

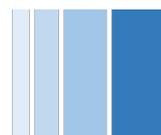
大健康与新医疗

BIG DATA Health
and New Medical

2025年

第08

上海科学技术情报研究所
上海市前沿技术发展研究中心
技术与创新支持中心(TISC)



调节性 T 细胞研究进展

编者按

调节性 T 细胞是一类具有免疫抑制功能的 CD4+ T 细胞亚群，主要负责维持机体免疫耐受、防止自身免疫病、调控抗肿瘤免疫和移植排斥反应。该类细胞的功能失调与多种重大疾病密切相关，因而被视为免疫治疗领域最具潜力的靶点之一。

2025 年 10 月诺贝尔奖颁布，其中诺贝尔生理学或医学奖授予美国科学家玛丽·布伦科、弗雷德·拉姆斯德尔和日本科学家坂口志文，表彰他们发现调节性 T 细胞在外周免疫耐受中的调控机制。当前调节性 T 细胞的研究正从基础科学快速走向临床转化，成为生物医药和免疫治疗领域的前沿风口。因为这类细胞既可被激活以治疗自身免疫病，也可被清除以抗击肿瘤，为药物研发提供了丰富路径。本期《大健康与新医疗》简报将从基础研究、临床应用、行业动态等方面介绍调节性 T 细胞的最新研究进展。

目录

基础研究.....	3
2025 年诺贝尔生理学或医学奖颁布.....	3
调节性 T 细胞在稳态与疾病中的作用：分子机制与治疗潜力.....	5
临床应用.....	8
促进肿瘤内调节性 T 细胞脆化，实现肿瘤消退.....	8
调节性 T 细胞在实体瘤免疫治疗中的作用、机制及临床应用.....	9
行业动态.....	11
上海赛尔欣人自体多克隆调节性 T 细胞注射液启动 I /IIA 期临床.....	11
新型同种异体细胞疗法 ACTILEUCEL 完成首次人体研究.....	12
瑞格新药二 B 期临床成果刊登《BLOOD》.....	14

基础研究

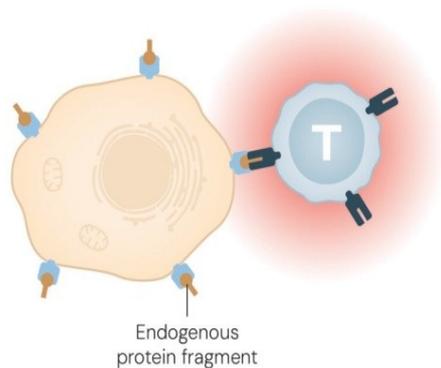
2025 年诺贝尔生理学或医学奖颁布

2025 年诺贝尔生理学或医学奖授予了美国科学家玛丽·布伦科、弗雷德·拉姆斯德尔和日本科学家坂口志文，以表彰他们在揭示调节性 T 细胞于外周免疫耐受中的调控机制方面所做出的开创性贡献。

每一天，我们的免疫系统都保护我们免受成千上万种试图入侵我们身体的微生物的侵害。这些微生物形态各异，其中许多甚至化出与人类细胞相似的特征作为伪装。正因为免疫系统如此强大，所以它必须受到精细的调控，否则可能错误地攻击人体自身组织和器官，引发自身免疫性疾病。

How regulatory T cells protect us

1 A T cell that has slipped through the test in the thymus reacts to a fragment from one of the body's proteins.



2 Regulatory T cells discover that the attack is a mistake and calm it down. This prevents autoimmune diseases.

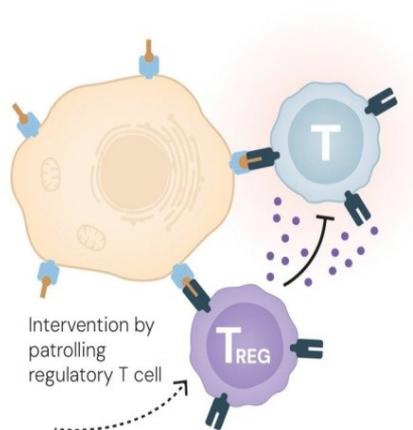
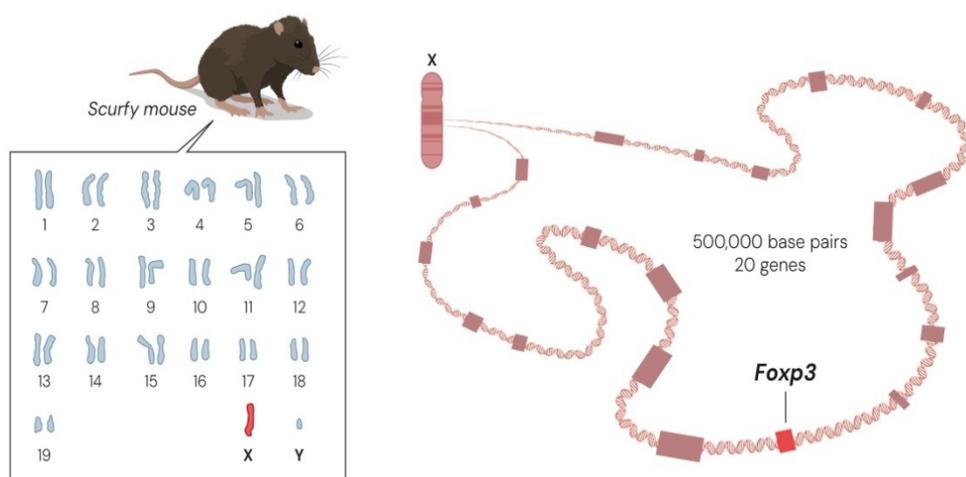


图 1：调节性 T 细胞作用机制

坂口志文在 1995 年做出了首个关键发现。当时的研究人员普遍认为，免疫耐受仅是通过中枢耐受的过程，即在胸腺内清除潜在有害的免疫细胞而发展起来的。而坂口志文逆主流而行，证明了免疫系统更为复杂，并发现了一类先前未知的免疫细胞，这类细胞能保护机体免受自身免疫性疾病的侵害。

玛丽·布兰克诺和弗雷德·拉姆斯德尔在 2001 年做出了另一个关键发现。他们揭示了某种特定小鼠品系特别易患自身免疫性疾病的原因。他们发现这些小鼠的一个基因发生了突变，他们将该基因命名为 *Foxp3*。他们还证明，人类对应基因的突变会导致一种严重的自身免疫性疾病——IPEX。

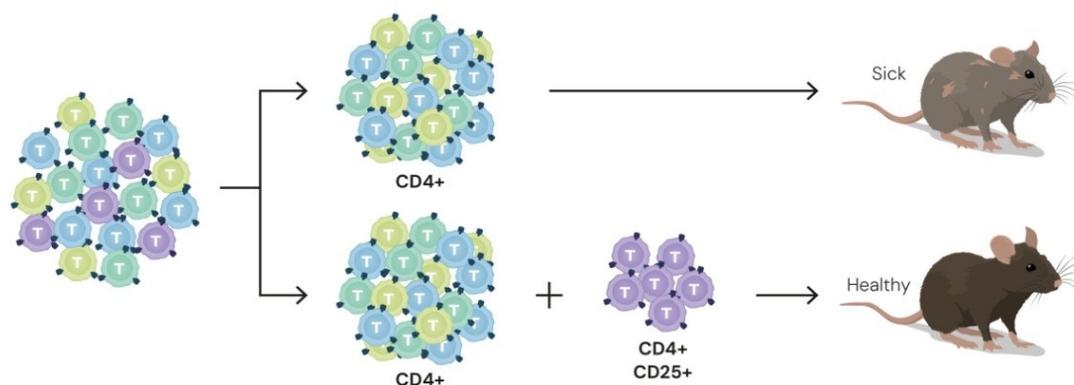


Brunkow and Ramsdell find the scurfy mutation

The scurfy mutation causes a mutiny in the immune system. Brunkow and Ramsdell succeeded in narrowing down the area of the mutation and locating it in the *Foxp3* gene, which turned out to be decisive in the development of regulatory T cells.

图 2：Foxp3 基因的发现

两年后，坂口志文成功将这些发现联系起来。他证明了 Foxp3 基因控制着他在 1995 年所识别的那类细胞的发育。这些细胞，现在被称为调节性 T 细胞，负责监视其他免疫细胞，并确保我们的免疫系统能够“耐受”我们自身的组织。



Sakaguchi defines a new class of T cells

Sakaguchi showed that the T cells with CD25 on their surface protect against autoimmune diseases through an experiment in mice that lacked T cells. If he injected CD4-bearing T cells into the mice, but removed all the cells with CD25, the mice developed serious autoimmune diseases. If he added CD25-bearing cells, the mice remained healthy.

图 3：调节性 T 细胞的发现和定义

获奖者们的发现开创了外周免疫耐受研究领域，并推动了针对癌症和自身免疫性疾病的医学疗法的开发，并为提升器官移植成功率提供了潜在可能。目前，已有多项基于该发现的疗法进入临床试验阶段。

资料来源：<https://www.nobelprize.org/prizes/medicine/2025/press-release/> (访问日期 2025.10.20)

调节性 T 细胞在稳态与疾病中的作用：分子机制与治疗潜力

复旦大学、第四军医大学唐都医院、希望之城 Beckman 研究所的研究团队

2025年10月14日在《Signal transduction and targeted therapy》期刊上发表综述文章《Regulatory T cells in homeostasis and disease: molecular mechanisms and therapeutic potential》。该文综合阐述了调节性T细胞（Treg）生物学的最新进展，并强调了它们在不同病理背景下的治疗潜力。

1. 调节性T细胞的新调控机制

Foxp3在Treg细胞中的表达受营养物质代谢产物、细胞内代谢中间体及信号通路的精密调控。Treg细胞的代谢调控对其稳定性、功能和分化至关重要，涉及营养物质摄取、糖酵解、线粒体代谢以及脂肪酸代谢等途径。代谢调控因子如全反式视黄酸（RA）、维生素C和维生素D₃促进Foxp3表达和Treg分化。Tregs主要依赖脂肪酸氧化磷酸化（OXPHOS）而非糖酵解，脂肪酸结合蛋白5（FABP5）和CD36等参与脂肪酸代谢，调节Treg功能。线粒体和NAD⁺代谢也与Treg的免疫耐受功能密切相关。Treg细胞中的免疫检查点受体如PD-1调控其在肿瘤微环境中的功能，抑制PD-1可以延缓肿瘤进展。此外，糖酵解通过PI3K-mTORC2途径调节Treg细胞迁移，HIF-1 α 增加糖酵解并促进Treg迁移。

(详见图 4)。

2. 调节性 T 细胞在体内平衡及疾病中的作用

调节性 T 细胞 (Tregs) 是维持免疫平衡的关键要素，其功能失调或调控异常可能引发一系列免疫相关疾病。深入理解 Tregs 在机体稳态维持及人类疾病中的作用，对于开发以 Treg 为核心的靶向治疗策略具有至关重要的意义。调节性 T 细胞通过多种途径参与机体生理稳态维持与疾病发展进程，具体见表 1：

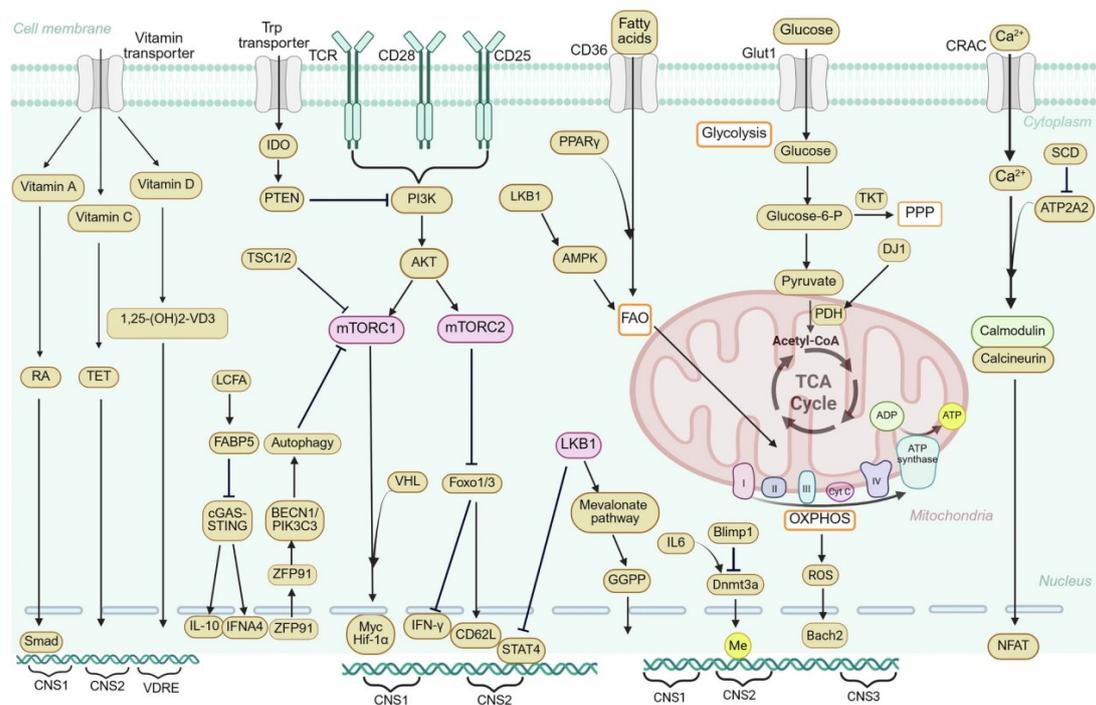


图 4：调节性 T 细胞的调控机制

表 1：调节性 T 细胞在稳态与疾病中的作用机制

疾病领域	Tregs 的角色	靶向治疗策略
自身免疫病 (RA, T1D, MS, SLE)	功能受损/数量减少，导致免疫耐受破坏。	增强 Tregs：过继输注 Tregs、低剂量 IL-2、CAR-Tregs、Treg 刺激剂。
癌症	促进免疫抑制/肿瘤进展 (多)	抑制/清除 Tregs：免疫检查点抑制剂

	数实体瘤) ，但在某些癌症 (如结肠癌) 中预后较好，作用具环境依赖性。	(抗 CTLA-4, 抗 TIGIT, 抗 LAG-3) 、靶向清除 (抗 CD25, 抗 CCR4/CCR8) 、表观遗传药物 (EZH2 抑制剂, HDAC 抑制剂) 。
代谢性疾病 (T2D, 肥胖)	功能失调 驱动慢性炎症和胰岛素抵抗。内脏脂肪组织 Tregs (VAT-Tregs) 具有独特表型。	增强 Tregs ：输注 Tregs、IL-2 复合物、靶向特定代谢通路 (如 PPAR γ) 。
心血管疾病 (动脉粥样硬化, 心肌梗死)	数量/功能降低 ，加剧炎症。迁移至梗死心脏，抑制炎症，促进修复。	增强 Tregs ：输注 Tregs (包括基因修饰型)，利用其抗炎特性 (分泌 IL-10 等) 。
神经退行性疾病 (ALS, AD, PD)	功能失调/数量变化 ，神经保护作用受损。Th17/Treg 平衡被打破。	增强 Tregs ：过继输注 Tregs、低剂量 IL-2、工程化抗原特异性 Tregs (如 TCR A β -Tregs for AD) 。

3. 针对人类疾病中调节性 T 细胞的免疫疗法策略

截至 2025 年 3 月，ClinicalTrials.gov 注册数据库中已收录超过 260 项以调节性 T 细胞为核心干预措施的临床试验。这些试验涵盖所有研究阶段，涉及人类多种疾病领域，充分彰显了 Treg 细胞疗法日益增长的科研价值与临床潜力。这些临床试验包含：移植相关临床试验 84 项、肿瘤特异性研究 74 项、自身免疫疾病 60 项、代谢疾病 31 项、心血管疾病 19 项、神经退行性疾病 12 项。

文章指出在技术路径选择方面，目前大多数 Treg 细胞疗法倾向于采用体外扩增的多克隆 Tregs。然而研究显示，抗原特异性 Tregs 不仅能定向富集于抗原呈递部位，还展现出比多克隆 T 细胞更强的免疫抑制效能。因此，科研焦点正逐步转向通过基因工程技术表达重组 TCR 或合成受体这一方向，以此精准调控

Tregs 的抗原特异性，并展现出更显著的临床转化前景。另一方面，文章从治疗目标维度分析提出：在自身免疫疾病领域，Treg 疗法旨在重建免疫耐受并抑制病理性免疫应答；在移植领域，核心目标是预防移植物排斥并控制移植物抗宿主病；在肿瘤治疗中，主要着力于重塑免疫抑制微环境并增强抗肿瘤免疫；总体而言，Treg 细胞疗法作为一个充满活力且快速演进的研究领域，正通过充分发挥这类调节性免疫细胞的独特性能，为人类多种疾病的治疗模式带来革命性突破。

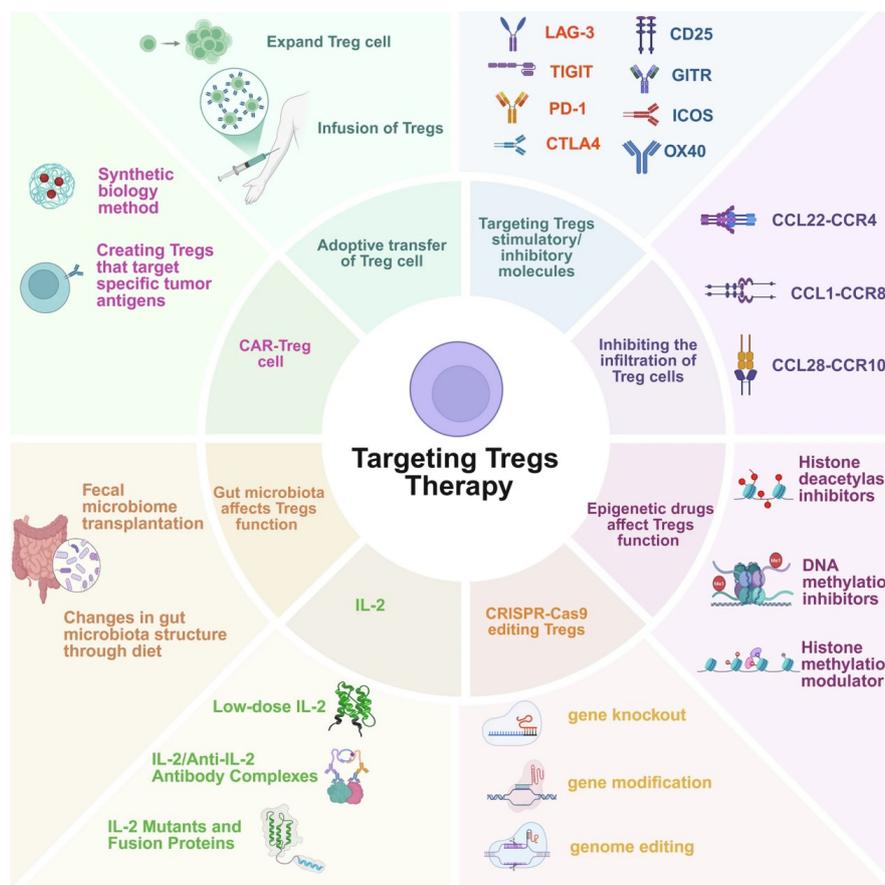


图 5 : Treg 细胞疗法的具体应用

资料来源 : <https://www.nature.com/articles/s41392-025-02326-4> (发布日期 2025.10.14)

临床应用

促进肿瘤内调节性 T 细胞脆化，实现肿瘤消退

2025 年 10 月，中国科学技术大学郑小虎教授、田志刚院士、马洪第教授、复旦大学孙昊昱教授团队等联合在《Nature Communications》发表一项具有重要意义肿瘤免疫治疗研究，成功开发出一种新型免疫细胞因子—— α TIGIT-IL2。该分子通过精准制导肿瘤浸润调节性 T 细胞（Treg），诱导其进入脆化状态，削弱免疫抑制功能，同时激活中性粒细胞与 CD8+ T 细胞的协同杀伤，显著抑制包括三阴性乳腺癌在内的多种肿瘤生长，为克服免疫检查点抑制剂耐药提供了全新策略。 α TIGIT-IL2 即使在免疫检查点抑制剂（ICB）治疗耐药的模型中仍表现出有效的肿瘤控制。

研究团队瞄准 Treg 细胞的关键靶点——TIGIT（T 细胞免疫球蛋白黏蛋白分子），设计出融合抗 TIGIT 单抗与 IL-2 的免疫细胞因子 α TIGIT-IL2。研究团队希望它像智能导弹，既通过 IL-2 激活免疫，又通过 TIGIT 靶向肿瘤内 Treg，

打破其免疫抑制的保护壳。

研究团队观察到，治疗后肿瘤内 CD8⁺ T 细胞增殖加速，且对肿瘤抗原的识别能力增强。中性粒细胞不仅是炎症哨兵，更成为连接 Treg 与 T 细胞的桥梁。

针对临床难题——三阴性乳腺癌对免疫检查点抑制剂治疗的高耐药性，研究团队在 EO771 和 4T1 TNBC 模型中验证了 α TIGIT-IL2 的潜力：单药治疗显著抑制肿瘤生长；与 PD-1 抑制剂联用，EO771 肿瘤完全消退，且治愈小鼠对肿瘤再挑战无复发；4T1 模型中，联合治疗使部分肿瘤退缩。研究团队分析了 22 例三阴性乳腺癌患者数据发现，免疫检查点抑制剂无应答者的 Treg 细胞更顽固（高表达 FOXP3、TIGIT），而 α TIGIT-IL2 正是针对这一群体的克星。这提示该疗法可能成为三阴性乳腺癌对免疫检查点抑制剂耐药后的新选择。 α TIGIT-IL2 消除三阴性乳腺癌对 ICB 治疗的耐药性，导致肿瘤消退

目前，研究团队已完成 α TIGIT-IL2 的临床前安全性评估，计划启动临床试验，重点探索其在 PD-1 耐药实体瘤中的应用。研究团队还在优化分子设计，例如通过前药策略限制其系统性激活，进一步降低毒性。 α TIGIT-IL2 通过脆化肿

瘤内 Treg、激活中性粒细胞与 T 细胞的协同网络，这一创新疗法不仅突破了 IL-2 的治疗瓶颈，更为克服免疫治疗耐药开辟了新路径。

资料来源：<https://www.nature.com/articles/s41467-025-64296-z> (发布日期 2025.10.17)

调节性 T 细胞在实体瘤免疫治疗中的作用、机制及临床应用

2025 年 4 月，郑州大学附属肿瘤医院王启鸣团队在《Cell Death & Disease volume》发表文章《Regulatory T cells in solid tumor immunotherapy: effect, mechanism and clinical application》，讨论了调节性 T 细胞在实体瘤免疫治疗中的作用、机制及临床应用。

文章总结提出 **Tregs 通过多种机制抑制抗肿瘤免疫应答**，主要包括：

1、细胞因子竞争与直接杀伤：Tregs 高表达 CD25，竞争性消耗微环境中的 IL-2，从而削弱效应 T 细胞功能。此外，部分 Tregs 可分泌穿孔素与颗粒酶 B，直接杀伤效应 T 细胞。

2、干扰抗原呈递过程：Tregs 表达 CTLA-4，影响肿瘤表面抗原成熟，使 T 细胞无法识别肿瘤表面抗原，导致肿瘤细胞免疫逃逸。

3、代谢干扰机制：Tregs 表面表达的 CTLA-4 与树突状细胞表面的 CD80/CD86 结合后，可诱导色氨酸代谢酶 IDO 分泌，导致 T 细胞功能障碍。

4、淋巴结微环境调控：Tregs 还能在淋巴结中通过表达 PD-L1 等分子抑制初始 T 细胞活化，形成全身性的免疫抑制状态。

目前已有**多种策略通过调控 Tregs 的数量或功能以增强免疫治疗效果**：

1、诱导 Tregs 凋亡：泛 Bcl-2 抑制剂 GX15-070 (Obatoclax) 可下调 Tregs 中 FoxP3 与 CTLA-4 表达，优先诱导 Tregs 凋亡，并在卵巢癌模型中显示可增强肿瘤疫苗的疗效。

2、干预缺氧通路：HIF-1 α 和 Foxp3 的表达水平与胃癌分期及外周淋巴结转移程度呈正相关。在缺氧条件下，TGF- β 1 增强 Treg 细胞的诱导，从而导致肿瘤免疫抑制作用增强并加速疾病进展。

3、药物耗竭 Tregs：三氧化二砷 (As₂O₃) 在乳腺癌、结直肠癌等模型中可有效耗竭 Tregs，增强机体抗肿瘤免疫应答，为实体瘤免疫治疗提供了新思路 and 机遇。

4、优化细胞因子疗法：采用 IL-7、IL-15、IL-18 或改造型 IL-2 变体可特异性激活效应 T 细胞与 NK 细胞，同时避免 Tregs 扩增。

5、增强肿瘤疫苗疗效：个性化树突状细胞疫苗联合低剂量环磷酰胺可选择性清除 Tregs，提高树突状细胞疫苗的效果。

目前多项临床试验探索了 **Tregs 调控在实体瘤免疫治疗中的应用**：

1. 在转移性黑色素瘤和膀胱肿瘤中，AdCD40L 基因疗法可抑制 Tregs 生成，同时促进效应 T 细胞 (Th1) 活化，增强长期免疫应答。

2. 在卵巢肿瘤中，PanBcl-2 抑制剂 GX15-070 (Obatola) 能显著下调 FoxP3 Tregs，特异性抑制 Tregs 功能，与肿瘤疫苗联用时可提升疗效。

3. 在晚期肾癌患者中，采用环磷酰胺联合氟达拉滨进行淋巴细胞清除后回输自体淋巴细胞，可有效降低 Tregs 数量，提升免疫应答。

4. 在晚期肾癌患者中，使用纳武利尤单抗联合 CXCR4 拮抗剂，可逆转 Tregs 介导的免疫抑制。

5. 在结直肠癌患者中，采用饮食干预策略，如无丝氨酸/甘氨酸饮食，可减少 Tregs 并增强 PD-1 抑制剂效果。

资料来源：<https://www.nature.com/articles/s41419-025-07544-w> (发布日期 2025.04.11)

行业动态

上海赛尔欣人自体多克隆调节性 T 细胞注射液启动 I / IIIa 期临床

上海赛尔欣生物医疗科技有限公司成立于 2022 年，于 2023 年初获得天使轮融资并开始运营，专注于开发治疗神经退行性疾病、自身免疫性疾病和代谢性疾病的多模式 Treg 细胞疗法。

该公司的研发管线包含 NP001（针对肌萎缩侧索硬化症 ALS 和多系统萎缩症 MSA）、NP006（针对自免肝 T1D）、NP005（针对脑卒中后认知功能障碍）、NC001（针对 T 细胞自免疾病）、NC002（针对 B 细胞自免疾病）、NE001（针对自免皮肤病）。该公司的旗舰产品 NP001 已完成中美双报 (IND)，是全球首个获批鞘内注射治疗肌萎缩侧索硬化症 (ALS / 渐冻症) 的 Treg 产品。其他研发管线的进度见图 6。

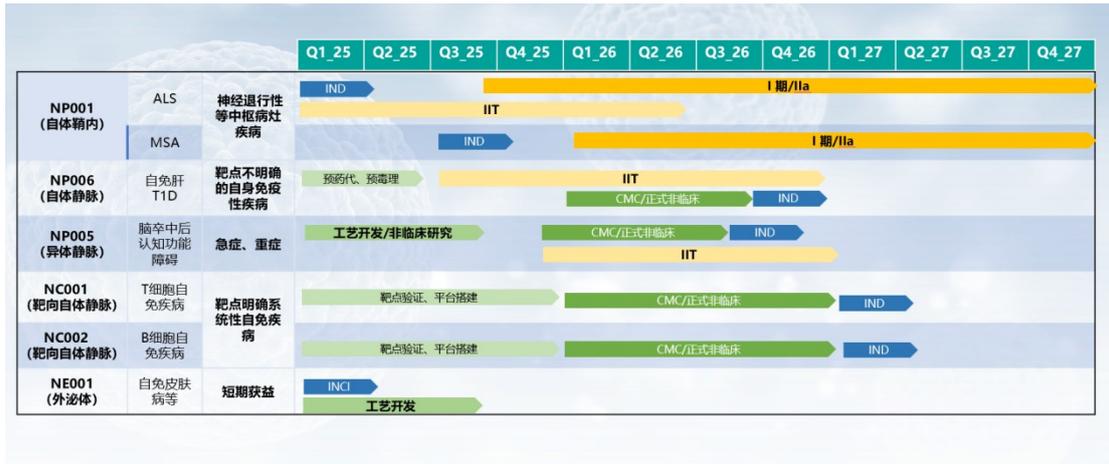


图 6：赛尔欣生物产品研发进度图

药物临床试验登记与信息公示平台数据显示，上海赛尔欣生物医疗科技有限公司的人自体多克隆调节性 T 细胞（NP001 细胞注射液）治疗肌萎缩侧索硬化症患者安全性和有效性的 I /IIa 期临床研究已启动。临床试验登记号为 CTR20253607，首次公示信息日期为 2025 年 9 月 10 日。

该药物剂型为注射剂，用法为鞘内回输。SAD 期单次给药，MAD 期和 II a 期均重复给药，每月 1 次，共三次，产品复苏后必须在 2 小时内使用完毕。本次试验主要目的为评估 NP001 细胞注射液治疗 ALS 受试者的安全性和耐受性；次要目的包括评估其对疾病状态的影响、对 ALS 受试者生存期的影响以及对血液和脑脊液中免疫系统参数的影响。

人自体多克隆调节性 T 细胞注射液为生物制品，适应症为肌萎缩侧索硬化

症（ALS）。ALS 是一种神经退行性疾病，累及大脑和脊髓运动神经元，导致肌肉无力、萎缩，患者逐渐失去运动、说话、吞咽和呼吸能力。诊断依靠临床表现、肌电图等。

本次试验主要终点指标包括不良事件及严重不良事件的类型、严重程度和发生率；I 期还包括剂量限制性毒性（DLT）的发生率与特征、NP001 细胞注射液的最大耐受剂量（MTD）。次要终点指标包括 NP001 细胞注射液对疾病状态的影响、生存期、血液和脑脊液中免疫系统参数的变化。

资料来源：1.<https://finance.sina.com.cn/stock/aigc/ywsygs/2025-09-10/doc-infpzepf2568522.shtml>（发布日期 2025.09.10）；2.https://www.novabiotx.cn/p-page_7.html（访问日期 2025.11.03）

新型同种异体细胞疗法 Actileucel 完成首次人体研究

ActiTrex 是一家临床阶段的生物技术公司，成立于 2020 年，是美因茨大学医学中心的衍生公司，致力于开发针对由 T 细胞介导的、过度活跃的自身免疫和自身炎症性疾病的细胞和生物疗法平台，这些疾病存在高度未满足的医疗需求。该公司近日宣布，其用于预防和治疗移植物抗宿主病的新型同种异体细胞疗法 Actileucel，已在首次人体研究中完成最后一位患者的治疗。



Actileucel 是一种细胞治疗剂，含有经最佳活化的调节性 T 细胞，这是免疫系统的天然守护细胞。调节性 T 细胞调节 T 细胞的活性，防止不必要的炎症反应。Actileucel 可抑制移植物中 CD4+ T 细胞的不良活化，预防 GvHD 的发生，并促进患者体内健康免疫系统的发育。细胞治疗剂 Actileucel 被归类为先进治疗医学产品，通过自动化流程生产，可在 24 小时内备好供患者临床使用。

ActiTrex 首席执行官 Andrea Tüttenberg 教授博士表示 Actileucel 项目的 Ib/II 期研究完成患者治疗，标志着该项目的一个重要里程碑，使用无需匹配患者组织标记的第三方供体来源的活化调节性 T 细胞，有潜力控制或预防 GvHD（移植物抗宿主病），后续随访仍在继续，一旦获得完整数据集，该公司计划在同行评审期刊上发表结果。

德累斯顿大学医院卡尔·古斯塔夫·卡鲁斯医院第一内科主任医师、科室主任 Martin Bornhäuser 教授博士评论该公司用于活化和制备调节性 T 细胞的专利方法在全球范围内是独一无二的，具有高度创新性，代表了细胞治疗领域一种前景广阔的方法。使用来自次要供体的调节性 T 细胞来潜在地控制或预防

GvHD，为这一影响半数干细胞移植受者且历来死亡率很高的并发症提供了一种新策略。

这项前瞻性、开放性、单臂、非随机、多中心 Ib/II 期研究纳入了十名近期接受过同种异体造血干细胞移植以治疗血液恶性肿瘤（如急性白血病）的患者。患者接受单次 Actileucl 治疗，并进行为期六个月的随访，最后入组患者的随访目前仍在进行中。研究中的患者按三个队列接受了递增剂量的活化调节性 T 细胞治疗。

该研究的主要终点是 Actileucl 治疗的安全性和耐受性，次要终点包括评估治疗患者中 GvHD 的发生频率和严重程度，以及 Actileucl 生产的可行性。该试验在德国的四个中心进行：美因茨大学医学中心第三医学诊所、德累斯顿卡尔·古斯塔夫·卡鲁斯大学医院、明斯特大学医学中心以及多特蒙德圣约翰医院内科 II。

资料来源：<https://lesechos-comfi.lesechos.fr/press-release/actitrexx-completes-treatment-of-last-patient-with-novel-regulatory-t-cell-therapy-against-graft-versus-host-disease-qIuu0gy6oYW>（发布日期 2025.10.20）

瑞格新药二 b 期临床成果刊登《Blood》

瑞格国际生技股份有限公司，一家致力于开发免疫性疾病和癌症新型疗法的临床阶段生技公司宣布，其创新免疫调节新药 RGI-2001 已在美国七家顶尖医学中心完成临床 2b 期试验，并于早期的 1/2a 期试验展现优异的安全性与初步疗效。相关研究成果已先后于国际学术期刊及美国血液学会(ASH) 年会发表。

此次 2b 期完整成果，由哈佛医学院副教授暨麻省总医院骨髓移植研究主任 Dr.Zachariah DeFilipp 领衔，正式刊登于全球血液学领域最具影响力的

《Blood》期刊。瑞格美国子公司临床开发处长 Dr.Dana Lee 表示，《Blood》在血液学界的地位等同《新英格兰医学期刊》，此次刊登象征 RGI-2001 在医药科学与临床开发上达成重大里程碑，为后续三期试验奠定基础。

免疫调节新药 RGI-2001 的创新之处，在于透过微脂体剂型传输，诱导调节型 T 细胞(Treg)的活化与增生，在不全面压制免疫系统的前提下，有效调控效应 T 细胞 (Teff) 的自体攻击作用，达成预防排斥的效果，兼具安全性与疗效。

本次临床二 b 期试验共纳入 49 名患者，于移植日开始给药，每周一次，连续六周。试验结果显示：100 天试验组患者的轻到重度 GvHD 发生率为



24.9%；中重度 GvHD 发生率在试验组仅 4.1%；180 天时，试验组患者的无 GvHD 存活率达 70.8%，亦大幅优于对照组的 50.7%。

整体结果证实 RGI-2001 能有效降低急性 GvHD 发生率，并显著提升移植术后存活率，展现极佳的临床潜力。

在市场潜力与未来发展方面，RGI-2001 已获得美国 FDA 孤儿药资格认定，具备高药价属性与低竞争优势。仅在美国，每年就有超过三万名血癌患者等待移植，对此类药物有强烈的未被满足的医疗需求。考虑到庞大的潜在市场与专利保护机制，RGI-2001 的全球销售潜力估计可达 20 亿美元。目前瑞格国际已同步展开美国与欧洲三期临床的筹备工作，目标成为全球首个以免疫调节机制预防 GvHD 的创新药物。

资料来源：<https://news.gbimonthly.com/tw/invest/show.php?num=80442&range=news> (发布日期 2025.09.22)



地址：上海市永福路 265 号
邮编：200031
编辑：陈莹
责编：赵晓勤
编审：林鹤
电话：021-64455555
邮件：istis@libnet.sh.cn
网址：www.istis.sh.cn