

骨髓增生异常综合征

推荐分会：血液病分会

临床需求	1.患者常表现为贫血、白细胞减少或血小板减少，改善血液学指标，提高血细胞计数，减少输血依赖是临床需求； 2.对于因贫血导致乏力、头晕、出血、发热等症状的患者，改善临床症状、提高生存质量是临床需求； 3.高危患者生存周期短，延长生存时间是临床需求； 4.治疗本病的常用药物具有明显的副作用，避免或减少药物不良反应（如骨髓抑制、消化道不良反应等），降低不良反应发生率，减轻不良反应程度是临床需求； 5.患者存在白血病转化风险，延缓疾病进展，降低白血病转化率是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.改善血液学指标，减少输血依赖； 2.改善临床症状，提高生存质量； 3.延长高危患者生存时间； 4.在维持病情稳定的前提下，减少治疗本病常用的具有明显不良反应化学药物的使用时间、剂量，以提高患者的治疗依从性； 5.延缓疾病进展，降低白血病转化率。
流行病学资料	1.疾病状况：骨髓增生异常综合征（Myelodysplastic syndrome, MDS）是一组起源于造血干细胞的异质性髓系克隆性疾病，是急性白血病的前驱阶段或其癌前阶段，以髓系细胞发育异常、无效造血、难治性血细胞减少、高风险向急性髓系白血病（AML）转化为特征，属于血液系统常见疑难重症。MDS 发病率逐年升高，仅次于淋巴瘤和白血病，80%发病年龄大于 60 岁，70 岁以上检出率达 40~50/10 万，中位发病年龄约 70 岁，中位总生存期（mOS）仅 15~36 个月，2 年 AML 进

	展率约为 30%，中位持续反应时间不足 2 年，最终将近 40% 的患者发展为输血依赖，生活质量严重下降，5 年生存率仅约 37%。MDS 具有难治愈、长期性等特点，现代医学治疗手段相关不良反应严重影响患者生活质量，且诊疗费用支出持续增加，给患者、家庭、社会带来沉重的经济负担。 2.治疗现状：MDS 患者常见与疾病造成的贫血、血小板减少和中性粒细胞减少相关的症状和体征，红细胞生成刺激剂联合或不联合粒细胞集落刺激因子是较低危 MDS 患者的主要治疗选择，但治疗反应率仅 20%~40%，且对我国极其紧缺的血资源带来沉重的压力。去甲基化药物等虽能使部分较高危患者生存获益，但平均生存期不足 2 年，超过 40% 的患者面临着白血病转化风险。而且，这些治疗常给患者带来不同程度的副作用，大大影响生活质量或影响治疗的持续性。且因疗效有限及治疗经费等原因均未能得到临床广泛应用。因此，整体 MDS 患者的疲乏、出血、发热等症状导致的较差生活质量，较低危患者的高输血依赖性、较高危患者的高白血病转化风险和低生存期等问题是 MDS 亟待突破的临床治疗关键需求与重要问题。 中医药在改善疲乏、头晕等症状、提升血细胞水平、减少输血依赖及降低转白率等方面有其独特的疗效特色与优势，中医药或中西医协同治疗的疗效逐渐得到确证，目前亟待有效治疗 MDS 的中药上市。
--	--

纤维肌痛症

推荐分会：风湿病分会

临床需求	1.对于以慢性骨骼肌肉疼痛为主要临床表现的患者，以及普瑞巴林、度洛西汀等化学药物治疗应答不良的患者，缓解疼痛是临床需求； 2.除长期难以缓解的肌肉骨骼疼痛外，患者还伴有睡眠障碍、疲劳、认知功能下降、焦虑、抑郁，甚至模拟心绞痛等症状，严重影响其生活质量，改善生存质量是临床需求； 3.对于病情严重、正在采用化学药物治疗的患者，提高临床疗效、减少药物不良反应是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.缓解弥漫性骨骼肌肉疼痛； 2.改善临床症状，提高生存质量； 3.与化学药物联合应用增加临床疗效，减少治疗本病常用的具有明显副作用的化学药物用量及不良反应。
流行病学资料	1.疾病状况：纤维肌痛症（Fibromyalgia, FM）是一种影响中枢神经系统的慢性疼痛综合征，高居风湿性疾病患病率排行榜第二名，影响着全球 0.7%~9.3%的人口，保守估算我国有 1000 余万患者。“慢性疼痛是致残的”，纤维肌痛症患者除要长期忍受难以缓解的肌肉骨骼疼痛外，还常出现疲劳、失眠、认知功能障碍、躯体功能下降、焦虑、抑郁、肠易激惹，甚至模拟心绞痛等症状，严重影响其生活质量、工作效率和社会功能。罹患本病后，约 50%的患者难以坚持日常工作，超过 20%的患者在患病 10 个月后失业，人均年医疗费用高达 35920 美元，属于典型高社会负担的慢性疾病。 纤维肌痛症患者普遍存在的异常性疼痛与中枢敏化密切相关，涵盖了中枢神经系统的上行和下行神经通路异常，从而导致了内源性疼痛控制系统功能异常，引起伤害性感觉神经元

	对正常或阈下的初级传入信息反应性增强。由于该病症状谱较为广泛，治疗有效的判定标准除改善疼痛外，至少在躯体功能、睡眠质量、疲劳感等常见伴随症状同时获得改善已达成国际共识。 2.治疗现状：目前纤维肌痛症的治疗是一个世界难题，一直缺乏满意的治疗药物。临床常用的止痛药物，如非甾体抗炎药、糖皮质激素等均对本病无效，肌松药环苯扎林等治疗效果轻微，阿片类药物（除弱阿片类药物）、大麻提取物在安全性方面存在明显隐患，也不被国内外行业指南推荐。至今，治疗本病仅有普瑞巴林、度洛西汀等数种化学药物通过了批准，尽管如此，这些药物的镇痛效果并不尽如人意，且对疲劳、睡眠障碍和躯体功能下降等常见症状的疗效轻微，由于不良反应发生率较高，因难以耐受副作用一年内的停药率超过 50%，导致全球只有少部分患者可以获得实质性的益处。 中医药治疗擅长从多途径、多靶点发挥疗效，达到减轻疼痛及其常见伴随症状、提高患者生活质量的治疗目标，疗效、安全性优势突出，且与西药联合应用时疗效优于单独使用西药，但是尚缺乏明确治疗的中成药。
--	--

萎缩性胃炎及其癌前病变

推荐分会：脾胃病分会

临床需求	1.慢性萎缩性胃炎患者普遍存在上腹胀满、上腹部疼痛、早饱、嗝气、烧心、食欲不振等消化不良症状，这些症状常常持续或反复发作，影响患者的日常生活。缓解消化不良症状是临床需求； 2.幽门螺杆菌感染是慢性胃炎的重要病因，根除幽门螺杆菌是治疗慢性胃炎、阻止萎缩性胃炎进展的重要手段，但联合用药方案时间不断延长、耐药率增加。提高幽门螺杆菌感染的根除率，减少西药副作用，是临床需求； 3.异型增生是最直接的胃癌前病变。针对萎缩背景下的低级别异型增生及不确定性异型增生患者，改善胃黏膜组织学状态，促进病变逆转、阻断病变进展是临床需求； 4.胃黏膜萎缩、肠化生是萎缩性胃炎的病理组织学表现，减少病变范围和程度、促进病变消退以降低癌变风险，是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.改善慢性萎缩性胃炎临床症状：缓解慢性萎缩性胃炎相关的上腹痛、胀满、早饱、嗝气、食欲不振等消化不良症状，提高患者生存质量； 2.提高幽门螺杆菌的根除率：对于幽门螺杆菌感染的慢性胃炎患者，通过中、西药联用提高幽门螺杆菌感染的根除率，减少西药副作用； 3.促进异型增生的逆转：改善胃黏膜组织学状态，逆转萎缩和肠化生背景下的低级别异型增生，以阻断病变进展； 4.改善胃黏膜萎缩和肠化生：减少胃黏膜萎缩和肠化生病变范围与程度，促进病变消退，以降低胃癌发生风险。
流行病学资料	1.疾病状况：萎缩性胃炎及其癌前病变（异型增生）是胃

	癌发生的关键前驱病变，其病程发展遵循“Correa 模式”，即由正常胃黏膜经慢性炎症、胃黏膜萎缩、肠化生、异型增生逐步进展至胃癌。胃黏膜萎缩是指胃黏膜固有腺体减少、黏膜变薄，可分为非化生性萎缩和化生性萎缩两种类型。进展为胃腺癌最常见的病理状态是胃黏膜萎缩与肠化生，这两者共同构成了胃癌发生的基础条件，通常被统称为慢性萎缩性胃炎，属于癌前状态；而异型增生（上皮内瘤变）则被归类为癌前病变，其特征为细胞和/或组织结构的异常改变，呈现肿瘤生长性质，但未侵入固有膜。异型增生可分为低级别异型增生和高级别异型增生，其中部分高级别异型增生因其生物学行为接近早期胃癌，通常归入早期胃癌范畴。不确定性异型增生指诊断为肿瘤性或非肿瘤性病变存在困难的情况。 慢性萎缩性胃炎、肠化生及异型增生均是胃癌发生的独立危险因素，病变严重程度与胃癌发生风险呈正相关。基于胃炎评价系统（OLGA）和基于肠化生的胃炎评价系统（OLGIM）的III/IV期患者的胃癌发生风险显著升高，胃窦和胃体黏膜广泛萎缩同样是胃癌的重要危险因素。研究显示，胃黏膜萎缩患者的胃癌年发生率为 0.1%，伴肠化生者年发生率升至 0.25%，而胃低级别异型增生患者的年发生率则为 0.6%。在存在广泛萎缩和肠化生的患者中，5 年累积胃癌发病率分别可达 1.9%~10%和 5.3%~9.8%。因此，慢性萎缩性胃炎可根据风险分为高风险（如重度萎缩、胃窦和胃体肠化生并存、OLGA/OLGIM III/IV期）和低风险两类，以便于风险评估和临床分层管理。 萎缩性胃炎、肠化生及异型增生的全球患病率存在显著地域差异。全球萎缩性胃炎的平均患病率为 18.0%，在幽门螺杆菌感染人群中患病率显著升高至 31.1%；肠化生的全球平均患病率为 16.2%，伴有幽门螺杆菌感染患者将升至 22.0%。异型
--	---

	增生的全球平均患病率相对较低，仅为 2.0%。亚洲地区萎缩性胃炎和肠化生的患病率分别为 26.1%和 22.9%，东亚地区（包括中国、日本、韩国）患病率最高，分别为 25.5%和 27.1%。 我国萎缩性胃炎患病率较高，中华医学会消化内镜学分会 2014 年的一项横断面调查显示，萎缩性胃炎的病理诊断率为 25.8%，肠化生患病率为 6%，异型增生患病率为 7.3%。 慢性萎缩性胃炎及其癌前病变患者常表现为上腹痛、腹胀、饱胀感、早饱、嗝气、反酸等消化不良症状。这些症状持续或反复发作，严重影响患者的日常生活和心理健康。一部分患者因担忧癌变风险而出现显著心理负担，包括焦虑、抑郁及睡眠障碍，这些心理问题可能进一步加重消化不良症状，导致生活质量显著下降。研究显示，在慢性胃炎患者中，13.1%的患者无明显症状，而有症状者中，上腹痛（52.9%）、腹胀（48.7%）、餐后饱胀（14.3%）和早饱感（12.7%）是最常见的临床症状。近三分之一患者同时存在两个及两个以上症状，其症状谱与功能性消化不良相似，部分患者甚至无法正常工作和生活。 幽门螺杆菌感染是慢性胃炎及其癌前病变的重要病因，幽门螺杆菌根除是防治慢性胃炎的关键手段。然而，我国幽门螺杆菌对多种抗生素的耐药率较高，且呈上升趋势。一项多中心大样本研究显示，HP 对克拉霉素、甲硝唑、左氧氟沙星的原发性耐药率分别为 37.0%、87.9%和 34.2%，而双重耐药率和三重耐药率分别为 43.6%和 26.5%。在难治性幽门螺杆菌感染患者中，克拉霉素和左氧氟沙星的耐药率分别高达 92.7%和 85.4%，双重耐药率达到 73.2%。抗生素耐药性已成为根除幽门螺杆菌的重要挑战，亟需优化现有治疗方案，以提高根除率并减少副作用。 2.治疗现状：慢性萎缩性胃炎及其癌前病变尚缺乏针对病
--	---

	理进展的有效干预手段，目前的治疗方法主要包括内镜随访与治疗、病因干预及对症治疗。 内镜治疗主要针对高级别异型增生及部分伴有可见病变的低级别异型增生患者，通过内镜黏膜下剥离术等手段切除病变，但治疗仅适用于局限性病变患者，对广泛分布的萎缩及肠化生疗效有限，且术后仍存在复发风险，需长期随访。 病因干预方面，幽门螺杆菌根除是减缓炎症及降低胃癌风险的重要措施，但对已发生萎缩或肠化生的患者，根除治疗效果有限。部分研究建议针对体内维生素、微量元素水平偏低者，补充叶酸、维生素 C 及硒等微量营养素以改善病变进展，但尚缺乏确切的临床证据支持其广泛应用。对症治疗包括胃黏膜保护剂、抗酸药物、促动力药物及神经递质调节药物等。胃黏膜保护剂可增强胃黏膜屏障功能并促进胃黏膜修复，但对萎缩或肠化生逆转的作用仍存在争议；抗酸药物在缓解胃酸相关症状上疗效确切，但长期使用可能引发骨质疏松、肠道微生态失衡等不良反应；促动力药物可缓解上腹饱胀、恶心等消化不良症状，但作用多为短期效果，难以阻断病变进展；神经递质调节药物则主要适用于伴有焦虑、抑郁状态的患者，可改善心理状态及部分消化不良症状，但其作用局限于症状缓解。部分研究提示环氧合酶-2 抑制剂、低剂量阿司匹林等可能降低胃癌发生风险，但由于其潜在的不良反应（如胃肠道出血、心血管事件），缺乏大规模研究支持，其在癌前病变中的应用受到限制。部分已上市中成药可缓解慢性胃炎患者的消化不良症状，可能有助于改善胃黏膜病理状态，并在提高幽门螺杆菌根除率、减少治疗相关不良反应及降低抗生素耐药性方面显示出一定优势。然而，这些药物的总体疗效仍有待提高，其在阻断病变进展中的作用尚需进一步验证。
--	--

子宫腺肌病

推荐分会：妇科分会

临床需求	1.对于以痛经、慢性盆腔痛、性交痛等症状或体征为主要临床表现的患者，缓解和消除疼痛是临床需求； 2.对于以月经量多、经期延长、不规则出血、贫血为主诉的患者，减少月经量，降低异常子宫出血的发生率，纠正贫血是临床需求； 3.对于合并不孕症或有生育需求的患者，改善子宫内膜容受性、提高卵泡质量，以促进自然妊娠或提高辅助生殖过程的成功率是临床需求； 4.疼痛、月经量多、不孕长期存在，严重影响患者的生活质量及身心健康，提高生存质量，改善心理健康是长期患病患者的临床需求； 5.治疗本病常用的化学药物具有明显的副作用，避免或减少药物不良反应，如低雌激素血症引起的围绝经期症状、血栓风险、胃肠道反应、肝功能异常、不规则出血等是患者的临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.缓解和消除子宫腺肌病相关疼痛； 2.减少月经量、降低异常子宫出血的发病率，纠正贫血； 3.促进生育成功率； 4.提高患者生存质量； 5.减少治疗本病常用的具有明显副作用的化学药物用量及不良反应。

流行病学资料	1.疾病状况：子宫腺肌病（Adenomyosis, AD）是育龄期女性的常见病，主要特征为子宫内膜（包括腺体和间质）侵入子宫肌层生长。临床以痛经进行性加重、月经过多、不孕、子宫异常增大为主要临床表现，发病机制尚不明确。 子宫腺肌病作为妇科常见病，发病率为 7%~23%，其中 40%~50%的患者表现为经量增多、经期延长或月经淋漓不尽、不规则子宫出血，严重时可导致贫血；15%~30%的患者出现进行性痛经，也可表现为慢性盆腔痛、性交痛；20%以上的子宫腺肌病患者合并不孕，且妊娠后出现流产、早产和死产的概率显著增高。约 25%子宫腺肌病患者因症状持续存在行子宫全切术。子宫腺肌病作为慢性病，需长期服药及终身管理，严重损害妇女的社会关系和生理健康。 2.治疗现状：子宫腺肌病难以治愈，临床以缓解疼痛、减少出血、促进生育为主要治疗目标，治疗方法主要包括药物治疗及手术治疗。但药物治疗存在停药后症状易复发，且副作用明显。子宫全切术为根治性治疗方法，而对于有生育需求的患者，保留子宫手术是首选治疗方法，但因子宫腺肌病与正常肌层分界并不清楚，病灶难以切净，术后存在疼痛复发的可能。研究表明子宫腺肌病病灶部分切除复发率为 19%，且术后存在妊娠子宫破裂、胎盘植入等高危妊娠风险。介入治疗虽能缩小病灶、改善症状，不能切除病灶，无法获取病变组织病理检查，且对于有生育需求患者当慎重考虑。 对子宫腺肌病的药物治疗包括非甾体类抗炎药（NSAID）、口服避孕药、孕激素药物、促性腺激素释放激素激动剂（GnRH-a）、左炔诺孕酮宫内释放装置（LNG-IUS）等，均存在一定的不足。NSAID 能缓解疼痛症状，但无法缓解疾病进程，且有胃肠道反应，存在肝肾功能异常的风险。口服避孕药可缓解疼痛，减少月经量，除肝肾功能损伤风险外，40 岁
--------	--

	以上或有高危因素患者还具有血栓风险。地诺孕素作为新型合成孕激素，可缓解子宫腺肌病疼痛，减少月经量，用药期间会出现不规则出血、体重增加、头痛、乳房胀痛等副作用。GnRH-a可有效缓解疼痛，治疗月经过多，但应用过程中存在低雌激素血症引起的围绝经期症状，如潮热、阴道干涩、性欲下降、失眠及抑郁等，长期应用有骨质丢失的可能。LNG-IUS可缓解子宫腺肌病痛经、慢性盆腔痛及月经量多，但治疗过程中会存在淋漓出血、闭经，环脱落及下移可能。目前，渐进性加重的盆腔疼痛，异常子宫出血、不孕、增大的子宫及频繁发生的药物副作用仍是客观存在的治疗困境。中医药治疗本病从瘀血立论，以活血化瘀为基本治疗原则，在缓解疼痛、减少月经量等方面有显著疗效，但目前尚没有治疗子宫腺肌病的上市中成药。
--	--

糖尿病足部溃疡

推荐分会：皮肤科分会

临床需求	1.糖尿病足部溃疡创面迁延不愈，促进肉芽组织生长、促进创面愈合是临床需求； 2.对于高危足患者，减少溃疡发生是临床需求； 3.对于严重溃疡或感染的患者，减少截肢风险，提高保肢率是临床需求； 4.糖尿病足部溃疡容易复发，在控制血糖、感染的基础上，减少复发是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.促进溃疡创面肉芽组织生长，缩短创面愈合时间； 2.预防溃疡形成； 3.提高严重溃疡或感染患者的保肢率； 4.降低溃疡复发率。
流行病学资料	1.疾病状况：糖尿病足部溃疡（Diabetes-related Foot Ulcer, DFU）是目前或曾经被诊断为糖尿病患者出现的足部溃疡，是糖尿病严重的慢性并发症之一，主要临床表现为足部皮肤溃疡、感染、坏疽，甚至需要截肢。DFU 发病机制复杂，包括神经病变、血管病变、感染和足部结构异常等多种因素。 DFU 发病率在糖尿病患者中约为 15%~25%，随着糖尿病病程延长和血糖控制不佳发病率显著增加。中国糖尿病患者 1 年内新发溃疡发生率为 8.1%，已愈的糖尿病溃疡患者 1 年内复发率为 31.6%，患者年死亡率 11%，截肢患者高达 22%。本病病程长、创面迁延不愈、易复发，给患者带来极大的痛苦和经济负担。由于高致残率、高致死率、高治疗成本，DFU 成为导致社会沉重负担的重大公共卫生问题之一。 2.治疗现状：DFU 的治疗目标是促进溃疡愈合、预防感染、减少截肢风险和提高生活质量。目前的治疗方法包括血糖控

	制、创面清创、局部换药、抗生素治疗、血管重建手术等。然而，传统治疗方法存在诸多局限性：创面愈合缓慢，感染难以控制，部分患者因严重感染或缺血需要截肢等。近年来，随着对 DFU 发病机制的深入研究，新的治疗方法不断涌现，如生长因子、负压治疗、干细胞治疗等，但这些方法费用较高且疗效尚需进一步验证。中药在促进溃疡愈合、改善局部血液循环、抗菌消炎等方面显示出独特的优势，但目前缺乏高质量的循证医学证据支持其广泛应用。临床需要更多具有高质量循证证据的中药新药，以满足 DFU 患者的多样化需求。
--	---

肉芽肿性乳腺炎

推荐分会：外科分会

临床需求	1.肿块期患者表现为乳房疼痛、红肿、肿块，缓解疼痛、缩小肿块是临床需求； 2.患者在治疗缓解或停药后再次出现肿块脓肿等症状，反复发作，减少脓肿形成、降低复发率是临床需求； 3.由于病程持续时间较长，迁延难愈，缩短病程、快速改善症状是临床需求； 4.对于已形成脓肿并破溃的患者，促进创面愈合、减少瘢痕形成是临床需求； 5.治疗本病的糖皮质激素和免疫抑制剂具有明显的副作用，减少治疗药物用量以避免或减轻可能发生的不良反应是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.缓解乳房疼痛，缩小肿块，改善临床症状； 2.减少脓肿的发生率、降低治疗复发率； 3.缩短病程，快速改善临床症状； 4.促进破溃创面愈合； 5.在不加重病情的前提下，减少治疗本病常用的具有明显副作用药物的使用时间、剂量或种类。
流行病学资料	1.疾病状况：肉芽肿性乳腺炎（Granulomatous Mastitis, GLM）是一种以非干酪样坏死性肉芽肿为主要病理特征的慢性炎症性乳腺疾病。临床表现为乳房局部疼痛性肿块，进展迅速，脓成后形成窦道，约 34%患者伴有全身表现，如全身关节肿胀和疼痛，以及下肢结节性红斑。其病程常经历肿块期、脓肿期及溃后期，病情复杂，病程长，多在 7 天—1 年，长者可达 10 年，迁延难愈；复发率较高，为 15.4%~24.8%，术后中位复发时间 7.4 个月。据报道 GLM 发病与高泌乳素血症、感染及外

	伤等相关。 GLM 占有乳房炎症性疾病的 24%，在全球均有报道，但在亚洲、北非、地中海等地区及亚裔、西班牙裔和阿拉伯裔女性中的发病率更高。其发病年龄可从少年到老年，甚至有少量男性病例的报道，但更多发生于有母乳喂养史的妇女。近年来其发病率呈上升趋势，有国内团队发起了针对于国内 GLM 诊疗现况调查研究，问卷调查发现超过半数（占 59.39%）的医师均知晓近年来我国 GLM 发病人数明显增多，给我国女性健康及生活质量带来严重影响。 2.治疗现状：目前 GLM 治疗方式多种，但治疗手段尚缺乏统一规范。糖皮质激素是 GLM 首选的治疗方法，它可以提供完整的疾病解决方案，但长期使用糖皮质类固醇可能导致体重增加、骨质疏松和感染恶化。免疫抑制剂如甲氨蝶呤的应用是目前临床用药的另一种选择，主要用于糖皮质激素治疗失败的患者。但该种治疗存在叶酸缺乏综合征、间质性肺炎等其他并发症。国内学者普遍认为手术治疗仍是 GLM 的最有效方法，尤其是存在脓肿形成、瘘管和持续性伤口感染等并发症的情况。其中，选用小切口的 Mammotome 活检系统完全切除 GLM 病变后给予糖皮质激素治疗也是一种有效的治疗选择，不过该治疗对超声检查的要求比较高，仅适用于局限性脓肿和局限性低回声肿块类型等复发率低的患者。一些已上市中成药在改善临床症状方面有效，但药物疗效仍有待提高，治疗副作用有待优化，临床需要更多具有高质量循证证据的好药。
--	---

糖尿病肾脏疾病

推荐分会：肾病分会

临床需求	1.不同分期的糖尿病肾脏疾病（DKD）患者尿蛋白和肾小球滤过率（eGFR）水平不同。在 eGFR 相对维度的基础上，改善白蛋白尿、降低尿蛋白是临床需求； 2.DKD 患者 eGFR<25 mL·min⁻¹·(1.73 m²)⁻¹，无药可用，延缓肾功能下降是临床需求； 3.DKD 病情进展快，预后较差，延缓终点事件发生为目标，延缓肾脏病相关的死亡、终末期肾衰竭或者肾脏替代治疗和血肌酐倍增等终点事件是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.降低尿蛋白，包括 MogensenIII期患者的尿微量白蛋白/肌酐比值、MogensenIV期患者的 24 小时尿蛋白定量； 2.延缓 eGFR 下降，保护肾功能； 3.降低终点事件（肾脏病相关的死亡、终末期肾衰竭或者肾脏替代治疗和血肌酐倍增）的发生率。
流行病学资料	1.疾病状况：糖尿病肾脏疾病（Diabetic Kidney Disease, DKD）是由糖尿病所致的慢性肾脏病（CKD），是糖尿病最常见的并发症,30%~40%的糖尿病患者发展为 DKD,也是 CKD 常见的类型。早期主要表现为微量白蛋白尿排泄率增加，缺少典型症状，病程日久则可表现为显性蛋白尿、水肿、高血压、肾功能损害等，进一步发展可发生终末期肾衰竭。 DKD 采用 Mogensen 分期，III期为早期糖尿病肾病期，IV期为临床糖尿病肾病期，V期为终末期肾病期，也可以根据病因-肾小球滤过率-白蛋白尿分期描述和判定疾病的严重程度。糖尿病肾脏疾病病情相关生物学指标包括尿白蛋白/肌酐比值（UACR）、24 h 尿蛋白定量和 eGFR。 我国 2 型糖尿病（T2DM）合并 CKD 的患病率为 36%，

	在中老年人群中，DKD 已经成为终末期肾脏病（ESRD）的首要病因。DKD 起病隐匿，一旦进入大量蛋白尿期后，进展至 ESRD 的速度大约为其他肾脏病变的 14 倍，且与不合并糖尿病的肾病患者相比，合并糖尿病的肾病患者死亡率更高，给人民群众的健康带来非常沉重的负担。 2.治疗现状：DKD 的治疗缺少理想的药物，现代医学治疗 DKD 主要包括生活方式干预、控制危险因素（高血糖、高血压、脂代谢紊乱等）、糖尿病教育，以及治疗肾功能不全的并发症、透析治疗等，以减少或延缓大量蛋白尿的发生和预防或延缓肾病进展。生活方式干预包括合理控制体重、健康饮食、戒烟及适当运动等，营养干预方面，主要包括对蛋白和钠的限制。DKD 患者选择降糖药物，首选具有心肾获益的降糖药，如钠-葡萄糖共转运蛋白 2 抑制剂（SGLT2i）、胰高糖素样肽-1 受体激动剂（GLP-1RA）等。对于 UACR 为 100~5000 mg·g⁻¹ 且 eGFR 为 25~75 mL·min⁻¹·（1.73 m²）⁻¹ 的 DKD 患者，司美格鲁肽可延缓其肾病进展，降低肾脏复合终点事件和心血管死亡风险的发生。在降压药的选择方面，推荐采用血管紧张素转化酶抑制剂（ACEI）或血管紧张素Ⅱ受体拮抗剂（ARB）类药物治疗。此外，近年来，大型循证医学研究结果表明，对于 UACR>30 mg·g⁻¹ 且 eGFR≥25 mL·min⁻¹·（1.73 m²）⁻¹ 的 T2DM 合并 CKD 患者，在足量 ACEI 或 ARB 类药物基础上使用非奈利酮能显著降低肾脏复合终点事件及心血管疾病风险。推荐在 UACR>30 mg·g⁻¹ 且 eGFR≥25 mL·min⁻¹·（1.73 m²）⁻¹ 及血钾≤5.0 mmol·L⁻¹ 的 T2DM 合并 CKD 患者中使用非奈利酮，但用药期间需监测血钾，当血钾>5.5 mmol·L⁻¹ 应暂停使用。 可见，到目前为止，能够用于治疗 DKD 的药物屈指可数，且大多数药物并非专用于 DKD 的治疗，而是降糖或降压药物，具有额外的心肾获益。而近年来研发的非奈利酮，虽然治疗
--	---

	DKD 有一定疗效，但是具有升高血钾的风险，且不能用于 $\text{eGFR} < 25 \text{ mL} \cdot \text{min}^{-1} \cdot (1.73 \text{ m}^2)^{-1}$ 的 DKD 患者。此外，DKD 合并大量蛋白尿也缺少有效治疗手段。中医药在改善临床症状、降低尿蛋白水平、延缓糖尿病肾脏疾病进程等方面具有一定优势，但缺乏针对性治疗药物。
--	---

代谢相关脂肪性肝病

推荐分会：肝胆病分会

临床需求	1.代谢相关脂肪性肝病的主要病理特征是肝脏脂肪堆积，减少肝脏脂肪堆积，改善肝细胞脂肪变性是临床需求； 2.对于肝功能异常患者，改善肝功能、预防肝纤维化，延缓疾病进展是临床需求； 3.对于肝纤维化指标明显升高，肝组织学可见炎症、纤维化的患者，改善肝组织炎症和纤维化、减少肝硬化的发生是临床需求。
与临床需求匹配的中药研发临床定位	1.减少肝脏脂肪堆积，改善肝细胞脂肪变性； 2.改善肝组织炎症和/或纤维化； 3.减少肝硬化、肝癌风险。
流行病学资料	1.疾病状况：代谢相关脂肪性肝病（Metabolic Associated Fatty Liver Disease, MAFLD）是一种与代谢功能障碍相关的慢性进展性肝病，其特征是肝脏中脂肪的异常积累。MAFLD 是全球最常见的慢性肝病之一，疾病谱包括代谢相关脂肪肝、代谢相关脂肪性肝炎、代谢相关脂肪性肝纤维化和代谢相关脂肪性肝硬化，发病率逐年上升，在普通人群中约为 20%~30%，在肥胖人群中可达 70%~90%。MAFLD 的发病机制复杂，涉及脂肪堆积、炎症反应、氧化应激和遗传因素等。MAFLD 病程较长，部分患者可进展为肝纤维化、肝硬化甚至肝癌。 2.治疗现状：MAFLD 的治疗目标是减轻肝脏脂肪堆积、改善肝功能、预防肝纤维化和肝硬化。目前的治疗策略包括生活方式干预（如饮食控制、增加运动量）、药物治疗（如他汀类药物、胰岛素增敏剂）和手术治疗（如减重手术）。然而，现有治疗方案存在局限性：生活方式干预依从性差，药物治疗效果有限且可能引起副作用。近年来，随着对 MAFLD 发病机

	制的深入研究，新的治疗方法不断涌现，但目前尚无特效药物获批用于 MAFLD 的治疗。中药在改善肝脏脂肪堆积、减轻炎症、调节代谢紊乱等方面显示出独特优势，但缺乏高质量的循证医学证据支持其广泛应用，亦缺乏明确治疗的中成药。
--	---