

转化医学快讯

TRANSLATIONAL
MEDICINE
EXPRESS

2016

第32期
(总第32期)



上海交通大学
医学院图书馆



上海市转化医学
协同创新中心



上海交通大学医学院附属
第九人民医院科教处



上海交通大学
医学院学报

目 录

前沿进展

Nature: 抑制结肠癌的关键分子 NLRC3	2
Cell: 二甲双胍抗癌关键通路	2
Cell: KRAS 突变促进癌细胞抵抗治疗机制	3
Cell Rep: 缺失两种关键酶类或可诱发肝癌的发生	4
Lancet Neurol: 有望开发出首个治疗阿尔兹海默病的疫苗	4
JLR: 肥胖和胰岛素耐受性的潜在治疗靶点	5
eLife: 肠道细菌蛋白 BefA 促进β细胞增殖	5
Cell: 单个 GATA4 基因突变导致两种心脏病类型	6

院内成果

张健课题组发表肿瘤基因组变构方法精准识别肿瘤全新靶标的新成果	7
--------------------------------------	---

新药研发

FDA 批准 15 年来首个非类固醇类湿疹药物 Eucrisa	7
默沙东 PD-1 免疫疗法 Keytruda 获欧盟支持批准一线治疗 PD-L1 阳性非小细胞肺癌 ...	7
20 年来首个治疗原发性胆汁性胆管炎的新药 Ocaliva 获美欧两大市场批准	8
PD-1/PD-L1 抑制剂增强伊马替尼治疗胃肠癌疗效	8
FDA 发布 2016 年度药物审评报告	8

政策动向

奥巴马 63 亿美元支持肿瘤精准医学和药物研发	9
-------------------------------	---

(周刊 , 内部参考)

前沿进展

Nature：抑制结肠癌的关键分子 NLRC3

美国圣犹大儿童研究医院、田纳西大学健康科学中心和德国基尔大学的研究人员发现一种被称作 NLRC3 的蛋白在抑制结肠细胞发生癌变中发挥着至关重要的作用。

研究人员发现剔除这种保护性的 NLRC3 蛋白会加剧结肠癌发展。他们也鉴定出 NLRC3 肿瘤抑制途径中的关键性分子组分，从而为开发恢复这种保护性机制的新药来治疗结肠癌提供靶标。NLRC3 是一个庞大的调节免疫功能和其他细胞功能的 NLR “传感 (sensor)” 蛋白家族的成员。然而，在此之前，NLRC3 在抵抗癌症发展中发挥的作用是未知的。研究人员在进行详细分析之后揭示出 NLRC3 如何调节一种关键性的细胞途径（即 PI3K-mTOR 途径）中的分子，其中这种途径控制细胞增殖、免疫反应、炎症和癌症。

利用一种诱导的结肠癌模型，研究人员发现已患上结肠癌的小鼠显著下调 NLRC3 表达，正如结肠癌病人中的一样。他们也发现缺乏 NLRC3 的小鼠更容易患上结肠癌。更重要的是，有倾向患上结肠息肉的小鼠品种当缺乏 NLRC3 时，表现出更大的肿瘤产生。在利用小鼠开展的其他研究中，研究人员已确定 NLRC3 主要作用于结肠上皮细胞中，这就表明这种蛋白在保护肠道免受感染导致的炎症和结肠癌发展中发挥着直接的作用。在利用人结肠细胞开展的研究中，他们发现过度表达 NLRC3 基因极大地降低细胞增殖。

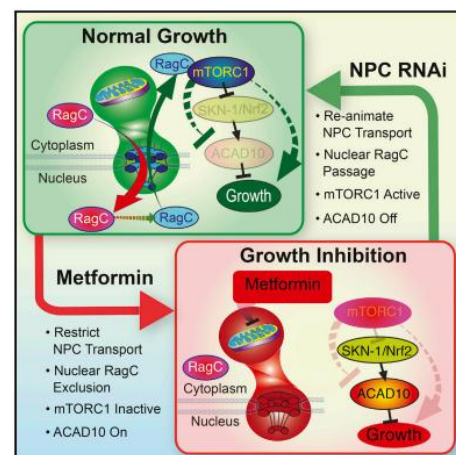
这项研究揭示出 NLRC3 维持对 PI3K-mTOR 途径的抑制作用。研究人员也

发现 PI3K-mTOR 途径在这个触发肿瘤的过程的早期会开启。在开发药物治疗中，靶向 PI3K-mTOR 途径本身可能是比较困难的，因此，研究人员进一步研究是否能够靶向 NLRC3 本身，从而更早地阻断肿瘤发生。

NLRC3 is an inhibitory sensor of PI3K - mTOR pathways in cancer

<http://www.nature.com/nature/journal/vaop/ncurrent/pdf/nature20597.pdf>

Cell：二甲双胍抗癌的关键通路



美国麻省总医院的科学家小组鉴定出了与二甲双胍阻止人类癌细胞生长和延长线虫寿命相关的一个关键通路。这意味着这一遗传通路在广泛的生物中扮演了重要角色。

在这项新研究中，科学家们发现，二甲双胍对抗癌症的作用依赖于单个遗传通路的两个元件：1) 核孔复合物 (nuclear pore complex)，与分子进入或输出核内相关；2) 一种称为 ACAD10 (acyl-CoA dehydrogenase family member-10) 的酶。具体来说，二甲双胍对线粒体活性发挥抑制作用，从而减少了细胞能量，限制了分子（具体为 RagA-RagC GTPase 异质二聚体）通过核孔运输。这一过程抑制了一个重要细胞生长分子——mTORC1，导致 ACAD10 激活，减缓了线虫的生长，延长了寿命。

在人类黑色素瘤和胰腺癌细胞中,研究人员证实,二甲双胍家族药物的应用诱导了ACAD10的表达。研究证实,限制核孔运输和ACAD10上调都是双胍类药物降低癌细胞生存能力,以及延长线虫寿命所必需的。

研究人员表示,ACAD10在二甲双胍抗癌作用中的重要贡献是一个有趣的发现。因为,先前有研究表明,ACAD10也与药物的抗糖尿病作用有关。弄清楚ACAD10如何减缓细胞生长将为寻找癌症治疗新靶点提供新的依据。同时,有望通过操纵这一通路,促进健康老龄化。

An Ancient, Unified Mechanism for Metformin Growth Inhibition in *C. elegans* and Cancer

[http://www.cell.com/cell/pdf/S0092-8674\(16\)31667-1.pdf](http://www.cell.com/cell/pdf/S0092-8674(16)31667-1.pdf)

Cell : KRAS 突变促进癌细胞抵抗治疗机制

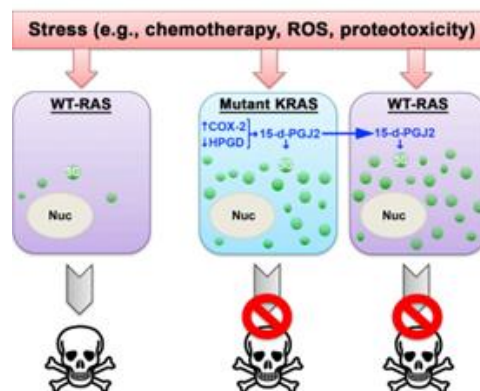
美国纽约大学朗格尼医学中心和托马斯杰斐逊大学的一项最新研究发现,促进一种致命性癌细胞侵袭性生长的信号同样也触发让它很难杀死的应对机制。当遭受应激时,这种癌细胞将它的遗传信息包裹在应激颗粒中,从而降低化疗效果。

这项研究以基因KRAS为中心,当KRAS基因发生变化或突变时,它会触发90%的胰腺癌、很多肺癌和结直肠癌中的异常生长。研究人员说,作为过度活跃的KRAS的第二个后果,携带这种突变的细胞形成更多的应激颗粒。

在实验中,研究人员证实当遭受化疗或奥沙利铂---一种破坏癌细胞DNA的化疗药物---治疗时,携带KRAS突变的细胞制造的应激颗粒数量比不携带这种突变的细胞多6倍。他们也能够捕获从人胰腺瘤切除的癌细胞中的应激颗粒的首批图片,并且对这些应

激颗粒进行计数,结果发现显著增加。进一步发现在遭受应激下,携带KRAS突变的癌细胞通过更多地产生一种被称作15-脱氧- Δ 12,14-前列腺素J2(15-deoxy- Δ 12,14 prostaglandin J2, 15-d-PGJ2)的激素样分子而增加应激颗粒的形成。重要地,15-d-PGJ2水平增加会触发更多的应激颗粒形成,而且不仅是在发生KRAS突变的细胞中,而且也是在未发生这种突变的周围细胞中(增加13倍),随后这些细胞对奥沙利铂产生更强的抵抗性。这是因为15-d-PGJ2是细胞分泌出的一种信号分子。

接下来,研究人员计划研究加入一种环氧酶2(COX 2)抑制剂到化疗中是否能够改善KRAS突变癌症病人的治疗结果。已知KRAS突变细胞产生额外的COX 2,这会增加15-d-PGJ2水平。与此同时,他们将寻求鉴定出能够直接抵抗15-d-PGJ2堆积的化合物,这可能是利用HPGD实现的,其中HPGD是一种在当前的这项研究中发现的能够降低15-d-PGJ2水平的酶。



Mutant KRAS Enhances Tumor Cell Fitness by Upregulating Stress Granules

[http://www.cell.com/cell/pdf/S0092-8674\(16\)31607-5.pdf](http://www.cell.com/cell/pdf/S0092-8674(16)31607-5.pdf)

Cell Rep : 缺失两种关键酶类或可诱发肝癌的发生

美国加州大学圣地亚哥医学院的研究人员发现缺失两种关键类型的酶类或许会导致肝脏疾病甚至癌症的发生,在人类的肝脏肿瘤样本中,这两种名为 Shp2 和 Pten 酶类的缺失往往和癌症患者预后较差直接相关。

在这项最新研究中,研究者通过在实验室对小鼠进行研究发现, Shp2 和 Pten 可以互相合作来抑制肝脏肿瘤的形成,当研究者特异性地剔除小鼠肝脏细胞中编码 Shp2 和 Pten 的基因时,小鼠早发性肝脏疾病就会非常严重,而且相比携带一种或两种正常发挥功能的酶类的小鼠而言,两种酶类均被剔除的小鼠机体中肝脏肿瘤会过早频繁地发生。正常小鼠并不会经历任何肿瘤,但在缺失 Shp2 或 Pten 的小鼠中,肝脏肿瘤往往会在大约 7 个月或 12 个月后出现,但对于缺失这两种酶类的小鼠而言,80%的小鼠会在 5 个月时自发地患上肝脏肿瘤,而在 7 个月时 100%的小鼠都会患上肿瘤。

在这些研究模型中肝脏疾病和肝癌发生的频率都会增加,这或许是因为酶类 Shp2 和 Pten 能够激活机体中参与脂质代谢、炎症以及纤维化的分子的表达。当然研究者还非常想知道相同的现象是否也会在人类肝癌中出现,为此他们对 335 份人类肝脏肿瘤

样本进行了相关分析,结果发现,大约 52% 的肿瘤样本中 Shp2 和 Pten 的水平都较低,而携带较低水平酶类的癌症患者往往相比酶类水平较高的患者预后较差,在酶类 Shp2 和 Pten 水平较低的患者中大约 60% 的患者会活下来,而酶类 Shp2 和 Pten 水平较高的患者中则会有 90% 的患者活下来。

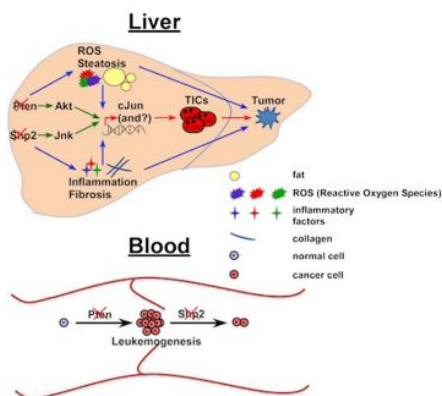
相关研究结果就为研究者们深入理解肝癌的发生以及药物开发的新靶点提供了新的思路和希望,同时研究者还为后期更为深入的研究提供了一种新型的实验室模型;此前研究人员想通过利用化学致癌剂来诱导小鼠模型患上肝癌,如今他们通过移除酶类 Shp2 和 Pten 就能够制造出非酒精性脂肪肝病和肝癌的现实小鼠模型,这对于其后期进行更加深入的研究奠定了坚实的基础。

Dual Shp2 and Pten Deficiencies Promote Non-alcoholic Steatohepatitis and Genesis of Liver Tumor-Initiating Cells

<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S211124716316217>

Lancet Neurol : 有望开发出首个治疗阿尔兹海默病的疫苗

瑞典卡罗琳学院的研究人员通过研究开发了一种新型阿尔兹海默病疫苗,其能够刺激特殊抗体的产生,随后产生的抗体就能够特异性地靶向作用病理状态的 tau 蛋白;健康的 tau 蛋白会经历一系列的结构改变形成抗体攻击的新区域,这种区域在健康的 tau 蛋白中并不存在,其仅会在早期阶段存在于疾病的 tau 蛋白中,因此抗体就能够拦截多有不同形式的病理性 tau 蛋白,除了具有重要的特异性外,这种抗体还能够同载体分子偶联,而该载体分子就能够产生相当大的免疫反应,还会带来在人类机体中并不存在的额外效益,从而避免免疫反应对机体自身的影响。



该疫苗的副作用包括个体注射位点的局部反应,这种皮肤反应被认为是氢氧化铝(aluminum hydroxide)所致,氢氧化铝是一种用于疫苗中的佐剂,其能够增强个体自身抗体的产生;目前研究者并未发现和疫苗直接注射相关的其它严重的次级效应,总的来讲,该药物的安全性以及其引发免疫反应的能力是非常明显的。

当很多阿尔兹海默病临床试验依然顽固地继续靶向作用淀粉样蛋白时,本文研究中研究者却从另外一个角度来对疾病发起了“攻击”,研究者开发出了首个接种疫苗来调节机体产生抵御病理性 tau 蛋白的抗体的能力,尽管目前研究者还处于 1 期临床试验阶段,但研究结果相当喜人,研究者们也非常有信心继续进行更为深入的研究取得更多突破性的成果。

Safety and immunogenicity of the tau vaccine AADvac1 in patients with Alzheimer's disease: a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 1 trial
<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1474442216303313>

JLR : 肥胖和胰岛素耐受性的潜在治疗靶点

圣路易斯大学的研究人员发现,关闭一种肝脏和脂肪组织中的蛋白或能明显改善血液中葡萄糖的水平,同时还能够降低动物模型机体中的体脂水平。

研究人员检测了利用反义寡核苷酸(antisense oligonucleotides)处理小鼠后,小鼠机体肝脏和脂肪组织中脂质如何进行代谢,这种反义寡核苷酸能够降低脂肪特异性蛋白 27”(FSP27)的表达水平,FSP27是一种和脂滴相关的蛋白,能够抑制脂质的移动并且会促进细胞中脂肪的堆积。

研究者发现,沉默 FSP27 的表达会引发小鼠内脏中脂肪水平明显降低,同时会增加

脂肪组织和肝脏中胰岛素的敏感性,还会改善所有研究对象全身的血糖控制情况;然而尽管研究对象的肝脏功能发生了改善,但研究者并未观察到其机体肝脏中甘油三酯水平的积累,目前研究人员正在基于抗 FSP27 的基础来开发新型疗法降低脂肪肝的发病风险。

当前研究结果表明,抑制 FSP27 的表达或许能够作为一种潜在的方法来治疗胰岛素耐受性的肥胖或过重患者。

Therapeutic silencing of Fat Specific Protein 27 improves glycemic control in mouse models of obesity and insulin resistance
<http://www.jlr.org/content/early/2016/11/24/jlr.M069799.full.pdf+html>

eLife : 肠道细菌蛋白 BefA 促进β细胞增殖

美国俄勒冈大学的研究人员表示,一种新发现的在斑马鱼肠道中产生的细菌蛋白在幼体发育早期诱导胰腺中产生胰岛素的β细胞发生增殖。

研究人员探究了某些肠道细菌在胰腺中定植是否是发育期间具有稳健数量的β细胞所必需的。发现在生命的第一周,无菌的斑马鱼并不经历常规培养的斑马鱼经历的相同的β细胞增殖。然而,让这些无菌的斑马鱼接触特定的细菌会恢复β细胞数量到正常水平。

利用无菌的斑马鱼开展研究允许系统地筛选能够促进β细胞增殖的肠道细菌。研究人员随后着重关注一种细菌,并且研究了它分泌的蛋白是否具有促进β细胞增殖的活性。这些努力导致她列出一份由 163 种潜在的蛋白组成的清单。随后研究这些之前筛选过的细菌的基因组序列,并且想知道这些潜在的蛋白当中,哪些是促进β细胞增殖的细菌所具有的并且在缺乏这种促增殖活性

的细菌中是不存在的。最终仅发现单个之前从未被研究的候选蛋白。当获得这种纯化的蛋白,并且将它加入到无菌斑马鱼中时, β 细胞群体发生增殖,因而让这种蛋白获得它的名字--- β 细胞增殖因子 A (Beta Cell Expansion Factor A, BefA)。

了解 BefA 的分子身份允许研究人员在其他的细菌基因组中寻找它的序列。他们发现它存在于几种常见的人肠道相关细菌中。当研究人员从人体细菌中纯化出两种相关的蛋白时,它们经证实同样有效地促进斑马鱼中的 β 细胞增殖。这项研究的一种意义在于理解支持母乳喂养和避免过量使用抗生素会促进儿童体内的健康微生物组发展的重要性。还需开展进一步的研究来鉴定 BefA 蛋白影响 β 细胞发育的机制,以及这种蛋白是否在包括人类在内的其他动物中发挥同样的影响。

A conserved bacterial protein induces pancreatic beta cell expansion during zebrafish development

<https://elifesciences.org/content/5/e20145>

Cell : 单个 GATA4 基因突变导致两种心脏病类型

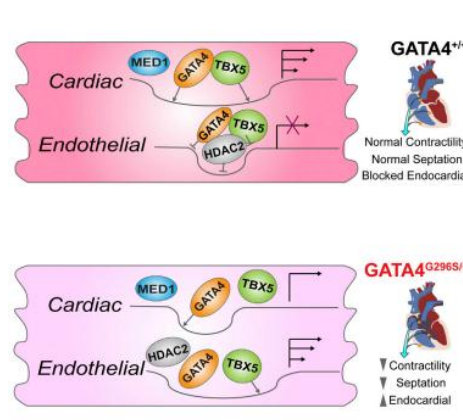
美国格拉斯通研究所的研究人员发现单个基因突变与两种心脏病类型---一种心脏病会导致婴儿心脏有孔产生,另一种心脏病导致心力衰竭---存在关联。

研究人员获取来自这种突变的家庭的皮肤细胞,利用干细胞技术将它们重编程为跳动的心脏细胞。这种技术允许该团队研究与这些病人具有相同遗传组成的心脏细胞以便确定这种 GATA4 基因突变如何导致这两种心脏病类型。

研究人员注意到利用病人的皮肤细胞经重编程构建出的心脏细胞存在几种异常:这些细胞比正常的心脏细胞跳动得较弱,而且这些细胞的多种基因被异常激活或沉默。

比如,参与心脏形成的基因没有合适地开启,包括控制隔膜形成的基因。相比之下,参与其他器官发育的基因被激活,而它们原本应当被沉默。

研究人员发现这种 GATA4 基因突变阻止另一种主调节蛋白 TBX5 被招募到心脏发育和心肌收缩所需的基因上。GATA4 和 TBX5 一起激活负责心脏形成和功能的基因,和沉默参与其他器官的基因。然而,如果一种蛋白发生突变,那么另一种蛋白就不会很好地发挥作用。鉴于 GATA4 基因发生的单个突变,几乎 GATA4 和 TBX5 调节的整个基因网络会受到破坏,从而导致疾病产生。有意思的是,人 TBX5 发生突变也会导致心脏中有孔产生。



利用计算模拟来拓展针对这些心脏细胞的研究,研究人员鉴定出受到 GATA4 控制的在心脏功能中发挥重要作用的枢纽基因 (gene hub)。他们认为这个枢纽基因可能通过药物靶向来校正由 GATA4 基因突变导致的一些损伤。一种影响这个途径的药物已经存在,而且研究人员正在探究它是否作为一种潜在的心脏病治疗药物。

Disease Model of GATA4 Mutation Reveals

Transcription Factor Cooperativity in Human

Cardiogenesis

<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S092867416316051>

092867416316051

院内成果

张健课题组发表肿瘤基因组变构方法精准识别肿瘤全新靶标的新成果

国际著名学术杂志 American Journal of Human Genetics (AJHG, IF=10.794) 2017 年第一期在线发表了上海交通大学医学院细胞分化与凋亡重点实验室张健课题组在变构领域的最新成果, 报告其发展了通过大规模肿瘤基因组在蛋白结构上的变构映射精准识别各类型肿瘤全新靶标的方法, 并利用该方法发现非小细胞肺癌的全新靶标 PDE10A。

在本工作中, 张健等解析了 33 类肿瘤的 7000 例临床病人基因组, 将识别的 47, 000 多个突变数据映射至已发现的蛋白结构上, 发现这些肿瘤基因组样本中的突变主要富集于蛋白的变构位点以及底物位点。基于这个现象, 他们设计了根据映射在变构位点的突变分布来识别针对不同肿瘤新靶标的方法 AlloDriver。利用这个方法, 他们发现了非小细胞肺癌的全新靶标 PDE10A (注: PDE10A 是一个已知的用于治疗精神类疾病的药物靶点), 并通过化学生物学方法证明 PDE10A 已上市的药物可以有效杀伤非小细胞肺癌细胞株, 为非小细胞肺癌的治疗提供了新的途径。

Proteome-scale investigation of protein allosteric regulation perturbed by somatic mutations in 7, 000 cancer genomes
<http://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S002929716304013>

药物研发

FDA 批准 15 年来首个非类固醇类湿疹药物 Eucrisa

美国制药巨头辉瑞在今年 6 月豪掷 52 亿美元全现金收购了一家加州的生物制药公司 Anacor。就在最近, 该笔交易的核心资产 crisaborole 在美国监管方面传来了特大喜讯。FDA 提前 2 个月批准 Eucrisa (crisaborole, 2%) 软膏, 作为一种局部外用药物, 用于 2 岁及以上儿童和成人患者轻度至中度特应性皮炎 (湿疹, eczema) 的治疗。

默沙东 PD-1 免疫疗法 Keytruda 获欧盟 CHMP 支持批准一线治疗 PD-L1 阳性非小细胞肺癌

美国制药巨头默沙东免疫肿瘤学管线近日在欧盟监管方面传来喜讯, 欧洲药品管理局 (EMA) 人用医药产品委员会 (CHMP) 已发布意见, 支持批准 PD-1 免疫疗法 Keytruda (pembrolizumab) 一线治疗 PD-L1 阳性晚期非小细胞肺癌 (NSCLC), 具体为肿瘤高水平表达 PD-L1 (肿瘤比例得分 $\geq 50\%$)、无表皮生长因子受体 (EGFR) 及间变性淋巴瘤激酶 (ALK) 阳性肿瘤突变的晚期非小细胞肺癌 (NSCLC) 成人患者。欧盟委员会 (EC) 在做出最终审查决定时, 通常都会采纳 CHMP 的意见, 这也意味着, Keytruda 极有可能在未来 2-3 个月获批一线治疗 PD-L1 阳性 NSCLC。值得一提的是, Keytruda 是首个获得 CHMP 支持批准一线治疗 PD-L1 阳性 NSCLC 的 PD-1/PD-L1 免疫疗法。

20 年来首个治疗原发性胆汁性胆管炎的新药 Ocaliva 获美欧两大市场批准

美国生物制药公司 Intercept 开发的一款肝病新药 Ocaliva(obeticholic acid, OCA, 一种鹅脱氧胆酸衍生物) 近日在欧盟监管方面传来喜讯。欧盟委员会 (EC) 有条件批准 Ocaliva: (1) 联合熊去氧胆酸 (ursodeoxycholic acid, UDCA) 用于对 UDCA 反应不足的原发性胆汁性胆管炎 (以前被称为原发性胆汁性肝硬化, PBC) 成人患者; (2) 作为单药疗法用于对 UDCA 不耐受的原发性胆汁性胆管炎 (PBC) 成人患者。在美国, Ocaliva 于今年 5 月底获得美国食品和药物管理局 (FDA) 加速批准。在此之前, 熊去氧胆酸 (UDCA) 是唯一获批治疗原发性胆汁性胆管炎 (PBC) 的药物。此次批准, 使 Ocaliva 成为近 20 年来获批治疗 PBC 的首个新药。

PD-1/PD-L1 抑制剂增强伊马替尼治疗胃肠癌疗效

纪念斯隆凯特林癌症中心的研究人员对 85 个 GISTs 病人的肿瘤及血液样品进行了分析, 并用流式细胞术分析了免疫抑制分子的表达情况, 最后在 KitV558Δ/+ 的小鼠体内验证了 PD-1/PD-L1 抑制剂联合伊马替尼的治疗疗效, 发现和血液 T 淋巴细胞相比, 肿瘤浸润 T 淋巴细胞表面的 PD-1、淋巴细胞激活基因 3、T 细胞免疫球蛋白粘蛋白 3 均高表达, 而 PD-1/PD-L1 抑制剂、伊马替尼联合使用的病人体内 T 细胞的 PD-1 表达量最高。同时, 肿瘤浸润 T 淋巴细胞的 PD-L1 表达水平差异较大。研究人员认为抑制 PD-1/PD-L1 是一种有效改善 GISTs 靶向治疗疗效的策略, 将免疫检查点抑制剂与靶向药物联合使用可能会更有效控制肿瘤发展。

FDA 发布 2016 年度药物审评报告

2016 年 12 月 14 日, FDA 下属 CDER 发布了新一年的药物审评报告: 截至 12 月 9 日, FDA 共批准了 19 个新分子实体: 包括 12 个 NDA、7 个 BLA。这个数字为 2008 年来新低, 但数字背后是小分子新药锐减, 生物制品则热度不减。CDER 则批准了 4 个新药 (新分子实体), 包括 2 个凝血因子 VIII 药物 Kovaltry 和 Afstyla、凝血因子 IX 药物 Idelvion 和口服霍乱疫苗 Vaxchora。

尽管数量不多, 但今年获批的新药质量颇高: 包括首个真正意义上的蛋白相互作用抑制剂 (PPI) Venclexta、首个 PD-L1 抗体 Tecentriq 等。抗体药物的表现更是让人眼前一亮, 抗菌抗体 (3 个)、哮喘抗体等, 适应症更加广泛, 再次体现了抗体药物的巨大潜在应用价值。生物类似药并非新药, 但今年是具有里程碑意义的一年, FDA 共批准了 3 个抗体类似药, 是整个抗体药物领域转折点意义的一年。

从治疗领域来看, 2016 年 FDA 批准新药包括:

4 个抗感染药物: 抗丙肝药物 Zepatier、Epcclusa, 抗炭疽热药物 Anthim 和抗艰难梭菌感染药物 Zinplava;

3 个神经系统药物: 抗癫痫药物 Briviact、帕金森精神病药物 Nuplazid 和多发性硬化症药物 Zinbryta;

3 个抗肿瘤药物: CLL 药物 Venclexta、膀胱癌/肺癌药物 Tecentriq 和软组织肉瘤药物 Lartruvo。

免疫学实际上有 2 个药物: 银屑病药物 Taltz 和哮喘药物 Cinqair (作用机制为免疫调节, 归为呼吸系统药物)。

政策动向

奥巴马 63 亿美元支持肿瘤精准医学和药物研发

美国东部时间 12 月 13 日, 奥巴马总统签署了一项 63 亿美元的法案支持药物开发和精准医学计划, 副总统拜登同时签字, 呼吁为“终结癌症”而努力。

该法案举行了一个激动人心的签约仪式, 奥巴马在白宫礼堂签署了 21 世纪治愈法案, 这可能是他期内的最后一次。该法案旨在解决美国目前面临的重大安全威胁, 它的签署使美国总统奥巴马圆满实现了挑战国会的意图。

法案同时签署了对其他健康相关计划



的七年期资助计划: 15 亿美元用于脑科学研究计划, 14 亿美元用于精准医学计划, 10 亿美元用于海洛因和阿片成瘾治疗。