

生物产业动态

2021年 第十期

(总第一百五十七期)

东莞市生物技术产业发展有限公司

目 录

国际动态.....	1
口服新冠特效药来了？万亿巨头一夜飙升千亿，引爆美股大涨!	1
前所未有！干细胞成功治疗 1 型糖尿病患者，90 天后重新产生稳定胰岛素 ...	2
宫颈癌重大进展！美国 FDA 批准默沙东 KEYTRUDA+铂类化疗：首个一线抗 PD-1 组合疗法，显著延长患者生存!	3
CD19 CAR-T 细胞疗法！诺华 KYMRIAH 第三个适应症在美欧进入审查：治疗复发/难治性滤泡性淋巴瘤(FL)!	5
国内动态.....	6
君实、康方、微芯、荣昌、亚盛、加科思共论：PD-1 “内卷” 卷一时！？集采、国谈之下，创新药企如何突围？出海战略如何落地？	7
国产 PD-1 年费可能跌破 3 万？小分子抑制剂或陷入价格混战！天价药出路在哪？2021 医保谈判展望	14
又一国内儿童用药重大临床需求被填补	18
默克首个全球联合创新协作平台，在浦东张江投入运营	20

国际动态

口服新冠特效药来了？万亿巨头一夜飙升千亿，引爆美股大涨！

10月2日，一则有关治新冠的“神药”可能诞生的新闻刷爆了朋友圈，据中国基金报报道，治新冠“神药”可能即将诞生！默沙东正在研发的一种治疗新冠的药品，不仅能使住院或死亡的概率直降50%，还对变种病毒也有效。使用方法也很简单，口服就行，不需要静脉注射。

10月1日，美国Merck（默沙东）宣布，其与Ridgeback发开的口服抗病毒药Molnupiravir对于治疗COVID-19安全有效。默沙东与Ridgeback宣布Molnupiravir治疗轻度至中度新冠肺炎患者的三期临床中期数据，Molnupiravir治疗组的住院或死亡率为7.3%（28/385），对照组的住院或死亡率为14.1%（53/377），Molnupiravir降低住院或死亡率50%，p值为0.0012。死亡率方面，治疗组没有死亡，对照组有8例死亡。

新药消息一出，万亿巨头默沙东大涨8%，市值暴涨159.15亿美元，约合1025亿人民币。截至收盘，默沙东为2060.54亿美元，约合1.3万亿人民币。

美股也因这一消息而“沸腾”，道指大涨480点，航空、银行、能源等经济复苏概念股纷纷上扬。

而疫苗巨头却闪崩，最多大跌21%，三巨头市值更是蒸发1500亿。再生元下跌6%，Moderna、BioNtech和CureVac下跌10%左右，Novavax下跌15%，Vir Biotechnology下跌20%。投资者担忧，如果简单的几枚口服药就能治新冠，人们就没有必要那么害怕新冠，接种疫苗的动力也会下降。

Molnupiravir是在美国亚特兰大（乔治亚州）的埃默里大学药物创新公司开发的药物。它最初计划作为纯流感药物（开发代码：MK-4482 / EIDD-2801），但在动物实验中却显示出一些令人惊奇的东西。实验性流感药物molnupiravir（MK-4482 / EIDD-2801）是核苷（酸）类似物（Nucleos(t)ide Analogue）——一种类似于RNA天然结构单元的分子。

作为小分子抗病毒药物，Molnupiravir的临床疗效可谓非常显著，IDMC已经建议默沙东提前终止临床研究，以便对照组患者也可以使用Molnupiravir治

疗。默沙东准备马上向 FDA 递交上市申请，为新冠患者带来全新治疗选择。

默沙东曾在 6 月份表示，美国政府同意支付约 12 亿美元购买 170 万人份的 molnupiravir，前提是该药被证明有效并得到监管机构的授权。该公司表示，预计最早将于 2021 年下半年向美国申请 molnupiravir 的紧急使用授权。

据了解，迄今为止，吉利德科学(GILD.US)的静脉注射药物 Velkury，即瑞德西韦，是美国唯一获批治疗新冠的抗病毒药物。

另外，罗氏及其合作伙伴 Atea Pharmaceuticals 在 6 月份表示，他们的试验性口服抗病毒药物 AT-527 的早期数据显示，该药物降低了住院患者的病毒水平。

前所未有！干细胞成功治疗 1 型糖尿病患者，90 天后重新产生稳定胰岛素

近日，Vertex Pharmaceuticals 报告了第一个参加 VX-880 I/II 期试验的 1 型糖尿病患者的三个月阳性数据，VX-880 是该公司的实验性干细胞衍生的胰岛细胞替代疗法。

1 型糖尿病 (T1D) 是一种自身免疫性疾病，其中宿主免疫系统错误地破坏了位于 Langerhans 胰岛内的 β 细胞。T1D 在 20 世纪初期发现胰岛素之前是一种致命的代谢性疾病，患有 T1D 的人仍需每天服用外源性胰岛素才能生存。目前，胰岛移植是外源性 β 细胞的唯一来源。当前，超过 50% 的胰岛移植接受者在移植后长达 5 年的时间里仍保持胰岛素独立性和/或恢复降血糖功能。

VX-880 是一种研究性同种异体干细胞衍生的、完全分化的、产生胰岛素的胰岛细胞疗法，使用专有技术制造。VX-880 有可能通过恢复胰岛细胞功能来恢复身体调节葡萄糖水平的能力，包括葡萄糖响应胰岛素的产生。VX-880 通过注入肝门静脉输送，需要长期免疫抑制治疗以保护胰岛细胞免受免疫排斥。

根据 Vertex 的说法，结果显示 VX-880 恢复了患者的胰岛素产生，该患者接受了目标剂量一半的 VX-880 单次输注并结合免疫抑制治疗。患者还在多项措施上取得了“快速而稳健”的益处，包括血糖控制的改善（包括 HbA1c）以及每日胰岛素需求量的减少。

该患者大约在 40 年前被诊断出患有 T1D，并且一直依赖于外源性胰岛素。

在治疗前一年，患者经历了 5 次严重的、可能危及生命的低血糖发作。在使用 VX-880 治疗之前，患者的胰岛素剂量为每天 34 个单位，并且无法检测到空腹和受刺激的 C 肽水平，这表明患者不是自己制造胰岛素。根据研究方案，患者通过肝门静脉输注目标剂量一半的 VX-880，并结合标准免疫抑制剂方案。

空腹 C 肽、HbA1c 和 7 天平均每日胰岛素剂量在 VX-880 治疗后至第 90 天的不同时间间隔测量。VX-880 治疗后第 90 天，该患者的空腹 C 肽为 280pmol/L，反映基础胰岛素产量恢复，MMTT 刺激后增加至峰值 560pmol/L，表明 VX-880 恢复葡萄糖反应性胰岛素产量。同样在第 90 天，HbA1c 从基线时的 8.6% 提高到 7.2%，每日胰岛素剂量从 VX-880 治疗前的每天 34 单位减少到 7 天期间的平均每天 2.9 单位（表 1）。第 90 天就诊，患者每日外源性胰岛素使用量减少了 91%。

Vertex 细胞和基因疗法负责人 Bastiano Sanna 称这些结果“前所未有”，真正让它们与众不同的是，它们是在目标剂量一半的情况下实现的。虽然还为时尚早，但这些结果支持 VX-880 临床研究的持续进展。

宫颈癌重大进展 美国 FDA 批准默沙东 Keytruda+铂类化疗： 首个一线抗 PD-1 组合疗法，显著延长患者生存！

默沙东（Merck & Co）近日宣布，美国食品和药物管理局（FDA）已批准抗 PD-1 疗法 Keytruda（可瑞达®，通用名：pembrolizumab，帕博利珠单抗）联合铂类化疗（加用或不加用贝伐单抗[bevacizumab]），用于一线治疗经 FDA 批准的检测方法证实为肿瘤表达 PD-L1（合并阳性评分[CPS]≥1）的持续性、复发性或转移性宫颈癌患者。值得一提的是，这是首个被批准用于这些患者一线治疗的抗 PD-1 组合疗法。来自关键 3 期 KEYNOTE-826 试验(NCT03635567)的数据显示：与化疗相比，Keytruda+化疗（±贝伐单抗）一线治疗将死亡风险显著降低 36%。

宫颈癌仍然是 15-44 岁年轻女性癌症相关死亡的第二大原因，而且历史上女性在晚期诊断时预后较差。在过去 7 年中，针对持续性、复发性或转移性宫颈癌，没有一线治疗批准。Keytruda 是第一个联合铂类化疗（加用或不加用贝伐单抗[bevacizumab]）一线治疗持续性、复发性或转移性宫颈癌患者可改善总体生存的抗 PD-1/PD-L1 疗法。随着这项最新批准，Keytruda+铂类化疗（±贝伐单抗）将为这类患者带来一种新的一线治疗选择。

2018年6月，根据2期KEYNOTE-158试验的肿瘤缓解数据，FDA加速批准Keytruda：作为一种单药疗法，用于治疗先前接受化疗期间或化疗后病情进展、且肿瘤表达PD-L1（CPS \geq 1）的复发或转移性宫颈癌患者。3期KEYNOTE-826试验是加速批准Keytruda治疗宫颈癌的验证性试验。根据KEYNOTE-826试验的验证性数据，FDA现在将这项加速批准转为了常规批准。

尽管在预防和筛查方面取得了进展，但宫颈癌仍然是一个重大的健康问题，往往影响青中年女性。确诊为转移性宫颈癌的女性预后特别差，迫切需要新的治疗方案。KEYNOTE-826是第一个在一线持续性、复发性或转移性宫颈癌中显示免疫治疗阳性结果的研究。

KEYNOTE-826试验在617例在先前没有接受过系统化疗、也不再适合根治性治疗（如手术和/或放疗）的持续性、复发性或转移性宫颈癌（包括鳞状细胞癌、腺鳞状癌、腺癌）成人患者中开展，评估了Keytruda对比安慰剂，联合铂类化疗（紫杉醇+顺铂，或紫杉醇+卡铂）加用或不加用贝伐单抗（bevacizumab）用于一线治疗的疗效和安全性。研究主要终点是总生存期（OS）和无进展生存期（PFS）。次要终点包括：总缓解率（ORR）、缓解持续时间（DOR）、安全性。

结果显示，在肿瘤表达PD-L1（CPS \geq 1）的患者中：与安慰剂+化疗（±贝伐单抗）相比，Keytruda+化疗（±贝伐单抗）改善了OS、PFS、ORR、DOR。不论是否加用贝伐单抗，结果均一致。

具体数据为：（1）OS方面，与安慰剂+化疗（±贝伐单抗）相比，Keytruda+化疗（±贝伐单抗）将死亡风险降低36%（HR=0.64[95%CI:0.50-0.81]；p=0.0001）。

（2）PFS方面：与安慰剂+化疗（±贝伐单抗）相比，Keytruda+化疗（±贝伐单抗）将疾病进展或死亡风险降低了38%（HR=0.62[95%CI, 0.50-0.77]；p<0.0001）。（3）ORR方面：Keytruda+化疗（±贝伐单抗）组显示ORR为68%（95%CI:62-74），安慰剂+化疗（±贝伐单抗）组显示ORR为50%（95%CI:44-56）。

（4）DOR方面：Keytruda+化疗（±贝伐单抗）组的中位DOR为18.0个月（范围：1.3+至24.2+个月），安慰剂+化疗（±贝伐单抗）组的DOR为10.4个月（范围：1.5+至22.0+个月）。该试验中，Keytruda的安全性与先前报道的一致。

宫颈癌是全世界女性癌症死亡的第四大原因，尽管宫颈癌可能出现在任何年龄的女性身上，但最常见于35-44岁女性人群。几乎所有的病例都是由人类乳头

瘤病毒（HPV）感染引起的，大约 80% 被归类为鳞状细胞癌（SCC，起源于宫颈底部的细胞），其余大部分是腺癌（起源于宫颈上部的腺细胞）。

尽管在常规医学筛查和预防（HPV 疫苗）方面已取得了进展，但宫颈癌仍然普遍存在。据估计，全世界每年新诊断的宫颈癌病例超过 60 万，死亡人数超过 34 万。宫颈癌在早期发现和有效治疗时通常是可以治愈的，但晚期、复发性或转移性宫颈癌的治疗方案有限，生存率很低。在美国，对于诊断为已扩散到身体较远部位的宫颈癌患者，5 年生存率估计约为 17%。

Keytruda 是属于 PD-(L)1 肿瘤免疫疗法，通过提高人体免疫系统的能力来帮助检测和对抗肿瘤细胞。Keytruda 是一种人源化单克隆抗体，阻断 PD-1 与其配体 PD-L1 和 PD-L2 之间的相互作用，从而激活可能影响肿瘤细胞和健康细胞的 T 淋巴细胞。

截止目前，在全球范围内，已有 10 多款 PD-(L)1 肿瘤免疫疗法获批，Keytruda 是该领域的领头羊。默沙东拥有业界最大规模的免疫肿瘤学临床开发项目，目前有超过 1600 个临床试验正在调查 Keytruda 在多种类型肿瘤和治疗背景中的作用。Keytruda 临床项目旨在了解该药在癌症中的作用以及可能预测患者从 Keytruda 治疗中受益的因素，包括探索几种不同的生物标志物。

CD19 CAR-T 细胞疗法 诺华 Kymriah 第三个适应症在美欧进入审查：治疗复发/难治性滤泡性淋巴瘤 (FL)!

诺华（Novartis）近日宣布，美国食品和药物管理局（FDA）和欧洲药品管理局（EMA）已分别受理 CD19 CAR-T 细胞疗法 Kymriah（tisagenlecleucel）的补充生物制品许可申请（sBLA）和 II 类变更：用于治疗先前接受过至少 2 种疗法的复发或难治性滤泡性淋巴瘤（r/r FL）成人患者。FDA 已授予该 sBLA 优先审查。

此前，FDA 已授予 Kymriah 治疗 r/r FL 的再生医学先进疗法（RMAT）资格；欧盟委员会（EC）已授予 Kymriah 治疗 FL 的孤儿药资格（ODD）。如果获批，Kymriah 将为 r/r FL 患者提供一个重要的治疗选择。同时，r/r FL 也将成为 Kymriah 的第三个 B 细胞恶性肿瘤适应症。

Kymriah 是一种 CD19 导向的基因修饰自体 T 细胞免疫细胞疗法。与常规的

小分子或生物疗法不同，CAR-T 细胞疗法是一种活的 T 细胞治疗产品。Kymriah 的原理是将患者的 T 细胞进行基因修饰表达一种旨在靶向抗原 CD19 的嵌合抗原受体（CAR），CD19 是一种表达于多种血液肿瘤细胞表面的抗原蛋白，包括 B 细胞淋巴瘤和白血病细胞。

Kymriah 是美国 FDA 批准的第一个 CAR-T 细胞疗法，目前在全球 30 个国家上市，有超过 345 个认证的治疗中心。Kymriah 是一种一次性治疗方法，旨在增强患者的免疫系统来对抗癌症。目前，Kymriah 被批准的适应症包括：（1）治疗复发或难治性急性淋巴细胞白血病（r/r ALL）儿童和年轻成人患者（年龄至 25 岁）；（2）治疗复发或难治性弥漫性大 B 细胞淋巴瘤（r/r DLBCL）成人患者。

此次新适应症申请，基于关键 2 期 ELARA 试验的阳性数据。这是一项单臂、多中心、开放标签 2 期试验，评估了 Kymriah 治疗 R/R FL 成人患者的疗效和安全性。数据显示，该研究在先前接受过多种疗法（中位数：4 种[范围：2-13 种]）的 r/r FL 患者中观察到了强劲的缓解率：完全缓解率（CR）达 66%、总缓解率（ORR）达 86%。安全性非常显著，在输液后的前 8 周内，没有患者出现与 Kymriah 相关的 3 级或更高级别的细胞因子释放综合征（CRS）。该试验的数据于今年早些时候在 2021 年美国临床肿瘤学会（ASCO）年会虚拟会议上公布。

诺华执行副总裁兼肿瘤和血液学开发全球主管 Jeff Legos 表示：“这是我们为复发或难治性滤泡性淋巴瘤成人患者提供 Kymriah 的任务中的一个重要里程碑。从 EC 获得孤儿药物资格以及 FDA 的优先审查，强调了这些患者中尚未满足的显著需求和紧迫性。Kymriah 在 ELARA 试验中展示了令人印象深刻的结果，我们我们希望我们能够提供一种独特且潜在的最终治疗方法，从而将负担降至最低。”

国内动态

君实、康方、微芯、荣昌、亚盛、加科思共论：PD-1 “内卷” 卷一时！？集采、国谈之下，创新药企如何突围？出海战略 如何落地？

9月8-9日，第十届海通医药CEO高端论坛在上海成功举办。本届论坛由海通证券研究所发起，由海通证券研究所、投行部、债券部、并购部、海通开元、海通国际共同主办。论坛吸引了1200余位投资人、企业家参与，线上直播点击量近4万。本次论坛还设置了“创新药”“出海探索”“消费医疗”“医疗服务”“上游产业链”“眼科”等12个主题论坛，由海通证券分析师提出问题请在座的医药企业家来进行回答。

在论坛上，微芯生物董事长鲁先平、天境生物董事长臧敬五、君实生物CEO李宁、康方生物董事长夏瑜、荣昌生物联合创始人/首席执行官房健民、亚盛医药CEO杨大俊、加科思董事长兼CEO王印祥、晟斯生物执行董事庄廷、维昇药业CEO卢安邦等国内多家创新药企代表，以及鼎新基因创始人周睿（原汇添富医药投资总监）、理成资产合伙人周锐（原海通证券医药首席分析师）、雅惠投资创始人孙雅娜（原中金公司医药首席分析师）对创新发展的诸多问题进行了精彩的头脑风暴和观点碰撞，帮助与会嘉宾穿越迷雾，看透创新药未来发展。

如何正确看待PD-1内卷？——内卷只是暂时的，中国Biotech的机会才刚刚开始

当本土第6款PD-1产品上市，“创新药内卷”成为了医药领域讨论的热词。然而当2010年左右，一批海归博士抱着做好药、做新药的梦想回国创业的时候，他们想不到，2018年国家医保局成立，创新药谈判成为药企每年一度的大考，也想不到集采常态化的进行。他们也没有想到，如今国内已经有6家创新药企具备研发、生产PD-1/L1单抗的能力。曾经有望实现百亿元营收的创新药，未来销售会远不及预期，创新药单品很难像在美国市场那般成为重磅炸弹或者超级重磅炸弹药。

在这种境况下，该如何看待PD-1的竞争？君实生物作为国内最早上市PD-1产品的厂家，对于如今该产品所处的竞争态势，有不同的理解。君实生物CEO李宁在会上表示，大家对PD-1内卷的讨论，从一定程度上反应了业内对

PD-1 的重视，甚至超过了创新药本身和公司本身。当中国已经有多家生物医药企业可以做成功 PD-1 这件事情，表明我国的生物医药产业从人、资源、技术本身，实际上有了一个新的历史性的突破，甚至是一个里程碑的事件。

一家企业如果做成功 PD-1，那么也具备了生产、研发其他生物药的必备技能，这对于一家企业的开发而言，是一个台阶式的、标志性的事件。透过现象看本质，就说明我国的生物医药企业，实际上已经跨入了可以和世界上 K/O 药竞争的地步。作为国内第 5 家同样是 PD-1 成功上市的企业，康方生物用了 9 年的时间，派安普利单抗 PD-1 也是康方生物首款商业化的产品。“坦白讲在产品上市会上，我是感动的自己流泪了”，康方生物董事长夏瑜在会上有些动情的说。对于业内 PD-1 内卷、竞争的种种评价，夏瑜表示，如今创新药的价格比预想的低，一方面是竞争所致，但是国家终究对待创新药和仿制药的态度是不同的，集采常态化的进行，就是国家让仿制药给创新药让路。而 PD-1 本身是一个极大、特大的产品。夏瑜建议，市场不仅要关注企业当下这一产品的销售获益，还要关注它在联合用药上的无限可能，以及企业其他产品管线。

与君实生物、康方生物不同，荣昌生物并没有在 PD-1/L1 领域厮杀。目前其已经上市的两款药物分别是，今年 3 月获批上市得，全球首个用于治疗系统性红斑狼疮（SLE）的双靶标生物药泰它西普（RC18），和 6 月 9 日获批上市得注射用维迪西妥单抗（附条件批准上市），适用于至少接受过 2 种系统化疗的 HER2 过表达局部晚期或转移性胃癌（包括胃食管结合部腺癌）患者的治疗。但是房健民表示，“在现在背景下，国内市场的压力还是比较大的，也呼吁对创新药网开一面”。

而在投资人眼中，创新药内卷的原因是同一靶点的高水平的重复。鼎新基因创始人周睿（原汇添富医药投资总监）表示，生物医药所谓的内卷只是暂时性的问题。曾经医药行业是低水平的重复，而现在已经进化到了高水平重复，所以创新才内卷，但是并没有影响创新的本质，医药也是硬科技，我们要靠自己来解决自己的健康问题。雅惠投资创始人孙雅娜（原中金公司医药首席分析师）进一步补充道，内卷只是企业现在的感受，如果对比美国纳斯达克每年将 25%-30% 的资金都是进到了生物医药，以及纳斯达克生物医药板块的多样性，那么中国的 Biotech 机会才刚刚开始。有利益的地方自然人多，企业在享受市场的机会的同

时，就必须面对更激烈的竞争。但是若放在更长久的中国医药发展长河中，医药投资环境从来没有比现在更好过。若换一角度来看，创新药内卷也是一种好事，理成资产合伙人周锐（原海通证券医药首席分析师）认为，这种情境反而能够促使企业更快地国际化。

如何在现有竞争压力和支付压力下突围？——不必过于担心，基因治疗已经有去医保化趋势

在现有的竞争压力和支付环境下，如果 pd-1 降到了 2-3 万一年或者是更低的时候，创新药企该如何突围？创新药企的立项和市场推广策略上会有哪些变化？企业该如何平衡风险？这不仅仅是 PD-1 企业所面临的问题，也是所有创新药企需要面对和回答的问题。“讨论支付问题，首先要回到做创新药的原点”，“大家对于创新药贵与不贵的讨论，归根到底是谁支付的问题”，创新药的支付困境亟需解决，亚盛医药董事长杨大俊在会上呼吁。美国之所以能够撑起全球的生物医药霸主地位原因之一就是，其产品有较为合适的市场定价，有强有力的市场支持。例如默沙东 K 药 2020 年销售额为 144 亿美元，而在中国市场可能 10 个 PD-1 也不敌一个 K 药。杨大俊表示，如果创新药支付问题不解决，我们很难成为全球生物医药健康产业的大国、强国。我国从仿制药大国向创新药转型中，创新药企的使命之一就是让人民群众有药可用，满足临床未满足的需求。但如今，当产品研发成功之后却要面对能不能进医院、能不能进医保以及支付多少的问题。这种支付困境让创新药的研究难以持续，也无法解决人民群众有药可用的问题。而具体到企业的研发策略上，亚盛医药会坚持做中美双报，或者实现中美同步申报，以提高产品在全球市场的接受程度，另外则是海外合作。

加科思董事长兼 CEO 王印祥的回答是，基于我国医保仍是保基本广覆盖的支付政策。在竞争较为激烈的赛道，国内成熟的大药企仍有一定的发展机会，但是对于创新药企而言，如果进入同质化竞争非常激烈的赛道，仍会面临诸多问题。因此，企业在立项之初，就必须考虑是否能够满足未满足的临床需求，加科思的标准是产品未来在美国 IND 时，是否能够排到前 3 名。而创新药企要想在支付方面有所突破，目前最为可行的方式仍是对外授权，保证产品有一定的收益。

而天境生物的做法则是打造一个做全球创新药的体系。天境生物董事长臧敬五在会上表示，创新不仅仅是单个分子的创新，而是一个持续性的行为。据了解

自成立以来,天境生物已经历两轮的创新迭代。第一波创新专注在以 CD47 单抗、CD73 单抗等为代表的具有差异化优势的单克隆抗体领域。第二波创新侧重在一些新型的双特异性抗体领域。天境生物的第三波创新将会利用创新的技术和平台来开发革新性的“超级抗体”。而对于产品的未来支付情况,臧敬五表示主要通过三个渠道,来实现的新药价值的最大化。一是产品上市前与全球大药企的对外授权合作,这是实现创新药阶段性价值的一个重要手段。例如 2020 年 C 天境生物刚与艾伯维就 TJC4 的全球开发和商业化达成一项近 30 亿美元的合作。二是,产品上市后的销售分成收入,三是产品上市后,国内市场的收入。

而在深耕血友病新药研发的晟斯生物则选择了另外一条路径。晟斯生物董事长庄廷在会上表示,药品本质上仍是商品,而支付所面临的问题终究还是供给和需求两方面问题。对于晟斯生物而言,其核心问题还是在于创新,“是不是能够做出更少的人能做的事情”。如果企业能够做出别人做不出的产品,产品有足够的创新力,那么注定竞争不会太多。那么市场上的竞争优势自然就更为明显。庄廷在会上介绍,在晟斯生物 10 年前立项的时候,中国的血友病只有 1-2 亿元的市场规模,那时公司考虑的是,在这一细分赛道没有太多人竞争,可能 10 年之后中国市场能够扩张至 3-5 亿,那么企业也能有较好的发展。庄廷相信,如果企业一开始产品就有较大的差异化,那么也就不会仅仅只针对中国市场,那么很有可能做到全球创新,那么市场就不会离自己很遥远。而从需求角度来看,就是这款药物能不能为患者带来价值,能不能解决他的真正问题。“中国市场就是一个世界市场,既有跟发达国家同等支付能力的地区,也有跟新兴市场支付能力的地区,也有这种跟第三世界支付能力的地区”,也是基于此,晟斯生物将中国市场进行分层,然后逐步的来开发市场,先把这种有支付能力的市场做起来,然后假以时日不断扩大范围,这样也能让公司更加稳定、持续的发展下去。

维昇药业在决策时则会先进行一番灵魂问答。“在强监管的行业,我们做任何事情,临床需求大吗?可诊吗?可治吗?可及吗?医保可兜底吗?国家想怎么做,国家对于整个大健康产业的看法是什么?”维昇药业 CEO 卢安邦在会上分享道,对于企业产品未来进医保时,是靠数据说话,但是国内很多药物要给什么样的给付标准,缺乏具体的数据,也难以让商保承保。而维昇药业则希望在疾病的可诊、可治、药物可及及医保可兜底方面,与国家一起探索可行性方案。

在时常因价格高昂，而引起社会广泛关注的基因治疗产品的支付方式，从投资人转型为行业创业者的周睿认为，其支付方式在未来有 N 种可能。在前医保时代药企享受到了医保的红利，而在后医保时代，药企面临的则是结构性的变化，企业不能局限于眼前所谓的内卷选择躺平。例如，传统的糖尿病治疗是迈开腿、管住嘴以及按时治疗，假设基因疗可以做到一年、两年或者三年只用治疗一次，而且想吃什么就吃什么，那么这样的治疗方案该如何定价？基于此周睿的判断是，基因治疗药品的定价原则、支付原则都将发生翻天覆地的变化。实际上，企业对于集采以及医保谈判不用过于担心。

海通证券&海通国际医药行业首席分析师余文心的看法是，过去大家之所以谈集采色变，是因为 2018 年开始参加集采的品种大多是渗透率高，竞争格局差，降价较多的仿制药产品，大多都没有实现以量补价。未来一定会鼓励多层次的医疗服务需求，这种分层包括价格上的分层，也包括地域的分层。我们今天看到很多公司，满足了不同层次、不同地域的医疗服务需求。余文心提出，如果集采之后能够带来产品渗透率的大幅提升；或者集采之后还能够有分层次的医疗需求，比如持续不断的推出新品类；或者产品能出口海外，对外提供更高性价比的东西。这对于企业而言都是可以对抗集采的方式。而医保谈判的目的也是通过降价让中国更多的老百姓享有这样的医疗服务。但这不代表所有的公司都没有机会，这永远是一个量和价的问题。如果价格的下降能够带来快速的扩容，那么这个行业就不用担心。至于创新药价格的下降并非全部都由医保局决定，医保局只是国内最大的买单方，但事实上价格到底定在什么位置，其实是由竞争决定的。医保局并没有强迫说一定要卖 2 万，这是企业从竞争出发报的价格。

寻求海外市场是必然之路吗？——唯一能解决内卷的途径是往外看，0-1 靠中国，1-100 靠星辰大海

余文心在会上提出，唯一能解决内卷的途径就是往外看，要去创造新的产品，要去突破新的市场。创新药公司如果躺平就必然被内卷。这是商业模式决定的，制药业永远靠技术驱动创造新产品。用周瑞的话讲就是，中国企业长大，0 到 1 一定是靠我们这块热土，但是 1 到 100 一定是靠星辰大海。确实如此，君实生物 CEO 李宁的回答非常肯定，“出海一定是中国创新药企业发展的必由之路”。这一答案的背后，主要基于两方面考虑，一是无论国内市场有没有医保

谈判、集采，中国仍是发展中国家，从药物定价本身而言，回报有限。而这就会给创新药企一定的压力，这对于企业形成研发—生产—销售利润再促进研发、生产这样的良性循环而言相对困难。而海外市场无论是从人口数量，还是价格，都有较大的空间。另外，对于大多数跨国药企而言，中国市场仅占其全球市场的10%左右。从长远来看，这些创新药企将会与跨国药企实现类似的市场销售占比。同时，国内的创新药企虽然根植于中国，但是大多数创新药企已在海外设立分公司或者研发中心，无论是否出海，实际上这些企业本身已经是跨国企业。

在中国创新药的拓荒者微芯生物董事长鲁先平眼中，“未来中国无论是做仿制药、生物类似药还是创新药，国际化都是中国企业长大的一个必不可少的选择”。而中国企业能够顺利国际化的前提是，国际政治、经济、资本市场对中国企业的友善、接受和支持。也需要企业自身团队在文化、管理、人才储备等方面能够适应国际的发展。国内的集采满足了所有医药人帮助患者的初衷，这是必须肯定的，中国是仅次于美国，最具有在生物医药上具有创新活力的土壤，但大家也不要对抱有过高的期望。

从数据来看，2020年中国在全球销售占比为11%，基于当下中国的支付情况，全球对中国市场的预计到2060年，中国市场仅占全球的18%。而房健民则已经为荣昌生物的国际化之路选定了方向和目标。房健民认为，中国大陆市场是基础、是关键，但是如何走向世界，得到欧美市场的认可也非常关键，而衡量我国创新药成功的标志是，能够诞生在全球销售处超10亿美元以上的产品。尽管今年8月份，荣昌生物将ADC药物维迪西妥单抗对外授权了美国Seagen。但是房健民表示，这仅仅是企业根据当下的情况作出的选择而已。企业真正的国际化，还是要在其他国家自己去销售产品。房健民表示，一家真正的全球化药企的标志就是，企业自主在海外销售，且海外销售的收入大于国内的销售，这是国际化的终极目标。

与荣昌生物一样，康方生物早在2015年就把自主研发的肿瘤免疫治疗抗体药物AK107(MK-1308)授权给全球制药巨头默沙东，交易总价值高达2亿美元。而近两年已经有越来越多的中国创新药企将自家产品进行对外授权，这表明中国的创新药获得了国际认可，给与了创新药企进一步研发的信心，并且业内也将这种形式定义为出海的一种方式。与房健民观点不谋而合，夏瑜表示，对外授权

是单个产品的出海，在集采常态化的形势下，以及企业要追求更好的销售利润，那么接下来中国创新药需要更加多元化以及更深层次的出海。例如从销售利润的角度上的出海有更深层次的获得，或者是企业的整体出海。另外在研发上，企业可以很自豪的说，我们做的是全球新，有可以走到国际上的好产品，而这，对于创新药企而言仍是一个挑战。而对于海外的商业化具体怎么做？与会嘉宾也给出了自己的思考和发展路径。

鲁先平坚信海外商业化的前提是，产品为王，一个好产品在全球不缺商业化手段。企业进行商业化时，需要认清中国市场是全球独一无二的，美国是另外一个极端市场。欧洲又是一种不同的市场，而世界上其他市场基本上与欧洲类似。每家企业有了好产品之后，可以根据不同区域销售的文化特征来选择合适的商业化手段。最终目的就是能够走出去，让自家研发的产品让全球患者获益。而出海商业化最理想的成绩就是，中国创新药企能够成为全球 MAH 的持有者，这样既能满足资本市场对销售规模的追求，也能满足净利润的追求。“历史总是惊人的相似”李宁表示，企业参考跨国药企在中国的做法，就知道 20 年以后中国的企业药企会在欧美怎么做。不同市场的游戏规则不同，这需要一个适应过程，而中国的创新药企或许不需要 20 年，就能在欧美崭露头角。夏瑜认为，商业化有多种形式，可以是对外授权，也可以是直接收购海外销售团队，或者是自主搭建海外销售团队，而这都离不开资本的支持。企业要在对的时间做对的事情，做出最好的选择，而资本市场则需要给工业界以时间和机会去做更好的事情。而在出海的具体方向上，杨大俊强调，提及出海大家认为就是指的是欧、美、日，这些市场门槛高、市场回报高，但是推广费用也很高。杨大俊建议，企业除了这些海外的热门市场之外，也关注一带一路沿线的新兴市场，其中有些国家认可中国药监局批准的新药，这也是一个较大的市场，值得关注。

中国能诞生世界级的创新药公司吗？而当中国发展到现在出海已经成为企业发展的必然选择。那么中国到底能不能诞生世界级的创新药企？尽管今天还谈不上有一家企业能成为世界级企业，中国的创新药企还在学习，但他们的未来一定是 in China for Global。现在国内约有 400 余家医药类上市公司，未来或许绝大部分都会泯灭于历史的长河中，只有少部分会存活下来，而他们一定是中国制药产业的未来。目前，全球 10 亿美金以上的产品百余个，我们中国企业目

前还没有一个能够跻身这个行列，但 3 年之后、5 年之后一定会有。在 PD-1 单抗、小分子靶向的浪潮过后，如今 ADC、双抗的代表企业已经获得了资本市场的认可，而 RNAi、基因编辑、mRNA 等等新技术已经在一级市场非常火热。尽管国内药企都处于医药支付变革的阵痛中，但是中国市场仍可以支撑大体量的公司出现。截至 2020 年，已经有 9 家披露国内收入过亿的药企，其中既有外资企业，也有中国企业。而当中国的创新药市场从 1000 亿变成 8000 亿，就会诞生越来越多这样的公司。余文心总结道，中国的创新药行业刚刚起步，但是展望未来 5 年，相信中国的 biotech 公司在世界上一定会有非常重要的位置，中国企业一定会有世界级的制药企业诞生在中国。

国产 PD-1 年费可能跌破 3 万？小分子抑制剂或陷入价格混战！天价药出路在哪？2021 医保谈判展望

进入 10 月末，2021 年国谈的脚步也愈发的近了。从国内创新药企的战场来看，随着各家的产品逐渐进入收获期，竞争的焦点已经正在从适应证布局和临床研发实力的比较向商业化能力转移。显然，医保谈判是商业化实力比拼的一个缩影。东吴证券预测，本次谈判之后信达 PD-1 年治疗费用将降低至 3.5 万元左右，更悲观的预期是 3.2 万，较小可能会低于三万。恒瑞和百济神州的 PD-1 单抗大概率也会将年治疗费用降低至 3.5 万元左右以应对竞争。对于四大国产 PD-1 而言，真的会出现年治疗费用降至 3 万甚至更低的情形吗？K、O 药究竟能否在医保中分一杯羹？在小分子激酶抑制剂领域，东吴证券预计艾力斯伏美替尼本次降价幅度可能达到 75%，年治疗费将由 41.7 万，降至 10 万元左右。诺诚健华奥布替尼的降价幅度可达 50%，年治疗费降低由 26 万降至 13 万左右。但是值得注意的是，这两家企业均已通过对外授权让相关产品获得了收益。此外，还有那些动辄上百万治疗费用的昂贵天价药，谈判会成功吗？

01 创新药医保谈判之外纷纷“赚外快”

PD-1 价格战的枪声已经响起。今年无缘医保谈判的第五家和第六家 PD-1 对外曝光的价格分别为，康方生物/正大天晴 4875 元/支（100mg），誉衡生物为 3300 元/支（120mg）。而东吴证券预计，今年医保谈判之后信达 PD-1 年治疗费将降低至 3.5 万元左右，更悲观的预期是 3.2 万，较小可能会低于三万。恒瑞和

百济神州的PD-1单抗大概率也会将年治疗费用降低至3.5万元左右以应对竞争。对于已经进入医保的PD-1销售情况，今年上半年，恒瑞PD-1环比下降。而信达达伯舒持续保持销量和销售收入的双重增长（13.9亿元礼来口径）。百济替雷利珠单抗在华上半年收入为1.24亿美元（约8亿元），同比增长148%。而君实半年报披露数据显示，目前特瑞普利单抗已成功覆盖全国约3000家医院以及超过1500家专业药房。业内对于PD-1内卷的讨论，甚至超过了对创新药本身和公司。但是业内还有一种声音认为，当中国已经有多家生物医药企业可以做成功PD-1这件事情，那么也具备了生产、研发其他生物药的必备技能，表明我国的生物医药产业从人、资源、技术本身，实现了历史性的突破，可以称之为是一个里程碑事件，也从一定程度上表明，我国的生物医药企业，实际上已经跨入了可以和世界上K/O药竞争的地步。尽管赛道拥挤，但是未来将是PD-1 Plus时代，联合治疗将成为PD-1未来发展的重点，届时比拼的将是各家产品“朋友圈”的实力。另外是不断的推动PD-1的治疗从晚期走向早期，意味着患者获益以及治愈的可能性会更大，这对于企业的商业化而言，机会也越大。在市场方向上，随着标准化治疗的推进，将逐渐下沉到基层市场。

而对于PD-1价格，在今年6月份君实生物股东会会上流出的信息显示，即使未来面对集采，PD-1降到1万/年，作为基石药物也会有300亿的国内市场。另外在激烈的小分子激酶抑制剂领域，今年参与国谈的EGFR TKI包括一代抑制剂埃克替尼续约谈判，三代抑制剂伏美替尼准入谈判。东吴证券预测，一代抑制剂吉非替尼由于仿制药的冲击，在大部分地区以及大部分产品，患者自费部分已经不足万元。加之今年埃克替尼获批术后辅助治疗，市场大幅扩大，为了快速进入术后辅助市场，埃克替尼降价幅度或高于普通的续约谈判。但今年的谈判价格依然会高于吉非替尼，东吴证券给出45%的降价幅度，年治疗费用由7万元降低至4万左右。但是近日，广东集采征求意见稿纳入了埃克替尼，这是否意味着贝达的该产品既要参加2021年医保谈判，也要参加集采？面对投资者的疑问，贝达回应称，公司现正在积极申诉反馈关于征求意见稿的相关问题。而艾力斯的伏美替尼所面临的竞争环境可谓是“前有狼后有虎”。在艾力斯之前有奥希替尼、阿美替尼，其后有在研的众多三代四代抑制剂，东吴证券预计其本次降价幅度可能达到75%，年治疗费将由41.7万，降至10万元左右。不过艾力斯已经通过对

外授权获得了收益。今年 7 月艾力斯与美国 ArriVent Biopharma, Inc. 就甲磺酸伏美替尼达成海外独家授权合作协议。通过该项合作，艾力斯将获得 4000 万美元首付款及 ArriVent 公司的部分股权，可高达 7.65 亿美元的注册和销售里程碑付款，以及可高达两位数的销售提成。而诺诚健华的 BTK 抑制剂奥布替尼将与艾伯维伊布替尼、百济神州的泽布替尼同台竞技。其中伊布替尼年 20 万以上，泽布替尼去年医保谈判后年费降低至 7.2 万。东吴证券预计，为了和泽布替尼正面竞争，今年伊布替尼也将会继续降价，奥布替尼的降价幅度可达 50%，年费降低由 26 万降至 13 万左右。与艾力斯一样，诺诚健华的奥布替尼也已经“赚外快”。在今年 7 月，诺诚健华和渤健就奥布替尼达成战略合作。渤健将拥有奥布替尼在多发性硬化领域全球独家权利，以及除中国(包括香港、澳门和台湾)以外区域内的某些自身免疫性疾病领域的独家权利。而诺诚健华则将保留奥布替尼在肿瘤领域的全球独家权利，以及某些自身免疫性疾病在中国(包括香港、澳门和台湾)的独家权利。并将在获得 1.25 亿美元预付款，以及在达到合作约定的开发里程碑、商业里程碑以及销售里程碑时，有资格获得至多 8.125 亿美元的潜在临床开发里程碑和商业里程碑付款。

02 “天价药”出路在哪？

不同于热门靶点药物面临降价厮杀的情况，定价数十万元或上百万元的药物是否会通过谈判进入医保目录同样引入关注。不论业界还是患者，关注的重点无外乎：医保基金能够负担多大的治疗成本，以及天价药企业的降价幅度有多少？今年 6 月刚刚获批的国内首个 CAR-T 产品复星凯特 120 万元/袋的阿基仑赛注射液与曾创下中国药品销售记录的渤健 55 万元/支的罕见病用药诺西那生钠是被广泛关注的“天价药”选手。作为“活的细胞药”，CAR-T 是一种高度个性化的治疗方法，每位患者在接受 CAR-T 治疗前已经接受过各种治疗方法，如骨髓移植手术、化疗、靶向治疗等，所获得的 T 细胞的制备和编程也会各异。所以从研发、制备到生产都具有高度专业化的要求，生产成本低、生产过程长、无法形成规范化流程等问题决定了细胞疗法不菲的治疗价格。CAR-T 疗法自上市起就被赋予了高昂的定价，全球已经上市的 5 款 CAR-T 药品的定价均超过 30 万美元。今年 6 月，复星凯特阿基仑赛注射液成为我国首个批准上市的 CAR-T 细胞治疗产品，根据国家医保局的公示，阿基仑赛注射液用于治疗既往接受二线或以上系统性治疗

后复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤成人患者，包括弥漫性大 B 细胞淋巴瘤 (DLBCL) 非特指型 (NOS)，原发纵隔大 B 细胞淋巴瘤 (PMBCL)、高级别 B 细胞淋巴瘤和滤泡性淋巴瘤转化的 DLBCL。在国内，复发难治的 DLBCL 患者中位总生存期 (OS) 仅为 5.9 个月，且存在相当数量的难治性患者，有效治疗选择较少。同时，目前 DLBCL 的一二线治疗方案为化疗，疗效有限，约 40% 的 DLBCL 患者会复发或难治，目录内暂无三线治疗药品。阿基仑赛注射液作为 CSCO 指南推荐的三线用药，且是 6 月 30 日前国内唯一上市的细胞治疗药品，能够弥补 DLBCL 临床治疗的缺失。显然，一方面，CAR-T 细胞疗法是目前治疗癌症效果最显著的疗法，但另一方面，国内 120 万元一针的“天价”也“劝退”了很多患者。渤健的诺西那生钠注射液则更早受到关注。作为曾创下中国药品销售记录的天价罕见药，诺西那生钠注射液在去年医保谈判前夕就备受关注。《中国罕见病医疗保障城市报告 2020》显示，在 6 种儿童治疗费用超过百万的、未纳入医保且无仿制药可用的罕见病药品中，诺西那生钠注射液用于儿童治疗的费用以年 209 万元居首位。不久前，西安交大二附院开出一张 55 万元的收费票据再次将诺西那生钠注射液推向了热搜。诺西那生钠注射液于 2019 年 2 月在国内获批，用于治疗 5q 脊髓性肌萎缩症，推荐剂量为每次 12mg (5ml)。诊断后应尽早开始本品治疗，于第 0 天、第 14 天、第 28 天、第 63 天给予 4 次负荷剂量，此后每 4 个月给予一次维持剂量。据悉，脊髓性肌萎缩症 (SMA) 是一种严重的致残致死性遗传疾病，是婴幼儿死亡的主要遗传原因，诺西那生钠注射液是中国首个获批的 5q SMA 疾病修正治疗药物，经腰椎穿刺鞘内给药，直接递送至中枢神经系统起病部位，可显著降低患儿死亡风险，维持治疗每年仅需三次注射，有利于治疗依从性。不论是阿基仑赛注射液还是诺西那生钠注射液，国家医保目录内均无同类药品，且这两款药品都是真正解决了未被满足的临床需求。从这方面来看，这两款药进入医保初审名单，受到医保局的关注理所应当。即便如此，反对声浪依然不减。超高的支付价格是这一类药品进入医保的最大阻碍，毕竟医保支付的基本原则是“广覆盖，保基本”。在国家医保局公布审查名单时，就针对“天价药”能否进入目录做出了解释：“一些价格较为昂贵的药品通过了初步形式审查，仅表示经初步审核该药品符合申报条件，获得了进入下一个调整环节的资格。这类药品最终能否进入国家医保药品目录，还要接受包括经济性等方面的严格评审，独家药品还要经过价格谈判，谈

判成功的才能进入目录。”业内普遍认为，当前国内医保基金为 CAR-T 这一类高昂的费用买单并不现实。近日前复星凯特 CEO 王立群在接受财健道采访时表示，高昂的成本让 CAR-T 产品难以通过现有的医保谈判模式进入医保目录，若想提高患者可及性，应该更多的考虑商业保险途径，比如创新支付、重疾险等。对此，也曾有行业观点认为，昂贵的创新药如果能实现医保、商保、企业三方共付才是将来有效增加患者可及性的良好出路。国内第 2 款 CAR-T 产品正式获批！药明巨诺能否后来者居上。

又一国内儿童用药重大临床需求被填补

FDA/EMA/PMDA 首个批准用于婴儿血管瘤一线治疗药物——盐酸普萘洛尔口服溶液，经原研独家授权武汉科福新药有限责任公司适应症专利，已获得注册批件将于近期上市，填补了国内患儿治疗空白。

血管瘤治疗历史上最重大的发现之一

2008 年，法国 Bordeaux 儿童医院医师 Leaute-Labreze C 在《The New England Journal of Medicine》上首次报道：普萘洛尔可用于 IH（婴幼儿血管瘤）的治疗！这是血管瘤治疗历史上最重大的发现之一！普萘洛尔用于 IH 的治疗，疗效显著，且无明显并发症——这是普萘洛尔这一经典化合物又一个全新临床应用的发现！这一发现也取得了普萘洛尔治疗婴幼儿血管瘤这一新适应症用途的专利权，美国 FDA 于 2014 年 4 月以孤儿药资格加快审批通过了法国皮尔法伯

（Pierre-fabre）公司的 Hemangeol®（盐酸普萘洛尔口服溶液）这一全球首个用于治疗婴幼儿血管瘤药物上市，此后 Hemangeol®迅速成为婴幼儿血管瘤的一线治疗药物，被列入各国婴幼儿血管瘤的治疗指南和专家共识。作为法国第三大制药集团，欧洲第一大皮肤学护肤品集团，皮尔法伯（Pierre-fabre）对皮肤的研究有着超过半个世纪的历史和丰富的经验。Hemangeol®盐酸普萘洛尔口服溶液就是在他们这样对皮肤医学科学专注深耕的背景下开发出来的，给医生、患儿带来更加便利和安全的选项。

婴幼儿血管瘤

儿童特有疾病的药物研发是医药研发人员关注的难点和痛点，这与儿童自身的病理生理特征和对用药安全性风险的承受能力有密切关系。儿童用药问题是世

界性技术难题，也是党和国家高度重视的民生问题。婴幼儿血管瘤(infantile hemangioma, IH)是全球婴幼儿最常见的良性肿瘤之一，新生儿的发病率为4%-5%左右，且呈逐年升高趋势。该病以女性多见，男女发病比例为1:3~1:5，约60%发生于头颈部。血管瘤是以内皮细胞增殖为特征的良性血管肿瘤，一般在婴儿出生一周至1个月内发生，早期表现为红色小斑点，随后迅速增大，在患儿1个月及4~5个月时快速增值。虽然部分血管瘤可以自行消退，但消退后往往局部遗留红斑，色素改变、毛细血管扩张、萎缩性瘢痕和纤维脂肪组织赘生物，存在影响患儿容貌甚至毁容的风险，给生长发育期患儿及家长带来了显而易见的社会心理伤害。约10%的重症血管瘤可导致严重的功能损害，当大面积发作或特殊解剖学部位（眼部、呼吸道）的IH可能造成局部压迫性梗阻，从而可能导致器官的功能障碍（如弱视甚至双目失明、呼吸受阻甚至衰竭），严重时威胁患儿生命。鉴于血管瘤的发病部位和特点，现今提倡血管瘤的治疗要遵循美容原则：争取早期干预治疗，治疗越早，美容和功能效果越好，治疗以恢复正常皮肤色泽和质地为目标。

未被满足的临床需求

之前国内临床尚未有批准用于婴幼儿血管瘤治疗的药物。在普萘洛尔治疗婴幼儿血管瘤的效果被发现之前，主要经验的治疗手段为皮质类固醇激素的全身性给药、局部给药及血管瘤内注射细胞毒类药物，其治疗效果不明显，副作用太大，在婴幼儿期的长期应用中，包括抑制婴幼儿生长和抑制下丘脑-垂体-肾上腺(HPA)轴，对抗生长激素的作用并可引起蛋白质氮负平衡进而影响身体的生长发育。采用其他药物、激光及手术治疗手段，适应情况有限，而且手术后易导致瘢痕、溃疡、局部畸形、组织缺失及功能障碍等。并且对于婴幼儿来说手术的承担能力受限、风险高。寻求对IH有效且副作用小的药物治疗，一直是儿童临床急需解决的问题。

武汉科福获皮尔法伯独家授权

武汉科福新药有限责任公司地处武汉国家生物产业基地光谷生物城，由国家纳米药物工程技术研究中心核心团队于2012年发起创立的国家高新技术企业。科福公司紧紧围绕未被满足的临床需求，以纳米制剂递送技术为核心，致力于改良型新药和高端制剂研发。公司聚焦于儿科、眼科等临床领域，建立了纳米制剂

的核心技术平台，在难溶性药物的口服、眼用、经皮和注射给药以及注射缓控释应用方面有丰富的研发经验。公司首席科学家——国家纳米药物工程技术研究中心主任杨祥良博士（国家重大科学研究计划首席科学家）率领的一批科学家组成公司核心研发团队，拥有武汉“3551”高端创新人才2名，7位博士，研发团队60余人，其中硕博士占比超过40%，领衔承担了国家重大新药创制项目。武汉科福新药于2013年立项研发盐酸普萘洛尔系列制剂，并于2015年完成盐酸普萘洛尔口服溶液剂临床前研发工作，于国内首家提出该产品注册申请，被纳入国家首批儿童药优先审评目录，并于日前获批。基于扎实的科学研究和产品质量，科福获得该产品原研企业 Pierre-Fabre 的认可，Pierre-Fabre 公司将其所拥有的该产品适应症专利（该专利于2028年到期）在中国范围内的独占许可授权给武汉科福新药，授权科福公司在中国独家研发及上市盐酸普萘洛尔口服溶液。

被填补的空白

日前，盐酸普萘洛尔口服溶液已于国内首家获得注册批件（被纳入上市药品目录集），并将于年底前上市销售。填补了国内IH患儿临床用药需求的空白。

为确保中国患儿在第一时间能够用上该产品，保障药品可及性，武汉科福新药有限责任公司与亿帆医药恩海百进公司达成市场战略合作。双方将充分应用并整合现有资源，在产品上市后持续的临床研究、了解患者的医疗需求、有效减轻患者负担等相关领域开展长期合作。盐酸普萘洛尔口服溶液配方精心设计，不含防腐剂、不含糖，且使用剂量准确，安全性和有效性都经过临床确认，被FDA、EMA、PMDA各国批准用于婴儿血管瘤一线治疗药物。科福与亿帆的商业合作，使更多的婴儿血管瘤患儿可早日使用上该产品，为父母和患儿提供更加便利、安全性更高、疗效更好的选择。

默克首个全球联合创新协作平台，在浦东张江投入运营

2021年10月14日，由全球领先的科技公司默克与张江集团合力打造的默克上海创新基地在浦东张江科学城正式投入运营。默克上海创新基地占地面积2,000平方米，是默克在全球建立的首个面向初创企业开放的创新平台，由默克创新中心携手上海张江(集团)有限公司合力共建。默克将充分利用在医药健康、生命科学、电子科技及其他领域的专业知识和全球资源，孵化并加速科技创新项

目，拓展新业务。

作为浦东新区首批认定的 20 家大企业开放创新中心之一，默克上海创新基地自建设之初，就获得了政府的积极引导和国资平台的持续助力。中国（上海）自由贸易试验区管理委员会张江管理局副局长付军表示：“大企业创新中心建设是推动张江科学城适应大环境大变化大发展的先行探索，期待借助于大企业创新中心引进、助力、培育、加速更多优质中小科技企业，优化科技生态环境，打造世界级创新产业集群，服务构建大中小企业新发展格局，推动站在历史新节点的浦东新区不断展现新气象。”

默克首席科技官罗瑞姿（Laura Matz）女士表示：“中国已经成为全球创新活动热点地区。不论是从投资规模、政府对创新支持，还是从充满活力的初创企业来看，中国的创新生态系统有望成为下一代突破性技术的发源地。默克上海创新基地的建立是默克对促进本土创新生态发展的又一承诺。我们致力于与初创伙伴们联合开发创新解决方案，共同为人类进步贡献力量。为此，我们将发挥默克在全球科技产业的资源优势，聚焦具有发展前景的创新领域，分享默克全球前沿技术知识。”

张江集团党委书记、董事长袁涛表示：“默克的主营业务与上海张江重点发展的硬核产业高度重合，且默克长期深耕中国市场，此次共建默克上海创新基地，期待依托默克领先的全球科技产业资源，赋能医药健康、生命科学、电子科技等跨领域产业；期待以张江科学城创新生态为基础，嫁接更多科技、市场及政策资源，加速产业领域创新，进一步推动浦东乃至上海产业升级发展。张江在未来的运维当中一定会尽所能提供必要的帮助和支持，真正的成为生态系统中的高级链接者，让更多的创新成果从这里产生，让更多的未来科技巨头从这里走出。”

默克上海创新基地是默克中国创新中心与上海浦东新区政府于 2020 年 7 月签署的战略合作项目。目前已经吸引了一批初创企业入驻基地，其中包括时识科技（SynSense）。这是一家专注于开发神经形态处理器的初创公司，默克通过由默克企业战略投资部门 M Ventures 和默克中国创新中心成立的“默克中国种子基金”投资了该公司，张江集团旗下风险投资公司张江科投也于近期投资了时识科技，以资本助力企业实现跨越式发展。

除了关注医药健康、生命科学、电子科技三块默克核心业务领域，默克上海创新基地将专注于引入创新型初创企业，并与他们在默克的战略增长领域进行合作，比如人工智能赋能的健康解决方案、生物电子、实验室培养肉，以及在神经形态系统和类器官领域进行前期探索。

默克硅谷及中国创新中心负责人唐思和（Thomas Herget）教授认为：“在与初创企业合作方面，我们拥有极具吸引力的合作项目和丰富的合作经验。通过与各行业的初创企业及外部伙伴建立强有力的合作伙伴关系，我们致力于把握创新机遇、开拓新业务，而默克上海创新基地可以在其中发挥重要作用。接下来，我们希望和初创伙伴一同在令人兴奋的前沿技术领域进行探索，实现双赢合作。”

默克中国总裁安高博（Allan Gabor）先生强调了默克在上海的发展，他说：“对默克而言，中国不仅仅是一个市场，更是充满机遇的科学中心和创新高地。上海创新基地的开幕是默克‘根植中国，服务中国’本地化发展战略的又一里程碑。上海张江地区作为中国最具发展潜力的科技集群，在医药健康、生命科学和电子科技等行业具备世界级水平的科技能力和人才实力，为默克投资建立上海创新基地提供了发展信心。”

值得关注的是，默克上海创新基地由默克与张江集团联合建设、运营，创新基地所在的张江科学城中部核心区，则是以张江人工智能岛为“极核”，空间涵盖 150 万平方米的人工智能产业集聚区，持续引导、助力机器人、生命科学、芯片等重点领域的龙头企业打造 AI 专属赛道，加速各领域的场景融合及应用创新。

上海创新基地在张江的正式启用，是默克在高增长科技领域实践创新与发展的又一项重要举措，默克将与包括张江科学城在内的创新生态合作伙伴探索合作，释放更多创新粒子，吸引和助力更多中小企业发展，以好奇出发探索，以无畏发现未知，进一步助力张江科学城生命健康产业发展，加速产业领域创新，与本土创新生态互惠共赢。