

索元生物 项目介绍

一、公司概况

索元生物医药（全称：杭州索元生物医药股份有限公司，Denovo Biopharma）成立于2012年2月21日，法定代表人为罗文（Wen Luo）博士，公司总部位于北京，并在杭州设有运营主体。索元生物是一家以精准医疗为核心的创新药企业，被公开报道称为精准医疗领域的领军企业。公司的独特之处在于其"逆向首创新药"（drug rescue）开发模式：从国际大型制药公司引进经过临床后期试验、已证明安全性且对部分患者显示有效、但因整体疗效未达终点而被放弃的新药资产，利用自身独创的生物标记物发现平台，在原有临床试验的残余样本中找到可预测药物疗效的生物标记物（伴随诊断），进而在敏感患者群体中重新开展临床试验，以优化疗效与安全性、提高新药开发成功率。这种模式的核心逻辑是"以较小的投资、较低的风险获得药物的价值重建"。

二、核心科学与技术

索元生物的核心技术是其独有的全基因扫描/生物标记物发现平台。该平台通过对既往临床试验中保留的残余临床样本进行大规模基因组学分析，识别与药物疗效相关的全新生物标记物（Denovo Genomic Marker, DGM系列）。公司已先后发现多个预测性生物标记物：DGM1可预测DB102（enzastaurin）在弥漫性大B细胞淋巴瘤中的疗效；DGM4可预测DB103（pomaglumetad）在精神疾病中的疗效；DGM7是基因治疗领域首个预测性生物标志物，可特异性预测复发性高级别神经胶质瘤患者接受DB107（Toca 511/Toca FC基因疗法）治疗后的疗效。这一平台的价值在于，它使公司无需从零开始进行早期研发，而是基于已有临床安全性数据，以较低成本、较短周期重启关键试验，从而提升首创新药（First-in-class）的开发效率，并降低传统新药开发的高失败率风险。

三、主要产品与管线

索元生物拥有处于临床后期阶段的多个产品（公开报道中曾描述为DB102至DB107六个产品，后续管线扩展至八个产品），核心在研品种包括：

1. DB102（enzastaurin）：一种口服小分子蛋白激酶C β （PKC β ）抑制剂，原由礼来（Eli Lilly）开发，用于一线治疗初治高危弥漫性大B细胞淋巴瘤（DLBCL）和脑胶质母细胞瘤（GBM）。其ENGINE研究（DLBCL国际多中心III期）已完成全部受试者入组，旨在验证DGM1阳性患者显著获益；ENGAGE研究（GBM国际多中心III期）正在全球招募患者，并于2022年7月获FDA授予一线GBM快速审评通道（Fast Track）资格；
2. DB103（pomaglumetad）：用于精神分裂症治疗；
3. DB104（liafensine）：用于难治性抑郁症（TRD），已取得FDA IND并启动国际多中心IIb期临床试验（ENLIGHTEN研究）；
4. DB105：用于阿尔茨海默症；
5. DB106：用于急性髓系白血病；
6. DB107（Toca 511/Toca FC）：用于复发性高级别神经胶质瘤的基因疗法；
7. 其他处于开发阶段的产品（如valbenazine等）。

四、适应症与疾病背景（如适用）

索元生物管线聚焦肿瘤与中枢神经系统（CNS）两大存在严重未满足临床需求的领域。在肿瘤方面，高危DLBCL目前缺乏显著疗效的新药，初治一线治疗选择有限；GBM是预后极差的恶性脑肿瘤。在CNS方面，精神分裂症、难治性抑郁症、阿尔茨海默症等均为患病率高、现有疗法有限的重大疾病。公司通过对这些已证实安全性、但需在细分敏感人群中重新验证疗效的资产进行"价值重建"，试图为患者提供新

的治疗选择。其生物标记物指导的患者筛选策略，本质上是"广谱无效"的候选药转化为"在敏感亚群中有效"的精准疗法，契合精准医疗方向。

五、竞争格局

在创新药开发模式上，索元生物的"生物标志物指导的逆向开发"路径与传统的从靶点发现做起的First-in-class开发形成差异。国际上类似模式的企业包括以生物标志物驱动的再开发公司，但整体赛道参与者较少。在DB102所处的具体适应症（DLBCL、GBM）中，索元生物面临的是已有标准疗法（如R-CHOP）及其他在研创新药的直接竞争；其竞争优势来自DGM1伴随诊断带来的患者精准筛选能力，而非药物分子本身的差异。该模式的门槛在于生物标记物发现平台的算法与数据积累，以及与原研药厂的资产引进能力。若伴随诊断策略验证成功，公司可在不重复早期研发的情况下，以较低成本推进多个后期资产。

六、团队与平台

索元生物由罗文博士创立并担任董事长。罗文拥有生物医药研发与产业化背景，曾推动公司从引进少数资产扩展至拥有多个临床IIb/III期产品全球权益的管线。公司构建了涵盖生物信息学、基因组学、临床开发与注册申报的团队，并在中国与美国开展国际多中心临床试验。公司的生物标记物平台通过独立验证识别可预测药效的标志物，再以支持伴随诊断筛选患者的方式重启临床试验，形成"平台+管线"的运作体系。这种模式使公司能够同时推进多个国际多中心临床试验，进入管线兑现期。

七、融资与资本

索元生物于2020年6月完成人民币5.9亿元规模的C轮融资，由中金启德创新生物医药股权投资基金领投，现有股东久友资本、分享投资、中信证券投资及仙瞳资本参与，新加入盈科资本、国中资本以及开投瀚润投资等股东。该轮融资时公司拥有六个临床IIb/III期创新药的全球权益，并首次发现能预测精神类疾病新药疗效的生物标志物DGM4。中金资本体系（中金启德基金）为公司C轮领投方。公司此前亦获得多轮融资支持，累计股东包括分享投资、中信证券投资、仙瞳资本、盈科资本、国中资本等。公司成立以来融资与估值具体数据以公开披露为准（部分早期轮次金额未完全公开，待确认）。

八、发展展望

索元生物所代表的"生物标志物指导逆向首创新药"模式，契合精准医疗与降低新药开发失败率的行业趋势。随着DB102在DLBCL的ENGINE研究完成入组、在GBM获得FDA快速审评通道，以及DB104在抑郁症的IIb期推进，公司多个国际多中心临床试验并行开展，进入管线兑现期。未来，若其伴随诊断指导的敏感人群策略在关键试验中验证成功，将为这些曾被放弃的资产重建价值，并为肿瘤与CNS领域提供新的治疗选择。但该模式的最终价值仍取决于在研品种关键临床的数据读出，存在临床试验结果不确定性的客观现实；同时，伴随诊断的开发与商业化也需与监管及支付方协同推进。

从研发范式看，索元生物的逆向首创新药模式回应了新药开发高失败率的行业痛点。传统新药从靶点发现到上市平均耗时十年以上、耗资数十亿美元，且临床后期失败率居高不下；许多分子在整体人群中未达终点，却可能对特定亚群有效。索元生物的思路是站在巨人肩上，引进已被大厂验证安全性、但因人群异质性而折戟的资产，用生物标记物在残余样本中找回敏感人群，从而以远低于全新分子研发的成本重启关键试验。这一模式对数据资产（残余临床样本与基因组数据）与生物信息学能力要求极高，也依赖与原研方的资产转让安排。其管线集中于肿瘤与CNS两大领域，正是未满足需求最突出的方向。需要指出的是，该模式的价值兑现高度依赖在研品种关键临床的数据读出，且伴随诊断本身的开发与监管路径亦需同步推进；模式创新并不改变单一品种临床试验固有的不确定性。

在具体资产层面，DB102（enzastaurin）原由礼来开发，曾开展60多个临床试验、入组3000多例受试者，安全性数据充分；索元生物通过全基因扫描在其III期PRELUDE试验残余样本中识别出新生物标记物DGM1，DGM1阳性患者在总生存期上显著获益，据此重启ENGINE研究（一线高危DLBCL国际多中心III

期，中美同步、随机双盲安慰剂对照）。DB102用于新诊断GBM的III期研究亦获FDA与NMPA批准，并于2022年7月获FDA一线GBM快速审评通道资格。公司管线由早期披露的DB102至DB107六个产品，后续扩展至八个产品，覆盖肿瘤（DLBCL、GBM、AML、高级别神经胶质瘤）与CNS（精神分裂症、难治性抑郁症、阿尔茨海默症）两大方向；其中DGM7是基因治疗领域首个预测性生物标志物。需要强调的是，生物标记物指导的再开发虽可提升敏感人群中的成功概率，但关键临床的数据读出仍是价值兑现的前提，单一品种的临床试验不确定性客观存在。

在资产属性上，索元生物引进的多为原研方已验证安全性、但因整体人群疗效未达终点而搁置的临床后期资产，并通过全球权益买断或授权方式获取开发自主权，使其能在敏感亚群中重启关键试验。DB102、DB103、DB104、DB105、DB106、DB107等品种覆盖肿瘤与CNS，且多为全球首创（First-in-class）机制；DB104（liafensine）用于难治性抑郁症，已取得FDA IND并启动国际多中心IIb期（ENLIGHTEN研究），DB103用于精神分裂症。该模式的economics在于以远低于全新分子研发的成本与周期，借助已有安全性数据与伴随诊断筛选，提高后期成功率。但需明确，模式创新并不消除单一品种临床试验的不确定性，伴随诊断本身的开发与监管路径也需同步推进；其价值最终仍由在研品种关键临床的数据读出决定。

在战略定位上，索元生物将自身定义为以精准医疗为核心、快速高效开发全球首创新药的平台型企业，其经营宗旨是以精准医疗为核心，开发拥有自主知识产权、面向世界的首创新药，解决全球患者未满足的临床需求。与常规Biotech依赖单一分子推进不同，其平台属性使其可并行推进多个临床后期资产，形成组合式管线，降低单一品种失败对整体的冲击。公司资产多具备全球权益，利于在中美等地同步开展国际多中心临床试验，并借助伴随诊断实现敏感人群的精准入组。该模式对生物信息学、临床运营与监管沟通能力要求高，也需要持续的资金支持以支撑多个并行三期或二期试验。整体而言，索元生物代表了一种以数据资产与生物标记物为杠杆的再开发路径，其成败最终仍取决于各品种关键临床的疗效与安全性数据。

信息来源：

- 索元生物官网（denovobiopharma.com）产品管线资料
- 分享投资（sharecapital.cn）《索元生物完成C轮融资近6亿元》
- 人民日报人民号《全球首创新药有重大进展》（DB102 ENGINE研究入组完成）
- 医药魔方（pharmcube.com）及NDF Club相关报道
- 本切片briefing文件公开信息摘录（更新2026-08-05）