

· 全球药讯 ·

GLOBAL PHARMACEUTICAL
INFORMATION

编者按：本刊于2013—2019年连续7年分期译载了科睿唯安（原汤森路透公司）独家授权的“全球新药研发报告”，该报告一经刊出，就因内容全面、资料权威、视角独到、数据翔实、时效性强广受好评。读者纷纷来函索要单行本，众多药企高层对该报告也高度关注。

本期“全球药讯”栏目继续刊登由科睿唯安独家授权的“2019年全球新药研发报告”（IV）。相信会为广大读者提供翔实、及时的行业资讯，为启迪研发思路、锁定研发管线助一臂之力！

2019 年全球新药研发报告（IV）

Graul A I, Pina P, Tracy M, Sorbera L

（科睿唯安）

【摘要】通过对全球药品市场新获批和新上市的药物进行年度综述，重点内容包括：截至目前，在囊性纤维化治疗中应用最广泛的Trikafta的获批和上市；首款常规（非应急）接种用的埃博拉疫苗的获批；全球首款疟疾疫苗在3个非洲国家的试点推广；一种新型多药耐药细菌感染治疗药物的获批；首款阿尔茨海默病原研药在中国的获批上市，结束全球10余年来相关领域无新药上市的历史。随着多款新型免疫检查点抑制剂和抗体药物偶联物的恶性肿瘤适应症相继获批，证实了生物制药行业对恶性肿瘤免疫疗法的投入热情持续上涨。2019年最引人瞩目的趋势是美国FDA授予了创纪录数量的加速审批，其中多项审评的批准早于预期批准日期多达数月。

【关键词】新药获批；产品线拓展产品；新剂型；新适应症；新联合用药；孤儿药；同类首创新药；加速审批

【中图分类号】 R97

【文献标志码】 A

【文章编号】 1001-5094 (2020) 12-0954-11

A Report of New Drugs Research and Development in 2019 (IV)

Graul A I, Pina P, Tracy M, Sorbera L

(Clarivate Analytics)

【Abstract】 Highlights of our annual review of new approvals and launches on global drug markets include the approval and launch of Trikafta, the most widely applicable treatment to date for cystic fibrosis; approval of the first Ebola vaccine for general (rather than emergency) use; the pilot rollout in three African countries of the world's first malaria vaccine; approval of a new treatment option for multidrug-resistant bacterial infections; and the approval and launch in China of the first new drug to treat Alzheimer's disease in more than a decade. Several new immune checkpoint inhibitors and antibody-drug conjugates were approved for cancer indications, confirming continued industry enthusiasm for cancer immunotherapy. The most notable trend of 2019 was the granting by the Food and Drug Administration (FDA) of a record number of accelerated approvals, many of which were issued several months ahead of the expected action date.

【Key words】 new drug approval; new line extension; new formulation; new indication; new combination; orphan drug; first-in-class drug; accelerated approval

（接2020年第8期）

16 代谢疾病药物

骨质疏松症是一种年龄相关性很强的疾病，由骨重建生理过程中的不平衡所致。长期以来，骨质疏松症的主要治疗药物始终是雌激素、双膦酸盐和抗RANKL抗体狄诺塞单抗，这些药物均为减少骨

吸收，从而减缓骨流失。但在合成代谢药物领域的新药较少，即促进新骨形成的药物。2019年，一种具有合成代谢活性的全球首创新药在日本获批上市，即抗硬化蛋白单克隆抗体 romosozumab (Evenity; UCB/Amgen Astellas BioPharma)。骨硬化蛋白是一种骨形态发生蛋白拮抗剂，可抑制骨祖细胞分化并降低成骨细胞活性。骨硬化蛋白由埋在骨基质中的

骨细胞产生的 *SOST* 基因表达, 是骨形成的强效抑制剂。成骨细胞被埋入矿化骨基质后, 转变为骨细胞, 并开始表达控制骨形成和磷酸盐代谢的硬化蛋白。Romosozumab 和其他抑制骨硬化蛋白的药物均可增强成骨细胞功能, 从而同时促进骨形成和抑制骨吸收。Romosozumab 在日本的适应证为存在骨折高风险的男性和绝经后女性的骨质疏松症。2019 年下半年, romosozumab 在美国获批上市, 用于治疗存在骨折高风险的绝经后女性, 或其他现有骨质疏松症治疗失败或不耐受的骨质疏松症患者。

急性肝卟啉症 (AHP) 是一类极其罕见的遗传性疾病, 以可能危及生命的发作为特征; 对于一些患者而言, 慢性的临床表现对日常功能和生活质量会带来不利影响。AHP 分为 4 种类型: 急性间歇性卟啉症、遗传性粪卟啉症、混合型卟啉症和 ALA 脱水酶缺乏性卟啉症。每种类型的 AHP 的病因均为遗传缺陷导致肝脏血红素生物合成通路的某种酶缺乏所致。2019 年, FDA 批准 Alnylam Pharmaceuticals 公司的 givosiran (Givlaari) 用于治疗成人 AHP, 该药是一种靶向 5-氨基乙酰丙酸合酶 1 (ALAS1) 的小干扰 RNA (siRNA)。该药物经优先审评后, 基于一项在 94 例 AHP 患者的 III 期 ENVISION 研究 (NCT03338816) 的结果, 于 2019 年 11 月获批。在一项关键性随机双盲安慰剂对照的多国研究中, AHP 患者接受 givosiran 治疗后, 卟啉症的发作次数相较安慰剂治疗组患者减少 70%。同样, 该药物治疗还可以减少静脉输注血红素的用量, 而且尿氨基乙酰丙酸和尿卟胆原的水平也有所下降。与治疗相关的最常见不良反应为恶心 (27%) 和注射部位的

反应 (25%)。

2019 年 5 月, Ionis Pharmaceuticals 及其全资子公司 Akcea Therapeutics 获得了 volanesorsen (Waylivra) 在欧盟有条件的上市许可, 该药适用于作为基因检测确认家族性乳糜微粒血症 (FCS) 且胰腺炎风险较高的成人患者的饮食辅助治疗, 这些患者对饮食限制和降脂治疗的应答不足。FCS 是一种罕见的常染色体隐性遗传病, 由脂蛋白脂肪酶突变引起, 进而导致血浆中乳糜微粒蓄积和高三酰甘油血症^[34]。在高三酰甘油血症的并发症中, 急性胰腺炎是最为严重的一种。Volanesorsen 是一种反义寡核苷酸, 旨在减少载脂蛋白 C-III (ApoC-III) 的生成, 而 ApoC-III 是一种调节血浆三酰甘油的蛋白。作为有条件上市许可的一部分, Akcea 和 Ionis 公司基于临床试验登记将进行一项非干预性的许可后安全性研究 (PASS)。III 期临床 APPROACH 研究 (NCT02211209) 是迄今为止针对 FCS 患者进行的最大规模的研究; 在该研究中, 与安慰剂相比, 反义药物治疗导致具有临床意义和统计学意义的血浆三酰甘油水平降低。对有复发性胰腺炎病史的患者的分析显示, 与安慰剂治疗组患者相比, 接受 volanesorsen 治疗的患者中胰腺炎发作率显著降低。APPROACH 试验中最常见的不良事件是注射部位反应和血小板水平降低。由于 FCS 是一种尚无有效治疗方案的罕见病, volanesorsen 的研发获得了多个监管项目的支持, 包括欧盟和美国的孤儿药资格认定以及英国突破性创新药物 (PIM) 资格认定。该产品于 2019 年 8 月在德国和法国上市。2019 年上市新药完整清单详见表 3。

表 3 2019 年新批准药物

Table 3 New drugs approved in 2019

商品名 (上市国家/地区) ¹	开发公司	活性成分/剂型/规格	适应证
Piqray (美国)	诺华	alpelisib, 片剂, 50 mg、150 mg、200 mg	联合氟维司群治疗激素受体阳性、HER2 阴性 (HR ⁺ /HER2 ⁻)、携带 <i>PIK3CA</i> 突变的绝经后女性和男性晚期或转移性乳腺癌患者
Katerzia (美国)	Azurity	苯磺酸氨氯地平口服混悬剂, 1 g·L ⁻¹	单药或与其他降压药和抗心绞痛药物联合使用, 用于: ● 降低年满 6 岁的儿童和成人高血压患者的血压 ● 冠心病 (包括慢性稳定型心绞痛; 血管痉挛性心绞痛; 无心力衰竭或射血分数低于 40% 的冠心病患者)
Otezla (美国)	新基生物	apremilast, 片剂, 10 mg、20 mg、30 mg	治疗白塞病患者的口腔溃疡*

续表 3

商品名 (上市国家/地区) ¹	开发公司	活性成分/剂型/规格	适应症
Stemirac (日本)	Nipro	在自体血清中扩增的自 体人骨髓来源的间充质干 细胞	治疗脊髓损伤
Collatogene (日本)	AnGes/ 田边三菱	bepermingene perplasmid, 肌肉注射, 4 mg	改善对标准药物治疗应答不足且难以接受血运重建的慢性动 脉闭塞(闭塞性动脉硬化症和 Buerger 病)患者的溃疡程度
Vyleesi (美国)	Palatin Technologies/ AMAG Pharmaceuticals	bremelanotide, 皮下注射液, 用预充式自动注射笔注射, 1.75 mg/0.3 mL	治疗绝经前女性出现的获得性、全身性性欲减退障碍
Zulresso (美国)	Sage Therapeutics	brexanolone, 注射剂, 100 mg/20 mL (5 g·L ⁻¹) 单剂 量小瓶	治疗产后抑郁症
Beovu (美国)	诺华	brovacizumab, 注射液, 用 预充式注射器注射, 0.165 mL (6 mg/0.05 mL)	治疗湿性年龄相关性黄斑变性
Breztri Aerosphere (日本)	阿斯利康	布地奈德/格隆溴铵/富马酸 福莫特罗 ^{***} , 定量吸入器, 每揿递送 160 μg/9 μg/5 μg 剂量	缓解慢性阻塞性肺疾病症状
艾瑞卡 (中国)	江苏恒瑞	艾瑞利单抗, 注射剂, 200 mg	作为复发性/难治性经典型霍奇金淋巴瘤的三线治疗
Invokana (美国)	田边三菱/杨森	卡格列净, 片剂, 100 mg、 300 mg	降低成人 2 型糖尿病和糖尿病肾病白蛋白尿患者发生终末期 肾病、血清肌酐翻倍、心血管死亡和因心力衰竭住院的风险 [*]
Nubeqa (美国)	拜耳/Orion	darolutamide, 片剂, 300 mg	用于治疗非转移性去势抵抗型前列腺癌患者
Dextenza (美国)	Ocular Therapeutix	地塞米松, 眼内(泪小管内) 用药, 0.4 mg ^{***}	治疗眼科手术后眼部炎症和疼痛
Dovato (美国)	ViiV Healthca re	多替拉韦/拉米夫定 ^{**} , 片剂, 50 mg/300 mg	治疗无抗逆转录病毒治疗史且对多替拉韦或拉米夫定无已知 耐药性的成人 HIV-1 感染患者
Slynd (美国)	Exeltis USA	屈螺酮, 片剂, 4 mg	供育龄期女性避孕用
Dupixent (美国)	Regeneron/ 赛诺 菲	dupilumab, 注射剂, 300 mg/2 mL 注射液, 预充式注 射器注射	与其他药物联合使用治疗病情控制不佳的成人慢性鼻炎炎伴 鼻息肉 [*]
Soliris (美国)	Alexion	eculizumab 单抗, 注射液, 300 mg/30 mL, 单剂量小瓶	治疗抗水通道蛋白-4 (AQP4) 抗体阳性成年患者的视神经 脊髓炎谱系障碍 [*]
Trikafta (美国)	Vertex	elexacaftor/tezacaftor/ ivacaftor ^{**} , 片剂, 含 elexacaftor 100 mg/tezacaftor 50 mg/ivacaftor 75 mg 的固 定剂量复方制剂; 与片剂共 同包装, ivacaftor 150 mg	治疗年满 12 岁 <i>CFTR</i> 基因中至少携带 1 个 F508del 突变携 带的患者的囊性纤维化
Gamifant (美国)	NovImmune/Sobi	emapalumab, 输注液, 10 mg/2 mL、50 mg/10 mL	治疗原发性噬血细胞性淋巴瘤组织细胞增生症的成人和儿童 (新生儿和更大的儿童)
Rozlytrek (美国)	Chugai/ 罗氏	entrectinib, 胶囊, 100 mg、200 mg	<ul style="list-style-type: none"> ● 治疗实体肿瘤有 <i>NTRK</i> 基因融合但无已知获得性耐药突 变, 转移性或手术切除可能导致严重发病率、治疗后进展 或无满意替代疗法的 12 岁及以上儿童和成人患者 ● 治疗伴 <i>ROS1</i> 基因融合的转移性非小细胞肺癌成人患者
Balversa (美国)	杨森	erdafitinib, 片剂, 3 mg、4 mg、5 mg	治疗携带易感 <i>FGFR3</i> 或 <i>FGFR2</i> 基因变异且在既往接受至少 一线含铂化疗期间或之后发生进展的局部晚期或转移性尿路 上皮癌的成人患者
Minnebro (日本)	Exelixis/ 第一三 共	esaxerenone, 片剂, 1.25 mg、2.5 mg、5 mg	高血压
Spravato (美国)	杨森	盐酸艾司氯胺酮, 鼻喷 剂 ^{***} , 28 mg	与成人口服抗抑郁药联合治疗难治性抑郁症患者 [*]

续表 3

商品名 (上市国家/地区) ¹	开发公司	活性成分/剂型/规格	适应证
Bijuva (美国)	TherapeuticsMD	17 β -雌二醇/孕酮 ^{**} , 胶囊, 1 mg/100 mg	治疗保留有子宫的女性因更年期引起的中度至重度血管舒缩 症状
Orkedia (日本)	Kyowa Kirin	evocalcet, 片剂, 1 mg、2 mg	治疗不能接受甲状旁腺切除术或甲状旁腺切除术后复发的甲 状旁腺癌或原发性甲状旁腺功能亢进患者的高钙血症*
Inrebic (美国)	新基生物	fedratinib, 胶囊, 100 mg	治疗成人中危-2 级或高危原发性或继发性(真性红细胞增多 症后或原发性血小板增多症后)骨髓纤维化患者
Baqsimi (美国)	礼来	胰高血糖素, 单剂量鼻内给 药装置 ^{***} 含干粉, 3 mg	治疗年满 4 岁糖尿病患者的严重低血糖
Gvoke (美国)	Xeris Pharmaceuticals	胰高血糖素, 单剂量预充式 HypoPen 自动注射器 ^{***} , 0.5 mg/0.1 mL、1.0 mg/0.2 mL; 单剂量预充式注射器, 0.5 mg/0.1 mL、1.0 mg/0.2 mL	治疗年满 2 岁儿童和成年糖尿病患者的严重低血糖
Vyondys 53 (美国)	Sarepta Therapeutics	golodirsen, 注射剂, 100 mg/2 mL (50 g·L ⁻¹) 单剂量 小瓶	治疗已证实携带适合 53 号外显子跳跃的基因突变的杜氏肌 营养不良患者
甘露特钠胶囊 (中国)	上海绿谷制药	GV-971, 胶囊	治疗轻度至中度阿尔茨海默病
Duobrii (美国)	Bausch Health	halobetasol propionate/ 他扎罗汀 ^{**} , 洗液, 0.01%/0.045%	成人斑块状银屑病的局部治疗
Asceniv (美国)	ADMA Biologies	免疫球蛋白静脉注射制剂 (human-slra), 静脉注射液, 10%	治疗成人和青少年(12~17 岁)原发性体液免疫缺陷
Xembify (美国)	Grifols	免疫球蛋白皮下注射 (human-klhw), 皮下注 射液, 20%	治疗年满 2 岁患者的原发性体液免疫缺陷
Taltz (美国)	礼来	ixekizumab, 注射液, 用单剂 量预充式自动注射器注射, 80 g·L ⁻¹ ; 注射液, 用单剂量 预充式注射器注射, 80 g·L ⁻¹	治疗成人活动性强直性脊柱炎患者*
Xenleta (美国)	Nabriva Therapeutics	lefamulin, 片剂, 600 mg; 注射剂瓶, 150 mg/15 mL	治疗由敏感微生物引起的成人社区获得性细菌性肺炎患者
Inbrija (美国)	Acorda Therapeutics	左旋多巴, 胶囊型干粉吸入 剂 ^{***} , 含 42 mg 左旋多巴, 与 Inbrija 吸入器同时使用	卡比多巴/左旋多巴治疗帕金森病患者的“关闭期”发作间 歇治疗
Reblozyl (美国)	Accelaron/ Celgene	luspatercept, 冻干粉末, 单 次使用小瓶装, 25 mg 和 75 mg, 用于复溶和皮下注射	治疗需定期输注红细胞的成人 β -地中海贫血患者的贫血
Tarlige (日本)	第一三共	苯磺酸米罗加巴林, 片剂, 2.5 mg、5 mg、10 mg、15 mg	治疗周围神经痛
Jynneos (美国)	Bavarian Nordic	MVA-BN 天花疫苗, 皮下 注射混悬液, 一次性小瓶 装, 0.5 mL	预防确定为高危的年满 18 岁成人出现猴痘病*
Efleira (俄罗斯)	Biocad	netakimab, 皮下注射液, 60 g·L ⁻¹	治疗中度至重度斑块状银屑病
Rocklatan (美国)	Aerie Pharmaceuticals	netarsudil mesylate/ 拉坦前 列素 ^{***} , 滴眼液, 0.2 g·L ⁻¹ (0.02%) netarsudil/0.05 mg/ mL (0.005%) 拉坦前列素	降低开角型青光眼或高血压患者的眼内压升高
Ofev (美国)	Boehringer Ingelheim	nintedanib, 胶囊, 100 mg、150 mg	减缓系统性硬化症相关性间质性肺病患者的肺功能下降速度*
Nuzyra (美国)	Paratek	omadacycline, 冻干粉, 100 mg, 单次给药小瓶装, 用 于复溶和在静脉输注前进 一步稀释; 片剂, 150 mg	治疗敏感微生物引起下列感染的成年患者: 社区获得性细菌 性肺炎; 急性皮肤及皮肤结构感染

续表 3

商品名 (上市国家/地区) ¹	开发公司	活性成分/剂型/规格	适应症
Zolgensma (美国)	AveXis (Novartis)	onasemnogene abeparvovec, 静脉输注混悬液, 一次性小瓶装, 5.5 mL 或 8.3 mL, 含标称浓度每毫升 2.0×10^{13} 载体基因组 (vg)	治疗 2 岁以下儿童 <i>SMN1</i> 基因双等位基因突变的脊髓性肌萎缩症患者
Smyraf (日本)	Astellas	peficitinib hydrobromide, 片剂, 50 mg、100 mg	在常规治疗疗效不佳的患者中, 治疗类风湿性关节炎, 包括预防关节结构损伤
Turalio (美国)	Plexxikon/Daiichi Sankyo	pexidartinib hydrochloride, 胶囊, 200 mg	治疗病情严重或功能受限且无法通过手术改善的成人症状性腱鞘巨细胞瘤患者
Polivy (美国)	Genentech	polatuzumab vedotin, 冻干粉一次性小瓶装, 140 mg	联合苯达莫司汀加利妥昔单抗治疗成人复发性或难治性弥漫性大 B 细胞淋巴瘤患者
Fulaimei (中国)	Hansoh Pharma	聚乙二醇 loxenatide, 皮下注射液, 用预充式注射笔或注射器, 长效, 0.1mg/0.5 mL 和 0.2 mg/0.5 mL	治疗成人 2 型糖尿病
(美国)	TB Alliance/ Mylan	pretomanid, 片剂, 200 mg	作为贝达喹啉和利奈唑胺联合用药方案的一部分, 治疗成人广泛耐药 (XDR)、治疗不耐受或无反应的多药耐药 (MDR) 结核患者
Vanflyta (日本)	Daiichi Sankyo	quizartinib, 片剂, 17.7 mg、26.5 mg	治疗日本厚生劳动省 (MHLW) 批准的检测发现的成人复发性/难治性 FLT3-ITD 急性髓系白血病患者
Ultomiris (美国)	Alexion	ravulizumab, 静脉注射液, 单剂量小瓶装, 300 mg/30 mL ($10 \text{ g} \cdot \text{L}^{-1}$)	<ul style="list-style-type: none"> ● 治疗成人阵发性夜间血红蛋白尿患者 ● 治疗成人和 1 月龄以上儿童非典型溶血性尿毒症综合征患者, 抑制补体介导的血栓性微血管病
Relumina (日本)	武田 /Aska	relugolix, 片剂, 40 mg	缓解子宫肌瘤症状
Remo (印度)	Glenmark/ Avolynt	remogliflozin etabonate, 片剂, 100 mg	治疗成人 2 型糖尿病
Aemcolo (美国)	Cosmo Pharmaceuticals/ RedHill Biopharma	利福霉素, 结肠缓释片 ^{***} , 194 mg	治疗成人非侵袭性大肠埃希菌菌株引起的旅行者腹泻
Skyrizi (美国, 英国)	AbbVie/ Boehringer Ingelheim	risankizumab, 皮下注射液, 用单剂量预充式注射器注射, 75 mg/0.83 mL	治疗成人中度至重度斑块状银屑病患者
Evenity (日本)	UCB/Amgen Astellas BioPharma	romosozumab, 皮下注射液, 用预充式注射器注射, 105 mg/1.17 mL	治疗骨折高风险男性和绝经后女性的骨质疏松症
Besremi (奥地利, 德国)	PharmaEssentia/ AOP Orphan	ropeginterferon α -2b, 预充式注射笔, 250 μg /0.5 mL、500 μg /0.5 mL	单药治疗成人无症状性脾肿大的真性红细胞增多症
爱瑞卓 (中国)	FibroGen/ AstraZeneca	罗沙司他, 胶囊, 50 mg	治疗慢性肾病导致的透析依赖性贫血
Mosquirix (马拉维)	葛兰素史克	RTS,S/AS01E, 注射用混悬液的粉末和混悬液; 复溶后, 1 剂 (0.5 mL) 含 25 mg RTS,S1,2, 以 AS01E 为佐剂	预防 2 岁以下儿童出现疟疾
Jakafi (美国)	Incyte	磷酸芦可替尼, 片剂, 5 mg、10 mg、15 mg、20 mg、25 mg	治疗成人和年满 12 岁儿童类固醇难治性急性移植抗宿主病患者 [*]
Seysara (美国)	Paratek/Almirall	sarecycline hydrochloride, 片剂, 相当于 60 mg、100 mg 和 150 mg sarecycline base	治疗年满 9 岁的中度至重度非结节性寻常型痤疮患者的炎症病变
Annovera (美国)	Population Council/ TherapeuticsMD	醋酸孕酮 (SA) / 炔雌醇 (EE) ^{**} , 硅胶阴道避孕环含 103 mg SA 和 17.4 mg EE, 平均释放 $0.15 \text{ mg} \cdot \text{d}^{-1}$ SA 和 $0.013 \text{ mg} \cdot \text{d}^{-1}$ EE	供育龄期女性避孕用

续表 3

商品名 (上市国家/地区) ¹	开发公司	活性成分/剂型/规格	适应证
Xpovio (美国)	Karyopharm	selinexor, 片剂, 20 mg	与地塞米松联合用于治疗至少接受过 4 种既往治疗且对几种其他形式的治疗耐药的成人复发性/难治性多发性骨髓瘤患者
Rybelsus (美国)	诺和诺德	索马鲁肽, 片剂, 7 mg 和 14 mg ^{**}	作为饮食控制和运动的辅助治疗, 以改善成人 2 型糖尿病血糖
Tyvyt (中国)	Innovent Biologics/礼来	信迪利单抗, 静脉注射, 100 mg/10 mL	治疗复发性/难治性经典型霍奇金淋巴瘤患者
Mayzent (美国)	诺华	siponimod fumarate, 片剂, 0.25 mg 和 2 mg	治疗成人复发型多发性硬化患者, 包括临床孤立综合征、复发-缓解型疾病和活动性继发性进展型疾病
Lokelma (丹麦, 芬兰, 挪威, 瑞典)	阿斯利康	环硅酸钠铝, 口服混悬液, 5 g 和 10 g	治疗成人高钾血症
Sunosil (美国)	Jazz Pharmaceuticals	solriamfetol hydrochloride, 片剂, 75 和 150 mg	提高与成人发作性睡眠或阻塞性睡眠呼吸暂停相关的日间过度嗜睡患者的醒觉状态
Elzonris (美国)	Stemline Therapeutics	tagraxofusp, 单剂量小瓶 装溶液, 1 mL 含 1 000 µg tagraxofusp	治疗成人和 2 岁以上儿童患者的母细胞性浆细胞样树突状细胞肿瘤
(中国)	天济医药	tapinarof, 乳膏	治疗成人中度稳定性寻常型银屑病
K-CAB (韩国)	RaQualia/ CJ HealthCare	tegoprazan, 片剂, 50 mg	治疗胃食管反流病, 包括糜烂性食管炎和非糜烂性反流病
Tuoyi (中国)	上海君实生物	特瑞普利单抗, 小瓶装, 240 mg	治疗常规全身治疗失败的局部晚期或转移性黑色素瘤患者
Itulazax (德国)	ALK-Abelló	树花粉舌下免疫治疗 (SLIT), 舌下片剂, 12 SQ-Bet 标准化白桦花粉变 应原提取物 (疣皮桦)	治疗由桦木同源树家族花粉引起的成年中度至重度过敏性鼻炎和 (或) 结膜炎患者
Trecondi (德国)	Medac	treosulfan, 小瓶装静脉注射 液用粉末, 50 g·L ⁻¹	联合氟达拉滨作为恶性和非恶性疾病成人患者以及 1 月龄以上儿童恶性疾病患者接受异基因造血干细胞移植前的预处理治疗的一部分*
Aklief (美国)	Galderma	trifarotene, 乳剂, 0.005%	年满 9 岁的寻常型痤疮患者的外用治疗
Esperoct (德国, 瑞士)	诺和诺德	turoctocogapegol, 注射用粉 剂和溶剂, 500 IU、1 000 IU、1 500 IU、2 000 IU 和 3 000 IU	治疗和预防年满 12 岁血友病 A (先天性因子 VIII 缺乏) 患者出血
Rinvoq (美国)	AbbVie	upadacitinib tartrate, 片剂, 缓释, 15 mg	治疗甲氨蝶呤疗效不佳或治疗不耐受的成人中重度活动性类风湿性关节炎患者
Waylivra (德国, 法国)	Akcea Therapeutics (Ionis Pharmaceuticals)	volanesorsen, 注射液, 285 mg	在经基因检测确诊的成人家族性乳糜微粒血症和胰腺炎高危患者 (饮食控制和降脂治疗效果不佳) 中, 作为辅助治疗
Oxbryta (美国)	Global Blood Therapeutics	voxelotor, 片剂, 500 mg	治疗年满 12 岁儿童和成人的镰状细胞病
Brukinsa (美国)	BeiGene	泽布替尼, 胶囊, 80 mg	治疗既往接受过至少一种治疗的成人套细胞淋巴瘤患者

¹ 国家代码为世界知识产权组织使用的缩写
*: 新适应证; **: 新联合用药; ***: 新剂型

17 展望

根据 Cortellis 早期药物研发情报和 Cortellis 综合性竞争情报的分析, 我们期待以下药物和生物制品将会是 2020 年度本系列文章的讨论内容。

AR-101 (Palforzia; Aimmune Therapeutics) 是一种由花生衍生物的口服免疫治疗药物, 有望成为

首个获批用于花生过敏脱敏治疗药物。2019 年 9 月, FDA 过敏产品咨询委员会建议批准该药品用于 4~17 岁儿童。生物制品许可申请 (BLA) 的审评目标日期为 2020 年 1 月下旬。

Horizon Therapeutics 公司的 teprotumumab 是一种针对人胰岛素样生长因子 1 受体 (IGF-1R)

的人源化单克隆抗体, 将成为活动性甲状腺眼病 (又称 Graves 眼眶病) 的首款治疗药物。2019 年 12 月, FDA 皮肤和眼科药物咨询委员会一致投票支持批准该药物上市。FDA 已于 2020 年 1 月中旬批准 teprotumumab, 早于 PDUFA 目标日期 (3 月 8 日)。

预计 FDA 将在 2020 年批准 Sunovion 公司上市 dasotraline, 一种新型多巴胺和去甲肾上腺素再摄取抑制剂 (DNRI), 用于治疗中度至重度暴食症 (BED) 患者, BED 是一种严重的心理疾病且治疗方案有限。BED 特征为反复和持续的暴食, 其定义为在短时间内摄入大量食物, 发作期间感觉失控, 之后有强烈羞愧感、内疚感和窘迫感。

2019 年 11 月, 罗氏宣布 FDA 已接受 diplrism 新药申请 NDA, 并授予其优先审评资格, 该药是

一种试验性运动神经元生存基因 -2 (SMN-2) 剪接修饰剂, 用于治疗脊髓性肌萎缩症 (SMA)。Risdiplam 可增加并维持中枢神经系统 (CNS) 和身体外周组织中的 SMN 蛋白水平。FDA 预计将于 2020 年 5 月 24 日前作出批准决定。在此期间, 罗氏计划针对合格的 1 型 SMA 患者开展一项全球患者同情用药项目。

EMA 正在审查 Hansa Biopharma 公司的 imlifidase 的上市许可申请 (MAA), 该药的适应证为肾移植患者术前的脱敏治疗。Hansa Biopharma 于 2019 年 12 月 22 日提交了对第 120 天问题的回复, 审评过程在按计划进行。该公司表示, 预计 CHMP 将于 2020 年第 2 季度给出意见, 随后欧盟委员会可能于 2020 年夏季做出决定。有关这些药物和其他 2020 年预测的概述详见表 4。

表 4 2020 年批准及候选药物批准情况
Table 4 Approvals and candidates for approval in 2020

产品名称	机构	国家 / 地区	适应证	状态 / 备注
abicipar pegol	Allergan/ Molecular Partners	美国, 欧盟	治疗新生血管性 (湿性) 年龄相关性黄斑变性患者	预计美国的 PDUFA 目标日期是 2020 年年中; 预计欧盟于 2020 年下半年批准
Ad26.ZEBOV (rHAd26), 联合 MVA-BN Filo	杨森	欧盟	作为异源性加强免疫疫苗方案, 用于预防扎伊尔型埃博拉病毒引起的埃博拉病毒病	于 2019 年 11 月提交每种疫苗的 MAA (加速评估)
alalevonadifloxacin mesylate	Wockhardt	印度	对于 ABSSSIs, 包括糖尿病足感染和并发菌血症	于 2020 年 1 月在印度获批
AR-101 (Palforzia)	Aimmune Therapeutics	美国, 欧盟	4~17 岁儿童和青少年花生过敏脱敏	美国于 2020 年 1 月作出获批; 欧盟于 2020 年下半年作出决定
avapritinib	Blueprint Medicines	美国	携带 PDGFRA 外显子 18 突变 (包括 PDGFRAD842V 突变) 的无法切除或转移性 GIST	于 2020 年 1 月在美国获批; 欧盟正在审查 MAA
belantamab mafodotin	葛兰素史克	美国	治疗既往治疗 (包括免疫调节剂、蛋白酶体抑制剂和抗 CD38 抗体) 后复发或耐药的多发性骨髓瘤患者	于 2019 年 12 月提交 BLA
bempedoic acid 和 bempedoic acid/依折麦布	Esperion Therapeutics	美国, 欧盟	治疗使用目前可用的疗法但仍需额外降低低密度脂蛋白胆固醇 (LDL-C) 水平升高的患者	预计于 2020 年上半年获批
berotralstat hydrochloride	BioCryst	美国	预防遗传性血管性水肿发作	于 2019 年 12 月提交 NDA
BP-101 (Libicore)	Ivix	俄罗斯联邦	治疗功能减退性女性性欲障碍	于 2019 年 9 月提交申请
cabotegravir 和 cabotegravir/利匹韦林	ViiV Healthcare	美国, 欧盟	开始注射治疗前, 联合利匹韦林, 对病毒载量受抑制的成人 HIV-1 感染者进行导入治疗	于 2019 年 4 月 (美国) 和 2019 年 7 月 (欧盟) 进行申请备案
chiglitazar	Chipscreen Biosciences	中国	2 型糖尿病	于 2019 年 9 月受理申请
daprodustat	葛兰素史克	日本	治疗 CKD 相关性贫血	于 2019 年 8 月在日本申请备案
dasotraline hydrochloride	Sunovion	美国	治疗中度至重度暴食症患者	PDUFA 日期是 2020 年 5 月 14 日
delgocitinib	Japan Tobacco (JT) Torii	日本	特应性皮炎	于 2020 年 1 月获批

续表 4

产品名称	机构	国家 / 地区	适应证	状态 / 备注
dotinurad	Fuji Yakuhin/ Mochida	日本	治疗高尿酸血症 (伴或不伴痛风)	于 2020 年 1 月获批
eflapegrastim	Spectrum Pharmaceuticals	美国	治疗化疗引起的中性粒细胞减少症	PDUFA 日期是 2020 年 10 月 24 日
eptinezumab	Alder Biopharmaceuticals	美国	预防慢性和发作性偏头痛; 输注; 静脉注射	PDUFA 日期是 2020 年 2 月 21 日
fenfluramine hydrochloride	Zogenix	美国, 欧盟	治疗 Dravet 综合征相关性癫痫发作	预计于 2020 年第 1 季度获得批准
filgotinib	Galapagos/ 吉利 德	美国、欧盟、 日本	类风湿性关节炎	于 2019 年 8 月 (欧盟)、2019 年 10 月 (日本) 和 2019 年 12 月 (美国) 申请备案
flortaucipir F 18	礼来	美国	用于阿尔茨海默病患者的 tau 成像	
fostemsavir	ViiV Healthcare	美国, 欧盟	与其他抗逆转录病毒药物联合用于治疗因耐药、不耐受或安全性考虑而无法制定抑制方案、接受过多次治疗的多药耐药感染的成人 HIV-1 患者	于 2019 年 12 月在美国进行 NDA 备案; 于 2020 年 1 月在欧盟进行 MAA 备案
HSK-3486	Haisco Pharmaceutical Group	中国	内镜诊断性检查前的全身麻醉和镇静诱导	于 2019 年 8 月申请获得优先审评资格
imlifidase	Hansa Biopharma	欧盟	肾移植术前患者脱敏	预计于 2020 年夏季做出决定
inebilizumab	Viela Bio	美国	治疗 NMO 和 NMOSD	PDUFA 日期是 2020 年 6 月 11 日
isatuximab	赛诺菲	美国、欧盟、 日本	多发性骨髓瘤	PDUFA 日期是 2020 年 4 月 30 日 (美国); 欧盟和日本正在审评申请
左氧氟沙星精氨酸 酸盐	Wockhardt	印度	对于 ABSSSIs, 包括糖尿病足感染和并发菌血症	于 2020 年 1 月在印度获批
lisocabtagene maraleucel	新基生物	美国	治疗既往至少接受过 2 种治疗的成人复发性 / 难治性 LBCL 患者	于 2019 年 12 月提交 BLA
lonafarnib	Eiger BioPharma- ceuticals/ Progeria Research Foundation	美国	治疗早衰和早老样核纤层蛋白病	于 2019 年 12 月开始滚动提交, 预计于 2020 年第 1 季度完成
LY-900014 (Ultrarapid lispro)	礼来	美国、欧盟、 日本	1 型和 2 型糖尿病	于 2019 年第 1 季度提交申请
margetuximab	MacroGenics	美国	与化疗联合治疗转移性 HER2 阳性乳腺癌患者	于 2019 年 12 月提交 BLA
nadofaragene firadenovec	FKD Therapies	美国	治疗高级别卡介苗 (BCG) 治疗无反应性非肌层浸润型膀胱癌患者	BLA 于 2019 年 11 月获得优先审评资格
orelabrutinib	诺诚健华	中国	治疗复发性 / 难治性慢性淋巴细胞白血病 / 小淋巴细胞淋巴瘤患者	于 11 月 19 日在中国受理备案, 于 2020 年 1 月获得优先审评资格
osilodrostat	Recordati	欧盟	成人内源性库欣综合征	于 2020 年 1 月获批
OTL-200	Orchard Therapeutics	欧盟	异染性脑白质营养不良	于 2019 年 11 月进行 MAA 备案, 进行加速评估
ozanimod	新基生物	美国, 欧盟	治疗复发型多发性硬化症	美国 PDUFA 日期是 2020 年 3 月 25 日; 预计欧盟于 2020 年上半年做出决定
pemigatinib	Incyte	美国, 欧盟	治疗既往经治的伴 FGFR2 融合或重排的局部晚期或转移性胆管癌患者	PDUFA 日期是 2020 年 5 月 30 日 (美国); 欧盟正在审评 MAA
PPE (viaskin Peanut)	DBV Technologies	美国	治疗 4~11 岁儿童的花生过敏	PDUFA 目标日期是 2020 年 8 月 5 日
REGN-3470-3471- 3479 (atoltivimab/ odesivimab/ maftivimab)	再生元	美国	埃博拉病毒感染	于 2019 年 9 月开始滚动提交

续表 4

产品名称	机构	国家 / 地区	适应证	状态 / 备注
瑞马唑仑	PAION、Mundipharma (日本)、宜昌人福药业有限责任公司 (中国)、Hana Pharm (韩国)、Cosmo Pharmaceuticals (美国)	日本、美国、中国、韩国、欧盟	全身麻醉 (日本、韩国); 手术镇静 (美国、中国、欧盟)	日本于 2020 年 1 月批准全身麻醉; 美国的 PDUFA 日期是 2020 年 4 月 5 日; 于 2018 年 11 月、2019 年 12 月和 2019 年 11 月分别在中国、韩国和欧盟进行申请备案
rimegepant	BioHaven Pharmaceutical	美国	治疗急性偏头痛	PDUFA 目标日期是 2020 年第 1 季度
ripretinib	Deciphera	美国	治疗既往接受过抗肿瘤治疗 (包括伊马替尼、舒尼替尼和瑞戈非尼) 的晚期 GIST 患者	于 2019 年 12 月进行 NDA 备案
risdiplam	罗氏	美国	脊髓性肌萎缩症	PDUFA 日期是 2020 年 5 月 24 日
sacituzumab govitecan	Immunomedics	美国	治疗既往接受过至少 2 种转移性疾病治疗的三阴性转移性乳腺癌患者	PDUFA 目标日期是 2020 年 6 月 2 日
satralizumab	中外制药 / 罗氏	日本、欧盟、美国	治疗 NMO 和 NMOSD	于 2019 年 8 月 (欧盟)、2019 年 10 月 (美国)、2019 年 11 月 (日本) 提交申请
selumetinib sulfate	阿斯利康	美国	治疗患有 1 型神经纤维瘤病和症状性、无法手术切除的丛状神经纤维瘤的年满 3 岁的儿童患者	PDUFA 目标日期是 2020 年第 2 季度
somapacitan	诺和诺德	美国, 欧盟	治疗成人生长激素缺乏症	于 2019 年 9 月提交申请
surufatinib	Hutchison China MediTech (Chi-Med)	中国	治疗晚期非胰腺神经内分泌肿瘤	于 2019 年 12 月申请获得获优先审评资格
tafasitamab	MorphoSys	美国	联合来那度胺治疗后复发的或耐药性弥漫性 LBCL	于 2019 年 12 月提交申请
tazemetostat	Epizyme	美国	治疗不适合根治性手术的转移性或局部晚期中皮样肉瘤患者; 治疗既往接受过至少二线全身治疗的伴或不伴 EZH2 激活突变的复发性或难治性滤泡性淋巴瘤患者	2020 年 1 月获批用于上皮样肉瘤; 于 2019 年 12 月提交滤泡性淋巴瘤 NDA
teprotumumab	Horizon Therapeutics	美国	治疗 Graves 眼眶病 (活动性甲状腺眼病)	于 2020 年 1 月获批
TetraMen-T	赛诺菲	美国, 欧盟	预防 2 岁以上人群出现流行性脑脊髓膜炎	PDUFA 日期是 2020 年 4 月 25 日 (美国); MAA 于 2019 年 10 月在欧盟提交
tirabrutinib hydrochloride	Ono	日本	治疗 Waldenstrom 巨球蛋白血症和淋巴浆细胞淋巴瘤; 治疗复发性或难治性原发性中枢神经系统淋巴瘤	于 2019 年 8 月和 11 月提交单独申请
triheptanoin	Ultragenyx	美国	治疗长链脂肪酸氧化障碍, 包括肉碱棕榈酰转移酶、极长链酰基辅酶 A 脱氢酶和长链 3-羟基酰基辅酶 A 脱氢酶缺乏症	PDUFA 目标日期是 2020 年 7 月 31 日
tucatinib	Array BioPharma/ Seattle Genetics	美国	与曲妥珠单抗和卡培他滨联合用药, 用于治疗局部晚期不可手术切除或转移性 (包括脑转移患者), 在新辅助治疗、辅助治疗或转移背景中, 已单独或联合接受至少 3 种既往 HER2 靶向药物治疗的 HER2 阳性乳腺癌患者	于 2019 年 12 月提交 NDA
vadadustat	田边三菱制药	日本	治疗继发于 CKD 的肾性贫血患者	于 2019 年 7 月在日本提交申请
valoctocogene roxaparvovec	BioMarin	美国, 欧盟	治疗成人血友病 A 患者	于 2019 年年底提交申请
veverimer	Tricida	美国	治疗 CKD 患者的代谢性酸中毒	PDUFA 日期是 2020 年 8 月 22 日
viloxazine hydrochloride	Supernus	美国	注意力缺陷多动障碍	于 2019 年 11 月进行 NDA 备案

续表 4

产品名称	机构	国家 / 地区	适应证	状态 / 备注
viltolarsen	Nippon Shinyaku	美国、日本	杜氏肌营养不良症	于 2019 年 10 月在美国完成滚动提交; 于 2019 年 11 月日本受理申请
Yimitasvir	HEC Pharm	中国	丙型肝炎病毒感染	于 2019 年 11 月申请获得优先审评资格

ABSSSIs: 急性细菌性皮肤及皮肤结构感染; BLA: 生物制品许可申请; CKD: 慢性肾脏病; GIST: 胃肠道间质瘤; LBCL: 大 B 细胞淋巴瘤; MAA: 上市许可申请; NDA: 新药申请; NMO: 视神经脊髓炎; NMOSD: 视神经脊髓炎谱系疾病; PDUFA: 处方药申报者付费法案

来源: Cortellis 药物早期研发情报和 Cortellis 综合性竞争情报, 截至 2020 年 1 月 24 日

声明: 本文作者均为科睿唯安公司的工作人员。

[参考文献]

- [1] Downing N S, Zhang A D, Ross J S. Regulatory review of new therapeutic agents – FDA versus EMA, 2011-2015[J]. *N Engl J Med*, 2017, 376(14): 1386-1387.
- [2] Loftus P. Fast-track drug approval, designed for emergencies, is now routine[EB/OL]. (2019-07-05)[2020-04-26]. <https://www.wsj.com/articles/fast-track-drug-approval-designed-for-emergencies-is-now-routine-11562337924>.
- [3] Gyawali B, Hey S P, Kesselheim A S. Assessment of the clinical benefit of cancer drugs receiving accelerated approval[J]. *JAMA Intern Med*, 2019, 179(7): 906-913.
- [4] Graul A I, Pina P, Cruces E, et al. The year's new drugs and biologics 2018: Part I[J]. *Drugs Today*, 2019, 55(1): 35-87.
- [5] Cristea I A, Naudet F. US Food and Drug Administration approval of esketamine and brexanolone[J]. *Lancet Psychiatry*, 2019, 6(12): 975-977.
- [6] Turner E H. Esketamine for treatment-resistant depression: seven concerns about efficacy and FDA approval[J]. *Lancet Psychiatry*, 2019, 6(12): 977-979.
- [7] Kumar B, Kuhad A, Kuhad A. Lumateperone: a new treatment approach for neuropsychiatric disorders[J]. *Drugs Today*, 2018, 54(12): 713-719.
- [8] Seo D O, Boros B D, Holtzman D M. The microbiome: a target for Alzheimer disease? [J]. *Cell Res*, 2019, 29(10): 779-780.
- [9] Graul A I, Pina P, Cruces E, et al. The year's new drugs & biologics 2016: Part I[J]. *Drugs Today*, 2017, 53(1): 27-74.
- [10] U.S. Food and Drug Administration (FDA). FDA grants accelerated approval to first targeted treatment for rare Duchenne muscular dystrophy mutation[EB/OL]. (2019-12-12)[2020-04-26]. www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-grants-accelerated-approval-new-treatment-advanced-ovarian-cancer.
- [11] National Organization for Rare Disorders (NORD). Neuromyelitis optica spectrum disorder[EB/OL]. [2020-04-26]. <https://rarediseases.org/rare-diseases/neuromyelitis-optica/>.
- [12] Distler O, Highland K B, Gahlemann M, et al. Nintedanib for systemic sclerosis-associated interstitial lung disease[J]. *N Engl J Med*, 2019, 380(26): 2518-2528.
- [13] Ataga K I, Kutlar A, Kanter J, et al. Crizanlizumab for the prevention of pain crises in sickle cell disease[J]. *N Engl J Med*, 2017, 376(5): 429-439.
- [14] Vichinsky E, Hoppe C C, Ataga K I, et al. A phase 3 randomized trial of voxelotor in sickle cell disease[J]. *N Engl J Med*, 2019, 381(6): 509-519.
- [15] National Center for Advancing Translational Sciences/Genetic and Rare Disease Information Center. Atypical hemolytic uremic syndrome[EB/OL]. [2020-04-26]. <https://rarediseases.info.nih.gov/diseases/8702/atypical-hemolytic-uremic-syndrome>.
- [16] Mahaffey K W, Jardine M J, Bompont S, et al. Canagliflozin and cardiovascular and renal outcomes in type 2 diabetes mellitus and chronic kidney disease in primary and secondary cardiovascular prevention groups[J]. *Circulation*, 2019, 140(9): 739-750.
- [17] Lobo R A, Archer D F, Kagan R, et al. A 17 β -estradiol-progesterone oral capsule for vasomotor symptoms in postmenopausal women: a randomized controlled trial[J]. *Obstet Gynecol*, 2018, 132(1): 161-170.
- [18] Kaul G, Saxena D, Dasgupta A, et al. Sarecycline hydrochloride for the treatment of acne vulgaris[J]. *Drugs Today*, 2019, 55(10):

- 615-625.
- [19] Veve M P, Wagner J L. Lefamulin: review of a promising novel pleuromutilin antibiotic[J]. *Pharmacotherapy*, 2018, 38(9): 935-946.
- [20] National Organization for Rare Disorders (NORD). Tenosynovial giant cell tumor[EB/OL]. [2020-04-26]. <https://rarediseases.org/rare-diseases/tenosynovial-giant-cell-tumor/>.
- [21] Immune Deficiency Foundation (IDF). Hemophagocytic lymphohistiocytosis (HLH)[EB/OL]. [2020-04-26]. <https://primaryimmune.org/disease/hemophagocytic-lymphohistiocytosis-hlh>.
- [22] De Vrieze J. First malaria vaccine rolled out in Africa - despite limited efficacy and nagging safety concerns[EB/OL]. (2019-11-26)[2020-04-26]. <https://www.sciencemag.org/news/2019/11/first-malaria-vaccine-rolled-out-africa-despite-limited-efficacy-and-nagging-safety>.
- [23] Polio Global Eradication Initiative. History of polio[EB/OL]. [2020-04-26]. <https://polioeradication.org/polio-today/history-of-polio/>.
- [24] Reuters. China tightens vaccine management after scandals[EB/OL]. (2019-06-29)[2020-04-26]. <https://www.reuters.com/article/us-china-lawmaking-health-idUSKCN1TU0B3>.
- [25] Yin Y. HPV vaccination in China needs to be more cost-effective[J]. *Lancet*, 2017, 390(10104): 1735-1736.
- [26] Wang R, Guo X L, Wisman G B, *et al.* Nationwide prevalence of human papillomavirus infection and viral genotype distribution in 37 cities in China[J/OL]. *BMC Infect Dis*, 2015, 15: 257[2020-04-26]. <http://europepmc.org/article/PMC/4491249>. DOI: 10.1186/s12879-015-0998-5.
- [27] Fizazi K, Shore N, Tammela T L, *et al.* Darolutamide in nonmetastatic, castration-resistant prostate cancer[J]. *N Engl J Med*, 2019, 380(13): 1235-1246.
- [28] Andre F, Ciruelos E, Rubovszky G, *et al.* Alpelisib for PIK3CA-mutated, hormone receptor-positive advanced breast cancer[J]. *N Engl J Med*, 2019, 380(20): 1929-1940.
- [29] U.S. Food and Drug Administration (FDA). Real-time oncology review pilot program[EB/OL]. [2020-04-26]. <https://www.fda.gov/about-fda/oncology-center-excellence/real-time-oncology-review-pilot-program>.
- [30] Rosenberg J E, O'Donnell P H, Balar A V, *et al.* Pivotal trial of enfortumab vedotin in urothelial carcinoma after platinum and anti-programmed death 1/programmed death ligand 1 therapy[J]. *J Clin Oncol*, 2019, 37(29): 2592-2600.
- [31] Cortes J E, Khaled S, Martinelli G, *et al.* Quizartinib versus salvage chemotherapy in relapsed or refractory FLT3-ITD acute myeloid leukaemia (QuANTUM-R): a multicentre, randomised, controlled, open-label, phase 3 trial[J]. *Lancet Oncol*, 2019, 20(7): 984-997.
- [32] Haslam A, Prasad V. Estimation of the percentage of US patients with cancer who are eligible for and respond to checkpoint inhibitor immunotherapy drugs[J/OL]. *JAMA Netw Open*, 2019, 2(5): e192535[2020-04-26]. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31050774/>. DOI: 10.1001/jamanetworkopen.2019.2535.
- [33] Dugel P U, Koh A, Ogura Y, *et al.* HAWK and HARRIER: phase 3, multicenter, randomized, double-masked trials of brotacizumab for neovascular age-related macular degeneration[J]. *Ophthalmology*, 2020, 127(1): 72-84.
- [34] Falko J M. Familial chylomicronemia syndrome: a clinical guide for endocrinologists[J]. *Endocr Pract*, 2018, 24(8): 756-763.

注: 关于本报告详细图表及全文请扫描以下二维码获得。



原文来源: *Drugs of Today*, 2020, 56(1): 1-57

Clarivate™
科睿唯安™