

四川省“成果找市场”揭榜挂帅 2025 年第二批榜单

榜单 48：一款用于治疗脂肪肝病的 siRNA 药物应用及产业化

<p>技术成果简介</p>	<p>描述成果的创新性、先进性及关键技术指标。（300 字以内）</p> <p>作为世界范围内发病率最高的慢性肝病，脂肪肝病在全球有超 20 亿患者，国内的患者数量超过 2 亿。如不能及时加以干预，脂肪肝病会由单纯脂肪积累发展为脂肪肝炎，并逐渐演变为肝硬化和肝癌。流行病学研究表明，脂肪肝病是患者产生肝脏移植需求的最重要因素，脂肪肝病患者患上肝癌的风险要比健康群体高 16 倍。迄今为止，国内尚无任何一款脂肪肝病治疗药物获批上市，巨大的临床需求亟待满足。积极推动传统医疗领域与新兴生物技术的深度融合，加速相关医学技术的产业化，对提高全民健康水平具有非常重要的现实意义。</p> <p>北京大学成都前沿交叉生物技术研究院的朱健课题组长期致力于理解脂肪肝病的发病机理，专注于解决患者个性化诊断、药物响应异质性等重要临床问题。实验室负责人朱健，北京大学教授，北京大学生命科学学院副院长，近年来主持国家杰出青年科学基金等多项国家级项目，取得了多项创新性成果。朱健教授团队前期自主开发了一款用于治疗脂肪肝病的 siRNA 药物，这款药物目前已经在野生型小鼠和人源化小鼠中完成了药效研究和体内安全性评估实验，预计将于 2025 年内完成药物脱靶检测、药代动力学、毒理学实验以及食蟹猴验证实验，成果转化即将进入中试熟化阶段。</p>
<p>拟转化（研究）内容</p>	<p>描述相关成果转化以及技术更新迭代的内容，如标志性产品研发、技术应用场景、应用示范及规模等。（300 字以内）</p> <p>在脂肪肝病领域，目前仅一款药物 Rezdiffra 于 2024 年 3 月在美国附条件批准上市。临床上对于这款药物安全性的主要担忧在于其对心肌细胞中甲状腺激素受体 α 的脱靶</p>

	<p>激活，可能会带来心血管疾病的风险。目前这款药物仍在美国进行真实世界的的数据检验，还没有正式上市。另外，接受 Rezdiffra 治疗的患者徐滢每日 1 次进行 100 mg 药物口服，年化治疗费用高达 47,400 美元，给患者带来了依从性问题和经济负担。尽管如此，在庞大的脂肪肝病患者需求的加持下，Rezdiffra 在附条件批准上市后的第二个季度销售额就高达 6,220 万美元，第一年的销售额预期将会超过 3 亿美元。</p> <p>与 Rezdiffra 相比，朱健教授团队研发的这款 siRNA 药物在安全性、患者依从性和治疗成本方面均具有显著优势。（1）在安全性方面，这款 siRNA 药物通过利用乙酰半乳糖胺介导的肝脏递送技术，能够特异地递送到肝细胞中，在其他器官和组织中检测不到药物分布。（2）这款 siRNA 药物仅需要一年进行 2 次皮下注射，进一步提高了患者依从性。（3）通过参照计算，接受这款 siRNA 药物治疗的患者年化治疗成本将不超过 3,600 美元，约为 Rezdiffra 年化治疗费用的十三分之一。</p>
考核指标	<p>提出具体考核指标，如：技术参数指标、人才培养指标、专利、论文等科研成果情况、应用示范目标、产业化目标（新增利润或销售收入）等。</p> <p>1) 在脂肪肝小鼠模型中，我们开发的 siRNA 药物能够显著改善肝脏脂肪积累。在 4 周时间内，接受治疗的小鼠肝脏中的甘油三酯含量减少超过 60%。</p> <p>2) 在脂肪肝小鼠模型中，这款 siRNA 药物能够显著降低肝脏炎症反应。在 4 周时间内，接受治疗的小鼠肝脏中浸润的免疫细胞数量降低约 80%，在基因表达水平上也观察到小鼠的肝脏炎症得到显著改善。</p> <p>3) 在脂肪肝小鼠模型中，这款 siRNA 药物能够显著改善肝脏纤维化。在 8 周时间内，接受治疗的小鼠肝脏中的胶原纤维含量降低约 60%，在基因表达水平上也观察到小鼠的肝脏纤维化得到显著改善。</p> <p>4) 在同时患有脂肪肝和糖尿病的小鼠模型中，这款 siRNA 药物能够显著降低小鼠的血糖含量，胰岛素抵抗和葡</p>

	葡萄糖不耐受等糖代谢问题均得到显著改善
拟合作方式及拟合作金额	技术转让 2500 万元（人民币）
知识产权归属	明确发榜方和揭榜方在合作过程中各自提供的技术、资料、数据等，以及共同研发和转化过程形成的技术成果和知识产权归属 我方拟通过技术转让的形式完成成果转化。技术转让后，我方和授权药企将共同享有成果相关知识产权和药物权益。
对揭榜方的要求	提出时间节点（几个阶段）、揭榜方资产、人才团队、科研条件，落地转化区域等要求。 我方拟与揭榜单位共同享有成果相关知识产权和药物权益，与揭榜公司共同完成这款 siRNA 药物的临床前开发。揭榜公司应具备核酸新药产业转化能力和 IND 申报经验，有能力与我们共同完成这款 siRNA 药物的临床前申报工作。
联系人及联系方式	朱老师 15901007187