

2024 年中国医药生物技术十大进展揭晓

日月春晖渐、光华万物新。岁月的年轮镌刻着 2024 年奋斗的足迹，历史的画卷翻开 2025 年梦想的新篇。由中国医药生物技术协会指导，《中国医药生物技术》杂志主办，厦门大学附属第一医院、厦门海沧生物科技发展有限公司、厦门海沧产业招商服务有限公司承办的 2024 年中国医药生物技术十大进展评选结果于 2025 年 2 月 22 日在厦门隆重揭晓。

“年度中国医药生物技术十大进展评选”自 2015 年开始举办，旨在“清晰刻录发展历程，激情见证行业精彩”，活动已连续举办 10 年。2024 年中国医药生物技术十大进展评选活动分为推荐申报、专家初审、公众投票、院士函审、专家审评和新闻发布 6 个环节。经过专家评审，有 17 个候选项目从推荐申报中脱颖而出进入公众投票环节；为了体现评选的专业性和权威性，将所有候选项目提交相关领域的院士进行函审；综合公众投票和院士函审结果，经终审专家会审评，确定了最终的入围项目。

2024 年中国医药生物技术十大进展评选结果（排名不分先后）

1. 我国首个干细胞药上市

铂生卓越生物科技（北京）有限公司的人脐带间充质干细胞——艾米迈托赛注射液通过国家药监局优先审评审批程序获附条件批准上市，用于治疗 14 岁以上消化道受累为主的激素治疗失败的急性移植物抗宿主病。艾米迈托赛注射液的成功上市标志着我国干细胞正式开启“药”时代。

2. 我国首个静脉注射溶瘤病毒治疗晚期癌症获临床突破

广西医科大学赵永祥团队研发出新型溶瘤病毒 NDV-GT，通过静脉注射治疗多种晚期癌症，取得显著疗效。该疗法具有广谱抗癌、高效低毒的特点，能改善患者生活质量并延长生存期。研究成果被 *Cell* 杂志录用，开创了溶瘤病毒治疗癌症的新模式，为精准医疗提供了新方向。



3. 干细胞再生疗法功能性治愈 1 型糖尿病

天津市第一中心医院沈中阳、王树森研究组，北京大学、昌平实验室邓宏魁研究组与杭州瑞普晨创科技有限公司采用化学重编程技术诱导多能干细胞制备胰岛细胞，移植治疗 1 型糖尿病并取得功能性治愈的突破性疗效，成果发表于 *Cell* 杂志，联合开发的胰岛细胞注射液获批药品注册临床试验。该疗法不仅解决了胰岛移植供体不足，还通过首创的移植位点简化了治疗流程，标志着我国在利用多能干细胞技术治疗糖尿病方面达到国际领先水平。

4. 通用型 CAR-T 疗法治疗自身免疫疾病取得突破

上海邦耀生物联合多家机构利用 CRISPR-Cas9 基因编辑技术对健康供体来源的、靶向 CD19 的 CAR-T 细胞进行基因工程改造，开发出了新一代异体通用型 CAR-T 疗法，并成功治疗 3 名难治性自身免疫病患者（包括坏死性肌病和弥漫性皮肤系统性硬化症）。患者症状均得到显著改善，且无严重副作用，成果发表于 *Cell* 杂志。通用型 CAR-T 的研发，不仅可以提高该项技术的可及性，也为自身免疫疾病的治疗带来了新的手段。

5. 基因治疗遗传性耳聋取得重要临床进展

复旦大学附属眼耳鼻喉科医院舒易来研究团队将研发的基因治疗药物通过局部微创、显微注射的方式，精准地注射到患者耳内，患者听力均得到

明显恢复,言语功能和声源定位能力也得到改善。单耳和双耳基因治疗研究成果先后发表在《柳叶刀》和《自然医学》上,证明了基因治疗在遗传性耳聋患者临床治疗中的安全性和有效性,展现了基因治疗对治愈和改善遗传性耳聋乃至遗传性疾病的应用潜力。

6. 新一代 mRNA 递送系统推动 mRNA 创新药产业化

威斯津生物研发的新一代 mRNA 递送系统,通过创新多氮可电离脂质技术,解决了现有系统靶向性差、安全性差、贮存稳定性差的问题。该系统已在中国、美国、欧洲获得了发明专利授权,实现了国产 mRNA 递送系统的突破,摆脱了对国外技术的依赖。公司还推动了全球首个 EB 病毒阳性相关肿瘤治疗性 mRNA 疫苗的研发,并获得中美临床试验批件。

7. 符合 WHO 推荐的首个国产抗狂犬病鸡尾酒抗体获批上市

兴盟生物医药(苏州)有限公司研制的 I 类创新药泽美洛韦玛佐瑞韦单抗注射液(克瑞毕[®])获批上市,用于成人狂犬病病毒暴露者的被动免疫治疗。该产品为国内首个符合世界卫生组织(WHO)推荐的抗狂犬病鸡尾酒抗体,具有双靶点、更广谱、起效快、早保护以及易推注、反应轻等临床优势,与狂犬病疫苗联合使用时,并不会影响疫苗接种后中和抗体的产生,有效填补了疫苗接种后到抗体产生前的“空窗期”,为患者提供了更早、更快的保护,为狂犬病防治提供了更多选择方案。

8. 我国自主研发的 PD-1/VEGF 双抗获批上市

康方生物自主研发的 PD-1/VEGF 双特异性抗体新药依沃西单抗注射液(依达方[®])获批上市,用于联合化疗经表皮生长因子受体酪氨酸激酶抑制剂治疗后进展的表皮生长因子受体突变的局部晚期或转移性非鳞状非小细胞肺癌。依沃西单抗在单药头对头 III 期临床试验中证明疗效显著优于

帕博利珠单抗(K 药)的药物,相关临床研究数据在 2024 世界肺癌大会上发布。依沃西单抗该品种的上市为患者提供了新的治疗选择。

9. 我国多种类型抗体药物再获新突破

我国多款创新抗体药物获批上市,其中四川科伦博泰生物医药股份有限公司的靶向人滋养细胞表面抗原 2 (TROP2) 的抗体药物偶联物芦康沙妥珠单抗(佳泰莱[®])是首个在国内上市的国产 TROP2-ADC 药物,为我国 ADC 抗癌新药再添新品种;齐鲁制药自主研发的抗 PD-1 和抗 CTLA-4 的双功能组合抗体艾帕洛利托沃瑞利单抗(齐倍安[®])是我国批准的首个组合抗体药物;成都康诺亚生物医药科技有限公司的 1 类新药司普奇单抗注射液(康悦达[®])、重庆智翔金泰生物制药股份有限公司和恒瑞医药的赛立奇单抗注射液和夫那奇单抗分别填补了国产自身免疫性疾病治疗用抗体药物的空白。

10. 鼻咽癌早期诊断试剂盒获批上市

由厦门大学和万泰生物联合研制的 EB 病毒 BNLF2b 抗体检测试剂盒(磁微粒化学发光法)获得国家药品监督管理局批准上市。该试剂盒应用了厦门大学首次发现的鼻咽癌血清学标志物,一种针对 BNLF2b 基因编码的假定蛋白的总抗体(P85-Ab)。经大规模前瞻性鼻咽癌筛查队列研究表明,其灵敏度高、特异性好,早期鼻咽癌检出率优于现有筛查方案。该诊断试剂盒的应用有助于鼻咽癌患者的早期发现。

2024 年中国医药生物技术十大进展涵盖了底层技术、临床试验和产业化三大脉络,全方位展示了我国医药生物技术领域的突破与实力;每一项成果都是我国医药生物从业者智慧与毅力的结晶,也是整个行业的骄傲;期待这些科技成果能够更好地服务社会,为人类健康事业做出更大贡献。

(田春英)