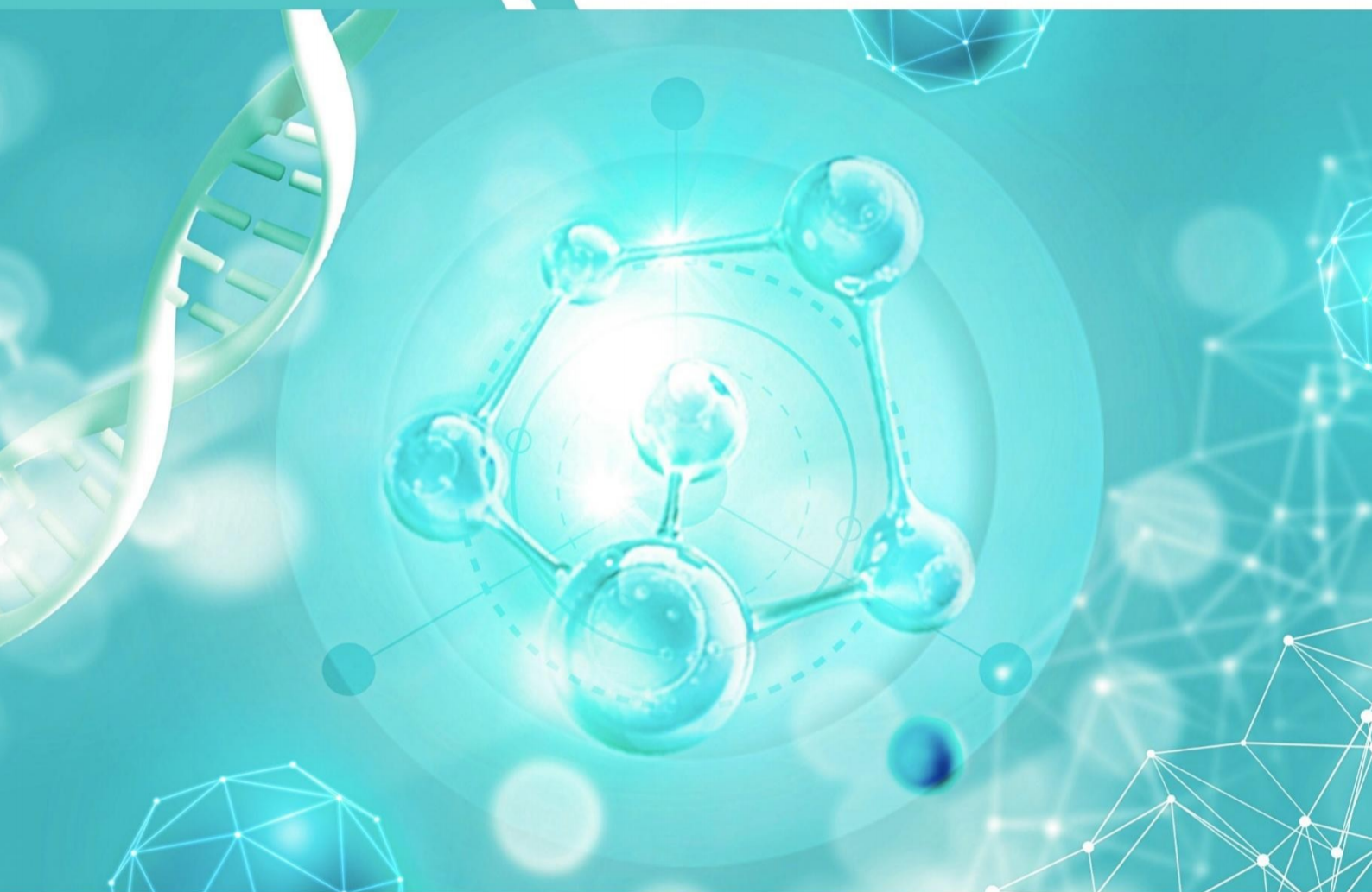


全球在研新药月报

—2026 年 8 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、医药大健康行业最新政策速递.....	1
1.1 重点政策解读.....	1
➢ 国家药监局发布《国家药品监督管理局主责国家重点研发计划重点专项管理实施细则》.....	1
➢ 国家卫生健康委等四部门联合发布《关于加强医院法治建设的意见》.....	1
➢ 国家医疗保障局发布《全民医疗保障“十五五”规划》.....	2
➢ 国家卫生健康委等部门发布《进一步深化“六个拓展”做实家庭医生签约服务若干措施》..	2
➢ 国家卫生健康委等部门发布《关于规范医疗机构特殊医学用途配方食品使用的指导意见》..	2
二、本月国内新药注册申报分析.....	4
2.1 本月国内新药获批临床情况.....	4
2.2 本月国内新药获批上市情况.....	7
2.2.1 本月获批新药信息.....	7
2.2.2 本月获批新药简介.....	9
三、全球获孤儿药/突破性疗法/快速通道资格认定品种盘点.....	11
四、全球在研创新药积极/失败临床结果 TOP20.....	13
➢ 恒瑞医药公布瑞普泊肽头对头司美格鲁肽 3 期临床试验研究数据积极.....	17
➢ 大冢制药公司公布 sibeprenlimab-szsi 的 III 期临床研究数据积极.....	18
➢ Rhythm Pharmaceuticals 公司公布 RM-718 的 2 期临床试验研究数据积极.....	18
➢ Rein Therapeutics 公司公布 LTI-03 的 1b 期临床研究数据积极.....	18
➢ 康诺亚公布 CM512 的 2 期临床试验研究数据积极.....	18
➢ Silence Therapeutics 公司公布 divesiran 的 2 期临床研究数据积极.....	19
➢ MoonLake Immunotherapeutics 公司公布索洛奇单抗的 3 期临床研究数据积极.....	19
➢ 大鹏制药和 Cullinan Therapeutics 公司共同公布 Zipalertinib 的 3 期临床试验数据积极.....	19
➢ Definium Therapeutics 公司公布 DT120 的 3 期临床试验数据积极.....	19
➢ Eupraxia Pharmaceuticals 公司公布 EP-104GI 的 1b/2a 期临床试验数据积极.....	19
➢ 阿斯利康和第一三共联合宣布 Enhertu 的 3 期临床试验研究数据积极.....	20
➢ 百利天恒公司公布伦康依隆妥单抗的 3 期临床研究数据积极.....	20
➢ 和黄医药公司公布沃瑞沙®和泰瑞沙®的联合疗法的 3 期临床试验研究数据积极.....	20

- 阿斯利康公司公布终止 PD-1/CTLA-4 双抗 Volrustomig 治疗肺癌的 III 期临床试验..... 20
- Argenx 和再鼎医药公司公布 Efgartigimod 的 3 期临床试验数据积极..... 21
- Eyepoint 公司公布伏罗尼布的 3 期临床试验失败..... 21
- Amylyx Pharmaceuticals 公司公布 avexitide 的 3 期临床试验数据积极..... 21
- Moderna 与默沙东公司共同公布 mRNA-4157+K 药联合辅助治疗的 3 期临床试验数据积极..... 21
- 君实生物公布 JS207 的 2 期临床试验数据积极..... 21
- 齐鲁制药公布 QLC1101 的 1 期临床试验数据积极..... 22

五、全球创新药研发进展 TOP20 23

- 罗氏眼科伏米奇单抗在华拟纳入优先审评..... 24
- 英矽智能帕金森病口服 1 类新药 ISM8969/HT-001 在华获批临床..... 24
- 复星医药子公司复方聚乙二醇（3350）电解质散在华获批上市..... 24
- 诺华放射性配体疗法再获 FDA 批准..... 24
- 礼来 KRAS G12C 抑制剂 Olomorasib 获 FDA 突破性疗法认定..... 25
- 石药集团/康宁杰瑞安尼妥单抗注射液新适应症在华申报上市..... 25
- 武田公司公布 Orzeyful 在美获批上市..... 25
- 莫德纳公司季节性流感 mRNA 疫苗 mFLUSIVA 在美获批上市..... 25
- 石药创新 SYS6037 注射液在美获批临床试验..... 25
- 齐鲁制药阿氟色替在华申报上市..... 25
- EIT Pharma 的 lonafarnib 在美申报上市获受理..... 26
- 万泰生物九价人乳头瘤病毒疫苗（大肠埃希菌）在泰获批上市..... 26
- 石药集团 CAR-T 疗法 SYS6042 在华获批临床..... 26
- 天境生物 TJ101 注射液在华申报上市..... 26
- Belite Bio 公布 tinlarebant 在美获优先评审资格..... 26
- 拜耳阿柏西普眼内注射溶液在华申报新适应症..... 27
- 西比曼的 C-CAR039 在美获批临床..... 27
- 凡恩世生物的 spevatamig 在美获快速通道资格..... 27
- Ultragenyx Pharmaceutical 的 Genglycos 在美加速批准..... 27
- 再生元 Pasatru 在美获批上市..... 28

六、全球医药企业热门 BD 交易事件 29

➤ 恒瑞医药达成 AI 制药合作	29
➤ 超 20 亿美元，康宁杰瑞 FIC 新药授权出海	30
➤ Jazz 囊获潜在 “first-in-class” 小分子疗法	30
➤ 三生制药引进翰宇药业 GLP-1	30
➤ 利奥制药引进一款罕见病新药	30

一



医药大健康行业最新政策速递

8 月医药大健康行业相关政策一览表（部分）

发布日期	标题	颁发部门	信息分类
2026-08-13	国家药品监督管理局主责国家重点研发计划重点专项管理实施细则（征求意见稿）	国家药监局综合司	其他
2026-08-18	关于加强医院法治建设的意见	国家卫生健康委员会办公厅、教育部办公厅、国家中医药管理局综合司、国家疾病预防控制中心综合司	其他
2026-08-19	全民医疗保障“十五五”规划	国家医疗保障局	其他
2026-08-24	进一步深化“六个拓展”做实家庭医生签约服务若干措施	国家卫生健康委办公厅、国家中医药局综合司、国家疾控局综合司	其他
2026-08-26	关于规范医疗机构特殊医学用途配方食品使用的指导意见	国家卫生健康委办公厅、市场监管总局办公厅	其他

1.1 重点政策解读

➤ 国家药监局发布《国家药品监督管理局主责国家重点研发计划重点专项管理实施细则》

8 月 13 日，国家药监局发布《国家药品监督管理局主责国家重点研发计划重点专项管理实施细则（征求意见稿）》。面向社会公开征求意见，期限为 2026 年 8 月 13 日至 9 月 12 日。这份文件标志着国家药监局在医药领域国家科技计划管理中发生重大的角色转变，从以往的参与者转变为医药领域重点专项的牵头组织者和责任者。

细则构建了国家药监局—专业机构—项目承担单位三级管理体系：国家药监局作为主责单位，负责重点专项的全面组织实施——从动议提出、方案编制、指南发布，到立项评审、过程管理、综合绩效评价，覆盖全链条。同时负责建立跨部门协调机制、遴选组建专家组。专业机构受国家药监局委托，承担项目申报受理、评审、立项、过程管理、综合绩效评价等具体工作。项目承担单位落实法人责任，负责项目的具体组织实施。这一体系与此前国家卫健委、国家中医药管理局发布的实施细则在框架上一脉相承，体现了国家重点研发计划管理改革的统一方向。

➤ 国家卫生健康委等四部门联合发布《关于加强医院法治建设的意见》

8 月 18 日，国家卫生健康委员会办公厅会同教育部办公厅、国家中医药管理局综合司、国家疾病预防控制中心综合司联合发布了《关于加强医院法治建设的意见》（以下简称《意见》）。《意见》是在总结梳理现有法律法规规定、零散单项法治工作安排和地方探索做法的基础上，首次对医院法治工作体系进行总体部署，普遍适用于所有医院。

《意见》将党对医院法治建设的领导、树立预防性法治理念、提升人民群众卫生健康法治获得感作为重点，突出问题导向，确定医院法治建设的目的，明晰了医院法治建设的主体责任和监督责任，对医院法治建设总体工作作出部署安排。围绕健全和完善医院法治建设制度、依法保障群众看病就医权益、强化医务人员法治素养培育等方面提出要求，不断增强医院高质量发展和高水平安全的法治保障，提升群众卫生健康法治获得感。

➤ 国家医疗保障局发布《全民医疗保障“十五五”规划》

8 月 19 日，国家医疗保障局在广泛听取医疗机构、医药企业、专家学者、医保经办人员、参保群众代表等各方意见基础上发布《全民医疗保障“十五五”规划》（以下简称《规划》）。《规划》发展目标在“十四五”期间公平、安全、法治、智慧、协同医保基础上，将“智慧医保”修改为“数智医保”，以更好体现人工智能大数据发展的时代要求，新增“科学医保”，体现精细化管理的新要求，公平医保、法治医保、安全医保、数智医保、协同医保、科学医保六个医保相互支撑，共同构成未来五年医保制度发展的总体目标。

“十五五”时期是健全多层次医疗保障体系的关键阶段，立足当前医保发展现状、民生就医保障需求以及中长期改革任务，统筹接续“十四五”时期各项改革安排，对标新阶段新形势，整体工作思路可概括为四个“更加注重”。一是更加注重强体系、补短板。持续织密筑牢全民医保制度框架，提升生育医疗费用保障水平，全面建立长期护理保险制度，优化多层次医疗保障体系，缩小区域、群体之间保障差距。二是更加注重推改革、促协同。纵深推进支付方式改革、医药价格治理、医保目录动态调整等重点改革，赋能医药机构发展，支持医药创新。推动医疗、医保、医药协同发展和治理，促进公立医院改革、医保支付、药耗集采等重点改革协同。推动商业医疗保险发展，支持职工医疗互助等医疗保障协同有序发展。三是更加注重精管理、优服务。落实精细化管理导向，加强基金全流程管理，强化收支监测预警。常态化开展基金飞行检查、日常核查和智能监控，严厉打击欺诈骗保行为，确保医保基金安全。深化医保领域“高效办成一件事”，全面深化应用刷脸支付、一码支付、移动支付、信用支付，持续优化参保群众办事体验。四是更加注重夯基础、强支撑。强化法治建设、标准化建设等基础工作，完善医保信息系统，延伸医保公共服务触角，夯实医保事业长远发展的硬件底座和能力支撑。

➤ 国家卫生健康委等部门发布《进一步深化“六个拓展”做实家庭医生签约服务若干措施》

8 月 24 日，国家卫生健康委员会办公厅、教育部办公厅、国家中医药管理局综合司和国家疾病预防控制中心综合司发布《进一步深化“六个拓展”做实家庭医生签约服务若干措施》，落实国务院政府工作报告关于做实家庭医生签约服务的工作部署。《通知》主要围绕深化“六个拓展”、落实家庭医生首诊负责制、分类推进居民签约服务、优化完善签约服务内容、数智赋能签约服务等方面提出要求。各级卫生健康行政部门要结合前期印发的家庭病床服务指南、提升签约服务感受度若干措施等政策文件加强贯彻落实，进一步做实做细家庭医生签约服务。

➤ 国家卫生健康委等部门发布《关于规范医疗机构特殊医学用途配方食品使用的指导意见》

8 月 26 日，国家卫生健康委及市场监管总局发布《关于规范医疗机构特殊医学用途配方食品使用的指导意见》。这是国家层面针对特医食品院内使用建立的基本管理框架，适用于各级各类医疗机构，覆盖产品遴选、采购、贮存、销售、使用、收费、评价与召回等环节。

特殊医学用途配方食品，是指经国家市场监督管理总局注册、可以在国内市场销售，为满足进食受限、消化吸收障碍、代谢紊乱或者特定疾病状态人群对营养素或膳食的特殊需要，专门加工配制而成的配方食品。文件要求医疗机构建立“特医食品使用管理部门或小组”，并承担以下核心职能：营养科主任应牵头成立

2026 年 8 月全球在研新药月报

多部门（医务、药事、信息、财务）协作小组，并明确一名食品安全管理员，承担日常监管责任。经营方面，必须设立醒目“特殊医学用途配方食品销售专区”标识，不得混放。凡是未经国家注册、但暗示适用于特殊疾病人群的食品，一律不得进入院内流通。这份文件不仅明确了职责边界，更将特医食品从“辅助营养品”提升到与医疗质量安全同等级别的管理高度。

二

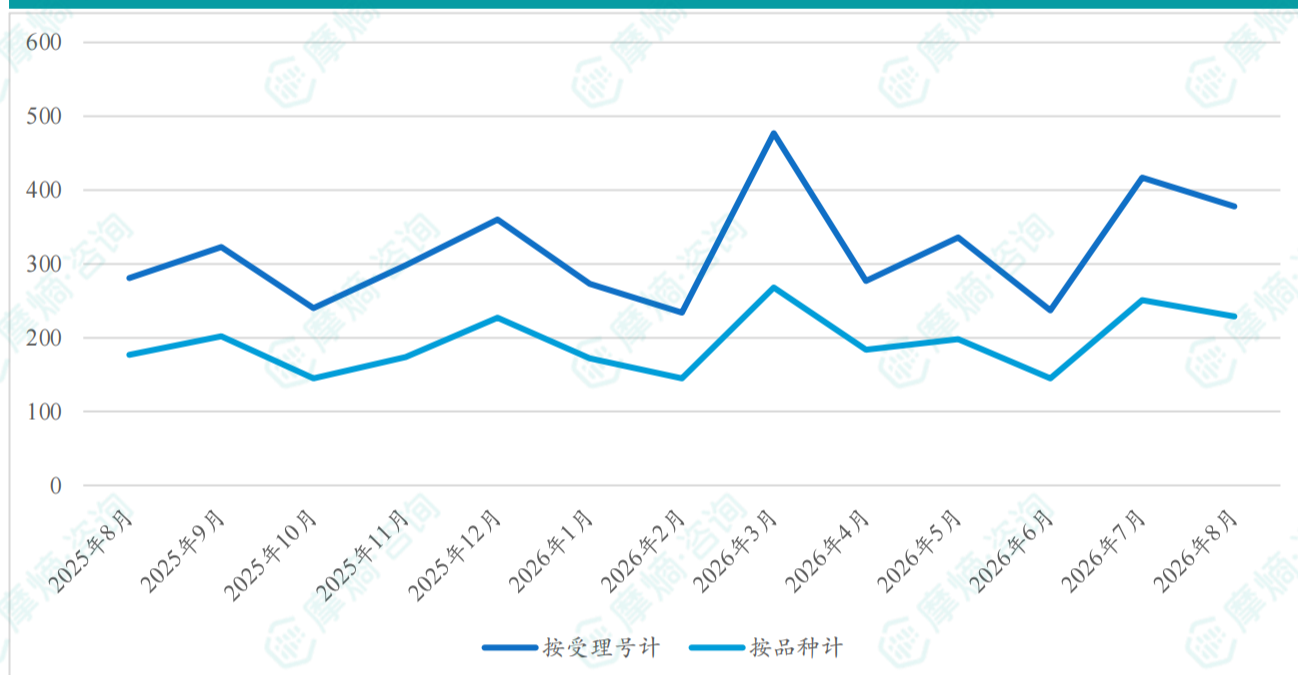


本月国内新药注册申报分析

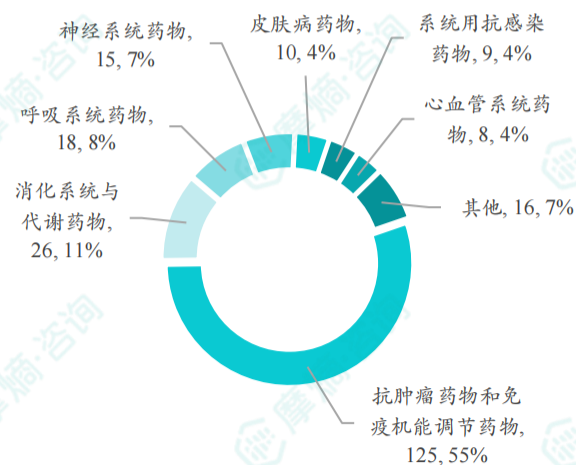
2.1 本月国内新药获批临床情况

根据摩熵医药数据库统计，2026 年 8 月共有 229 款新药获批临床（共计 378 个受理号），较上个月减少了 22 款，其中包括 191 款化药，175 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 125 个，占比 55%，消化系统与代谢药物获批数量也比较多，有 26 个。获批剂型主要为注射剂与片剂，分别有 188 个，104 个。

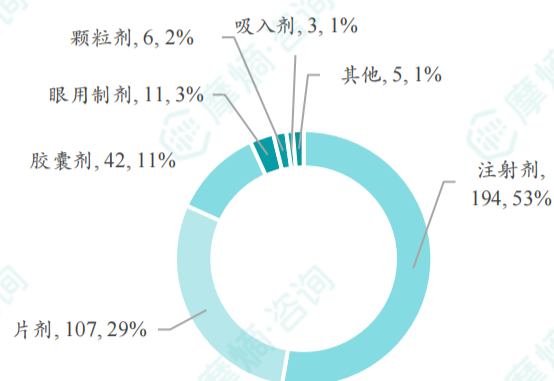
近一年获批临床新药数量



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）



2026 年 8 月国内获批临床新药一览表（部分）

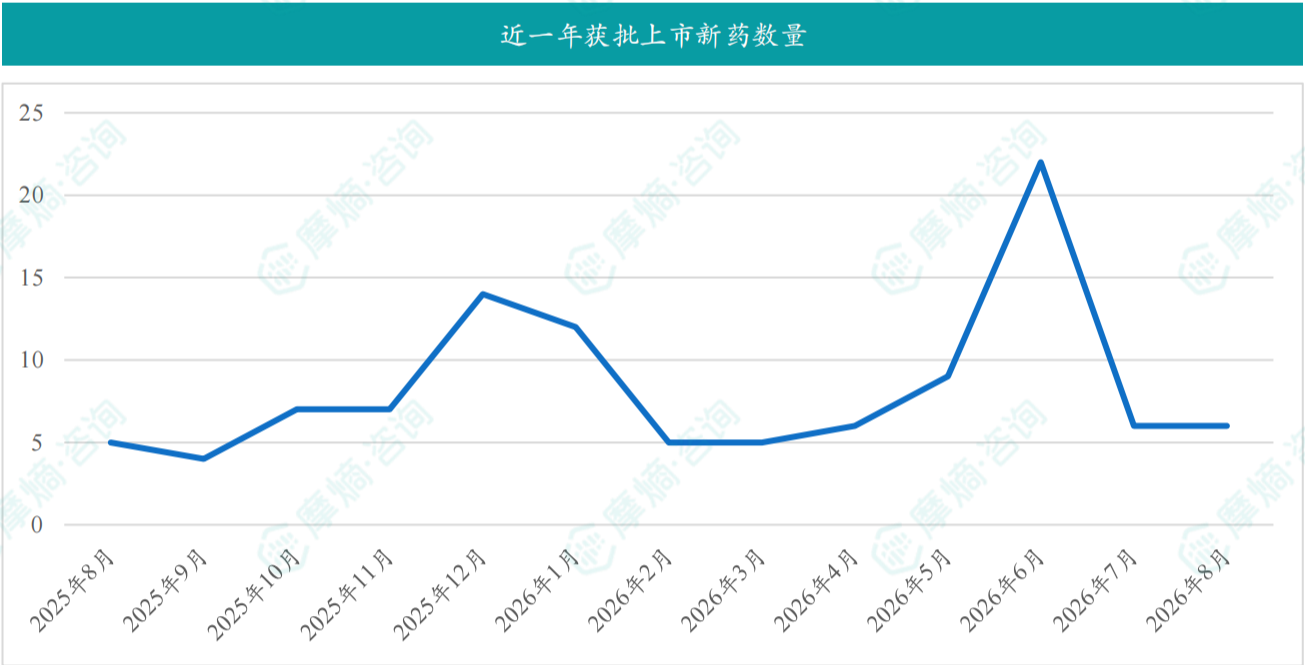
药品名称	注册类型	靶点（简）	临床默示许可适应症	CDE 企业名称	CDE 承办日期
UB-221 皮下注射剂	治疗用生物制品：1	IgE	多剂量 UB-221 作为慢性自发性荨麻疹患者的添加治疗	扬州世之源生物科技有限责任公司	2026-08-11
HPP737 胶囊	化药：1	PDE4	慢性阻塞性肺病（COPD）	恒翼生物医药（江苏）有限公司	2026-08-07
司普奇拜单抗注射液	治疗用生物制品：1	IL-4R	中重度特应性皮炎	成都康诺行生物医药科技有限公司	2026-08-07
HL-1186 片	化药：1	——	治疗疼痛	上海汇伦医药股份有限公司	2026-08-07
ELPIS 人脐带间充质干细胞注射液	治疗用生物制品：1	——	中、重度活动性炎症性肠病	北京顺欣祥宇生物科技有限公司	2026-08-07
Dostarlimab 注射液	治疗用生物制品：3.1	PD-1	Dostarlimab 联合卡铂和紫杉醇用于适合系统性治疗的错配修复缺陷（dMMR）/微卫星高度不稳定性（MSI-H）原发性晚期或复发性子宫内膜癌成人患者	GlaxoSmithKline Trading Services Limited; Glaxo Operations UK Ltd. (trading as Glaxo Wellcome Operations)	2026-08-07
ABO2011 注射液	治疗用生物制品：1	IL-12	本品适用于 ABO2102 单药或联合信迪利单抗治疗 KRAS 突变的局部晚期或转移性实体瘤	艾博生命科学（上海）有限公司；苏州艾博生物科技有限公司	2026-08-05
LPM7100328 胶囊	化药：1	GNRHR	子宫内膜异位症	丽珠集团利民制药厂	2026-08-04
JCXH-211 注射液	治疗用生物制品：1	IL-12	JCXH-211 联合特瑞普利单抗用于治疗恶性实体瘤	嘉晨西海（上海）生物技术有限公司	2026-07-31

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
INV-9956 胶囊	化药：1	CYP11A1	晚期转移性去势抵抗性前列腺癌	佛山市原力生物科技有限公司	2026-07-31
CBM-ALAM.1 异体人源脂肪间充质干细胞注射液	治疗用生物制品：1	——	膝骨关节炎（Knee Osteoarthritis, KOA）	无锡赛比曼生物科技有限公司	2026-07-30
JNJ-101556143 硬胶囊	化药：1	——	本品用于治疗接受过雄激素受体通路抑制剂（ARPI）和紫杉烷类化疗治疗的转移性去势抵抗性前列腺癌（mCRPC）成人患者	强生（中国）投资有限公司	2026-07-30
IN10018 片	化药 1	FAK1、PYK2	拟联合 D-1553 用于一线 KRAS G12C 突变阳性的局部晚期或转移性非鳞状非小细胞肺癌的治疗	应世生物科技（深圳）有限公司	2026-07-29
RF2011 注射液	化药：1	——	慢性乙型肝炎病毒感染者的有限疗程治疗	瑞孚医药科技（广州）有限公司；南京红地生物科技有限公司	RF2011 注射液
IBI3042	化药：1	GLP-1R	本品拟用于成人超重或肥胖患者体重控制。	信达生物制药（苏州）有限公司	2026-07-21
BGB-43395 片	化药：1	CDK4	BG-75098 联合 BGB-43395 和氟维司群用于治疗 2L+ HR+/HER2- 乳腺癌。	百济神州（苏州）生物科技有限公司	2026-07-21
Kylo-0603 胶囊	化药：1	THR-β	非酒精性脂肪性肝炎	上海正大天晴医药科技开发有限公司	2026-07-10
TQF6422 注射液	治疗用生物制品：1	——	用于成人肥胖患者，或超重且合并至少一种体重相关合并症的患者的体重管理。	上海正大天晴医药科技开发有限公司	2026-07-10

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
DX1002 片	化药：1	TUBB1、 CDH5	本品联合替雷利珠单抗用于晚期肝细胞癌的一线治疗	广州安好医药科技有限公司	2026-06-25

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



2026 年 8 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
替恩戈替尼片	CXHS2500160 CXHS2500158 CXHS2500159	拟用于治疗既往至少接受过一种系统性治疗和 FGFR 抑制剂治疗的晚期、转移性或不可手术切除的胆管癌成人患者	化药：1	药捷安康(南京)科技股份有限公司;无锡合全药业有限公司	2025-12-19	AURKA、 AURKB、 CSF1、 FGFR1、 FGFR2、 FGFR3、 JAK1、 JAK2、 TRKA、 VEGFR

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
小儿通便颗粒	CXZS2500026	有健脾行气，导滞通便的功效，用于小儿便秘中医辨证属食积证者	中药： 1.1	济川药业集团有限公司	2025-07-01	——
氟比洛芬贴剂	JXHS2400064	用于下列疾病及症状的镇痛、消炎：骨关节炎、肩周炎、肌腱及腱鞘炎、腱鞘周围炎、肱骨外上髁炎（网球肘）、肌肉痛、外伤所致肿胀、疼痛	化药： 5.1	MIKASASEIYAK UCO., LTD; MIKASASEIYAK UCO., LTDKAKEGAW FACTORY; BEIINGTIDEPHARMACEUTICAL CO., LTD.	2024-09-14	COX-1、 COX-2
注射用菲泽妥单抗	CXSS2500003	既往至少接受过一线治疗的多发性骨髓瘤成年患者	治疗用生物制品：1	天境生物科技(杭州)有限公司	2025-01-08	CD38
富马酸立康可泮胶囊	CXHS2600014	既往未接受过补体抑制剂治疗的阵发性睡眠性血红蛋白尿症	化药：1	成都盛迪医药有限公司	2026-01-10	CFB

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
安弗利奇塔单抗注射液 (皮下注射)	CXSS2500060	对非甾体类抗炎药和/或秋水仙碱禁忌、不耐受或缺乏疗效的，以及不适合反复使用类固醇激素的成人痛风性关节炎急性发作	治疗用生物制品：1	三生国健药业(上海)股份有限公司	2025-06-06	IL-1、IL-1 β

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

➤ 替恩戈替尼获批上市，攻克 FGFR 多点耐药

8 月 11 日，根据国家药品监督管理局官网消息：近日国家药品监督管理局通过优先审评审批程序，附条件批准药捷安康（南京）科技股份有限公司申报的 1 类创新药替恩戈替尼片（商品名称：捷恩泰）上市，该药用于既往接受过系统性治疗和 FGFR 抑制剂治疗，且具有成纤维细胞生长因子受体（FGFR）2 融合或重排的晚期、转移性或不可手术切除的胆管癌成人患者的治疗。该药品上市为患者提供了新的治疗选择。

替恩戈替尼是药捷安康自主研发的多靶点小分子激酶抑制剂，可同时靶向 FGFR/VEGFR、JAK、Aurora 多条肿瘤通路，依靠精准靶向、谱系重塑、免疫激活多重机制发挥抗肿瘤效果。其核心创新之一，在于针对 FGFR 耐药机制进行分子结构设计。

➤ 首个儿童便秘中成药小儿通便颗粒获批上市

8 月 10 日，济川药业自主研发的 1.1 类中药创新药小儿通便颗粒正式获得国家药品监督管理局上市批准。小儿通便颗粒是中药创新药新法规及指导原则体系下，首个获批用于儿童便秘的中药创新药，是该领域第一个创新示范品种，填补了国内儿童便秘专用中药空白；处方来源于儿科专家陈永辉（首都医科大学附属首都儿童医学中心）临床经验方，经临床验证，具有健脾行气，导滞通便的功效。可为儿童消化领域临床用药提供创新性选择。小儿通便颗粒的获批，标志着中药新药审评的“证候路径”，已经从政策文本变成了可复制的现实案例。可以预见，随着审评标准与临床设计方法日益清晰，未来还会有更多证候类创新中药陆续走进现实。

➤ 氟比洛芬贴剂获批上市

8 月 6 日，中国生物制药发布公告，其子公司泰德制药的国家 5.1 类新药第二代氟比洛芬贴剂（商品名：泽普思）已获得药监局批准上市，用于下列疾病及症状的镇痛、消炎：骨关节炎、肩周炎、肌腱及腱鞘炎、

腱鞘周围炎、肱骨外上髁炎（网球肘）、肌肉痛、外伤所致肿胀、疼痛。该产品采用中国生物制药独家研发的仿生黏附材料体系，模拟自然界生物的超强附着机理，在干燥、湿润及持续出汗条件下均能维持稳定黏附力。依托热熔压敏胶技术，形成强劲的药物浓度梯度驱动力，促进药物快速释放。实验数据显示，第二代氟比洛芬贴剂的药物透皮速率可达传统凝胶贴膏的 13 倍。作为氟比洛芬凝胶贴膏的升级产品，第二代氟比洛芬贴剂采用全新热熔胶透皮技术，从材料、工艺和结构三个维度实现全面升级，在延续原产品确切镇痛疗效的基础上，进一步拓宽了外用贴剂的临床应用场景，具备贴片更薄、贴敷更稳、起效更快、活动自如等优势。

➤ 抗癌药注射用菲泽妥单抗获批上市

8 月 12 日，NMPA 官网显示扬子江药业旗下江苏海岸药业自主研发的 1 类新药法赞雷生片获国家药监局批准上市。菲泽妥单抗是一款靶向 CD38（一种在浆细胞膜表达的蛋白靶点）的人源单克隆抗体。该药除了多发性骨髓瘤这一首发适应症之外，近期临床研究表明菲泽妥单抗可以选择性地清除致病 CD38+ 浆细胞，有望治疗多种抗体介导的自身免疫疾病和炎症性疾病。

最初，该药由 MorphoSys（现为诺华公司旗下的 MorphoSys）开发，天境生物拥有菲泽妥单抗在大中华地区（包括中国大陆、台湾、香港和澳门）所有适应症的独家开发和商业化权益。2022 年 6 月 HI-Bio 获得了菲泽妥单抗在大中华区以外的全球其它地区的开发和商业化权益。2024 年 7 月，Biogen 对 HI-Bio 完成了收购。今年 4 月，天境生物与 Biogen 进一步合作，Biogen 获得菲泽妥单抗大中华区权益。最终实现全球权益统一。

➤ 恒瑞医药富马酸立康可泮胶囊获批上市

8 月 18 日，国家药品监督管理局通过优先审评审批程序，批准成都盛迪医药有限公司申报的 1 类创新药富马酸立康可泮胶囊（商品名称：恒优达）上市，用于联合化疗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 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。

➤ 三生国健 IL-1 β 抑制剂安弗利奇塔单抗注射液在中国获批上市

8 月 20 日，2026 年 8 月 20 日，中国国家药品监督管理局（NMPA）宣布正式批准三生国健自主研发的 1 类生物创新药安弗利奇塔单抗（商品名：益赛那）上市，用于治疗对非甾体类抗炎药和/或秋水仙碱禁忌、不耐受或缺乏疗效，以及不适合反复使用类固醇激素的成人痛风性关节炎急性发作。作为中国首个 IgG1 人源化抗 IL-1 β 单抗，安弗利奇塔单抗高效精准锁定痛风急性发作炎症通路的关键启动因子——IL-1 β 的致病核心表位，实现 6 小时快速缓解疼痛，单次给药降低复发风险 77%，兼顾短期止痛与长期预防的双重获益，引领我国痛风抗炎治疗迈入精准靶向新纪元。

三



全球获孤儿药/突破性疗法/快速通道资格认定品种盘点

根据摩熵医药数据库统计，2026 年 8 月共有 88 款药物获孤儿药/突破性疗法/快速通道资格认定。

8 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	active 研发企业	全球最高研发阶段	特殊审批
apitegromab	Myostatin	肥胖、面肩胛肱型肌营养不良症"	Scholar Rock Inc	批准上市	快速通道：美国：面肩胛肱型肌营养不良症：Scholar Rock Inc：2026-09-02
pariglasgene breccaparovvec	G6PC	糖元累积症 IA 型	Ultragenyx Pharmaceutical Inc; Dimension Therapeutics Inc	批准上市	加速批准：美国：糖元累积症 IA 型：Ultragenyx Pharmaceutical Inc：2026-08-19
iberdomide	IKZF1、CRBN、IKZF3	多发性骨髓瘤	百时美施贵宝 (Bristol-Myers Squibb)	批准上市	加速批准：美国：多发性骨髓瘤：Bristol-Myers Squibb：2026-08-13
vusolimogene oderparepvec	CD116、GALV-GP R-	恶性黑色素瘤	Replimune Group Inc	批准上市	加速批准：美国：恶性黑色素瘤 III 期：Replimune Group Inc：2026-08-06 加速批准：美国：恶性黑色素瘤 IV 期：Replimune Group Inc：2026-08-06
mRNA-1010	——	流感病毒感染	Moderna Inc	批准上市	加速批准：美国：流感病毒感染：Moderna Inc：2026-08-05
安尼妥单抗	HER2	乳腺癌等	苏州康宁杰瑞生物科技有限公司； 上海津曼特生物制药有限公司	批准上市	优先审评：中国：乳腺癌：：2026-08-04

药品名称	靶点	适应症	active 研发企业	全球最高研发阶段	特殊审批
奥普雷顿	OX2R	嗜眠症	武田(Takeda)	批准上市	孤儿药：日本：嗜眠症：Takeda Pharmaceutical Co Ltd：2026-08-24
塞伐艾替尼	EGFR、HER2	转移性非小细胞肺癌等	拜耳(Bayer)	批准上市	孤儿药：日本：转移性非小细胞肺癌：Bayer AG：2026-08-24
paltusotine	SSTR2	类癌综合征等	Crinetics Pharmaceuticals Inc; 三和化学研究所有限公司 (Sanwa Kagaku Kenkyusho)	批准上市	孤儿药：欧盟：类癌综合征：Crinetics Pharmaceuticals Inc：2026-08-20
tiratricol	THRA	X 连锁型染色体病	Egetis Therapeutics AB	批准上市	孤儿药：日本：X 连锁型染色体病：Fujimoto Pharmaceutical Corp：2026-08-31
elafibranor	INSL、PPAR α 、PPAR δ	原发性胆汁性胆管炎	Genfit SA; Terns Pharmaceuticals Inc; 益普生 (Ipsen)	批准上市	优先审评：中国：原发性胆汁性胆管炎：Ipsen SA：2026-08-12
精氨酸艾曲莫德	S1PR1、S1PR4、S1PR5	溃疡性结肠炎	云顶新耀医药科技有限公司；Arena Pharmaceuticals Inc; 辉瑞 (Pfizer)	批准上市	优先审评：中国：溃疡性结肠炎：：2026-08-04
Sovateltide	ET-B	缺血性卒中	Pharmazz Inc; 伊利诺伊大学 (University of Illinois); 汽巴 (Ciba)	批准上市	孤儿药：美国：缺氧缺血性脑病：Pharmazz Inc：2026-08-23
依赛弗酶 α	ALP、PHEX、ALPL	低磷酸酯酶症	Alexion Pharmaceuticals Inc	申请上市	优先审评：中国：低磷酸酯酶症：：2026-08-24

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）
8 月 4 日	恒瑞医药	瑞普泊肽	GLP-1	2 型糖尿病	3 期数据:治疗 36 周后, 瑞普泊肽注射液 4mg 和 2mg 组 HbA1c 平均降幅分别达 2.78%、2.34%, 主要终点均达到非劣效。瑞普泊肽注射液 4mg 组 HbA1c 相对基线的变化与司美格鲁肽注射液 1mg 组的组间差异为-0.49%, 优效性检验单侧 $p < 0.0001$ 。在血糖达标率上, 瑞普泊肽注射液 4mg 和 2mg 组 HbA1c $\leq 6.5\%$ 的达标率分别为 85.0%、69.0%(司美格鲁肽注射液组为 64.3%); HbA1c $< 7.0\%$ 且体重下降 5% 的复合获益达标率分别为 66.2%、43.2%(司美格鲁肽注射液组为 42.8%)。安全性方面, 瑞普泊肽注射液总体耐受性良好, 安全性特征与此前报道的临床数据及其他 GLP-1 类药物一致。
8 月 4 日	大冢制药	sibeprenlimab-szsi	APRIL	原发性 IgA 肾病	3 期数据:在具有疾病进展风险的原发性 IgA 肾病成人患者中, sibeprenlimab-szsi 在两年内稳定了估算肾小球滤过率(eGFR), 让肾功能下降恢复到了基线生理速率。sibeprenlimab 组的年化 eGFR 斜率为 $+0.3 \text{ mL/min/1.73 m}^2 \text{ 年}$ (95%CI, -0.4 至 0.9), 安慰剂组为 $-4.2 \text{ mL/min/1.73 m}^2 \text{ 年}$ (95%CI, -4.9 至 -3.6)。24 个月时, 两组间的治疗效应差异为 $+4.5 \text{ mL/min/1.73 m}^2 \text{ 年}$ (95%CI, 3.6 5.4; $p < 0.0001$), 具有统计学显著性。
8 月 4 日	Rhythm Pharmaceuticals	RM-718	MC4R	获得性下丘脑性肥胖	2 期数据:接受 RM-718 治疗 16 周后, 患者的平均身体质量指数(BMI)较基线下降 11.6%。RM-718 治疗 16 周时的疗效与该公司的 bivamelagon 治疗 14 周时平均 BMI 下降 10.1%(600mg 剂量; $n=7$) 的结果相当, 也与其另一款 MCR4 激动剂 setmelanotide 治疗 16 周时 BMI 下降 10.1% 的结果相当。共报告 2 例轻度色素沉着事件, 且均局限于注射部位, 未观察到全身性色素沉着。

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
8 月 4 日	Rein Therapeutics	LTI-03	CAV1	特发性肺纤维化	1b 期数据:在 5mg/天与 10mg/天的受试剂量下, LTI-03 均显著降低了多种肺部瘢痕形成和炎症标志物, 包括促进瘢痕形成细胞活化的关键驱动因子白细胞介素-11(IL-11), 以及在 IPF 患者肺部表达升高并促进纤维化的炎症信号胸腺基质淋巴细胞生成素(TSLP)。
8 月 10 日	康诺亚	CM512	TSLP、IL-13	慢性鼻窦炎伴鼻息肉	2 期数据:CM512 治疗慢性鼻窦炎伴鼻息肉起效快速, 给药第 4 周即可快速缩小鼻息肉同时显著改善鼻塞, 并促进嗅觉功能恢复。CM512 给药一针疗效可维持半年, 24 周鼻息肉评分(NPS)较基线变化显著优于对照组, 同时明显减轻整体鼻窦腔炎症。CM512 所有剂量组均展现出良好的安全性和耐受性, 抗药抗体(ADA)的发生率极低。治疗期间不良事件(TEAEs)发生率与安慰剂组相当, CM512 组未发生严重不良事件。
8 月 10 日	Silence Therapeutics	divesiran	TMPRSS 6	真性红细胞增多症	2 期数据: 试验结果分析显示, divesiran 治疗组总体应答率为 88%, 显著高于安慰剂组的 19%($p<0.0001$), 达成试验主要终点。其中, 接受每 6 周一次(Q6W)皮下注射组和每 12 周一次(Q12W)皮下注射组患者的应答率分别为 93.8%和 81.3%。关键次要终点方面, 在第 0-36 周期间, divesiran 组每名患者平均接受放血治疗 0.2 次, 安慰剂组为 2.1 次($p<0.0001$)。
8 月 10 日	MoonLake Immunotherapeutics	sonelokimab	IL-17	银屑病关节炎	3 期数据: 接受索洛奇单抗治疗 16 周后, 42.1%活动性银屑病关节炎成年受试者实现了 ACR50 应答, 即关节肿痛、僵硬等关节炎核心症状改善幅度超 50%。

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
8 月 12 日	大鹏制药; CullinanTherapeutic	Zipalertinib	EGFR	恶性肿瘤	3 期数据：与单独化疗相比，含 zipalertinib 治疗组的 PFS 获得具有统计学显著性且具有临床意义的改善，同时观察到的安全性总体可控。
8 月 12 日	Definium Therapeutics	DTI20	5-HT2A	广泛性焦虑障碍	3 期数据：在第 12 周，DTI20ODT 组汉密尔顿焦虑量表(HAM-A)总评分较基线的最小二乘(LS)均值变化为-11.6 分，安慰剂组为-6.2 分，组间 LS 均值差为 -5.4 分 ($p<0.0001$)。DTI20ODT 组的疗效最早在治疗第 2 天即可观察到，并在研究 A 部分所有后续评估时间点持续观察到。该研究同时达到所有关键次要疗效终点。
8 月 14 日	Eupraxia Pharmaceuticals	EP-104GI	/	嗜酸细胞性食管炎	1b/2a 期数据：对 RESOLVE 研究第 7 至第 9 队列的分析显示，基线时有 62% 的患者存在中度至重度吞咽痛，而在治疗后第 24 周至第 52 周期间，这一比例降至 25%；基线时有 23% 的患者存在重度吞咽痛，而在治疗后第 24 周和第 52 周，均没有患者报告重度吞咽痛。EP-104GI 对吞咽困难症状也显示出持续改善。
8 月 17 日	阿斯利康；第一三共	Enhertu	HER2	非小细胞肺癌	3 期数据：与铂类双药化疗相比，Tagrisso 联合 Orpathys (savolitinib) 在 PFS 和 OS 两项指标上均实现具有统计学显著性和临床意义的改善。安全性方面，Tagrisso 联合 Orpathys 的安全性特征与两款药物各自已知的安全性特征一致，研究中未观察到新的安全性信号。
8 月 17 日	百利天恒	伦康依隆妥单抗	EGFR、HER3	非小细胞肺癌	3 期数据：在预设的期中分析中达到无进展生存期(PFS)主要终点，OS 方面亦观察到获益趋势。
8 月 17 日	和黄医药	赛沃替尼；奥希替尼	c-Met、EGFR、PTK	非小细胞肺癌	3 期数据：结果显示出具有统计学和临床意义的无进展生存期(PFS)和总生存期(OS)改善。安全性特征与已知的各药物的安全性保持一致，且没有发现新的安全性问题。

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
8 月 17 日	阿斯利康	Volrustomig	PD-1、CTLA-4	非小细胞肺癌	3 期数据:研究的双重主要终点为肿瘤表达 PD-L1<1%患者的无进展生存期(PFS)和总体生存期(OS)。次要终点包括意向性治疗(ITT)人群(PD-L1<50%)的 PFS 和 OS。这一终止决定是基于独立数据监查委员会(IDMC)的建议。在按计划对试验数据进行审查后, IDMC 得出结论, Volrustomig 联合方案在 PD-L1 阴性(PD-L1<1%)人群中不太可能达到 PFS 和 OS 主要终点。
8 月 17 日	Argenx; 再鼎医药	Efgartigimod	FCGRT	自身免疫性肌炎	3 期数据:在 IMINM 与 皮肤炎(DM)合并人群中, 与安慰剂相比, efgartigimod 治疗组患者在第 52 周的平均总改善评分(TIS)改善幅度高出 15.4 分, 分别为 47.95 分和 32.56 分。治疗获益最早自第 4 周开始出现, 并在整个一年治疗期间持续存在, 即使患者同期逐步减少类固醇用量, efgartigimod 组仍持续优于安慰剂组。研究还显示, efgartigimod 在 IMNM 和 DM 两个亚型中均带来幅度相近的临床改善, 其中 IMNM 亚组达到预设分析的主要终点(p=0.0048), 第 52 周平均 TIS 较安慰剂多改善 14.8 分。在样本量较小的 DM 亚组中, efgartigimod 组同样观察到 14.5 分的临床改善差异。安全性方面, efgartigimod 在 ALKIVIA 研究中总体耐受性良好, 观察到的安全性特征与既往研究及其已知安全性特征一致。
8 月 17 日	EyePoint	伏罗尼布	5-HT2A	湿性年龄相关性黄斑变性	3 期数据:在全部受试者中, Duravyu 未达到非劣于阿柏西普的主要终点。EyePoint 随后进行了事后分析:去除 9 例因非 wAMD 病因学导致失明的非对称队列患者后, Duravyu 达到非劣效标准, p 值为 0.0096, 但最佳矫正视力仍与阿柏西普相差 2.4 个字母。

时间	公司	产品	靶点	适应症	临床数据（有效性）
8 月 18 日	Amylyx Pharmaceuticals	avexitide	GLP-1R	减重手术后低血糖	3 期数据：共纳入 78 例接受 Roux-en-Y 胃旁路术后出现 PBH 的受试者。研究达到与美国 FDA 商定的主要终点：与安慰剂相比，avexitide 使 2 级和 3 级低血糖事件复合发生率降低 55%(p=0.000003)。研究还达到全部次要终点，包括通过自我血糖监测(SMBG)评估的 2 级低血糖事件、通过连续血糖监测(CGM)评估的 2 级低血糖事件，以及 3 级低血糖事件均显著减少，且结果具有高度统计学显著性和临床意义。
8 月 19 日	Moderna; 默沙东	mRNA-4157; K 药	/	黑色素瘤	3 期数据：在预设的中期分析中，与 Keytruda 单药相比，intismeran 联合 Keytruda 用于既往接受全身治疗、已完全切除的 IIB、IIC、III 或 IV 期皮肤黑色素瘤患者，在 RFS 和 DMFS 方面带来具有统计学显著性且具临床意义的改善。
8 月 21 日	君实生物	JS207	PD-1、VEGF-A	非小细胞肺癌	2 期数据：实现病理学完全缓解的患者比例为 54.5%，实现主要病理学缓解的患者比例为 72.7%(16/22)。截至 2026 年 2 月 28 日，92.9% 的患者发生治疗期间不良事件(TEAE)，19.0% 的患者发生严重不良事件(SAE)，45.2% 的患者发生 JS207 相关的 3 级及以上 TEAE。最常见的 TEAE 为贫血(66.7%)、中性粒细胞计数减少(61.9%)和白细胞计数减少(57.1%)。
8 月 21 日	齐鲁制药	QLC1101	KRAS G12D	非小细胞肺癌	1 期数据：在 42 例可评估疗效的患者中，客观缓解率(ORR)为 26.2%，疾病控制率(DCR)为 78.6%，中位无进展生存期(PFS)为 7.2 个月，PFS 达到 9 个月的患者比例为 37.4%。在 II 期推荐剂量(1200mg)队列中，ORR 为 22.7% (5/31)，DCR 为 90.9%，中位 PFS 尚未达到，PFS 达到 9 个月的患者比例为 67.1%。安全性方面，43 例(82.7%)患者出现治疗相关不良事件(TRAЕ)，5 例(9.6%)患者出现 3 级及以上 TRAЕ。没有患者因 TRAЕ 停药。

➤ 恒瑞医药公布瑞普泊肽头对头司美格鲁肽 3 期临床试验研究数据积极

8 月 4 日，恒瑞医药宣布瑞普泊肽（HRS9531，KAI-9531-T，Ribupatide）头对头司美格鲁肽注射液的

中国降糖 III 期研究 (HRS9531-303) 取得积极顶线结果。瑞普泊肽注射液 4mg 和 2mg 两个剂量组均达到预设的主要终点, 即 HbA1c 相对基线的变化非劣于司美格鲁肽注射液 1mg 组。基于本研究结果, 恒瑞医药计划近期在中国提交瑞普泊肽注射液用于成人 2 型糖尿病患者血糖控制的新药上市申请。瑞普泊肽是恒瑞医药自主研发的胰高糖素样肽-1 受体 (GLP-1R) 和葡萄糖依赖性促胰岛素肽受体 (GIPR) 双重激动剂。2024 年 5 月, 恒瑞医药将包括瑞普泊肽在内的 GLP-1 类创新药组合在大中华区以外开发、生产和商业化的独家权利授予 Kailera。恒瑞医药就该药物开发了每周 1 次的皮下注射剂和每日 1 次的口服片剂。其中, 瑞普泊肽注射液已于 2025 年 9 月在中国申报上市, 适应症为成人长期体重管理。

➤ 大冢制药公司公布 sibeprenlimab-szsi 的 III 期临床研究数据积极

8 月 4 日, 大冢制药 (Otsuka) 公布了 III 期 VISIONARY 试验数据, 在具有疾病进展风险的原发性 IgA 肾病 (IgAN) 成人患者中, VOYXACT® (sibeprenlimab-szsi) 在两年内稳定了估算肾小球滤过率 (eGFR), 让肾功能下降恢复到了基线生理速率。基于此次 2 年的数据, 公司向 FDA 提交 sBLA, 为了传统批准。VOYXACT 单抗, 是目前首个且唯一获 FDA 批准的 APRIL 抑制剂, 皮下注射给药, 每四周一次。通过阻断 APRIL, 减少致病性半乳糖缺陷型 IgA1 (Gd-IgA1) 的产生, 从而干预 IgAN 发病机制中的关键环节。该药于 2025 年 11 月获 FDA 加速批准, 用于具有疾病进展风险的原发性 IgAN 成人患者。

➤ Rhythm Pharmaceuticals 公司公布 RM-718 的 2 期临床试验研究数据积极

8 月 4 日, Rhythm Pharmaceuticals 公布了正在进行的 2 期临床试验的初步结果。该试验旨在评估每周一次给药的在研黑皮质素-4 受体 (MC4R) 激动剂 RM-718 治疗获得性下丘脑性肥胖 (HO) 患者的效果。该开放标签试验共入组 11 例获得性 HO 患者。主要初步结果包括: 1. 接受 RM-718 治疗 16 周后, 患者的平均身体质量指数 (BMI) 较基线下降 11.6% (n=7); 2. RM-718 治疗 16 周时的疗效与该公司的 bivamelagon 治疗 14 周时平均 BMI 下降 10.1%(600mg 剂量; n=7) 的结果相当, 也与其另一款 MCR4 激动剂 setmelanotide 治疗 16 周时 BMI 下降 10.1% 的结果相当; 3. 共报告 2 例轻度色素沉着事件, 且均局限于注射部位, 未观察到全身性色素沉着。

➤ Rein Therapeutics 公司公布 LTI-03 的 1b 期临床研究数据积极

8 月 4 日, Rein Therapeutics 宣布, 其 LTI-03 首次人体研究的临床数据已发表于同行评议科学期刊 Nature Communications。这项随机、安慰剂对照研究共纳入 24 例特发性肺纤维化 (IPF) 患者。患者接受每日 5mg 或 10mg 吸入 LTI-03, 或安慰剂治疗, 持续 14 天。LTI-03 在两个剂量组中均表现出良好的耐受性, 未发生与治疗相关的停药, 且仅出现轻度或中度不良反应。研究未检测到 LTI-03 的全身吸收, 这与其作为一种在肺部局部发挥作用的疗法的设计相符。研究人员利用直接从患者肺部深处采集的样本, 检测了已知可推动 IPF 进展的蛋白质和炎症信号。在两个受试剂量下, LTI-03 均显著降低了多种肺部瘢痕形成和炎症标志物, 包括促进瘢痕形成细胞活化的关键驱动因子白细胞介素-11 (IL-11), 以及在 IPF 患者肺部表达升高并促进纤维化的炎症信号胸腺基质淋巴细胞生成素 (TSLP)。

➤ 康诺亚公布 CM512 的 2 期临床试验研究数据积极

8 月 10 日, 康诺亚公司宣布其长效 TSLP×IL-13 双抗 CM512 治疗慢性鼻窦炎伴鼻息肉 (CRSwNP) II 期临床试验达到全部研究终点。CM512 是康诺亚自主研发的全球首款 IgG-like 长效型 TSLP×IL-13 双阻断剂。本项结果显示, CM512 治疗慢性鼻窦炎伴鼻息肉起效快速, 给药第 4 周即可快速缩小鼻息肉同时显著改善鼻塞, 并促进嗅觉功能恢复。CM512 给药一针疗效可维持半年, 24 周鼻息肉评分 (NPS) 较基线变化显著优于对照组, 同时明显减轻整体鼻窦腔炎症。CM512 所有剂量组均展现出良好的安全性和耐受性, 抗

药抗体 (ADA) 的发生率极低。治疗期间不良事件 (TEAEs) 发生率与安慰剂组相当, CM512 组未发生严重不良事件。

➤ **Silence Therapeutics 公司公布 divesiran 的 2 期临床研究数据积极**

8 月 10 日, Silence Therapeutics 宣布, 其潜在 “first-in-class” siRNA 候选药物 divesiran 用于需要依赖放血治疗的真性红细胞增多症(PV)患者的 2 期 SANRECO 试验达到主要终点及次要终点。Divesiran 是 Silence Therapeutics 基于其专有 mRNAiGOLD 平台开发的 siRNA 候选药物, 通过沉默几乎仅在肝脏表达的 TMPRSS6 发挥作用。分析显示, divesiran 治疗组总体应答率为 88%, 显著高于安慰剂组的 19%($p<0.0001$), 达成试验主要终点。其中, 接受每 6 周一次 (Q6W) 皮下注射组和每 12 周一次 (Q12W) 皮下注射组患者的应答率分别为 93.8% 和 81.3%。

➤ **MoonLake Immunotherapeutics 公司公布索洛奇单抗的 3 期临床研究数据积极**

8 月 10 日, MoonLake Immunotherapeutics 公布核心管线纳米抗体索洛奇单抗 (sonelokimab) 用于初治银屑病关节炎的全球 III 期 IZAR-1 研究顶线阳性结果, 所有主要、次要临床终点全部达成。索洛奇单抗于 2021 年从德国默克 KGaA 获得全球授权, 属于三价人源化骆驼源纳米抗体, 同时结合炎症核心驱动因子 IL-17A、IL-17F 以及人体血清白蛋白。IZAR-1 是一项全球多中心、随机、双盲、安慰剂对照 III 期临床试验, 入组受试者均为从未接受过任何生物制剂治疗的活动性银屑病关节炎成年患者。数据显示, 第 16 周时 42.1% 受试者实现 ACR50 应答, 即关节肿痛、僵硬等关节炎核心症状改善幅度超 50%。

➤ **大鹏制药和 Cullinan Therapeutics 公司共同公布 Zipalertinib 的 3 期临床试验数据积极**

8 月 12 日, 大鹏制药子公司大鹏肿瘤 (Taiho Oncology) 和 Cullinan Therapeutics 共同宣布, 一项全球 III 期临床试验 REZILIENT3 在计划的期中分析中达到了无进展生存期 (PFS) 的主要终点。Zipalertinib (齐帕勒替尼, 研发代号: TAS6417/CLN-081) 由大家制药和 Cullinan 合作开发, 被设计为新一代不可逆表皮生长因子受体 (EGFR) 抑制剂, 旨在靶向作用于 EGFR 外显子 20 插入突变。2020 年 12 月, 再鼎医药以 2000 万美元的首付款+最高 2.11 亿美元的开发、注册和基于销售的里程碑付款, 引进 Zipalertinib 在大中华区的独家开发、生产以及商业化权益。

➤ **Definium Therapeutics 公司公布 DT120 的 3 期临床试验数据积极**

8 月 12 日, Definium Therapeutics 宣布, 其 DT120 (lysergide) 口崩片 (ODT) 100μg 治疗成人广泛性焦虑障碍(GAD)的首项 3 期临床试验 Voyage 取得积极顶线结果。该研究达到主要终点: 在第 12 周, DT120ODT 组汉密尔顿焦虑量表 (HAM-A) 总评分较基线的最小二乘 (LS) 均值变化为-11.6 分, 安慰剂组为-6.2 分, 组间 LS 均值差为-5.4 分 ($p<0.0001$), 显示出具有统计学显著性和临床意义的改善。此外, DT120ODT 组的疗效最早在治疗第 2 天即可观察到, 并在研究 A 部分所有后续评估时间点持续观察到。该研究同时达到所有关键次要疗效终点。安全性方面, DT120ODT 总体耐受性良好, 其安全性特征与既往临床经验一致。这也是 DT120ODT 取得的第二项积极 3 期试验结果, 此前该药治疗抑郁症 (MDD) 的 Emerge 研究已于 6 月公布积极结果。。

➤ **Eupraxia Pharmaceuticals 公司公布 EP-104GI 的 1b/2a 期临床试验数据积极**

8 月 14 日, Eupraxia Pharmaceuticals 宣布, RESOLVE 试验一项新的分析取得积极结果。该分析评估了 EP-104GI 对嗜酸细胞性食管炎 (EoE) 患者症状严重程度的影响, 并首次分析了其对吞咽痛 (odynophagia) 的作用。吞咽痛评分是吞咽困难症状问卷 (Dysphagia Symptom Questionnaire, DSQ) 的组成部分, 而 DSQ 是 EoE 患者关键性临床试验中常用的患者报告结局指标。对 RESOLVE 研究第 7 至第 9 队列的分析显示,

基线时有 62% 的患者存在中度至重度吞咽痛，而在治疗后第 24 周至第 52 周期间，这一比例降至 25%；基线时有 23% 的患者存在重度吞咽痛，而在治疗后第 24 周和第 52 周，均没有患者报告重度吞咽痛。此外，EP-104GI 对吞咽困难症状也显示出持续改善。第 7 至第 9 队列中，基线时有 77% 的患者存在中度至重度吞咽困难，治疗后第 24 周和第 52 周时这一比例均降至 25%；基线时有 31% 的患者存在重度吞咽困难，而治疗后第 24 周和第 52 周均未有患者报告重度吞咽困难。安全性方面，EP-104GI 继续表现出良好的耐受性。目前 RESOLVE 研究已有超过 130 名患者接受 EP-104GI 或安慰剂治疗，累计涉及超过 2000 个独立注射部位，尚未报告治疗期间出现或与操作相关的严重不良事件（SAE）。

➤ 阿斯利康和第一三共联合宣布 Enhertu 的 3 期临床试验研究数据积极

8 月 17 日，阿斯利康和第一三共联合宣布 Enhertu（德曲妥珠单抗）单药一线治疗非小细胞肺癌（NSCLC）的 III 期 DESTINY-Lung04 研究取得了高水平的积极结果。该研究是一项全球性、随机、多中心、开放标签临床试验（n=454），评估了 Enhertu 对比标准治疗（帕博利珠单抗联合含铂双药化疗）一线治疗携带 HER2 外显子 19 或外显子 20 突变的不可切除的局部晚期或转移性非鳞状 NSCLC 患者的有效性和安全性。研究的主要终点是无进展生存期（PFS）。结果显示，Enhertu 组患者的 PFS 较标准治疗组实现了统计学显著且临床意义显著的改善。该研究将按计划继续进行，以评估包括总生存期（OS）在内的次要终点。值得一提的是，Enhertu 是第一个在 III 期研究中成功证明单药相较标准治疗作为一线治疗方案能够改善 NSCLC 患者的 PFS 的 ADC 药物。

➤ 百利天恒公司公布伦康依隆妥单抗的 3 期临床研究数据积极

8 月 17 日，百利天恒宣布，公司自主研发的 EGFR/HER3 双抗 ADC 伦康依隆妥单抗/宜泽康®（BL-B01D1/iza-bren），用于非小细胞肺癌的 III 期临床试验（研究方案编号：BL-B01D1-301）中，经独立数据监查委员会（iDMC）判断，在预设的期中分析中达到无进展生存期（PFS）主要终点，OS 方面亦观察到获益趋势，其适应症为：既往经 EGFR-TKI 治疗失败的 EGFR 敏感突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌。这是伦康依隆妥单抗第四个达到主要终点的 III 期临床研究，也是全球首个在非小细胞肺癌治疗中达到主要终点的双抗 ADC 药物 III 期临床研究。

➤ 和黄医药公司公布沃瑞沙®和泰瑞沙®的联合疗法的 3 期临床试验研究数据积极

8 月 17 日，和黄医药宣布沃瑞沙®（赛沃替尼）和泰瑞沙®（奥希替尼）的联合疗法对比铂类双药化疗用于治疗表皮生长因子受体（EGFR）突变非小细胞肺癌患者的 SAFFRON III 期研究取得积极的顶线结果，显示出具有统计学和临床意义的无进展生存期（PFS）和总生存期（OS）改善。研究中患者的肿瘤伴有高水平的 MET 过表达或扩增，并且既往曾接受过泰瑞沙®治疗后疾病进展。沃瑞沙®和泰瑞沙®联合疗法的安全性特征与已知的各药物的安全性保持一致，且没有发现新的安全性问题。数据将于即将召开的学术会议公布，并与全球监管机构共享。基于 SACHI III 期研究，沃瑞沙®和泰瑞沙®联合疗法已于中国获批用于治疗接受 EGFR-TKI 治疗后疾病进展的伴有 MET 扩增的 EGFR 突变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌患者。

➤ 阿斯利康公司公布终止 PD-1/CTLA-4 双抗 Volrustomig 治疗肺癌的 III 期临床试验

8 月 17 日，阿斯利康宣布正在终止 PD-1/CTLA-4 双抗 Volrustomig 一线治疗非小细胞肺癌（NSCLC）的 III 期 eVOLVE-Lung02 研究。该研究是一项全球性、多中心、随机、开放标签临床试验（n=895），旨在评估 Volrustomig 联合化疗随后单药对比帕博利珠单抗联合化疗随后单药一线治疗肿瘤表达 PD-L1<50% 的转移性 NSCLC 患者的疗效和安全性。研究的双重主要终点为肿瘤表达 PD-L1<1% 患者的无进展生存期（PFS）和总体生存期（OS）。次要终点包括意向性治疗（ITT）人群（PD-L1<50%）的 PFS 和 OS。这一终止决定

是基于独立数据监察委员会 (IDMC) 的建议。在按计划对试验数据进行审查后, IDMC 得出结论, Volrustomig 联合方案在 PD-L1 阴性 (PD-L1<1%) 人群中不太可能达到 PFS 和 OS 主要终点。

➤ Argenx 和再鼎医药公司公布 Efgartigimod 的 3 期临床试验数据积极

8 月 17 日, Argenx 和再鼎医药宣布 Efgartigimod 治疗自身免疫性肌炎的三期临床获得积极数据, 研究达到 TIS 主要终点, 也是首个在 IMNM 亚型实现疾病活动度临床改善的三期临床试验。Argenx 当天股价大涨 165, 目前市值为 618 亿美元。ALIKIVIA 研究是一项随机、双盲、安慰剂对照、多中心、2/3 期无缝衔接的临床研究, 旨在评估艾加莫德治疗特发性炎症性肌病 (IIM 或肌炎, 三种亚型: 免疫介导的坏死性肌病、抗合成酶综合征和皮肌炎) 的有效性和安全性。Efgartigimod 此前已经获批 MG、CIDP、ITP 等适应症, 此次又在自身免疫性肌炎获得成功。Efgartigimod (艾加莫德) 上市以来保持持续的高增长趋势, 2026 年上半年销售额 28.14 亿美元, 预计全年超过 60 亿美元。

➤ Eyepoint 公司公布伏罗尼布的 3 期临床试验失败

8 月 17 日, EyePoint 公布伏罗尼布 (EYP-1901, 商品名 Duravyu) 治疗湿性年龄相关性黄斑变性 (wAMD) 的三期临床试验 LUGANO 顶线数据, 研究未达到非劣于阿柏西普的主要终点。受此影响, EyePoint 当日股价大跌 67%, 目前市值约 4.2 亿美元。Duravyu 由贝达药业的伏罗尼布与 EyePoint 的 DurasertE 缓释技术结合开发而成, 伏罗尼布是一款多靶点 VEGFR/PDGFR 抑制剂。在全部受试者中, Duravyu 未达到非劣于阿柏西普的主要终点。EyePoint 随后进行了事后分析: 去除 9 例因非 wAMD 病因学导致失明的非对称队列患者后, Duravyu 达到非劣效标准, p 值为 0.0096, 但最佳矫正视力 (BCVA) 仍与阿柏西普相差 2.4 个字母。

➤ Amylyx Pharmaceuticals 公司公布 avexitide 的 3 期临床试验数据积极

8 月 18 日, Amylyx Pharmaceuticals 宣布, 评估其在研多肽疗法 avexitide 治疗减重手术后低血糖 (PBH) 的 3 期 LUCIDITY 临床试验取得积极顶线结果。Avexitide 是一款在研、潜在 “first-in-class” 的胰高血糖素样肽-1 (GLP-1) 受体拮抗剂, LUCIDITY 是一项多中心、随机、双盲、安慰剂对照研究, 共纳入 78 例接受 Roux-en-Y 胃旁路术 (RYGB) 后出现 PBH 的受试者。研究达到与美国 FDA 商定的主要终点: 与安慰剂相比, avexitide 使 2 级和 3 级低血糖事件复合发生率降低 55% ($p=0.000003$)。此外, 研究还达到全部次要终点, 包括通过自我血糖监测 (SMBG) 评估的 2 级低血糖事件、通过连续血糖监测 (CGM) 评估的 2 级低血糖事件, 以及 3 级低血糖事件均显著减少, 且结果具有高度统计学显著性和临床意义。安全性方面, avexitide 总体耐受性良好, 并表现出良好的安全性特征。Amylyx 计划于今年年底前向 FDA 提交 avexitide 的 NDA。

➤ Moderna 与默沙东公司共同公布 mRNA-4157+K 药联合辅助治疗的 3 期临床试验数据积极

8 月 19 日, Moderna 与默沙东宣布肿瘤新抗原 mRNA 疫苗 mRNA-4157+K 药联合辅助治疗黑色素瘤的三期临床 INTerpath-001 达到主要终点 RFS 和关键次要终点 DMFS。这是可手术黑色素瘤首个证明优于 K 药单药标准疗法的三期临床试验。mRNA-4157 为一种个性化肿瘤疫苗, 靶向患者的特异性突变, 编码最多至 34 种新生抗原。mRNA-4157 可以激活肿瘤新生抗原的特异性 T 细胞, 进而杀伤肿瘤细胞。受此消息影响, Moderna 股价盘前大涨 89%, 市值达到 480 亿美元。合作伙伴默沙东股价盘前涨 8%, 市值增加超 200 亿美元。

➤ 君实生物公布 JS207 的 2 期临床试验数据积极

8 月 21 日, 君实生物的 PD-1/VEGF-A 双抗在 2026 年世界肺癌大会 (WCLC) 亮相, 展示联合铂类双药化疗新辅助治疗非小细胞肺癌 (NSCLC) 的 II 期临床数据。在 2025 年 5 月 23 日至 2025 年 12 月 3 日期

间，该研究纳入了 42 例不可切除的 IIIA-IIIC 期 NSCLC 患者。截至 2026 年 3 月 15 日，22 例患者在接受 JS207 (15mg/kg, 每 3 周 1 次) 联合化疗作为新辅助治疗后，可进行手术，手术转化率为 52.4%。结果显示，实现病理学完全缓解 (pCR, 术后切除标本中无残留活肿瘤细胞) 的患者比例为 54.5% (12/22)，实现主要病理学缓解 (MPR, 术后切除标本中残留活肿瘤细胞比例 $\leq$ 10%) 的患者比例为 72.7% (16/22)。截至 2026 年 2 月 28 日，92.9% 的患者发生治疗期间不良事件 (TEAE)，19.0% 的患者发生严重不良事件 (SAE)，45.2% 的患者发生 JS207 相关的 3 级及以上 TEAE。最常见的 TEAE 为贫血 (66.7%)、中性粒细胞计数减少 (61.9%) 和白细胞计数减少 (57.1%)。

➤ 齐鲁制药公布 QLC1101 的 1 期临床试验数据积极

8 月 21 日，齐鲁制药自主研发的 KRAS G12D 抑制剂 QLC1101 的首个 I 期临床数据在世界肺癌大会 (WCLC) 摘要公开。截至 2026 年 2 月 12 日，52 例携带 KRASG12D 突变的经治非小细胞肺癌 (NSCLC) 患者入组接受 QLC1101 (100-1600mg, 每日 2 次, 口服) 治疗，中位治疗时间为 58 天。结果显示，在 42 例可评估疗效的患者中，客观缓解率 (ORR) 为 26.2%，疾病控制率 (DCR) 为 78.6%，中位无进展生存期 (PFS) 为 7.2 个月，PFS 达到 9 个月的患者比例为 37.4%。在 II 期推荐剂量 (1200mg) 队列中，ORR 为 22.7% (5/31)，DCR 为 90.9%，中位 PFS 尚未达到，PFS 达到 9 个月的患者比例为 67.1%。安全性方面，43 例 (82.7%) 患者出现治疗相关不良事件 (TRAE)，5 例 (9.6%) 患者出现 3 级及以上 TRAE。没有患者因 TRAE 停药或死亡。最常见 (发生率 $\geq$ 20%) 的不良事件为腹泻 (65.4%)、呕吐 (61.5%)、恶心 (40.4%)、食欲减退 (25%)，大多为 1 级或 2 级。在 II 期推荐剂量 (1200mg) 队列中，最常见 (发生率 $\geq$ 10%) 的不良事件为呕吐 (51.6%)、腹泻 (48.4%)、恶心 (25.8%)、食欲减退 (19.4%)、贫血 (19.4%)，均为 1 级或 2 级；2 例患者出现 3 级及以上 TRAE，分别为晕厥 (3.2%) 和打嗝 (3.2%)；没有患者出现严重 TRAE。

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
8 月 3 日	罗氏	伐米奇拜单抗	IL-6	葡萄膜炎性 黄斑水肿	中国	拟纳入优先审评
8 月 3 日	英矽智能	ISM8969/HT-001	NLRP3	帕金森病	中国	获批临床
8 月 3 日	复星医药	复方聚乙二醇 (3350)电解质 散	/	儿童慢性便秘	中国	获批上市
8 月 3 日	诺华	Pluvicto 联合 雄激素受体通 路抑制剂	/	激素敏感性 前列腺癌	美国	获批上市
8 月 3 日	礼来	Olomorasib	KRAS G12C	胰腺癌	美国	获突破性疗法认定
8 月 4 日	石药集团; 康宁杰瑞	安尼妥单抗注射液	HER2	乳腺癌	中国	新适应症申报上市
8 月 5 日	武田	Orzeyful	OX2R	成人 1 型发 作性睡病	美国	获批上市
8 月 5 日	莫德纳公司	mFLUSIVA	/	季节性流感 预防	美国	获批上市
8 月 10 日	石药创新	SYS6037 注射液	/	预防猴痘	美国	获批临床试验
8 月 11 日	齐鲁制药	阿氟色替	AKT	乳腺癌	中国	申报上市
8 月 11 日	EIT Pharma	lonafarnib	HDV	慢性丁型肝炎	美国	申报上市获受理
8 月 11 日	万泰生物	九价人乳头瘤 病毒疫苗	/	预防 HPV 感染	泰国	获批上市
8 月 11 日	石药集团	SYS6042	CD19、 BCMA	系统性红斑 狼疮	中国	获批临床
8 月 12 日	天境生物	TJ101 注射液	GHR	儿童生长激素 缺乏症	中国	申报上市
8 月 12 日	Belite Bio	tinlarebant	RBP	1 型 Stargardt 病	美国	获批优先评审资格
8 月 13 日	拜耳	阿柏西普眼内 注射溶液	PGF、 VEGFA	视网膜静脉 阻塞	中国	申报新适应症
8 月 17 日	西比曼	C-CAR039	CD20、 CD19	复发或难治 性大 B 细胞 淋巴瘤	美国	获批临床

时间	公司	产品	靶点	适应症	国家	研发进展
8 月 17 日	凡恩世生物	Spevatamig	Claudin18.2、CD47	晚期和转移性胆道癌	美国	获快速通道资格
8 月 19 日	Ultragenyx Pharmaceutical	Genglycos	/	Ia 型糖原贮积病成人及儿童营养管理辅助治疗	美国	加速批准
8 月 19 日	再生元	Pasatru	/	进行性骨化性纤维发育不良新发异位骨化	美国	获批上市

➤ 罗氏眼科伏米奇拜单抗在华拟纳入优先审评

8 月 3 日，CDE 网站显示，罗氏的伏米奇拜单抗（vamikibart）拟纳入优先审评，用于治疗葡萄膜炎性黄斑水肿（UME）。伏米奇拜单抗是罗氏自 Sesen Bio（已被 Carisma Therapeutics 收购）引进的一款 IL-6 单抗，具有较长的玻璃体内滞留时间和较快的系统性清除速度。该药物结合、阻断 IL-6 信号的活性是托珠单抗的 1000 倍。III 期 MEERKAT 研究显示，在 UME 患者中，治疗第 16 周，伏米奇拜单抗（1mg，每 4 周 1 次）组实现最佳矫正视力（BCVA）评分较基线至少改善 15 个字母的患者比例显著高于安慰剂组（+36.9%， $P<0.0001$ ）。

➤ 英矽智能帕金森病口服 1 类新药 ISM8969/HT-001 在华获批临床

8 月 3 日，英矽智能宣布，其与衡泰生物共同开发的创新口服 NLRP3 抑制剂 ISM8969/HT-001 已获得中国国家药品监督管理局（NMPA）临床试验批准，拟用于帕金森病治疗。据公开资料，ISM8969/HT-001 是一款口服、可穿透血脑屏障的小分子 NLRP3 炎症小体抑制剂，其分子结构通过英矽智能自主研发的生成式化学引擎 Chemistry42 发现并优化。通过抑制 NLRP3，ISM8969/HT-001 旨在调节病理性炎症，从而帮助神经退行性疾病患者维持神经元存活和功能。

➤ 复星医药子公司复方聚乙二醇（3350）电解质散在华获批上市

8 月 3 日，复星医药公告，控股子公司苏州二叶制药的复方聚乙二醇（3350）电解质散（规格：6.9g/袋）获 NMPA 批准注册，注册分类为化学药品 3 类，适应症为用于治疗 1 岁至 11 岁儿童慢性便秘及 5 岁至 11 岁儿童粪便嵌塞。公告显示，截至 2026 年 6 月，该药品累计研发投入约 262 万元。儿科便秘治疗领域长期缺乏专用规格产品，该药获批填补了低龄儿童便秘规范治疗的一项空白。

➤ 诺华放射性配体疗法再获 FDA 批准

8 月 3 日，诺华（Novartis）宣布，美国 FDA 已批准 Pluvicto（lutetium Lu 177 vipivotide tetraxetan）联合雄激素受体通路抑制剂（ARPI），用于治疗前列腺特异性膜抗原（PSMA）阳性的转移性雄激素通路调节初治或敏感型（mAPMN/S）前列腺癌患者，该疾病通常被称为转移性激素敏感性前列腺癌（mHSPC）。此次批准基于 3 期 PSMAAddition 试验的结果。该试验显示，与单独接受标准治疗（SoC）相比，Pluvicto 联合标准治疗可将疾病进展或死亡风险降低 28%（ $HR=0.72$ ；95%CI: 0.58~0.90）。在随后更新的分析中，Pluvicto 联合治疗进一步将疾病进展或死亡风险降低 33%（ $HR=0.67$ ；95%CI: 0.55~0.82）。同时，总生存期（OS）也呈现有利于 Pluvicto 联合标准治疗的趋势（ $HR=0.80$ ；95%CI: 0.63~1.01）。

➤ 礼来 KRAS G12C 抑制剂 Olomorasib 获 FDA 突破性疗法认定

8 月 3 日，礼来宣布其口服 KRAS G12C 抑制剂 Olomorasib (LY3537982) 获得美国 FDA 突破性疗法认定，用于既往接受过至少一种系统治疗且经 FDA 核准检测确定携带 KRAS G12C 突变的成年晚期胰腺癌患者。这是该药物获得的第二项突破性疗法认定。Olomorasib 是礼来开发的一款在研下一代 KRAS G12C 蛋白抑制剂。此次突破性疗法认定主要基于 LOXO-RAS-20001 研究 (NCT04956640) 的数据。研究结果显示，Olomorasib 在既往接受过至少一种系统治疗的 KRAS G12C 突变晚期胰腺癌患者中展现出不错的初步结果，在临床意义的终点上可能较现有已获批疗法有实质性改善。

➤ 石药集团/康宁杰瑞安尼妥单抗注射液新适应症在华申报上市

8 月 4 日，CDE 官网显示，石药集团/康宁杰瑞安尼妥单抗注射液新适应症上市申请获得受理，受理号为 CXSS2600114。值得关注的是，就在上个月，安尼妥单抗有 2 项新适应症被纳入了优先审评：1) 联合多西他赛（白蛋白结合型）一线治疗不可切除或转移性 HER2 阳性成人乳腺癌；2) 联合多西他赛（白蛋白结合型）±卡铂新辅助治疗早期或局晚期 HER2 阳性成人乳腺癌。此前，安尼妥单抗已于 2023 年 11 月 4 日被 CDE 授予突破性治疗认定，并于 2026 年 5 月通过优先审评程序获得 NMPA 批准上市，联合化疗适用于治疗既往至少接受过一种含曲妥珠单抗治疗方案的局部晚期或转移性 HER2 阳性成人胃或胃食管结合部腺癌患者，成为首个获批的国产 HER2 双抗。

➤ 武田公司公布 Orzeyful 在美获批上市

8 月 5 日，美国 FDA 宣布，批准武田 (Takeda) 开发的 Orzeyful (oveporexton) 片剂，用于治疗成人 1 型发作性睡病。FDA 新闻稿指出，Orzeyful 是首款通过直接靶向导致该疾病的食欲素信号缺失而发挥作用的药物。Orzeyful 的有效性和安全性在两项随机、双盲、安慰剂对照的 12 周研究中进行了评估，共纳入 273 名 1 型发作性睡病成人患者。在两项研究中，与接受安慰剂的患者相比，服用 Orzeyful (2mg) 的患者日间保持清醒的能力均有所改善。患者报告的日间嗜睡也显著减轻，猝倒发作次数显著减少，并且发作性睡病的整体症状获得具有临床意义的改善，包括睡眠瘫痪、幻觉和夜间睡眠中断。

➤ 莫德纳公司季节性流感 mRNA 疫苗 mFLUSIVA 在美获批上市

8 月 5 日，莫德纳公司 (NASDAQ: MRNA) 宣布，其季节性流感 mRNA 疫苗 mFLUSIVA (mRNA-1010) 正式获得美国食品药品监督管理局 (FDA) 批准，适用于 50 岁及以上成年人。这是全球首款获批上市的 mRNA 流感疫苗，也是莫德纳第四款 FDA 获批产品、全球第五款商业化产品，标志着 mRNA 技术正式从应急疫苗拓展至常规呼吸道疫苗赛道。本次获批拥有充分的临床研究支持。其中 50-64 岁人群的获批依据为一项覆盖 11 个国家、纳入 40805 名受试者的随机、观察者盲、阳性对照 III 期临床试验，研究以标准剂量灭活流感疫苗为对照，评估了 mFLUSIVA 对经 RT-PCR 确认的流感样疾病的相对疫苗效力，同时验证了产品的安全性与反应原性。

➤ 石药创新 SYS6037 注射液在美获批临床试验

8 月 10 日，石药创新公告，控股子公司巨石生物与中科院微生物所合作开发的 SYS6037 注射液（猴痘 mRNA 疫苗）获美国 FDA IND 批准，可开展用于预防猴痘的临床试验。SYS6037 为单条 mRNA 链编码多抗原的猴痘疫苗，技术路线简洁有利于质控和降本。临床前研究显示其免疫原性和保护效力优于传统灭活疫苗，并对多种正痘病毒抗原表现广谱交叉反应。

➤ 齐鲁制药阿氟色替在华申报上市

8 月 11 日，CDE 官网显示，齐鲁制药递交了阿氟色替 (afuresertib, LAE002) 的上市申请。根据临床

试验进展,推测适应症为联合氟维司群治疗既往经内分泌治疗后出现疾病进展、伴 PIK3CA/AKT1/PTEN 改变的局部晚期或转移性 HR+/HER2-乳腺癌。目前全球仅有一款 AKT 抑制剂获批上市,该药物是首个申报上市的国产 AKT 抑制剂。Afuresertib 是来凯医药从诺华手中收购而来的新一代小分子泛 AKT 激酶强效抑制剂,其可抑制所有 3 种 AKT 亚型 (AKT1、AKT2 及 AKT3)。是全球仅有的两种处于或完成关键临床开发阶段的抗癌 AKT 抑制剂之一。2025 年 11 月,来凯医药与齐鲁制药签订独家许可协议,授予后者在中国进行 Afuresertib 的研究、开发及商业化的独家许可。来凯医药计划在中国以外的地区积极寻求与全球伙伴的合作。

➤ EIT Pharma 的 lonafarnib 在美申报上市获受理

8 月 11 日,EIT Pharma 宣布,美国 FDA 已受理 lonafarnib 用于治疗慢性丁型肝炎 (CHD) 的新药申请 (NDA)。目前,尚无获美国 FDA 批准用于治疗慢性丁型肝炎的口服疗法。Lonafarnib 是一款在研、潜在“first-in-class”的口服疗法,通过靶向 HDV 生命周期中的关键环节发挥作用。此次 NDA 主要基于 3 期 D-LIVR 研究数据,同时还包括 1/2 期临床数据、非临床数据及生产制造信息。D-LIVR 是一项全球性、随机、安慰剂对照、3 期研究,共纳入来自 21 个国家与地区 400 余例慢性丁型肝炎患者,对基于 lonafarnib 的治疗方案进行了为期 48 周的评估。

➤ 万泰生物九价人乳头瘤病毒疫苗 (大肠埃希菌) 在泰获批上市

8 月 11 日,万泰生物公告,全资子公司厦门万泰沧海自主研发的九价人乳头瘤病毒疫苗 (大肠埃希菌) 获得泰国食品药品监督管理局批准上市,系该产品取得的首个境外上市许可。该疫苗已于 2025 年获国家药监局批准,为我国首款、全球第二款九价 HPV 疫苗,适用于 9-45 岁女性。继国产二价 HPV 在东南亚 (摩洛哥、泰国等) 铺开后,九价品种的出海标志着万泰“以价换量+本土化合作”的疫苗出海模式进入高价值品种阶段。

➤ 石药集团 CAR-T 疗法 SYS6042 在华获批临床

8 月 11 日,石药集团发布公告,靶向 CD19/BCMA 的体内 CAR-T 疗法 SYS6042 获得系统性红斑狼疮的临床许可,这也是全球首款获批开展 SLE 临床试验的 LNP-mRNA CD19/BCMA CAR-T 产品,也是国产首款进入注册临床阶段的体内 CAR-T。相比于自体 CAR-T,体内 CAR-T 表现出安全性好、成本低的系统性优势,吸引了众多 MNC 纷纷下场。国内多家企业的体内 CAR-T 已经进入 IIT 阶段,石药集团率先推进到注册临床阶段。

➤ 天境生物 TJ101 注射液在华申报上市

8 月 12 日,CDE 官网显示,天境生物申报的 1 类新药 TJ101 注射液上市申请获受理,用于治疗儿童生长激素缺乏症。依坦生长激素 α (研发代号: TJ101) 是国内申报阶段和已上市产品中首款且唯一一款融合蛋白长效重组人生长激素。该产品采用创新的 hyFc® 融合蛋白技术,将人生长激素与特殊设计的人免疫球蛋白相结合,显著提升了药物的稳定性和半衰期,实现了每周一次给药的突破性治疗方案。2021 年 11 月,天境生物与济川药业就依坦生长激素 α 达成产品开发、生产及商业化战略合作。

➤ Belite Bio 公布 tinlarebant 在美获优先评审资格

8 月 12 日,Belite Bio 宣布,美国 FDA 已受理 tinlarebant 用于治疗 1 型 Stargardt 病 (STGD1) 的新药申请 (NDA),并授予其优先审评资格,PDUFA 目标日期定为 2027 年 2 月 12 日。此次申报主要基于 3 期 DRAGON 试验结果。该研究评估了 tinlarebant 治疗 STGD1 的效果。结果显示,与安慰剂相比,tinlarebant 使萎缩性视网膜病变的生长速率降低 35.7%,达到统计学显著性和临床意义;病变进展以眼底自

发荧光成像测得的明确降低自发荧光 (DDAF) 为指标进行评估。临床试验中, tinlarebant 总体耐受性良好, 其不良反应与作用机制一致。根据新闻稿, 若获得批准, tinlarebant 有望成为首款获 FDA 批准用于治疗 STGD1 的药物。

➤ 拜耳阿柏西普眼内注射溶液在华申报新适应症

8 月 13 日, CDE 网站显示, 拜耳在国内递交了阿柏西普眼内注射溶液的新适应症上市申请。根据拜耳半年报资料, 此次申请的规格为 8mg, 适应症为视网膜静脉阻塞 (RVO)。在针对 RVO 的全球 III 期 QUASAR 研究中, 治疗第 48 周, 阿柏西普 8mg 组的最佳矫正视力 (BCVA) 评分改善效果非劣效于阿柏西普 2mg 组 (+19.1 vs +17.8 个字母, $P < 0.0001$)。阿柏西普是一种 VEGFR-Fc 融合蛋白, 由再生元和拜耳联合开发。再生元拥有阿柏西普 2mg (Eylea) 和阿柏西普 8mg (EyleaHD) 在美国市场的独家权利, 而拜耳则拥有阿柏西普 2mg (Eylea) 和阿柏西普 8mg (EyleaHD) 在美国以外市场的独家商业化权利, 双方在美国以外的市场平分销售利润。

➤ 西比曼的 C-CAR039 在美获批临床

8 月 17 日, 西比曼生物宣布, 其靶向 CD20/CD19 的双特异性 CAR-T 疗法 C-CAR039 (亦称普龙基奥仑赛) 用于治疗复发或难治性 (r/r) 大 B 细胞淋巴瘤 (LBCL) 的 IND 申请已获美国 FDA 许可。2026 年 7 月, 西比曼重新获得了 C-CAR039 的全部开发、监管、生产、商业化、对外许可及其他合作权益。目前, 公司正与 FDA 沟通确定针对既往接受过 CAR-T 疗法治疗的三线或以上 LBCL 患者以及既往未接受过 CAR-T 疗法治疗的二线 LBCL 患者的临床开发方案。

2026 年 3 月于欧洲血液与骨髓移植学会 (EBMT) 会议上公布了该疗法的积极长期临床数据。在中国开展的早期临床试验中, 48 例复发或难治性 B 细胞非霍奇金淋巴瘤 (B-NHL) 患者的结果显示, 该疗法具有良好的安全性, 并实现了深度且持久的缓解, 总缓解率 (ORR) 为 91.5%, 完全缓解 (CR) 率为 85.1%, 中位随访时间为 53.9 个月, 中位无进展生存期 (PFS) 为 60.1 个月。C-CAR039 中国关键性 2 期临床试验仍在进行中, 针对既往未接受过 CAR-T 疗法治疗的复发或难治性 LBCL 患者。

➤ 凡恩世生物的 spevatamig 在美获快速通道资格

8 月 17 日, 凡恩世生物 (Phanes Therapeutics) 宣布, 美国 FDA 已授予其 spevatamig (PT886) 用于治疗晚期和转移性胆道癌 (BTC) 的快速通道资格。此前, spevatamig 已于 2024 年获得 FDA 授予治疗转移性 claudin 18.2 阳性胰腺腺癌的快速通道资格, 并于 2022 年获得治疗转移性胰腺癌的孤儿药资格。近期, 凡恩世进一步扩大了与默沙东 (MSD) 的临床试验合作, 以评估 spevatamig 联合帕博利珠单抗在一线胆道癌中的联合用药。Spevatamig 为靶向 claudin 18.2 和 CD47 的天然 IgG 结构双特异性抗体, 其是一种先天免疫增强剂 (innate immunity enhancer, I2E), 属于新兴的肿瘤免疫 (IO) 药物类别。I2E 旨在激活巨噬细胞和树突状细胞, 使其识别并杀伤癌细胞, 从而提供一种与免疫检查点抑制剂互补的机制, 以充分利用自身免疫系统攻击肿瘤, 特别是针对那些对免疫检查点抑制剂响应率较低的“冷肿瘤”。

➤ Ultragenyx Pharmaceutical 的 Genglycos 在美加速批准

8 月 19 日, 美国 FDA 加速批准 Ultragenyx Pharmaceutical 旗下基因疗法 Genglycos (pariglasgene breccaparovvec), 作为营养管理的辅助治疗, 用于减少 8 岁及以上 Ia 型糖原贮积病 (GSDIa) 成人及儿童患者的每日玉米淀粉摄入量。GSDIa 是一种罕见的遗传性疾病, 由葡萄糖-6-磷酸酶 (G6Pase) 缺乏所致, 这种酶缺乏会导致机体无法正常将储存的糖原分解为葡萄糖。根据 FDA 新闻稿, Genglycos 是首款获批用于治疗该疾病的疗法。Genglycos 是一款基于 AAV8 载体的一次性基因疗法, 旨在将具有功能的 G6PC 基

因递送至肝脏，以恢复患者缺乏的酶，使机体能够释放储存的葡萄糖，并帮助患者在空腹状态下维持稳定的血糖水平。Genglycos 的疗效在一项随机、双盲、安慰剂对照研究中进行了评估，研究纳入 GSDIa 患者，并在给药后随访 48 周。与安慰剂组相比，Genglycos 治疗组患者每日玉米淀粉摄入量较基线平均减少 31%，且差异具有统计学意义，达到研究的主要终点。

➤ 再生元 Pasatru 在美获批上市

8 月 19 日，再生元（Regeneron Pharmaceuticals）宣布，美国 FDA 已批准 Pasatru（garetosmab），用于减少成人进行性骨化性纤维发育不良（FOP）患者新发异位骨化（HO）病灶的形成以及经临床医生评估的疾病发作。Pasatru 是第二款获 FDA 批准的 FOP 治疗药物。根据新闻稿，Pasatru 是首个在安慰剂对照试验中显示可减少成人 FOP 患者新发 HO 病灶和经临床医生评估的疾病发作、并获得 FDA 批准的疗法。Pasatru 是一款源自 VelocImmune 技术平台的全人源单克隆抗体，可阻断激活素 A（Activin A）。此次获批基于在成人 FOP 患者中开展的 3 期 OPTIMA 试验的疗效和安全性数据。在第 56 周时，Pasatru 10 mg/kg 剂量组（n=23）和 3 mg/kg 剂量组（n=19）均达到主要终点，与安慰剂组（n=21）相比，在减少新发 HO 病灶总数方面均显示出积极疗效结果。

六



全球医药企业热门 BD 交易事件

时间	授权方	被授权方	交易总金额	交易内容
8 月 3 日	剂泰科技	恒瑞医药	未披露	剂泰科技自主研发的 AiTEM 人工智能制剂创新平台将在恒瑞医药进行本地化部署, 加速药物制剂配方开发效率。AiTEM 以剂泰科技自研 AI 纳米递送平台 NanoForge 提供技术引擎, 通过专有算法进行药物制剂设计与优化。平台通过量子化学和分子动力学模拟, 预测药物与辅料间的相互作用, 生成各种剂型的优化方案, 以提高药物溶解度、渗透性和生物利用度, 实现理想药代动力学特征。
8 月 4 日	康宁杰瑞	Pathos AI	20.93 亿美元	康宁杰瑞授予 Pathos 在全球 (不包括中国内地、香港、澳门及台湾) 研究、开发、制造及商业化 JSKN016 的独家许可, 许可协议项下的相关开发与商业化费用由 Pathos 自行承担。
8 月 10 日	Actio Biosciences	Jazz Pharmaceuticals	13 亿美元	双方已签署最终协议, Jazz 将以 8.2 亿美元首付款收购 Actio Biosciences, 并可能根据后续里程碑再支付最高 5 亿美元的款项。Actio Biosciences 的核心临床资产为 ABS-1230, 这是一款新型、潜在 “first-in-class” 的小分子疗法, 可抑制 KCNT1 离子通道, 拟用于治疗 KCNT1+癫痫。
8 月 12 日	翰宇药业	三生曼迪	4.5 亿元	双方就司美格鲁肽注射液 (血糖控制适应症) 在中国区域 (中国大陆、香港、澳门, 不含台湾) 的开发、注册、生产及商业化达成合作。
8 月 18 日	田边制药	利奥制药	4 亿美元	利奥制药 (LEO Pharma) 宣布已达成协议, 将从日本田边制药 (Tanabe Pharma Corporation) 收购其在研的口服、每日一次的小分子黑素皮质素 1 受体 (MC1R) 激动剂 dersimelagon 的全球权益。

➤ 恒瑞医药达成 AI 制药合作

8 月 3 日, 剂泰科技发布公告, 其自主研发的 AiTEM 人工智能制剂创新平台将在恒瑞医药进行本地化部署。AiTEM 以剂泰科技自研 AI 纳米递送平台 NanoForge 提供技术引擎, 通过专有算法进行药物制剂

设计与优化。平台通过量子化学和分子动力学模拟，预测药物与辅料间的相互作用，生成各种剂型的优化方案，以提高药物溶解度、渗透性和生物利用度，实现理想药代动力学特征。

在中国首个完成 III 期临床的 AI 赋能制剂新药 MTS-004 项目中，AiTEM 承担了剂型开发的建模与预测分析，将临床前制剂优化周期从行业平均的 1-2 年缩短至 3 个月内完成。MTS-004 从立项至完成 III 期临床试验仅耗时 38 个月。这并不是恒瑞第一次在 AI 制药领域达成合作。早在 2021 年 12 月，恒瑞医药就与法国 Iktos 签署了 AI 新药研发平台战略合作协议，基于 AI 的从头药物设计软件 Makya™ 来加速小分子药物的发现和先导化合物的优化

➤ 超 20 亿美元，康宁杰瑞 FIC 新药授权出海

8 月 4 日，康宁杰瑞宣布其全资子公司江苏康宁杰瑞与 Pathos AI 就康宁杰瑞自主研发的同类首创 TROP2/HER3 双特异性 ADC JSKN016 达成授权许可协议。根据许可协议，康宁杰瑞授予 Pathos 在全球（不包括中国内地、香港、澳门及台湾）研究、开发、制造及商业化 JSKN016 的独家许可，许可协议项下的相关开发与商业化费用由 Pathos 自行承担。根据协议条款，康宁杰瑞有权收取不可退还首付款 1.25 亿美元及基于若干开发及商业化进展的里程碑付款，总额最高共计 20.93 亿美元，以及按许可地区内年度净销售总额的高个位数至低双位数百分比特许权使用费。作为本次授权合作的一部分，康宁杰瑞获得 Pathos 授予的一份认股权证，有权认购 Pathos 的优先股股份，认购总价为 6250 万美元（可根据整体交易条款予以调整）。

➤ Jazz 囊获潜在“first-in-class”小分子疗法

8 月 10 日，Jazz Pharmaceuticals 与 Actio Biosciences 宣布，双方已签署最终协议，Jazz 将以 8.2 亿美元首付款收购 Actio Biosciences，并可能根据后续里程碑再支付最高 5 亿美元的款项。Actio Biosciences 的核心临床资产为 ABS-1230，这是一款新型、潜在“first-in-class”的小分子疗法，可抑制 KCNT1 离子通道，拟用于治疗 KCNT1+癫痫。KCNT1+癫痫是一种罕见的遗传性发育性癫痫性脑病（DEE），对现有抗癫痫药物高度耐药。目前，美国 FDA 尚未批准针对 KCNT1+癫痫的治疗药物。目前正在进行的 1b/2a 期 KYRON 试验被设计为注册性研究，以支持未来向美国 FDA 提交新药申请。ABS-1230 已获得 FDA 快速通道资格、罕见儿科疾病资格和孤儿药资格。

➤ 三生制药引进翰宇药业 GLP-1

8 月 12 日，翰宇药业宣布与三生制药旗下全资子公司三生曼迪就司美格鲁肽注射液（HY310/WS2403）达成新一项合作协议。双方就司美格鲁肽注射液（血糖控制适应症）在中国区域（中国大陆、香港、澳门，不含台湾）的开发、注册、生产及商业化达成合作。三生曼迪需向翰宇药业支付：1）人民币 1200 万元的首付款；2）血糖控制适应症获批后，人民币 1800 万元的注册里程碑付款；3）首次商业批供货经三生曼迪验收合格，人民币 750 万元的商业化里程碑付款；4）合并计算司美格鲁肽注射液（血糖控制和减重适应症）的年度净销售额，最高人民币 1.45 亿元的销售里程碑付款；5）年度净销售额以 5 亿为线，在此基础上计算毛利，支付一定比例销售提成。

➤ 利奥制药引进一款罕见病新药

8 月 18 日，利奥制药（LEO Pharma）宣布已达成协议，将从日本田边制药（Tanabe Pharma Corporation）收购其在研的口服、每日一次的小分子黑素皮质素 1 受体（MC1R）激动剂 dersimelagon 的全球权益。该药物针对红细胞生成性原卟啉症（EPP）和 X 连锁原卟啉症（XLP）进行开发，这两种疾病是罕见且严重的终身遗传性疾病。根据协议条款，利奥制药将向田边制药支付高达 4.35 亿美元的首付款和近期里程碑付款，以及潜在的下游里程碑付款和基于净销售额的阶梯特许权使用费。

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.