

第 51 期

2017 年 4 月 27 日

生物产业信息 E-讯刊



深圳市生命科学与生物技术协会

深圳市艾卫德创客发展促进中心

广东生物医药产业技术创新联盟

深圳市体外诊断产业技术创新战略联盟

目 录

一、新药上市	2
二、临床试验进展	3
三、投融资讯	3
四、政策法规	4
1、食药监总局发布《关于调整部分药品行政审批事项审批程序的决定》 .	4
2、总局办公厅再次公开征求《关于药物临床试验数据核查有关问题处理意见的公告（修改稿）》意见	5
3、卫计委公布最新名单！451 家医疗机构获批开展人类辅助生殖技术.....	5
4、发改委：公立医院于 9 月底前全部取消药品加成.....	6
5、国家卫计委要求：两票制 6 月底前出方案，验票是执行的重点！	6
五、科研进展	7
1、PNAS：鉴定出基因 SMARCE1 是早期癌症浸润所必需的	7
2、PLoS Comput Biol：重磅！新方法发现数千个与癌症相关的新基因突变！	7
3、罗氏 Tecentriq 获 FDA 批准扩大适应症，用于无法化疗的局部晚期或转移性尿路上皮癌	8
4、Cancer Discovery：肿瘤细胞逃脱免疫系统追捕新机制	8
5、Science Advances：重磅！研究人员使用 CRISPR-Cpf1 治疗杜氏肌营养不良.....	9

一、新药上市

商品名	通用名	企业	适应症	批准单位	时间	备注
Tagrisso	omisertinib	AstraZeneca	EGFR T790M 突变阳性非小细胞肺癌	CFDA	2017年3月	第三代 EGFR-TKI
遗传健康风险 (Genetic Health Risk, GHR) 测试		23andMe	检测与帕金森、迟发性阿尔兹海默症等 10 种疾病风险	FDA	2017年4月	FDA 批准了首个直接面向消费者 (DTC) 的遗传测试
Ocrevus	ocrelizumab	Genentech & Roche	治疗复发性 (RRMS) 和原发进展性 (PPMS) 硬化症	FDA	2017年3月	
Lucentis	Ranibizumab 注射液	Genentech & Roche	治疗所有类型的糖尿病性视网膜病变	FDA	2017年4月	是一种血管内皮生长因子 (VEGF) 抑制剂, 并能有效结合和抑制 VEGF-A
Spinraza	nusinersen	Biogen & Ionis	用于脊髓性肌萎缩症 (SMA) 患者的治疗	EMA	2017年4月	成为欧洲市场首个治疗脊髓性肌萎缩症 (SMA) 的药物。
Cosentyx		诺华	用于活动性、进展性银屑病关节炎 (PsA) 成人患者的治疗	NICE	2017年4月	是全球首个白细胞介素 17 (IL-17) 单克隆抗体药物, 于 2015 年 1 月同时获得美国和欧盟批准
AUSTEDO	deutetrabenazine	Teva Pharmaceutical Industries	用于治疗与亨廷顿舞蹈症相关的“舞蹈病	FDA	2017年4月	是一类囊泡单胺转运体 2 (VMAT2)

			症状“(chorea)			抑制剂
Dupixent	dupilumab	Sanofi & Regeneron	用于外用处方药无法充分控制病情或不适合这些药物治疗的中度至重度特应性皮炎 (AD) 成人患者	FDA	2017年4月	首个也是唯一一个获批治疗中重度特应性皮炎 (AD) 的生物制剂。

二、临床试验进展

药品名	企业	适应症	临床试验结果
Tezacaftor 与 ivacaftor 联合治疗 (3 期临床)	Vertex Pharmaceuticals	12 岁及以上的囊性纤维化 (CF) 患者	24 周的 EVOLVE 研究中, 与安慰剂组相比, 肺功能指标 ppFEV1 有相对基线 4.0 个百分点的平均绝对改善 ($p<0.0001$)。第二项 8 周的 EXPAND 研究, 与安慰剂相比, 从基线到第 4 周和第 8 周测量的平均值, tezacaftor/ivacaftor 联合治疗显示出 6.8 个百分点的平均绝对改善 ($p<0.0001$); 与安慰剂组相比, ivacaftor 单药组显示了 4.7 个百分点的平均绝对改善 ($p<0.0001$)。
心衰药物 Entresto (3 期临床)	诺华	适用于伴有慢性心衰 (NYHA II-IV 级) 且射血分数减少的心衰患者	根据血红蛋白 A1c (HbA1c) 的数据, Entresto (sacubitril/valsartan) 药片比 ACE 抑制剂依那普利具有更好的血糖控制效果。
抗炎药 Nucala (mepolizumab) 关键性 III 期临床	GSK	治疗重度嗜酸性粒细胞增多综合征 (HES) 的疗效和安全性。	启动

三、投融资讯

序号	企业	领域	领头机构	融资金额	投资阶段
1	马泷齿科	口腔连锁服务机构	金浦基金 (领投)	1.1 亿	C 轮
2	远点明视	智能近视眼镜	厦门鑫百益投资集团 (领投)	700 万	天使轮

3	贝仙特	连锁社区医疗平台	广东某律师事务所创始合伙人&主任周继华、美年大健康副董事长郭美玲	500 万	Pre-A 轮
4	优医基	医学影像设备研发商	华医资本	数千万	A 轮
5	欧碧堂	中医脊椎理疗服务		300 万	
6	瑞人堂	全国连锁药店	华泰基金	1 亿	战略投资
7	赛诺微医疗	医疗设备研发商	金浦健康基金与幂方资本	4000 万	A 轮
8	易活生物	基因检测技术	仙瞳资本	6800 万	A 轮
9	李氏大药厂	制药公司	金沙江资本、盈港资本		战略投资
10	健培科技	医学影像智能诊断平台		2000 万	Pre-A
11	强森医疗	全科诊疗连锁机构	启明创投和君联资本	1 亿	B 轮
12	秒健康	移动健康管理平台	中信资本与农银无锡基金	2.5 亿	B 轮
13	掌控糖尿病	糖尿病管理平台		数千万	B 轮
14	快方送药	药品 O2O	步长制药	6 千万	战略投资
15	希诺康	疫苗研发	国投创新	4.5 亿	C 轮

四、政策法规

1、食药监总局发布《关于调整部分药品行政审批事项审批程序的决定》

国家食药监总局于 2017 年 4 月 5 日发布了《国家食品药品监督管理总局关于调整部分药品行政审批事项审批程序的决定》(以下简称《决定》), 该《决定》将于 2017 年 5 月 1 日起施行。原文为:

为优化药品和医疗器械审评审批流程, 提高审评审批效率, 日前, 食品药品监管总局发布总局令 31 号《国家食品药品监督管理总局关于调整部分药品行政审批事项审批程序的决定》和总局令 32 号《国家食品药品监督管理总局关于调整部分医疗器械行政审批事项审批程序的决定》, 对食品药品监管总局负责的临床试验审批事项、再注册和延续注册审批事项、注册变更审批事项等药品和医疗器械行政审批事项的审批程序进行调整。

从 2017 年 5 月 1 日起, 国产和进口药物的临床试验审批决定、国产和进口药品的补充申请审批决定、进口药品再注册审批决定, 调整为由总局药品审评中心以总局名义作出, 审批决定由药品审评中心负责人签发。

从 2017 年 7 月 1 日起，第三类高风险医疗器械临床试验审批决定、国产第三类医疗器械和进口医疗器械许可事项变更审批决定、国产第三类医疗器械和进口医疗器械延续注册审批决定，由总局医疗器械审评中心以总局名义作出，审批决定由总局医疗器械技术审评中心负责人签发。

原文出处：<http://news.bioon.com/article/6701419.html>

2、总局办公厅再次公开征求《关于药物临床试验数据核查有关问题处理意见的公告（修改稿）》意见

国家食品药品监督管理总局起草了《关于药物临床试验数据核查有关问题处理意见的公告（征求意见稿）》，于 2016 年 8 月 19 日至 9 月 18 日首次向社会公开征求意见，共收到制药企业、医疗机构、合同研究组织和行业协会等单位以及个人反馈意见 280 条。国家食品药品监督管理总局结合反馈意见进行了修改。

采纳了合理意见建议，主要归纳有 6 项：

一、对于数据造假的行为，不列入漏报可能与临床试验用药相关的严重不良事件和漏报试验方案禁用的合并药物等情况。

二、对于药物临床试验数据造假的申请人在被处罚期间所涉及品种，如确属临床急需，可以提出特殊申请，国家食品药品监督管理总局组织专家论证后作出是否受理的决定。

三、对于数据造假所涉及的药物临床试验机构，由临床试验机构限期整改调整为所涉及专业限期整改。

四、对于数据造假所涉及的主要研究者，参与研究所有已受理的注册申请由不予批准调整为暂停审评审批。

五、对于数据造假涉及的品种，明确处理相关人员的程序，调整向社会公布和列入黑名单的内容。

六、对于处理及当事人的复议，增加相关内容，明确具体程序和途径。

原文出处：<http://news.bioon.com/article/6701747.html>

3、卫计委公布最新名单！451 家医疗机构获批开展人类辅助生殖技术

4 月 18 日，卫计委官网发布了《关于公布经批准开展人类辅助生殖技术和设置人类精

子库的医疗机构名单的公告（2017年第6号）》（以下简称《公告》），公布了全国经批准开展人类辅助生殖技术和设置人类精子库的医疗机构名单。截至2016年12月31日，经批准开展人类辅助生殖技术的医疗机构共有451家，经批准设置人类精子库的医疗机构共有23家。

我国对开展辅助生殖技术的医疗机构和设置人类精子库的医疗机构有着明确的规范要求。2015年4月9日国家卫计委发布了《国家卫计委关于印发人类辅助生殖技术配置规划指导原则（2015版）的通知》及《国家卫生计生委关于加强人类辅助生殖技术与人类精子库管理的指导意见》，2015年4月13日，卫计委又相继发布了《国家卫生计生委关于规范人类辅助生殖技术与人类精子库审批的补充规定》。

申请开展辅助生殖技术服务的机构必须取得《医疗机构执业许可证》。

4、发改委：公立医院于9月底前全部取消药品加成

据发改委网站消息，4月11日，发改委召开医疗服务价格改革工作座谈会，部署全部取消公立医院药品加成，要求各级各类公立医院于9月底前全部取消药品加成，重点做好四方面工作：

- 一是全部取消药品加成。
- 二是优化医疗服务价格结构。
- 三是同步配套相关改革。
- 四是平衡好相关方利益。

同时，国家发展改革委还从倒排改革时间表、强化督导评估、加强宣传引导、同步加强监管等方面，对各地组织实施改革提出了具体工作要求。

原文出处：<http://news.bioon.com/article/6701924.html>

5、国家卫计委要求：两票制6月底前出方案，验票是执行的重点！

4月19日，为加快推进公立医疗机构在药品采购环节推行“两票制”，国家卫生计生委在京召开专题工作座谈会。

会议要求综合医改试点省份和公立医院改革试点地区要在2017年率先推行“两票制”，于6月底前研究制定本地区推行“两票制”的具体办法；鼓励其他地区执行“两票制”，争

取到 2018 年在全国全面推开。

目前，11 个医改试点省已有福建、安徽、陕西、重庆、青海、四川、湖南等 7 个省市出台正式实施方案，上海、江苏、浙江尚未出台。此外，非医改试点省辽宁、甘肃、海南、黑龙江都推出了自己的两票制方案。

原文出处：<http://news.bioon.com/article/6702466.html>

五、科研进展

1、PNAS: 鉴定出基因 SMARCE1 是早期癌症浸润所必需的

美国麻省理工学院怀特海德生物医学研究所的研究人员鉴定出基因 SMARCE1 在一部分可能变成极具浸润性的早期乳腺癌中过量表达，这就使得首次将浸润性较差的乳腺癌与可能发生扩散和转移的乳腺癌区分开来成为可能。利用这种生物标志物，医生们可能更好地调整疗法以便匹配每名患者体内的乳腺癌行为。

SMARCE1 影响着所有参与乳腺癌细胞浸润和转移的关键基因。SMARCE1 似乎仅在转移的早期阶段发挥着重要的作用，这就使得它成为这个关键步骤的一种合适的生物标志物。

这些研究人员也在一项回顾性研究中分析了来自大约 200 名早期乳腺癌病人的肿瘤组织样品中的 SMARCE1 水平。具有最高 SMARCE1 水平的那些病人最可能发生转移，而且具有最差的治疗结果。SMARCE1 水平与预后之间的关系也适合于肺癌病人和卵巢癌病人，这提示着这个基因的重要性并不局限于一种癌症。

原文出处：Ethan Sokol, Yuxiong Feng, Dexter Jin et al. SMARCE1 is required for the invasive progression of in situ cancers. PNAS, Published online: 3 April 2017, doi:10.1073/pnas.1703931114

2、PLoS Comput Biol: 重磅！新方法发现数千个与癌症相关的新基因突变！

马里兰大学的 Thomas Peterson 和其同事开发了一种新的数据分析方法。该方法使用癌症病人的基因数据来发现引发癌症的突变。与以往关注个别基因突变不同，新方法关注了相关蛋白质家族共有的类似突变。

具体来说，新方法集中在被称为蛋白质结构域的蛋白质亚结构突变中。尽管这些蛋白由

不同的基因编码,但是不同的蛋白质有共同的蛋白质结构域。新方法利用现有的关于蛋白质结构域的功能和知识来确定更可能在肿瘤中发现的突变的蛋白质结构域的位置。

通过采用这种新方法,研究人员确定了数千种罕见的、与其他肿瘤蛋白质突变发生在相同位置的肿瘤突变。这表明它们可能与癌症有关。

原文出处: Peterson TA, Gauran IIM, Park J, Park D, Kann MG (2017) Oncodomains: A protein domain-centric framework for analyzing rare variants in tumor samples. PLoS Comput Biol 13(4): e1005428. doi.org/10.1371/journal.pcbi.1005428

3、罗氏 Tecentriq 获 FDA 批准扩大适应症,用于无法化疗的局部晚期或转移性尿路上皮癌

近日,制药巨头罗氏在美国监管方面传来好消息,其 PD-L1 单抗 Tecentriq 获美国 FDA 批准扩大适应症范围,用于治疗无法进行常规顺铂化疗的局部晚期或转移性尿路上皮癌。

截至日前,罗氏 Tecentriq 已经被 FDA 获批三次,除了尿路上皮癌的相关适应症外,还被批准治疗转移性非小细胞肺癌。目前,罗氏正在 III 期临床试验——IMvigor211 中将 Tecentriq 与化疗进行头对头比较,试图作为特定晚期膀胱癌的一线治疗方案。

原文出处: Roche's bags new US approvals for Tecentriq, Lucentis

4、Cancer Discovery: 肿瘤细胞逃脱免疫系统追捕新机制

启动子是基因组中调控基因表达的区域,作用类似于电灯的开关。利用超灵敏的 "NanoChIP-seq" 技术,研究者们筛查了胃癌细胞中的启动子活性,进而分析与胃癌发生有关的表观遗传学修饰的改变。研究者们发现,在胃癌细胞中,基因的启动子区域会发生调节紊乱的现象,这种现象会进一步导致肿瘤细胞逃脱免疫系统的追捕。这一研究结果发表在《Cancer Discovery》杂志上。

原文出处: Ester Valls et al. BCL6 Antagonizes NOTCH2 to Maintain Survival of Human Follicular Lymphoma Cells, Cancer Discovery (2017). DOI: 10.1158/2159-8290.CD-16-1189

5、Science Advances: 重磅! 研究人员使用 CRISPR-Cpf1 治疗杜氏肌营养不良

德州大学西南医学研究中心研究员利用新的基因编辑酶 CRISPR-Cpf1 在实验室了人类细胞和老鼠体内的杜氏肌营养不良。CRISPR-Cpf1 在很多关键方面不同于 CRISPR-Cas9。Cpf1 比 Cas9 酶小很多, 这就使之更容易包装到病毒内, 因此也更加容易进入肌细胞。

“通过敲除突变区域或精确修复突变基因, CRISPR-Cpf1 介导的基因编辑不仅纠正了杜氏肌萎缩症突变, 而且还改善了肌肉收缩能力和强度,” 分子生物学教授、Hamon 再生科学和医学研究中心副主任、Rhonda Bassel 的合著者 DUBY 博士说。

原文出处: Yu Zhang et al. CRISPR-Cpf1 correction of muscular dystrophy mutations in human cardiomyocytes and mice. Science Advances DOI: 10.1126/sciadv.1602814