



工 作 亮 点

1. 【Science Café 分享 | 第50期：小核酸药物的发展现状与趋势】

小核酸药物是近年发展快速的新型药物之一，自获批上市以来受到国内外各界极大的关注。小核酸药物优势明显，但也面临着诸多挑战。

10月31日，上海市药物研发协同创新中心与浦东国际人才发展中心共同举办第50期活动。本期特别邀请了复旦大学生物医学研究院于文强教授、中科院上海药物所安评中心任进研究员和美迪西化学部高级副总裁马兴泉博士，与大家共同探讨“小核酸药物的发展现状与趋势”。

NamiRNA，增强子和小核酸药物研发

于文强教授介绍了NamiRNA的前世今生，分享了团队从NamiRNA的研究中探索发现透明质酸与新冠肺炎发病机制以及开发新冠肺炎有效药物的研究历程，展望了NamiRNA可作为疾病的潜在药物靶标和小核酸药物。

NamiRNA的前世今生

miRNA (microRNA) 最早源于1993年Cell期刊发表的文章，文章讲述了美国麻省大学医学院教授Victor Ambros团队发现线虫体内存在名为“lin-4”的小分子非编码RNA，大小为22nt，可抑制LIN-14基因的表达，该基因参与调节线虫的发育。2000年，哈佛大学医学院教授Gary Ruvkun团队也发现了与lin-4类似名为“let-7”的microRNA，可通过结合mRNA调节线虫发育。截止目前，科学研究已发现1800多种人类的miRNA前体。

miRNA最早的作用机制是抑制mRNA活性，很多研究工作的开展均是围绕着miRNA的抑制作用，然而，于教授团队却在科研过程中发现了miRNA不仅具有抑制mRNA的活性，还有激活mRNA活性的作用。团队研究发现miRNA基因座位置和增强子某些基因富集区域高度重叠，且这些特殊的miRNA多数位于细胞核内，能够在局部和全基因组水平改变靶位点的染色质状态发挥其独特的转录激活作用……



2. 【中心发布9-10月药品政策法规】

2023年9月份，国务院办公厅、国家卫生健康委员会、药品监督管理局（NMPA）、医疗保障局和药品审评中心（CDE）等部门共印发了31件药品相关政策法规文件，其中指导原则和指南共23件，16件处于征求意见中。

指导原则中，疾病治疗相关文件包括：延缓慢性肾脏病进展、狼疮肾炎、多发性硬化和干眼治疗药物的临床试验指导；罕见病基因治疗、间充质干细胞防治移植物抗宿主病和生长激素制剂治疗生长激素缺乏症的治疗药物临床试验指导原则正在征求意见中。



2023年10月份，国务院办公厅、国家卫生健康委员会、药品监督管理局（NMPA）、医疗保障局和药品审评中心（CDE）等部门共印发了25件药品相关政策法规文件，其中指导原则和指南共15件，12件处于征求意见中。



3. 【中心发布9-10月NMPA新药审批汇总】

2023年9月份，国家药品监督管理局（NMPA）共批准了11款新药（含创新药3个和改良型新药8个），其中化药4个，生物药7个。

首次获批的创新药中，国产创新药获批1个，为石药集团开发的纳鲁索拜单抗；首次进口药获批2个，分别是HRA Pharma的米托坦及诺华和安进研发的依瑞奈尤单抗。



2023年10月份，国家药品监督管理局（NMPA）共批准了11款新药（含创新药6个和改良型新药5个），其中化药5个，生物药3个，中药3个。

首次获批的创新药中，国产创新药获批3个，以岭药业的通络明目胶囊、江西青峰药业的枳实总黄酮片和健民药业的小儿紫贝宣肺糖浆

