

从红海到蓝海： 解码中国自免治疗高潜力靶点

2025 年 6 月 27 日

By Insight / June , 2025



并购家 免费行业报告网

IPOIPO.CN 每日更新 不用注册会员 无广告 永久免费

英文简写	英文全称	中文全称
AD	Atopic dermatitis	特应性皮炎
ALS	Amyotrophic Lateral Sclerosis	肌萎缩侧索硬化症
ARM	Antibody-mediated rejection	抗体介导排斥反应
As	Ankylosing Spondylitis	强直性脊柱炎
C3G	C3 Glomerulopathy	C3肾小球病
CD	Crohn' s disease	克罗恩病
FSGS	Focal Segmental Glomerulosclerosis	局灶节段性肾小球硬化症
GD	Glomerular Disease	肾小球疾病
GPP	Generalized Pustular Psoriasis	泛发性脓疱型银屑病
IBD	Inflammatory bowel disease	炎症性肠病
IgAN	IgA Nephropathy	IgA肾病
ILD	Interstitial Lung Disease	间质性肺疾病
IPF	Idiopathic pulmonary fibrosis	特发性肺纤维化
ITP	Idiopathic Thrombocytopenic Purpura	免疫性血小板减少症
LN	Lupus nephritis	狼疮肾炎
MG	Myasthenia gravis	重症肌无力

英文简写	英文全称	中文全称
MPGN	Membranoproliferative Glomerulonephritis	膜增生性肾小球肾炎
MS	Multiple sclerosis	多发性硬化
PMN	Primary membranous nephropathy	原发性膜性肾病
PNH	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria	阵发性睡眠性血红蛋白尿症
PPF	Progressive Pulmonary Fibrosis	进行性肺纤维化
PsA	Psoriatic Arthritis	银屑病关节炎
PsO	Plaque Psoriasis	斑块状银屑病
RA	Rheumatoid Arthritis	类风湿关节炎
SLE	Systemic Lupus Erythematosus	系统性红斑狼疮
SS	Sjögren's Syndrome	干燥综合征
SSc	Systemic Sclerosis	系统性硬化症
T1DM	Type1 Diabetes Mellitus	1型糖尿病
TG	Transplant Kidney Disease	慢性移植肾病
UC	Ulcerative colitis	溃疡性结肠炎
HS	Hidradenitis Suppurativa	化脓性汗腺炎

CONTENTS

01

自免领域概览

市场规模、临床研究、靶点种类

02

经典通路新突破

TL1A、IL23R、PDE4B、
IRAK4、C3

03

肿瘤转自免

CD38、BCMA、
CD40/CD40L

04

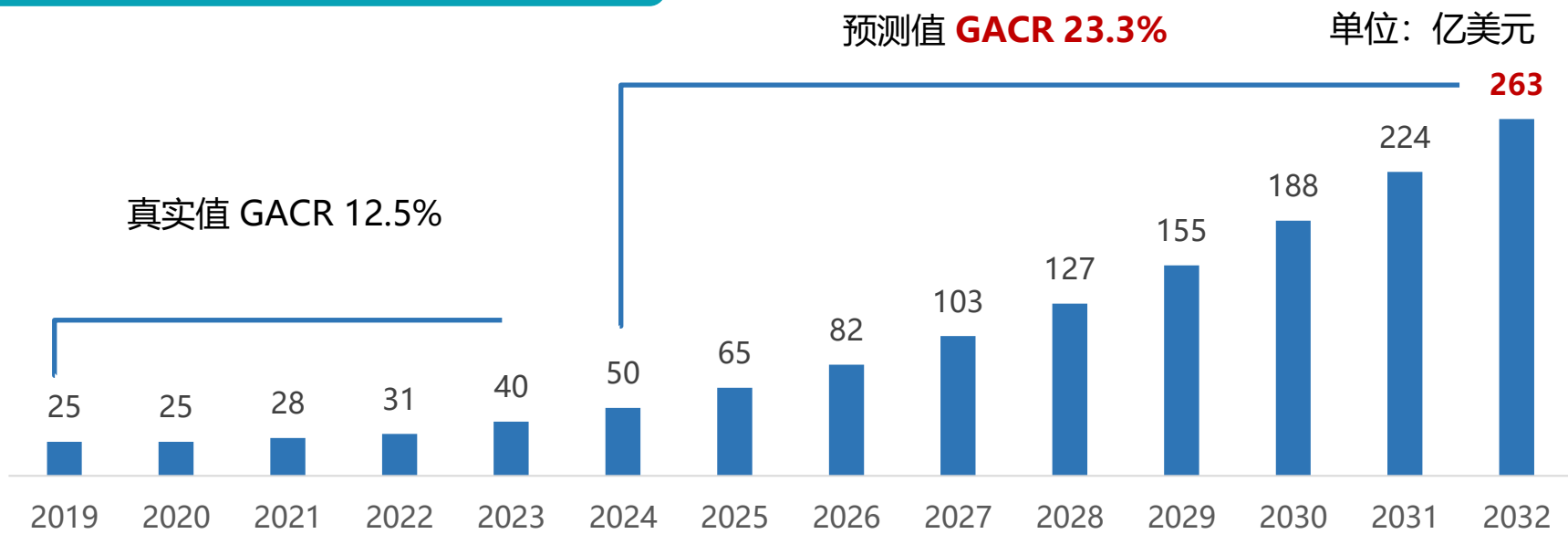
自免新机制

Kv1.3、LANCL2、Nck
adaptor protein

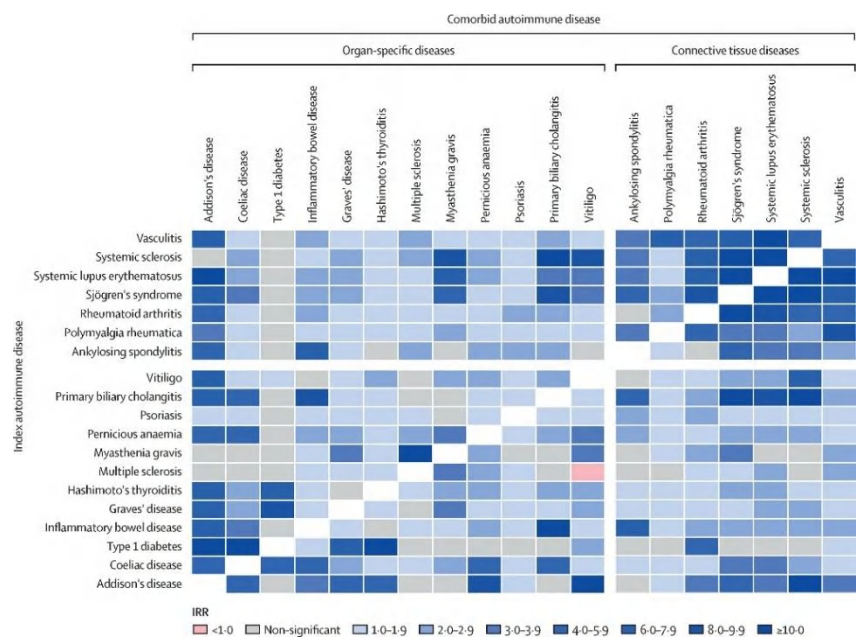
2024 年全球销售额 Top12

药品名称	靶点	企业	FDA首次批准时间	销售额(亿美元)	疾病领域
Keytruda	PD-1	默沙东	2014	294.82	肿瘤
Semaglutide	GLP1R	诺和诺德	2017	292.96	内分泌
Tirzepatide	GLP1R GIPR	礼来	2022	164.66	内分泌
Dupixent	IL-4Rα	赛诺菲	2017	140.89	免疫
Biktarvy	Reverse transcriptase/ RNaseH	吉利德	2018	134.23	感染
Eliquis	Factor Xa	BMS/辉瑞	2012	133.33	心血管
Jardiance	SGLT2	BI/礼来	2014	123.48	内分泌与代谢
Skyrizi	IL-23p19	艾伯维	2019	117.18	免疫
Darzalex	CD38	强生	2015	116.70	肿瘤
Stelara	IL12 p40	强生	2009	103.61	免疫
Trikafta	CFTR	福泰	2019	102.39	罕见病
Opdivo	PD-1	BMS	2014	101.79	肿瘤

中国自免疾病药物市场规模



自免疾病发病机制具有相关性



度普利尤单抗已获批适应症	US	EU	JP	CN
特应性皮炎	✓	✓	✓	✓
嗜酸性粒细胞哮喘	✓	✓		✓
哮喘	✓	✓	✓	✓
慢性鼻窦炎伴鼻息肉病	✓	✓	✓	
嗜酸性粒细胞性食管炎	✓	✓		
结节性痒疹	✓	✓	✓	✓
慢性自发性荨麻疹	✓		✓	
嗜酸性粒细胞型慢性阻塞性肺疾病	✓	✓	✓	✓
大疱性类天疱疮	✓			

数据来源: Insight 数据库, 沙利文, Autoimmunity Reviews; 数据统计截止 2025.06.20



中国内地自免药物研发试验数量与招募效率同步突破，自免领域走向高速研发的黄金爆发期

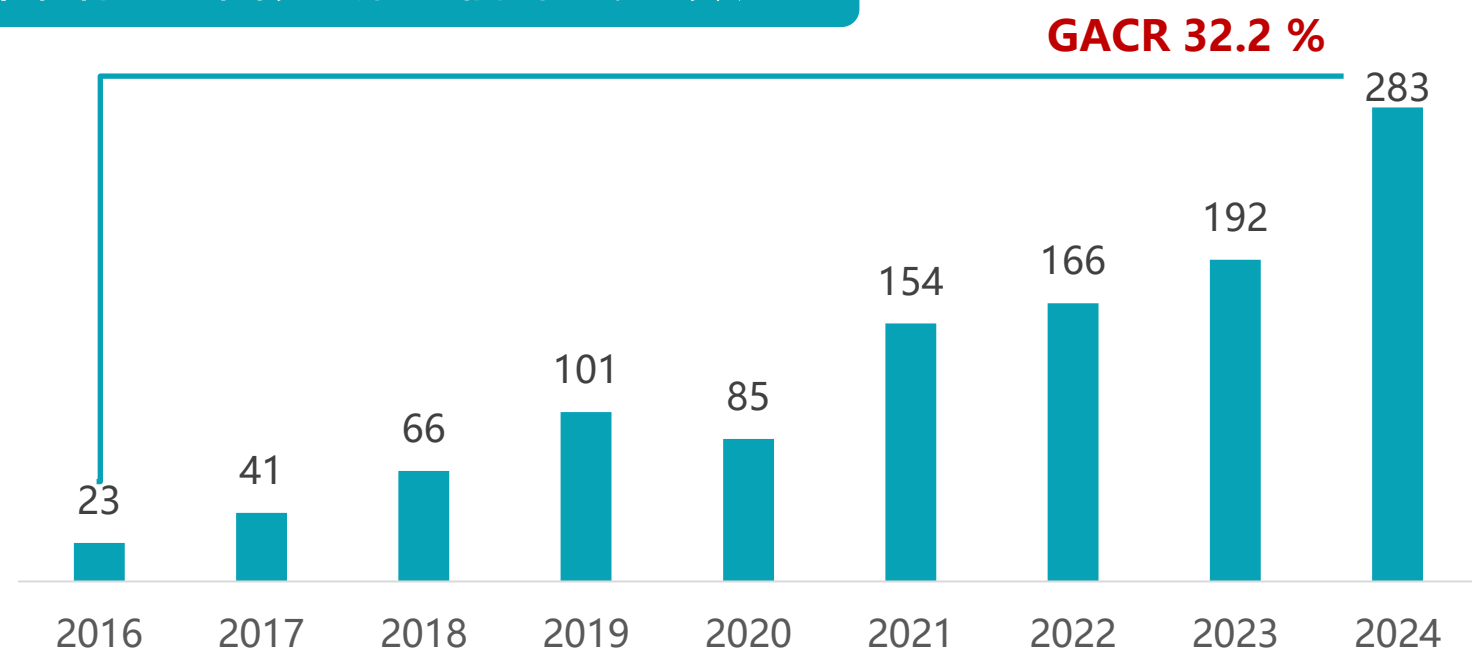


丁香园

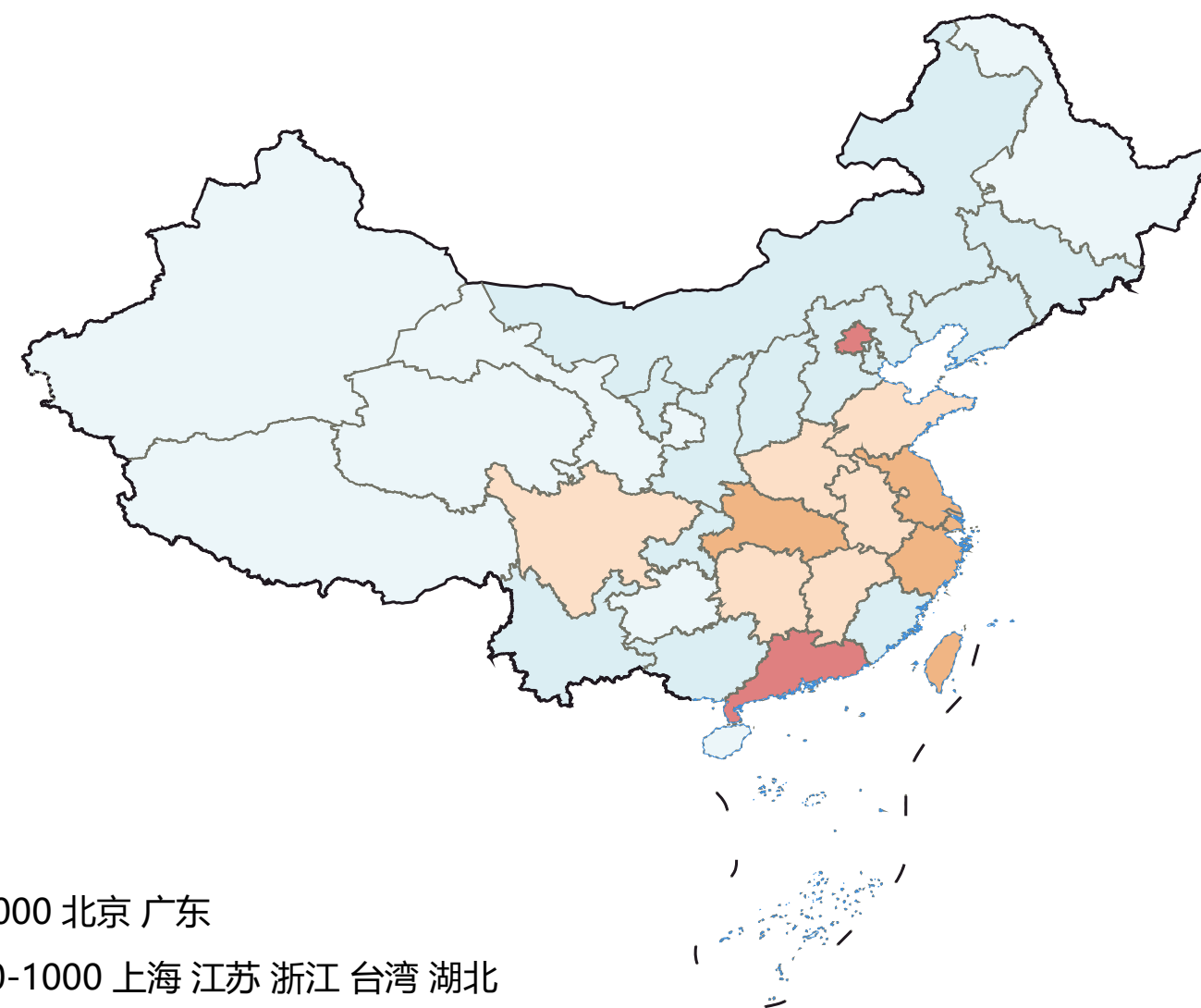


Insight

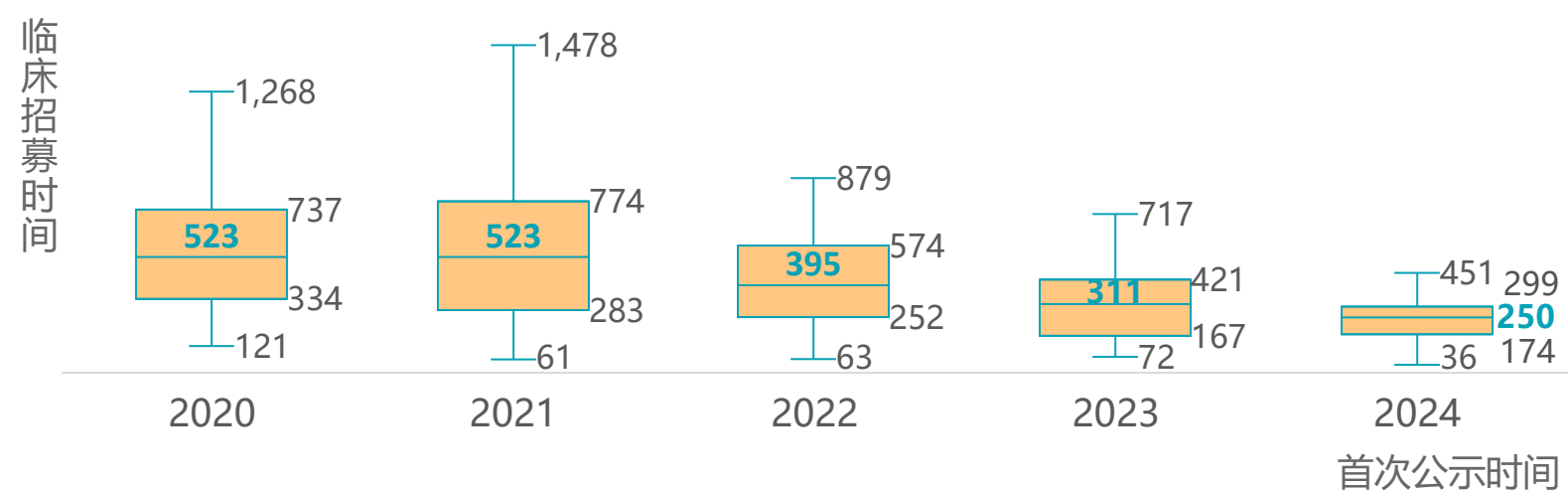
中国内地自免新药临床试验数量



中国自免药物临床试验 site 分布

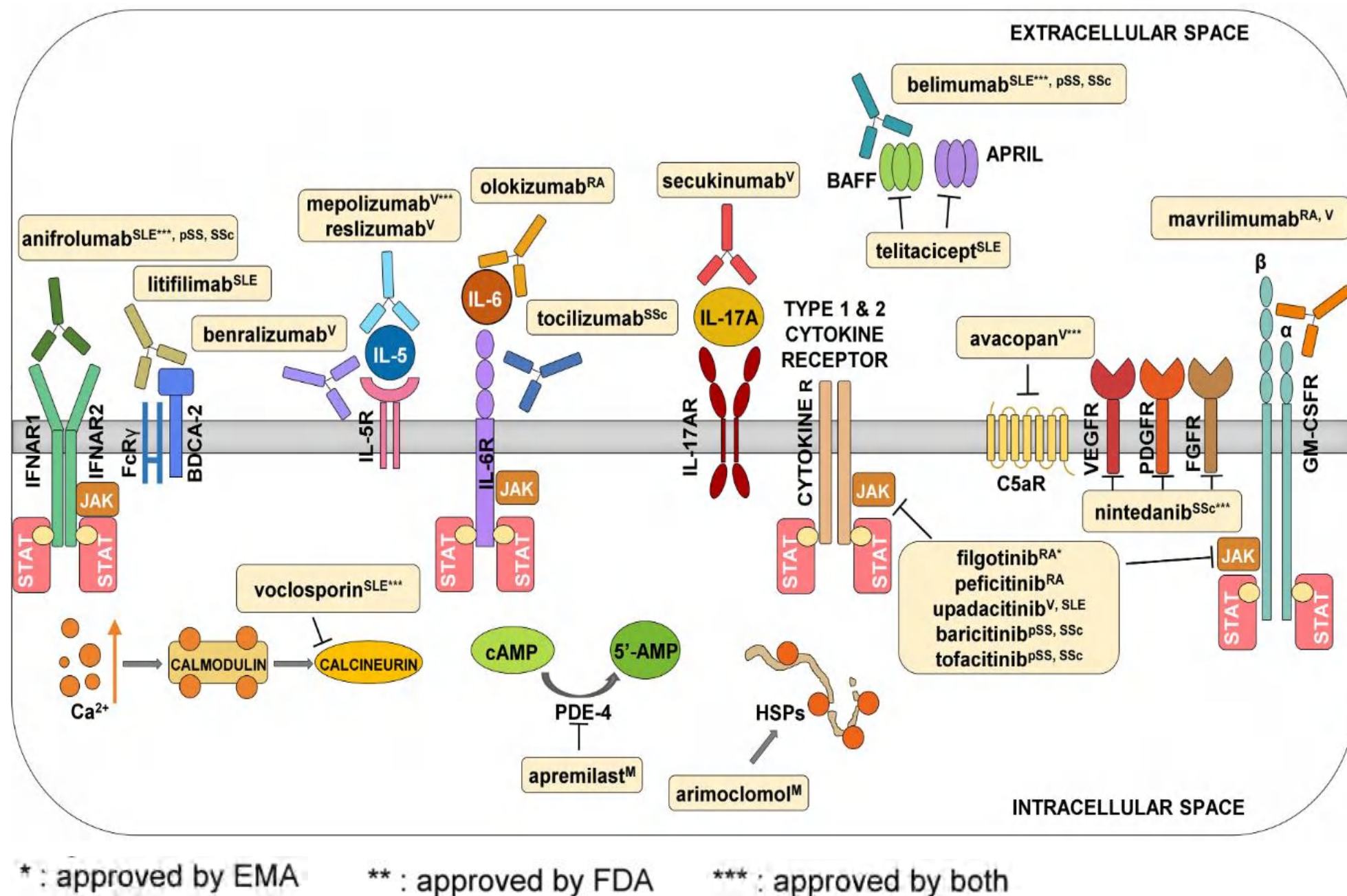


中国内地自免新药 Ph2-Ph3 临床试验招募时间

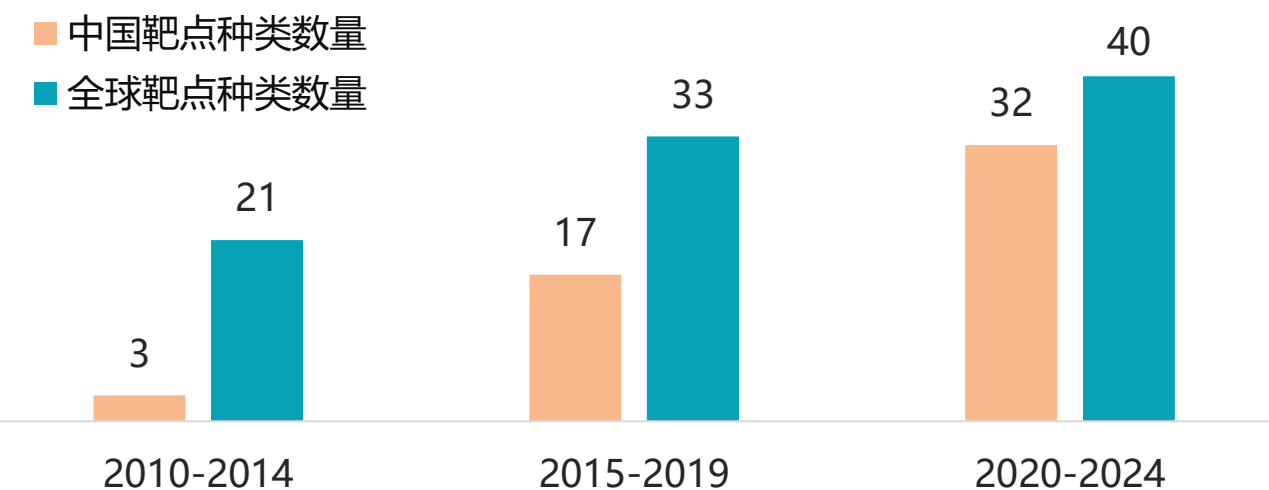


自免疾病治疗靶点呈现多元化态势，中国自免药物靶点研发仍蕴藏丰富亟待探索的空间

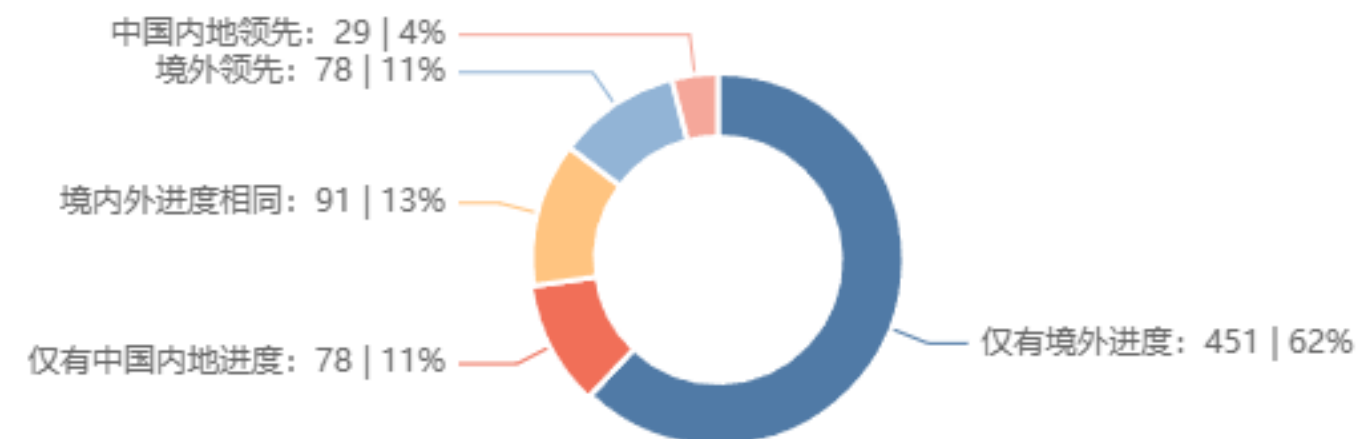
自免药物常见开发机制



自免药物已获批靶点种类数量



自免药物在研靶点开发情况



CONTENTS

01

自免领域概览

市场规模、临床研发、靶点种类

02

经典通路新突破

TL1A、IL23R、PDE4B、
IRAK4、C3

03

肿瘤转自免

CD38、BCMA、
CD40/CD40L

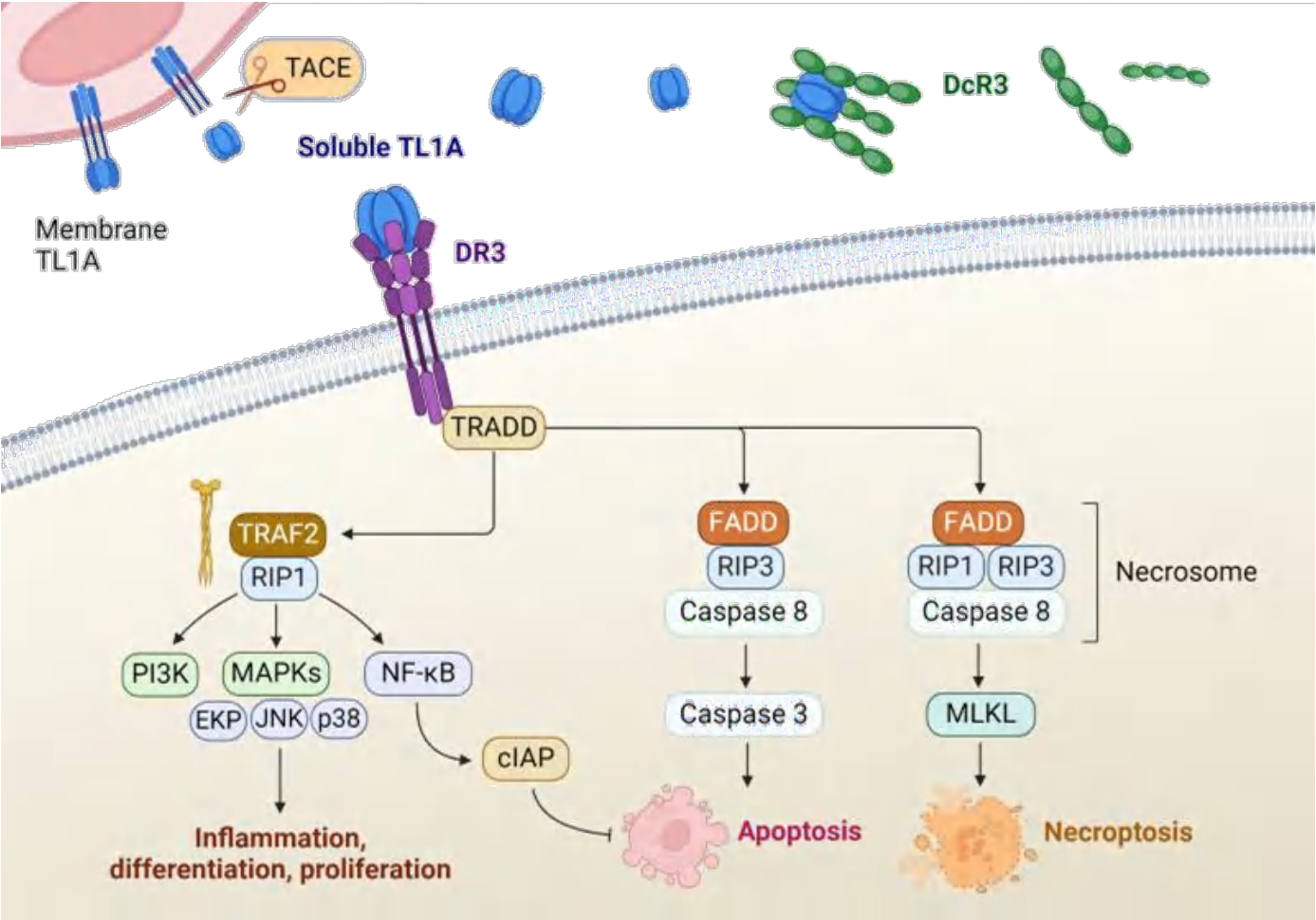
04

自免新机制

Kv1.3、LANCL2、Nck
adaptor protein

TL1A：炎症性肠病 (IBD) 明星靶点，兼具抗炎和抗纤维化功能

TL1A 炎症粘膜通路的调节器



➤ TL1A 靶点的核心价值在于其兼具“**抗炎+抗纤维化**”的双重功能。突破传统 IBD 药物（如 TNF-α 抑制剂）仅控制炎症的局限性，通过抑制纤维化实现疾病修饰，逆转病程。同时可溶性的 TL1A 水平与疾病的活动度相关，也作为 IBD 等疾病的预测性生物标志物。

进入临床的 TL1A 药物

药品成分	研发机构	成分类别	靶点	全球适应症在研状态
Tulisokibart 全球 FIC	默沙东制药, Prometheus Biosciences	单特异性抗体	TL1A	Ph3：溃疡性结肠炎, 克罗恩病 Ph2：系统性硬化症相关间质性肺病, 化脓性汗腺炎 Ph1：炎症性肠病
Afimkibart	辉瑞制药, Vant, Roivant Sciences, 罗氏制药, Telavant	单特异性抗体	TL1A	Ph3：溃疡性结肠炎, 克罗恩病 Ph2：特应性皮炎 Ph1：代谢功能障碍相关脂肪性肝炎
Duvakitug	梯瓦制药, 赛诺菲制药	单特异性抗体	TL1A	Ph2：哮喘, 肠易激综合征, 克罗恩病, 溃疡性结肠炎
XmAb942	Xencor	单特异性抗体	TL1A	Ph1/2：溃疡性结肠炎
BCD-261	Biocad	单特异性抗体	TL1A	/
SPY002	Paragon Therapeutics, Spyre Therapeutics, Altasciences	单特异性抗体	TL1A	Ph1：炎症性肠病
FG-M701	明济生物, 艾伯维生物	单特异性抗体	TL1A	Ph1：炎症性肠病
ABS-101	Absci	单特异性抗体	TL1A	Ph1：炎症性肠病
SSGJ-627 内地原研 FIC	三生制药	单特异性抗体	TL1A	Ph1：溃疡性结肠炎
PF-07261271 全球 FIC	辉瑞制药, 罗氏制药	双特异性抗体	TL1A IL12 p40	Ph1：炎症性肠病

制药巨头重金押注 TL1A , Ph2 临床结果表现积极

医药交易频繁，MNC 纷纷布局

交易时间	交易类型	转让方	受让方	项目	靶点	交易金额 (百万美元)
2025-04-17	授权/许可	Earendil Labs	赛诺菲	HXN-1003 HXN-1002	TL1A IL-23p19 TL1A Integrin $\alpha4\beta7$	首付款: 125 里程碑付款: 1720
2025-01-13	授权/许可合作	辉瑞	罗氏	PF-07261271	TL1A IL12 p40	/
2024-06-13	授权/许可	明济生物	艾伯维	FG-M701	TL1A	首付款: 150 里程碑付款: 1560
2023-10-03	授权/许可合作	梯瓦	赛诺菲	Duvakitug	TL1A	首付款: 511.87 里程碑付款: 1025.92 M
2023-07-14	授权/许可	Roivant Sciences	罗氏	Afimkibart	TL1A	交易总额: 7000
2023-06-16	转让/收购	Prometheus Biosciences	默沙东	Tulisokibart	TL1A	交易总额: 10800

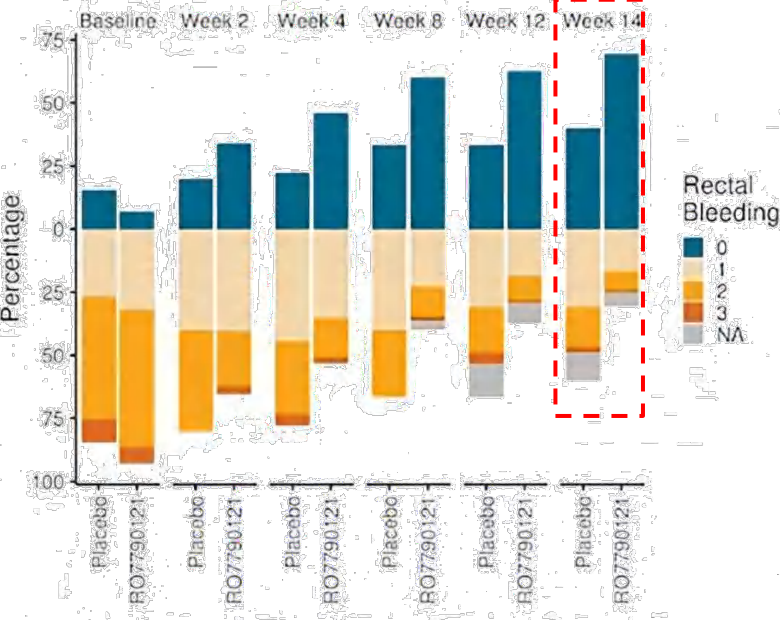
Duvakitug 达主要终点，挺进 Ph3 临床



2025 ECCO	剂量分组	Clinical Remission (week 14)	Endoscopic Improvement (week 14)	Clinical Response (week 14)	HEMI* (week 14)
溃疡性结肠炎	PBO	20%	23%	52%	16%
	450mg	36%	45%	81%	30%
	900mg	48%	50%	70%	33%
克罗恩病	PBO	41%(CDAI*)	13%	41%(CDAI)	/
	450mg	50%(CDAI)	26%	61%(CDAI)	/
	900mg	54%(CDAI)	48%	62%(CDAI)	/

*HEMI: Histological endoscopic mucosal improvement CDAI : Crohn's Disease Activity Index

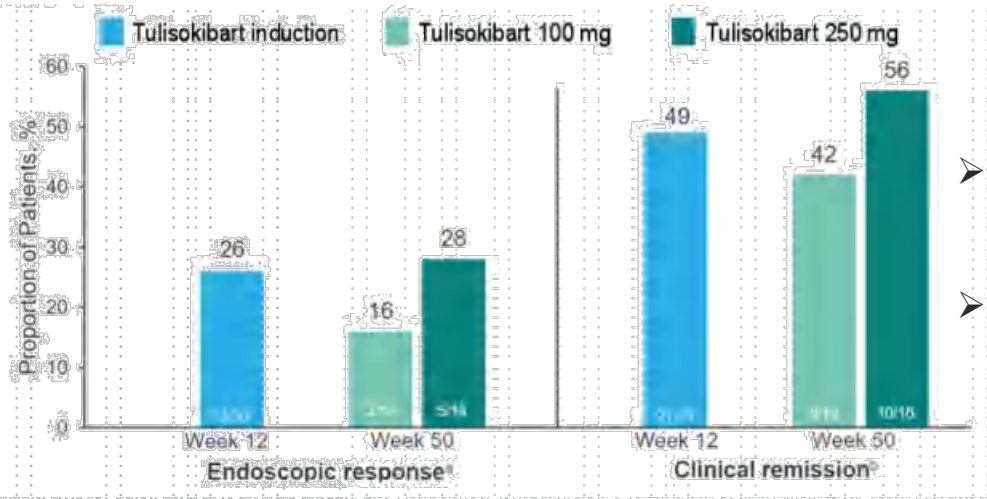
Afimkibart 2025 ECCO 研究进展



中重度活动性溃疡性结肠炎
NCT04090411

- 245 名患者接受了 ≥ 1 剂量的 Afimkibart 或 PBO 治疗，表现出早期和快速的症状缓解
- 直肠出血 (RB)、排便频率 (SF) 的改善从第 2 周开始并贯穿整个诱导治疗过程，且第 14 周试验组症状缓解率 **52.0% vs 31.1%** (PBO)

Tulisokibart 2025 DDW 研究进展

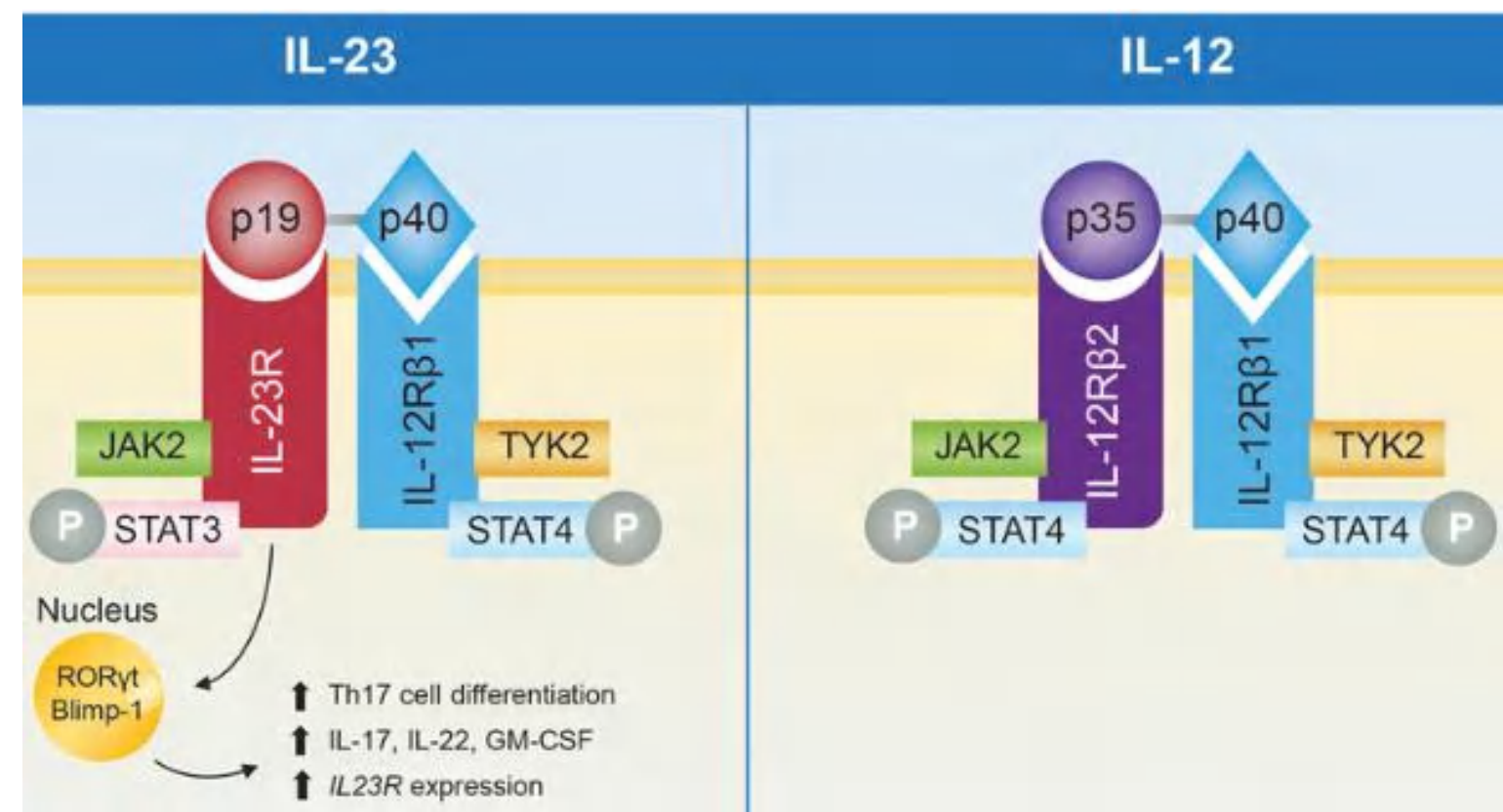


中重度活动性克罗恩病
NCT05013905

- 接受 Tulisokibart 治疗且达到 12 周疗效的患者中，**第 50 周的疗效改善得以维持**；
- 剂量反应，250 mg 与 100 mg 相比，获得内镜反应 (28% vs 16%) 和临床缓解 (56% vs 42%) 的患者比例数值上更高

IL23R - 深度挖掘成熟靶点受体价值+快速升级迭代产品策略抢占先机

IL23R 靶点介绍



IL23 靶点

- 全球已获批上市 6 款 **IL23** 单抗，用于治疗银屑病和 IBD

IL23R 较 IL23 靶点的优势

- ✓ 更彻底的信号阻断（覆盖多配体激活）
- ✓ 更高的细胞选择性（聚焦致病性 IL-23R+ 细胞）
- ✓ 更灵活的药物开发（小分子、多肽等）
- ✓ 更低的脱靶风险（保留 IL-12 功能）

IL23R 靶点竞争格局

◆ 临床在研项目

药品成分	研发机构	技术类别	全球研发最高阶段及适应症
Icotrokinra (PN-235)	强生	2 代环状多肽	Ph3: 斑块状银屑病, 红皮病型银屑病, 泛发性脓疱型银屑病, 银屑病关节炎
PTG-200 (非积极)	强生	2 代环状多肽	Ph2: 克罗恩病
PN-232 (非积极)	强生	1 代环状多肽	Ph1

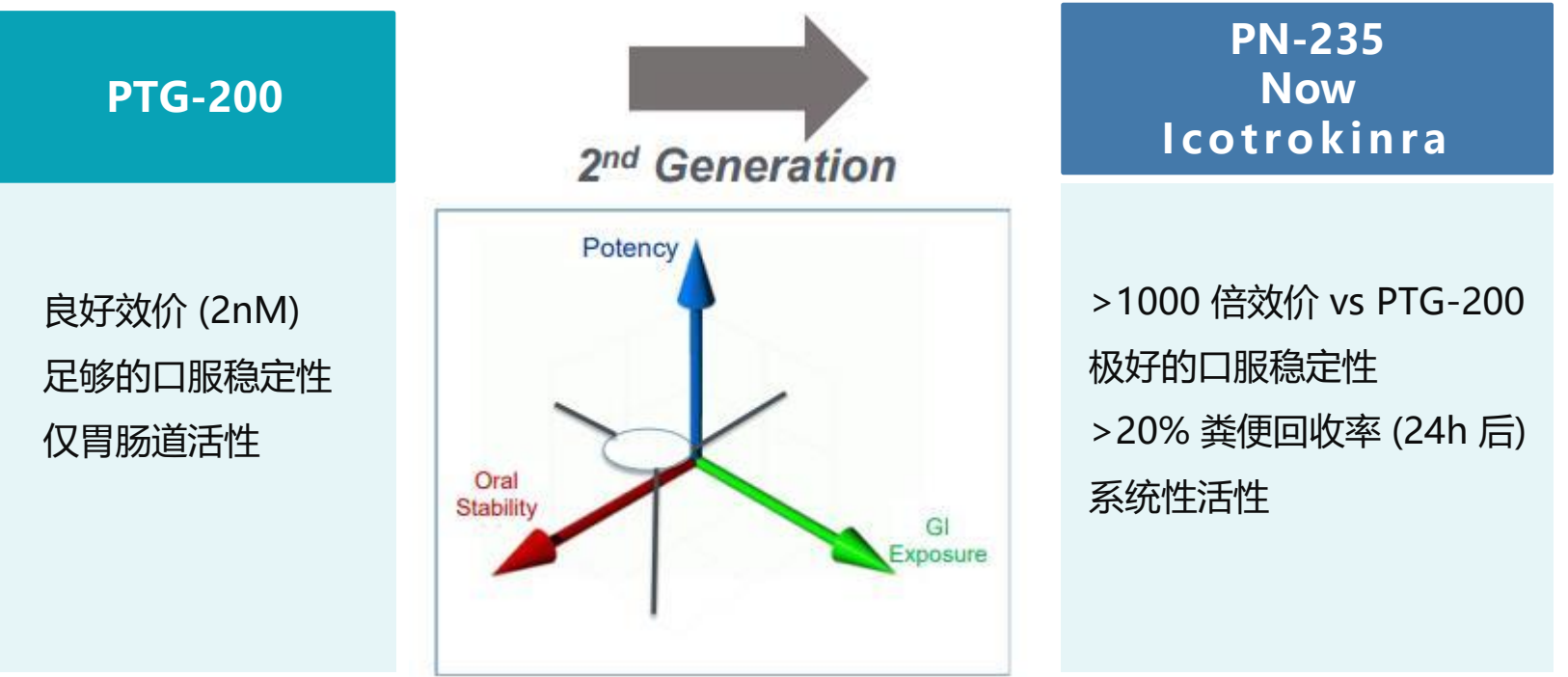
◆ 企业专利布局情况

申请号	申请人	专利标题
CN202380048106A	赛诺菲	作为选择性 IL-23 受体拮抗剂的新型肽
EP2024074933W	赛诺菲	NEW PEPTIDES AS SELECTIVE IL-23 RECEPTOR INHIBITORS
CN2023135637W	豪森	一种多肽抑制剂、其制备方法和应用
CN2024090789W	海思科	白介素-23 受体的肽抑制剂制备及其用途
EP2024065006W	Zealand	PEPTIDE INHIBITORS OF INTERLEUKIN-23 RECEPTOR

IL23R - 深度挖掘成熟靶点受体价值+快速升级迭代产品策略抢占先机

Icotrokinra 开发历程

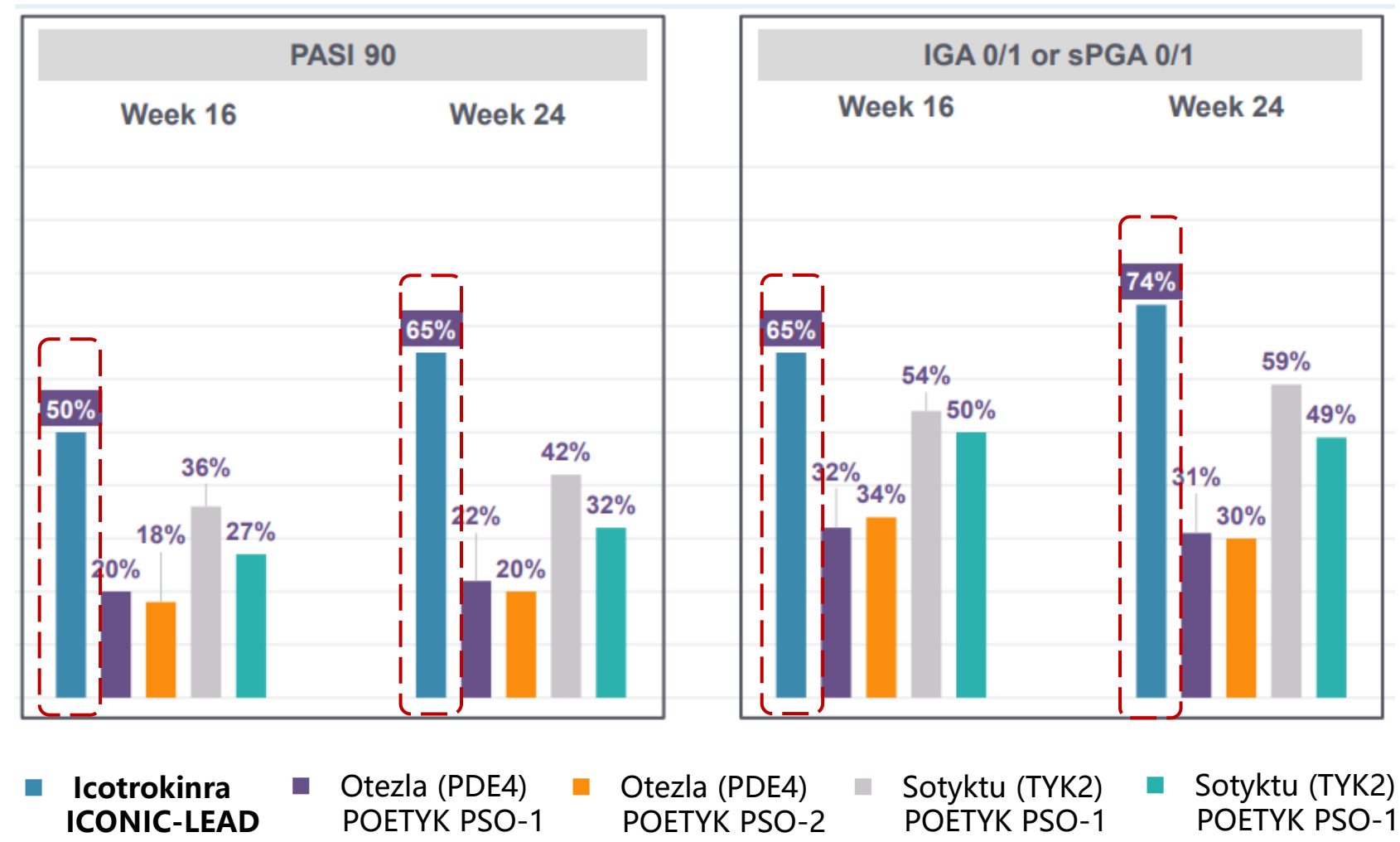
Johnson & Johnson



➤ 基于中期分析, 强生于 2021 年终止 1/2 代 PTG-200 和 PN-232 的开发, 全力推进效价和 PK/PD 更优的 **Icotrokinra**

Icotrokinra 的关键 Ph3 临床结果

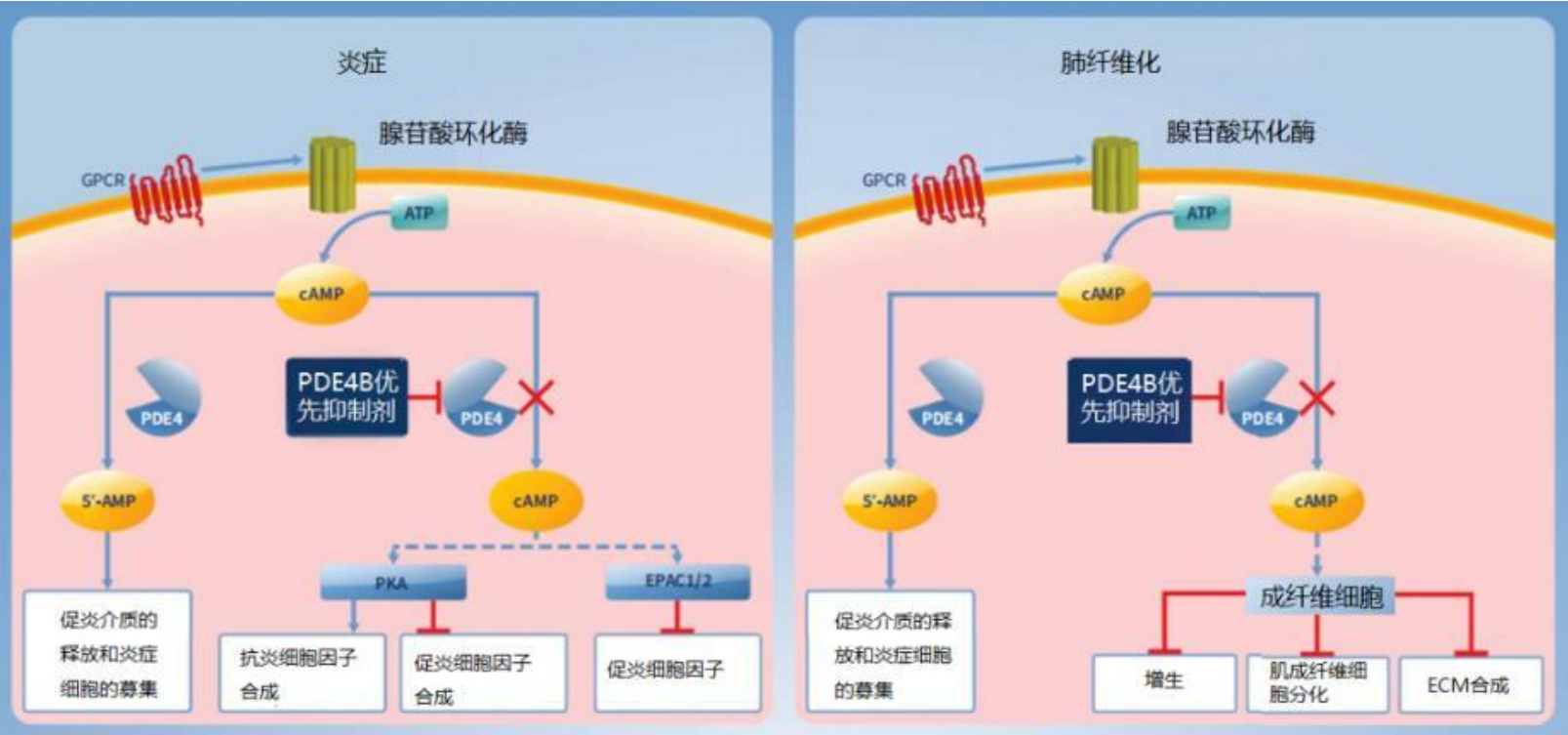
◆ Icotrokinra VS 已获批口服药物 (ICONIC-LEAD)



➤ Icotrokinra 治疗斑块状银屑病疗效显著优于已获批口服药物, 具有 **Best-in-class 潜力**

PDE4B - 精准开发成熟靶点亚型+差异化布局适应症策略开辟新赛道

PDE4B 靶点介绍



PDE4 靶点

- 全球获批上市的 PDE4 靶向药物共 9 款，获批适应症主要集中在慢阻肺、特应性皮炎、银屑病等

PDE4B 较 PDE4 靶点的优势

- ✓ 安全性优势：传统泛 PDE4 抑制剂因同时抑制 PDE4A/D 亚型，易导致胃肠道和中枢神经副作用
- ✓ 有效性优势：抑制 PDE4B 具有抗炎和抗纤维化双重作用

PDE4B 靶点竞争格局

药品成分	靶点	研发机构	成分类别	全球研发最高阶段及适应症
那米司特	PDE4B	勃林格殷格翰	化药	NDA: 特发性肺纤维化, 进行性肺纤维化
HSK44459	PDE4B	海思科医药	化药	Ph2: 特发性肺纤维化
Orismilast	PDE4B PDE4D	信达生物 Union	化药	Ph2: 斑块状银屑病, 化脓性汗腺炎, 特应性皮炎, 溃疡性结肠炎
SYH2059	PDE4B	翊石医药	化药	Ph1: 间质性肺疾病
GT-2108	PDE4B PDE4D	Giiant Pharma	化药	Ph1: 溃疡性结肠炎

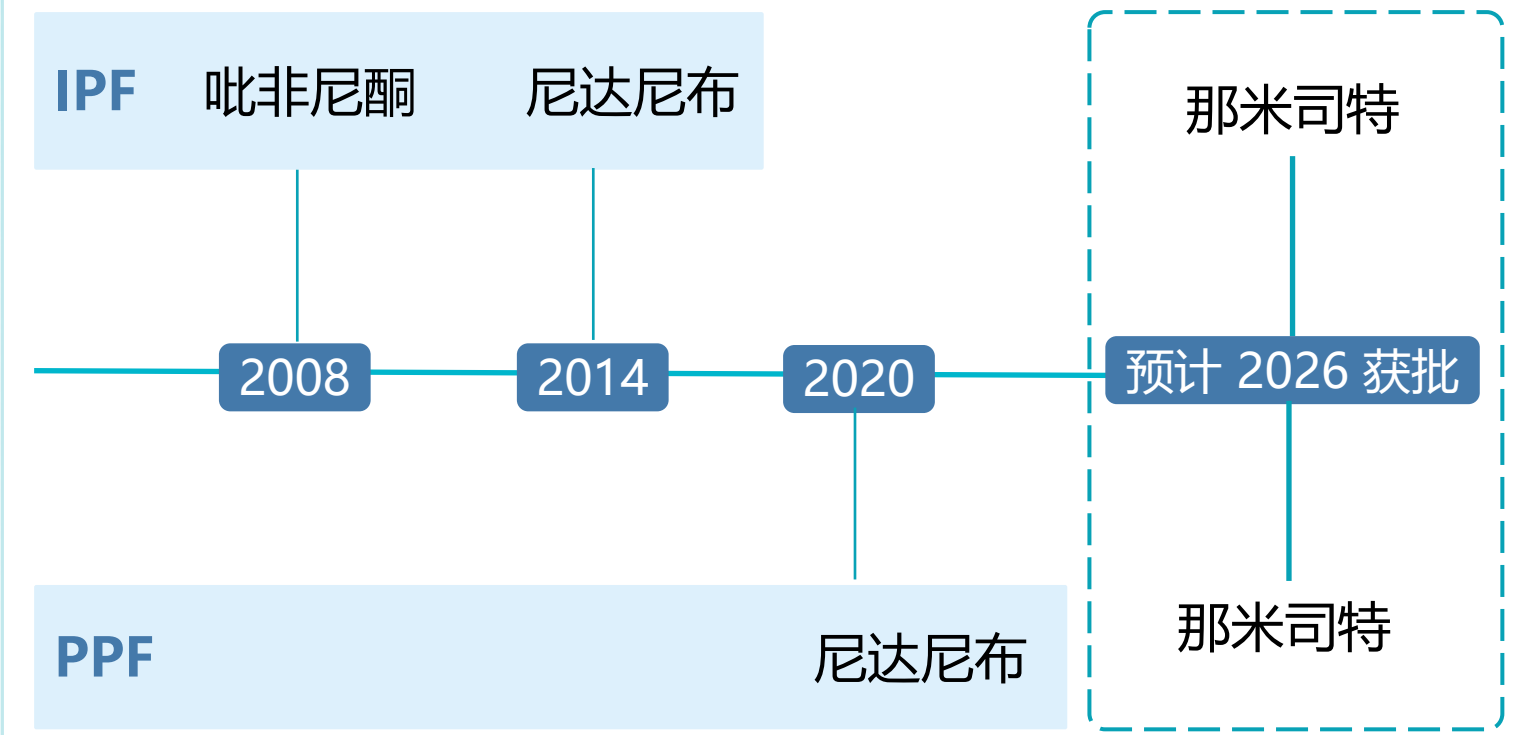
那米司特的关键 Ph3 临床结果



试验代号	FIBRONEER-IPF			FIBRONEER-ILD		
	特发性肺纤维化 (IPF)			进行性肺纤维化 (PPF)		
适应症	特发性肺纤维化 (IPF)			进行性肺纤维化 (PPF)		
分组	那米司特 9 mg	那米司特 18 mg	安慰剂	那米司特 9 mg	那米司特 18 mg	安慰剂
人数	392	392	393	393	391	392
FVC (52-week)	-138.6 mL	-114.7 mL	-183.5 mL	-84.6 mL	-98.6 mL	-165.8 mL
AE 停药	11.7%	14.0%	10.7%	8.1%	10.0%	10.2%
SAE	31%	30%	33%	31.8%	33.2%	35.2%

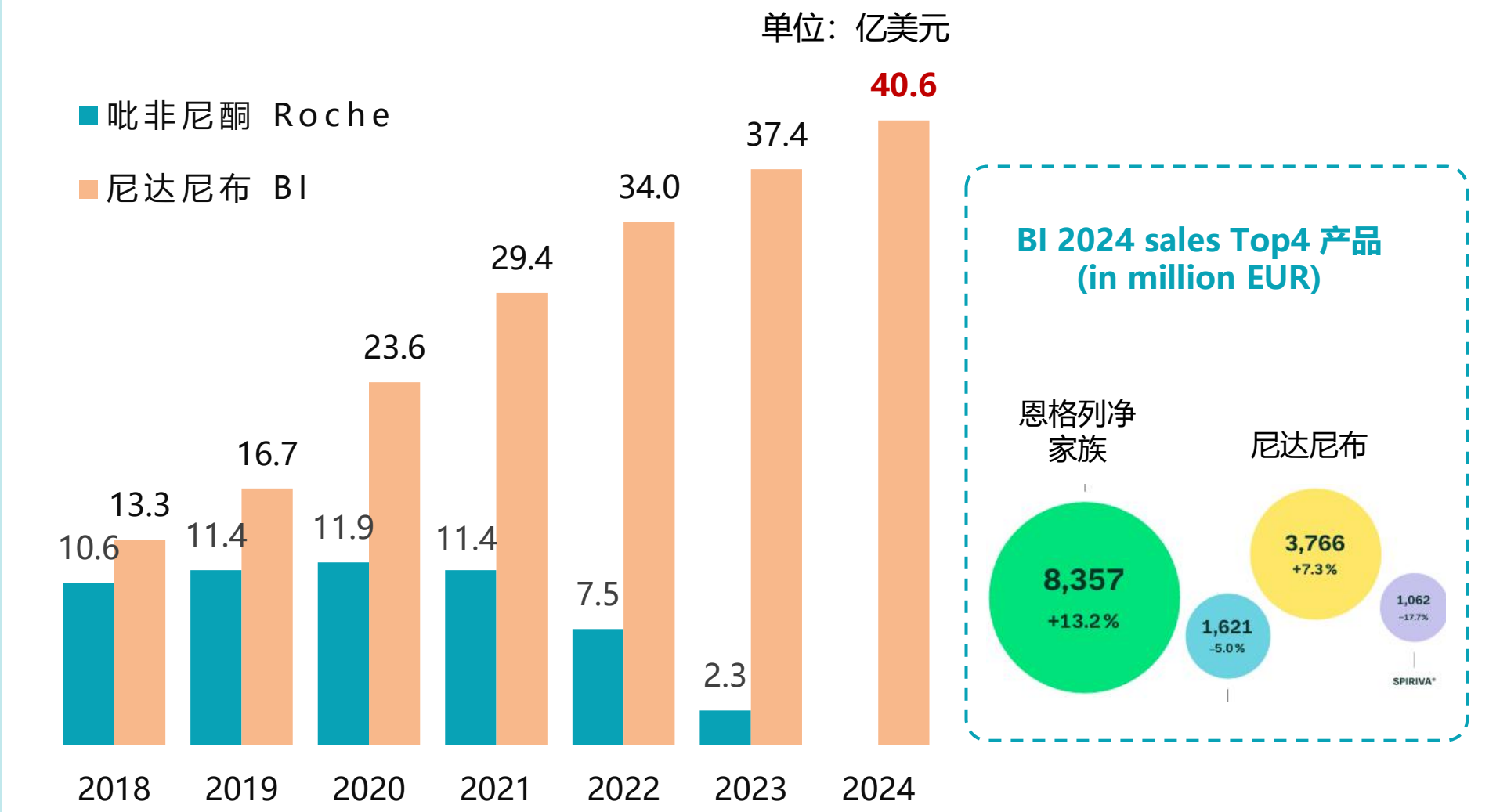
PDE4B - 精准开发成熟靶点亚型+差异化布局适应症策略开辟新赛道

IPF/PPF 药物获批历程



- IPF 获批上市药物仅吡非尼酮和尼达尼布，且近 10 年未有新药获批；PPF 获批上市药物仅尼达尼布一款；IPF 和 PPF 仍存在**未满足临床需求**
- 那米司特有望在 2026 年同时获批 IPF 和 PPF 两个适应症，打破现有治疗格局；
- 那米司特针对进行性肺纤维化的作用更侧重于炎症早期干预，而尼达尼布侧重于纤维化进程的抑制。因此那米司特将与尼达尼布形成“轻重组合”。

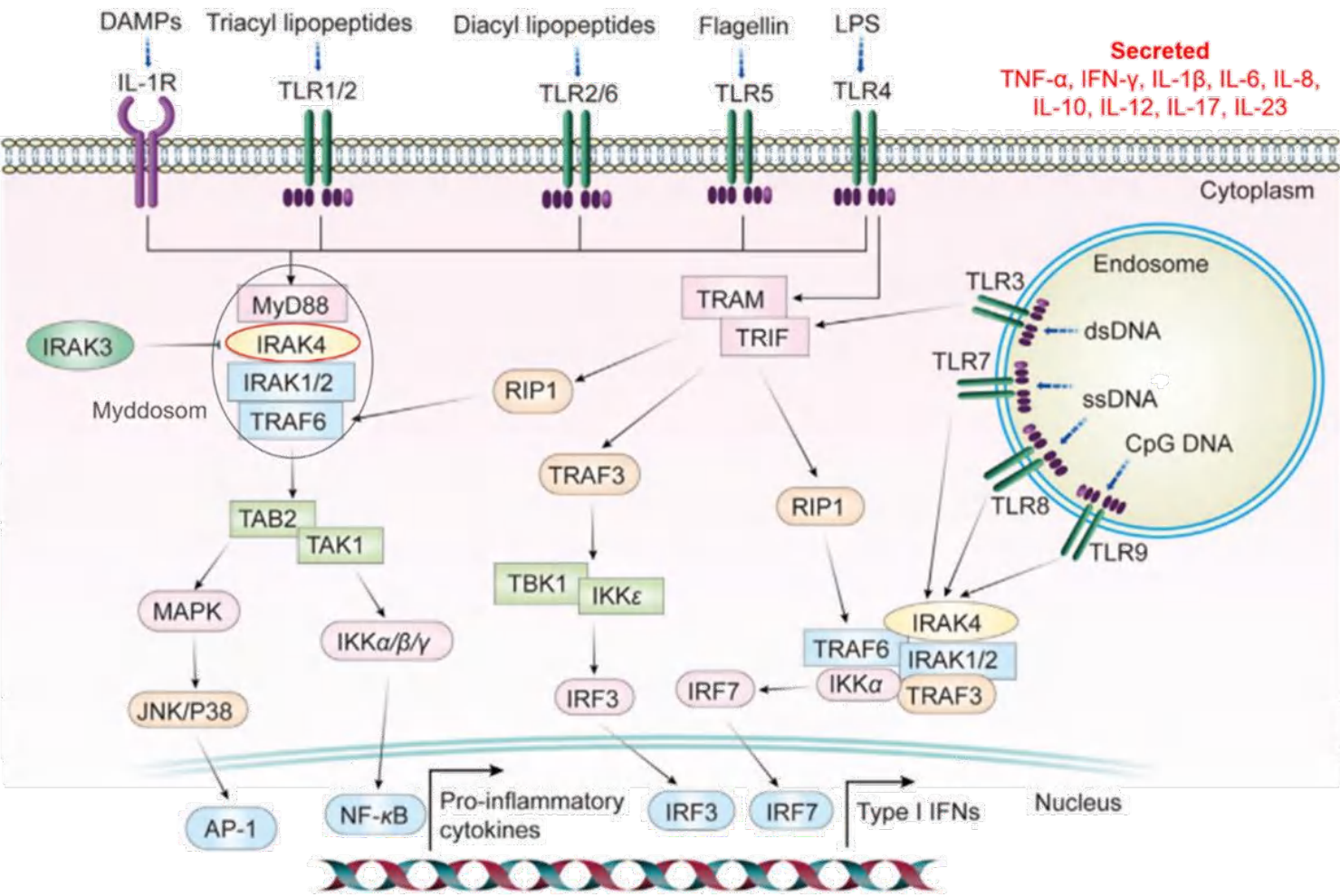
IPF/PPF 药物销售额



- 勃林格殷格翰的尼达尼布占据市场主导地位，2024 年销售额达 40 亿美元，IPF/PPF 市场空间潜力可观

MNC 强势布局 IRAK4 管线，赛诺菲暂时领跑

IRAK4 是 IL-1R 和 TLR 通路上共有的关键激酶



- ✓ 在上述通路中，IRAK4 具有双重功能：
- **激酶活性**：它的磷酸化是下游蛋白逐级激活的必要条件；
 - **支架功能**：形成 Myddosome 复合物后，即使激酶活性受到抑制，仍可通过支架功能激活下游信号通路。

MNC 布局 + 多起交易发生，未来潜力巨大

药品名称	成分类别	企业	靶点	全球自免适应症最高在研状态
KT-474 全球 FIC	PROTAC	Kymera Therapeutics 赛诺菲制药	IRAK4	Ph2：化脓性汗腺炎,特应性皮炎
MY004567	化药	武汉启瑞科技	IRAK4	Ph2：类风湿关节炎
EVO101	化药	礼来 Evommune	IRAK4	Ph2：特应性皮炎
Edecesertib	化药	吉利德制药	IRAK4	Ph2：类风湿关节炎, 皮肤型红斑狼疮
Zimlovisertib	化药	辉瑞制药	IRAK4	Ph2：类风湿关节炎,化脓性汗腺炎
LT-002	PROTAC	领泰生物	IRAK4	Ph1/2：化脓性汗腺炎,特应性皮炎
R289	化药	Rigel Pharmaceuticals	IRAK1 IRAK4	Ph1/2：骨髓增生异常综合征
ARD-885	化药	科辉智药（深圳）	IRAK1 IRAK4	Ph1：类风湿关节炎
BGB-45035	PROTAC	百济神州	IRAK4	Ph1：结节性痒疹,特应性皮炎
AZD6793	化药	阿斯利康制药	IRAK4	Ph1：炎症,慢性阻塞性肺疾病
BAY1830839	化药	拜耳医药	IRAK4	Ph1：类风湿关节炎, 自身炎症性疾病
HPB-143	PROTAC	多域生物 Photys Therapeutics	IRAK4	批准临床：特应性皮炎

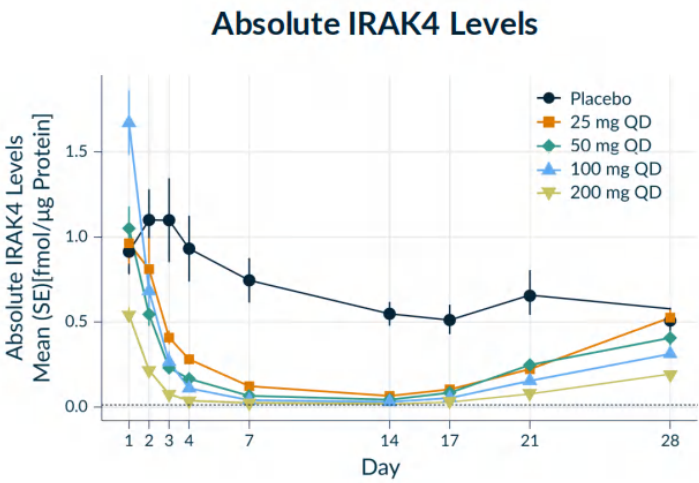
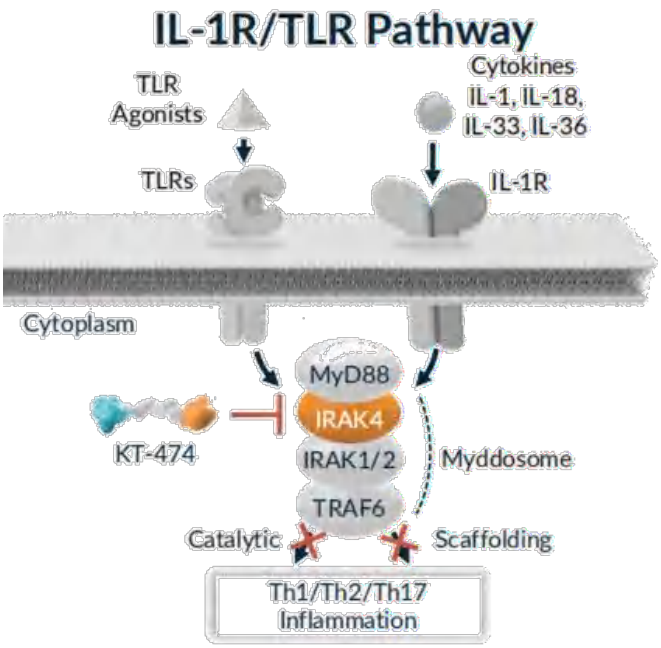
IRAK4 传统小分子疗效受限，升级靶向蛋白降解技术实现破局

IRAK4 传统小分子抑制剂频繁失利，疗效存在短板

项目/企业	适应症	登记号	临床结果
Zimlovisertib 	类风湿性关节炎	NCT04413617 (Ph 2)	Zimlovisertib+ 托法替布 vs 托法替布 DAS28-CRP 改善 -2.65 vs -2.30; 显示出微弱优势; Zimlovisertib+ 利特昔替尼 vs 托法替布 DAS28-CRP 改善 -2.35 vs -2.30 未显示出临床获益;
	化脓性汗腺炎	NCT04092452 (Ph 2)	Zimlovisertib vs Placebo HiSCR 34.0% vs 33.3% 
Zabedoseritib 	特应性皮炎	NCT05656911 (Ph 2)	Zabedoseritib vs Placebo 12 周 EASI75 32.3% vs 37.4% 
EVO101 	特应性皮炎	NCT05579899 (Ph 2)	EVO101 vs Vehicle 8 周 EASI 变化 -43.5% vs -62% 

➤ 传统的小分子 IRAK4 抑制剂发挥了激酶抑制剂功能，但未能抑制支架功能，无法完全阻断信号通路或细胞因子的产生，限制了其临床疗效，需要开发新型小分子抑制剂或者新的药物形式来解决这一问题。

IRAK4 靶向 PROTAC，从「抑制」到「降解」的范式升级

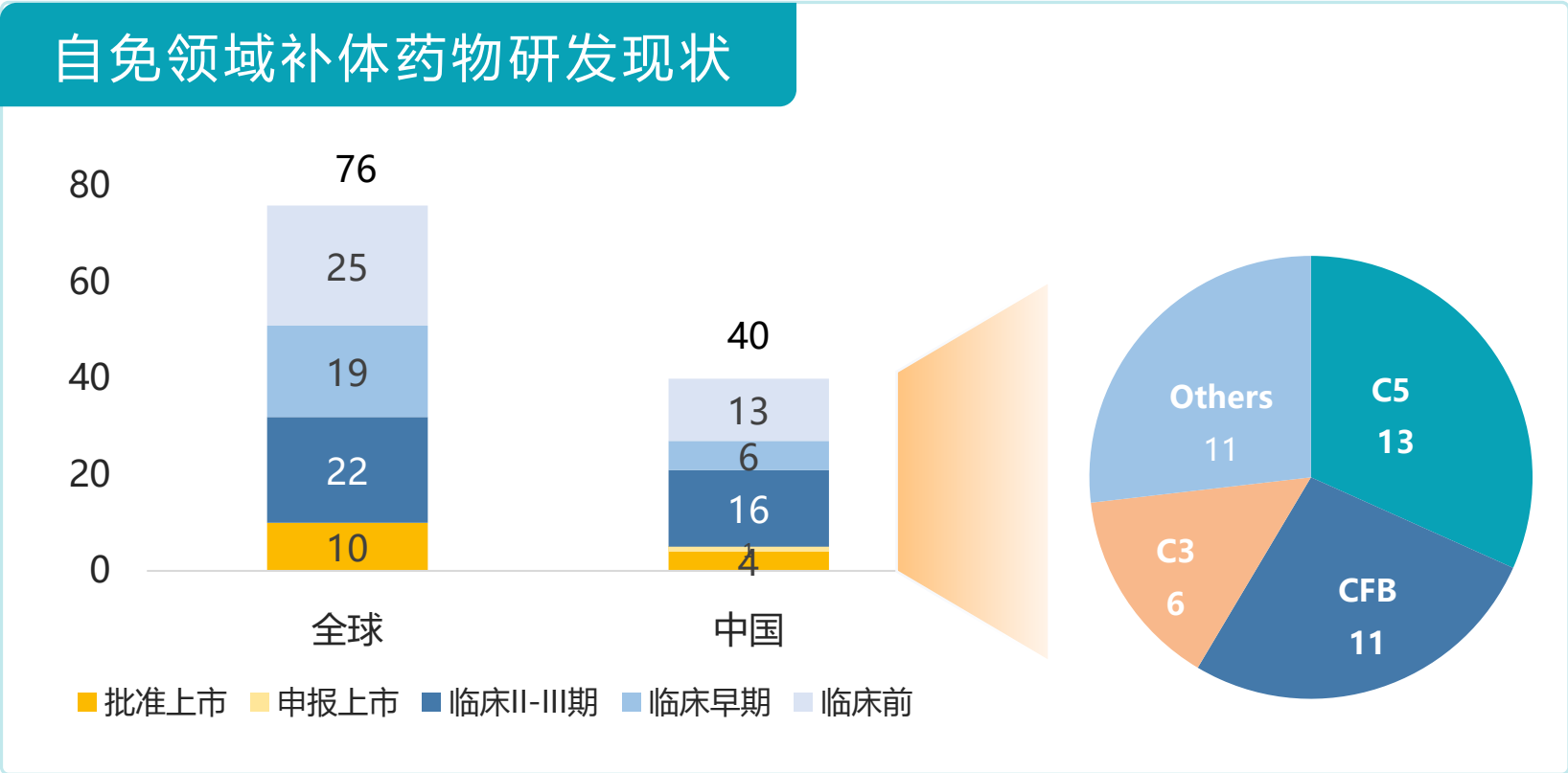
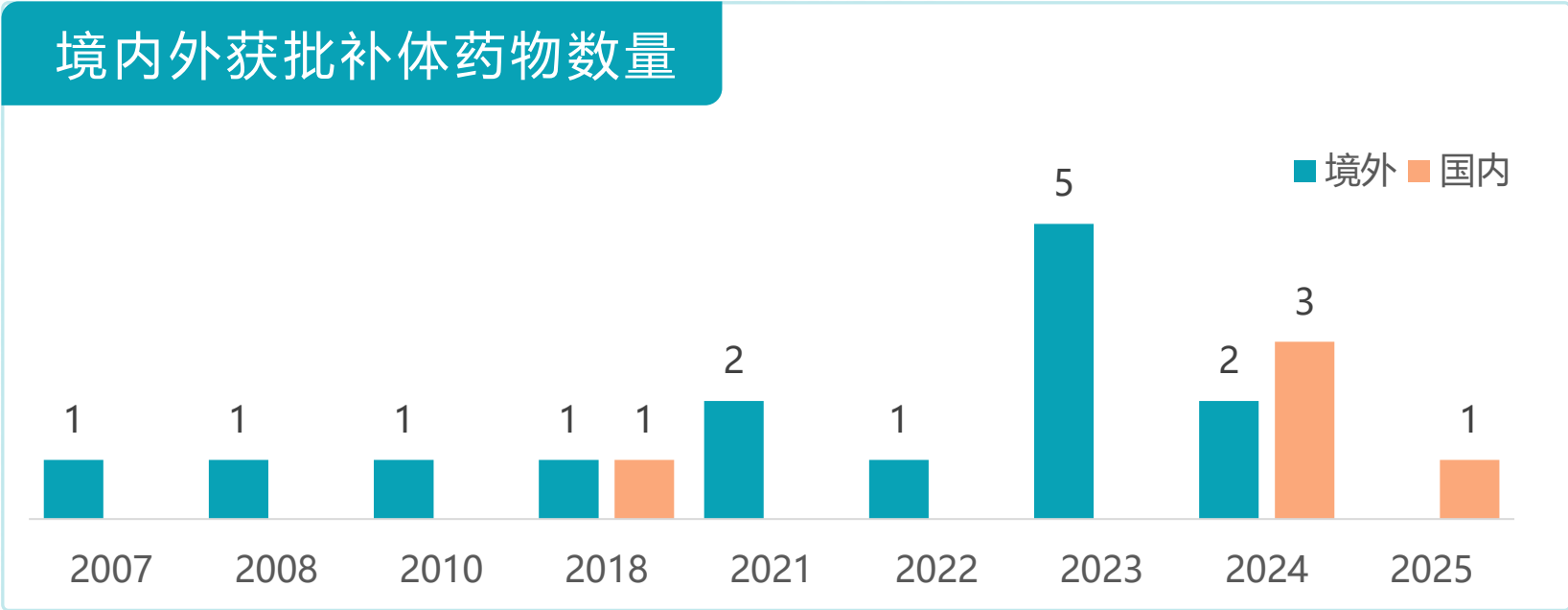


➤ KT-474 第一次给药 7~14 天，IRAK4 得到显著降解，在最后一次给药 2 周后可恢复至正常水平。

相较于安慰剂及 SOC 临床改善明显

特应性皮炎	KT-474 Phase 1 Part C	Placebo Phase 2&3 Week 4	Dupilumab Phase 3 Week 4
ΔEASI	-37%	-12 to -25%	-52%
Δ Peak Pruritus NRS	-52 to -63%	-11%	-34%
Peak Pruritus NRS Responder	57 to 71%	4 to 17%	23 to 40%
化脓性汗腺炎	KT-474 Phase 1 Part C	Placebo Phase 2&3 Week 4	Adalimumab Phase 2&3 Week 4
ΔAN Count	-46 to -51%	-15%	-31%
HiSCR75	25 to 30%	5%	20%
Pain NRS30	50 to 60%	18 to 23%	18 to 23%

随着补体药物在自身免疫领域的研究热潮兴起，靶向补体级联关键调控点 C3 显现出重要的研究前景



补体通路发生机制

✓ **经典途径**

C3 转化酶 C4b2a，裂解 C3 产生 C3a 和 C3b

✓ **旁路途径**

直接激活 C3，形成 C3 转化酶 C3bBb，裂解更多 C3，正反馈放大

✓ **凝集素途径**

生成 C3 转化酶，同经典途径的 C4b2a，最终裂解 C3

Legend:

- Protein complex (solid line)
- Fragment (dashed line)
- Proteolytic event (arrow with a dot)
- Complex formation (arrow with a dot)
- Feedback loop (dotted arrow)
- Decay/degradation (arrow with a cross)
- Inhibition (T-bar)
- Receptor (circle with a dot)

数据来源：Insight 数据库，Semin Immunopathol (2021)；数据统计截止 2025.06.01，靶点分布图中双靶点在各靶点中均计数一次

C3 靶点潜力巨大，适应症从 PNH 拓展至肾病自免领域，siRNA 及双抗等新技术引领下一代药物开发

已获批 C3 药物- Pegcetacoplan

Apellis

阵发性睡眠性
血红蛋白尿症

玻璃体内注射剂
-地图状萎缩

C3 肾小球病以
及膜增生性肾小
球肾炎

2021-05-14
FDA

2023-02-17
FDA

2025-02-20
EMA

国内处于临床研究 C3 项目

药品名称	企业	国内最高状态	主要适应症	成分类别
SGB-9768	圣因生物	Ph2	IgAN, C3G, MPGN	siRNA
ALXN2030	阿斯利康	Ph2	TG	siRNA
LP-005	天辰生物	Ph2	PNH, LN	双特异性抗体
QY-F11	三生制药	Ph1	PNH	非抗体类融合蛋白
RG002C0106	炫景生物	Ph1	GD, IgAN	siRNA
CG001	康景生物	Ph1	PNH, MPGN, MG	抗体类融合蛋白

SGB-9768 C3 siRNA

SanegeneBio

- ✓ SGB-9768 可实现每 3 个月或 6 个月一次的给药频率，且能有效并持续地减少 C3 合成
- ✓ 1 期结果显示：SGB-9768 具有良好的安全性和耐受性，同时观察到剂量依赖的、显著而持久的 C3 水平及补体通路活性的下降
- ✓ 针对 IgAN，C3G 以及 MPGN 的 Ph2 于 2025-03-07 开始招募



LP-005 C3&C5 双特异性抗体

longbio

LP005-PNH Ph2 试验分组	给药方式	LDH level (5-week)	Hgb	LDH level (below 1.5xULN)
Cohort 1 (N=7)	900 mg IV Q4W	-80%	+2.5 g/dL	50%
Cohort 2 (N=7)	1200 mg IV Q4W	-88%	+2.6 g/dL	100%

InCibitor™
药物开发平台

2025 年 06 月

C轮

超2亿元人民币
弘晖基金 等7个机构

CONTENTS

01

自免领域概览

市场规模、临床研发、靶点种类

02

经典通路新突破

TL1A、IL23R、PDE4B、
IRAK4、C3

03

肿瘤转自免

CD38、BCMA、
CD40/CD40L

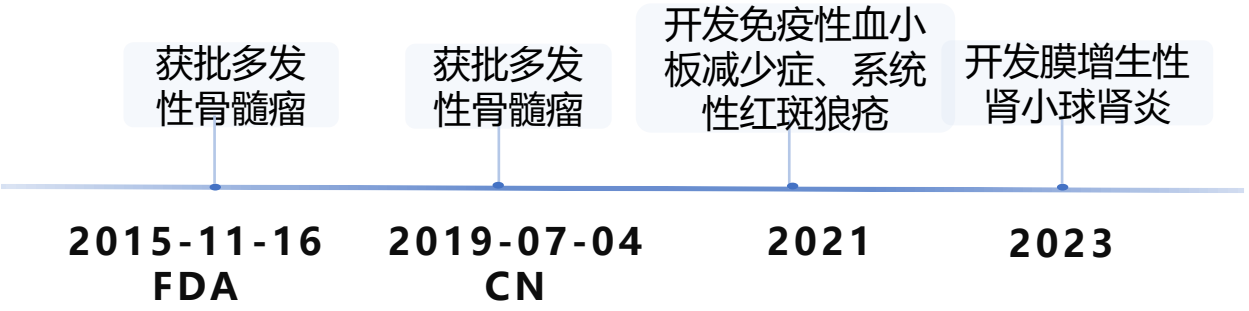
04

自免新机制

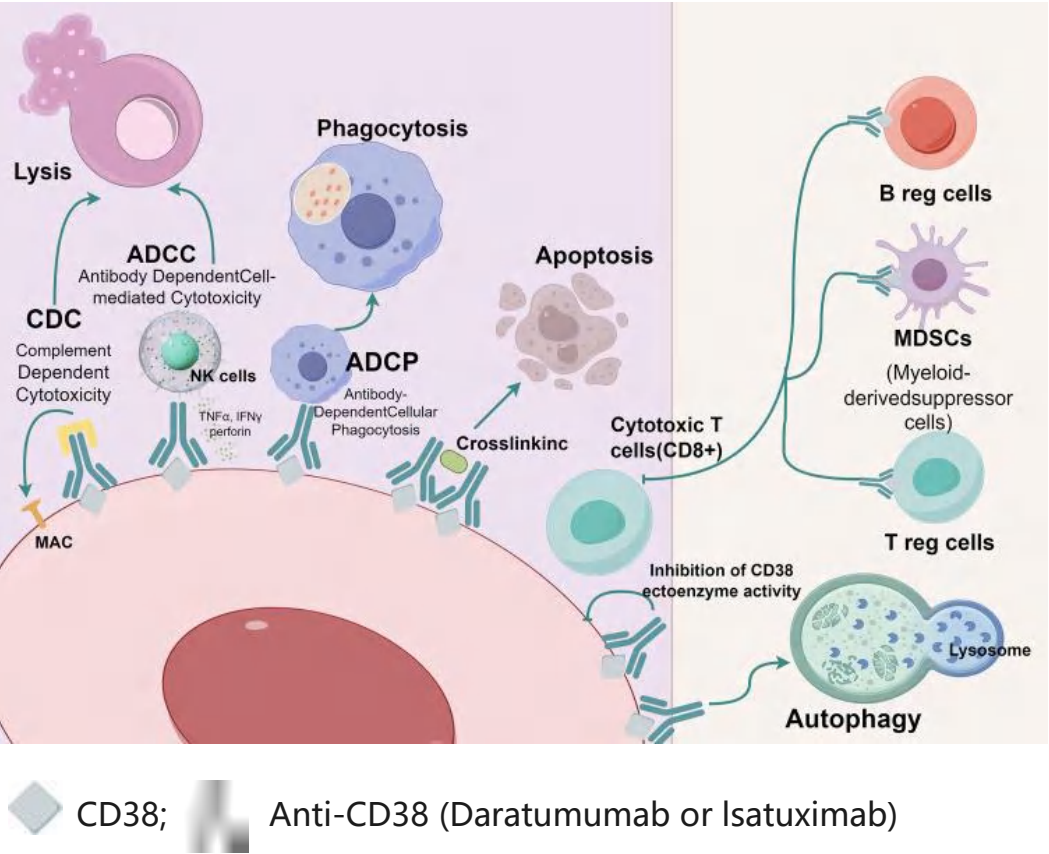
Kv1.3、LANCL2、Nck
adaptor protein

CD38 单抗从血液瘤到自免疫赛道的差异化探索，带来新的市场机遇

首个 CD38 单抗-达雷妥尤单抗



CD38 作用机制



CD38 全球自免在研竞争格局

药品成分	成分类别	研发机构	全球自免最高在研状态	中国内地自免最高在研状态
Mezagitamab (TAK-079)	单抗	武田	Ph3: ITP, IgAN	Ph3: ITP
菲泽妥单抗	单抗	MorphoSys, HI-Bio, 渤健, 天境生物	Ph3: AMR, IgA N, PMN	Ph1: SLE
CM313	单抗	康诺亚, Timberlyne Therapeutics	Ph2: ITP	Ph2: ITP
CM313皮下注射	单抗	康诺亚	Ph2: SLE, IgA N	Ph2: SLE, IgA N
达雷妥尤单抗 全球 FIC	单抗	Genmab, 强生制药	Ph2: ITP, SLE, MPGN	-
SCTC21C	单抗	神州细胞	Ph1/2: IgA N	Ph1/2: IgA N
CID-103	单抗	Black Belt Therapeutics, Kaixin Pharmaceuticals	Ph1/2: ITP	Ph1/2: ITP
AD-PluReceptor 全球 FIC	CAR-NK	University of Texas MD Anderson Cancer Center	Ph1/2: SSc, SLE	-
SG301SC	单抗	尚健生物	Ph1: SLE	Ph1: SLE
KYS202002A	单抗	康缘药业	Ph1: SLE	Ph1: SLE

菲泽妥单抗除布局多发性骨髓瘤外，差异化布局自身免疫性肾科领域，展现广阔的临床应用潜力

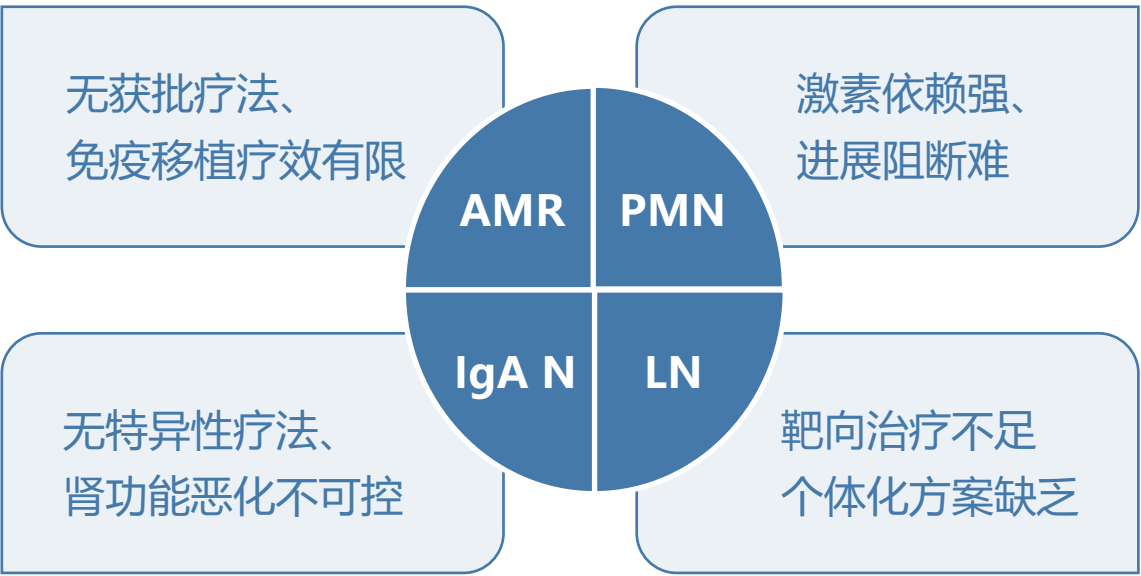
肾病流行病学及未满足需求

肾移植排斥反应：国内约 17%-33% LN 和 50% IgA N 患者进展至终末期需移植，移植后排斥反应复发率高

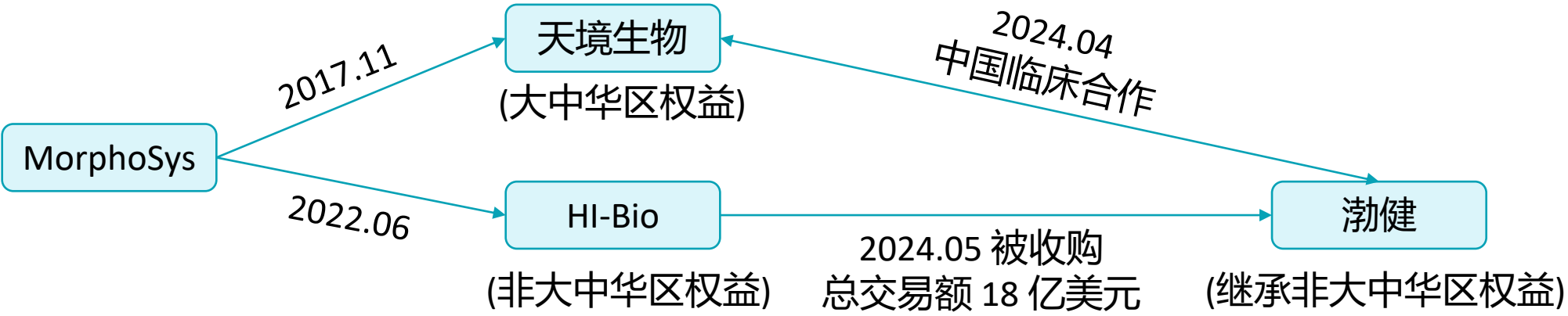
原发性膜性肾病：中国发病率为 23.4%。2023 年中国 PMN 患者人数约为 220 万人

IgA 肾病：中国有约 500 万的 IgA N 患者，每年新增确诊患者超过 10 万人

狼疮肾炎：SLE 国内发病率为 30-70/10 万人，40%-60% SLE 患者起病初即有 LN



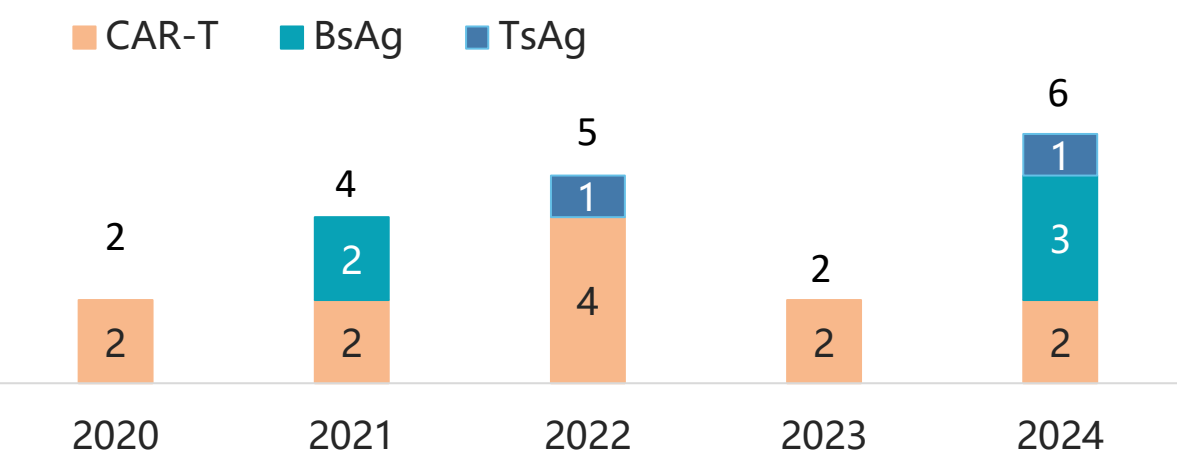
菲泽妥单抗——百亿自免肾科蓝海的破局者



适应症	Ph1	Ph2	Ph3	NDA-S	NDA-A
肾移植排斥反应 (US: BTD、ODD)	招募中			Ph2: 形态学缓解为 82% vs 20%	
原发性膜性肾病 (US: BTD、ODD)	尚未招募			Ph1/2: 免疫反应为 76.9%	
IgA 肾病	招募中			Ph2: 减轻 IgAN 的肾小球损伤	
狼疮肾炎	招募中				
系统性红斑狼疮	招募中				
	试验终止				

BCMA 在自免领域的潜力重新吸引医药交易热度，国内竞争格局良好

BCMA 靶点在自免赛道的医药交易



2024 年 BCMA 靶点在自免赛道的医药交易

药品名称	转让方	受让方
CM336 (BCMA/CD3, BsAg)	康诺亚	Platina Medicines
LBL-051 (BCMA/CD3/CD19, TsAg)	维立志博	Oblenio Bio
Cizutamig (BCMA/CD3, BsAg)	Vignette Bio	Candid Therapeutics
	岸迈生物	Vignette Bio
伊基奥仑赛 (BCMA, CAR-T)	信达生物	驯鹿生物
AZD0120 (BCMA/CD19, CAR-T)	亘喜生物	阿斯利康

进入 Ph2 的 BCMA 靶点药物的自免竞争格局

药品名称	靶点	技术类别	研发机构	全球自免最高在研状态	中国内地自免最高在研状态
Descartes-08	BCMA	CAR-T	Cartesian Therapeutics	Ph3: 重症肌无力	-
CM336	BCMA/CD3	BsAg	康诺亚, Platina Medicines	Ph2: 免疫性血小板减少症	Ph2:免疫性血小板减少症
C-CAR168	BCMA/CD20	CAR-T	西比曼	Ph1/2: 狼疮肾炎,自身免疫性疾病	Ph1: 多发性硬化,视神经脊髓炎,系统性红斑狼疮,免疫介导坏死性肌病,狼疮肾炎
ICG318	BCMA/CD19	CAR-T	iCell Gene Therapeutics, 松鹤免疫	Ph1/2: 系统性红斑狼疮	Ph1/2: 系统性红斑狼疮
BH002	BCMA/CD19	CAR-T	埃森生物	Ph1/2: 系统性红斑狼疮,干燥综合征	Ph1/2: 系统性红斑狼疮,干燥综合征
AZD0120 (GC012F)	BCMA/CD19	CAR-T	阿斯利康, 亘喜生物	Ph1/2: 系统性红斑狼疮	Ph1/2: 系统性红斑狼疮

数据来源：Insight 数据库，医药交易按交易状态更新时间统计；数据统计截止 2025.06.01



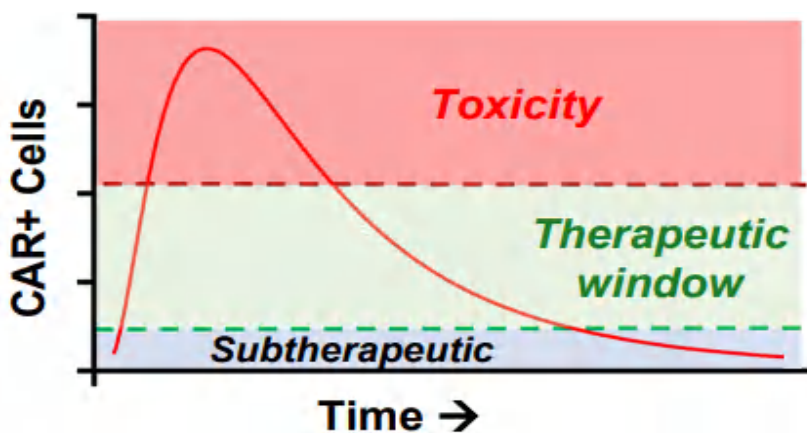
全球首款无需清淋的 BCMA 靶向 mRNA CAR-T 疗法治疗重症肌无力已完成关键 Ph3 临床首例入组

 | 

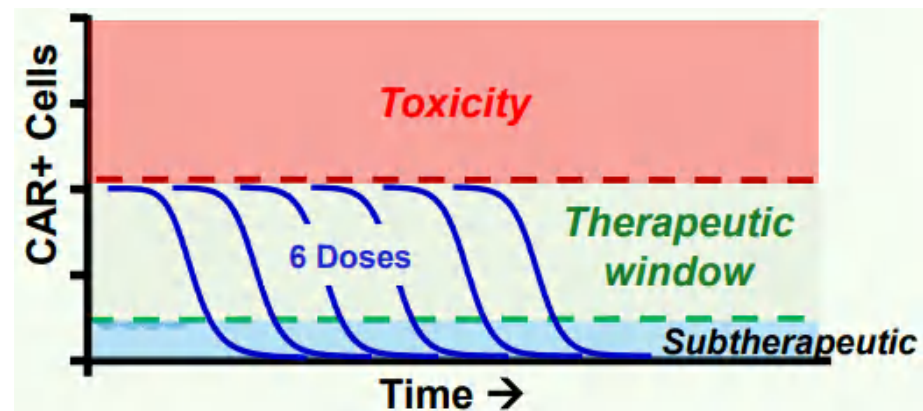
mRNA CAR-T 疗法的优势



Conventional CAR-T



Descartes-08 (mRNA CAR-T)



mRNA CAR-T 优势

- ✓ 无需清淋无 3-4 级细胞减少
- ✓ 门诊给药减轻患者负担
- ✓ 治疗剂量下给药
- ✓ mRNA 不复制，可控的 PK/PD
- ✓ 瞬时细胞修饰，避免基因整合风险

Descartes-08 的全球适应症布局

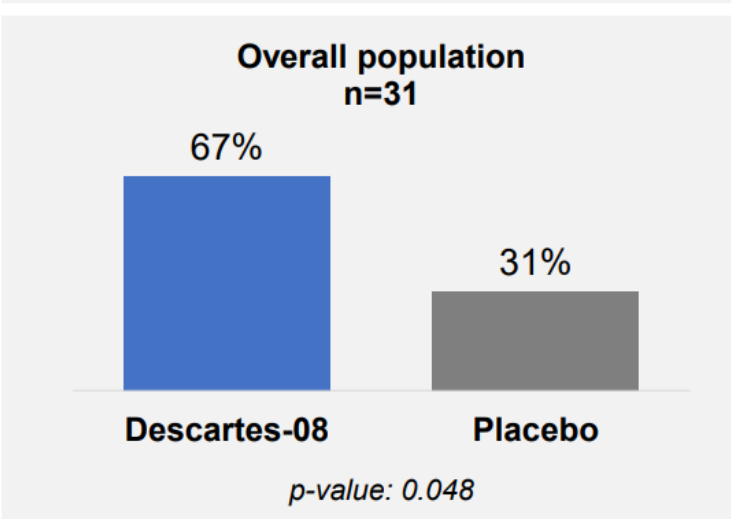
适应症	Pre-IND	Ph1	Ph2	Ph3	NDA-S/A
MG (US: RMAT、ODD)	招募中				
系统性红斑狼疮	招募中				
ANCA 相关性小血管炎	临床前				
幼年皮炎炎	临床前				

Ph2 (MG-001 研究)

➤ 达到主要终点
具有统计学意义

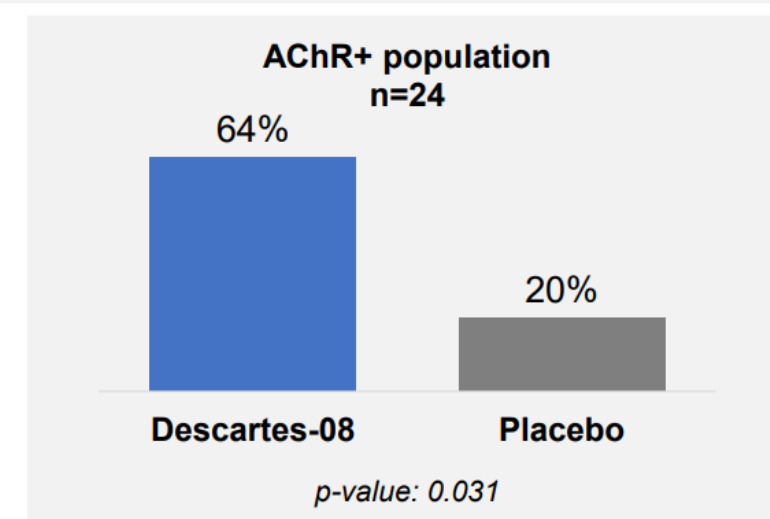
Proportion of MG Composite Responders (≥5-point reduction) at Month 3

Overall population n=31



Per Protocol Responders: Descartes-08, n= 12/18; placebo, n=5/13

AChR+ population n=24



Per Protocol Responders: Descartes-08, n= 9/14; placebo, n=2/10

BCMA/CD19 双靶向 CAR-T 覆盖 B 细胞全生命周期，展现显著机制优势；
GC012F 治疗难治性 SLE 展现出显著疗效与良好安全性



AZD0120 双靶狙击的作用机制优势

AstraZeneca

CD19 靶点：清除异常 B 细胞（致病抗体生产者）
BCMA 靶点：清除长寿浆细胞（顽固抗体来源）

EULAR 2025 IIT 临床试验结果

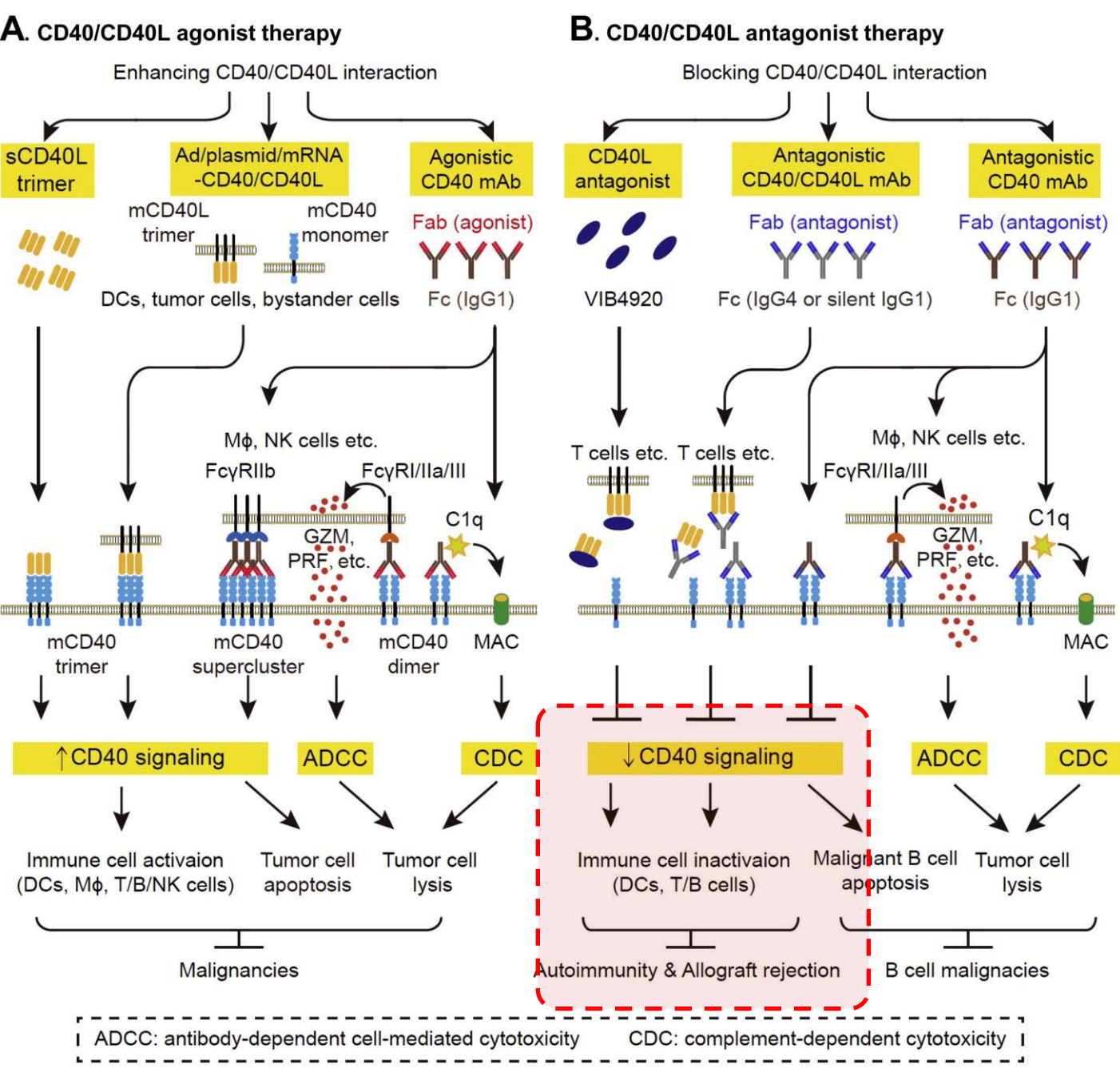
登记号	NCT05858684 (Ph1)
人数	N=10
给药方案	GC012F infusion on day 0 in three escalating dose groups (1, 2, and 3 ×10 ⁵ CAR+ T cells/kg)
remission (DORIS, 9-month)	90%
CR	60%
PR	40%
CRS (Grade 1)	60%
CRS (Grade 2)	10%

阿斯利康为了进一步验证其安全性与疗效，已启动多中心 Ph1/2 临床试验 (NCT06530849/CTR20242763)

CD40/CD40L 是免疫检查点中最关键的分子对之一，相较于肿瘤领域对其激动剂的开发，针对自免的 CD40/CD40L 抑制剂研发已展现出较大潜力



CD40/CD40L 开发策略



CD40/CD40L 自免进展

药品名称	企业	全球最高进展	中国最高进展	主要适应症
Frexalimab	赛诺菲	Ph3	Ph3	MS, FSGS
Dazodalibep	安进	Ph3	Ph2	SS, RA
Dapirolizumab Pegol	优时比, 渤健	Ph3	Ph3	SLE
OPT101	Op-T LLC	Ph2	-	T1DM
Abiprubart	Kiniksa	Ph2	-	RA
Tegoprubart	Anelixis	Ph2	批准临床	ALS, T1DM,
Ravagalimab	艾伯维	Ph2	-	UC
BI 655064	勃林格殷格翰	Ph2	-	LN
Iscalimab	Xoma	Ph2	Ph2	SLE, T1DM, HS
IBI355	信达生物	Ph1	Ph1	SLE, SS
TNX 1500	Tonix	Ph1	-	Autoimmune disorders
APB-A1	灵北制药	Ph1	-	TED, Autoimmune disorders
BMS-986325	百时美施贵宝	Ph1	-	SS

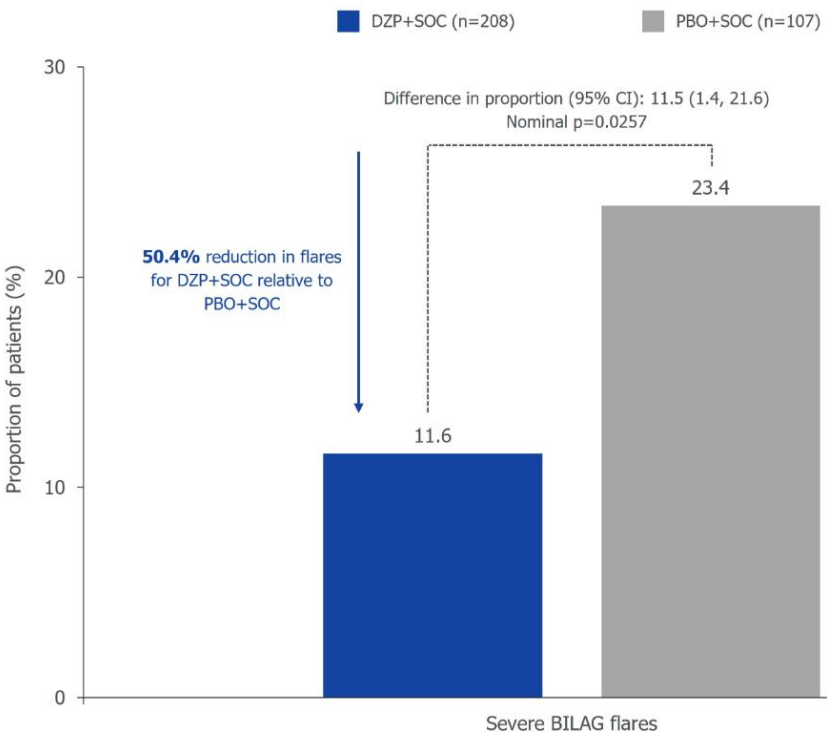
数据来源: Insight 数据库, Pharmacology & Therapeutics (2021); 数据统计截止 2025.06.01, 进展仅统计 Ph1 及以上阶段

CD40L 拮抗剂开发汲取过往经验改造抗体结构，规避了血栓风险，目前已有长期安全及有效性结果发布，值得期待

Fab-Dapirolizumab Pegol



PHOENYCS GO SLE Ph3 试验分组	给药	BICLA (Week 48)	SRI-4	FACIT-F (48-week)	LLDAS (48-week)	DORIS (48-week)
试验组 (N=208)	24 mg/kg IV, +SOC	49.5%	60.1%	8.9	40.9%	19.2%
对照组 (N=107)	安慰剂+SOC	34.6%	41.1%	5.2	19.6%	8.4%



- 重度 BILAG (48-week) 11.6% vs 23.4% (nominal p=0.0257; difference 11.5%)
- 糖皮质激素依赖 小于等于 7.5 mg/day 48-week 72.4% vs 52.9% (nominal p=0.0404; difference 17.1%)

Fc沉默-Frexalimab



适应症	临床前	Ph1	Ph2	Ph3	NDA-S	NDA-A
多发性硬化		招募中				
1型糖尿病		招募中				
微小病变		招募中				
局灶节段性肾小球硬化症		招募中				

MS Ph2 评价指标	Frexalimab 1200mg/IV q4w	Frexalimab 300mg/SC q2w	placebo to frexalimab-1200mg/IV q4w	placebo to frexalimab-300mg/SC q2w
GdE T1 lesions (12-weeks)	-89%	-79%	-	-
GdE T1 lesions (48-week)	0.0	0.2	0.2	0.1
Gd+T1-lesions (96-week)	0.1	≤0.4	0.1	≤0.4
ARR (96-week)	ARR (baseline-W96) was low (0.08 [95% CI, 0.03–0.18]) in frexalimab1200mg/IV arm			

CONTENTS

01

自免领域概览

市场规模、临床研发、靶点种类

02

经典通路新突破

TL1A、IL23R、PDE4B、
IRAK4、C3

03

肿瘤转自免

CD38、BCMA、
CD40/CD40L

04

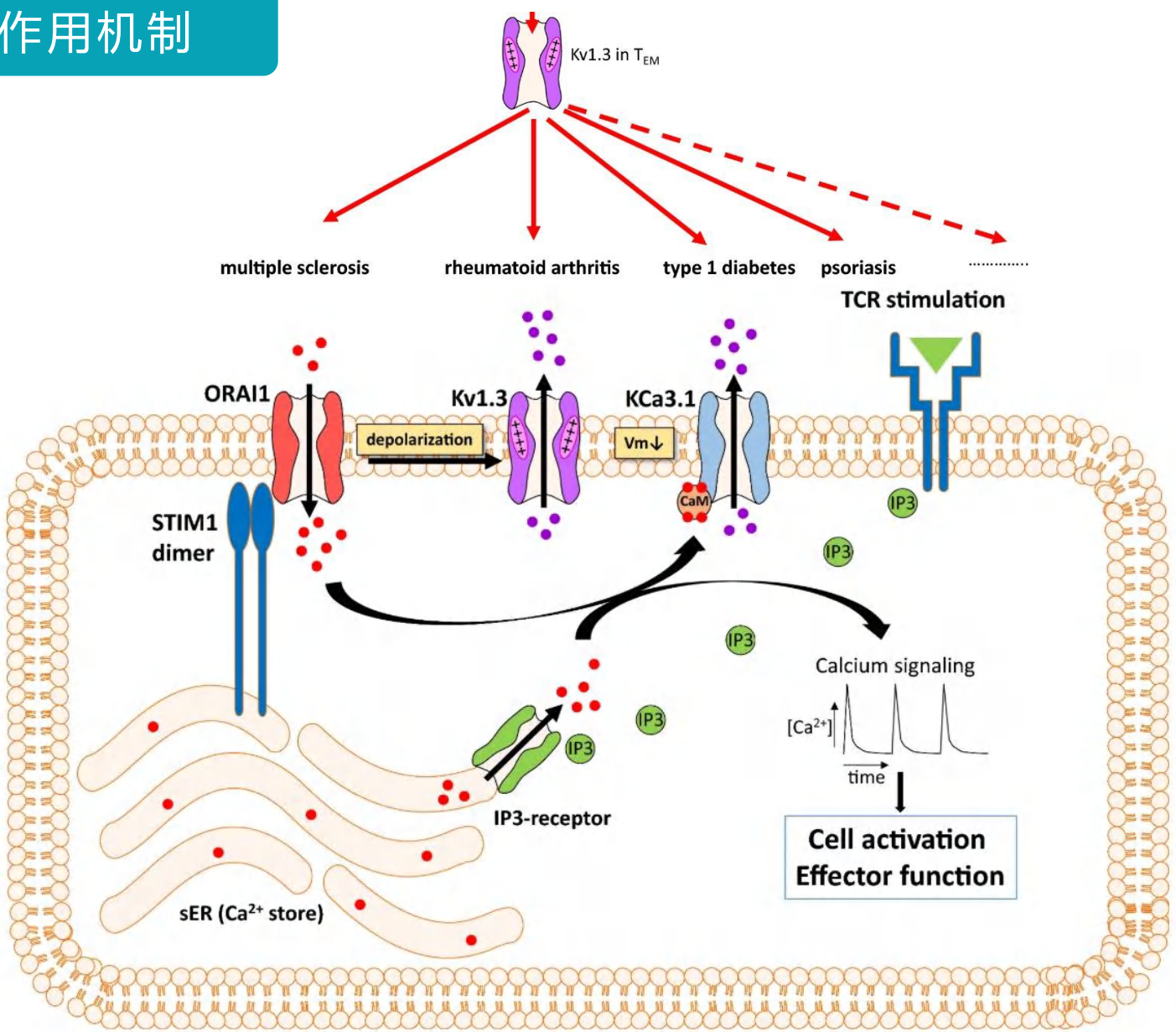
自免新机制

Kv1.3、LANCL2、Nck
adaptor protein



Kv1.3 对效应记忆 T 细胞的特异性激活使之成为新兴自免治疗靶点，多肽长效化与选择性提高提升了 Kv1.3 的成药性

作用机制



- Kv1.3 是效应记忆 T 细胞中的主要 K⁺ 通道
- 针对 Kv1.3 的抑制剂可以选择性地阻止这些细胞的激活，而不会影响幼稚细胞和记忆 T 细胞提供的保护性免疫

Kv1.3 临床研究进展

药品名称	企业	全球最高进展	中国最高进展	主要适应症
YR001	壹瑞医药	Ph2	批准临床	AD, PsO
LY3972406	礼来	Ph2	-	PsO
ZP9830	Zealand Pharma	Ph1	-	IBD
Si-544	selectION	Ph1	-	AD, AS, PsO
DES-7114	礼来	Ph1	-	UC, CD, AD

Si-544 高选择性多肽

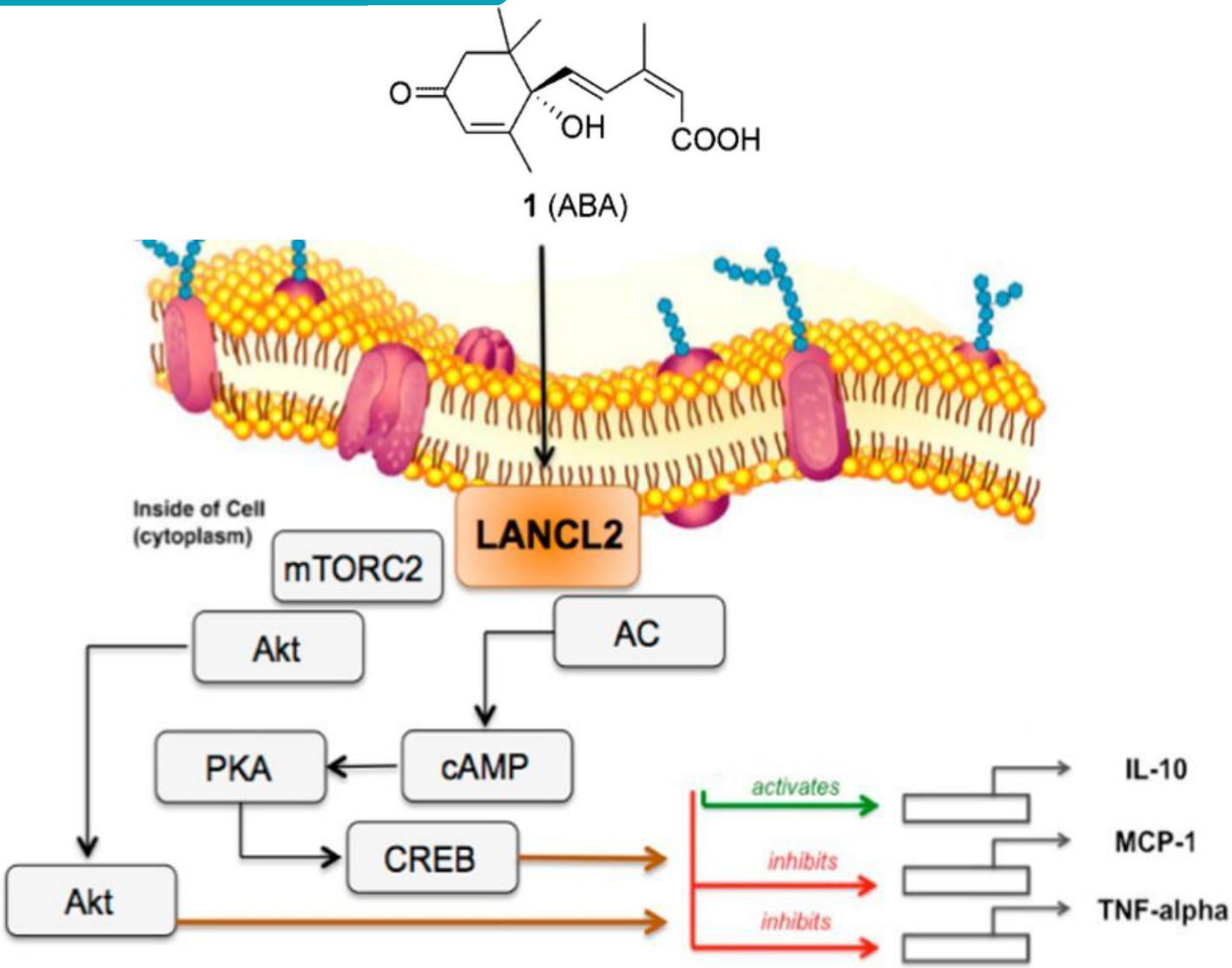


- I期治疗特应性皮炎的试验结果积极 (NCT05383378)
- Si-544 耐受性良好，未观察到严重不良反应、剂量限制性毒性或安全信号
 - 75% 接受 Si-544 治疗的患者经历了客观的临床改善，其中 44% 的患者表现出清晰或近乎清晰的皮肤。

LANCL2 激动剂通过免疫代谢重编程成为自免疾病治疗新方向；Omilancor 能否引领 LANCL2 靶点的研发热潮值得期待



LANCL2 作用机制

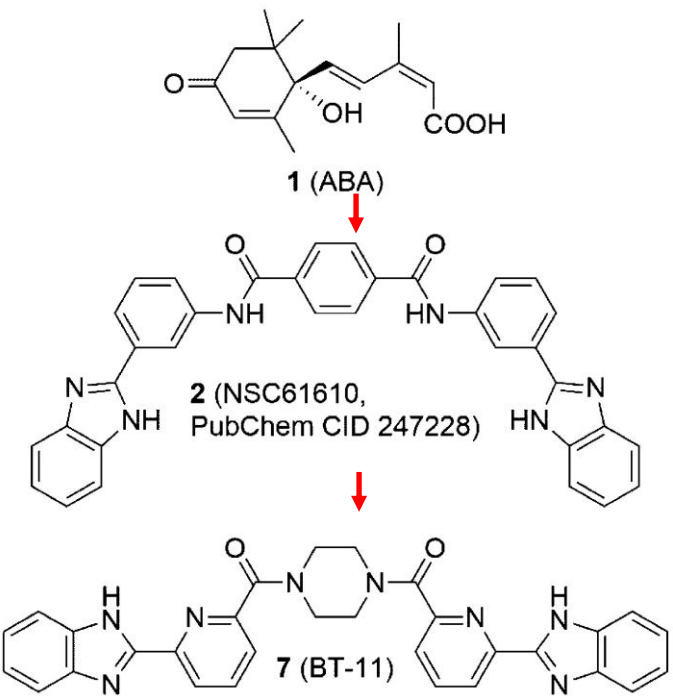


- LANCL2 基因缺失会导致炎症性肠病和狼疮等疾病的严重炎症
- 药物激活 LANCL2，可以在小鼠模型中提供治疗效果，包括肠道炎症、系统性红斑狼疮、类风湿关节炎、多发性硬化症和银屑病等

LANCL2 临床研究进展

药品名称	企业	全球最高进展	中国最高进展	主要适应症
Omilancor (BT-11)	NImmune	Ph3	-	UC, CD
NIM-1324	NImmune	Ph1	-	SLE, RA
SPH7050	上海医药	批准临床	批准临床	UC, IBD

Omilancor 临床结果

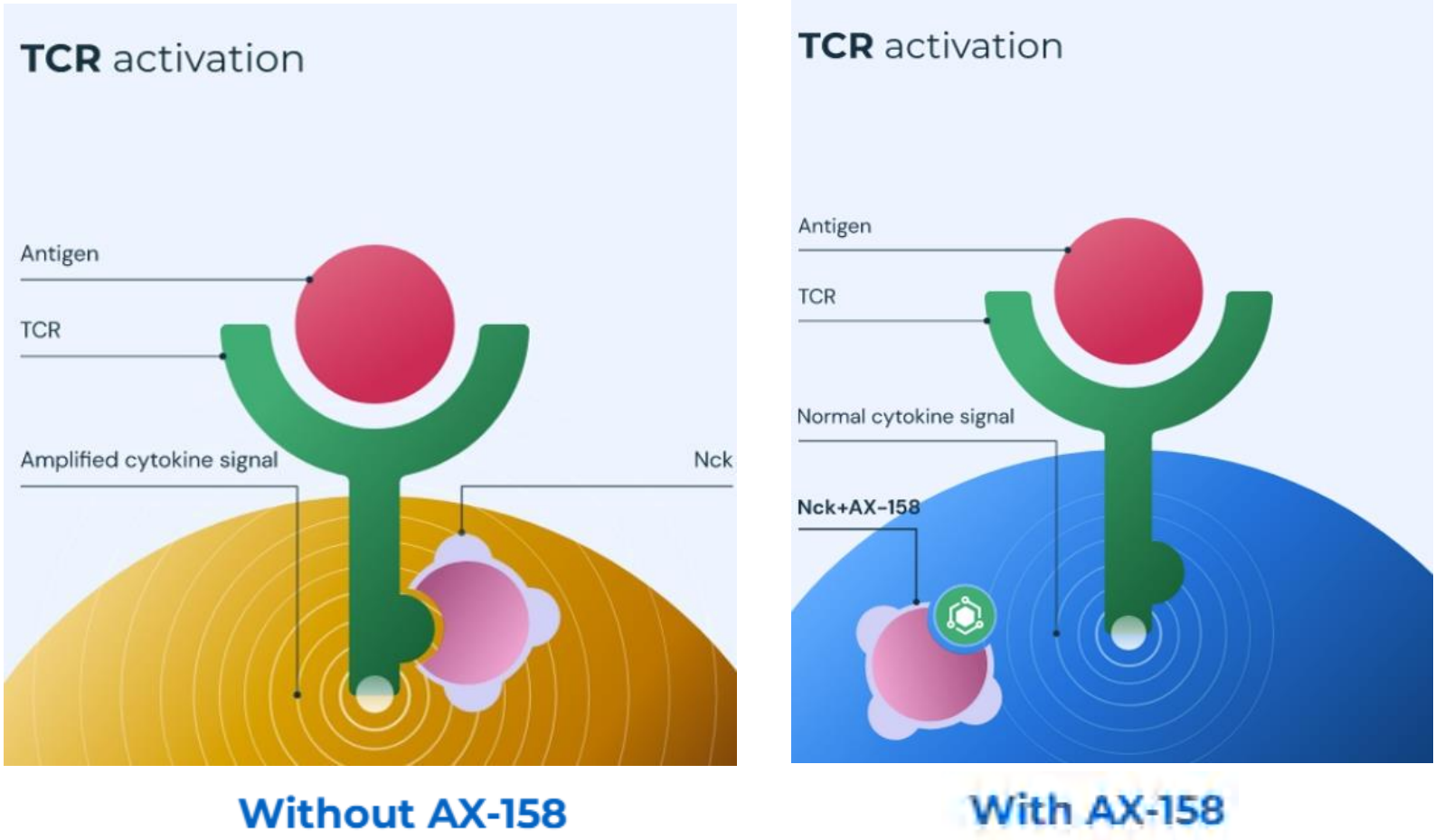


		NIMMUNE BIOPHARMA	
CD Ph2 试验分组	给药方式	CDAI clinical remission, 12-week	PRO-2 clinical remission, 12-week
试验组 (N=12)	QD	25.0%	41.7%
安慰剂组 (N=11)	安慰剂	9.1%	9.1%
UC Ph2 试验分组	给药方式	clinical remission, 12-week	Durable remission, 12-week
试验组	QD	30.4%	38.5%
安慰剂组	安慰剂	3.7%	21.4%

Nck 调节剂可防止自身抗原的不当激活，独角兽 Artax 高效推进 Nck 调节剂开发，在研管线已初见成效



AX-158 作用机制



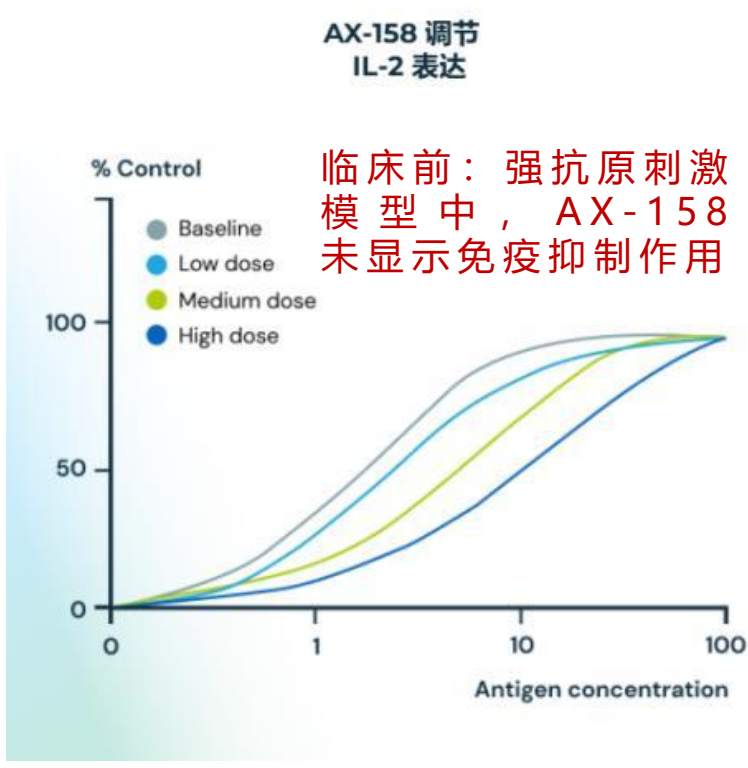
- Nck 调节剂可抑制 Nck 与 TCR 的结合，选择性抑制 Nck 对 TCR 信号传导的扩增，从而抑制 T 细胞的异常活化和反应
- 防止自身抗原的不当激活，从而实现免疫调节
- 外来抗原的强烈信号依旧能触发免疫反应

独角兽 Artax 研究进展



AX-158	Discovery	Preclinical	Phase 1	Phase 2	Status
Atopic dermatitis					Phase 2 data in 2027
Rheumatoid arthritis					Phase 2 data in 2027
Psoriasis					Ph2a PoC Study Completed

AX-194	Discovery	Preclinical	Phase 1	Phase 2	Status
CAR-T, I/O, autoimmune					Phase 1 in 2026



AX-158 PsO Ph2 试验分组	给药方式	PASI50 (29-day)	TRAE
试验组 (N=21)	AX-158 single daily dose of 10mg	10.0%	4.8%
对照组 (N=10)	安慰剂	0.0%	10.0%

研发现状

2024年，自免药物的全球销量与肿瘤药物分庭抗礼，国内自免药物研发试验数量与招募效率同步突破，自免领域迎来战略机遇期。

研发机遇

1. 深度挖掘成熟靶点空白区价值（如受体、亚型靶点等），以差异化适应症布局 and 快速产品迭代策略，实现经典治疗通路的突破性升级；
2. 深入解析靶点底层作用机制，依托技术革新（如 PROTAC 或 siRNA 等）突破开发瓶颈，实现转劣为优，逆风翻盘；
3. 汲取肿瘤药物开发的宝贵经验，拓展适应症边界，开辟自免赛道，持续释放跨疾病治疗潜力；
4. 探索全新作用机制与首创靶点，通过技术迭代提升成药性，突破传统靶点内卷红海，使本土药企实现“靶点超车”。

未来展望

布局差异化且具有临床价值的新靶点，从机制上挖掘新适应症的临床应用，合理利用新技术将为自免药物研发带来新机遇；监管政策变化以及疾病模型与 AI 技术的更迭，将推动中国自免药物的新药研发走向新时代。