

上海市

【主管单位】上海市科学技术委员会 【编印单位】上海市生物医药科技发展中心
SHANGHAI BIOMEDICINE JOURNAL

生物医药简讯

2022年

02

总第34期

维昇药业：暂时连接技术 加速破解软骨发育不全成药难题

【本期主要内容】

科济药业在美国的CAR-T工厂正式启动运营

箕星药业aficamten获突破性治疗药物认定

恒翼生物引进的溶瘤病毒产品IND获CDE受理

CEPI泽润生物和沃森生物合作开发广谱变异株新冠疫苗

上海市连续性内部资料
准印证(K)0867号

内部资料 免费交流



内部资料，免费交流

《上海市生物医药简讯》
上海市连续性内部资料准印证
(K)0867号

【主管单位】
上海市科学技术委员会

【编印单位】
上海市生物医药科技发展中心

【出版日期】
2022年3月
总第34期

中心动态 Institution Information

- 勇于担当作为 共画生药中心美好蓝图 4
- 上海市生物医药投融资发展联盟第三期项目路演顺利召开 5

新视点 New Perspective

- 2022中国罕见病行业趋势观察报告 7
- 维异药业：暂时连接技术 加速破解软骨发育不全成药难题 10

上海资讯 Shanghai News

- 科济药业在美国的CAR-T工厂正式启动运营 15
- 恒翼生物引进的溶瘤病毒产品IND获CDE受理 16
- 箕星药业aficamten获突破性治疗药物认定 17
- CEPI泽润生物和沃森生物合作开发广谱变异株新冠疫苗 17

政策法规 Current Regulations

- 《“十四五”医药工业发展规划》公布 18
- 《新型冠状病毒肺炎抗病毒新药临床试验技术指导原则（试行）》发布 19

科技前沿 Cutting-edge Technology

- 全球首例干细胞疗法成功治愈艾滋病 20
- 我国学者首次实现人类胚胎线粒体基因编辑 20

业界动态 Industry Events

- 广西出台中医药壮瑶医药振兴发展三年攻坚行动实施方案 21
- 血霖生物完成1亿元pre-A轮融资 22

【编辑部地址】上海浦东新区张江高科技园区李时珍路288号（201203）

【电话】021-50802595

【传真】021-50801966

【网站】www.biomed.org.cn

【电子邮箱】shanghaiomed@126.com

【印刷单位】上海界龙现代印刷纸品有限公司

【印数】1000册

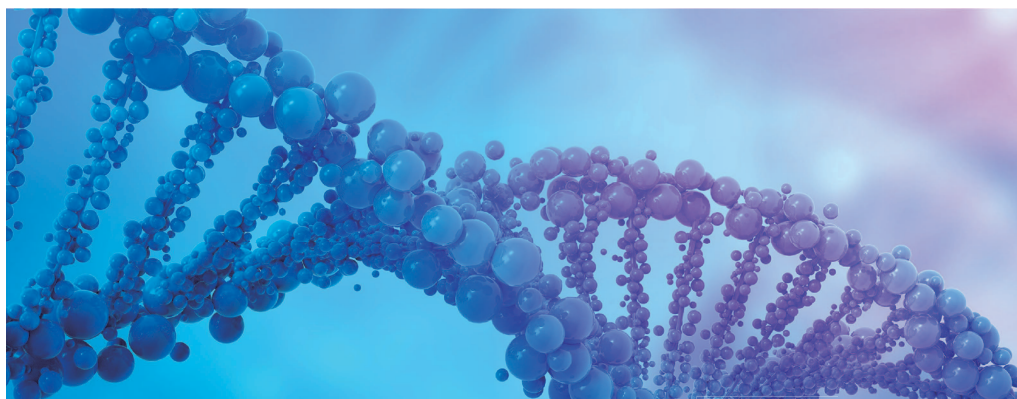
【发送对象】本行业、本系统、本单位和隶属指导关系的单位

2月28日是国际罕见病日。据估计,全球约有7000多种罕见病,超过3亿人饱受此困扰,中国罕见病患者约有2000万人,但仅有不到5%存在有效治疗方法,大多数罕见病还没有有效的治疗方法。

波士顿咨询(BCG)的研究称,2030年全球孤儿药市场规模预计达到1940亿美元。而中国,若以占全球市场份额5%~7%来估算的话,将形成600亿~900亿元的市场。

近年来,随着我国经济的发展和社会的进步,对罕见病研究的逐步深入和罕见病相关数据的不断积累,国家在罕见病科研、诊治、药物准入及医疗保障方面都相继出台多个政策法规。自2018年11月起,CDE先后发布了三批临床急需境外新药名单,纳入名单的药品,能够通过国家药监局(NMPA)优先审批程序并快速上市。截至目前,其中26个罕见病药物已获批上市。同时,罕见病在诊断、用药和支付保障方面已得到不断的改善。

本期的“新视点”我们聚焦《2022中国罕见病行业趋势观察报告》,并以维昇药业在罕见病药物的技术研发为例,透析罕见病市场的生态链。随着中国药品审评审批制度的逐步完善,罕见病市场规模潜力巨大,借着这股“春风”,一批创新制药企业对于罕见病药物与技术的发展正在积极投入,这对行业的创新发展起到了推波助澜的作用。



请使用微信“扫一扫”关注
上海市生物医药科技发展中心
微信公众号了解更多“药事快讯”





勇于担当作为 共画生药中心美好蓝图 ——生药中心在党建引领下谋划新局



2022年2月9日，上海市生物医药科技发展中心党总支举办专题党课报告会。党总支书记、副主任张文同志作了“勇于担当作为 共画生药中心美好蓝图”的党课报告，主任、党总支副书记李积宗同志主持会议。中心领导班子成员任大伟、徐慧莉及中心和下属企业全体党员、职工等40余人参加了报告会。

张文同志在党课报告中通过分析当前国际国内的形势以及上海发展面临的机遇和挑战，重点从生物医药行业发展和生物医药产业发展“十四五”规划的总体要求出发，结合中心业务特点，就如何立足实际开好局起好步，为全体

职工上了一堂生动的党课。张文同志指出，中心全体同志要弘扬伟大建党精神、攻坚克难精神、团结协作精神和自我革命精神，对外要联动资源，对内要提升内功，对行业要增强影响力。张文同志强调，中心要以习近平新时代中国特色社会主义思想为指导，将党史学习教育成果转化为强大的精神动力，按照市委市政府、市科技两委的决策部署，稳字当头，稳中求进，以特别的担当、特别的作为，奋力绘就“创造新奇迹、展现新气象”的“生药中心蓝图”。

李积宗主任在讲话中强调，全体职工要传承生药中心的优良传统，切实提高政治站位，增强全局意识，统一思想，清作风扶正气，为开新局筑牢思想根基。各部门要围绕中心工作，把好方向，突出重点，勇于担当作为，打破部门壁垒，加强协同，提升工作效率，推进各项重点工作落地见效，为党的二十大召开和生物医药“十四五”规划做出应有的贡献。

根据2月9日党课报告上的讲话精神，2月10日中心召开了“2022年中心工作务虚会”，中心领导班子、各部门负责人围绕如何在党建引领下，建成国内一流、具有国际影响力的生物医药功能型平台，展开了深入地研究探讨。

上海市生物医药投融资发展联盟第三期项目路演顺利召开



上海市生物医药科技发展中心任大伟副主任致辞

2月25日下午，由上海市生物医药科技发展中心、复旦大学张江研究院、上海市生物医药行业协会联合临港南桥科技城举办的“上海市生物医药投融资发展联盟第三期项目路演”在奉贤区金海公路6055号临港南桥科技城顺利召开。本次活动以“生物医药领域的项目技术合作与资源对接”为主题，采用线下和线上同步直播的方式举行，吸引近50名生物医药行业人士的关注与参加。

会上，上海市生物医药科技发展中心任大伟副主任作为主办方代表为本次活动致辞，他表示，希望通过联盟成员及参与活动的非联盟成员针对

项目需求的交流分享，以提升联盟的内在价值；他强调，联盟成立时间尚短，还需要更深厚的积累，目前考虑更多的是项目方的需求和项目的时效性，这方面会继续向市场上走在前列的专业经纪机构学习，也会逐步把项目库建设作为联盟工作的一个重点方向，并逐渐累积赛道细分的经验。他还指出，按照联盟前期对生物医药领域投融资项目不同深度的调研结果，已显示出，生物医药项目的特殊性在于是以人民的健康为最终目标，其在发展过程中需要各种要素的聚集，不同细分领域项目在不同发展阶段有多样性的需求，比如研发与生产场地、注册

审批、临床中心选择、销售渠道、技术团队搭建等，项目需求非常个性化，即便资深的行业专家也认为这个领域的成果转移转化非常有难度。但希望联盟内成员以及其他专业人士为了人民的健康，能够共同知难而行，除了关注资本获益外，还要更多关注行业的远期良性发展。作为市科委承担科技创新职能的直属事业单位以及联盟发起方之一，生药中心会继续探索如何在发展联盟内部聚集不同的项目要素，尽量满足生物医药项目成长和走向市场的需要。

今年，联盟将重点联合生物医药领域的园区、孵化器 etc 场地供应方，注

册、法规、投融资数据库等专业服务方，以及创新创业机构和有意向的加盟成员单位等各方力量和资源，通过“项目路演+走访”来推动生物医药项目投融资资源生态圈的形成。

联盟依然关注肿瘤、遗传病、罕见病等重要应用方向，同时也关注前沿技术、技术平台以及有临床需求项目的成果转化。联盟的目标是通过资源对接来加速项目进展，为生物医药产品能够尽快上市，到达急需的患者手中而努力。

上海漕河泾奉贤科技绿洲建设发展有限公司唐晓樱总经理助理介绍了联盟本期活动场地所在的奉贤区以及“临港南桥科技城”的生物医药产业分布与发展现状。据介绍，生物医药是奉贤区主导产业之一，也是上海唯一可享受临港和张江双重政策叠加的区域，全区生物医药企业 200 多家，产值超亿元企业 39 家，超 10 亿元企业 5 家，涵盖了化学原料药与制剂产品、生物制品、中药、诊断试剂和医疗器械等全品类的药品制造企业，并搭建了传染病免疫诊疗技术协同创新平台、药物非临床安全性评价平台、免疫细胞治疗（基因编辑）技术平台、全球创新生物药研发制药一体化中心以及生物医药产业中试平台等多环节的创新服务平台，并通过组织多项大型生物医药活动来营造产业氛围。“临港南桥科技城”位于上海市首批五大“生物医药产业特色园区”之一的奉贤区东方美谷生命健康核心研发区，重点发展生物医药及保健品、医疗器械和健康医疗服务三大领域，目前已集聚斯丹赛、睿昂基因等细胞治疗、基因治疗和体外诊断等细分领域企业；临港南桥科技城可同时享受“大张江核心政策”、“上海市特色产业园区政策”、“奉贤区政策”和“五大新城政策”多重叠加政策服务，包括其

独有的公租房人才政策等。



上海漕河泾奉贤科技绿洲建设发展有限公司唐晓樱总经理助理介绍区域生物医药发展状况



临港南桥科技城首发区鸟瞰

中国医药工业信息中心盛杨佶咨询总监就“2021 生物医药健康产业发展回顾与未来趋势展望”追溯了 2021 年生物医药和健康产业领域的经济发展指标、热点政策、研发与投资重要方向，并与参会代表探讨了创新药的实践之路。据统计，受疫情影响，2021 年第三季度，医药工业利润总额增速达 70.4%，营收结构出现变化，化学药品制剂制造目前仍拥有最大的营收总额，生物药品制剂制造跃居第二，医疗器械市场持续增长；公立医院仍是药品销售的最大终端，零售药店占比其次，但份额逐年增加，未来终端格局可能会出现模式变化；抗肿瘤、血液、抗感染、消化、心血管、神经系统等药物占据主要市场，抗肿瘤用药增速较快；国产创新生物药的研发获批逐渐多样化，自“十四五”以来进入创新收获期，疫苗、抗体、血液制品逐渐体现其商业化价值。

盛总监认为，2015 年后，中国生物医药创新迎来新拐点，开始冲击 FIC 产品，但经历几年的研发摸索，尚未出

现成功的稳定模式，甚至出现了诸如 License-in 模式如何持续下去的问题，这些问题也促使业内人士质疑过创新的方向，但实际上与欧美日等发达国家的生物医药研发历程相比，国内的创新进展并不慢，遇到问题也有助于使资本市场更加理性地看待生物医药领域的投资，如淘汰同质化 ME-TOO 产品，剂型改变的创新模式也可能契合临床的需求等；另外，随着国家集采范围的扩大和常态化，生物药、中成药、中药配方颗粒和高值耗材或早或晚都会纳入集采范围，未来的市场会是以产品价值和临床价值为导向的市场。后疫情时期，疫苗、检测、特效药仍有很大的需求；精神与心理、慢病、医养结合、防治等健康管理领域仍是未来值得关注的投资领域。



中国医药工业信息中心盛杨佶咨询总监

上海市生物医药投融资发展联盟的第三期路演主要引入微生物创新药开发和发现平台、自闭症康复治疗整体解决方案、技术赋能的便捷型 MRI 及其应用、数字化健康行为改变应用服务平台和多维技术革新柔性机器人在肾结石手术等领域的应用 5 个项目，其范围主要涵盖微生物合成、康复治疗、医疗器械、数字健康与医疗等细分领域，其创新逻辑和思路得到现场投融资界的理解，大家共同探讨了如何将这些项目快速推向医疗健康市场的转化实践之路。



2022 中国罕见病行业趋势观察报告

2021 年底，“一针 70 万”的“天价救命药”诺西生纳注射液进入医保，引起公众对罕见病群体的关注，我们看到了中国政府不放弃每一个用药群体，为患者服务的决心。罕见病是对一类患病率极低、患者总数少的疾病的统称，它通常诊断率较低，难以统计患者的准确数量。参照《中国罕见病定义研究报告 2021》，中国罕见病患者约 2000 万。

在并不罕见的群体背后，罕见病患者面临“诊断难，用药难，保障难”的困境。近年来，一系列利好政策，为罕见病患者打开“希望之门”，药企积极参与罕见病药物的研发与引进，越来越多的罕见病药物在国内上市并纳入医保。罕见病患者和组织主动发声，身份已从过去“弱势群体”逐渐演变成成为医生、药企、政府机构的“合作伙伴”。

目前，罕见病在诊断、用药和支付保障方面已得到不断的改善。

中国罕见病诊疗现状

临床工作中，罕见病通常难以确诊。罕见病涉及血液、骨科、神经、肾脏、呼吸、皮肤等多个学科，病状复杂且病例稀少，相关研究较少，具备罕见病诊断能力的医生欠缺，受诊断技术及医疗资源限制，漏诊和误诊情况普遍。

大多数罕见病需多学科、跨专业的临床专家及医学遗传专家协作才能精准诊断。根据中国罕见病联盟对 20,804 名患者的调查，42% 患者曾被误诊，从第一次看病到确诊所需的平均年限为 0.9 年，如果不包括当年就得到确诊的患者，罕见病患者则平均需 4.26 年才能得到确诊。

基于这种情况，国家层面正以确立罕见病目录为起点，推动罕见病防治工作，发布诊疗指南，为诊疗规范化提供指导。

2018 年 2 月，国家卫健委在全国遴选罕见病诊疗能力较强、诊疗病例较多的 324 家医院组建罕见病诊疗协作网，包括 1 家国家级牵头医院，32 家省级牵头医院，291 家成员医院。这标志着中国罕见病诊疗协作机制的开始，通过对罕见病患者进行相对集中诊疗和双向转诊，以充分发挥优质医疗资源辐射带动作用，也为罕见病患者的就医渠道提供了参考。

自 2019 年起，为搭建全国医师学习罕见病知识的平台，医疗系统已开展多期全国罕见病医师培训班，授课内容围绕临床工作中相关问题，通过鉴别诊断和病例解读，介绍单病种临床诊疗进展，其中既包括比较经典的罕见疾病，如法布雷病、戈谢病、Alport 综合征、强直性肌营养不良等，也包括逐渐被开始关注的病种，如低磷性佝偻病、遗传

性血管性水肿等。

截至 2021 年底，全国罕见病医师培训班已举办三期，通过专家深入浅出的讲解及多年临床经验的传授，不断提高临床医生对罕见病的临床诊疗水平。与此同时，罕见病药物获批数量增长，中国患者用药曙光出现。

自 2018 年 11 月起，CDE 先后发布了三批临床急需境外新药名单，纳入名单的药品，能够通过国家药监局（NMPA）优先审批程序并快速上市。在三批名单共计 81 个药物中，近半数均为罕见病药物。截至目前，其中 26 个罕见病药物已获批上市。

2021 年，美国 FDA 批准上市的 50 个新药中，有 26 个罕见病用药，平均每年获批罕见病药物数量约 30 个左右。为加快罕见病药物上市，我国罕见病政策顶层设计逐渐完善，鼓励创

86 种罕见病 “全球有药”	35 种罕见病 “全球无药”
77 种罕见病 中国有治疗药物	9 种罕见病 “境外有药，境内无药”
43 种罕见病 国内有明确注册适应症药物	87 种治疗药物 已在国内上市
29 种罕见病 医保已覆盖	58 种治疗药物 已纳入国家医保目录
14 种罕见病 全部药物 医保未覆盖	29 种治疗药物 未纳入国家医保目录

注：“全球有药”指在美国、欧盟或日本针对该疾病适应症有药物获批上市。

新、优先审评等支持性政策不断出台，加速更多罕见病药物上市。近 3 年，NMPA 批准的罕见病药物数量逐年攀升，2019 年有 6 个罕见病药物获批上市，到 2021 年已有 11 个罕见病药物获批上市，其中 2 款药物，即用于治疗遗传性血管性水肿的醋酸艾替班特注射液和治疗多发性硬化症的氨吡啶缓释片，上市当年即纳入医保。

中国罕见病药物现状

为了让罕见病患者有特效药物可用，国家不断出台利好政策，促进罕见病领域新药引进，并鼓励自主研发新药，为创新技术的罕见病药物上市提供便利路径。

2020 年 7 月，国家药监局出台《药品注册管理办法》，其中规定对临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药，可申请优先审评审批程序。配合注册管理办法的实施，国家药监局组织制定了《突破性治疗药物审评工作程序（试行）》，鼓励研究和创制新药，加快具有明显临床优势的药品研发进程。

随着中国药品审评审批制度的改革，境外罕见病药物可通过纳入“临床急需”，或经 CDE 评估满足安全有效且无种族差异的要求，而豁免临床试验，

大大缩短了境外罕见病新药在国内的上市时间，这一举措增长了药企引进罕见病新药的积极性，推动保障患者及时用上新药。

在中国目前创新药发展的浪潮中，越来越多国内药企进入罕见病创新药研发领域，通过自主研发与引进境外临床 II-III 期的项目相结合布局产品管线。如专注于罕见病领域的生物医药公司北海康成，拥有针对部分患者人数较多的罕见疾病以及罕见肿瘤适应症的 13 个创新产品管线，其中 3 个产品已上市、4 个产品已经进入临床试验阶段。此外，罕见病药物优先审评审批的优惠政策推动药企从罕见病适应症研发入手，再逐步拓展其它适应症。

同时，为了让更多罕见病患者有药可用，我国出台了一系列支持性政策，通过鼓励创新、加快罕见病药物进口和注册审批流程等，加速更多罕见病药物在国内上市。

为解决“境外有药，境内无药”困境以及国内罕见病无特效治疗药物的问题，我国不断在罕见病药物上市之路给予政策支持。对于境外已上市的药品，能够通过临床急需境外新药名单，纳入优先审评程序，快速进入中国市场，如以色列 TEVA 公司研制氘丁苯那嗪片，

用于治疗亨廷顿有关的舞蹈病及成人迟发性运动障碍，从 2019 年 12 月提交上市申请到 2020 年 5 月获批，再到 2020 年 12 月进入国家医保目录，仅用 1 年时间。

在国家利好的政策推动下，对于境外有药，境内无药或无有效治疗药物，药企可通过直接引进国外产品，或生产仿制药来推动产品早日在国内普及。

此外，国家通过博鳌引进模式设置更加快速的罕见病药物上市通道。国外已上市，但国内未获批上市的罕见病药物可以在海南博鳌先行区使用，这使中国罕见病患者能够更早使用国外新药。博鳌患者用药的真实世界证据也将加速国家药监局对于药物的审评审批，加速其在中国上市，惠及更多罕见病患者。

面对“全球无药”的情况，国家层面也在持续鼓励创新研发，开辟罕见病领域新战场。

在第一批罕见病目录中的 121 种疾病，35 种疾病在全球无治疗药物。在这 35 种“全球无药”的疾病中，有 11 种疾病在全球有在研药物并进入临床阶段，仅有 2 种疾病在中国有药物开展临床试验。为了鼓励药企积极开展罕见病药物研发，提高临床试验效

率和质量，国家药监局发布了《罕见疾病药物临床研发技术指导原则》，相对放宽了临床试验的要求。明确应遵循一般药物的研发规律，同时更应密切结合罕见病自身特点，在确保科学的基础上，采用更为灵活的设计，充分利用有限的患者数据进行罕见病药物的研发。

中国罕见病综合保障体系及展望

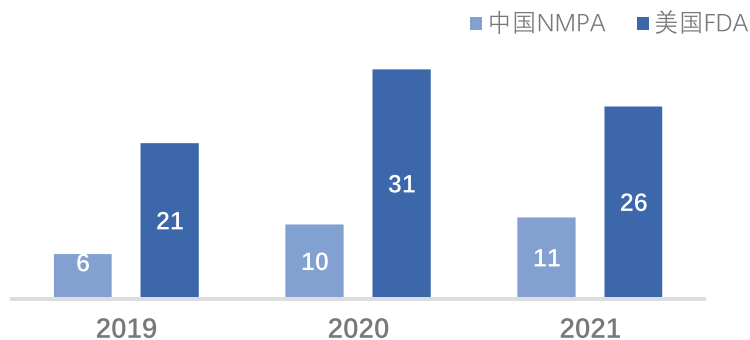
自基本医疗保险制度建立以来，医保部门高度重视罕见病的用药保障工作。国家医保局立足基本医保“保基本”的定位，结合参保人用药需求、医保筹资能力等因素，通过严格的专家评审，逐步将疗效确切、医保基金能够承担的罕见病药物纳入医保支付范围。在此基础上，进一步健全多层次医保体系，积极研究罕见病用药保障措施，着力提升罕见病用药保障水平。基本医保制度定位是保障基本，坚持尽力而为、量力而行。

截至 2021 年国家医保谈判之后，有 29 种罕见病的 58 种药物已纳入国家医保目录中。其中，引人注目地是高值罕见病药诺西那生钠注射液和阿加糖酶 α 注射用浓溶液被纳入医保，体现出国家对于每一个患者生命健康的尊重，在兼顾患者需求和医保基金承担能力的同时扩大普惠性。此外，以基本医疗保障为根本，我国各地形成了多层次医保体系，包括医疗救助、大病谈判、商业健康保险、慈善互助等多个模式。

近年来，国家积极推动落实罕见病药物进入医保目录，实现高值药物进入医保的重大突破，体现出国家对于保障罕见病患者群体用药的决心。

国家已陆续将利鲁唑、左卡尼汀、氘丁苯那嗪等 58 种罕见病药物直接或谈判调入医保药品目录。在 2021 年国家医保目录新增的 74 种药品中，有 7 种罕见病适应症的药品。2021 年

2019 - 2021 中美罕见病药物上市情况对比



注：中国上市仅计入针目录内罕见病的药物，以获批时间统计。

来源：NMPA、FDA

国家医保目录中总共有 58 种罕见病药物，纳入医保的罕见病数量占所有上市的罕见病药物的比例已达到三分之二。更值得一提的是，首次实现了高值罕见病药物纳入医保，其中用于治疗法布雷病的阿加糖酶 α 用浓溶液和治疗脊髓性肌萎缩症的诺西那生钠注射液，这 2 款药物未纳入医保前年治疗费用近百万元，也被称为“天价药”。

科技力量的注入也为罕见病患者开创新药以外的高价值生态圈，满足患者的多样化需求。罕见病患者的需求不仅仅局限于药物治疗，根据病痛挑战基金会超过 20 个病种的调查，100% 的患者表示对诊断、监测、康复、营养、心理支持有需求，且有药、无药的患者之间不存在差异。针对此类现象，全球范围内的科技公司已在罕见病领域开始布局，包括数据公司、诊断公司、可穿戴设备公司、食品公司等。

在政策和市场需求的驱动下，罕见病药物公司受到资本青睐，大型跨国药企纷纷通过并购布局罕见病领域，如默沙东、阿斯利康、武田、赛诺菲和强生等。随着大量研发资本持续流向罕见病领域，临床研发突破为罕见病患者带来更多创新疗法，如基因治

疗、核酸药物等。罕见病仿制药市场的成熟为患者带来更多低价治疗选择。

2016 年至 2020 年，中国仿制药市场规模从 5740 亿元增至 6030 亿元，复合年增长率为 1.2%。到 2025 年，仿制药市场将达到 7351 亿元，2020 年至 2025 年的复合年增长率为 4.0%。仿制药市场的成熟也将推动仿制药在罕见病领域的研发。在国家加强优质仿制药的背景下，市场上将会出现更多“物美价廉”的罕见病药物，减缓患者的用药经济负担，让患者用得起药，并能充足用药。

未来，在中国罕见病综合服务进一步发展的进程中，各方还需共同努力推动“罕见病”和“罕见病药物”相关立法；建立罕见病体系化顶层设计及协同机制；建立罕见病筛查-诊疗-管理-康复的综合支持体系；建立罕见病药物及服务综合价值评价体系；优先纳入罕见病用药，建立国家罕见病专项医保制度，鼓励地方试点；政府引导，探索多元社会力量参与机制；探索医疗保障及服务多元创新付费策略；建立患者参与推动药物研发及准入规范指南；给予特医食品特殊的政策支持；鼓励罕见病医疗创新服务平台发展。

合作及报告咨询请联系编辑部



维昇药业：暂时连接技术 加速破解软骨发育不全成药难题

玻璃人、瓷娃娃、蝴蝶宝贝……这些听上去有点“可爱”的名字，背后却有着罕见的痛，他们分别代表了血友病、成骨不全症、遗传性大疱性表皮松解症罕见病患者。

目前，各国对于罕见病虽没有统一的定义，但《2019 中国罕见病药物可及性报告》显示，全球已知的罕见病已超过 7,000 种，其中 50% 患者是儿童，而仅有不到 10% 的疾病拥有已批准的治疗药物或方案。



其实，罕见病患者在中国并不罕见，据《中国罕见病定义研究报告 2021》统计，我国约有 2,000 万名罕见病患者。

2018 年 5 月，国家卫健委、科技部、工信部、药监局等五部门联合发布了《第一批罕见病目录》，共涉及 121 种疾病，但我国目前只有 77 种罕见病有治疗手段，一部分罕见病仍然面临着“境外有药，境内无药”的窘境。

2019-2021 年期间 FDA 批准了 64 款“孤儿药”，相比之下，国内“孤儿药”的研发一直相对落后。

“药品可及性方面，我们有很多事情需要做。”维昇药业首席

执行官兼董事卢安邦感叹道，不仅是缺乏疗法，部分病种在国内甚至还未有基础的人群数据，临床诊疗指南和专家共识更是有待建立和完善。“我们希望除了做药之外，也努力把这个药所涉及单病种情况给排摸清楚，为我们国家的单病种基础数据做一些贡献，我觉得这是维昇药业和其他公司不太一样的地方。”

从无到有，解决软骨发育不全给药难题

作为中国罕见病联盟的成员机构，维昇药业从成立之初就关注这一弱势群体，并致力于为相关疾病研究贡献力量。

2020 年 9 月维昇药业与中



国罕见病联盟签署了为期5年的战略合作协议，将围绕软骨发育不全（Achondroplasia, ACH）领域开展一系列举措，以改善中国ACH的诊疗现状。

ACH是一种常染色体显性遗传疾病，是最常见的侏儒症，估计出生发病率约为1/10,000到1/30,000，其全表现为非匀称性身材矮小合并骨骼发育畸形，婴幼儿期死亡风险特别高，并且患者在不同年龄阶段都有可能发生多种严重的骨骼并发症和合并症。

C型利钠肽（C-type natriuretic peptide, CNP）被认为是ACH最有效的治疗途径之一，该药通过调节成纤维细胞生长因子受体3（FGFR3）信号，从软骨发育的潜在病理生理学机制上发挥作用，促进软骨内骨的形成，帮助ACH患儿改善生长发育。然而，由于CNP在体内的半衰期非常短暂——仅能持续2-3分钟，这限制了其在临床诊疗方面的应用，因此长期以来没有有效的治疗手段来改善ACH患者的病发。

可喜的是，维昇药业通过其TransCon（Transient Conjugation, 暂时连接）长效技术平台将C型利钠肽半衰期从2-3分钟延长到了120个小时！这是一个数量级的变化，有望通过持续抑制过度激活FGFR3受体通路，恢复软骨细胞的正常分化和增生以及全身骨骼的生长发育。目前，TransCon CNP已相继在美国和欧洲均获得了治疗ACH的孤儿药资格认定。

与其他License-in模式企业不同的是，维昇药业在获得Ascendis在中国大陆及港澳台各地区的独家开发、生产及商业化上市的权益后，还启动加入该产品的全球临床II期，以助力该药物提早获批，让患者有药可治。

2021年4月，维昇药业与中国罕见病联盟正式启动了首个国内软骨发育不全患者的登记研究（ApproaCH），以建立中国ACH患者队列。此外，维昇与中国罕见病联盟的合作还推动了国内首个《软骨发育不全诊断及治疗专家

共识》的制定，填补了ACH诊疗规范的空白，如果TransCon CNP顺利获批上市，将有潜力进一步改善现有的疗法，并有望为相关诊疗指南提供新证据。

技术颠覆，布局内分泌领域未来

TransCon CNP仅是维昇药业在研的三条处于临床后期的管线之一。据维昇药业首席营销官（CCO）陈军博士介绍，公司目前三条在研的内分泌创新药产品管线，均是基于同一个长效技术平台开发。正是基于这一颠覆性技术平台，才研发出三款具有竞争力的候选药物。

这个创新技术平台就是TransCon（Transient Conjugation, 暂时连接）技术。

TransCon药物分子由未修饰的原型药物、保护原型药物的惰性载体、以及将两者暂时结合的连接结构（Linker）三部分组成。当三者结合时，载体会使原型药物暂时失去活性，并保护其不被人体清除。在皮下注射并吸收后，体内的生理条件使原药以预定的速度与惰性保护载体解离并恢复其原有活性。这样

的药物设计使得 TransCon 药物既能达到缓释的效果，又能维持原型药物原有的作用机制不变，从而实现疗效、安全性和方便性的完美组合。

“该技术有效解决了目前长效给药技术的局限性。”陈军解释道，“通俗地讲，这是一个可以让‘由于半衰期过短而不能做成药的活性分子，可以成为药’的技术平台，也是维昇药业的‘王牌’。”它使维昇药业在内分泌领域筑起自己的核心堡垒，甚至后排也暂时看不到追兵。

因为该项技术开发的药物优势明显。一方面，由于独立于酶活性和组织条件，原型药物的释放仅由 pH 和温度决定，可根据所需药代动力学特征定制给药剂量与释放时间。另一方面，Linker 水解后所释放的是未经修饰的原型药物，保留了其原有的临床特性与作用机制，这更容易保障药物的疗效和安全性。

这让基于 TransCon 研发的另两款产品也非常值得期待。以甲状旁腺功能减退症（甲旁减，Hypoparathyroidism、HP）为例，这是一种以循环甲状旁腺激素（PTH）缺乏或浓度过低为特征性疾病。但甲旁减出问题却补不了 PTH，因为它半衰期太短，在体内作用时间仅为 2-4 分钟，难以成药。基于 TransCon 平台的缓释技术，维昇成功将 PTH 的半衰期从 2-4 分钟延长到了 60 个小时，能够全天候地为患者提供正常的 PTH 生理浓度，有望为 HP 患者提供理想的激素替代治疗方案。

俗话说金子在哪儿都会发光，TransCon PTH 在美国、欧洲和日本均被认定为治疗 HP 的孤儿药，并已于 2021 年 5 月在中国获准开展 III 期临床试验。

并驾齐驱，拥抱孤儿药商业化蓝海

以 License-in 模式快速构建研发管线的企业很多，但自研还是引进只是获



得产品的第一步，要经得起市场的检验，更重要的是企业的策略与能力。

对于任何一家创新药企而言，要想在市场上取得商业化的成功，产品管线、商业化能力、产能搭建三大要素缺一不可。要站上全球的舞台与跨国药企同台竞技，则必须走“研产销一体化”之路，在某一特定领域建立起自己的核心竞争力。

曾担任数家知名医药、医疗器械巨头——如礼来、诺和诺德、美敦力等高管职位的陈军，不仅久经“商场”，还是一名十足的“技术控”，有着多年的跨国药企研发经历。因此，加盟维昇后，他不仅对产品的核心价值心领神会，更对未来市场的“打法”和预期都比较清晰。

他意识到，维昇药业目前的三款在研产品都从内分泌治疗领域未被满足的临床需求出发，并已处于临床后期，意味着产品即将面临商业化的“大考”。因此，维昇药业采用了多个措施来确保商业化的成功——即生产本地化、疾病教育、药物可及性准备。

实现本土化生产是维昇进行创新药全链条布局、加速管线产品商业化的关键一步，这将帮助企业获得更多成本优势。今年 1 月，维昇药业大中华区研发制造基地项目在苏州正式启动，这不仅

可以保障药品供应的可持续性，也将全球领先的技术带到国内，助力行业技术创新发展。

疾病教育对产品的商业化同样重要。“不论是内分泌疾病还是罕见病，很多患者对疾病本身的认知不足，很可能会错过最佳治疗时机，导致终生不可逆的严重后果，所以我们要做大量的疾病教育。”陈军说道，一端是医生，另一端是患者，消除罕见病认知壁垒，需要从源头抓起，不能只靠医生，就诊与治疗的链条需要被重构，“我们会从这两方面把产品和疾病教育做到位。”在完善患者教育的同时，加强疾病科普的工作。

除此之外，维昇也正在加强与政府机构、领域专家以及其他疾病相关方的合作，希望将 ACH 纳入到第二批罕见病目录，加速 TransCon CNP 上市，让中国 ACH 患者早日有药可用。“ACH 在美国 FDA 和欧盟 EMA 已认证属于罕见病范畴，但尚未被收录在中国《第一批罕见病目录》中。”陈军表示，维昇希望罕见病新药能获得相关部门政策方面的更多支持，提升国内医疗保障水平，减轻普通家庭的负担，让他们有药可治，圆罕见病患者的康复之梦。

本刊根据采访内容整理



赛诺菲抗炎新药在中国获批新适应症

2月24日，中国国家药监局官网最新公示，赛诺菲抗炎新药度普利尤单抗注射液的新适应症上市申请，已正式获得批准。根据中国国家药监局药品审评中心优先审评公示，此次度普利尤单抗在中国获批的新适应症为：用于治疗外用处方药控制不佳或不建议使用外用处方药的、6岁及以上且小于12岁的

儿童和成人中重度特应性皮炎。

公开资料显示，度普利尤单抗是一款可同时抑制白介素-4 (IL-4) 和白介素-13 (IL-13) 的单抗，也是全球首个获得美国FDA及欧盟EMA批准治疗中重度特应性皮炎的靶向生物制剂，由赛诺菲和再生元联合开发。IL-4和IL-13是2型炎症的关键驱动因子，而

2型炎症在特应性皮炎、哮喘等疾病中起着主要作用。作为一款全人单克隆抗体，度普利尤单抗能够通过“双靶点”的创新作用机制，选择性地抑制关键信号通路IL-4和IL-13，阻断2型炎症通路，降低2型炎症的病理性反应，从机制上治疗2型炎症相关疾病。

来源：医药观澜

飞利浦即将在中国市场推出国产化高级分子影像系统

2月24日，飞利浦（中国）投资有限公司宣布今年第二季度将在中国市场推出国产化高级分子影像系统。近年来，在精准诊断领域，飞利浦已经在中国市场实现了超声、CT、MR等部分产品的本土研发和制造，并结合先进的

信息学和智能化系统，聚焦本地客户临床需求，提供整合的本土化解决方案。

高级分子影像系统实现“国产化”，进一步丰富了飞利浦在中国市场的“本土化”产品组合。为了更好地服务中国市场，飞利浦携手本地生态系统，培育

全供应链国产化。飞利浦（中国）投资有限公司同时宣布对赛诺联合医疗科技（北京）有限公司进行战略投资，以巩固双方长期的战略合作关系。飞利浦将与赛诺联合合作，针对中国市场，提供高级分子影像系统。来源：医药健闻

乐普生物成功登陆香港交易所

2月23日，上海生物医药基金投资企业乐普生物科技股份有限公司正式在香港联交所主板挂牌上市，成为今年首个港股18A上市的生物医药企业。乐普生物本次发行价格为每股7.13港元，共发行约1.3亿股，发售所得总集资额约9亿港元。

乐普生物是一家立足中国、面向全球的聚焦于肿瘤治疗领域的创新型生物制药企业。目前，乐普生物拥有由多个肿瘤候选药物及联合疗法组成的产品管线，其中有八种临床阶段候选药物、三种临床前候选药物及三种临床阶段的候选药物的联合疗法。八种临床阶段候

选药物中，有五种属于靶向疗法（ADC药物），三种属于免疫治疗药物（PD-1、PD-L1和溶瘤病毒）。截至最后实际可行日期，乐普生物已启动28项临床试验，其中三项已进入注册性试验阶段及两项正在美国进行。

来源：上海生物医药基金

《上海市市级科技重大专项管理办法》公布

1月28日，经上海市人民政府常务会

议审议通过，上海市发展和改革委员会、

上海市科学技术委员会和上海市财政局

联合下发《上海市市级科技重大专项管理办法》。为深入贯彻上海市委、市政府《关于加快建设具有全球影响力的科技创新中心的意见》，落实《上海市推进科技创新中心建设条例》，科学布局实施上海市市级科技重大专项，特制定本办法。

办法坚持面向世界科技前沿、面向经济主战场、面向国家重大需求、面向人民生命健康，聚焦基础研究和关键核心技术攻关，注重发挥重大科技基础设施和战略科技力量作用，在国家有需求、上海有基础的重点领域，组织实施一批具有重大引领作用、资金投入量大、协

同效应突出、支撑作用明显的市级科技重大专项，与本市其他科技创新和产业发展专项实现错位联动，对国家重大科技任务形成有效补充，为上海进一步提升创新策源功能、加快建设具有全球影响力的科技创新中心提供重要支撑。

来源：上海市发改委

上海药物所攻关新冠奥密克戎变异株刺突蛋白及其与受体和抗病毒抗体的复合物结构并揭示作用机制

2月8日，《科学》在线发表了中国科学院上海药物研究所徐华强和尹万超团队与合作单位共同完成的题为“Structures of the Omicron Spike trimer with ACE2 and an anti-Omicron antibody”的最新成果。该研究解析了新冠病毒奥密克戎变异株刺突蛋白，以

及分别结合其受体 ACE2 和广谱抗新冠抗体 JMB2002 的高分辨冷冻电镜结构，阐述了 Omicron 变异株传播迅速和免疫逃逸的分子机制，并揭示了治疗抗体 JMB2002 全新的作用机制，为广谱抗新冠抗体的设计和研发提供了新思路。

上海药物所尹万超研究员、徐有伟

博士、徐沛雨博士和博士后吴灿荣等为该研究的共同第一作者，徐华强研究员和尹万超研究员等为该研究的共同通讯作者。该工作得到上海市市级科技重大专项、国家自然科学基金委以及国家重大科技专项等的资助。

来源：中科院上海药物所

西门子医疗光子技术 CT 进入创新医疗器械特别审查程序

2月22日，西门子医疗X射线计算机体层摄影设备——NAEOTOM Alpha（光子计数CT）于今日正式获准进入创新医疗器械特别审查程序，即“绿色通道”。这是迄今首个进入创新医疗器械特别审查程序的全身CT产品，从申请递交到创新公示仅用时54

天！《创新医疗器械特别审查程序》由国家药品监督管理局修订，国家药品监督管理局医疗器械技术审评中心审评审批，旨在鼓励医疗器械研发创新，促进医疗器械新技术的推广和应用，推动医疗器械产业高质量发展。自产品获准进

入创新医疗器械特别审查程序“绿色通道”之日起，药品监督管理部门及相关技术机构按照早期介入、专人负责、科学审查的原则，在标准不降低、程序不减少的前提下，对创新医疗器械予以优先办理，进而加快创新医疗器械在中国的上市进程。来源：MedTrend 医趋势

华海药业子公司 PD-L1/TGF-β 双抗获批临床

2月22日，华海药业发布公告表示，其下属子公司上海华奥泰生物药业股份有限公司、华博生物医药技术（上海）有限公司申报的 HB0028 注射液临

床试验申请获得中国国家药监局药品审评中心批准，拟用于晚期实体瘤。根据公告内容，HB0028 为一款靶向 PD-L1/TGF-β 的双特异性抗体。公开资料

显示，华奥泰生物为浙江华海药业的下属子公司，华博生物则为华奥泰生物的子公司。

HB0028 正是一款靶向 PD-L1 和

TGF- β 的双抗产品。根据华海药业公告, HB0028 的抗 PD-L1 部分可通过阻断 PD-L1 与其受体 PD-1 和 CD80 (B7-1) 的结合, 解除 PD-L1/PD-1 信

号通路介导的免疫抑制作用、活化细胞毒 T 淋巴细胞, 抑制肿瘤生长; 同时, HB0028 的抗 TGF- β 部分可与 TGF- β 结合, 解除 TGF- β 介导的对 T 细胞和

自然杀伤细胞的免疫抑制、调节性 T 细胞活化、肿瘤血管生长和上皮细胞向间充质细胞转化等促进肿瘤生长和转移的因素。来源: 医药观澜

和铂医药抗 TSLP 全人源单克隆抗体获批临床试验许可

2月21日, 和铂医药宣布, 其与科伦博泰共同开发的新一代抗 TSLP 全人源单克隆抗体 HBM9378, 获得国家药品监督管理局批准针对中重度哮喘患者的临床试验申请。

HBM9378 是一款由和铂医药双链双轻链平台产生的全人源单克隆抗体。该抗体针对胸腺基质淋巴细胞生成素 (TSLP), 通过阻断该因子和受体的相互作用来抑制 TSLP 介导的信号通

路。TSLP 在 DC 细胞成熟, 在参与 T helper 2 (Th2) 细胞极化以及炎症反应方面起到重要作用, 特别是在过敏性气道炎症导致的哮喘方面。

来源: 和铂医药

博雅辑因与星奕昂生物合作开发新一代免疫细胞疗法

2月9日, 博雅辑因(北京)生物科技有限公司与星奕昂(上海)生物科技有限公司共同宣布, 双方将基于博雅辑因在高通量基因组编辑筛选方面以及星奕昂生物在诱导性多能干细胞和自然杀伤细胞细胞功能和生产工艺方面的技术和资源优势, 研发合作新一代免疫细

胞疗法。博雅辑因是一家专注于基因编辑技术转化、处于临床阶段的全球性生物医药企业, 致力于研发针对难以根治的遗传病和癌症的创新疗法。

星奕昂生物成立于2021年6月, 专注于开发 iPSC-CAR-NK 通用现货型可量化的免疫细胞产品和应用。同年

7月, 完成4千万美元天使轮融资, 由礼来亚洲基金领投, IDG 和夏尔巴资本参投。2021年12月, 落成启用位于外高桥自贸壹号生命科学园的研发生产一体化中心, 满足星奕昂研发管线从研发到商业生产的需求。

来源: 同写意

科济药业在美国的 CAR-T 工厂正式启动运营

2月21日, 科济药业公告, 旗下美国子公司 CARsgen Therapeutics Corporation 在美国北卡罗来纳州的三角研究园区域建设的 GMP 生产工厂 (RTP 生产工厂) 已通过官方检查, 并启动临床生产运营, 这将增强科济药业

端对端的质粒、病毒载体及 CAR-T 细胞生产能力, 也意味着科济药业的全球化迈上了一个新台阶。

据介绍, 此次启动运营的 RTP 生产工厂面积约 3,300 平方米, 拥有最先进的技术装备, 将用于支持科济药业在

北美和欧洲的临床研究及早期商业化, 并为其管线产品的上市及商业化预备充足的产能, 预计每年可为 700 名患者提供服务。

来源: 医麦客

祐森健恒生物医药完成 2 亿元 A 轮融资

2月8日, 祐森健恒生物医药(上海)有限公司宣布, 公司已于近日完成

逾 2 亿元人民币 A 轮融资。本轮融资由深圳分享投资领投, 张江浩珩和盈科

资本跟投, 原有股东继续参与本轮投资。募集资金将用于开展和加快核心在研项

目 UA007 和 UA021 在中国及海外的临床试验开展、多个新靶点的小分子药物研发，以及特异性双抗创新药物的开发。

祐森健恒是一家致力于“first-in-

class”和“best-in-class”药物研发的创新药公司，主要聚焦癌症和自身免疫疾病，瞄准难成药靶点和关键致癌基因，其研发管线包括小分子靶向药物、重组蛋白和单/双抗体药物等。其中，生物

大分子在研新药 UA007 项目已在中国开展一项用于防治化疗引起的腹泻的临床 2 期试验，以及一项用于治疗急性痛风的临床 1 期研究。

来源：医药观澜

海和药物 MET 抑制剂针对非小细胞肺癌拟纳入优先审评

2 月 17 日，中国国家药监局药品审评中心官网公示显示，上海海和药物研究开发股份有限公司申报的 MET 抑制剂谷美替尼片拟被纳入优先审评，拟定适应症为“具有 MET14 外显子跳变的局部晚期或转移性非小细胞肺癌”。此前，该药已被 CDE 纳入突破性治疗

品种。MET 是一种受体酪氨酸激酶，它在肿瘤生长、血管新生和肿瘤转移中均起重要作用。许多类型实体瘤中，MET 都表现出了功能异常的现象。谷美替尼是一款口服强效、高选择性小分子 MET 抑制剂，由海和药物与中国科

学院上海药物所合作研发。临床前研究显示：谷美替尼可强效和特异性靶向抑制 MET 激酶活性，并可以选择性抑制 MET 异常的非小细胞肺癌肿瘤模型的生长。

来源：医药观澜

恒翼生物引进的溶瘤病毒产品 IND 获 CDE 受理

2 月 17 日，国家药监局药品审评中心官网公示，Genelux Corporation 和恒翼生物申报的“Olvi-Vec 注射液”临床试验申请获得受理。Olvi-Vec 为 Genelux Corporation 开发的一种专有的、非致病性溶瘤痘苗病毒，经过改良

以提高其安全性、肿瘤选择性和治疗潜力。病毒介导的肿瘤溶解导致免疫原性细胞死亡，并触发免疫激活和记忆，以进行长期的癌症免疫治疗。

Olvi-Vec 自牛痘病毒 L1VP 菌株中提取，分别将水母荧光酶素和多管水母

绿色荧光蛋白的融合基因、 β -半乳糖苷酶和 β -葡萄糖苷酸酶的表达片段插入 F14.5L、胸苷激酶和血凝素位点。通过对非必要基因的破坏和外源基因表达盒的表达，不仅减弱了载体病毒的毒性，而且增强了其肿瘤特异性靶向性。来源：医麦客

基石药业 RET 抑制剂普拉替尼上市申请在台湾获受理

2 月 17 日，基石药业宣布，选择性 RET 抑制剂普拉替尼用于治疗转染重排基因融合阳性的局部晚期或转移性非小细胞肺癌、RET 突变的晚期或转移性甲状腺髓样癌以及放射性碘难治的 RET 融合阳性的晚期或转移性甲状腺癌的新药上市申请已在中国台湾获受

理。据了解，2021 年 3 月，中国国家药品监督管理局批准同类首创精准治疗药物普拉替尼胶囊的上市申请，用于既往接受过含铂化疗的转染重排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的治疗。2021 年 8 月《柳

叶刀·糖尿病与内分泌学》上发表了 ARROW 研究中全球 RET 变异甲状腺癌患者的试验结果。截至 2020 年 5 月 22 日，普拉替尼在 RET 突变的甲状腺癌患者中显示出强效而持久的抗肿瘤活性。

来源：药通社

箕星药业 aficamten 获突破性治疗药物认定

2月16日，箕星药业科技(上海)有限公司宣布，国家药品监督管理局药品审评中心授予 aficamten 治疗症状性梗阻性肥厚型心肌病的突破性治疗药物认定。Aficamten 由箕星的许可合作伙伴 Cytokinetics 公司研发，是一种用于治疗肥厚型心肌病的潜在新一代心肌肌

球蛋白抑制剂，通过全面的化学优化来改善药物治疗指数和药代动力学特征。

Aficamten 减少每个心动周期中活性肌球蛋白产力横桥的数量，从而抑制与肥厚型心肌病相关的心肌过度收缩。在临床前模型中，Aficamten 通过直接与心肌肌球蛋白在一个独特和选择性的

变构结合位点结合，来降低心肌收缩力，从而阻止肌球蛋白进入收缩状态。

Aficamten 的新药开发项目旨在评估其在 HCM 患者中提高运动能力、缓解疾病症状，以及对心脏结构和功能长期影响的治疗潜力。

来源：医药魔方

渤健 /Sage 突破性口服抑郁新药关键 III 期研究成功

2月16日，渤健生物科技(上海)有限公司和 Sage 公司宣布 zuranolone 治疗重度抑郁障碍患者的 CORAL 研究到达主要终点，显示出对抑郁症状快速的改善作用，在 2 周疗程的第 3 天即观察到了相比安慰剂更明显的疗效。Zuranolone 是新一代的 γ -氨基丁酸

(GABAA) 受体的正向变构调节剂。大脑中的 GABAA 受体和 NMDA 受体分别发挥抑制和刺激大脑神经元产生神经冲动的作用，这两种受体活性之间的失衡是包括抑郁症在内的多种精神疾病的原因。Zuranolone 能够同时调节位于神经突触内和突触外的 GABAA

受体的功能，恢复大脑内 GABAA 受体和 NMDA 受体活性之间的平衡，因此具有治疗包括抑郁症在内的精神疾病的潜力，也在 2018 年 2 月凭借 II 期结果获得了 FDA 授予的用于治疗重度抑郁的突破性疗法认定。

来源：医药魔方

葛睦医疗抗 VEGF/Ang-2 双抗在美国获批临床

2月15日，上海葛睦医疗科技有限公司宣布，美国 FDA 已批准其新型抗 VEGF/Ang-2 双抗 AM712 的临床试验申请。该公司将尽快在美国启动一项 1 期临床试验，以研究候选药在新生血管性年龄相关性黄斑变性患者中的安全性、

耐受性、药代动力学和疗效。公开资料显示，AM712 是一款新型双特异性生物分子，能够同时阻断血管内皮生长因子 (VEGF) 和血管生成素 -2 (Ang-2)，专为眼科治疗而设计。VEGF 和 Ang-2 两条通路通过破坏血管

的稳定性，驱动许多可导致视力丧失的视网膜疾病。在临床前开发中，AM712 已取得较好的效用数据，具备良好眼部药代动力学特性，并具有理想的临床前研究安全数据。

来源：医药观澜

CEPI 泽润生物和沃森生物合作开发广谱变异株新冠疫苗

2月8日，全球卫生非营利组织流行病防范创新联盟 (CEPI)、上海泽润生物科技有限公司及其母公司云南沃森生物技术股份有限公司共同宣布——CEPI 将向泽润生物和沃森生物提供

815 万美元的新一轮资助，用于支持即将在马里开展的包括新冠原型株和广谱变异株疫苗 I/II 期临床试验。这将是新冠病毒广谱变异株疫苗的首项临床试验，该疫苗可有望能保护受试者防御新冠

病毒广谱变异株的侵袭。

迄今，CEPI 对泽润生物新冠候选疫苗的资助累计已达 2510 万美元，用于支持新冠病毒原型株和广谱变异株疫苗的临床前研究、I/II 期临床试验、工

艺优化和放大。在 CEPI 的资助下，泽润生物已获得原型株疫苗 I/II 期临床试验基础免疫阶段数据，展示了良好的安全性和令人鼓舞的免疫原性。

来源：沃森生物

科望医药 CD39 单抗获批临床

2月7日，据国家药监局药品评审中心官网最新公示，科望医药的抗 CD39 单抗 ES002 获批临床，用于治疗晚期实体瘤。研究发现，CD39 在不同的人类肿瘤类型中呈高表达，如肾细胞癌、卵巢癌、肉瘤、乳腺癌、淋巴瘤、膀胱癌、结肠癌和黑色素瘤，且这种肿

瘤高表达也被学术界认为是不良预后和疾病进展的一种标志。

ES002 为科望医药开发的一种具有高亲和力、能高效阻断 CD39 蛋白 ATP 酶活性的抗 CD39 单克隆抗体。通过阻断 CD39 蛋白 ATP 酶活性抑制腺苷的生成，同时维持具有促炎反应的

细胞外 ATP 的水平，从而恢复抗肿瘤微环境。目前，ES002 在动物体内药效实验中展现了很强的抑制肿瘤生长的功能。2021 年 9 月 10 日，ES002 已在美国获得临床批准。

来源：佰傲谷 BioValley

歌礼口服 PD-L1 小分子抑制剂在美获批临床

2月6日，歌礼生物科技有限公司宣布其在研口服 PD-L1 小分子抑制剂 ASC61，获美国 FDA 批准开展用于治疗晚期实体瘤的临床试验。ASC61 是一款强效、高选择性的口服 PD-L1 小分子抑制剂，通过诱导 PD-L1 二聚体

的形成和内吞，从而阻断 PD-1/PD-L1 的相互作用。

ASC61 单药在人源化小鼠模型等多种动物模型中，已表现出显著的抗肿瘤疗效。临床前研究显示，ASC61 在动物模型中有良好的安全性和药代动力

学特征。ASC61 美国 1 期临床试验是一项在晚期实体瘤患者中剂量递增的临床试验。该试验旨在确定晚期实体瘤患者的 2 期临床试验推荐剂量和获得初步疗效数据。首例患者预计将于 2022 年上半年完成给药。

来源：医药观澜



政策法规

《“十四五”医药工业发展规划》公布

2月1日，中国政府网公布国家工信部、发改委、科技部、商务部、卫健委、应急管理部、医保局、药品监督管理局、中医药管理局等九部门联合印发《“十四五”医药工业发展规划》（下称《规划》）。

《规划》指出，医药工业是关系国计民生、经济发展和国家安全的战略性新兴产业，是健康中国建设的重要基

础。“十四五”是我国开启全面建设社会主义现代化国家新征程、向第二个百年奋斗目标进军的第一个五年，也是医药工业向创新驱动转型、实现高质量发展的关键五年，为此制订了上述《规划》。

相较于上一个五年规划，《规划》在很多方面有着根本性变化。如应急管理部、医保局、中医药管理局本次

是新加入联合印发部门；从“坚持质量为先”和“坚持保障供给”到“坚持生命至上”；从“坚持创新驱动”到“坚持创新引领”等。

《规划》指出，“十四五”时期我国医药工业发展机遇大于挑战，仍处于重要战略机遇期，面对新形势新任务，需加快解决制约行业发展的一些突出问题，为此，本次十四五规划

做出了重要的战略引导，包括：提升技术创新能力；完善产业链供应链；完善供应保障机制；提升制造水平；加强产业升级，提升国际竞争力。

医药工业包括化学药制剂、原料药、中药饮片、中成药、生物药品、辅料包材、制药设备、医疗器械、卫生材料等，是关系国计民生、经济发展和国家安全的战略性产业，是健康中国建设的重要基础。

“十四五”时期，医药工业发展的内外部环境面临复杂而深刻的变化，健康中国建设全面推进，卫生健康事业从以治病为中心向以人民健康为中

心转变；以国内大循环为主体、国际国内双循环相互促进的新发展格局加快形成，国内医药市场进入高质量发展阶段；新一轮技术变革和跨界融合加快，大数据与人工智能等深度融入医药工业发展各环节，变革性新药创制技术和创新疗法、新型药物不断出现。新发展阶段对医药工业提出更高要求，医药工业亟须加快质量变革、效率变革、动力变革，为构建新发展格局提供有力支撑。

《规划》还提出了六项具体目标，包括规模效益稳步增长、创新驱动转型成效显著、产业链供应链稳定可控、

供应保障能力持续增强、制造水平系统提升、国际化发展全面提速等。

“十四五”期间全行业研发投入年均增长10%以上；到2025年，创新产品新增销售额占全行业营业收入增量的比重进一步增加。

鼓励加强产学研医技术协作。支持医药创新领军企业加强与国家实验室、国家科研机构、高水平研究型大学等机构的合作，以企业牵头整合集聚创新资源，在重点细分领域布局建设国家制造业创新中心，加强行业关键共性技术攻关。

来源：人民日报

《新型冠状病毒肺炎抗病毒新药临床试验技术指导原则（试行）》发布

2月8日，国家药监局药审中心发布《新型冠状病毒肺炎抗病毒新药临床试验技术指导原则（试行）》。

目的和适用范围。为促进新型冠状病毒肺炎抗病毒药物研发，规范临床试验设计，制定本指导原则。本指导原则适用于抗病毒治疗及预防新型冠状病毒肺炎的化学药物和治疗用生物制品（非特异性免疫球蛋白除外）等。

本指导原则对临床试验方案的设计及需要重点关注的问题进行了讨论，旨在为新型冠状病毒肺炎抗病毒药物的临床试验设计、实施和评价提供一般性的技术指导和参考。由于此类药物的临床实践和临床试验仍处于探索和发展阶段，本指导原则也会随着这些研究的进展而不断修订和完善，现

阶段仅为基于目前认识及疫情控制需要下的考虑。申请人和研究者创新性的设计也可与审评机构进行沟通交流。

本指导原则的使用应遵守我国的相关法律、法规和规章，并与其他相关技术指导原则相互参考使用。本指导原则适用于注册用临床试验。

目前临床上主要为一般支持对症治疗、抗病毒治疗、免疫治疗等。对于重型和危重型病例，在上述治疗的基础上，应用糖皮质激素治疗，积极防治并发症，治疗基础疾病，预防继发感染，及时进行器官功能支持。

临床药理学研究的目的是为未来研究推荐剂量探索范围，包括早期安全性、耐受性、药代动力学和药效学研究等。进入临床药理学研究前，应进行非临床一般药理学、药效学、药

代动力学和安全性研究，获得的研究数据经评估能够支持进入临床研究。

已获批用于其他病毒感染的药物可结合该药对其他病毒的临床前药效结果，结合对新冠病毒的临床前药理学、药效学研究数据和在人体中的药代数据，估算其对新冠病毒的适用剂量。

新化合物的早期临床药理学试验一般以健康志愿者为对象，应首先进行人体安全性、耐受性和药代动力学研究。为尽早获得药效验证抗病毒机制数据，多剂量给药试验也可以在新型冠状病毒感染患者中进行，收集药效学数据。

为了对抗新型冠状病毒的变异，可考虑开发联合应用的抗病毒药物，例如针对病毒不同作用靶点（或结合

位点)的多重抗体组合、不同作用机制的抗病毒药物联合等。原则上应在分别对单个成分治疗进行概念验证后再进行联合治疗的探索,并对联合用药方案间进行药物相互作用的分析,对于特殊品种的特殊情况,鼓励申请

人与审评机构进行沟通交流。

考虑到老年人、儿童、肝肾功能损害人群和免疫受损人群对病毒感染的反应可能不同于健康成人,将药代药效结果外推至这些特殊人群时应慎重,必要时可开展特殊人群的临床药

理学研究;或者在大样本临床试验中进行稀疏药代采样,通过群体药代药效模型分析人群特征、伴随治疗等协变量对药物暴露和治疗结局的影响,确定是否需要调整剂量。

来源:国家药监局



科技前沿

全球首例干细胞疗法成功治愈艾滋病

2月15日,艾滋病治疗迎来了突破性的进展!在美国丹佛举行的第29届逆转录病毒和机会性感染会议上,来自威尔康奈尔医学院的研究团队报告了一个案例:纽约一名感染艾滋病毒(HIV)且患有急性髓系白血病的女性在接受了来自对HIV具有自然抵抗力供体的干细胞移植后,成为迄今为止全球第一位女性和第三位治愈艾滋病的人!

研究人员表示,这是全球首例涉及脐带血干细胞移植的病例,或将使更多患者获得治疗艾滋病的新方法。

在被诊断患上急性髓性白血病时,她已经接受了4年的抗逆转录病毒治疗以控制体内的HIV,并且一直控制得不错,但仍能检测到HIV的存在。

2017年,她成为首批接受脐带血干细胞移植疗法的患者,同时还接受了来自直系亲属(父母、子女或兄弟

姐妹)的部分匹配造血干细胞。

脐带血干细胞移植使她的病情得到了缓解,体内已检测不到HIV。在移植后37个月,她停止了ART药物治疗,并且在彻底停止治疗后的14个月内仍没有检测出感染HIV的迹象。

据估计,73%的HIV携带者正在接受传统的抗逆转录病毒治疗,并已经帮助了一些患者缓解了病情。然而,在极端罕见的情况下,骨髓移植是一种选择,但同时,这也是一种昂贵且具有侵入性的选择,本身就存在重大风险。

此前的两例成功被治愈的艾滋病患者都接受了来自携带阻断HIV感染突变的供体骨髓移植。除了长期缓解艾滋病以外,这种疗法也带来了沉重的代价:柏林病人Brown在战胜HIV12年后于2020年死于癌症;伦敦病人在治愈前遭受了听力丧失并与多种感染作斗

争。

治疗这位女性患者的医生团队表示,她与上述两位艾滋病治愈者有着截然不同的经历,她在接受脐带血干细胞移植手术后的第17天就出院,并且没有出现严重的感染。

科学家们认为,这些患者在接受干细胞治疗后会发展出一种对HIV有抵抗力的免疫系统,实现艾滋病的长期缓解,甚至是治愈。

国际艾滋病协会当选主席Sharon Lewin表示,虽然骨髓干细胞移植并不是治疗大多数艾滋病毒感染者的可行策略,但这份报告证实了治愈的可能性,并进一步加强了使用基因疗法作为治愈艾滋病的可行性策略。总而言之,这三例干细胞移植后治愈病例都有助于我们梳理出更多信息,是治愈HIV感染的关键依据。

来源:上海细胞治疗工程技术研究中心

我国学者首次实现人类胚胎线粒体基因编辑

2022年2月1日,Cell Discovery期刊同期发表了两篇论文,

这两篇论文均表明,胞嘧啶碱基编辑

器 DdCBE 可在人类早期胚胎中实现高效的线粒体碱基编辑。

第一篇论文题为: Human cleaving embryos enable efficient mitochondrial base-editing with DdCBE。通讯作者为上海交通大学医学院附属国际和平妇幼保健院章美玲、李文, 中科院脑科学与智能技术卓越创新中心杨辉。

第二篇论文题为: DdCBE-mediated mitochondrial base editing in human 3PN embryos。通讯作者为: 南京市妇幼保健院许争锋、沈斌、凌秀凤。

线粒体是细胞的“能量工厂”, 线粒体内有一套独立于细胞核的遗传物质——线粒体 DNA (mtDNA), 人类 mtDNA 的长度为 16569bp, 拥有 37 个基因, 编码 13 种蛋白, 这些蛋白都参与细胞的能量代谢。mtDNA 突

变会带来母系遗传 Leigh 综合征、线粒体肌病、Leber 遗传性视神经病、共济失调舞蹈病、骨骼肌溶解症等几十种遗传疾病。据统计 5000 个成人中至少有 1 个患线粒体遗传病。

近年来, 基因治疗技术飞速发展, 尤其是以 CRISPR 为代表的基因编辑技术的进步, 让人类治愈遗传疾病成为可能。但 CRISPR 基因编辑技术对于线粒体遗传病却束手无策。

2020 年 7 月, 刘如谦团队在 Nature 发表了题为: A bacterial cytidine deaminase toxin enables CRISPR-free mitochondrial base editing 的研究论文, 成功问鼎线粒体研究领域圣杯, 开发了一种不依赖 CRISPR 的碱基编辑器——DdCBE, 能够实现线粒体基因组 (mtDNA) 的精准编辑, 这为研究线粒体遗传病和治疗线粒体遗传病带来了前所未有

的工具。

具体来说, 刘如谦团队发现并命名了一种细菌毒素——DddA, 它可以催化双链 DNA (dsDNA) 中胞苷的脱氨, 将胞嘧啶 (C) 转化为尿嘧啶 (U)。将 DddA 分裂半体与转录激活子样效应子阵列蛋白 (TALE) 和尿嘧啶糖基化酶抑制剂融合, 产生无 RNA 的 DddA 衍生的胞嘧啶碱基编辑器 (DdCBE), 可催化人线粒体 DNA 中 C•G 到 T•A 的转化, 且具有很高的靶向特异性和编辑准确性。

但若要使用 DdCBE 碱基编辑工具治疗人类线粒体突变遗传病, 还需要在体内模型中评估其效果和特异性, 尤其是在人类胚胎中。上海章美玲团队和南京许争锋团队在本月 1 日发表于 Cell Discovery 期刊的两篇论文较好地解决了这个问题。

来源: 生物世界



业界动态

广西出台中医药壮瑶医药振兴发展三年攻坚行动实施方案

2月19日, 广西新闻网、广西日报公布广西壮族自治区中医药民族医药发展领导小组印发《广西中医药壮瑶医药振兴发展三年攻坚行动实施方案(2021-2023年)》(以下简称《方案》)。该方案提出6项重点任务, 计划3年内投资95亿元支持建设包括国家中医药防治基地建设项目在内的57个重

大项目。

《方案》提出, 提高中医药壮瑶医药人才队伍素质。促进中医药教育创新发展, 建立中医药壮瑶医药师承教育体系, 加强中医药高素质人才队伍建设, 实施广西中医药薪火人才培养工程。持续开展基层卫生技术人员中医药知识与技能等继续教育项目。实施中医药壮瑶

医药传承创新。构建完善中医药科技创新平台, 实施中医药重点研发项目, 围绕“桂十味”及区域特色药材, 推出一批确有疗效优势的品牌中成药, 构建中医药标准化体系, 建立和完善壮瑶药质量标准体系, 加强广西道地中药壮瑶药材质量标准研究。

来源: 广西新闻网

血霖生物完成 1 亿元 pre-A 轮融资

2月25日，苏州血霖生物科技有限公司（下称“血霖生物”）宣布，公司已于近日完成1亿元人民币pre-A轮融资。此轮融资由招银国际领投，北极光创投、鼎晖投资、红杉中国、碧桂园创投、贯邦资本和君子兰资本跟投，老股东苇渡创投和元禾控股继续加持。据悉，本轮融资将加速推进其造血干细胞、

iPSC体外再生血小板管线；推动血小板药物递送平台的开发；以及用于建立临床级别的iPSC细胞及其向造血各系分化的产品体系。

血霖生物于2021年6月成立，致力于体外再生造血世系（包括血液细胞和免疫细胞）的新型细胞治疗和干细胞疗法研究和开发。该公司具有独特的干

细胞重编程、编辑和分化技术。凭借创始人和管理团队深厚的专业背景和公司快速发展的良好势头，血霖生物自成立以来就受到了业界广泛关注，并在成立初期完成了数千万元的天使轮融资。此次新一轮融资的完成，是血霖生物成立半年多来的又一发展里程碑。

来源：医药观澜

嘉和生物英夫利西单抗生物类似药获批上市

2月23日，国家药监局签发玉溪嘉和生物有限公司注射用英夫利西单抗（GB242）药品批准文件，同意该药在国内上市。英夫利西单抗是一种抗肿瘤坏死因子（TNF- α ）单克隆抗体，原研药品为强生公司的类克。自2006年在中国上市以来，类克已在中国获批多个适应症，包括溃疡性结肠炎、克罗恩病、活动性类风湿关节炎、活

动性强直性脊柱炎、斑块型银屑病等等。

根据嘉和生物早先新闻稿，此次获批的GB242是一款英夫利西单抗生物类似药。GB242能够以低剂量结合TNF- α ，从而抑制人体对TNF- α 的自然反应并改善炎症反应及自身免疫性疾病。2020年11月，嘉和生物宣布已提交GB242上市申请并获得受理。

该申请基于一项在中国进行的多中心、随机双盲、平行对照的3期试验，用于评估GB242对比原研药与甲氨蝶呤组合，按3mg/kg剂量水平静脉注射治疗类风湿关节炎患者的安全性及疗效。该3期研究招募了570名患者，主要研究终点为30周时ACR20的等效疗效。

来源：触界生物

国药集团中国生物脊灰灭活疫苗通过世界卫生组织预认证

2月18日，世界卫生组织正式宣布，国药集团中国生物北京生物制品研究所自主研发生产的Sabin株脊髓灰质炎灭活疫苗通过世卫组织预认证。该疫苗的安全性、有效性得到世卫组织认可，将被正式纳入联合国相关机构的药

品采购目录。

这是国药集团中国生物第二个通过世卫组织预认证的脊髓灰质炎疫苗产品，标志着中国已经走在了全球消灭脊髓灰质炎的前列，不仅肩负本国脊髓灰质炎防控任务，更将持续有力地践行中

国配合完成“全球消灭脊髓灰质炎最后阶段战略”的承诺，为全球消灭脊髓灰质炎贡献中国力量。截至目前，中国共有六款疫苗获得世卫组织批准，其中四款由中国生物研发生产。

来源：生物药云享

LEXEO Therapeutics 旗下 AAV 基因治疗药物 IND 申请获 FDA 批准

2月16日，LEXEO Therapeutics 宣布旗下治疗 Friedreich 共济失调心肌病的 AAV 基因治疗药物 LX200 相关 IND 申请已获得 FDA 的批准，该药物即将进入临床试验阶段。Friedreich 共济失调是一种遗传性多系统退行性疾病，而共济失调心肌病是最主要的表型，

约有 70% 的 Friedreich 共济失调患者会发展成为共济失调心肌病。

LX2006 是一款利用腺相关病毒载体，通过静脉给药的形式，递送功能型 Frataxin 蛋白基因的基因治疗药物，通过重塑 Frataxin 的正常表达，恢复心肌细胞中线粒体的正常功能，从而

达到治疗效果。LX2006 曾被 FDA 授予治疗 Friedreich 共济失调的孤儿药资格认定，并且 LEXEO Therapeutics 曾于 2021 年 3 月从 Adverum Biotechnologies 获得该药物的相关知识产权授权。

来源：GeneTherapy 和元生物

英百瑞完成 2.3 亿元 A 轮融资推进通用型 CAR-NK 细胞疗法

2月22日，英百瑞（杭州）生物医药有限公司（以下简称：“英百瑞”）宣布完成 2.3 亿人民币 A 轮融资，推动其 First-in-Class 现货型同源异体 CAR-NK 和 NK 细胞治疗药物进入到临床阶段。本轮融资由瑞享源基金和中南创投基金共同领投，隆门资本、中关村开元资本、东方汇昇、贝鱼百瑞基金等多家投资机构跟投，之前公

司于 2020 年获得龙磐基金 Pre-A 轮 8000 万元融资，英百瑞已累计获得 3.1 亿的融资。

英百瑞成立于 2014 年，从事肿瘤和免疫类疾病的治疗，2016 年专注于创新型通用现货 CAR-NK 细胞疗法的开发，通过其原创的技术平台，研发出一系列细胞和抗体药物，致力于解决临床未满足的疾病，多个产品管线正在同

步推向临床。本轮融资将用于推动英百瑞独有的非基因修饰的 CAR-raNK 和 tiNK 细胞疗法的开发，推动公司领先的现货型 CAR-raNK 细胞疗法候选药物 IBR733 和 IBR854 管线到临床阶段，加速公司多个 tiNK 和 NK Cell Engager 细胞疗法候选药物的 IND-enabling 研究。

来源：求实药社

赛元生物加码通用型细胞药物研发平台完成近亿元新一轮融资

2月16日消息，赛元生物科技（杭州）有限公司（以下简称“赛元生物”）宣布完成新一轮近亿元融资。本轮融资由济峰资本领投，老股东昆仑资本超额跟投。

赛元生物成立于 2018 年 12 月，致力于工程化多能干细胞分化巨噬细胞、NK 细胞的研发及转化。目前，公

司结合单细胞测序、基因调控网络、机器学习预测及合成生物学等核心技术，从发育生物学层面设计并改造分化过程，提高分化效率。通过筛选可编辑、扩增具有优势的单克隆多能干细胞实现体外定向诱导分化，从而实现产品的通用性、有效性、安全性及大规模生产，使其更好的应用于肿瘤免疫治疗。从研

发管线上看，赛元生物专注于利用专利技术平台开发通用型免疫细胞产品，致力于为患者提供可及性更好的靶向细胞免疫治疗技术；从技术平台上看，赛元生物主要有干细胞分化关键靶点发现平台、高通量文库功能验证平台、基因修饰的 iPSC 巨噬细胞药物等。

来源：鹿鸣财经

华东医药引进 PD-L1/L2+IL15 双靶点融合蛋白

2月9日晚，华东医药宣布与美国 AKSO 公司达成合作，以总金额最高不超过 7500 万美元（包括首付款以及临床开发、注册和销售里程碑付款）获得在研的全球创新药 AB002 用于实体瘤治疗在亚太地区独家临床开发和商业化权益。AB002 是处于临床前开发阶段的靶向 PD-L1/L2 和 IL15

的双靶点融合蛋白，可以抑制免疫检查点并激活自然杀伤细胞以治疗实体瘤。

AB002 主要技术及专利授权源自斯坦福大学，是一个临床前阶段的靶向 PD-L1/L2 和 IL15 的双靶点融合蛋白，包括一种 DEEP 技术平台工程化突变的可溶性 PD-1（用于免疫检查点

抑制）以及一种 IL-15 激动剂（用于激活 NK 细胞）。AB002 可以超高的结合亲和力捕获 PD-L1 和 PD-L2，同时将 IL-15 激动剂靶向传递至肿瘤细胞，其精准靶向肿瘤细胞的能力避免了全身 NK 细胞的活化，同时延长了 IL-15 激动剂的半衰期。

来源：Insight 数据库

细胞治疗公司卡替医疗完成 preB+ 轮融资

1月30日，北京卡替医疗技术有限公司宣布完成近亿元 PreB+ 轮融资，这是该公司在一年内完成的第三轮融资。本轮融资由创新药投资的专业机构领承创投担任领投机构，老股东高科新浚继续追加投资。此前，卡替医疗曾获

得雷昂投资、建银国际医疗成长基金、建兴基金、丰稷资本、高科新浚等多家知名医疗投资机构的投资。

卡替医疗自主研发的“ScTIL”免疫细胞技术，基于在外周血中特异筛选肿瘤识别性 T 细胞，并搭载“增强受体”

和“扩增因子”，有望全面解决实体瘤的异质性、微环境，以及细胞扩增工艺、制备周期和成本等诸多难题，而且这种疗法理论上不限癌种，适用患者人群非常广泛。

来源：医麦客

信达与驯鹿的 CAR-T 疗法获美国 FDA 授予“孤儿药”认定

2月14日，信达生物与驯鹿医药联合开发的靶向 B 细胞成熟抗原 (BCMA) 嵌合抗原受体自体 T 细胞 (CAR-T) 的创新候选产品 IBI326，获得美国 FDA 授予“孤儿药”指定，主要用于治疗复发/难治性多发性骨髓瘤。IBI326 CAR-T 以慢病毒为基因载

体转染自体 T 细胞，CAR 包含全人源 scFV、CD8a 铰链和跨膜、4-1BB 共刺激和 CD3 激活结构域。

该药物通过严格的及全面性的综合评估，证明了 IBI326 CAR-T 有效性和持久性。2021 年 2 月 IBI326 被中国国家药品监督管理局药品审评中

心纳入“突破性治疗药物”品种。目前，CAR-T 细胞免疫疗法是当下非常热门的疗法之一，BCMA 是其中非常热门的靶点，与其他如 PD-1/PD-L1、PCSK9 等其他热门靶点相比，BCMA 是治疗多发性骨髓瘤的理想靶点。

来源：医麦客