



LIFANG & PARTNERS  
立方律師事務所

# LIFANG & PARTNERS

# 生命科学与医疗健康

NO.3

## 监管动向

- 《古代经典名方目录（第二批）》发布
- 《〈已上市化学药品药学变更研究技术指导原则（试行）〉原料药变更的问答（征求意见稿）》公开征求意见
- 《人纤维蛋白原临床试验技术指导原则（修订版征求意见稿）》公开征求意见
- 国家医疗保障局发布关于做好基本医疗保险医用耗材支付管理有关工作的通知
- 国家药监局发布适用《S12：基因治疗产品非临床生物分布的考虑》国际人用药品注册技术协调会指导原则的公告
- 2022年度药品审评报告发布
- 《中国新药注册临床试验进展年度报告（2022年）》发布
- 《罕见病基因治疗产品临床试验技术指导原则》公开征求意见
- 科技部发布《人类遗传资源管理常见问题解答》

## 行业动态

- 「乌帕替尼」中国化合物专利被宣告无效
- 丹纳赫Danaher以57亿美元收购Abcam
- 华东医药引进银屑病新药
- Sirnaomics宣布RNAi疗法产品STP707 用于治疗多种实体瘤的I期临床试验取得成功
- 亿腾医药与纳肽得达成战略合作，携手助力小核酸药物开发
- 和誉医药CSF-1R抑制剂在欧洲获批全球多中心III期临床
- 诺和诺德长效疗法上市申请拟纳入优先审评
- 百济神州BTK抑制剂「泽布替尼」在智利、厄瓜多尔获批
- 百时美施贵宝遭蓝十字蓝盾反垄断起诉
- 抗癌新药「米托坦片」在中国获批上市

# 监管动向

2023.9

## 《古代经典名方目录（第二批）》发布

9月1日，国家中医药管理局、国家药品监督管理局发布印发《古代经典名方目录（第二批）》的通知，旨在贯彻落实《中医药法》《中共中央 国务院关于促进中医药传承创新发展的意见》，推进来源于古代经典名方的中药复方制剂研发和简化注册审批。

《古代经典名方目录（第二批）》共包含217首方剂，其中汉族医药方剂93首，藏医药方剂34首、蒙医药方剂34首、维医药方剂38首、傣医药方剂18首。

[来源：国家中医药管理局](#)

## 《〈已上市化学药品药学变更研究技术指导原则（试行）〉原料药变更的问答（征求意见稿）》公开征求意见

9月1日，国家药监局药审中心就《〈已上市化学药品药学变更研究技术指导原则（试行）〉原料药变更的问答（征求意见稿）》公开征求意见。

《已上市化学药品药学变更研究技术指导原则（试行）》规定了当原辅包发生各项变更时，药品上市许可持有人根据原辅包变更情况对制剂进行必要的研究，为更好地指导企业进行药学变更研究，经调研以及与专家和业界讨论，组织起草了《〈已上市化学药品药学变更研究技术指导原则（试行）〉原料药变更的问答（征求意见稿）》，对变更指导原则中原料药变更时相关制剂持有人应进行哪些研究工作进行详细的解读，同时对变更原料药供应商章节的部分内容进一步明确。征求意见时限为自发布之日起1个月。

[来源：国家药品监督管理局药品审评中心](#)

## 《人纤维蛋白原临床试验技术指导原则（修订版征求意见稿）》公开征求意见

9月4日，国家药监局药审中心发布关于公开征求《人纤维蛋白原临床试验技术指导原则（修订版征求意见稿）》意见的通知。

为更科学的指导和规范人纤维蛋白原的临床试验，药审中心于2022年发布了《人纤维蛋白原临床试验技术指导原则（试行）》。结合近一年的实施情况修订了《人纤维蛋白原临床试验技术指导原则（修订征求意见稿）》，以期为药品研发注册申请人及开展药物临床试验的研究者提供建议和指南。征求意见时限为自发布之日起一个月。

来源：[国家药品监督管理局药品审评中心](#)

## 国家医疗保障局发布关于做好基本医疗保险医用耗材支付管理有关工作的通知

9月5日，国家医疗保障局发布关于做好基本医疗保险医用耗材支付管理有关工作的通知。

为贯彻落实《中共中央国务院关于深化医疗保障制度改革的意见》《国务院办公厅关于印发治理高值医用耗材改革方案的通知》等文件精神，建立管用高效的医保支付机制，提升医保基金使用效能，就做好当前医用耗材医保支付管理发布通知。

来源：[国家医疗保障局](#)

## 国家药监局发布适用《S12：基因治疗产品非临床生物分布的考虑》国际人用药品注册技术协调会指导原则的公告

为推动药品注册技术标准与国际接轨，经研究，国家药品监督管理局决定适用《S12：基因治疗产品非临床生物分布的考虑》（以下简称：S12）国际人用药品注册技术协调会（ICH）指导原则。现就有关事项公告如下。

自本公告发布之日起开始的非临床研究适用S12指导原则。非临床研究起始日期的认定遵照《药物非临床研究质量管理规范》中相关规定执行。

相关技术指导原则可在国家药品监督管理局药品审评中心网站查询。国家药品监督管理局药品审评中心负责做好本公告实施过程中的相关技术指导工作。

来源：[国家药品监督管理局](#)

## 2022年度药品审评报告发布

9月6日，国家药监局药审中心发布2022年度药品审评报告。全文全面总结了2022年药品注册申请受理情况、药品注册申请审评审批情况、药品加快上市注册程序和沟通交流情况、药品注册申请存在的主要问题及分析。

来源：[国家药品监督管理局](#)

## 《中国新药注册临床试验进展年度报告（2022年）》发布

9月7号，国家药监局药审中心发布《中国新药注册临床试验进展年度报告（2022年）》。

本年度报告根据2022年度登记的药物临床试验信息，从药物类型、品种、适应症、申办者类型、注册分类、试验分类、试验分期、特殊人群试验、临床试验单位、临床试验首次登记用时、启动用时、数据监查委员会（DMC）、试验完成情况等角度对临床试验的总体趋势、主要特点等进行汇总分析。此外，增加了细胞和基因治疗品种、医学影像学品种的分析、申请人首次提交临床试验登记的用时分析，以及2022年度获批上市创新药的临床试验分析等。

[来源：国家药品监督管理局药品评审中心](#)

## 《罕见病基因治疗产品临床试验技术指导原则》公开征求意见

9月12日，中国国家药监局药品审评中心发布了《罕见病基因治疗产品临床试验技术指导原则（征求意见稿）》，以指导和规范罕见病基因治疗产品的临床试验设计。征求意见时限为自发布之日起1个月。

[来源：国家药品监督管理局药品评审中心](#)

## 科技部发布《人类遗传资源管理常见问题解答》

9月12日，科技部行政审批受理窗口针对《人类遗传资源管理条例实施细则》发布以来申请人在办理人类遗传资源行政审批和备案等事项时咨询的常见问题（涉及采集、保藏行政许可、国际合作行政许可与备案、信息对外提供或开放使用以及其他），凝练形成了《人类遗传资源管理常见问题解答》，供申请人在申报过程中进行参考，往期发布的常见问题解答同时作废。

[来源：中华人民共和国科学技术部](#)

# 行业动态

2023.9

## 「乌帕替尼」中国化合物专利被宣告无效

近日，艾伯维自主研发产品乌帕替尼中国化合物专利无效口审决定结果，专利号为201080062920.6的专利权全部无效，专利号为201810902092.0的专利权部分无效。

该2篇专利是乌帕替尼的核心专利，权利要求保护范围涉及乌帕替尼的化合物、含有乌帕替尼的药物组合物、乌帕替尼的医药用途等，专利权要到2030年12月到期。2022年12月，四川国为制药有限公司针对以上两个专利向国家知识产权局提交了无效宣告请求，通过双方近一年的证据和反证，合议组最终给出结论：乌帕替尼中国化合物专利无效。

来源：[国家知识产权局](#)

## 丹纳赫Danaher以57亿美元收购Abcam

8月28日，全球科技创新领导者丹纳赫集团Danaher (纽约证券交易所代码: DHR) 宣布，已与全球领先的蛋白质耗材供应商Abcam plc (纳斯达克代码: ABCM) 达成最终协议，根据该协议，丹纳赫将以每股24.00美元(约合174.96元人民币)的现金收购Abcam的所有流通股，交易总价或达到57亿美元(约合415.53亿元人民币)，包括承担的债务和扣除收购现金。

来源：[Fierce Pharma](#)

## 华东医药引进银屑病新药

8月30日，华东医药股份有限公司（SZ.000963）的全资子公司杭州中美华东制药有限公司（以下简称“华东医药”）与MC2 Therapeutics A/S的全资子公司MC2 Therapeutics Ltd.（以下简称“MC2”）宣布签署战略合作协议。根据协议，华东医药将获得 MC2 用于治疗斑块状银屑病的药物Wynzora®乳膏在大中华区（中国大陆、香港、澳门和台湾）的独家开发和商业化权益。

根据协议条款，MC2 将获得最高不超过1,600万美元的预付款和注册里程碑付款，以及最高不超过3,600万美元的销售里程碑付款和两位数的分级特许权使用费。

来源：[华东医药](#)

简评:

本次华东医药引进的Wynzora乳膏是一种卡泊三醇和倍他米松的固定剂量复方制剂，用于局部治疗成人斑块状银屑病，包括头皮银屑病。该产品利用了MC2公司的药物递送系统PAD技术，使其成为一种方便使用的水性乳膏。Wynzora乳膏已于2020年7月获得美国FDA批准，并于2021年7月在欧洲获批。

除与MC2签署战略合作协议外，本月华东医药还与Arcutis Biotherapeutics达成合作，获得后者新一代磷酸二酯酶-4 (PDE4) 抑制剂罗氟司特两种外用制剂在大中华区及东南亚的独家许可。其中，罗氟司特乳膏也是斑块状银屑病治疗产品。这项合作涉及金额超9000万美元。

### **Sirnaomics宣布RNAi疗法产品STP707 用于治疗多种实体瘤的I期临床试验取得成功**

8月31日，Sirnaomics公司公布其RNAi疗法STP707治疗多种实体瘤的1期临床试验获积极结果。该试验针对患有各类晚期实体瘤且对标准疗法无反应的患者，已完成所有剂量队列给药。最新数据显示，试验中约74%的可评估患者呈现出疾病稳定（SD）的最佳反应，有数名患者依据实体瘤效应评价标准判定为肿瘤负荷量减轻。

STP707由靶向TGF- $\beta$ 1和COX-2 mRNA的两个siRNA寡核苷酸组成，并与组氨酸-赖氨酸共聚肽（HKP+H）的载体结合配制成纳米颗粒制剂。这种特定的多肽载体与STP705所用的载体不同。每个单独的siRNA都具备抑制相应靶点mRNA表达的能力。而STP707可同时抑制TGF- $\beta$ 1和COX-2的表达，从而产生协同效应，减少炎症反应。且TGF- $\beta$ 1和COX-2的过度表达已被证实在肿瘤形成中起着关键的调节作用。在STP707的一项临床前研究中，静脉注射给药后可观察到包括肝脏、肺和异种移植瘤等器官中的TGF- $\beta$ 1和COX-2基因表达被敲低。此外，在多个临床前模型中，STP707显示出对多种实体肿瘤类型强大的抗肿瘤活性。在小鼠原位肝癌模型中，STP707和免疫检查点抗体联用，具有协同的抗肿瘤活性。

来源: [Sirnaomics](#)

### **亿腾医药与纳肽得达成战略合作，携手助力小核酸药物开发**

9月1日，亿腾医药（以下简称“亿腾”）与纳肽得（青岛）生物医药有限公司（以下简称“纳肽得”）共同宣布：双方达成战略合作协议，将就心血管领域的小核酸药物研发开展深度合作。基于协议，纳肽得独家授权亿腾在大中华和东南亚地区开发、生产及商业化靶向ANGPTL3 和 Lp(a)的两款小干扰RNA（siRNA）药物，亿腾向纳肽得支付首付款、里程碑付款和未来上市产品的销售提成。

RNA干扰（RNAi）是一种通过双链RNA对基因进行沉默的方法。其中一些以序列依赖的方式靶向特定的基因并抑制他们的表达，被称为小干扰RNA（siRNA）。作为近几年来崭露头角的新技术药物，siRNA药物具有可成药靶点多、药效强、安全性好、给药频率低的优势，且适应症领域广泛，涵盖心血管疾病、罕见病、神经性疾病、病毒性肝炎、眼科疾病、肿瘤等，已成为全球范围内极具发展潜力的前沿医药领域之一。

[来源：亿腾医药](#)

## 和誉医药CSF-1R抑制剂在欧洲获批全球多中心III期临床

9月11日，和誉医药宣布，其创新CSF-1R抑制剂Pimicotinib（ABSK021）被欧洲药品管理局（以下简称“EMA”）批准进入一项针对腱鞘巨细胞瘤患者的有效性和安全性的随机、双盲、安慰剂对照、多中心的III期临床研究。

此前pimicotinib已分别在中国和美国获批进入III期临床，这是和誉医药管线中第一个同时获得中美欧三地国际多中心临床III期试验许可的小分子抑制剂。

[来源：上海和誉生物医药科技有限公司](#)

## 诺和诺德长效疗法上市申请拟纳入优先审评

9月1日，中国国家药监局药品审评中心（CDE）官网公示，诺和诺德（Novo Nordisk）申请的注射用培图罗凝血素 $\alpha$ （turoctocog alfa pegol）的新药上市申请拟纳入优先审评，拟用于成人和儿童血友病A（先天性凝血因子VIII缺乏）患者：按需治疗及控制出血事件；围手术期管理；常规预防治疗以防止或减少出血事件的发生。公开资料显示，这是一款长效重组凝血因子VIII（FVIII），已在美国获批用于成人和儿童血友病A患者的预防性治疗和急性治疗。

[来源：国家药品监督管理局药品审评中心](#)

简评：

2019年2月，注射用培图罗凝血素 $\alpha$ 获得美国FDA批准上市，用于成人和儿童血友病A患者的预防性治疗和急性治疗（商品名：Esperoct）。该批准是基于270名血友病A患者参与的临床试验结果。数据显示，每4天一次的预防性注射用培图罗凝血素 $\alpha$ （50 IU/kg）治疗，能够将年出血率维持到每年1.18次的低水平。试验结果还显示，该产品可作为治疗和控制出血的有效急性疗法，以及有效的围手术期出血控制手段。同时，注射用培图罗凝血素 $\alpha$ 还展示了良好的安全性和耐受性。

研究人员还对使用注射用培图罗凝血素 $\alpha$ 的血友病A患者进行调研，观察分析患者在转换为该产品治疗后的满意度，并与先前治疗进行比较。结果发现，相较于之前的治疗，患者使用注射用培图罗凝血素 $\alpha$ 后更满意，主要原因是：输注频率减少、易储存、止血疗效佳、生活质量提高。总之，血友病A患者可从注射用培图罗凝血素 $\alpha$ 的治疗中获益。

## 百济神州BTK抑制剂「泽布替尼」在智利、厄瓜多尔获批

9月5日，百济神州宣布其BTK抑制剂泽布替尼（百悦泽）在拉丁美洲取得最新药政进展，该药在智利、厄瓜多尔获批，用于治疗慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）成人患者。截至目

前，泽布替尼已在全球65+国家或地区获批。

泽布替尼是一款布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）小分子抑制剂，目前正在全球进行广泛的临床试验项目，作为单药和与其他疗法进行联合用药治疗多种B细胞恶性肿瘤。由于新的BTK会在人体内不断合成，泽布替尼的设计通过优化生物利用度、半衰期和选择性，实现对BTK蛋白完全、持续的抑制。

[来源：百济神州](#)

## 百时美施贵宝遭蓝十字蓝盾反垄断起诉

2023年9月6日，据媒体报道，抗多发性骨髓瘤药物Pomalyst的开发者百时美施贵宝（Bristol Myers Squibb Company）被指控使用欺诈性专利和其他非法手段维持其垄断地位，阻止仿制药进入市场。路易斯安那州的蓝十字蓝盾医疗保险公司（Blue Cross and Blue Shield of Louisiana）代表自2020年10月以来为Pomalyst付费的机构提起了诉讼，声称百时美施贵宝违反了美国反垄断法，导致该药物的购买者支付了“数百万，甚至数十亿美元”的过高费用。Pomalyst是百时美施贵宝的畅销产品之一，百时美施贵宝2021年的总收入为461.6亿美元，而Pomalyst为百时美施贵宝带来了近35亿美元的收入。然而随着越来越多的患者通过患者援助计划免费获得该药物，百时美施贵宝预测Pomalyst的销量将于今年下降。目前百时美施贵宝已经与Teva制药、Aurobindo Pharma、Breckeridge Pharmaceutical、Natco Pharma达成协议，延迟仿制药上市时间至2026年。

[来源：Nasdaq](#)

## 抗癌新药「米托坦片」在中国获批上市

9月8日，据国家药品监督管理局（NMPA）官网最新公示，HRA Pharma Rare Diseases公司的米托坦片（mitotane）已在中国获批上市。根据优先审评公示信息，该药本次获批的适应症为肾上腺皮质癌（ACC）。

米托坦是一种肾上腺细胞毒性活性物质，可抑制肾上腺皮质产生皮质类固醇激素。对米托坦作用方式的研究发现，该药有两个主要的生物学效应：一是通过线粒体改变和抑制甾醇-O-酰基转移酶1（SOAT1）的活性，米托坦可对肾上腺皮质细胞产生直接的细胞毒性作用；二是通过改变皮质醇的外周代谢并直接抑制肾上腺皮质分泌皮质类固醇，来抑制皮质类固醇的合成。

[来源：国家药品监督管理局](#)

# 专业团队



**吴立**

合伙人

liwu@lifanglaw.com



**郑曦林**

合伙人

xilinzheng@lifanglaw.com



**王颖**

合伙人

yingwang@lifanglaw.com



**杨剑**

高级顾问

jianyang@lifanglaw.com



**王蕊**

高级顾问

ruiwang@lifanglaw.com



**吴润芝**

高级顾问

runzhiwu@lifanglaw.com



**胡俊**

高级顾问

junhu@lifanglaw.com

立方律师事务所编写本刊的目的仅为帮助客户及时了解中国法律及实务的最新动态和发展，上述有关信息不应被看作是特定事务的法律意见或法律依据，上述内容仅供参考。



Subscribe to our WeChat community

北京 | 上海 | 武汉 | 广州 | 深圳 | 海口 | 首尔

---

 [www.lifanglaw.com](http://www.lifanglaw.com)

 Email: [info@lifanglaw.com](mailto:info@lifanglaw.com)

 Tel: +8610 64096099

 Fax: +8610 64096260/64096261