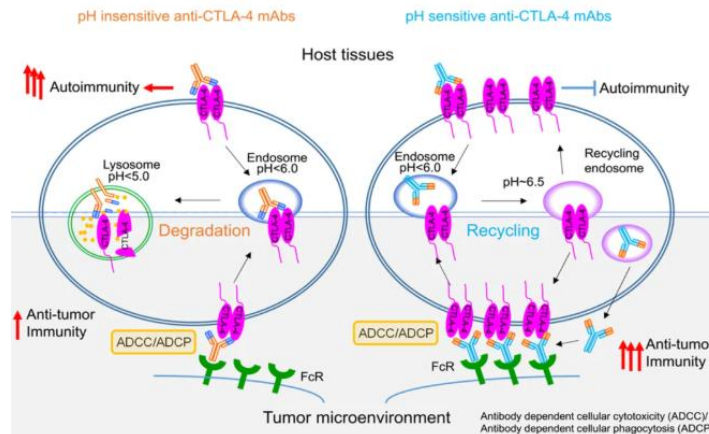
■ 背景介绍

Treg 细胞：免疫系统中的刹车键，核心功能是抑制过度的免疫反应。在肿瘤微环境中常被“招安”，通过分泌免疫抑制性因子（如 IL-10、TGF-β）和表达 CTLA-4 等分子，抑制效应 T 细胞的活化和攻击功能，导致肿瘤免疫逃逸。

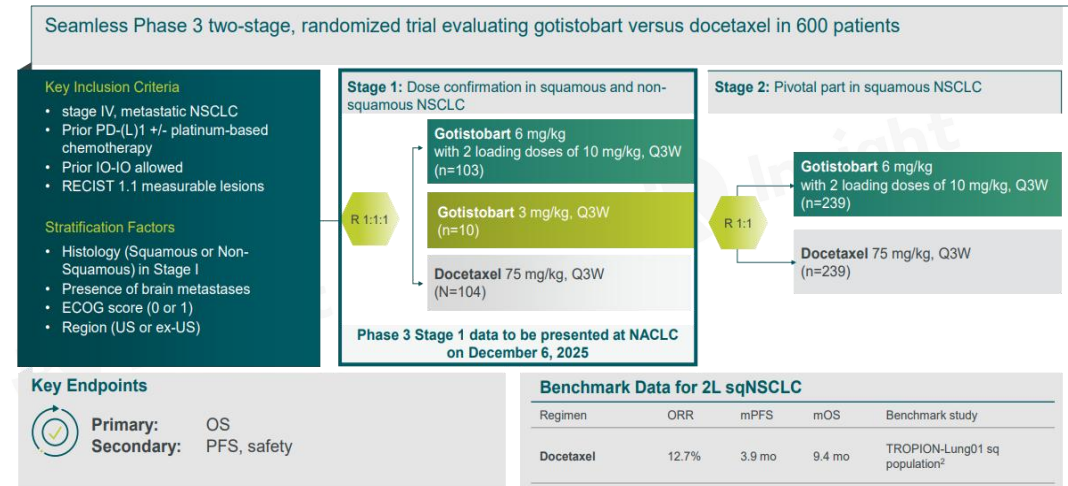
CTLA-4：早在 2011 年首个抑制该靶点的抗体伊匹木单抗就应运而生，证实了通过解除免疫抑制治疗肿瘤的可行性。但后续由于安全性问题一直为业界诟病，其作用机制也引发争议。CTLA-4 主要表达在活化 T 细胞表面，属于抑制性免疫检查点，其配体 CD80/CD86 主要表达在 APC 表面，而在多数的肿瘤组织及细胞中低表达或不表达。过往认为抗 CTLA-4 抗体松开了对效应 T 细胞的“刹车”，使其激活迁移到肿瘤发挥作用。但近来新的研究表明，抗 CTLA-4 抗体可能是通过 ADCC 和 ADCP 效应清除肿瘤微环境中的 Treg 细胞来发挥作用。因此争议的主要焦点在于抗体是否要设计具有 Fc 段功能。

■ Gotistobart

减毒增效：利用 pH 敏感的特性，避免 CTLA-4 在细胞内容酶体的降解，实现 CTLA-4 胞内外循环，正常组织中 Treg 表面的 CTLA 维持正常，减少了免疫副反应；同时保留肿瘤微环境 Treg 表面的靶蛋白，结合 Fc 段的工程化改造，更有效、精准地清除肿瘤微环境中的 Treg 细胞，进一步提高了疗效。



■ PRESERVE-003 实验设计及结果



PRESERVE-003 整个试验由两阶段组成，此次公布的第一阶段共入组 87 例转移性 sqNSCLC 患者，均接受二线及以上治疗方案，45 例接受 gotistobart 单药治疗，42 例接受多西他赛化疗。

- OS (12-month): 63.1% vs 30.3%
- mOS: 未达到 vs 10 个月；

安全性方面，死亡风险较化疗组降低 54%，≥3 级治疗相关不良事件发生率 42.2% 低于多西他赛组的 48.8%

■ 结果解读

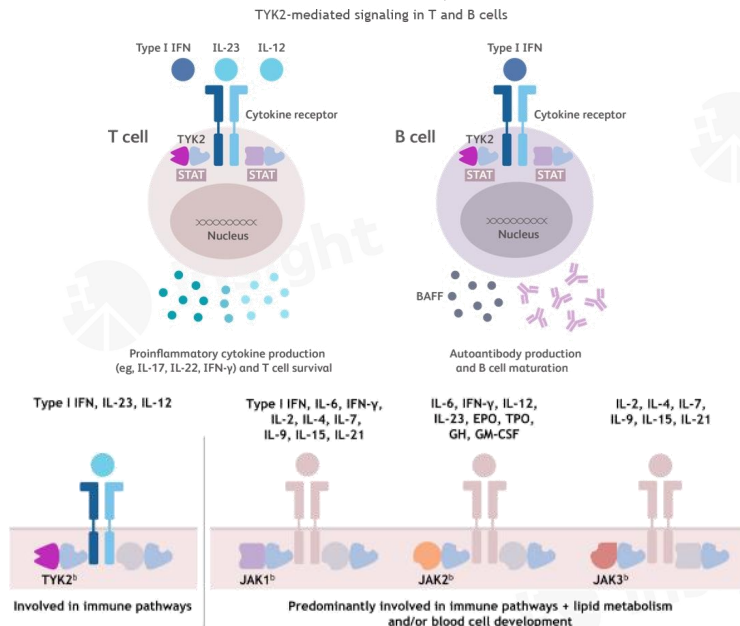
- 1、对于鳞状非小细胞肺癌，免疫治疗耐药的患者，目前标准化疗的 mOS 大约是 9 个月左右，此次结果是 Gotistobart 给这一高难度人群带来的重要突破；
- 2、CTLA-4 过去由于安全性问题，无法提高给药剂量，且几乎都是和 PD-1 抗体联用，Gotistobart 是目前给药剂量最高且单药治疗取得阳性结果的 CTLA-4 抗体。

Zasocitinib——AI 设计的高选择性口服 TYK2 抑制剂 III 期大捷

2025 年 12 月 18 日，武田在官网公布了 Zasocitinib 的两项关键 III 期临床试验的结果。Zasocitinib 是该公司通过收购 Nimbus Therapeutics 而获得的新一代高选择性口服 TYK2 抑制剂，用于一系列自身免疫性疾病的患者。Zasocitinib 初期是由 Nimbus Therapeutics 与 Schrödinger 借助 FEP+ 等计算平台合作研发的一种高度特异性靶向 TYK2 的 JH2 结构域的口咽抑制剂，但不与 JAK 其他家族成员结合，可有效避免因非特异性抑制 JAK 家族的其他激酶而导致的安全性问题。

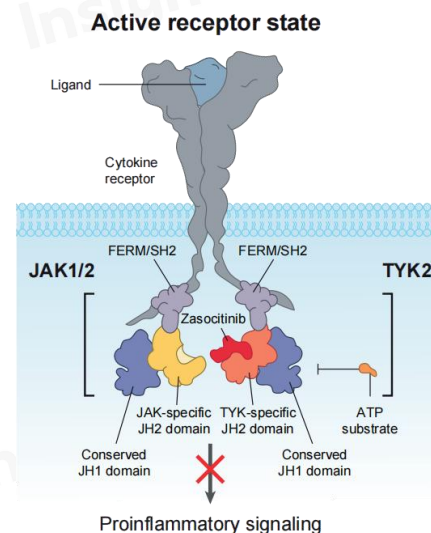
■ TYK2

- JAK 家族共有 4 位成员，包括 JAK1、JAK2、JAK3 和酪氨酸激酶 2 (tyrosine kinase, TYK2)。其中，TYK2 参与 IL-12、IL-23 和 I 型 IFN 的信号传导，且 IL-12 和 IL-23 的异常表达会引起银屑病和炎症性肠病等自身免疫性疾病，同时因 pan-JAK 抑制剂存在广泛的脱靶毒性，因此选择性抑制 TYK2 已成为治疗自身免疫性疾病的潜在策略，



■ Zasocitinib

- Zasocitinib 是一款高度特异性靶向 TYK2 的 JH2 结构域，但不与 JAK 其他家族成员结合的新一代高选择性口服 TYK2 抑制剂，可避免因非特异性抑制其他激酶 (JAK1、JAK2) 而导致的安全性问题；
- 该候选物初期采用人工智能辅助设计策略，由 Nimbus Therapeutics 与 Schrödinger 合作，借助 FEP+ 等计算平台迭代得到，2022 年，武田收购 Nimbus Lakshmi 并获得 Zasocitinib 的开发和商业化权。



TYK2 signaling

- Zasocitinib 30 mg QD:**
- ✓ Potently inhibited TYK2 signaling
 - ✓ Provided 24-hour IC_{50} and IC_{90} coverage in all TYK2 signaling assays
 - ✓ Achieved > 90% daily inhibition of TYK2

JAK signaling

- Zasocitinib:**
- ✓ Was the only inhibitor to have no measurable inhibition of JAK1, 2 or 3
 - ✓ Had a distinct inhibition profile versus licensed JAK inhibitors

■ 临床设计与结果

本次公布的是 Zasocitinib 的 III 期临床研究 Latitude (NCT06108544 和 NCT06088043) 的结果。该研究旨在评估 Zasocitinib 在中度至重度斑块状银屑病成年患者中的疗效、安全性与耐受性。患者每日接受一次 Zasocitinib 口服治疗。主要目的是评估安全性/耐受性和疗效。针对中重度斑块状银屑病患者的每日一次口服 Zasocitinib 的 III 期临床试验达到了所有主要终点和次要终点。

- 在第 16 周，超过一半接受 zasocitinib 治疗的患者皮肤达到完全清除或几乎完全清除 (PASI 90)，平均约 30% 的患者达到完全皮肤清除 (PASI 100)。
- Zasocitinib 总体耐受性良好，安全性与之前的临床试验结果一致。第 16 周时医师总体评估 (sPGA) 0/1 和银屑病面积和严重程度指数 (PASI) 75。PASI 75 应答率早在第 4 周就显著更高，并持续增加至第 24 周。
- 此外，这些研究达到了所有 44 个次要终点，包括 PASI 90、PASI 100 和 sPGA 0，表明每日一次口服苯二氮卓类药物有可能使斑块状银屑病患者的皮损完全清除。
- 计划自 2026 财年向美国食品药品监督管理局 (FDA) 及其他监管机构递交新药上市申请 (NDA)。

首次进入 III 期临床的新药

根据 Insight 数据库，2025 年 12 月全球进入临床 III 期的新药项目有 42 个（其中包含 33 款新药、8 款改良新药和 1 款其他类型药物），详细信息见下表。

新药类型	药品成分	成分类别	靶点	研发机构	III 期临床适应症	进入临床 III 期时间	临床登记号	开展地区
新药	重组人血小板源生长因子	细胞因子类	PDGFRB	华苾生物, 军事医学研究院	烧伤	2025-12-31	CTR20255194	中国内地
新药	JKN24011	单特异性抗体	TSLP	江苏荃信生物, 健康元药业	慢性阻塞性肺疾病	2025-12-30	CTR20255170	中国内地
新药	REGN5715	单特异性抗体, 混合抗体	Bet v I allergen	再生元制药	过敏性结膜炎	2025-12-30	NCT07309432	/
新药	REGN5713	单特异性抗体	Bet v I allergen	再生元制药	过敏性结膜炎	2025-12-30	NCT07309432	/
新药	MET-097i	多肽	GLP1R	Imperial College London, Amneal Pharmaceuticals, Metsera	肥胖	2025-12-29	NCT07311850	美国
新药	LX102(朗信启昇)	基因治疗	VEGF	朗信生物科技	湿性年龄相关性黄斑变性	2025-12-29	ChiCTR2500115643	中国内地
新药	BAY1158061	单特异性抗体	PRLR	拜耳医药, 和其瑞医药, 和其瑞医药(南京)	子宫内膜异位症	2025-12-25	CTR20255175	中国内地
新药	氟诺替尼	化药	CDK6 FLT3 JAK2	贵州百灵	骨髓纤维化	2025-12-24	CTR20255078	中国内地
改良新	米诺地尔滴剂-N1087	化药	KCNJ11	Eurofarma	脱发	2025-12-24	NCT07303322	/
新药	VYD2311	单特异性抗体	SARS-CoV-2	Invivyd	2019冠状病毒感染	2025-12-23	NCT07298434	美国
新药	镓[177Lu]-HRS-4357	治疗用放射性药物, 放射性核素偶联药物 RDC	PSMA	江苏恒瑞医药	去势抵抗性前列腺癌	2025-12-23 2025-12-31	CTR20255041 NCT07311694	中国内地

首次进入 III 期临床的新药

新药类型	药品成分	成分类别	靶点	研发机构	III 期临床适应症	进入临床 III 期时间	临床登记号	开展地区
改良新	三氧化二砷-SDK001	化药	XIAP	SDK Therapeutics	急性早幼粒细胞白血病	2025-12-22	NCT07296445	/
新药	贺普拉肽	多肽	SLC10A1	上海贺普药业	丁型病毒性肝炎	2025-12-22 2025-12-30	ChiCTR2500115066 NCT07309380	中国内地
新药	I型胶原蛋白(昊海生物)	其它蛋白	/	上海昊海生物科技	面部皱纹	2025-12-22	ChiCTR2500115040	中国内地
新药	PDLYT7	化药	/	尼普洛株式会社	慢性肾脏病	2025-12-19	JPRN- jRCT2031250585	日本
新药	NPI-001	化药	/	Nacuity Pharmaceuticals, Arctic Therapeutics, Nanoform Finland	视网膜色素变性, Usher综合征	2025-12-18	NCT07290530	/
新药	VMX C001	凝血因子类	Factor Xa	VarmX, CSL	血液凝固障碍	2025-12-17	NCT07288489	美国, 新西兰, 澳大利亚
新药	k110-42	其他类别	/	Mansoura University	认知障碍	2025-12-16	NCT07284693	/
改良新	Deupirfenidone	化药	MAPK12	PureTech Health, Auspex Pharmaceuticals	特发性肺纤维化	2025-12-16	NCT07284602	/
新药	INCA33890	双特异性抗体	PD-1 TGFBR2	Merus, Incyte Corporation	结直肠癌	2025-12-16	NCT07284849	/
新药	NouvNeu001	神经干细胞NSC	/	睿健毅联医药科技	多系统萎缩症	2025-12-16	NCT07289477、 CTR20254863	中国内地
新药	PF-07831694	预防性疫苗	TcdA TcdB	辉瑞制药	艰难梭菌感染	2025-12-15	NCT07282665	美国, 阿根廷

首次进入 III 期临床的新药

新药类型	药品成分	成分类别	靶点	研发机构	III 期临床适应症	进入临床 III 期时间	临床登记号	开展地区
新药	Eloralintide	多肽	AMYR	礼来制药	肥胖	2025-12-15	NCT07282600、 JPRN- jRCT2051250177	中国内地, 美国, 日本等
新药	HBW-3220	化药	BTK BTK C481S	成都海博为药业	慢性淋巴细胞白血病/小 淋巴细胞淋巴瘤	2025-12-15	CTR20254795、 ChiCTR2500114564	中国内地
新药	TVAX-008	治疗性疫苗	Capsid HBsAg	远大生命科学集团	乙型病毒性肝炎	2025-12-15	NCT07282249	/
新药	HRS-1780	化药	MR	江苏恒瑞医药, 上海拓界生物	慢性肾脏病	2025-12-12	/	/
新药	GB-0895	单特异性抗体, AI技术	TSLP	Generate Biomedicines	哮喘	2025-12-11	NCT07276724	美国
新药	MDR-001	化药, AI技术	GLP1R	杭州德睿智药	肥胖	2025-12-10	NCT07274137、 CTR20254954	中国内地
改良新	度他雄胺+他达拉非- DNN.65.21.005	化药	PDE11A PDE5A SRD5A1 SRD5A2	Ache Laboratorios Farmaceuticos	良性前列腺增生症	2025-12-08	NCT07270432	/
其它	人用狂犬病疫苗(人二倍体细胞)	预防性疫苗, 灭活疫苗	RABV	江苏中慧元通生物	狂犬病	2025-12-08	NCT07275645、 CTR20254794	中国内地
改良新	重组人凝血因子VIII-Fc融合 蛋白-蓉生药业	抗体类融合蛋白	FIX	北京天坛生物制品	A型血友病	2025-12-05	CTR20254859	中国内地
新药	Nanvuranlat	化药	LAT1	J-Pharma, 大原药品工业株式会社	胆道癌	2025-12-05	NCT07265674	美国
新药	HMPL-760	化药	BTK BTK C481S	和黄医药	弥漫性大B细胞淋巴瘤	2025-12-05	CTR20254776	中国内地

首次进入 III 期临床的新药

新药类型	药品成分	成分类别	靶点	研发机构	III 期临床适应症	进入临床 III 期时间	临床登记号	开展地区
新药	人神经生长因子滴眼液	细胞因子类	NGFR	山东未名生物医药	干眼症	2025-12-05	CTR20254690	中国内地
改良新	福莫特罗+格隆溴铵-JW2202	化药	ADRB2 CHRM	山东京卫制药	慢性阻塞性肺疾病	2025-12-04	CTR20254751	中国内地
新药	WSK-V101K	预防性疫苗, 重组蛋白疫苗	SARS-CoV-2 S	成都威斯克生物	2019冠状病毒感染	2025-12-03	JPRN-jRCT2031250539	日本
改良新	三氧化二砷-QTX-2101	化药	XIAP	Quetzal Therapeutics	急性早幼粒细胞白血病	2025-12-02	/	/
新药	NTI164	中药	CNR	Neurotech International	自闭症谱系障碍	2025-12-02	NCT07257939	澳大利亚
新药	Ramantamig	三特异性抗体	BCMA CD3 GPRC5D	Janssen Research & Development	多发性骨髓瘤	2025-12-02	NCT07258511	/
新药	SCTC21C	单特异性抗体	CD38	北京神州细胞生物	多发性骨髓瘤 AL型淀粉样变性	2025-12-02 2025-12-12	NCT07297329、 CTR20254732 CTR20254956	中国内地
改良新	呋喃妥因	化药	30S rProteins Oxygen-insensitive NAD(P)H nitroreductase YdbK	Adamed Pharma	细菌性阴道炎	2025-12-01	2024-515332-80-00	波兰, 捷克, 意大利, 斯洛伐克
新药	31价肺炎球菌多糖结合疫苗-VAX-31	预防性疫苗, 多糖结合疫苗	S. pneumoniae	Vaxcyte, Sutro Biopharma	肺炎链球菌感染	2025-12-01	NCT07284654	美国

05

研发进度终止新药

研发进度终止新药

根据 Insight 数据库统计，2025 年 12 月共有 3 款新药研发终止，1 款新药适应症研发终止。

■ 研发进度终止新药清单

终止研发机构	药品名称	成分类别	靶点	最高阶段	最高阶段适应症	终止原因
Genmab	Acasunlimab	双特异性抗体	4-1BB PD-L1	临床III期	非小细胞肺癌	研发策略调整
Guard Therapeutics	RMC-035	其它蛋白	/	临床II期	急性肾损伤	疗效不佳
拜玛林制药	BMN 349	化药	SERPINA1	临床I期	α -1 抗胰蛋白酶缺乏症	未知

■ 适应症终止新药清单

终止研发机构	药品名称	成分类别	靶点	适应症研发阶段	终止适应症	终止原因
Insmed Incorporated	Brensocatib	化药	DPP-1	临床II期	无鼻息肉的慢性鼻窦炎	疗效不佳

06

12 月潜在转化医学新靶点

12月潜在转化医学新靶点-肿瘤领域

本月 Insight 早期研发情报库收录的潜在转化医学新靶点如下表，这些文献在数据库中的内容类型标签为靶点/标志物验证，更多新靶点可以移步至 [Insight 数据库查询](#)。

疾病领域	期刊	靶点	适应症	文献概述	PMID
肿瘤	Cancer Discov	Serotonin	前列腺神经内分泌癌	神经内分泌前列腺癌 (NEPC) 通过诱导组蛋白 H3K4me3Q5 位点血清素化重塑染色质景观，驱动神经内分泌分化并抑制雄激素受体信号。FDA 批准的 DDC 抑制剂卡比多巴可阻断 5-HT 合成，显著抑制肿瘤生长并延长模型生存期，揭示组蛋白血清素化作为 NEPC 治疗靶点。	41416996
	Cell Metab	IGF1; HIF1A; HILPDA	肿瘤	热量限制 (CR) 通过降低循环中性粒细胞的 IGF-1 水平抑制 HIF-1α 表达，进而下调肿瘤浸润中性粒细胞 (TINs) 的 HILPDA 基因，减少脂质积累并阻断脂质向肿瘤细胞的转移，从而增强抗肿瘤免疫。中性粒细胞缺失会消除 CR 的抗癌效果，提示 IGF-1/HIF-1α/HILPDA 轴可作为治疗靶点。	41352341
	Cell Mol Immunol	PSME3; BCLAF1	头颈部鳞状细胞癌	头颈鳞癌 (HNSCC) 外泌体携带的 PA28γ 被 T 细胞内化后，通过降解 BCLAF1 诱导 CD25 和 LAG-3 表达升高。体内实验显示 PA28γ 高表达肿瘤对 CD25/LAG-3 免疫检查点治疗更敏感，且患者组织中 PA28γ 与 CD25+/LAG-3+ T 细胞浸润及不良预后正相关，揭示 PA28γ/BCLAF1 轴调控肿瘤免疫逃逸的新机制。	41354903
	Nature	LINE1	肺腺癌	吸烟与非吸烟肺腺癌 (LUAD) 呈现不同进化轨迹：吸烟者肿瘤以 KRAS 突变和短期亚克隆分化为特征；非吸烟者则早期出现 EGFR 突变，欧洲女性患者潜伏期长而亚洲患者克隆进化快。ID2 突变特征与 LINE1 逆转录转座子激活相关，表现为基因组不稳定、低新抗原负荷和高转移倾向，提示 LINE1 介导的 ZNF695 调控可能是 LUAD 恶性进展新机制。	41372401
	Science	AQP5	胃癌	研究发现，水通道蛋白 AQP5 标记的胃癌干细胞 (CSCs) 通过 WNT/PI3K/MAPK 信号轴驱动肿瘤起始、进展与转移。该群体在原发灶和转移灶中均具有功能性 CSC 特征，为靶向 CSCs 的治疗策略提供新靶点。	41411445
	Signal Transduct Target Ther	JMJD6	非小细胞肺癌	放疗 (RT) 通过上调 JMJD6 激活 ETS 同源因子 (EHF)，进而去甲基化 H4R3me2s 以启动多能性因子基因转录，驱动非小细胞肺癌 (NSCLC) 转移。JMJD6/EHF 轴可能通过 TGF-β/SMAD 和 AKT/ERK 信号通路促进肿瘤侵袭，靶向抑制 JMJD6 或可阻断放疗后转移，提升肺癌治疗持久性。	41320721
	Signal Transduct Target Ther	LCN2	肺癌脑转移	肺癌脑转移中脂质运载蛋白-2 (LCN2) 通过结合星形胶质细胞 SLC22A17 受体激活 JAK2/STAT3 通路，驱动炎症微环境形成并促进肿瘤血管生成 (VEGF-A)。STAT3 抑制剂 SH4-54 联合 IL-1R 拮抗剂或贝伐珠单抗可显著抑制脑转移灶生长，揭示 LCN2 为治疗靶点。	41436606
	Signal Transduct Target Ther	NOTCH1; YTHDF1	结直肠癌	研究发现，m6A 阅读蛋白 YTHDF1 通过结合 NOTCH1 mRNA 促进其翻译，激活 NOTCH 信号通路从而增强结直肠癌 (CRC) 干性、肿瘤发生及化疗耐药性 (奥沙利铂/5-FU)。靶向 YTHDF1 (siRNA 或丹酚酸 C) 可抑制肿瘤生长并增效化疗，为结直肠癌治疗提供新策略。	41423446

12月潜在转化医学新靶点-非肿瘤领域

疾病领域	期刊	靶点	适应症	文献概述	PMID
非肿瘤	Blood	CD38	骨髓纤维化	研究发现, NrasG12D/Jak2V617 F双突变小鼠模型中, Ly6chigh 单核细胞通过高表达 CD38 导致 NAD ⁺ 耗竭, 促进纤维细胞分化并驱动骨髓纤维化 (MF)。MF 患者 CD14 ⁺ 单核细胞同样呈现 CD38 高表达, 且与纤维化程度相关。靶向 CD38 或补充 NAD ⁺ 前体可抑制纤维化进程, 提示 CD38 作为 MF 诊疗靶点的潜力。	41405487
	Cell	PIEZO2	慢性肾脏病	机械敏感离子通道 PIEZO2 在肾小球旁器颗粒细胞中表达, 通过调控钙信号抑制肾素释放。PIEZO2 缺失导致肾素异常升高, 引发 MAS 受体依赖性肾小球高滤过, 并破坏机体对血容量变化的急性/慢性调节, 揭示 PIEZO2 是肾素-血管紧张素-醛固酮系统 (RAAS) 机械传感的关键分子。	41349545
	Cell Metab	RXRA	克罗恩病	研究发现, 西方饮食中 ω -3/ ω -6 多不饱和脂肪酸 (PUFA) 过量通过激活潘氏细胞的视黄醇X受体 α (RXR α), 诱导 CXCL1 表达并驱动慢性透壁性肠炎。口服异维A酸可缓解 PUFA 诱导的代谢性肠炎, 且电子健康记录分析显示其降低克罗恩病 (CD) 发病风险, 提示 RXR α 作为代谢应激传感器在 CD 防治中的新靶点价值。	41365295
	Nature	FDX2	弗里德赖希共济失调	铁氧还蛋白 FDX2 与 frataxin 竞争结合半胱氨酸脱硫酶 NFS1 的相同位点。通过基因筛选在秀丽隐杆线虫中鉴定出 FDX2/nfs-1 的显性突变, 可绕过 frataxin 缺失提升铁硫簇合成。降低 FDX2 野生型拷贝数能改善 frataxin 缺失线虫和小鼠共济失调表型, 提示调控 FDX2/frataxin 比例或成弗里德赖希共济失调治疗新策略。	41372402
	Nat Microbiol	GALNT2	病毒性呼吸道感染	O-GalNAc 转移酶 GALNT2 作为干扰素刺激基因, 通过介导病毒刺突蛋白 S810/S813 位点的 O-糖基化, 抑制 SARS-CoV-2 等多种冠状病毒和流感病毒的细胞膜融合过程, 降低病毒复制与疾病严重程度。新冠患者遗传数据分析显示, GALNT2 功能缺失变异体与住院风险升高相关, 证实其作为呼吸道病毒广谱抗病毒因子的作用。	41387548
	Signal Transduct Target Ther	NAP1L1	再灌注损伤	研究发现, 急性心梗患者再灌注治疗后血清 Wnt2 水平降低且与心肌损伤标志物负相关。外源性 Wnt2 通过 Lrp6/Trim11 介导 Nap1L1 泛素化降解, 激活抗氧化基因转录, 减少 ROS 积累并抑制心肌细胞凋亡与铁死亡, 从而减轻小鼠心脏缺血再灌注损伤, 提示靶向 Wnt2-Nap1L1 轴的治疗潜力。	41397965
	Signal Transduct Target Ther	SKAP2	男性不育症	hnRNPR 作为 m6A 依赖性剪接调控因子, 通过介导 Skap2 前体 mRNA 的正确剪接维持精子细胞骨架和线粒体结构。HNRNPR 突变导致精子运动力下降和形态异常, 而基于细胞外囊泡递送 SKAP2 的治疗策略可显著改善精子质量, 为男性不育提供新干预靶点。	41436426
	Signal Transduct Target Ther	MRTFA; SRF	低血糖症	研究发现, 低血糖通过激活神经元 SRF/MRTF-A 转录因子介导的代谢重编程, 促使神经元利用胞外基质成分作为替代能源, 但导致尿素循环副产物堆积并加剧神经损伤。葡萄糖补充可逆转该过程, 提示 SRF/MRTF-A 信号轴是低血糖相关脑损伤的可调控靶点。	41408035

07

重点医药交易事件

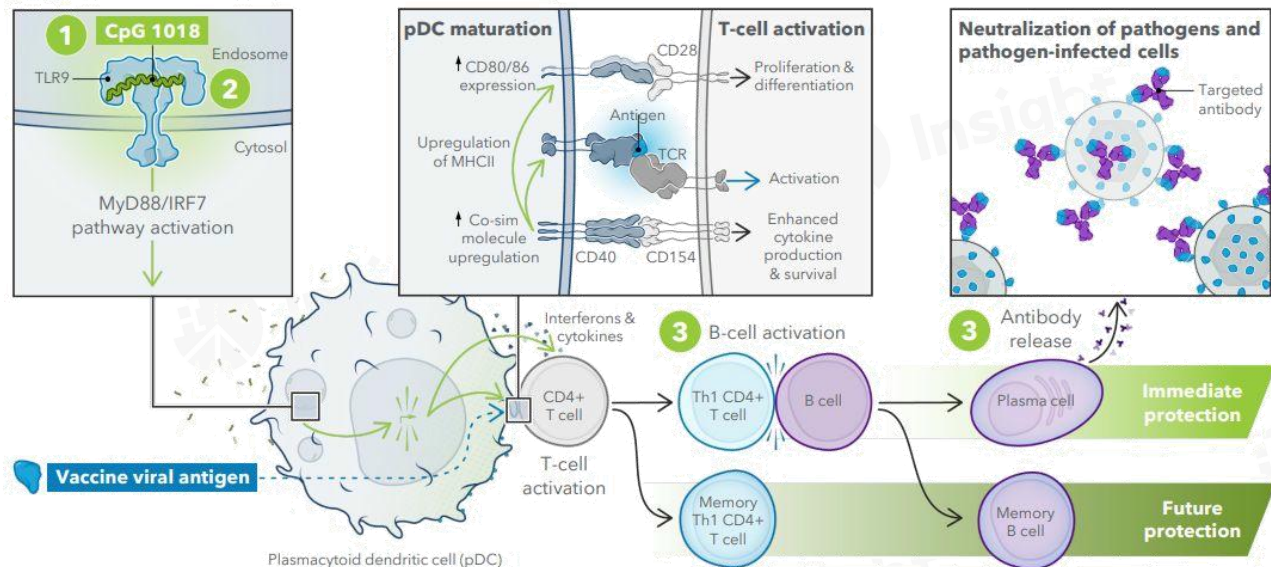
赛诺菲 22 亿美金收购，强化成人疫苗管线布局

12 月 24 日，赛诺菲与 Dynavax Technologies 达成合并协议，将通过赛诺菲全资子公司发起现金收购要约，以每股 15.50 美元的价格收购 Dynavax 全部流通股，总交易价值约为 22 亿美元，该价格较 Dynavax 前一交易日的收盘价溢价约 39%，此次收购为赛诺菲新增一款已上市的成人乙肝疫苗（HEPLISAV-B®），以及差异化的带状疱疹候选疫苗（Z-1018）和其他疫苗研发管线项目，旨在通过整合 Dynavax 的 CpG 1018 佐剂技术增强其在免疫领域的市场地位。



解析 Dynavax 核心技术资产 —— CpG 1018

- 序列信息：CpG-1018 是一种合成的 CpG-B 类寡核苷酸，具有硫代磷酸酯骨架，序列为 5'-TGACTGTGAACGTTTCGAGATGA-3'。两个 CpG 基序分别对小鼠 Toll 样受体 9（TLR-9）和人类及非人灵长类动物的 TLR-9 具有活性。
- 作用机制：CpG-1018 通过浆细胞样树突状细胞上的 TLR-9 信号通路诱导强效的 IFN- α 产生，并间接通过自然杀伤细胞分泌 IFN- γ 。此外，CpG-1018 还能直接刺激表达 TLR9 的 B 细胞成熟。因此，作为疫苗佐剂，CpG-1018 能够激活 TLR9 通路，同时增强体液免疫和细胞免疫（Th1 偏向），激发更全面、更强效的免疫应答专业的抗原呈递细胞，从而增强对共同给药的蛋白抗原的抗体反应。
- 核心技术优势：
 - ① 提升保护效力：大幅提升抗体浓度，独特地激活细胞免疫。
 - ② 优化接种程序：可使乙肝疫苗 HEPLISAV-B® 在 2 剂（1 个月）内达到传统疫苗 3 剂（6 个月）的效果。
 - ③ 减少抗原用量：在部分疫苗中可大幅降低抗原需求（曾应用于三叶草生物 SCB-2019 新冠病毒蛋白亚单位疫苗(CHO细胞)）。



MOA

- 1 CpG 1018 adjuvant is a synthetic form of DNA that mimics bacterial and viral DNA from infection.
- 2 TLR9 expressed primarily by plasmacytoid dendritic cells.
- 3 Elicits a T Helper (Th1) polarized CD4 T-cell response and increases polyfunctional antibody production.

CpG-1018 Mechanism of Action (MOA)

- 相较于传统铝佐剂的疫苗，CpG-1018 尤其适用于免疫应答较弱的群体（如老年人）、以及需要强效细胞免疫的疾病领域（如带状疱疹、某些肿瘤疫苗）。对赛诺菲而言，将 CpG-1018 佐剂内化，构建平台级技术优势，既是短线的产品补充，更是战略方向上的长远布局。

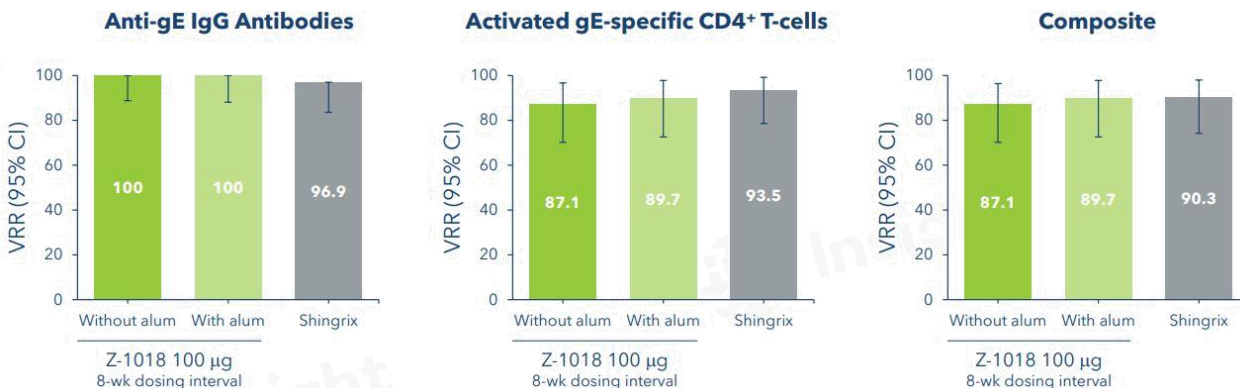
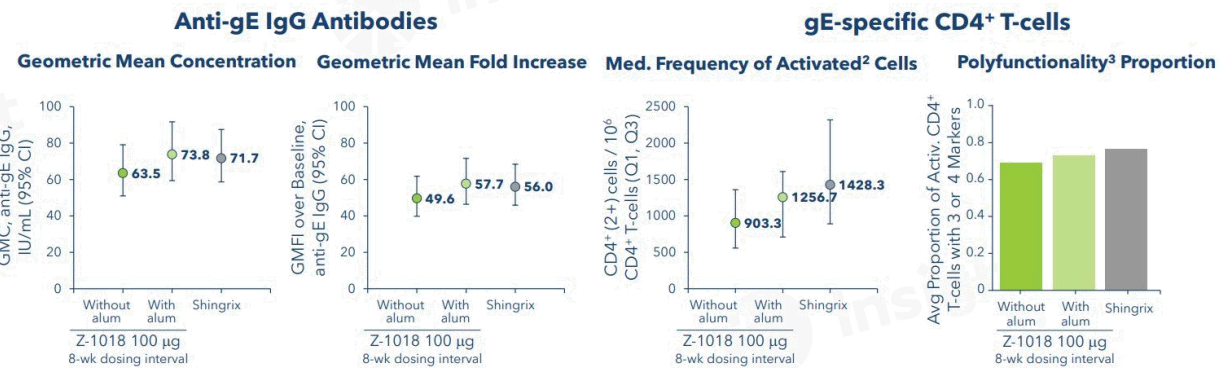
赛诺菲 22 亿美金收购，强化成人疫苗管线布局



➤ 带状疱疹疫苗 Z-1018 —— 头对头 GSK SHINGRIX

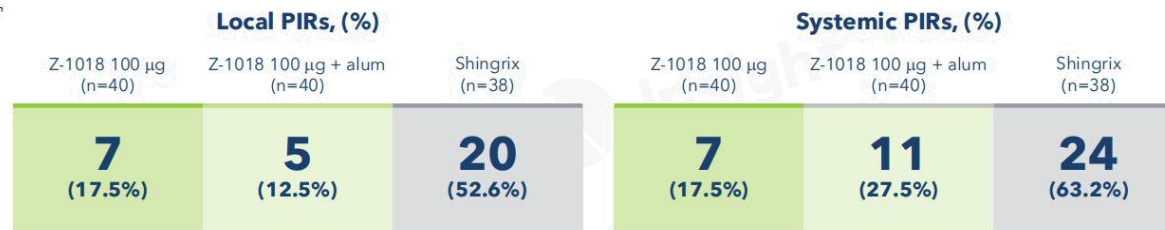
带状疱疹市场巨大（2024 年约 43 亿美元），且发病率在年轻成人中呈上升趋势。现有主流带状疱疹疫苗 Shingrix 存在明显的耐受性问题（如注射部位疼痛、肌肉酸痛、疲劳等发生率与严重程度），构成了显著的市场缺口。

Z-1018 目前处于临床 I/II 期，已完成 50-69 岁人群第一部分研究（初步数据积极），正在开展针对 70 岁以上人群进行的第二部分研究。关键免疫原性与安全性数据预计在 2026 年下半年公布。



在免疫原性的强度（几何平均浓度）和深度（细胞质量）上，Z-1018 与 Shingrix 的可比性也得到了证实。Z-1018（含铝）的 GMC 甚至略微超过 Shingrix，表明免疫系统已被强烈激活，抗体水平、T 细胞应答强度基本达到与 Shingrix 等效的程度。同时，诱导多功能性 T 细胞比例基本一致，Z-1018 不仅能激活足够数量的 T 细胞，更能驱动这些细胞分化为高质量、功能全面的亚型，这直接关系到疫苗持久保护的潜力。

第一部分研究中，抗 gE IgG 抗体反应率、gE 特异性 CD4⁺ T 细胞反应率及复合免疫反应率等核心免疫指标均达到了与 Shingrix 可比的水平，含铝佐剂配方在各项指标中均优于不含铝剂的配方，凸显“CpG 1018（驱动细胞免疫）+ 铝佐剂（强化体液免疫）”组合（新型佐剂+传统佐剂）的协同优势，这一策略在也耐受性上得到进一步确证。



Z-1018 在耐受性上展现出压倒性的优势，局部和全身中重度注射后反应发生率远低于 Shingrix（12.5% vs 52.6%；27.5% vs 63.2%）。

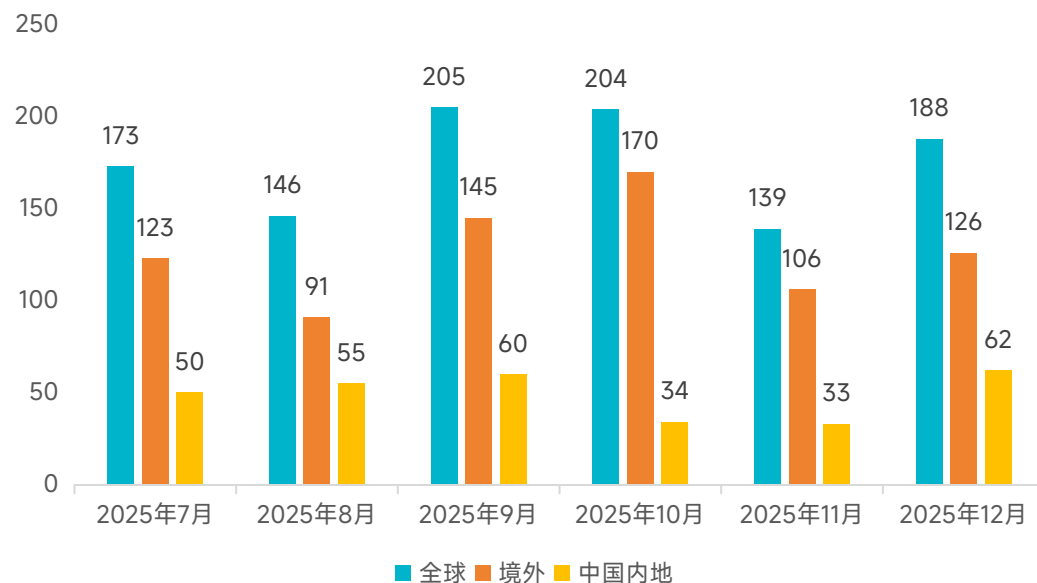
数据来源：Insight 数据库；企业官网

08

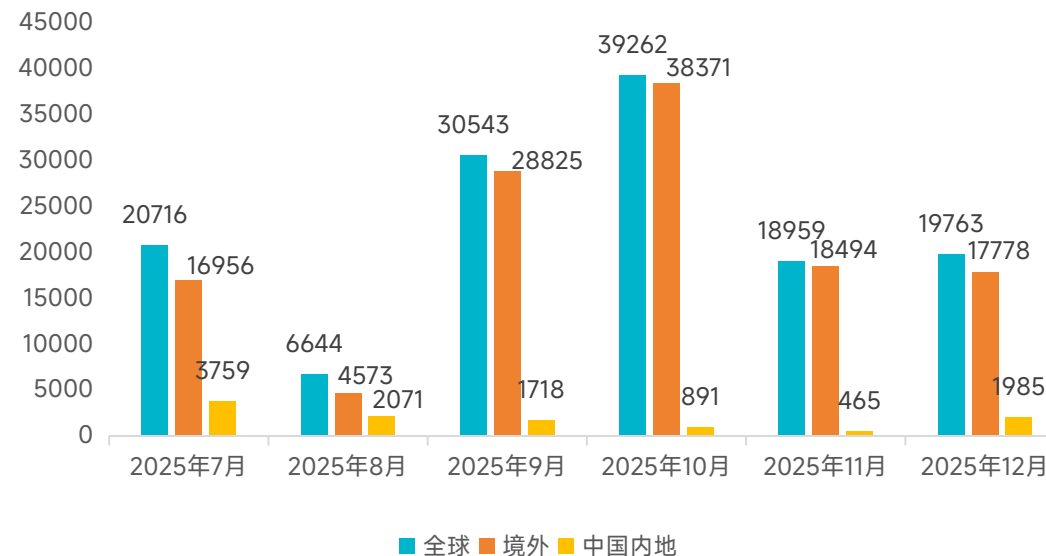
投融资概览

近半年医药企业投融资概览

投融资事件



投融资金额 (单位: 百万美元)



说明:

1、仅统计药企投融资数据, 不包括医疗器械、纯生产供应商等非药企。

2、关于金额计算:

①标准金额取自国家外汇中心月平均汇率后再兑换成美元计算得到。

②特殊金额计算标准: 数千万/数亿统一按 3 千万/亿计, 超 xx 亿/近 xx 亿元统一按 xx 亿元计, 未披露统一按 0 元记。

重点投融资事件

根据 Insight 数据库统计，12 月共收录 188 起投融资事件，下面展示融资金额 TOP15。

项目名称	国家/地区	技术赛道	轮次	融资金额	投资机构	披露日期
Terns Pharmaceuticals	美国	小分子	IPO后融资	7.475 亿美元	/	2025-12-11
硕迪生物	美国	小分子	IPO后融资	7.475 亿美元	/	2025-12-11
Kymera Therapeutics	美国	PROTAC, 分子胶, 小分子	IPO后融资	6.02 亿美元	/	2025-12-08
Immunovant	美国	单特异性抗体	IPO后融资	5.5 亿美元	Roivant Sciences	2025-12-11
Dyne Therapeutics	美国	偶联药物, ASO, 抗体偶联药物, 药物载体/递送, AOC, siRNA, 小分子	IPO后融资	4.025 亿美元	/	2025-12-11
三生制药集团	中国内地	小分子, 多肽, 非抗体类蛋白, 单特异性抗体, 双特异性抗体, ADC, 抗体融合蛋白, CAR-T, 酶, 细胞因子, 非抗体类融合蛋白, T细胞疗法, 抗体药物, 多特异性抗体, 分子胶, TCE, mRNA	IPO后融资	31.15 亿港元	/	2025-12-02
Immunome	美国	单特异性抗体, ADC, 抗体工程, RDC, 小分子, 双特异性抗体, 治疗用放射性药物, 抗体药物	IPO后融资	4 亿美元	/	2025-12-15
WAVE Life Sciences	美国	ASO, mRNA, siRNA, 碱基编辑, 核酸药物	IPO后融资	3.5 亿美元	/	2025-12-09

重点投融资事件

项目名称	国家/地区	技术赛道	轮次	融资金额	投资机构	披露日期
英矽智能	美国	AIDD, 小分子, AI技术, PROTAC	IPO	22.77 亿港元	Oaktree Capital, Schroders, 瑞银集团, 淡马锡控股, 礼来, 腾讯, 华夏基金, 太平洋保险, 富国基金, 嘉实基金, 泰康保险, 易方达基金, RTW, Exome Asset Management	2025-12-30
Vera Therapeutics	美国	单特异性抗体, 抗体融合蛋白	IPO后融资	2.61 亿美元	/	2025-12-09
Yarrow Bioscience	美国	单特异性抗体, 小分子	IPO前-战略投资	约 2 亿美元	RTW, Orbimed Advisors, Janus Henderson, venBio Partners, Logos, LifeSci Venture Partners, Perceptive Advisors	2025-12-17
Denali Therapeutics	美国	单特异性抗体, 双特异性抗体, 基因增补, ADC, 抗体融合蛋白, ASO, AOC, 基因治疗, 小分子, 腺相关病毒载体, 多特异性抗体, 病毒载体	IPO后融资	2 亿美元	/	2025-12-09
Crescent Biopharma	美国	小分子, ADC, 双特异性抗体	IPO后融资	1.85 亿美元	/	2025-12-04
Kodiak Sciences	美国	双特异性抗体, 抗体偶联药物, 小分子, ADC, 抗体融合蛋白, 偶联药物	IPO后融资	1.84 亿美元	/	2025-12-18
Fulcrum Therapeutics	美国	小分子	IPO后融资	1.75 亿美元	/	2025-12-10

Thank You.

声明

本报告所发布的信息以及所表达的意见仅为提供信息参考之目的，不构成决策建议理由和依据

报告中所包含的信息是我们于发布之时从我们认为可靠的渠道获得，但我们对本报告所发布的信息、观点以及数据的准确性、可靠性、时效性及完整性不作任何明确或隐含的保证

报告所发布的信息、观点以及数据有可能发布日之后的情势或其他因素的变更而不再准确或失效，在相关信息进行变更或更新时不会另行通知或更新报告