

公司代码：688197

公司简称：首药控股

首药控股（北京）股份有限公司

2024 年年度报告摘要



2025 年 4 月

第一节 重要提示

1、 本年度报告摘要来自年度报告全文，为全面了解本公司的经营成果、财务状况及未来发展规划，投资者应当到上海证券交易所：<http://www.sse.com.cn/>网站仔细阅读年度报告全文。

2、 重大风险提示

公司已在本报告中详细阐述在经营过程中可能面临的各种风险因素，敬请投资者仔细阅读“第三节管理层讨论与分析”之“四、风险因素”相关内容。

3、 本公司董事会、监事会及董事、监事、高级管理人员保证年度报告内容的真实性、准确性、完整性，不存在虚假记载、误导性陈述或重大遗漏，并承担个别和连带的法律责任。

4、 公司全体董事出席董事会会议。

5、 天健会计师事务所（特殊普通合伙）为本公司出具了标准无保留意见的审计报告。

6、 公司上市时未盈利且尚未实现盈利

☒是 ☐否

新药研发具有难度大、周期长、风险高的基本特点，在药物探索、药物发现、临床前研究、临床试验注册申报、临床研究、新药上市申请和上市销售等各个环节中，创新药企业均需投入大量的人力、物力和资金成本。

公司是适用科创板第五套上市标准的创新药研发型企业，截至本报告期末，核心自研产品处于上市审评或研发阶段，暂无产品上市贡献销售收入。由于年内合作研发项目的里程碑收款等无法覆盖本报告期公司的研发及运营投入，公司尚未盈利且存在以前年度未弥补亏损。根据公司战略，预计未来仍需持续较大规模的研发投入用于在研项目完成临床前研究、药学研究、临床试验及新药上市前准备等研发业务。此外，还将在新药上市申请、药品注册、上市后的市场推广等方面增加投入。虽然公司已经形成了高质量、高效率做研发的文化氛围并拥有卓越的成本控制能力，但是在候选药物获批上市、形成规模化收入前，上述因素均可能导致公司发生亏损，从而对公司财务状况、现金流量、团队稳定性产生不利影响。

公司建成并持续优化集 AI 药物设计、药物化学、靶点生物学、药理学、药效学、药物代谢力学、毒理学、药学、临床医学、转化医学研究于一体的全流程创新药研发体系，并形成靶点丰富、梯次分明的差异化候选药物矩阵。报告期内，公司向国家药监局正式递交了 SY-707 的新药上市申请（NDA），并预计于 2025 年内递交另一款核心候选药物 SY-5007 的上市申请，还有包括

SY-3505 在内的 6 款自主创新产品正在临床开发，19 项临床试验在国内近百家中心快速推进。此外，2024 年以来，第四代 ALK 抑制剂、MAT2A 抑制剂、MALT1 蛋白酶抑制剂及 Menin 抑制剂等多款处于临床前阶段候选药物的早期研究成果相继在国际学术期刊与重磅学术会议上展示，这些优秀的候选分子也将为公司可持续发展注入源源不断的新动能。

简单、高效的创新机制和企业文化让我们有信心和决心穿越黑暗，迎接商业化黎明的到来。2022 年至 2024 年，公司分别投入研发资金 19,943.83 万元、20,265.64 万元、21,268.14 万元，用以持续推动开发安全性和有效性更佳的创新型单药疗法和联合疗法，切实践行“以患者为中心”理念，满足我国重大未满足的医疗需求。我们也深知，持续稳定的研发投入高度依赖良好的资本结构和资本储备，截至 2024 年末，公司资产总额 92,222.81 万元，归属于母公司所有者权益 80,901.31 万元，无带息负债，资产负债率 12.28%；在手现金及可随时变现的金融资产 86,815.47 万元，占资产总额比例达 94.14%。我们充分评估了公司流动性和营运资金需求，并进行了相关压力测试，认为现金储备足够支持至产品早期商业化阶段，财务及现金流风险相对安全、可控。

7、 董事会决议通过的本报告期利润分配预案或公积金转增股本预案

公司2024年度利润分配预案为：不派发现金红利，不送红股，不以资本公积金转增股本。以上预案已经公司第二届董事会第八次会议及第二届监事会第七次会议审议通过，尚需2024年年度股东大会批准。

8、 是否存在公司治理特殊安排等重要事项

☐适用 ☒不适用

第二节 公司基本情况

1、 公司简介

1.1 公司股票简况

√适用 □不适用

公司股票简况				
股票种类	股票上市交易所及板块	股票简称	股票代码	变更前股票简称
A股	上海证券交易所科创板	首药控股	688197	不适用

1.2 公司存托凭证简况

□适用 √不适用

1.3 联系人和联系方式

	董事会秘书
姓名	张英利
联系地址	北京市海淀区闵庄路3号玉泉慧谷科技园15号楼
电话	010-88857906
传真	010-88853760
电子信箱	shouyaoholding@163.com

2、 报告期公司主要业务简介

2.1 主要业务、主要产品或服务情况

以提高肿瘤患者生存预期和生存质量，让肿瘤患者能够长期带瘤生存，最终实现慢性疾病管理为宗旨，致力于发现具有迫切临床需求的创新药物，在研产品靶点丰富、梯次分明。截至目前，公司开发出多款具有自主知识产权的在研管线。自主研发管线中，1 款处于新药上市审评阶段，2 款处于关键性注册 II /III期临床，3 款处于 I 期临床，以及多款具有前瞻性的优质临床前候选化合物；合作研发项目中，依奉阿克胶囊（CT-1139/TQ-B3139）已获批上市销售，罗伐昔替尼（CT-1995/TQ05105）的新药上市申请已获受理。

● 自主研发项目情况

序号	项目名称	靶点	适应症/潜在适应症	临床前阶段	IND	I 期临床	II 期临床	III 期临床	NDA
1	SY-707	ALK/FAK/PYK2/IGF1R	克唑替尼耐药ALK阳性非小细胞肺癌（二线用药）	关键性临床试验已完成					上市审评
			初治ALK阳性非小细胞肺癌（一线用药）						
			联合特瑞普利单抗和吉西他滨治疗晚期胰腺癌						
2	SY-3505	ALK/FAK/PYK2/LTK	二代ALK抑制剂耐药非小细胞肺癌（二线用药）	关键性临床试验					
			初治ALK阳性非小细胞肺癌（一线用药）	关键性临床试验					
			LTK融合突变的肿瘤						
3	SY-5007	RET	RET融合的非小细胞肺癌	关键性临床试验					关键性临床试验
			RET融合的非小细胞肺癌（一线用药）						
			RET变异的甲状腺癌和其它实体肿瘤						
4	SY-5933	KRAS G12C	单药治疗肺癌、结直肠癌等						
			联合SY-707片治疗KRAS（G12C）突变晚期实体瘤						
5	SY-4798	FGFR4	肝细胞癌、胆管癌						
6	SY-4835	WEE1	胰腺癌、卵巢癌、乳腺癌等						
3	LMP7抑制剂	LMP7	多发性骨髓瘤、白血病等						
8	MAT2A抑制剂	MAT2A	肺癌，膀胱癌，食管癌等						
9	ALK-4G抑制剂	ALK	ALK阳性非小细胞肺癌						
10	Menin抑制剂	Menin	急性髓性白血病等血液肿瘤						
11	RET-2G抑制剂	RET	RET阳性实体肿瘤						
/	早期项目1	暂不披露	肺癌、结直肠癌等						
/	早期项目2	暂不披露	弥漫性大B细胞淋巴瘤等						

● 合作研发项目情况

序号	项目名称	靶点	适应症/潜在适应症	临床前阶段	IND	I 期临床	II 期临床	III 期临床	NDA	获批上市
1	CT-1139/TQ-B3139	ALK/c-Met	初治ALK阳性非小细胞肺癌（一线用药）	已上市						
			Met异常晚期非小细胞肺癌							
2	CT-1995/TQ05105	JAK	中危-2及高危骨髓纤维化	上市审评						
			骨髓增殖性肿瘤、噬血细胞综合征、糖皮质激素难治/依赖中重度慢性移植物抗宿主病（aGVHD）							
3	CT-2755/TQ-B3454	IDH1	晚期胆道癌	关键性临床试验						
4	CT-2426/TQ-B3455	IDH2	急性骨髓性白血病、骨髓增生异常综合征、神经胶质瘤等							
5	CT-133/CSPCHA115	CRTH2	哮喘和过敏性鼻炎							
6	CT-1495/TQ-B3395	Pan-Her	非小细胞肺癌、乳腺癌							
7	CT-1803/TQ-B3303	CDK	晚期或转移性乳腺癌							
8	CT-3417/TQ-B3558	TRK	NTRK基因融合的成人和儿童实体瘤如肺癌、甲状腺癌、黑色素瘤、GIST、结肠癌、软组织肉瘤、涎腺肿瘤和婴儿纤维肉瘤等							
9	CT-3872/TQ-B3811	TRK	NTRK基因融合的成人和儿童实体瘤如肺癌、甲状腺癌、黑色素瘤、GIST、结肠癌、软组织肉瘤、涎腺肿瘤和婴儿纤维肉瘤等							
10	CT-4460/TQ-B3617	BET	小细胞肺癌、前列腺癌、乳腺癌等实体瘤以及白血病、淋巴瘤等血液肿瘤							
11	CT-034/TQ-B3234	MEK	I型神经纤维瘤病（NF1）							

截至本报告披露日，处于上市注册及临床试验阶段的公司核心自研管线情况如下：

1.SY-707

SY-707 是一款 ALK/FAK/PYK2/IGF1R 多靶点激酶抑制剂。目前，公司围绕 ALK/FAK 靶点进行重点开发。

（1）作为一款完全自主研发的第二代 ALK 激酶抑制剂，适应症为晚期 ALK 阳性的非小细胞肺癌（NSCLC）

本报告期内，比较 SY-707 与克唑替尼治疗 ALK 阳性晚期 NSCLC 患者有效性和安全性的多中心、随机、开放性临床研究（关键性III期临床试验）达到最终分析节点，结果显示本试验已经达到主要研究终点（经 IRC 评估的 PFS）。公司已向国家药监局递交正式的上市申请，目前，上市审评工作正在有序推进，药品研制、生产现场以及临床研制现场核查已完成，药品注册检验工作已完成。

从已有的临床研究结果来看，SY-707 在晚期 ALK 阳性 NSCLC 治疗中体现出具有相当竞争力的疗效水平，安全性和耐受性表现同样优异。相比同类药物，SY-707 未出现新发的严重不良反应，在眼部疾病、神经系统疾病、皮肤及皮下组织疾病、代谢及营养疾病、心脏疾病等方面相关不良反应发生率整体低于同类药物。

ALK 与众多受体酪氨酸激酶（RTKs）共享信号传导途径，异常激活后引起细胞向恶性转化并无序增殖。ALK 中存在许多不同的基因组变异，包括 ALK 基因融合、扩增和点突变等，点突变主要发生在 ALK 酪氨酸激酶区。研究药物绝大部分都是针对 ALK 的基因融合，最常见的融合是 EML4-ALK。ALK 融合与数十种肿瘤的发生、发展密切相关，目前研究进展较快的是非小细胞肺癌（NSCLC）领域。ALK 融合是 NSCLC 的重要治疗靶点，相比于 EGFR 经典突变，ALK 阳性（多表现为 ALK 重排）在晚期 NSCLC 中的发生率相对较低，研究显示，约 5%-7%的非小细胞肺癌患者体内肿瘤染色体 EML4 基因外显子与 ALK 基因外显子融合，形成 EML4-ALK 融合酪氨酸激酶，EML4-ALK 融合变异体具有高度的致癌性。ALK 融合基因突变常见于年轻、不吸烟或轻度吸烟、其他致癌基因驱动突变阴性的肺腺癌。由于 ALK 融合基因突变发生率相对较低，且传统化疗方案对 ALK 阳性 NSCLC 患者的疗效并不理想，使用相应的靶向药可以获得更好的疗效和更长的生存期，因此 ALK 融合基因突变又被称为“钻石突变”。随着 ALK 抑制剂的研究越来越成熟，ALK 阳性晚期 NSCLC 正在逐步实现“慢病化”。第一、二、三代 ALK-TKI 相继上市，极大地延长了 ALK 融合晚期 NSCLC 患者的总生存期。目前，ALK 小分子靶向抑制剂已作为一线治疗方案写入中国临床肿瘤学会（CSCO）以及美国国立综合癌症网络（NCCN）制定的治疗指南。

中国 ALK 抑制剂市场具有较大的市场需求和发展潜力。由于 2021 年之前进入医保的 ALK 抑制剂均为进口产品，医保降价前相对价格较高，且进入医保时间相对较晚，因此 ALK 抑制剂整体市场销售放量较晚，近年来增长迅速。随着相关靶向药物的陆续推出及普及，预计到 2030 年 ALK 抑制剂市场规模将超过百亿水平，市场空间广阔。

不同 ALK 抑制剂在临床试验中表现出的常见不良反应情况存在差异，对于其中一种或多种 ALK 抑制剂不耐受的患者需要其他的用药选择。因此，不同二代 ALK 抑制剂间存在一定的互补

关系，临床实践中需要多种 ALK 抑制剂以满足患者用药需求。另一方面，由于 ALK 阳性晚期 NSCLC 患者耐药原因及对药物的敏感性、耐受性不同，以及不同 ALK 抑制剂的作用效果及产生的不良反应存在差异，不同二代 ALK 抑制剂之间均存在各自的市场机会。

（2）SY-707 联合特瑞普利单抗和吉西他滨，适应症为晚期胰腺癌

临床前研究显示，SY-707 在胰腺癌等多种肿瘤细胞中能够有效抑制 FAK 蛋白的激酶活性，阻断肿瘤细胞中 FAK 相关信号通路的传导。在动物肿瘤模型中，SY-707 联合 PD-1 抗体和吉西他滨能够有效地抑制胰腺癌肿瘤的生长，改善荷瘤小鼠的生存状态，显示了治疗晚期胰腺癌的潜力。2021 年 10 月，国家药监局下发药物临床试验批准通知书，同意公司进行评价 SY-707 联合特瑞普利单抗注射液和吉西他滨在转移性胰腺癌及其他晚期实体瘤患者中的安全性、耐受性、药代动力学和有效性的 Ib/II 期研究。截至目前，该试验已完成 I 期剂量递增研究，目前处于剂量拓展阶段，受试者持续入组中。

2.SY-3505

SY-3505 是首个进入临床阶段、也是目前临床进展最快的完全国产第三代 ALK 抑制剂，具有完全知识产权和全新结构，主要用于治疗晚期 ALK 阳性 NSCLC。截至本报告披露日，公司在全国范围内几十家研究中心，全力加速推动 SY-3505 两个注册性试验，分别为：（1）在二代 ALK-TKI 治疗失败的 ALK 阳性 NSCLC 患者中的关键 II 期临床研究，目前受试者入组工作接近尾声；以及（2）在初治 ALK 阳性 NSCLC 患者中对比克唑替尼的关键 III 期临床研究，入组进度符合公司预期，预计 2025 年完成全部受试者入组工作。

作为三代药物，SY-3505 有望为我国 ALK 阳性晚期 NSCLC 患者在一线和多线治疗领域提供新的用药选择。①二线及二线上治疗领域，随着二代 ALK 抑制剂渗透率提高，ALK 阳性 NSCLC 存量患者人数持续增加，耐药后的治疗需求也在不断增加。据查询，目前全球仅有一款三代 ALK 抑制剂获批上市，我国 ALK 抑制剂耐药的 ALK 阳性非小细胞肺癌患者（尤其是二代 ALK 抑制剂耐药患者）存在巨大的未被满足的临床需求。SY-3505 对于野生型 ALK 激酶和一代/二代 ALK 抑制剂关键耐药突变体（如 F1174L、L1196M、G1202R、G1269S、R1275Q 等）均具有较强抑制作用，能够阻断其信号传导通路，最终实现有效抑制 ALK 阳性肿瘤生长的效果。2024 年 1 月，SY-3505 的临床 I/II 期研究结果在国际知名肿瘤学期刊《胸部肿瘤学杂志》（Journal of Thoracic Oncology, IF20.4）发表：接受 II 期推荐剂量（600mg，QD）治疗的患者共计 88 例，在 80 例疗效可评估的患者中，经研究者评估的 ORR 为 47.5%，中位 PFS 为 7.95 个月。安全性方面，14.8% 的患者发生了 ≥ 3 级治疗相关不良反应（TRAE），常见的 ≥ 3 级 TRAE 为腹泻、 γ -谷氨酰转氨酶升高、高血糖症、贫血和天冬氨酸转氨酶升高。从该研究结果可以看出，作为国内首个进入临床研究，也是目前进度最快的国产第三代 ALK-TKI，SY-3505 在经过二代 ALK-TKI 治疗的 ALK 阳性非小细胞肺癌（NSCLC）患者中表现出了显著而持久的治疗效果，安全性优势明显，与同类竞品相比具有独特的竞争力。②一线治疗领域，目前初治的 ALK 阳性 NSCLC 患者的一线用药选择多样，包括一代药物、二代药物和三代药物。二代药物和三代药物疗效明显优于一代药物，未来一线用药的主要竞争将会集中在二代和三代药物之间。作为三代药物，SY-3505 在疗效、安全性方

面均具有独特的竞争力，作为一线用药的注册临床试验也于报告期内启动，目前进度亦处于国内领先水平，未来有望为初治患者带来更新更好的治疗选择。

其他适应症的探索。由于 LTK 与 ALK 在激酶域氨基酸序列上具有高达 80% 的同源性，在蛋白结合预测上，SY-3505 与二者结合的氨基酸残基同源性接近 100%，提示利用 SY-3505 临床治疗 LTK 融合肿瘤病人的潜在可能性。临床前研究发现，SY-3505 对 LTK 蛋白激酶具有非常强的抑制活性（IC₅₀ 为纳摩尔级别），对 CLIP1-LTK 融合阳性的肿瘤细胞具有显著的生长抑制作用，在动物体内也显示了对 LTK 阳性肿瘤的强效抑制活性。目前，全球尚无特异性靶向 LTK 融合蛋白的药物上市或处于临床试验阶段。公司于 2023 年 4 月收到国家药品监督管理局核准签发的《药物临床试验批准通知书》，目前，针对 LTK 基因融合阳性晚期实体瘤患者中的 Ib 期多中心、开放性、剂量递增及扩展研究已在全国多家研究中心启动进行。

3.SY-5007

SY-5007 为公司自主研发的高选择性小分子 RET 酪氨酸激酶抑制剂，是首个进入临床研究，也是目前临床进展最快的完全国产的选择性 RET 抑制剂之一。

本报告期内，SY-5007 的临床研究取得关键性进展如下：

①**关键性注册 II 期临床试验：**基于 NMPA 下发的临床批件要求及单臂试验设计的批复，2023 年 2 月，公司快速启动了本产品的关键性临床 II 期试验（NCT05278364）。本报告期内，II 期单臂临床试验已达到方案中预设的主要分析节点（最后 1 例受试者入组给药至少 6 个月时）；数据显示，SY-5007 在 RET 阳性 NSCLC（初治和经治）患者中，主要疗效指标（经 IRC 评估的 ORR）超过预设值，试验的主要研究终点达到。与进口的同类产品疗效相当且安全性良好可控。

②**关键性注册 III 期临床试验：**2023 年 7 月，公司 SY-5007 确证性 III 期临床试验（CTR20232014）取得组长单位上海市肺科医院伦理批件，本试验正式启动，截至目前已完成全部受试者入组，目前在随访过程中，待达到方案预设的主要分析节点后，公司将就临床试验结果与 CDE 进行沟通交流，并预计 2025 年向国家药监局递交本产品的上市申请。

RET 基因位于 10 号染色体的长臂上，编码 RET 蛋白，属于受体酪氨酸激酶，在正常神经元、交感神经和副交感神经节、甲状腺 C 细胞、肾上腺髓细胞、睾丸生殖细胞都有表达。RET 蛋白活化后会激活下游的信号通路（包含 RAS、ERK、PI3K、AKT 等），导致细胞增殖、迁移和分化。RET 基因异常可表现为融合和突变两种重要方式，在多种肿瘤中都有发生，但在不同的肿瘤中，RET 突变或融合的发生率不同。1%-2% 的非小细胞肺癌患者发生 RET 基因融合，50% 的散发的 MTC（甲状腺髓样癌）和几乎全部的家族性 MTC 患者发生 RET 基因点突变，10%-20% 的 PTC（甲状腺乳头状癌）患者发生 RET 基因融合。此外，在结直肠癌、乳腺癌、胰腺癌和其他癌症中也观察到 RET 基因突变，在发生耐药的 EGFR 突变非小细胞肺癌患者中也观察到 RET 融合。

在我国，RET 融合阳性非小细胞肺癌患者每年新增 1-2 万人，确诊时大多已处于疾病晚期，且基础化疗方案对此类患者疗效有限，而且疗效持续时间短，免疫疗法对该类患者也不敏感。同时接近 50% 的 RET 阳性非小细胞肺癌患者最终会发生脑部转移，而脑部转移患者 1 年的生存率不足 20%。已有数据显示，相比于非选择性抑制剂，选择性 RET 抑制剂能够更加有效抑制 RET 的

激酶活性，阻断其下游的信号传导，破坏肿瘤细胞的多种生理功能，抑制一系列 RET 阳性肿瘤细胞（不同的 RET 融合形式、不同的突变形式）的生长，从而更能使 RET 基因异常的 NSCLC 等实体瘤患者显著获益，同时降低毒副作用的发生，提高患者的耐受性，其诊疗价值和商业潜力较为可观。经查询，截至本报告披露日，除两款进口同类药物获批上市外，尚无国产的高选择性 RET 抑制剂获批上市，国内 RET 阳性非小细胞肺癌等实体瘤患者存在较大的未被满足的临床需求。

2024 年美国临床肿瘤学会（ASCO）年会上，SY-5007 在非小细胞肺癌中的关键临床 II 期的初步研究结果以壁报的形式展示：截至 2024 年 1 月 16 日，共入组 105 例 RET 融合阳性非小细胞肺癌患者，其中 56 例为初治患者，49 例为既往接受过铂类化疗或免疫疗法等系统性治疗的经治患者，所有患者的中位随访时间为 4.57 个月（95%CI0.2-10.3）。盲态独立中心评估（BICR）的所有患者总体客观缓解率（ORR）为 77.1%（95%CI67.9-84.8），其中，初治患者的 ORR 为 82.1%（95%CI69.6-91.1），经治患者的 ORR 为 71.4%（95%CI56.7-83.4）。对于基线具有颅内可测量靶病灶的患者，经研究者评估的颅内 ORR 为 80.0%（95%CI44.4-97.5）。患者的中位缓解持续时间（DoR）、中位无进展生存期（PFS）和总生存期（OS）尚未达到。

在安全性和耐受性方面，96.2%的患者发生了治疗相关不良事件（TRAE），42.9%的患者发生了≥3 级 TRAE。最常见的 TRAE 包括天冬氨酸氨基转移酶升高（57.1%）、丙氨酸氨基转移酶升高（56.2%）、腹泻（55.2%）和高血压（41.9%）等。最常见的≥3 级 TRAE 为高血压（15.2%）、丙氨酸氨基转移酶升高（5.7%）和中性粒细胞计数减少（5.7%）等。不良反应发生情况在临床可耐受范围内，大部分高级别不良反应可通过剂量调整、安全性监测和必要的对症处理进行控制；TRAE 导致的剂量中断和降低发生比例分别为 39.0%和 23.8%。1.9%的患者因 TRAE 永久停药，没有治疗相关死亡发生。

从该研究结果可以看出，SY-5007 在 RET 融合阳性非小细胞肺癌（包括初治和经治）患者中均表现出了显著而持久的治疗效果，同时具备良好的安全性和耐受性，有望为该类患者带来更优、更新的治疗选择，并显著提高患者的用药可及性。

其他适应症的探索。SY-5007 在 RET 阳性甲状腺癌（TC）患者中同样体现出良好的临床活性与耐受性，公司后续也将在积累一定的数据后，与 CDE 沟通申请开展针对甲状腺癌的关键临床试验设计，不断扩大 SY-5007 的适应症人群。

4.SY-5933

SY-5933 是公司自主研发的一款高活性、高选择性 KRAS（G12C）小分子抑制剂，具有完全知识产权和全新化合物结构。2023 年 4 月，公司收到 NMPA 核准签发的《药物临床试验批准通知书》，SY-5933 片针对 KRAS（G12C）阳性突变的晚期实体瘤临床试验申请获得批准；6 月，取得上海市肺科医院伦理批件，评价 SY-5933 在携带 KRAS（G12C）突变晚期实体瘤受试者中的安全性、耐受性、药代动力学特征和初步疗效的 I 期临床试验正式启动，8 月，首例受试者入组。报告期内，SY-5933 临床 I 期研究完成，在复发/难治性 KRAS（G12C）突变的肿瘤患者中进行了剂量爬坡和剂量拓展试验。结果显示，SY-5933 在患者体内具有良好的药代动力学参数，在多种 KRAS（G12C）突变的肿瘤患者（非小细胞肺癌、胰腺癌、结直肠癌等）体内均表现出了显著的抗肿瘤

活性，而且患者耐受性良好。

RAS (ratsarcoma) 基因是最早被发现的一种重要的致癌基因，其突变存在于约 30% 的人类肿瘤中，是人类肿瘤最常见的致癌基因突变。在 RAS 家族中，KRAS 是 RAS 的 3 个亚型之一，且相比于其他 2 种 RAS 亚型更易出现突变，在实体瘤中尤为常见，数十年来 KRAS 一直是精准治疗努力攻克的靶点，包括靶向 KRAS 蛋白本身、或其翻译后修饰、膜定位、蛋白质-蛋白质相互作用及 RAS 下游信号通路。KRAS (G12C) 突变指 KRAS 蛋白序列的第 12 个氨基酸，从正常的甘氨酸（代号为 G）突变为半胱氨酸（代号为 C），导致其基因功能完全失控，细胞癌变。据研究统计，在中国人群中，KRAS (G12C) 突变发生在约 4.3% 的肺癌，约 2.5% 的结直肠癌患者以及约 2.3% 的胆管癌患者中。根据弗若斯特沙利文分析，自 2016 至 2020 年，中国主要 KRAS (G12C) 突变癌种的发病人数从 3.8 万人增长至 4.3 万人，并预计于 2025 年达到 5.1 万人。靶向 KRAS G12C 抑制剂可以通过抑制核苷酸交换的重新激活，将癌蛋白捕获在非活性状态，达到显著抑制肿瘤的效果。

药物联用的探索。相关研究亦表明，FAK 抑制可作为克服对化疗、放疗、靶向治疗或者免疫抑制治疗耐药的潜在策略；在 SY-5933 与其它药物联合用药的探索与验证研究中，公司发现 SY-5933 联用 FAK 抑制剂 SY-707 可以协同抑制 KRAS (G12C) 突变肿瘤细胞的增殖生长，诱导细胞周期运行发生阻滞，促进更多的细胞发生凋亡。在利用人源 KRAS (G12C) 突变的非小细胞肺癌、胰腺癌和结直肠癌细胞系构建的小鼠异种移植瘤模型中，SY-707 增强了 SY-5933 对肿瘤生长的抑制作用，且耐受性良好。细胞水平和动物体内水平的研究结果为在临床试验中开展两者的联合用药提供了详实而有力的证据支持。SY-707 和 SY-5933 良好的药代动力学参数、安全性和治疗窗口亦为联合用药奠定了基础。

联合用药是克服靶向药物治疗耐药、提高抗肿瘤疗效的有效手段，KRAS (G12C) 抑制剂 SY-5933 与 FAK 抑制剂 SY-707 的联合用药有望提高 SY-5933 的临床疗效，为 KRAS (G12C) 突变的肿瘤患者带来临床获益更多的治疗方案。截至本报告披露日，公司已经收到中国医学科学院肿瘤医院伦理委员会出具的审批报告，该院伦理委员会同意了“一项评价 SY-5933 片联合 CT-707 片在携带 KRAS (G12C) 突变的晚期实体瘤受试者中安全性、耐受性、药代动力学特征和初步疗效的 I b/II 期研究”的审批申请；公司将据此严格按照药物监管部门要求，遵循药物临床试验质量管理规范，在多家研究中心、多种 KRAS (G12C) 突变的患者中开展这两款候选药物的联合用药临床试验，探索合适的用药剂量并观察二者联用在患者体内的疗效和安全性。

5.SY-4798

SY-4798 是公司自主研发的高选择性、高活性、不可逆的小分子 FGFR4 抑制剂，拟用于治疗肝细胞癌 (HCC)、胆管癌等消化道肿瘤。

在全球范围内，约 48.5% 的肝癌新发病例发生在中国。原发性肝癌是我国发病率排名第 4 位、致死率排名第 2 位的恶性肿瘤，其中 85%-90% 为肝细胞癌 (HCC)，是严重威胁国民生命健康的癌种。根据国家癌症中心最新发布的《2024 年全国癌症报告》，2022 年我国每年新增肝癌患者约 36.77 万人，且很多患者在初诊时就已是中晚期。近年来，晚期肝细胞癌的治疗药物发展迅速，生

存期显著延长。与泛 FGFR 抑制剂相比，高选择性 FGFR4 抑制剂可以更显著减少由于脱靶效应而导致的不良事件，但国内尚无高选择性 FGFR4 抑制剂获批上市，精准靶向治疗方面尚需突破。已有的临床数据显示，SY-4798 的耐受性优良，单药在受试者体内也体现出一定的疗效。未来，公司会积极探索多种联合用药的潜力，采取差异化的注册路径。

6.SY-4835

SY-4835 是由公司完全自主研发的高活性的 WEE1 抑制剂，具有新颖的化学分子结构，目前处于 I 期临床试验阶段。临床前研究结果表明，SY-4835 对多种肿瘤均有显著抑制活性，抗癌谱广泛，其潜在适应症包括胰腺癌、卵巢癌、乳腺癌等多种实体瘤和 AML 等血液肿瘤。截至目前，全球范围内尚未有同类抑制剂药物获批上市，SY-4835 是目前临床试验进度处于第一梯队的国产 WEE1 抑制剂药物。后续，公司也会积极探索多种联合用药和适应症的研究，采取差异化的注册路径。

2.2 主要经营模式

1.研发模式

(1) 自主研发

公司主要从事 1 类创新药的研发，可分为以下研究阶段：药物发现、规范化的临床前研究、临床试验申请（IND）、临床试验、新药上市申请（NDA）及上市后研究：

新药研发阶段	公司研发模式
药物发现阶段	在药物发现阶段，公司研发团队通过基于基因编辑技术与蛋白质表达调控技术的靶点生物学研究平台，对潜在靶点进行蛋白质、细胞和动物层面的功能验证，在充分证明靶点有效性之后运用计算机辅助药物设计及先导化合物优化技术开展药物分子设计及结构优化，得到候选药物分子。获得候选药物分子后，运用药物综合筛选与评价技术从不同层面综合评价化合物分子性能，最终得到潜在性能优异的候选药物分子，进入规范化的临床前研究。
规范化的临床前研究阶段	规范化的临床前研究阶段的研究内容主要包括：系统的药理学/药效学、药代动力学、毒理学研究及规范化的药学研究，利用各种模式动物进行候选药物分子的体内药理、毒理学及药代动力学研究，明确候选药物分子在动物体内的安全性及有效性，并进行合成工艺开发、制剂处方工艺开发、质量研究及中试放大研究。当候选药物经过充分的临床前综合评价，成药性得到充分验证后，公司将就候选药物提交临床试验申请，待批准后进入临床研究阶段。
临床试验申请（IND）阶段	按照药监部门的要求完成IND申请资料的准备，并提交新药进入临床试验研究阶段的申请。
临床试验阶段	I 期临床试验主要目的是研究药物的安全性、耐受性、药代动力学特征和初步的疗效，为后期研究给药方案的设计提供数据支持；II 期临床试验主要是探索性的研究，

	如给药剂量探索、给药方案探索、瘤种有效性探索等，同时也在扩大的人群中观察安全性；III期临床试验则在II期基础上进一步确证患者临床获益情况（包括疗效和安全性），为获得上市许可提供足够证据。 公司作为申办者，负责发起临床试验并对临床试验进行管理和监查，同时为整个临床试验提供财务支持。具体工作包括设计临床试验方案、选择合适的研究者和研究中心、提供药物的详细研究资料并进行定期更新、提供并管理临床试验用药品、提供营运资金、将部分临床试验工作委托给合同研究组织、与药物监督管理部门进行沟通等。同时按照法规严格保护受试者权益，建立完善的临床试验质量管理体系，保证临床试验结果真实、可靠。
新药上市申请（NDA）阶段	在完成临床试验后，如果试验结果符合预期，药物的安全性、有效性得到确证，同时药物的GMP生产条件已经满足，医药企业可以向药品监管部门提交药物上市申请。新药上市申请获得药监部门批准后，新药即可上市销售。
上市后研究阶段	即IV期临床试验，主要目的是确定长期的安全性和有效性。可以在更长的时间和更大患者群体中对药物安全性进行进一步的监测和评估；药监部门根据该阶段的监测结果，相应要求公司修订药品使用说明书。

（2）合作研发

凭借优秀的临床前研发实力，公司与正大天晴、石药集团等签订了多个创新药研发项目的合作协议，基于已搭建的技术研发平台，公司开展了多个抗肿瘤一类新药、治疗II型糖尿病一类新药和治疗NASH一类新药的研发项目。其中涉及的靶点涵盖蛋白激酶、表观遗传学调控因子、肿瘤代谢调控蛋白、GPCR、免疫调控因子等多种类型。公司在与正大天晴、石药集团的业务合作中承担了靶点验证与确认、药物分子设计与优化、生物学筛选及药效学和药理学研究、药代动力学研究、初步的毒理研究、合成工艺研究等关键研发环节，覆盖流程包括从立项调研到最终确定候选化合物，而由合作方承担GLP毒理及临床试验等研发环节。

截至本报告期末，已有超过十个合作项目的产品获得了临床批件，其中依奉阿克胶囊（CT-1139/TQ-B3139，商品名：安洛晴®）已于本报告期内获批上市，罗伐替替尼（CT-1995/TQ05105）用于治疗中高危骨髓纤维化（MF）的上市申请已获国家药监局（NMPA）受理，拟用于治疗慢性移植物抗宿主病（cGVHD）的II期临床试验申请（IND）于2025年1月获得美国食品药品监督管理局（FDA）批准。

合作研发模式下，公司与对方共同拥有合同项下的专利权、著作权等知识产权，未经一致同意，各方均不得向外部他方许可、转让项目相关的知识产权。在各方一致同意进行外部授权或转让情况下，双方需按一定比例分配取得收益。

2.采购模式

公司目前采购项目主要为临床前试验服务、临床试验服务及研究所需原材料等。公司遵循“公平、公正、平等”的原则，建立并执行了完整规范的采购内控管理制度，在供应商准入审核、变更管理、改进和提升，以及供应商维权方面制定明确和严格的管理措施，监控和管理供应链风险，

确保采购活动在诚信、规范、透明和可持续的前提下进行。

一是，明确采购相关部门及岗位职责，规范采购流程，供应商开发及管理等相关要求，提升采购过程管理效率，降低采购风险；为规范采购人员行为，强化采购流程的廉洁建设，要求全体采购人员签订岗位廉洁从业协议，建立廉洁从业档案，杜绝发生为谋取个人不正当利益而侵害供应商合法权益的行为；并与所有供应商签订《采购价格承诺和廉政协议书》，规定供应商不得向采购人员赠送礼金、有价证券、贵重物品、好处费等，努力实现阳光采购，营造公平公正、合作共赢的合作环境。二是，对确认合格并开始供货的供应商进行供货能力等情况的动态监测评价，激励现有供应商提高供货品质、服务态度等方面的积极性，确保供应商的供应效果，推进与优秀供应商的合作力度。同时，定期对现有供应商从质量、价格、供货情况、资质安环、服务行为等维度开展绩效评估，对存在供应安全、质量缺陷或不诚信等问题的供应商进行淘汰处理，保证持续稳定地为公司提供满意的产品和服务。三是，本报告期开始，公司更加关注供应链管理的合规性和可持续性，将科学伦理、环保和安全等社会责任要素要求融入供应商管理过程中，要求供应商遵守适用的法律法规，推动供应商提高社会责任工作水平。公司明确规定供应商在遵守法律法规、保护环境、社会责任和公司治理方面的要求，并通过供应商自评和现场审核等形式，推动和确认供应商遵照执行。

3.生产模式

报告期内，除一款已上市的对外授权产品外，公司其余产品管线尚未进入商业化阶段，尚未开展商业化生产。

自主研发模式下，公司已完成自主研发产品原料药及制剂的生产工艺验证，目前临床阶段所用药品以委托生产的形式、在公司研发人员的监督指导下由外部 CMO/CDMO 公司在其场地进行生产。公司进展最快的第二代 ALK 抑制剂 SY-707 处于新药上市审评阶段，未来，公司计划采用上市许可人制度（MAH），以委托加工的模式进行 SY-707 商业化产品的生产。公司已与合作方签署了《药品委托生产合同》和《药品委托生产质量协议》等相关协议，并已建立了符合 MAH 要求的质量管理部门。后续其它在研产品亦可基于 MAH 制度，并结合公司产业化基地的建设进度合理选择生产方式。

合作开发模式下，本报告期内新获批上市的依奉阿克胶囊（安洛晴®）由合作方正大天晴负责药品的生产。

4.销售模式

报告期内公司收入主要为合作研发项目收取的里程碑款项，尚无药品销售收入。在发展前期，公司考虑到资金实力及研发成本等，结合在研产品特点及与行业企业研发方向、现有产品布局、合作意向，将部分自主研发项目对外转让或合作研发，公司享受首付款里程碑付款及收益分成。2017 年后，公司未再将在研管线对外转让，致力于开展全流程创新药的研发工作。

公司目前处于第一梯队的核心候选药物 SY-707、SY-3505 和 SY-5007，这三款产品靶点不同，但均在非小细胞肺癌这一适应症上重点布局，后续在商业化阶段具有协同优势。公司计划自建一支高效、精干的销售团队，立足北京，重点覆盖国内核心城市和市场；同时，为快速实现新药市

场渗透，将针对广阔市场与拥有成熟专业推广能力的制药企业或合同销售企业（CSO）进行合作，委托其负责或协助特定产品或区域的市场推广工作，实现“多条腿走路”。此外，公司已在全国范围内启动上百家临床研究中心，与各大肿瘤医院和专科医生建立了专业的合作关系，为后续的商业化推广打下了坚实的基础。

销售策略方面，产品上市前公司会做好充分的市场调研，充分了解市场上竞争对手的情况，同时根据核心产品的临床优势，制定差异化市场竞争策略。公司拥有卓越的成本控制能力和研发效率，届时将会根据中国市场的特点及竞争产品的价格，结合患者可及性、支付手段、医保合作等生态领域合作，制定出具有竞争力的价格策略。公司将明确清晰的目标医院与目标科室，制定与之匹配的学术推广活动，提高推广活动的有效性，并严守合规底线。此外，在药品获批上市销售后，公司将争取尽快将产品纳入医保体系，以满足更多患者的临床需求并减轻患者经济负担。团队组建方面，公司将对拟定人员的教育背景、从业领域、行业经验、既往业绩、人品口碑等提出较高要求，进行严格筛选；核心运营管理人员须具备丰富的药品商业化及推广经验。根据产品上市的时间表，公司将确保在产品上市销售前，完成销售团队的组织架构建立，所有人员到位并完成相关培训，同时推进相关团队管理系统和考核系统的搭建运行，为产品销售做好充分准备。为更好地激励团队，公司将明确目标，制定评估机制、激励方案及人员发展计划。

2.3 所处行业情况

(1). 行业的发展阶段、基本特点、主要技术门槛

公司秉承“要么第一、要么唯一”的创新理念，以原始创新为起点，致力于开发出疗效更好、副作用更低的国产靶向新药，以解决非小细胞肺癌、结直肠癌、胰腺癌、甲状腺癌、卵巢癌等重点肿瘤适应症治疗领域中未被满足的医疗需求，惠及更多的我国患者。根据国家统计局发布的《国民经济行业分类》，公司所属行业为医药制造业（C27）。

作为支撑国民健康体系和经济发展的战略性支柱产业，医药行业呈现出显著的抗周期属性，同时兼具研发投入密集、技术门槛高企、监管体系严格等典型特征。在我国经济稳步增长和居民生活品质持续提升的背景下，叠加人口结构老龄化进程加速，全民健康管理意识持续增强。另一方面，当前行业也面临集采政策常态化、产品同质化竞争加剧、研发成本攀升等多重压力，尤其是在仿制药质量提升与创新药研发转化方面，行业企业持续发展面临转型升级的严峻考验。

1. 从常规广谱治疗转向精准治疗，全球及我国肿瘤药物市场快速扩张

癌症是涉及机体细胞不受控增生和发育的一类疾病，是全球范围内主要死亡原因之一。根据 Globocan、ACS、NCCR、弗若斯特沙利文等的分析，癌症每年导致全球约 1,000 万人死亡。2023 年，全球新增 2,080 万例癌症病例，预计截至 2032 年，将新增 2,550 万例癌症病例。2023 年，全球发病率排名前十的癌症类型分别为肺癌、乳腺癌、结直肠癌、前列腺癌、胃癌、肝癌、甲状腺癌、淋巴癌、宫颈癌、膀胱癌。截至 2023 年，肺癌、结直肠癌及甲状腺癌是我国发病率最高的三大癌症。

致癌是极为复杂的生物学过程，已证实对某些类型的癌症有效的治疗方法对其他类型的癌症

可能无效。由于下游成分过度激活导致信号通路激活等原因，癌细胞还可能对某些治疗方案产生耐药。此外，人口老龄化及不健康的生活方式亦推高了全球癌症的发病率。过往诊疗实践中，癌症经历了从手术、放疗、化疗、肿瘤免疫治疗到靶向疗法（如小分子靶向疗法及抗体疗法）的重大进展。随着癌症治疗手段的发展，对能够改善肿瘤患者缓解持续时间和总生存期的差异化疗法的医疗需求持续增长。

受前述因素影响，全球肿瘤药物市场经历了大幅扩张，预计还将进一步增长。全球肿瘤药物市场从 2019 年的 1,435 亿美元增长至 2023 年的 2,289 亿美元，复合年增长率为 12.4%，预计到 2032 年将进一步增长至 4,868 亿美元，2023 年至 2032 年的复合年增长率为 8.7%。中国的肿瘤药物市场近年也迅速增长。规模从 2019 年的 264 亿美元增长至 2023 年的 341 亿美元，复合年增长率为 6.6%，预计到 2032 年将进一步增长至 914 亿美元，2023 年至 2032 年的复合年增长率为 11.6%。

近年来，肿瘤治疗方式已从常规广谱治疗转向精准治疗，靶向疗法（包括小分子靶向疗法和抗体靶向疗法）及免疫疗法，为肿瘤患者提供更好的预后及更高的生存机会。2023 年，我国靶向疗法药物市场规模为人民币 1,023 亿元，2018-2023 年复合增长率达 41.5%。靶向疗法可进一步分为小分子靶向疗法及抗体靶向疗法。就小分子靶向疗法而言，近期研发趋势集中在提高靶点特异性，同时降低脱靶毒性。PROTAC 等新技术的应用能够针对“不可成药性”提供解决方案。就抗体靶向疗法而言，越来越多的 ADC 在治疗各种癌症中显示出良好的疗效。双/多特异性 T 细胞接合器亦已被开发用于治疗血液恶性肿瘤。此外，结合多种治疗方式的联合疗法已迅速兴起。联合疗法显示出令人鼓舞的临床优势，有望为患者带来更好的生存获益，并使这些新型联合疗法具有成为新标准治疗的潜力。结合多种治疗方式的联合疗法包括免疫疗法联合 ADC、双重免疫疗法以及免疫疗法联合小分子靶向疗法。相较于单药疗法，结合多种治疗方式的联合疗法可显著提高患者的生存机会，并可能实现肿瘤的部分甚至完全缓解。

当前，公司处于第一梯队的核心候选药物——SY-707、SY-3505 和 SY-5007 均围绕非小细胞肺癌（NSCLC）适应症重点布局。NSCLC 是除小细胞肺癌以外的所有上皮性肺癌，约占肺癌总发病率的 85%。NSCLC 的三种主要子类型为腺癌、鳞状细胞癌和大细胞癌。在异常的组织学变异作用下，任意一种 NSCLC 都有可能发生，并发展为混合细胞型。NSCLC 的亚型可根据驱动基因突变的存在与否进行分类。全球 NSCLC 发病数从 2019 年的 193.76 万人增加至 2023 年的 216.94 万人，预计到 2032 年将进一步增加至 274.32 万人。中国 NSCLC 发病数从 2019 年的 83.02 万人增加至 2023 年的 92.66 万人，预计到 2032 年将进一步增加至 114.54 万人。

中国肺癌的 5 年生存率与美国相当，均为 20% 左右，明显低于其他主要癌症。生存率低主要归因于缺乏早期检测工具和早期诊断数量有限。在中国，大多数 NSCLC 患者被诊断为晚期，约 60% 至 70% 被诊断为 IV 期。对于不可切除的局部晚期 NSCLC 患者，尽管进行了标准化治疗，但预后仍不理想。尽管遵循了这些治疗方案，但许多患者的病程发展迅速，治疗结果不及预期，导致 5 年总生存期仅为 15% 至 25%。低生存率和治疗缺陷突显出对改进治疗方案的迫切需要。

2. 从中央到地方，创新药持续受到政策关注与市场瞩目

本报告期内，创新药持续受到政策关注与市场瞩目。

2024 年国务院《政府工作报告》提出，要加快创新药等产业发展，积极打造生物制造等新增长引擎，同时制定未来产业发展规划，开辟生命科学等新赛道。创新药作为新兴产业的重要组成部分，首次出现在政府工作报告中。2024 年“两会”期间，国家发改委公布《关于 2023 年国民经济和社会发展计划执行情况与 2024 年国民经济和社会发展计划草案的报告》，提出要积极培育发展新兴产业和未来产业，全链条支持创新药发展。6 月，国务院办公厅印发《深化医药卫生体制改革 2024 年重点工作任务》，明确要制定关于全链条支持创新药发展的指导性文件，深化药品领域改革创新，促进新药加快合理应用，深化药品审评审批制度改革，促进完善多层次医疗保障体系，推动商业健康保险产品扩大创新药支付范围。7 月，国务院常务会议审议通过《全链条支持创新药发展实施方案》，更是为创新药市场注入一针强心剂。方案明确提供各项支持，从早期的投融资、研发、药品审评审批，到药品上市后的定价、入院，再到支付端的商业保险、医保支付等，打通创新药产业中的各个环节，解决核心痛点问题。党的二十届三中全会通过《中共中央关于进一步全面深化改革推进中国式现代化的决定》，重点提出要深化医药卫生体制改革，健全支持创新药发展机制。早在 2024 年年初，就有 14 个省及直辖市就新版医保目录发布通知，明确定点医疗机构召开药事会的时间，助力解决一直以来“国谈药”入院难的困境。

中央到地方对创新药支持力度不断加大，利好频出。以北京市为例，4 月，北京市政府先后发布《北京市医疗保障局等 9 部门北京市支持创新医药高质量发展若干措施(2024)(征求意见稿)》和《北京市支持创新医药高质量发展若干措施（2024 年）》的通知，从药械审评审批、医药贸易便利化、创新医药临床应用和支付渠道、医疗健康数据、创新医药企业投融资支持、保障措施等多个方面实现了制度创新对创新药研发全链条的覆盖；5 月，北京市政府发布《北京市加快医药健康协同创新行动计划（2024-2026 年）》中明确，预计到 2026 年，北京市医药健康产业总规模达到 1.25 万亿元（其中，医药工业营业收入达到 2,400 亿元）。该计划设定了每年固定资产投资超过 100 亿元的目标，并预期新增获批上市创新药 10 个；此外，《计划》中还涉及创新药纳入医保药品目录的相关措施。针对细胞基因治疗等创新性强、临床急需的创新药，鼓励商业保险公司开发保险产品，与基本医疗保险形成互补；8 月，北京再度发力，发布了《北京市关于进一步优化创新药全流程服务的工作方案》，其内容补充细化了 5 月发布的《计划》，旨在进一步加快北京的创新药上市应用，提升自主创新能力，强化资源要素配置，围绕创新药研发、临床试验、注册上市、生产落地、入院应用等关键环节，加强全流程服务，助力北京医药健康产业高质量发展。在国家大力推进现代化产业体系建设，加快发展新质生产力的大环境下，以创新药和生命科学等为代表的生物医药产业，有望迎来新的发展战略机遇。

3.从靶点识别到临床验证，小分子抗癌药研发的技术壁垒重重

在肿瘤治疗领域，小分子靶向药物的研发代表着精准医学的核心突破方向。其技术路径涉及多学科交叉融合，旨在共同突破靶点发现、化合物优化及临床转化三大科学瓶颈，由此构筑起行业的核心竞争壁垒。

（1）靶点发现是药物研发的原始创新起点。当前研究面临两大核心挑战：一是，肿瘤基因组的高度异质性导致有效靶点的稀缺性，已知靶点仅能覆盖部分患者群体；二是，肿瘤微环境中代

偿通路的激活机制，显著降低单一靶向治疗的长期有效性。行业通过整合单细胞测序、空间转录组学与计算生物学技术，构建动态靶点评估体系，重点提升对低频突变及表观遗传调控靶点的识别能力，但后续仍需通过类器官模型、动物模型等多维度平台验证靶点的成药价值。

(2) 小分子药物的开发需在分子结构层面实现多重属性的精密平衡。包括靶标结合特异性、细胞膜穿透效率、代谢稳定性及毒性控制等关键参数。为突破传统试错式研究的局限性，计算机辅助药物设计与人工智能预测平台已成为行业标准工具，通过分子动力学模拟等技术预测化合物构效关系，然而体外活性向体内药效的转化仍存在显著鸿沟，约九成先导化合物因药代动力学缺陷或毒副反应未能进入临床研究。

(3) 临床转化阶段面临更具不确定性的科学挑战。耐药性演变、脱靶效应、生物标志物选择偏差构成临床试验主要失败诱因；篮子试验设计、液体活检技术等系列创新方法已逐步提升开发效率，但需配套建立药效评估模型与风险预警系统。且核心技术的突破依赖持续的基础研究投入与跨学科人才储备，从靶点机制阐明到临床方案设计的每个环节，均需构建自主技术平台与知识体系。

4. “从 0 到 1”，中国在全球创新药研发领域的地位不断提升

随着新兴市场经济的发展及科研、教育水平的提高，新兴市场国家已成为全球创新药市场发展的重要推动力之一。我国作为新兴市场中最活跃的代表，已成为全球仅次于美国的第二大药品市场，在全球创新药研发领域的地位不断提升，全球企业与本土药企之间通过对外许可交易进行的合作日益增加。2024 年，中国制药企业进行了数十项跨境对外许可交易，交易总金额超过 400 亿美元。围绕创新药物资产的交易（包括对外许可、并购交易）日益增多，彰显出我国正从仿制药大国向创新药强国加速迈进。基于中国庞大的人口基数、丰富的物质原料、深厚的创新药人才基础，在独特的中国社会主义制度下、在人口老龄化的大背景下，经济富裕起来的人们对生命至上的追求，中国的创新药必将在世界创新药的版图上占据一席之地。

(2). 公司所处的行业地位分析及其变化情况

公司自 2010 年起从事小分子创新药的研发，在小分子创新药领域深耕十余年，依靠扎实的研发实力，致力于发现具有迫切临床需求的创新药物，截至目前，已拥有多款在国内外具备充分差异化水平和前沿创新性的候选药物管线：

SY-3505 是由公司自主研发的正在进行关键性 II/III 期临床试验的完全国产三代 ALK 抑制剂，目前全球仅有一款三代 ALK 抑制剂获批，SY-3505 是首个进入临床阶段、也是目前临床进展最快的完全国产第三代 ALK 抑制剂，在国内三代 ALK 抑制剂药物临床研究领域处于前沿水平；SY-5007 是由公司自主研发的完全国产高选择性 RET 抑制剂，是针对 RET 靶点首个进入临床阶段的完全国产创新药物，也是目前临床进展最快的完全国产选择性 RET 抑制剂之一。SY-5933 作为一款针对 KRAS (G12C) 突变蛋白的高活性小分子选择性抑制剂，拟用于治疗非小细胞肺癌、胰腺癌和结直肠癌等多种肿瘤，临床前数据优异，有望通过单药或者与其他靶向药物联用在一些疗效需要提高的适应症上有所突破。SY-4798 是公司自主研发的高选择性、高活性、不可逆的小分

子 FGFR4 抑制剂，拟用于治疗肝细胞癌（HCC）、胆管癌等消化道肿瘤。SY-4835 是由公司自主研发的，正在进行 I 期临床的 WEE1 抑制剂，经查询，全球范围内尚未有同类抑制剂获批上市，SY-4835 是国产 WEE1 抑制剂临床进度第一梯队产品在研产品。

同时，公司是国内首个同时拥有二代、三代 ALK 激酶抑制剂的创新药企，第四代 ALK 亦已确定候选化合物、目前正在推进 GLP 毒理试验；因此，公司是全球首个覆盖 ALK 阳性非小细胞肺癌全流程管理的企业，未来有望实现 ALK 阳性非小细胞肺癌患者全流程用药管理。在非小细胞肺癌这一大病种治疗领域，公司靶点覆盖面广泛，包括 ALK、RET、LTK、KRAS（G12C）等；此外，早期探索性研究显示公司部分候选药物之间也具有明显的协同效应，有望通过联合用药，在当前竞品单药疗效尚存在明显提升空间的适应症上有所突破。

（3）. 报告期内新技术、新产业、新业态、新模式的发展情况和未来发展趋势

近年来，抗肿瘤小分子靶向药物领域在技术迭代与政策引导下持续突破，为肿瘤治疗范式革新注入强劲动力。行业在靶点开发、耐药性破解及精准化治疗等方向取得显著进展，逐步构建起多维度创新生态：

一是，技术突破的核心方向。在药物研发前端，人工智能技术正深度重构传统流程。基于生成对抗网络的分子设计平台，可高效模拟药物—靶点相互作用，快速筛选出兼具高选择性与低毒性的候选分子。深度学习算法不仅加速了化合物库的虚拟筛选，亦可通过模拟临床试验患者分群，优化研究方案设计，有效降低开发风险。二是，针对肿瘤信号通路的复杂性，多靶点抑制策略日益成熟。通过同时干预多个关键致癌节点，此类药物显著降低了肿瘤细胞的适应性逃逸；蛋白降解靶向嵌合技术（PROTAC）的临床转化取得实质性进展，其独特的“泛素标记-蛋白酶体降解”机制能够为传统难以成药的靶点提供全新解决方案。目前，数款基于该技术的小分子药物已进入中后期临床研究阶段。三是，在应对耐药性挑战方面，联合治疗策略展现出独特价值。通过表观遗传调节剂与靶向药物的协同使用，可重塑肿瘤微环境中的信号传导网络。动态监测技术的整合进一步提升了治疗精准度，液体活检与单细胞测序的结合应用，使临床团队能够实时追踪肿瘤异质性演变，及时调整治疗方案。四是，精准化诊疗体系升级。伴随诊断技术的革新正在重塑临床实践。基于循环肿瘤 DNA 和外泌体 RNA 等新型检测方法，实现了对 EGFR、ALK 等驱动基因突变的灵敏捕获。单细胞测序技术的普及，则使罕见突变亚群的识别成为可能，为开发针对“长尾患者”的创新药物提供了分子基础。五是，政策与市场双轮驱动。国内创新药审评体系的优化显著加速了药物上市进程，“同类首创”药物的优先审评通道与动态医保准入机制，形成了从研发到商业化的正向循环。与此同时，我国本土药企通过参与国际多中心临床试验，深度融入全球创新网络，在双抗药物、抗体偶联药物等联合疗法的开发中逐渐掌握话语权。

肿瘤药物市场的持续扩张，本质上源于未被满足的临床需求。随着人口老龄化加剧与诊疗技术提升，癌症检出率的上升推动治疗需求结构化升级。当前市场呈现三大趋势：一是靶向治疗主导地位持续巩固，其通过基因分型指导的个体化用药显著提升了疗效预测精度；二是支持性护理需求快速增长，针对恶病质等并发症的管理方案成为提高患者生存质量的关键；三是联合治疗模

式广泛应用，小分子靶向药物与免疫疗法的协同效应开辟了新的治疗疆域。CDE《2024 年度药品审评报告》亦显示，2024 年内，我国共批准 1 类创新药 48 个，涵盖肿瘤、神经系统疾病、内分泌系统疾病和抗感染等近 20 个治疗领域，其中抗肿瘤药占据显著比重；17 个品种通过优先审评审批程序批准上市；11 个品种附条件批准上市，13 个品种在临床试验期间纳入了突破性治疗药物程序；我国抗肿瘤新药研发呈现“靶点精细化、技术多元化、审评高效化”的特点。国家通过优先审评、突破性治疗认定、国际多中心试验支持等政策，显著缩短了药物上市周期，并推动本土创新融入全球研发体系。

未来，随着 AI 辅助药物设计、真实世界数据应用等技术的融合，抗肿瘤治疗有望进一步向精准化、个体化迈进。在此背景下，行业正朝着更深层次的整合方向发展，抗肿瘤小分子靶向药物有望在疗效突破与可及性提升方面实现双重跨越，最终推动癌症治疗向慢病化管理模式演进。

3、 公司主要会计数据和财务指标

3.1 近 3 年的主要会计数据和财务指标

单位：元 币种：人民币

	2024年	2023年	本年比上年 增减(%)	2022年
总资产	922,228,105.25	1,112,111,011.82	-17.07	1,299,256,035.88
归属于上市公司股东的净资产	809,013,112.94	1,020,952,158.19	-20.76	1,206,523,854.07
营业收入	3,942,025.54	5,229,150.94	-24.61	1,827,200.11
扣除与主营业务无关的业务收入和不具备商业实质的收入后的营业收入	3,942,025.54	5,229,150.94	-24.61	1,826,492.15
归属于上市公司股东的净利润	-211,939,045.25	-185,571,695.88	不适用	-173,816,786.26
归属于上市公司股东的扣除非经常性损益的净利润	-234,963,393.20	-199,363,149.97	不适用	-198,951,040.71
经营活动产生的现金流量净额	-196,766,771.18	-179,565,437.83	不适用	-129,484,299.95
加权平均净资产收益率（%）	-23.16	-16.66	不适用	-18.32
基本每股收益（元 / 股）	-1.43	-1.25	不适用	-1.25
稀释每股收益（元 / 股）	-1.43	-1.25	不适用	-1.25
研发投入占营业收入的比例（%）	5,395.23	3,875.51	增加1519.72个百分点	10,914.97

3.2 报告期分季度的主要会计数据

单位：元 币种：人民币

	第一季度 (1-3 月份)	第二季度 (4-6 月份)	第三季度 (7-9 月份)	第四季度 (10-12 月份)
营业收入		3,800,000.00		142,025.54
归属于上市公司股东的净利润	-53,307,597.39	-49,545,078.33	-57,125,459.15	-51,960,910.38
归属于上市公司股东的扣除非经常性损益后的净利润	-56,834,274.67	-53,059,138.42	-62,165,846.81	-62,904,133.30
经营活动产生的现金流量净额	-45,250,824.29	-51,889,940.44	-47,094,611.37	-52,531,395.08

季度数据与已披露定期报告数据差异说明

☐适用 ☒不适用

4、 股东情况

4.1 普通股股东总数、表决权恢复的优先股股东总数和持有特别表决权股份的股东总数及前 10 名股东情况

单位：股

截至报告期末普通股股东总数(户)						4,102	
年度报告披露日前上一月末的普通股股东总数(户)						4,297	
截至报告期末表决权恢复的优先股股东总数（户）						不适用	
年度报告披露日前上一月末表决权恢复的优先股股东总数（户）						不适用	
截至报告期末持有特别表决权股份的股东总数（户）						不适用	
年度报告披露日前上一月末持有特别表决权股份的股东总数（户）						不适用	
前十名股东持股情况（不含通过转融通出借股份）							
股东名称 （全称）	报告期内 增减	期末持股 数量	比例 (%)	持有有限 售条件股 份数量	质押、标记或冻结 情况		股东 性质
					股份 状态	数量	
李文军		72,953,101	49.05	72,953,101	无		境内自然人
北京亦庄国际投资发展有限公司	-3,434,607	6,254,873	4.21		无		国有法人
中国农业银行股份有限公司一鹏华医药科技股票型证券投资基金		5,407,934	3.64		无		其他

北京双鹭药业股份有限公司		5,263,200	3.54		冻结	1,666,925	境内非国有法人
张静		5,000,000	3.36	5,000,000	无		境内自然人
李明		5,000,000	3.36	5,000,000	无		境内自然人
北京万根线科技发展有限公司（有限合伙）		5,000,000	3.36	5,000,000	无		其他
北京诚则信科技发展有限公司（有限合伙）		5,000,000	3.36	5,000,000	无		其他
乔晓辉		3,982,086	2.68		无		境内自然人
石雯		3,032,483	2.04		无		境内自然人
上述股东关联关系或一致行动的说明			1. 股东李文军、张静构成一致行动关系； 2. 股东李文军、李明均持有万根线、诚则信的财产份额； 3. 股东李明担任前述两个合伙企业的普通合伙人和执行事务合伙人，三方构成一致行动关系； 4. 股东北京双鹭药业股份有限公司、北京双鹭生物技术有限公司构成一致行动关系； 除此之外，公司未接到其他股东存在关联关系或一致行动协议的声明，未知其他股东之间是否存在关联关系或构成一致行动人				
表决权恢复的优先股股东及持股数量的说明			不适用				

存托凭证持有人情况

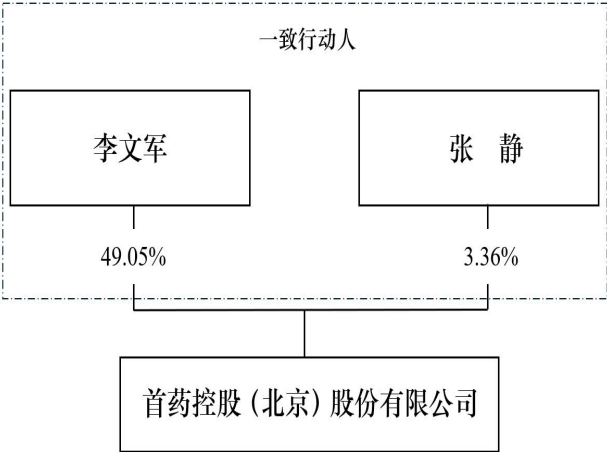
☐适用 ☒不适用

截至报告期末表决权数量前十名股东情况表

☐适用 ☒不适用

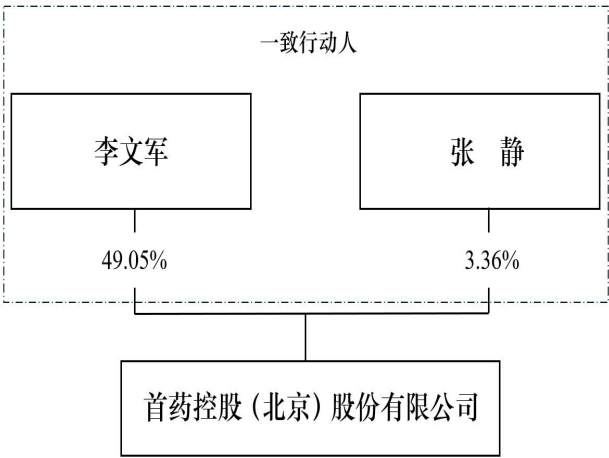
4.2 公司与控股股东之间的产权及控制关系的方框图

☒适用 ☐不适用



4.3 公司与实际控制人之间的产权及控制关系的方框图

√适用 □不适用



4.4 报告期末公司优先股股东总数及前 10 名股东情况

□适用 √不适用

5、 公司债券情况

□适用 √不适用

第三节 重要事项

1、 公司应当根据重要性原则，披露报告期内公司经营情况的重大变化，以及报告期内发生的对公司经营情况有重大影响和预计未来会有重大影响的事项。

公司报告期内研发费用金额为 21,268.14 万元，较 2023 年增加 1,002.50 万元，增长 4.95%。2024 年公司面对创新药物行业政策、人才、技术、资金等竞争要素加速变化的大环境，坚持高质高效做研发的战略定位，全力推进核心管线的注册临床研究，同时继续探索前沿新靶点和具有核心竞争力的前沿化合物，提升全链条自主研发能力，公司多个项目进入临床 II 期和临床 III 期，不断加大研发投入力度，临床试验服务、试验材料等支出进一步增加，导致 2024 年度研发费用同比略有增加。

2、 公司年度报告披露后存在退市风险警示或终止上市情形的，应当披露导致退市风险警示或终止上市情形的原因。

☐适用 ☒不适用