

2025年12月

前沿视点 VIEW POINT



目录

2025全球数字健康趋势	01
2025年全球数字健康趋势洞察	01
数字健康技术的商业化	01
监管和报销途径的演变	03
证据趋势和支付方要求	05
应用的驱动因素和阻碍因素	07
生命科学领域的机遇与合作	08
全球HIV防治和支出趋势	10
HIV的治疗和预防以及尚未满足的需求	10
HIV的研发、资金投入和政策趋势	12
讨论与行动呼吁	16
新兴生物制药创新十年全景	17
EBP的定义和分类	17
融资与战略交易	19
临床试验	23
临床研发生产力	26
EBP研发新药的上市情况	28
EBP新药的商业化	30
抗体偶联药物在癌症治疗中的应用	32
导读	32
ADC的结构及作用机制	33
ADC的发展	34
Ark Patent Intelligence数据中的ADC专利格局	35
结论	37

2025全球数字健康趋势

2025年全球数字健康趋势洞察

包括开发者、政策制定者、支付方和医疗服务提供者在内的数字健康领域的利益相关方，正积极推动并加速数字健康解决方案的普及。这些方案在优化医疗服务和降低成本方面展现出巨大的潜力，同时，该领域近期面临的商业化挑战，也促使各方重新审视如何评估、批准、报销及推广数字技术。曾苦于扩大解决方案规模的开发者，如今正通过多元化商业模式、整合资源主导特定细分领域，以及构建更全面的解决方案来更好地满足利益相关方的需求；政策制定者正在完善国家审批路径与技术评估标准；支付方则正在扩大对更多数字解决方案的报销范围。

尽管势头强劲，数字健康解决方案的推广仍面临挑战。若解决方案无法提供令人信服的健康效益或成本效益证据，又或无法与现有系统及诊疗路径整合，医疗服务提供者仍可能对应用这些技术持观望态度。

数字健康技术的商业化

为应对商业挑战，许多最初专注于开发独立数字疗法或单一解决方案的数字健康开发者，开始多元化其业务模式以拓展收入。

除了产品之外，开发者们还提供数字医疗服务或诊断实验室，利用平台衍生出不同类型的解决方案，并为医疗机构、支付方和生命科学公司定制服务，同时将监察工具应用于临床试验和患者支持项目。

随着市场竞争日益激烈，企业通过并购在细分领域占据领先地位，并进行横向和纵向扩展，打造更完整的端到端解决方案，以更好满足雇主和其他利益相关方的需求。

数字医疗服务商开始提供组合方案：既有自我管理的健康应用，也有医疗级治疗产品，使患者能在不同的护理之间切换，并借助AI临床决策支持工具实现个性化推荐。



监管要求较低的商业模式,如直面消费者、直面医疗机构,以及基于自我管理工具的数字护理,帮助开发者实现早期收入,优化产品,并持续积累数据,为未来向受监管产品演进奠定基础。

充满挑战的环境

过去几年,数字健康创新领域不断拓展和多样化,逐渐形成了更明确的市场细分和创新领域。随着诸如数字诊断等基于传感器的健康评估工具的出现,与更为成熟的数字疗法组合,如今的解决方案能够帮助患者和医生贯穿从预防性自

我护理到风险评估、分诊、诊断、治疗和监察的整个患者旅程,并且有望加速这一进程,改善治疗效果(图1)。

然而,尽管数字健康领域的创新和关注度一直居高不下,但过去两年数字健康开发者却面临着严峻的商业环境,尤其是在当今不断变化的市场中,取得成功并非易事。即便是开创性的数字疗法公司也难以盈利并扩大规模,导致多家公司退出或重组。因此,开发者、医疗服务提供方、支付方和政策制定者纷纷采取措施,以推动数字健康解决方案的采用,这是将这些方案更广泛地融入患者护理和研究的关键。

图1：数字健康细分领域及其在不同利益相关方中的应用



数据来源：Adapted from: Digital Health Trends 2024: Implications for Research and Patient Care. IQVIA Institute for Human Data Science, December 2024.

商业模式趋势

收入来源多样化

虽然许多数字健康公司最初开发数字疗法等工具,是打算作为独立产品进行销售的。但在这个新兴市场,仅靠单一产品难以成为稳定的收入来源。为了打造更具韧性的业务,越来越多企业开始让解决方案同时支持多种商业模式,拓展

商业成功的路径。开发者也在不断升级产品,组合传感设备、应用程序、远程医疗和软件平台,以新的方式打包成更全面的解决方案。这不仅提高了医疗体系采纳的可能性,也能更好地服务医疗机构、雇主和其他利益相关方。部分企业还通过横向和纵向整合,在细分领域建立领先地位(图2)。

图2：数字健康商业模式的发展趋势



数据来源：Adapted from: Digital Health Trends 2024: Implications for Research and Patient Care. IQVIA Institute for Human Data Science, December 2024.

监管和报销途径的演变

各国在数字健康技术的报销和资助方面已逐渐成熟：专项的报销通道不断建立，评估框架逐步规范，利用这些通道的数字解决方案的数量也在增加。

新的加速通道推动产品更快上市，并扩大报销范围，涵盖更多数字健康产品类型，如英国的EVA指南、法国的PECAN路径（数字疗法与远程监察工具）、德国的DiPA（长期护理应用）等。

创新技术相关政策的核心要素正在全球范围内趋同：各国采用分阶段的生命周期证据要求，提供加速报销，支持高质量证据生成，并推动其融入医疗体系。

许多路径覆盖远程诊断、治疗和监察的数字健康方案，如韩国的IRAS路径、比利时的mHealth Pyramid报销路径。

美国已有300多个医保编码支持软件和移动健康解决方案，其中包括：117个软件技术编码（77个AI检测、27个数字疗法、10个数字护理项目），以及至少47个远程医疗编码和57个远程监察编码。

迄今为止，比利时和法国的数字健康路径仅报销远程监察方案：比利时的mHealth Pyramid接受了8款心衰应用；法国的PECAN报销了3款癌症和康复后背痛应用；近30家公司的设备已通过LATM在5种慢性病中获得报销。

英国、比利时和荷兰等国会对成熟的数字健康案例进行技术评估，并推荐或报销同类产品。

最新进展

过去几年间，重大的政策变革影响了全球数字健康解决方案的资金支持与报销机制。随着政策制定者日益认识到数字健康技术能够满足未被满足的患者需求、改善治疗效果并弥合医疗服务缺口，政策制定者们正致力于加速在医疗场景中应用有效的数字解决方案。

继德国2019年推出“数字健康应用”（DiGA）通道加速患者端数字健康应用审查后，众多国家相继建立本国数字健康技术的评估与报销通道。近年来多项重要政策变革同样影响着技术评估与报销机制（图3）。

图3：2022-2025年数字健康解决方案报销的最新进展



数据来源：IQVIA Institute, Jul 2025.

尽管各国政策存在差异，但多数国家的审批路径均提供加速市场准入或早期临时报销机制，以维持开发者运营、支持高质量证据生成，并在某些情况下助力数字健康技术融入医疗体系。由此，日益多样化的数字健康产品正获得更多应用场景的新机遇。

各国路径也各具优势：英国的 NICE Guidance 覆盖的数字产品类型范围最广；德国、法国与比利时的路径提供早期获得国家报销的机会；美国的医保编码有助于在护理流程中实现报销；荷兰的 Digizo.nu 则为处于扩张阶段的企业提供支持。在英国，NICE 还牵头确定数字技术的最佳护理场景，已发布 20 余项 EVA，推荐 47+ 个解决方案用于 NHS。

报销政策

在全球范围内，报销政策仍在不断优化。随着政策制定者竞相加快国外开发的数字健康技术进入本国市场，他们正在努力建立能够提供更可持续报销的数字健康政策。例如，英国计划在2026年将其统一的NICE HealthTech项目发展为一个有资金支持的报销机制，对有成本效益且有前景的解决方案进行全国委托；而日本则为较早进入市场的产品引入了价格激励。

数字医疗企业实现营收的时间因地理区域而异，但这一进程可能正在加速。在德国，数字治疗从公司成立起约2.5年即可获得临时报销，并在证据生成启动后的四年内实现永久报销（截至2023年12月）。而在其他市场，初次报销的时间一般需5.5-7年，而获得永久覆盖则可能需要长达10年。

证据趋势和支付方要求

数字解决方案的证据生成已从疫情后的低迷中反弹，其增长主要由有效性研究驱动——这凸显了向各利益相关方证明价值的重要性。然而，尽管支付方对成本效益证据的需求日益增长，卫生经济学研究仍持续滞后。（图4）

2024年，荟萃分析和系统综述在疗效研究中占比达21%，这表明数字健康解决方案的证据体系逐渐成熟，全球对其在医疗中的定位也趋于一致。

不同地区的支付方对报销的要求各不相同，但正在逐渐趋同，目前大多数框架都要求开发者通过一项或多项随机对照试验来证明临床效益，开展包含对当地人群的研究，并将其解决方案与标准治疗方案进行比较。

如今证据生成计划要求开发者证明其对资源使用和医护人员工作量的影响、在目标护理环境中取得的成功以及对系统层面的影响，并提供更清晰的证据表明其对目标人群的益处——反映出对成本效益和真实世界适用性的更高期待。

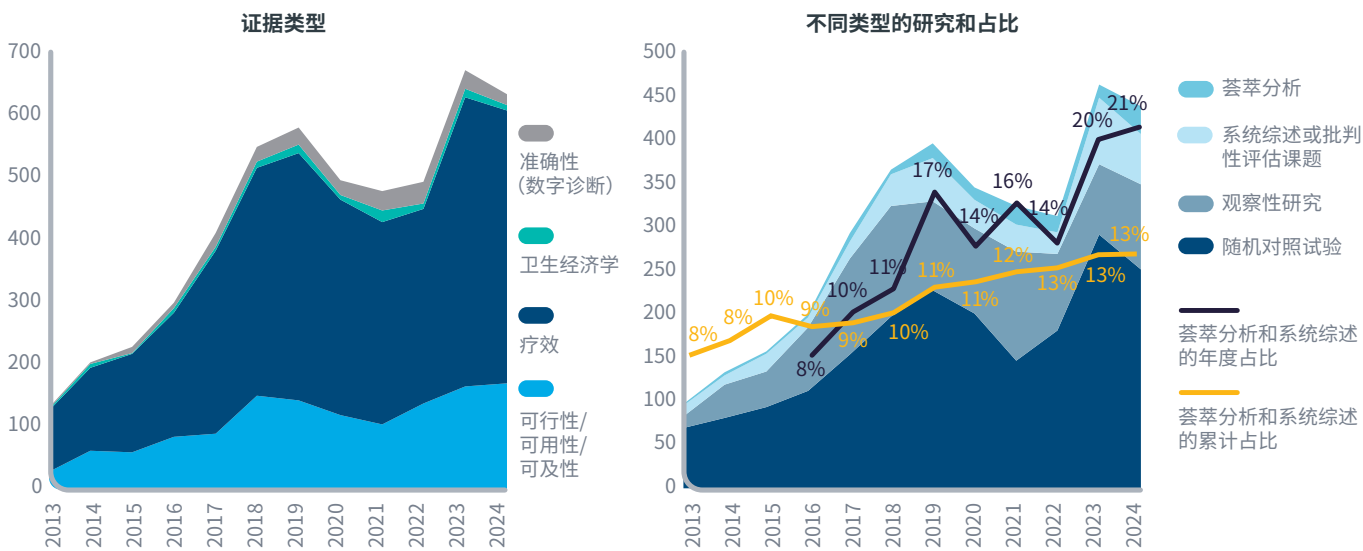
多数国家和地区对本地开展研究有正式或非正式要求，这提升了全球证据战略的必要性，帮助开发者应对复杂性并控制成本。

除临床和经济要求外，支付方和医疗机构还会增加运营层面的考量，如是否契合现有福利和诊疗路径，并评估合作方在财务稳定性、经验、技术整合与数据报告能力，以及规模化能力方面的准备情况。

证据发展的趋势

随着支付方制定了数字健康技术评估标准并要求更高质量的证据，数字健康解决方案生成可靠证据的需求持续增长。医疗服务提供者及其他利益相关方开始重新关注探索数字工具在医疗场景中的价值，加之专注于证据生成的临时报销途径增多，这些因素共同加速了数字健康解决方案在真实世界场景中证明自身价值的机会。

图4：已发表的数字健康研究

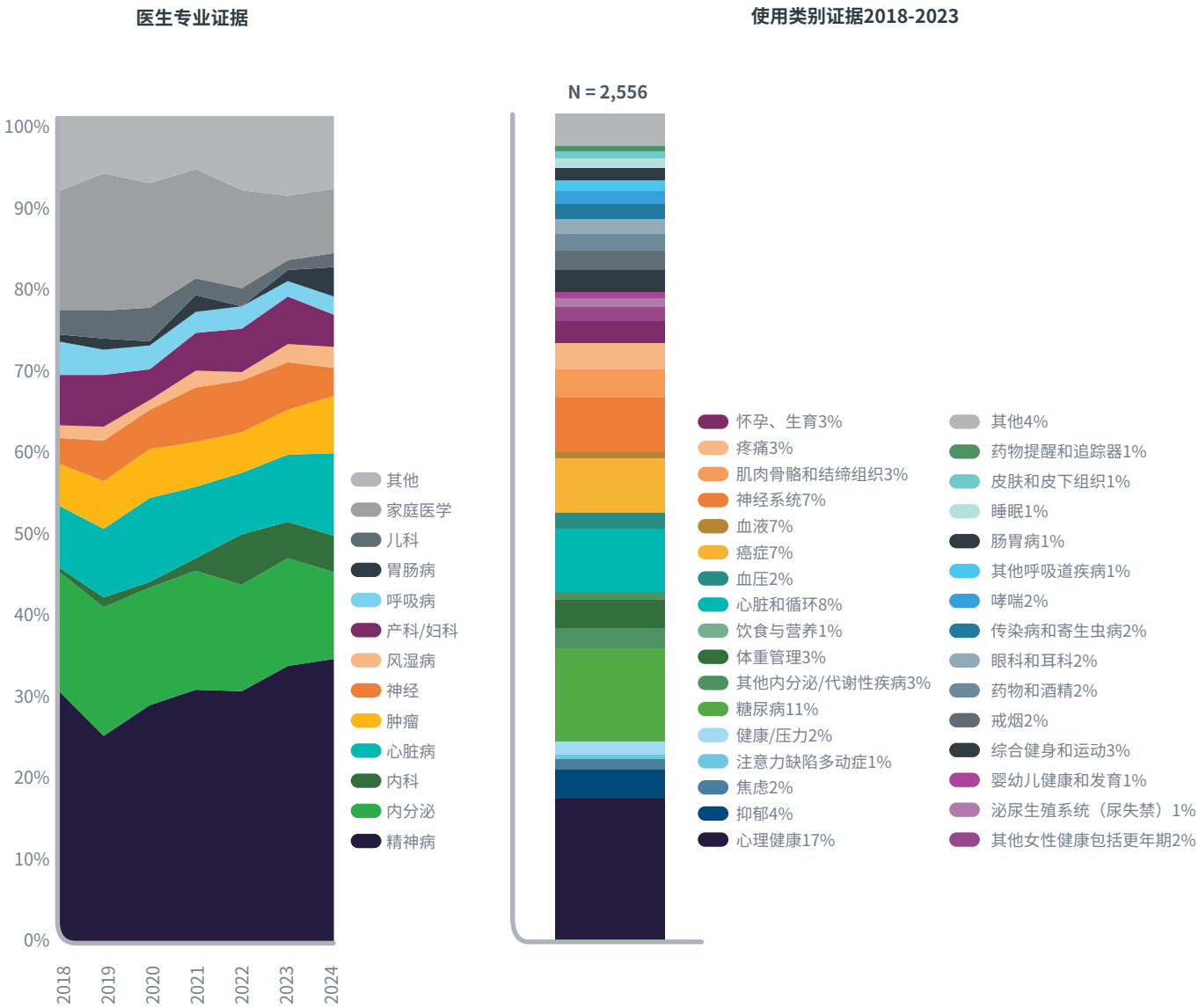


数据来源：IQVIA Institute, May 2025; IQVIA AppScript Clinical Evidence Database, May 2025.

支持运用数字工具满足患者心理及行为健康需求的证据持续增加，其应用领域还涵盖神经学、肿瘤学、妇产科及儿科（图5）。此外，在这些领域内，数字工具的应用范围不断拓展，并在各类别中呈现出多元化的使用场景。

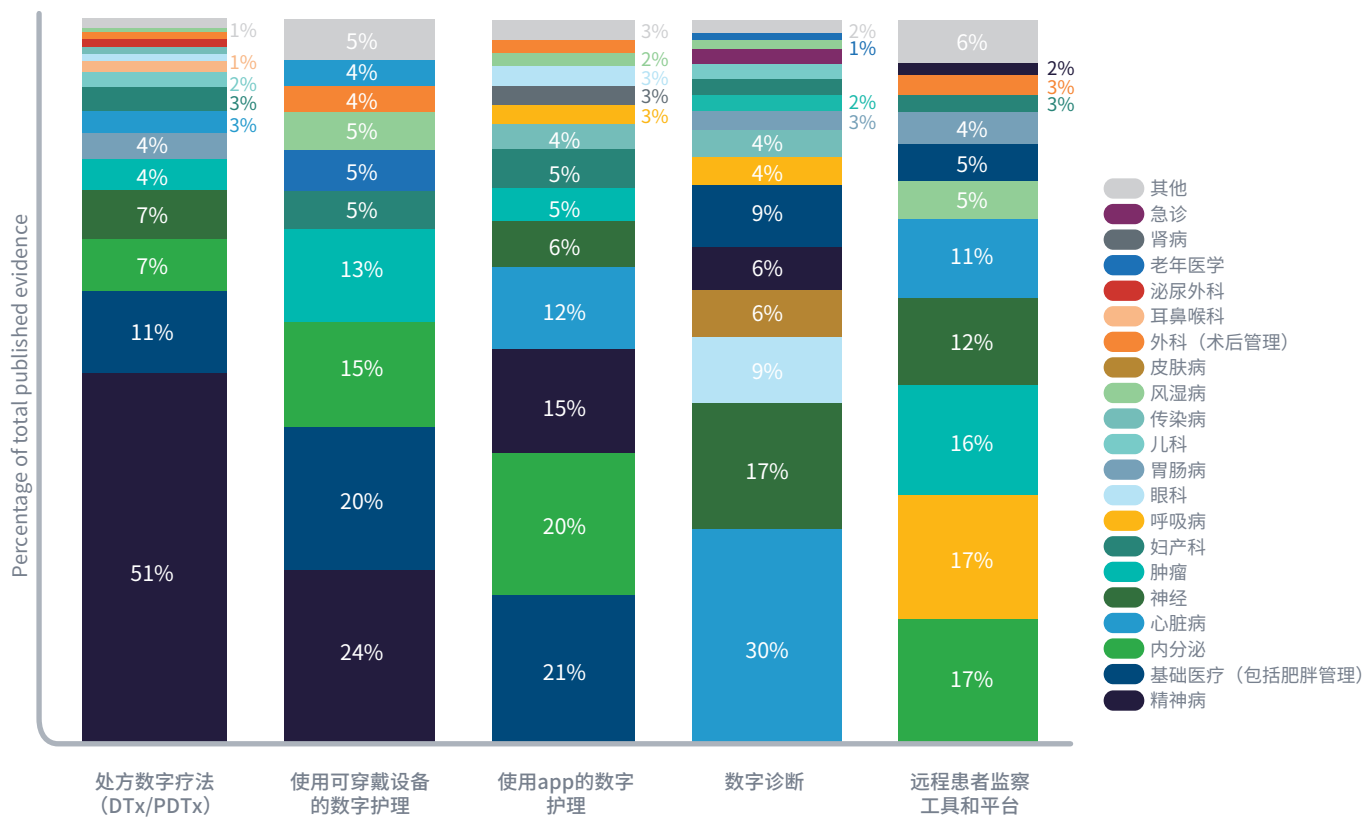
近年来，随着数字健康工具的扩展与多样化，已演变出更清晰的创新类别，每类工具均服务于特定的临床受众和应用领域（图6）。

图5：不同治疗领域的证据生成情况及其在已发表证据中的占比



数据来源：IQVIA Institute, Jun 2024. IQVIA AppScript Clinical Evidence Database, April 1, 2024.

图6：基于已发表证据的数字产品在医疗领域的应用



数据来源：IQVIA AppScript Clinical Evidence Database, May 2024.

应用的驱动因素和阻碍因素

即使数字健康产品成功获得支付方覆盖，仍需克服患者和医护人员的采用障碍，才能成为主流工具并在市场上实现规模化应用。尽管疫情加速了用户对数字工具的熟悉度和接受度，但将新技术和新疗法融入传统护理模式仍需要漫长过程。一部分数字健康政策成熟的国家推动了数字疗法的推广与处方应用，但在其他国家，数字疗法及其他数字工具的应用仍任重道远。

医护人员期望数字技术带来多重收益：包括提升患者参与度、加强监察以及降低就医羞耻感。他们同时认为，数字健康方案必须通过提供高质量证据，在医学界进一步建立可

信度。此外，关于报销的不确定性，以及患者如何适应新的使用体验，也是数字健康方案采纳过程中的关键障碍。

数字护理提供者的兴起主要依赖于远程医疗服务的提供，这也是推动数字健康方案采用的关键动力。与其在院内自行引入数字解决方案，医疗提供者越来越倾向于将患者转诊至专门的数字优先护理项目，以开展康复与疾病管理。在数字工具成功重塑既有治疗路径的场景中，试点研究与实用性临床试验有助于获得医生端的认同、展示价值、缓解利益相关方对数据使用与疗效的疑虑，并进一步产出关于成本影响的证据。

医疗系统的整合同样是成功的关键要素。医疗提供者与医疗系统期望这些解决方案能尽量减少额外工作量、顺畅嵌入既有的工作流程，并将数据回写至患者病历。因此，对开发者而言，确保与电子病历（EHR）的互操作性、支持计费流程以及与传统护理路径保持一致，都至关重要。

生命科学领域的机遇与合作

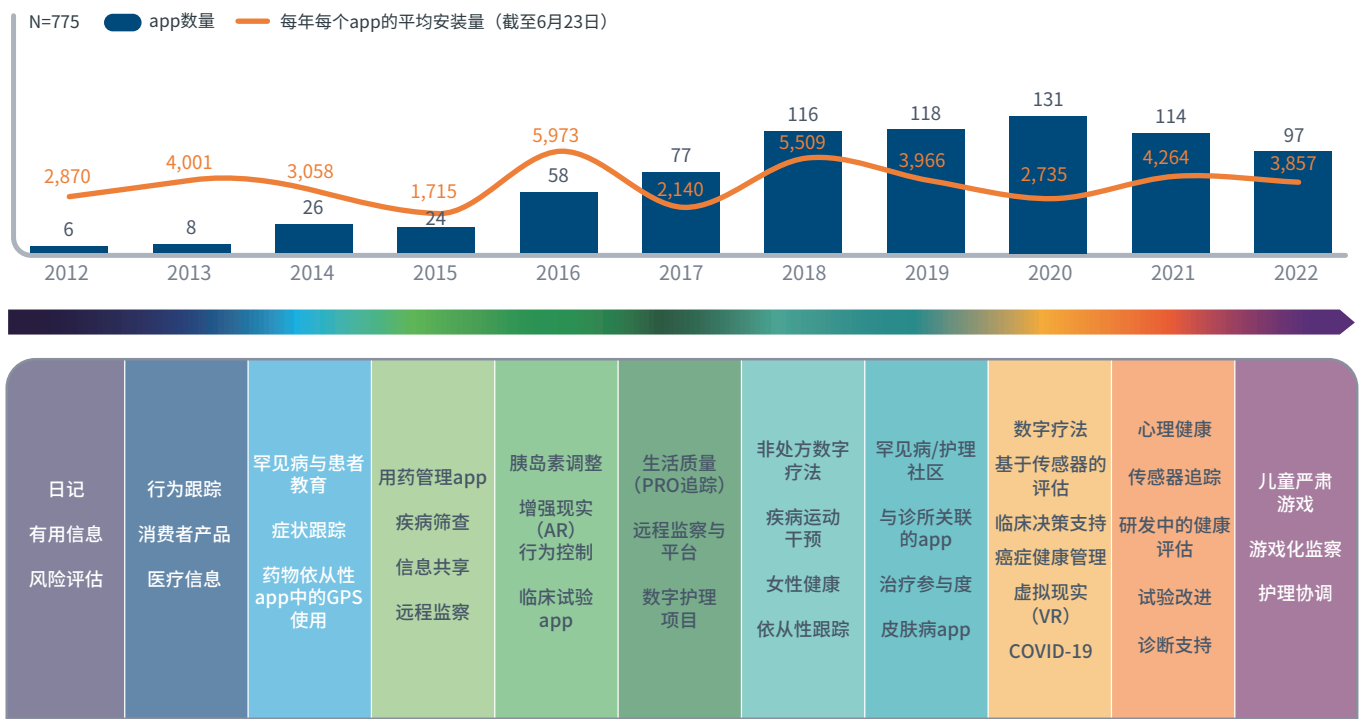
机遇与合作

领先的生命科学公司正以更为系统化的方式开展数字健康投资，对支持诊断、治疗与监察的各类解决方案进行全产品组合层面的价值与可行性评估。数字健康工具通常贯穿药品生命周期来提升价值，实现品牌差异化、满足特定产品组合需求、降低临床开发风险，并改善药品疗效表现。例如，配有传感器的监察设备可收集真实世界数据，常被用于临床

开发以强化疾病理解，并更好地洞察受试者在接受研究用药治疗期间的用药体验与结局。与器械厂商的合作还能基于连续数据采集创建新的数字终点，从而提高终点的精确性、加速试验进程并降低成本。此外，FDA 关于处方药相关软件的指南草案，也重新点燃了行业对药物之外的数字价值的兴趣，并为与药物同步推出软件提供了更低风险的路径。

随着生命科学公司日益将数字工具视为改善患者结局、补齐传统治疗产品组合短板的关键手段，它们已投资数字治疗（DTx）、配有传感器的监察解决方案、加速诊断的辅助工具以及 AI 赋能的临床决策支持。同时，旨在改善药物可及性并优化患者体验的患者支持生态系统与品牌化平台也逐渐成为新的重点，这些平台整合了远程医疗、线上药房与数字护理服务。

图7：生命科学公司在应用程序上的投资与创新



数据来源：Adapted from: Digital Health Trends 2024: Implications for Research and Patient Care. IQVIA Institute for Human Data Science, December 2024.

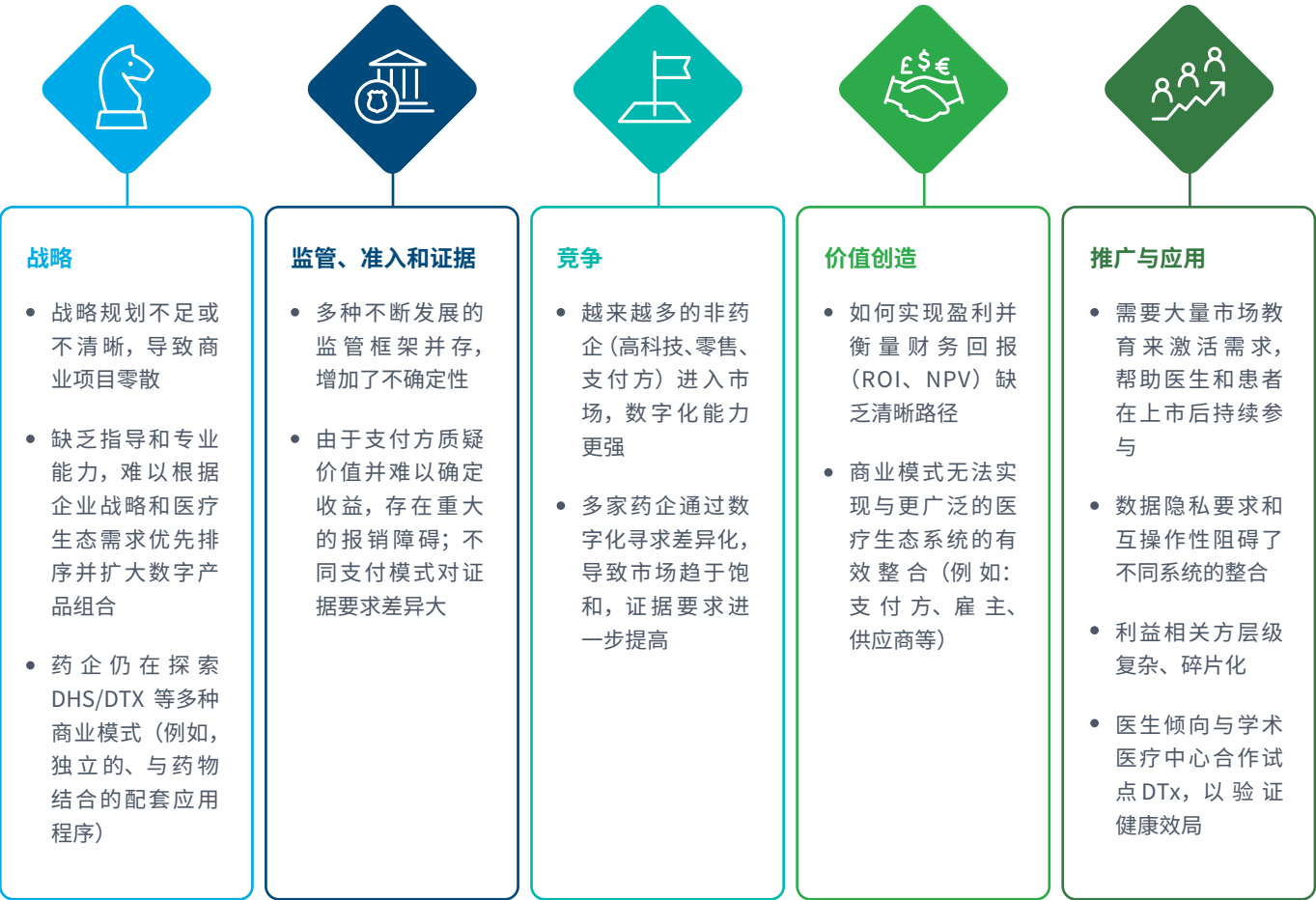
成功的障碍

尽管人们对数字健康解决方案的兴趣持续不减且前景广阔，但生命科学及其他数字技术开发者仍面临诸多挑战，难以充分发挥其潜力（图8）。虽然其中许多挑战阻碍了其在商业上的充分应用，但头部企业已开始采取系统化方法，选择有实力的合作伙伴，并发挥专业优势以提升商业成功率。

成功的合作模式

要确保数字健康产品实现预期的组合目标，需要一套清晰、端到端的战略。这包括快速而审慎地执行计划，并选择合适的合作伙伴。为此，领先的生物制药公司已开始将长期以来用于传统疗法的严谨、系统的方法应用于数字领域。他们将资源集中于最具影响力的数字项目，利用数据来制定战略、发现机会，并从成功实现规模化的数字健康企业中汲取经验。这些见解有助于确保合作模式能够立足于真实的市场需求，并为成功奠定基础。

图8：生命科学公司在商业化数字健康产品时面临的挑战



数据来源：IQVIA; Oct 2025

全球HIV防治和支出趋势

HIV的治疗和预防以及尚未满足的需求

过去四十年，治疗人类免疫缺陷病毒（HIV）的药物研发取得了显著成果，高效抗逆转录病毒疗法（ART）和暴露前预防（PrEP）的引入显著降低了与HIV相关的发病率和死亡率，这一成就体现在艾滋病（AIDS）相关死亡人数和新感染病例数的减少上（图1）。截至2024年全球约有4080万人感染HIV，其中约3160万人正在接受ART疗法。

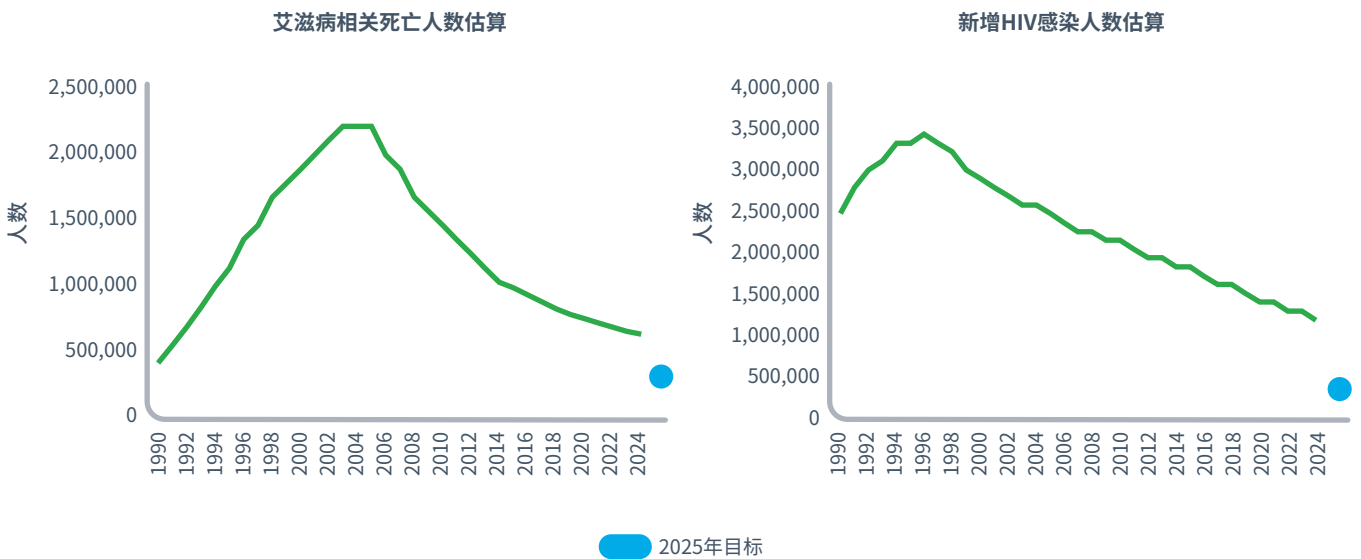
艾滋病治疗方面的进展得益于强大的科学研究、全球卫生组织之间的合作以及对HIV/AIDS防治的大量资金投入。对HIV分子和遗传机制的深入研究推动了靶向ART药物的研发。此外，临床试验和研究对于优化治疗方案和疗程也起到了关键作用。国际合作和倡导活动在调动资源、分享知识以及在全球范围内扩大治疗等方面发挥了重要作用，确保了HIV治疗的创新成果能够惠及世界各地有需要的人。

尽管治疗取得了重大进展，但仍存在若干未满足的需求领域，需要予以关注和投入。

未满足的需求：为HIV感染者和关键易感人群提供适当的治疗

艾滋病的发病趋势仍凸显出明显的群体差异。医疗资源分散、缺乏护理协调、污名化以及歧视等问题持续阻碍着预防和治疗的可及性。这些不平等现象是由种族/民族、性别、城市化迁移、住房、食物保障以及社会支持等复杂因素相互作用所导致的。高风险易感人群包括男同性恋、双性恋、男男性行为者、性工作者、跨性别者、少数民族/族裔、青少年、吸毒者、移民、服刑人员、以及在性行为中使用毒品的人群。

图1：1990至2024年艾滋病相关死亡人数及新增HIV感染人数估算



数据来源：UNAIDS, Jul 2025.

例如，加拿大原住民和注射毒品者在治疗依从性和控制疾病方面面临挑战，这可能导致感染率增加。注射毒品者中 HIV 晚期确诊仍较常见，尤其是注射毒品的女性难以保持良好的依从性。

虽然一些群体是众所周知的重点人群，但艾滋病的发病趋势正在发生变化，越来越多的病例出现在现有预防服务覆盖不足的群体中。例如在欧盟国家，新诊断出的病例主要是中年男性和女性，占新病例的28%。逾半数新发病例存在延迟诊断现象，其中异性恋群体（尤其是男性）、注射吸毒者及老年人群体的延迟诊断率最高。全球范围内，女性占 HIV 感染者的53%，2023年新增感染病例中44%发生在女性和女孩群体中。女性健康结局更差，病毒抑制率更低，副作用更多，而且往往不太愿意与医护人员讨论治疗方面的担忧。口服替诺福韦二吡呋酯和恩曲他滨的PrEP在女性中的效果不一，这可能是由于依从性和接受度方面的问题，这凸显了长效 PrEP 的必要性。

移民群体也受到HIV的不成比例影响。排除来源地区未知的情况，欧盟国家的移民HIV诊断比例已从2014年的47.3%上升至2023年的55.8%。除了理解全球趋势外，认识到国内HIV感染的动态同样至关重要。欧洲疾病预防控制中心报告指出，许多移民在抵达欧盟后才感染HIV，这凸显了开展有针对性的预防宣传活动的关键性，同时需要提供能够在与医疗服务偶尔接触的情况下，给予长期保护且对个人负担最小的选项。

未满足的需求：应对耐药性问题

另一个忧虑点是未来可能出现的耐药性，这威胁着艾滋病治疗药物未来的疗效，也凸显了持续创新的必要性。自2012年以来，WHO和治疗指南都将其作为关注重点。WHO持续发布有关HIV耐药性的详细报告，并将其纳入更广泛的抗微生物药物耐药性问题。国际治疗指南也强调了监测和应对HIV耐药性的重要性。

在全球临床环境中，HIV耐药现象普遍存在。2019年WHO发布的全球 HIV 耐药性报告显示，在初次或再次开始一线ART治疗的患者中，依非韦伦或奈韦拉平（非核苷类逆转录酶抑制剂，NNRTIs）的治疗前耐药率较高。在英国和澳大利亚，NNRTI 耐药率高达12.9%。2024年WHO发布的全球 HIV 耐药性报告指出，对多替拉韦的耐药情况可能比预期更严重，尤其是在有大量既往治疗经验的人群中。虽然对整合酶链转移抑制剂（INSTIs）的耐药较为罕见，但近年来其发

生率有所上升。最近发表的真实世界研究表明，ART药物耐药性对临床结局、医疗资源利用和经济成本产生了影响。

在ART疗法的可及性和依从性存在缺口的情况下，耐药性的风险更高，尤其是在中低收入国家（LMICs）。然而，治疗依从性不佳的情况并非仅限于LMIC；有研究显示，西方国家的依从性不佳的比例也高达30%。这些问题凸显了亟需更“宽容”的治疗方案，即使依从性不佳也能确保持续的病毒抑制，或者能从根本上提高依从性。

例如，新型长效ART疗法在应对这一挑战方面颇具前景。与每日口服疗法相比，长效ART制剂的使用频率更低，从而减轻了治疗负担，有可能提高患者的依从性。一项真实世界研究显示，超过85%的对口服ART依从性不佳的HIV感染者，在使用长效注射ART疗法（卡博特韦/利匹韦林）48周后，仍坚持用药且病毒得到抑制。这些发现表明，长效疗法可能在提高依从性方面发挥关键作用，从而降低治疗失败和耐药性的风险。

使用强效且耐受性良好、耐药屏障高的一线ART疗法是预防出现新耐药性的关键。尽快启动ART治疗还能显著降低治疗失败和产生耐药性的风险，否则不仅会影响药物疗效，还会增加感染、发病率和死亡率，导致更复杂和昂贵的临床干预措施。展望未来，应继续推广能够快速启动且具有高耐药屏障的一线治疗方案，同时采用依从性更好的新型药物来减少耐药性的出现。然而，由于HIV的特性（具有高复制率和重组率，以及易出错的逆转录机制），一旦出现耐药性突变，这些突变将是终身的，并可能限制治疗选择。因此，继续研究新的作用机制至关重要。

未满足的需求：研发有效的HIV疫苗和治愈方法

尽管预防和应对耐药性至关重要，更长远的目标是研发有效疫苗和可推广的治愈方法。ART疗法在实现快速且持续的病毒抑制方面发挥了重要作用，从而降低了HIV感染者的传播率、发病率和死亡率。然而，ART疗法仍无法从体内清除病毒，一旦停止治疗，病毒就会反弹。实现治愈是一项复杂的挑战，需要创新策略来针对持续存在的病毒库。虽然研发不止，但目前尚无可广泛使用的治愈方法或有效疫苗，这凸显了持续投资研发的必要性。

总体而言，尽管HIV治疗已取得重大进展，但要确保所有艾滋病患者都能得到恰当的治疗和全面的护理仍面临诸多挑战。特别是不断变化的患者群体，诊断和依从性的问题尤为

突出，而这是患者整体治疗体验中的关键环节。此外，建立可持续的研究以应对HIV耐药性问题，并推动最终的治愈方案至关重要。2021年联合国通过了95-95-95目标，计划于未来实现：95%的HIV感染者知晓自身感染状况，95%知晓自身感染状况的患者接受治疗，95%接受治疗的患者实现病毒抑制。一些非洲和欧洲国家（如津巴布韦）已达成目标，而柬埔寨和英国等其他国家也正朝着这一目标迈进，但许多欧洲、中亚和东南亚国家尚未达标。这凸显了了解当前艾滋病领域的发展动态的重要性，这些动态可能对全球未来的艾滋病护理产生影响。

HIV的研发、资金投入和政策趋势

满足不同弱势群体未被满足的需求、降低耐药风险以及开发变革性创新成果（如有效疫苗和可推广的治愈方法），这一切都取决于持续的研发投入，以及改善艾滋病患者治疗局的政策环境。

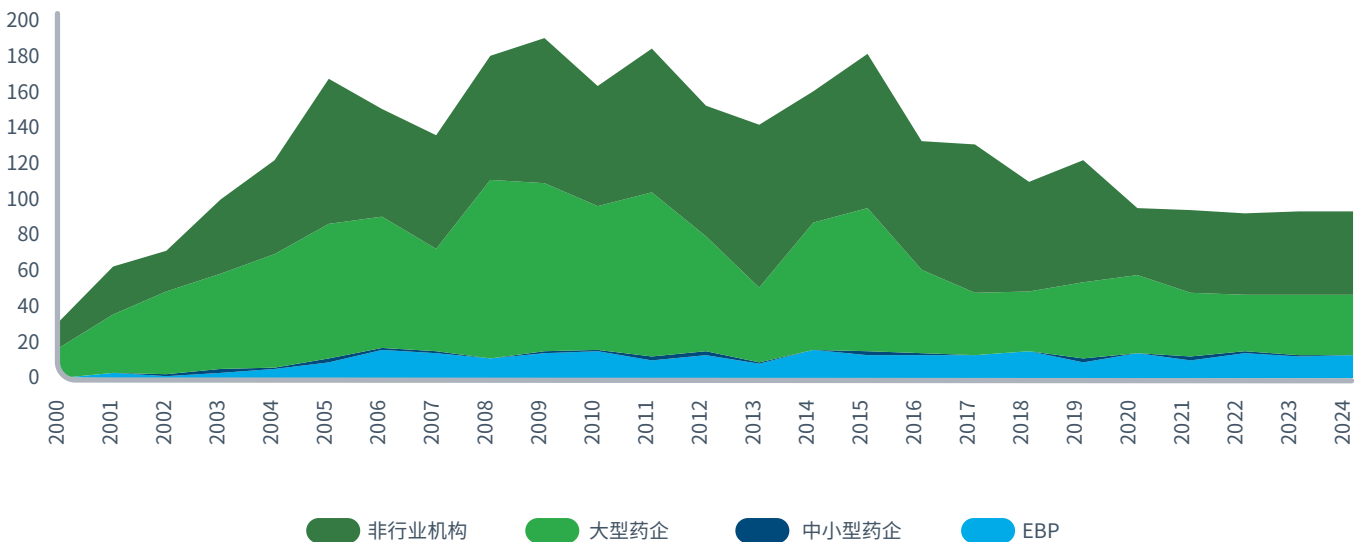
然而，目前在HIV的研发、资金投入以及政策层面存在挑战。从研发角度来看，自2020年以来，每年启动的HIV临床试

验数量一直稳定在约90项，低于此前十年平均每年150项的水平（图2）。这一趋势在行业和非行业申办HIV临床试验中都存在。此外，全球处方药年销售额超过100亿美元的大型药企主导了70%以上行业申办的试验；而在其他治疗领域，新兴生物制药公司（即每年研发支出低于约2亿美元且无销售或年销售额低于5亿美元的公司）主导的行业申办试验超过60%。非行业机构，包括学术机构、非营利组织、政府以及其他未披露有生物制药参与的机构，在HIV研发方面贡献显著，2024年启动的试验中有一半是由这些机构申办的。

此外，HIV领域的研发交易在2000年至2010年代初不断增加，但在过去十年中大幅减少，2024年的交易数量还不到2015年的一半（图3）。这些交易包括生命科学公司之间的并购、授权、合作研发和融资。

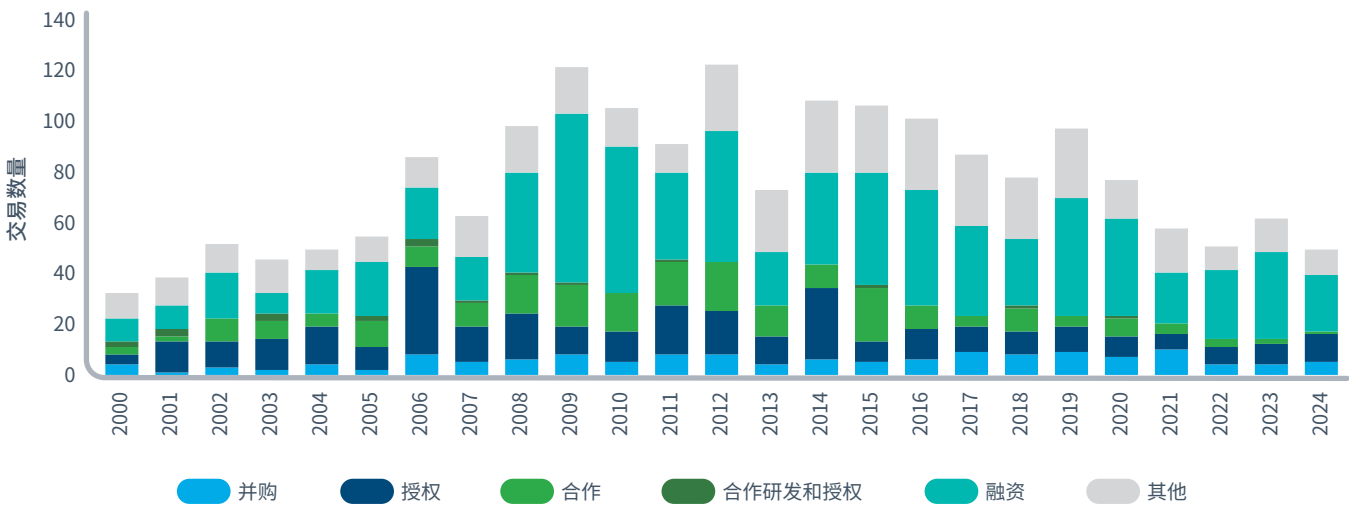
资金交易是指没有额外合作或授权，资金通常由独立机构提供，这些机构往往是政府机构、学术机构或研究联盟。过去，授权和合作研发在交易活动中占比较大，但在过去十年中有所下降。资金交易占有HIV相关交易的一半，在过去十年中下降了39%。

图2：2000-2024年按申办方划分的HIV临床试验启动情况



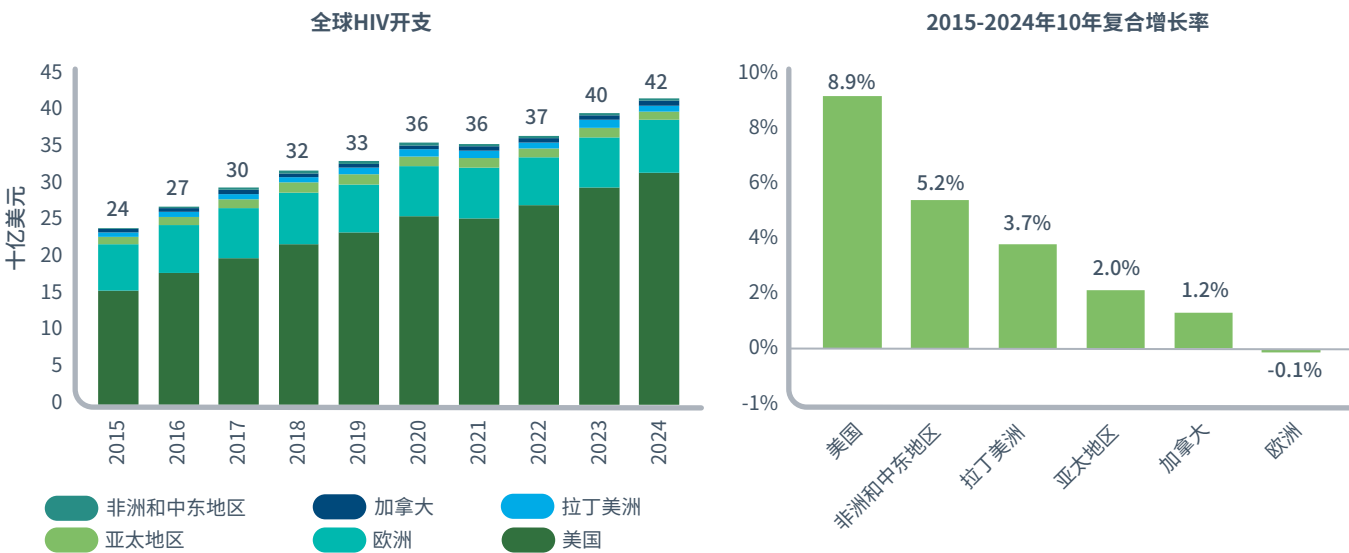
数据来源：UAACT Database, Jan 2025; IQVIA Institute, Apr 2025.

图3：2000-2024年按交易类型划分HIV交易数量



数据来源：IQVIA Pharma Deals, Dec 2024; IQVIA Institute, Apr 2025.

图4：2015-2024年全球HIV治疗药物支出（按标价计算）及年复合增长率，单位：十亿美元



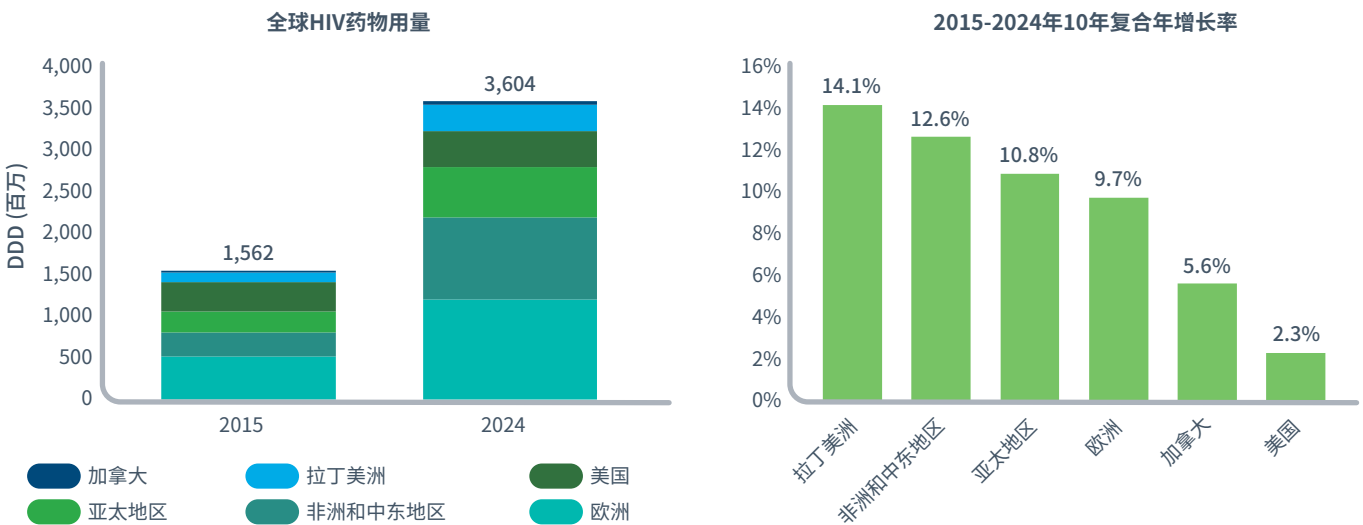
美国新药及仿制药上市动态						
2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021
Genvoya abacavir 仿制药	Descovy	tenofovir 仿制药 isoproxil fumarate仿制药	Biktarvy Pifeltro Trogarzo	emtricitabine 仿制药 /tenofovir disoproxil fumarate	Rukobia	Cabenuva

数据来源：IQVIA MIDAS, Dec 2024; IQVIA Institute, Apr 2025.

过去十年间，全球按制造商标价计算的HIV药物支出一直在增长，其中美国的支出增长推动了这一趋势。然而，欧洲过去十年的增长却一直停滞不前，平均每年下降0.1%（图4）。

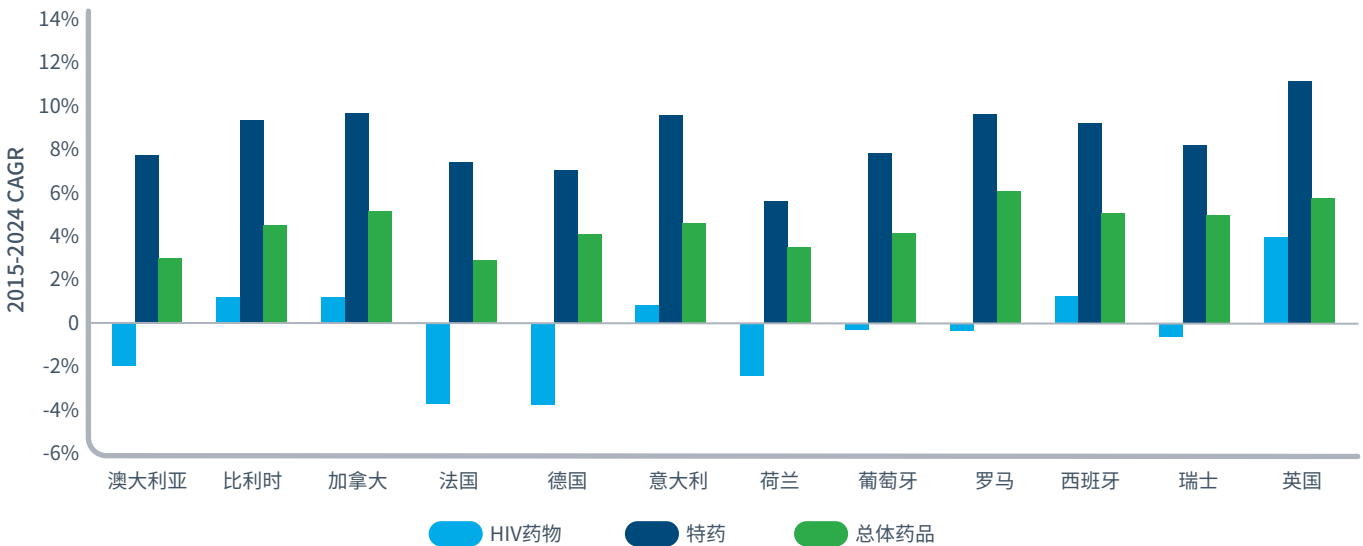
过去十年间，全球抗HIV药物的使用量增加了一倍多，各地区均呈现高增长态势（图5）。

图5：2015-2024年全球HIV药物用量（按限定日剂量（DDD））及各地区年复合增长率



数据来源：IQVIA MIDAS, Dec 2024; IQVIA Institute, Apr 2025.

图6：2015-2024年按细分市场划分的10年支出年复合增长率

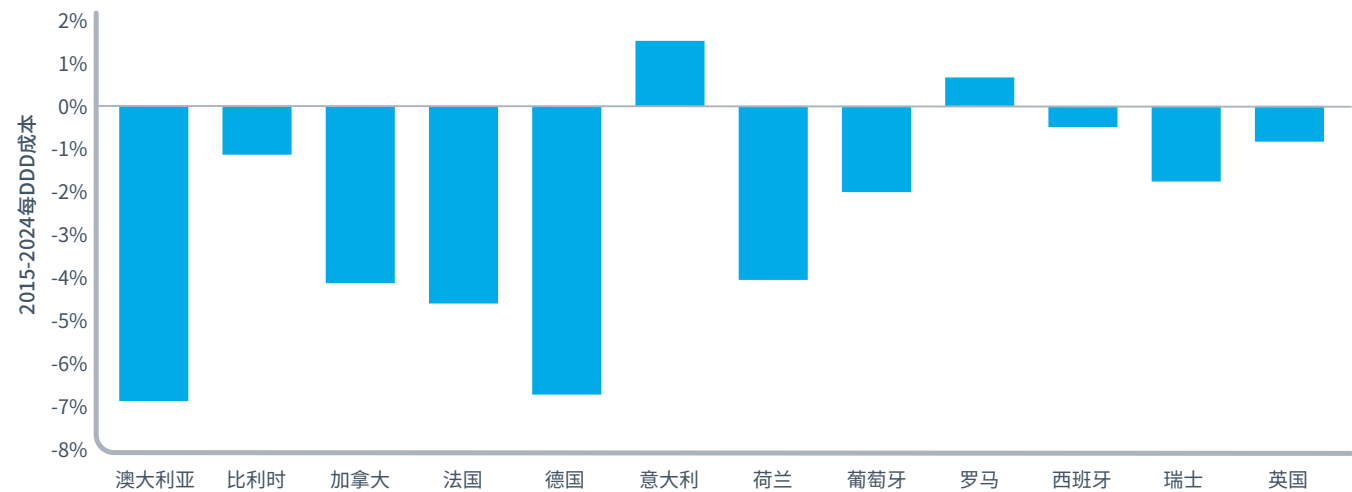


数据来源：IQVIA MIDAS, Dec 2024.

过去十年，部分欧洲国家、澳大利亚和加拿大，HIV药物的支出几乎没有增长，远低于特药和整体药品的增长水平（图6）。

在欧洲的多个国家，尽管HIV药物的支出保持平稳或略有增长，但每种药物的每日限定剂量成本却在下降（图7）。这表明该市场可能正趋于成熟，随着仿制药的增多，现有药物的成本正在降低。

图7：2015年至2024年每DDD成本的10年年复合增长率



数据来源：IQVIA MIDAS, Dec 2024; IQVIA Institute, Apr 2025.

药物支出成本的下降可能影响HIV的研发投入，进而阻碍针对未满足需求的新疗法的可持续发展和上市。削减治疗保障资金以及控制HIV支出的做法可能会限制新疗法的整体研发。鉴于未满足需求需要的治疗方法是提高患者依从性并减轻患者负担，所以必须建立支持性的体系来推动相关研发。然而，欧洲药品定价和支出方面的政策变化可能会进一步增加疗效评估的难度。这些政策涵盖四个关键方面：卫生技术评估（HTA）的流程和方法、定价体系调整、资金筹措和采购机制以及回扣和行业偿付机制。

HTA流程和方法

各国HTA流程不断演进，近期更新进一步收窄了在HTA中证明价值的标准，这对解决HIV领域尚未满足的需求产生了影响。例如，荷兰2023/2024年的药物经济学指南，更强调了以成本效益作为报销标准，并明确了质量调整生命年（QALY）和成本衡量的定义标准。严格的成本效益方法可能会对HIV创新构成挑战，因为新疗法往往只在某些亚人群中带来渐进但有意义的改善（例如，改善耐受性、减少长期毒性、减少给药频率）。这些优势可能无法达到报销所需的成本效益门槛。

此外，HTA的疗效评估可能无法充分考虑HIV试验设计中固有的特殊限制。一个典型例子是在艾滋病研究中对非劣效性研究的依赖。

尽管这些研究在该领域属于标准且合乎伦理的方法——鉴于现有的ART疗法已经具有很高的有效性和安全性——但HTA机构通常认为非劣效性试验不足以证明新疗法的更广泛价值。这种脱节可能会在HTA评估过程中造成挑战。例如在德国，根据AMNOG框架，非劣效性试验往往无法证明与现有疗法相比具有“额外收益”，导致新型疗法获得较低的价值评级或在报销讨论中受限。同样，在意大利对Sunlenca和Rukobia进行创新性评估中，尽管意大利认识到对于治疗经验丰富的患者而言，新产品的治疗需求非常高，但由于试验中的某些因素（例如，非随机队列、不同研究组患者接受的优化背景疗法存在差异），证据质量被认为不足。这一案例凸显了HIV试验的伦理和科学设计与HTA体系证据要求之间的矛盾。随着艾滋病未满足的需求不断变化，未来更应关注长期健康和患者生活质量的逐步改善，而不仅仅是短期疗效。

定价体系调整

许多国家正在实施新的药品定价规则，通常基于对“新增疗效”的认定。尽管初衷是确保物有所值，但它可能会对HIV新疗法带来负面影响。例如瑞士修订了《瑞士联邦强制健康保险法》（LAMal），规定如果患者选择某些高价专利药物而非更便宜的仿制药时，需要增加自付费用。这些变化对于经济拮据的患者不利，因为更高的自付费用和更严格的报销政策可能会加剧治疗可及的不平等。虽然对成本效益的关注旨在促进资源的有效分配，但其对弱势患者群体以及像艾滋病这样的慢性病创新疗法的影响需谨慎评估，以避免产生新的治疗障碍。

资金与采购

采购系统的变化可能会进一步加剧药物可及的难度。受当地流行病趋势和控制支出的驱动，一些国家正在改变艾滋病药物的采购和管理策略。例如，自2022年起英国国家医疗服务体系（NHS England）实施全国统一的采购合同，并在2024年续签，强调以价格为核心。虽然此举旨在全国范围内统一获取渠道，但针对艾滋病药物采取的集中招标方式可能会产生负面效果。它可能过度强调价格而非临床差异，倾向于选择较老的仿制药，从而延误患者获得能提高依从性和生活质量的创新药。这种“一刀切”的方法可能无法充分满足艾滋病患者的不同需求，尤其是那些患有复杂共病或存在特殊需求的患者，还可能导致医疗护理方面的不公。一个兼顾价格、临床结局、患者和医护人员偏好以及长期社会效益的平衡框架才是避免障碍的关键。

回扣和行业偿付机制

在财政压力加大的背景下，一些市场也在实施和重新审视回扣和偿付机制等措施，以控制医疗支出。例如法国在2024年更新的《框架协议》中，将“保障条款”（即回扣总额）提高到了16亿欧元（2022年为12亿欧元）。2024年，西班牙公共卫生国务秘书 Javier Padilla 宣布，鉴于艾滋病治疗药物主要通过医院渠道销售，回扣款项的范围将从零售药店扩大到医院药品销售，这一变化意义重大。这些措施旨在控制支出，但往往没有考虑到哪些治疗领域对医疗支出的增长贡献最大，比如肿瘤、免疫和糖尿病。尽管艾滋病治疗和预防工作对公共卫生至关重要，但这些广泛的成本控制策略可能会对其产生影响。

总体而言，从经济和政策角度来看，HIV 相关的动态变化需要各利益相关方进一步讨论。建立一个可持续的市场，以促进新型治疗手段的研发和上市，从而持续满足未被满足的需求，尽量减少艾滋病相关的不良结局，但在现有政策和成本压力下，这一目标面临不小挑战。

讨论与行动呼吁

艾滋病的治疗和预防已取得重大进展，但仍面临诸多重大挑战。随着感染者和关键易感人群需求不断变化，艾滋病医疗服务需要持续改进和扩展。此外，鉴于出现耐药性的风险，需要努力寻找新的作用机制，研发有效的疫苗和可大规模推广的治愈方法以减轻全球艾滋病负担。要实现这些长期目标，持续资金支持至关重要。

总体而言，资金和研发的变化可能对 HIV 药物的持续创新构成挑战。保证长期效益需要政策制定者和所有涉及艾滋病的利益相关方进一步讨论。几个关键的讨论领域包括：

成本控制政策对艾滋病治疗的影响

- 评估现有政策是否限制了当前和未来疗法的可及性。广泛的获取渠道对于治疗的依从性和有效性至关重要。
- 将关键单片复方制剂实现仿制后节省的成本，重新投入进一步的创新，以解决艾滋病护理中尚未满足的需求。
- 探索保护创新的机会，可考虑设立专项资金池，例如英国的癌症药物基金（CDF）或意大利的创新药物基金（该基金最近已扩大范围，将抗微生物耐药性的抗生素也纳入其中）。

灵活的定价和报销流程，体现长期效益

- 评估定价和报销（P&R）流程时，采用多元化指标评估治疗价值，而不仅限于病毒抑制情况。在可行情况下，P&R 流程可评估关键亚人群数据的价值——这些亚人群在感染率相对较低的国家推动着发病率上升。此举有助于解决尚未满足的需求。由于存在需求各异的多元化人群，在 HIV 领域必须采取定制化的护理方案。
- 要确保 P&R 流程不会成为获取不同治疗和 PrEP 方案的障碍。最终应由医护人员决定采用何种护理方案。
- 推动以患者为中心的医疗，更注重患者报告结局、生活质量以及长期效益。改进治疗方案，尤其是疫苗和治愈方案，有望显著减轻艾滋病对卫生系统的负担。

持续投资不仅能改善个体患者的治疗结局，也有利于整体公共卫生事业，有助于终结艾滋病的流行。通过保护和促进创新，我们才能应对艾滋病带来的持续挑战，最终实现更好的健康结局和生活质量。

更多信息，敬请垂询

Danning Luan
IQVIA艾昆纬中国管理咨询和市场洞察业务咨询顾问
danning.luan@iqvia.com

新兴生物制药创新十年全景

EBP的定义和分类

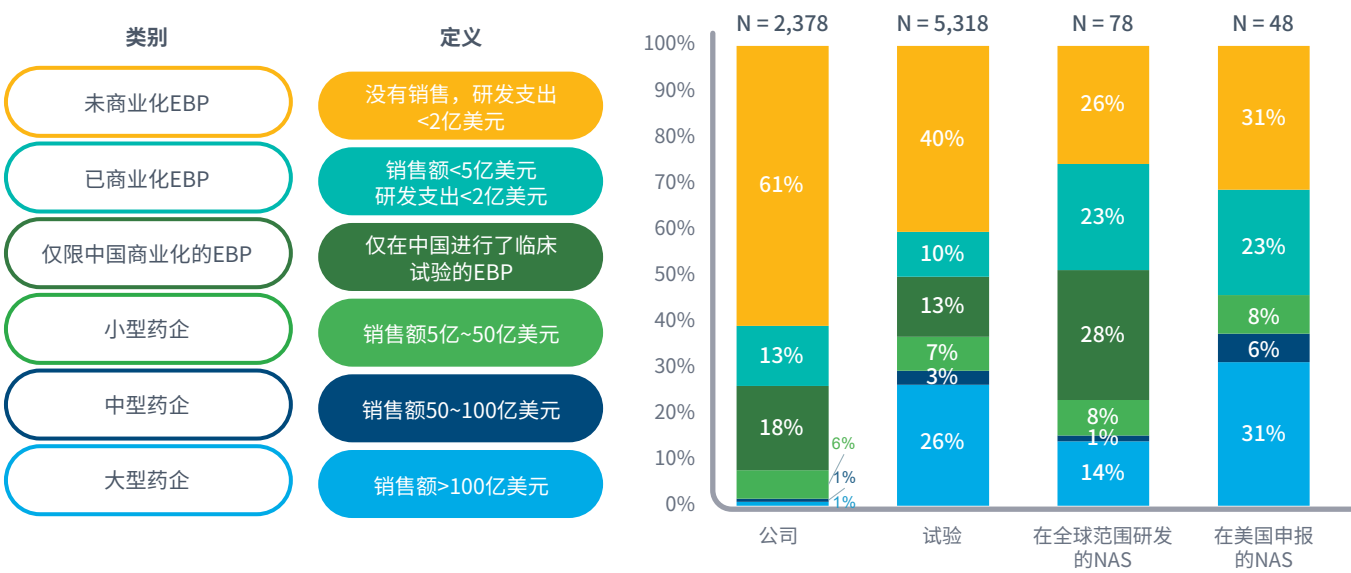
- 新兴生物制药公司 (EBP) 是指每年研发投入低于2亿美元、全球年收入低于5亿美元的公司，其中包括尚未实现商业化的无收入公司。
- EBP是生物医药创新生态的重要组成部分，该生态系统也包括大型药企。
- EBP负责新药的研发、开发、注册和商业化。
- 部分新药在研发和商业化阶段会在不同的EBP之间转手。
- 由EBP掌控的新药包括通过美国FDA 505(b)(1) 途径获批的新型活性物质 (NAS) 和其他新原创药物，以及通过简化新药申请 (ANDA) 途径获批的新药。
- 在美国经由EBP实现商业化的药品通常也会在世界其他地区上市（往往由其他公司负责），同时一些来自其他国家的药品也会被引入美国市场。
- 在过去十年中，除仅在中国开展业务的EBP外，拥有临床试验启动记录的公司中有74%为EBP，临床试验中有50%由EBP发起，过去十年NAS的原研方有49%为EBP，向美国FDA 提交申请的公司中有54%为EBP。



EBP的定义和分类

2024年，EBP占研发型公司的92%，启动了63%的临床试验，发起77%的新药申请，以及在美国上市了54%的新药

图1：2024年公司类别定义及统计



数据来源：Citeline Trialtrove; IQVIA Institute, July 2025.

- 要全面理解EBP在全球生物制药行业中相对于其他药企所扮演的角色，建立一套通用的定义至关重要。通过营收和研发管线活动对公司进行划分，是一种简单而有效的企业分类方式。
- 本报告中的公司分类基于2024日历年，但药物研发的分析则以药物首次申请专利或首次开展临床试验时的情况来评估相关公司：
- EBP被定义为研发支出低于2亿美元或处方销售额不超过5亿美元的公司。纳入统计的公司需自2014年以来有在研产品。根据是否存在销售业绩，将商业化的EBP（310家）和未商业化的EBP（1447家）区分开。
- 小型药企：包括146家2024年全球销售额在5亿美元至50亿美元之间的企业。
- 中型药企：包括17家在2024年全球销售额介于50亿至100亿美元之间的公司。
- 大型药企：有22家全球销售额超过100亿美元。
- 仅在中国开展临床试验的EBP是基于EBP分类，在试验层面查看申办方的试验情况，识别出那些试验地点仅在中国的公司，此类公司共有436家。
- NAS是指首次在全球或特定地区上市时至少含有一种新成分的新药，具体取决于分析的背景情况。

融资与战略交易

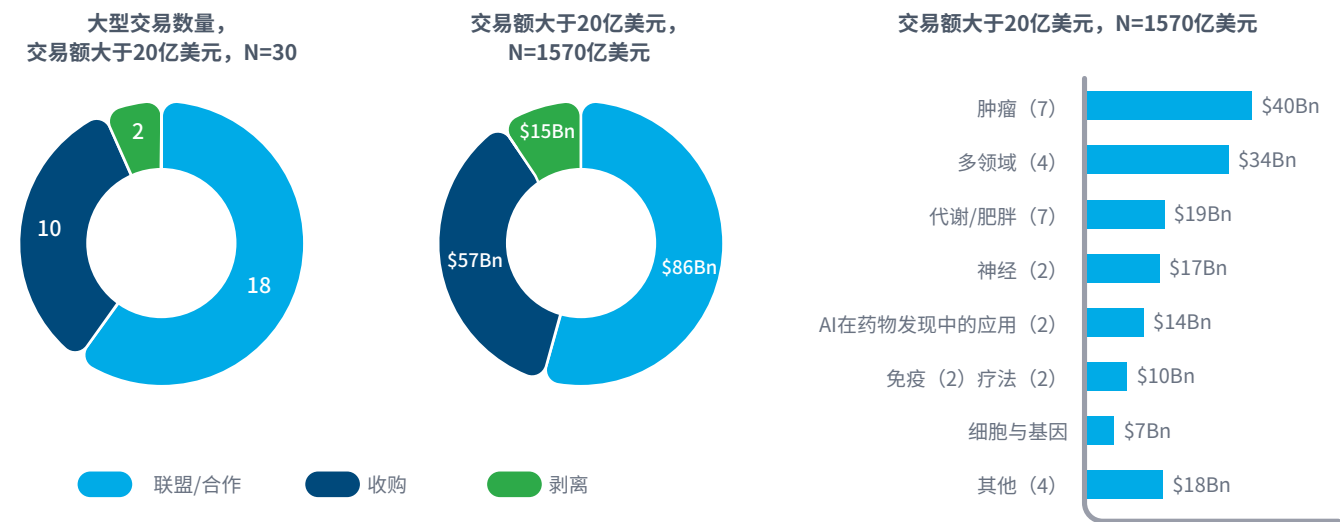
- 尽管2024年生物制药领域的首次公开募股(IPO)数量较少,但该领域的资金投入水平有所回升,然而2025年增长缓慢,全年可能仅达到2024年水平的一半多一点。
- 过去四年,IPO的数量减少,融资规模也降低。截至2025年7月,通过IPO筹集的资金仅为14亿美元,若全年保持这一水平,将是过去十年中最低的。
- 2025年,规模超过20亿美元的大型并购和授权交易数量大幅增加,截至2025年7月已宣布30笔此类交易,超过了2024年全年的数量,预计全年将达到51笔,交易总额预计将达到2690亿美元,远高于2023年和2024年。
- 2025年的大额交易主要是授权交易,重点集中在肿瘤、肥胖症、神经和人工智能领域。

- 近几年,中国研发资产的国际交易持续活跃,如果2025年上半年此类交易的势头得以保持,那么这一年将成为迄今为止规模最大的一年。
- 近年来,随着中国公司研发的新药在美国和欧洲相继获批,中国领先药企作为全球创新力量加速崛起的趋势预计将持续深化。
- 2025年前七个月,发生了八笔涉及中国企业的并购或授权交易,交易价值均超过20亿美元,其中四笔涉及中国EBP,另外四笔是过去十年逐步发展壮大的公司。



2025年的大型交易主要是授权交易，重点集中在肿瘤、肥胖症、神经和人工智能领域

图2：截至2025年7月，价值超过20亿美元的交易

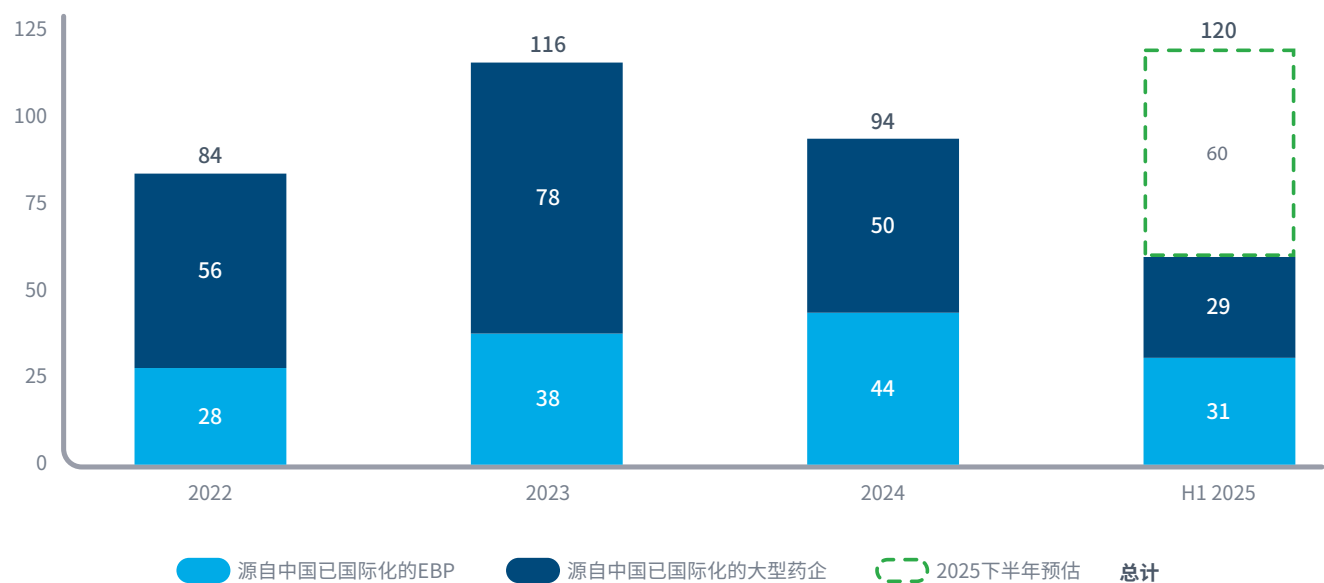


数据来源：BioWorld, Jul 2025, IQVIA Pharma Deals, Jul 2025.

- 2025年前七个月交易额超过20亿美元的30笔交易总额达1570亿美元。
- 在这些大型交易中，联盟/合作是最常见的，30笔交易中有18笔属于此类，总额达866亿美元。
- 收购交易共10笔，价值570亿美元，而剥离特定资产的两笔交易价值150亿美元。
- 交易活动最活跃的是肿瘤领域，共七笔，交易总额达400亿美元，此外代谢/肥胖症和神经领域也有较多交易。
- 在肿瘤领域，EBP专注于罕见病症，这可能会影响其在这类交易中的资产价值。
- 在药物研发领域，AI方面的大型交易表明，业界希望利用无处不在的AI技术来提升研发过程中的发现和验证环节的效率。

近几年，中国研发资产的国际交易持续活跃

图3：涉及中国研发资产的交易数量



数据来源：Pharmadeals, Jun 2025

- 过去五到十年，中国企业在全球临床试验活动中的重要性日益凸显，尽管许多中国企业在海外几乎没有业务活动。
- 越来越多的中国企业正在授权其创新资产或与国际公司合作，试图进入美国和欧洲等更大的发达市场。
- 过去四年中，涉及中国研发资产的交易数量有所波动，但由于此前几乎没有此类活动，这已成为一个重要的创新来源。
- 如果2025年上半年的交易速度得以保持，那么全年将创下历史新高。
- 近年来，随着中国企业研发的新药相继在美国和欧洲获批，中国一些顶尖企业正加速成为全球创新者。

2025年前七个月，有8笔中国企业参与的交易金额超过20亿美元，其中一半属于EBP

图4：截至2025年7月，中国企业参与的金額超过20亿美元的并购及联盟/合作/授权交易

公司	交易额 (亿美元)	治疗领域	描述
葛兰素史克和江苏恒瑞医药	125	多领域	葛兰素史克与恒瑞医药在全球（不包括大中华区）共同研发12种药物，包括HRS-9821，涵盖呼吸、免疫、炎症和肿瘤等领域
辉瑞和三生制药	62	肿瘤	辉瑞在全球（不包括大中华区）研发并上市三生制药的SSGJ-707抗癌药物并保留选择权
阿斯利康和石药集团	53	免疫	阿斯利康与石药集团在全球研发免疫性疾病的临床前可用药物
阿斯利康和和铂医药	47	肿瘤	和铂医药与阿斯利康在全球研发免疫和肿瘤抗体，并对两个临床前免疫项目拥有选择权
Vor Biopharma和荣昌生物	42	免疫	Vor Bio在全球（不包括大中华区）研发并上市荣昌生物的telitacicept，用于治疗重症肌无力、系统性红斑狼疮和类风湿关节炎
Verdiva Bio和杭州先为达生物	25	代谢/肥胖	Verdiva Bio与杭州先为达生物达成授权与合作协议，在全球（不包括大中华区和韩国）研发并上市一系列代谢疾病疗法
再生元制药和翰森制药	20	代谢/肥胖	再生元制药在全球（不包括中国大陆、中国香港和中国澳门）研发并上市翰森制药的HS-20094用于治疗肥胖
诺和诺德和联邦生物科技 (珠海横琴)	20	代谢/肥胖	诺和诺德在全球（不包括大中华区）研发并上市联邦生物科技（珠海横琴）的UBT 251，用于治疗肥胖、2型糖尿病及其他疾病

注：斜体表示EBP公司
数据来源：BioWorld, Jul 2025, IQVIA Pharma Deals, Jul 2025.

- 2025年前七个月，中国企业已完成8笔金额超过20亿美元的并购或授权交易。
- 这8笔交易中有4笔涉及中国EBP公司，另外4笔交易来自过去十年内逐步发展壮大的公司。
- 最高交易额为葛兰素史克与江苏恒瑞医药之间达成的价值125亿美元的协议，涵盖12种药物海外上市的权益。
- 8项交易中有6项涉及中国境外地区的权益，中国企业均继续参与运营，并通过后续研发、注册及商业化里程碑获得相应付款。
- 并购及合作交易已成为许多EBP的重要增长策略，使其在不直接进入新市场的情况下实现扩张。

临床试验

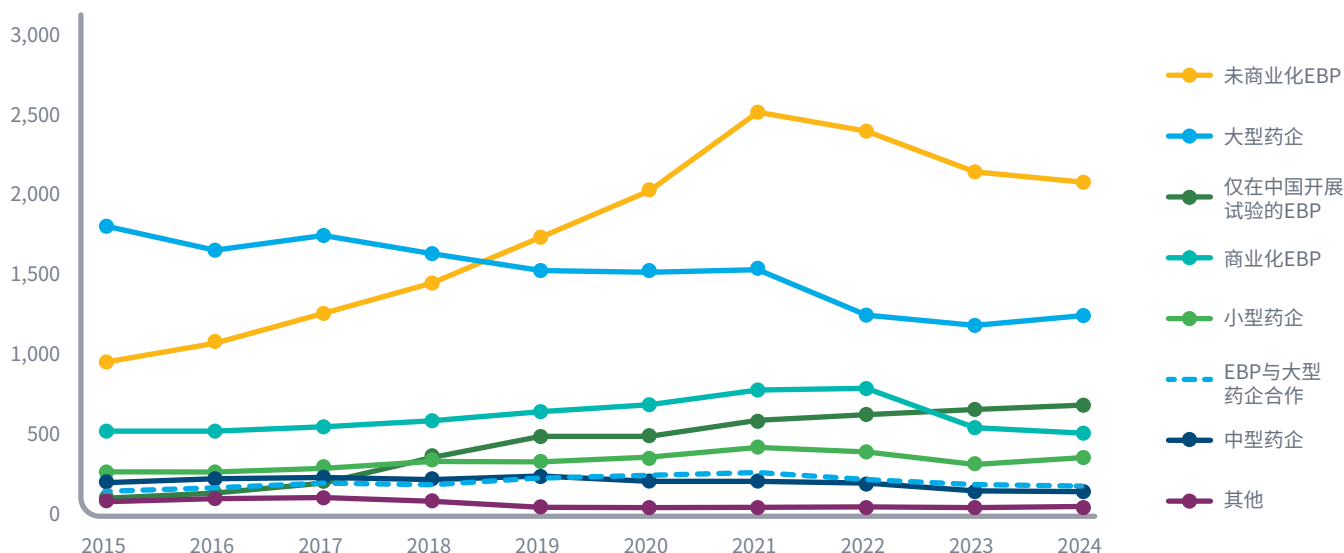
- 2024年，未商业化EBP在各临床研发阶段启动了2090项试验，超过了大型药企(1254项)。
- 2019年，未商业化的EBP成为试验启动数量最多的公司类别，启动了1746项试验，而大型药企仅启动了1537项。
- 各类公司的临床试验启动量均呈下降态势，其中未商业化的EBP尤为明显，2024年的试验启动数量比2021年的2528项减少了438项。
- 2024年，商业化EBP启动了518项试验，较其2022年的峰值减少了261项。
- 自2021年以来，未商业化EBP的试验启动数量在各阶段均有所下降，而商业化EBP的降幅较小。
- 过去五年，EBP在大多数关键治疗领域的试验启动份额都有所增加。
- 临床试验的延误可能会阻碍新试验的启动，尤其是对于资源更为紧张的未商业化EBP而言。
- 未商业化的EBP包揽了82%的细胞和基因治疗临床活动。
- 目前，中国和美国是开展EBP试验最多的两个国家。



临床试验

各类公司开展的试验数量均有所下降，尤其是EBP，但仍高于疫情前水平

图5：2015年至2024年按公司类型划分的临床试验启动情况



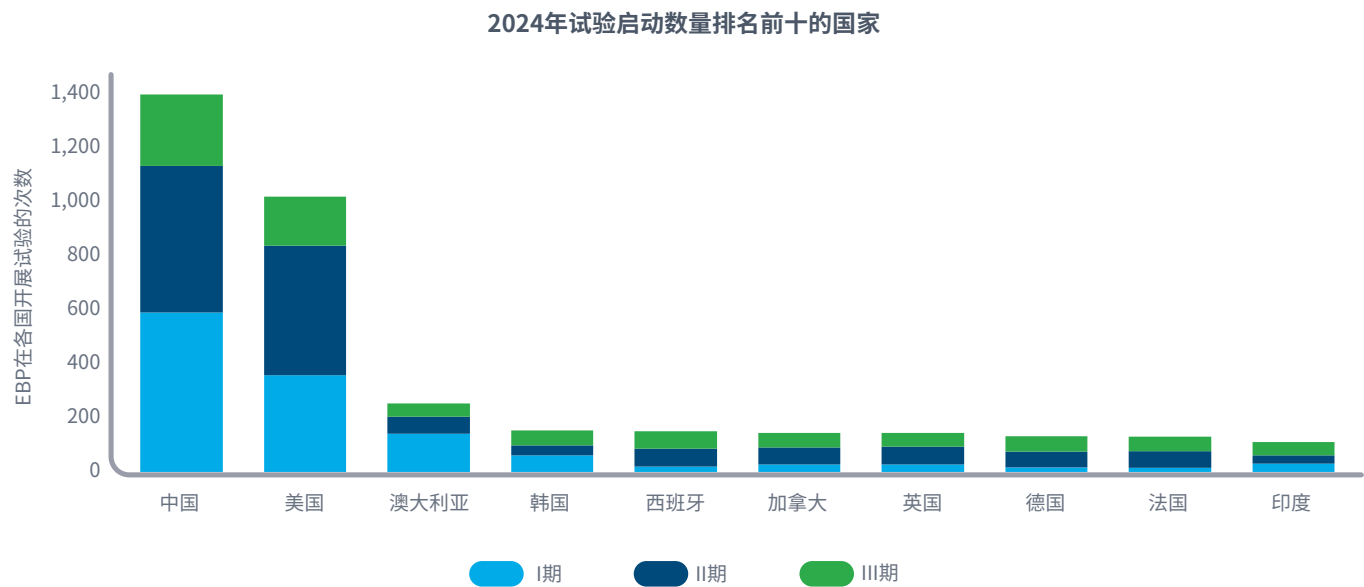
数据来源：Citeline Trialtrove; IQVIA Institute, July 2025.

- 中小型药企的试验启动的绝对数量一直相对稳定，但大型药企和EBP的试验启动数量在2019年至2021年大幅增长之后出现了显著下降。
- 2024年，未商业化EBP启动了2090项试验，低于2021年的2528项，但远高于2019年新冠疫情前的1746项。
- 已商业化EBP试验的启动数量一直在放缓，从2022年的峰值799项降至2024年的518项，此前则一直呈上升趋势。
- 2024年大型药企的试验启动数量小幅上升至1254项，但仍低于2021年的1542项，过去十年总体呈放缓趋势。
- 过去十年间，仅在中国开展过临床试验的中国EBP数量稳步上升，从2015年的111家增加到2024年的694家。
- 其他中小型药企以及与大型药企合作的EBP试验在2024年启动了762项，低于2021年的975项，但在大多数年份保持在700至900项之间。

注释：行业性质，从I期到III期的干预性研究。公司细分基于IQVIA的定义（见方法）。II期包括I/II期、II期、IIa期、IIb期。III期包括II/III期和III期。已终止的试验也包含在内，以追踪其从启动、部分执行到终止期间的活动情况。

目前中国和美国是开展EBP试验最多的两个国家

图6：2024年前EBP申办试验的绝对国家利用次数，按试验启动数量排名前十的国家



数据来源：Citeline Trialtrove, Jan 2025; IQVIA Institute, Jan 2025.

- 大多数临床试验都会在多个国家开展研究，其中最常见的是中国和美国，这两个国家在试验各个阶段都有显著代表性。
- 澳大利亚的国家试验开展率相对较高，这得益于其对 I 期试验持支持的态度。
- 过去十年间，中国本土申办方数量不断增加，这也推高了中国的试验数量。
- 发达国家往往是临床试验中最常见的开展地，这与药物商业化后率先在这些国家上市的情况相吻合。
- 国家试验研究中心的选择是一个复杂的过程，需要综合考虑患者招募的可行性、试验的基础设施以及监管框架等。
- 此外，研究中心选址还与后续商业化密切相关——在某国开展过试验，往往能在递交监管申请时获得额外优势和激励。

临床研发生产力

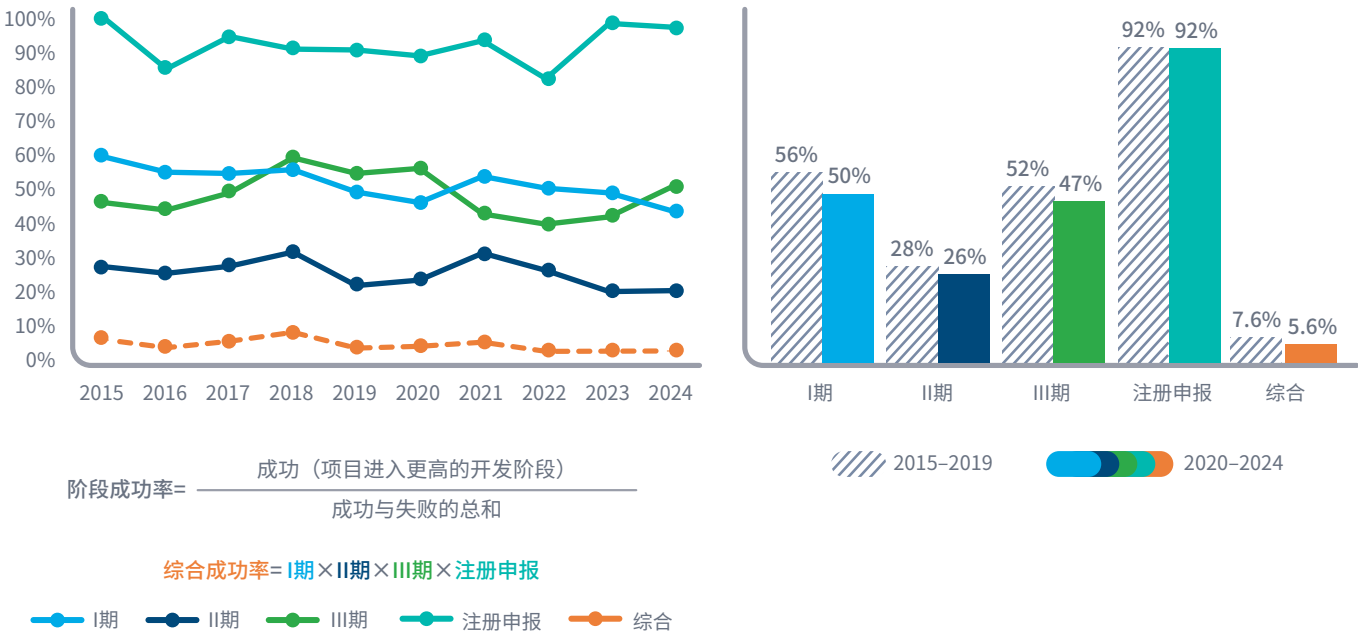
- 临床研发生产率（由复杂度、周期和成功率决定）显示，EBP的生产率高于大型药企，主要得益于试验更简单、周期更短。
- EBP试验的复杂性一直低于整个行业平均指数100，但入组标准和终点指标却在上升。
- 与大型药企相比，EBP通常在更少的国家、更少的地点开展试验。
- 临床驱动因素，如终点指标和入组标准，是由治疗领域目标而非公司规模所决定的，但仍能反映出EBP所关注的研究方向。
- EBP研发项目的成功率有所提高，在经历了三年的历史低谷后，III期试验的成功率提升幅度最大。
- 自2019年以来，美国未商业化EBP的试验入组时间有所增加，尤其是单国试验。
- 从2020年到2023年，EBP研发项目的持续时间有所增加，但在2024年有所缩短，降至9.1年。
- 与大型制药公司相比，EBP的中位数入组时间略快，但仍面临周期时间方面的挑战。



临床研发生产力

在经历了3年的历史低谷之后，EBP 研发项目的成功率略有提高，其中 III 期增幅最大

图7：2015至2024年EBP综合成功率及各阶段成功率（从I期至获批阶段）



数据来源：Citeline Pharmapremia, Jan 2025; IQVIA Institute, Jan 2025.

- 过去三年，EBP公司研发项目的综合成功率稳定在5%。
- 在经历了三年的艰难时期之后，2024年III期临床试验的成功率提高到52%，这是综合成功率提升的主要推动力。
- 注册申报的成功率也保持了十年来的高位，为97%，较2023年下降了1%。
- 长期趋势显示综合成功率总体呈下降态势，从2015至2019年的7.6%降至2020至2024年的5.6%。
- 与2015至2019年的数据相比，2020至2024年各临床试验阶段的成功率均有所下降，其中I期、II期和III期的成功率下降了4到5个百分点。
- EBP的成功率总体上低于大型药企，尤其是在过去五年，EBP的综合成功率每年在5%至7%之间，而整个行业的平均成功率为7%至8%。

EBP研发新药的上市情况

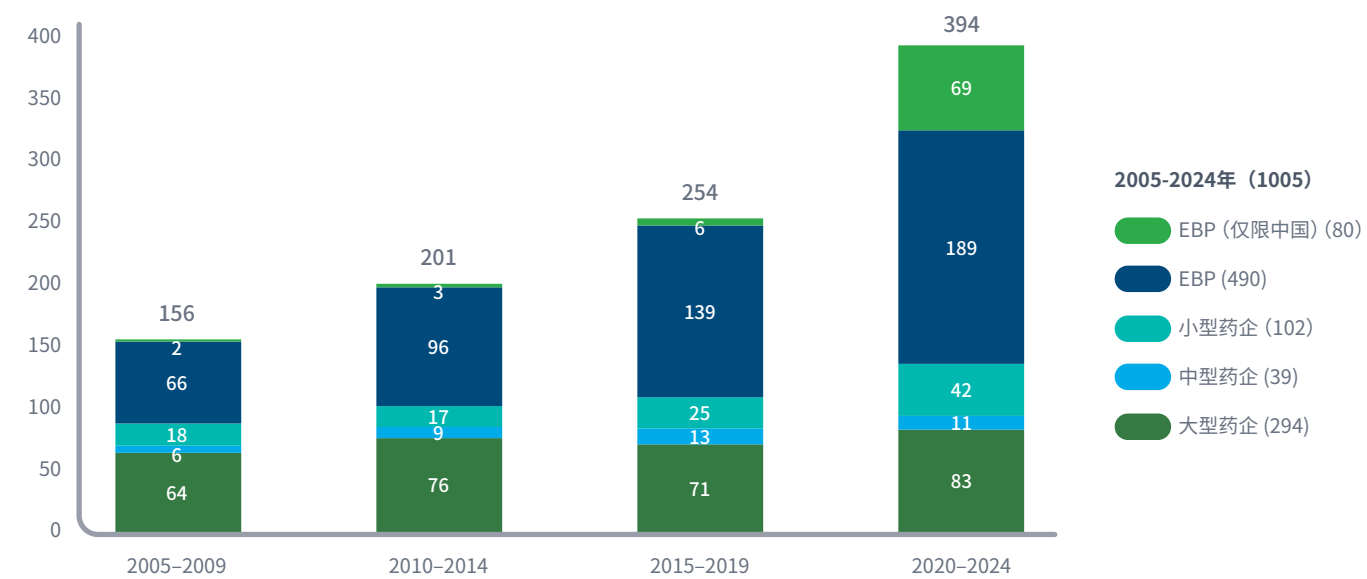
- 在过去20年全球上市的1005种新药中，EBP贡献了570种，其中包括迄今为止仅在中国上市的80种创新药物。
- 过去五年全球共有189种由EBP研发的NAS上市，比前五年增加了50种。
- 过去20年间，总部位于美国和欧洲的跨国药企在中国市场上市的新药数量不断增加，但不包括仅在中国上市的药物，这类药物主要来自没有国际合作或海外业务的中国本土药企。
- EBP研发上市的药物越来越集中在特药、孤儿药、肿瘤以及首创类药物，这类新药的上市占比一直超过50%。
- 过去五年，全球共有108个EBP研发的首创分子药物，其中包括33种肿瘤药物。
- 2024年全球共有25个EBP研发的首创疗法上市，涵盖多种新型精准医疗靶点。
- 2024年，79%的EBP研发原研药上市时间晚于首次专利申请日期10年以上，将中位数提升至14.3年。
- 从首次申请专利或首次人体试验到上市，生物制剂、孤儿药和特药的开发周期通常较短。
- 在采用加速审评审批的情况下，总体开发周期平均快了将近三年。
- 试验和方案设计的显著特点有助于大幅缩短研发周期。



EBP研发新药的上市情况

在过去20年全球上市的1005种新药中，有570种是由EBP研发的

图8：2005年至2024年按研发公司规模划分的NAS上市情况



数据来源：IQVIA Institute, Jul 2025.

- 过去20年间，全球新上市的NAS数量显著增加，2020至2024年期间的数量比2005至2009年期间增加了一倍多。
- 过去20年，EBP研发上市了1005种NAS，占比超过一半，并且对总数的增长贡献最大。
- 2005至2009年，EBP上市了68款NAS，占同期NAS总数的43.5%。2020至2024年，EBP上市的NAS占过去五年总数的65%（258款），若不包括仅在中国上市的产品，则占比为58%（189款）。
- 大型药企越来越多地将目光投向小型和新兴制药公司，以获取新型药物，并在这些产品接近上市时与其签订授权协议或建立合作关系。
- 在全球范围内多个国家同时上市产品所需的资源对规模较小和新兴企业来说是巨大的挑战，这最终限制了新药的市场覆盖范围，除非通过谈判达成授权或合作。
- 尽管新药上市的数量持续快速增长，但如何获得足够的商业支持以真正触达患者仍是一个重要的问题。

EBP新药的商业化

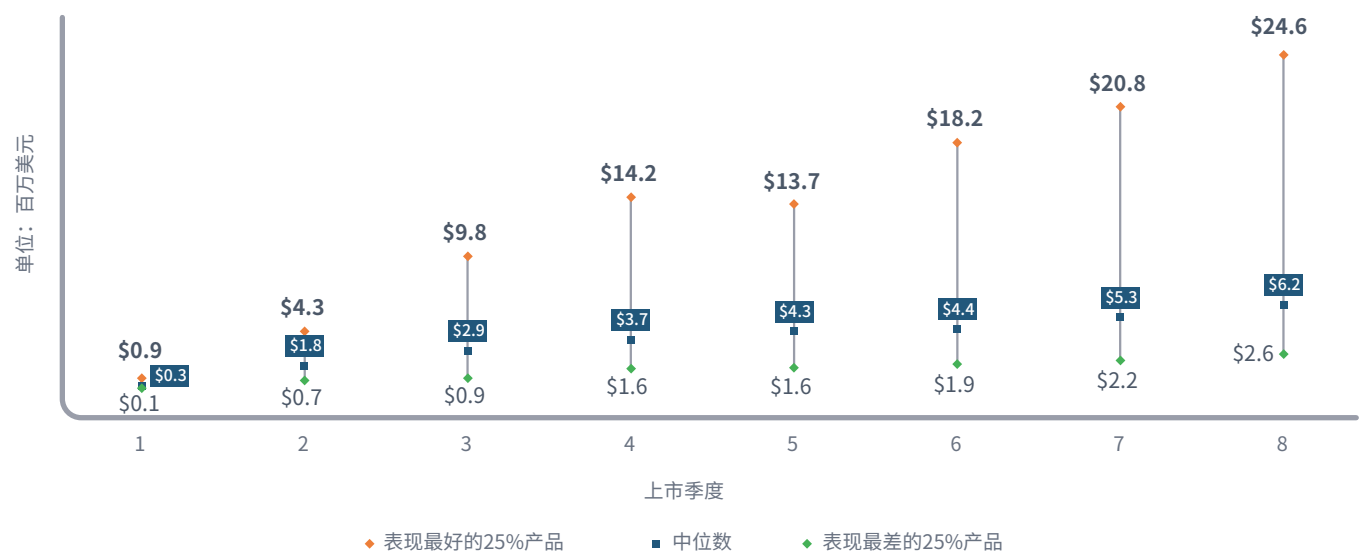
- 在过去十年中，美国共有 497 个 NAS 上市，EBP 占 197 款，在 419 款通过简化的 505(b)(2) 路径实现商业化的药物中，EBP 占 205 款。
- 自2020年以来，有 67 款美国上市的 EBP NAS 尚未在欧洲上市，而有 7 款欧洲 NAS 尚未进入美国市场。
- 过去 10 年，在美国上市的 EBP 研发的新药中，74% 是美国本土 EBP。
- 过去 10 年，成功上市 NAS 的 EBP 后续被陆续收购，累计交易额超过 1710 亿美元。
- 69 家 EBP 在上市了 NAS 后继续作为 EBP 运营，其中 29 家在 2024 年的营收超过了 10 亿美元。
- EBP 上市的产品具有很高的创新性，与大型药企开发的产品相当，这凸显了采取不同商业策略的必要性。
- EBP 研发的 NAS 在上市后的第 8 个季度销售额中位数达到了 620 万美元，这表明虽然有少数产品取得了巨大成功，但许多药品的销售额相对较低。
- 在评估的 34 种药物中，临床差异性较高的药物往往销量较高，但仅有 22% 实现了收支平衡。
- 临床差异化是产品成功的重要因素，但商业策略与临床差异化程度及性质的契合才是关键所在。
- 在过去的 10 年里，EBP 研发的药物有 14 种进入了 55 款热门 NAS 产品清单，其中 4 款由 EBP 直接上市。
- 过去十年中，505(b)(2) 类型的新药上市数量不断增加，其中美国 EBP 贡献尤为突出。
- EBP 通过 505(b)(2) 途径上市的产品整体销售表现较为平缓，而部分 505(b)(2) 产品则显示出更快的盈利速度和更早的收支平衡。
- 成功上市产品往往依赖于全面的计划，旨在向不同利益相关方充分展示其功效。



EBP新药的商业化

EBP上市的NAS在销售表现上差异较大，上市后的第八个季度销售中位数为620万美元

图9：2015至2024年美国EBP 上市的NAS的销售表现



数据来源：IQVIA MIDAS, Jul 2025.

- 上市后的销售情况存在显著差异，上市后的第 8 个季度的销售额中位数为 620 万美元，表现最差的 25% 产品仅为 260 万美元，这证实了新产品上市所面临的挑战，许多产品都未能取得可观的销售额。
- 尽管大型药企上市的新产品也是如此，但绝大多数EBP上市的新产品实现的营收都非常低。
- 在上市后的第八个季度，EBP上市的NAS中排名前四分之一的新品销售额超过2460 万美元，其中许多产品有望在上市后的第二年实现超过 1 亿美元的年销售额。
- 过去十年中，由EBP研发或上市的四款NAS已实现年销售额超过10亿美元。

更多信息，敬请垂询

Danning Luan
IQVIA艾昆纬中国管理咨询和市场洞察业务咨询顾问
danning.luan@iqvia.com

抗体偶联药物在癌症治疗中的应用

导读

癌症是全球面临的最严峻的健康挑战之一，每年影响着世界各地数百万人的生命。WHO 2024年的报告显示，2022年新增癌症病例达2000万例，死亡970万例，预计到2050年新增病例将达3500万例。长期以来，传统的癌症治疗手段往往是全身性的，缺乏特异性，导致诸多副作用。经过数十年的发展，治疗方式已显著转向更具针对性和个性化的疗法，抗体偶联药物（ADCs）作为癌症治疗的新兴手段应运而生。

ADC是一种先进的疗法，它通过可裂解或不可裂解的连接子将单克隆抗体与强效细胞毒性药物（即有效载荷）连接起来。ADC能够通过识别特定抗原将药物直接递送至癌细胞，从而最大程度减少对健康组织的损害，并产生“旁观者效应”，杀死附近的肿瘤细胞。尽管前景广阔，但ADC的研发复杂且成本高昂，面临多种挑战诸如脱靶毒性和耐药性等。目前，已有15种ADC获批用于治疗多种癌症，包括乳腺癌、血液癌、胃癌、尿路上皮癌、宫颈癌和肺癌（图1），且约有200种ADC正在临床试验中，其中24种处于III期临床试验，这都得益于抗体、连接子和有效载荷技术的进步。如今，ADC已成为癌

症治疗领域的变革者，市场需求不断扩大。2000年，辉瑞公司的 Mylotarg™（吉妥珠单抗奥唑米星）获美国FDA批准用于治疗急性髓系白血病（AML），这是ADC药物获批的首个里程碑，标志着精准肿瘤治疗的一个重要进展。

欧洲EMA于2018年也批准该药，并因其罕见性授予其孤儿药资格。2023年美国ADC市场规模达113亿美元，预计未来几年将快速增长。

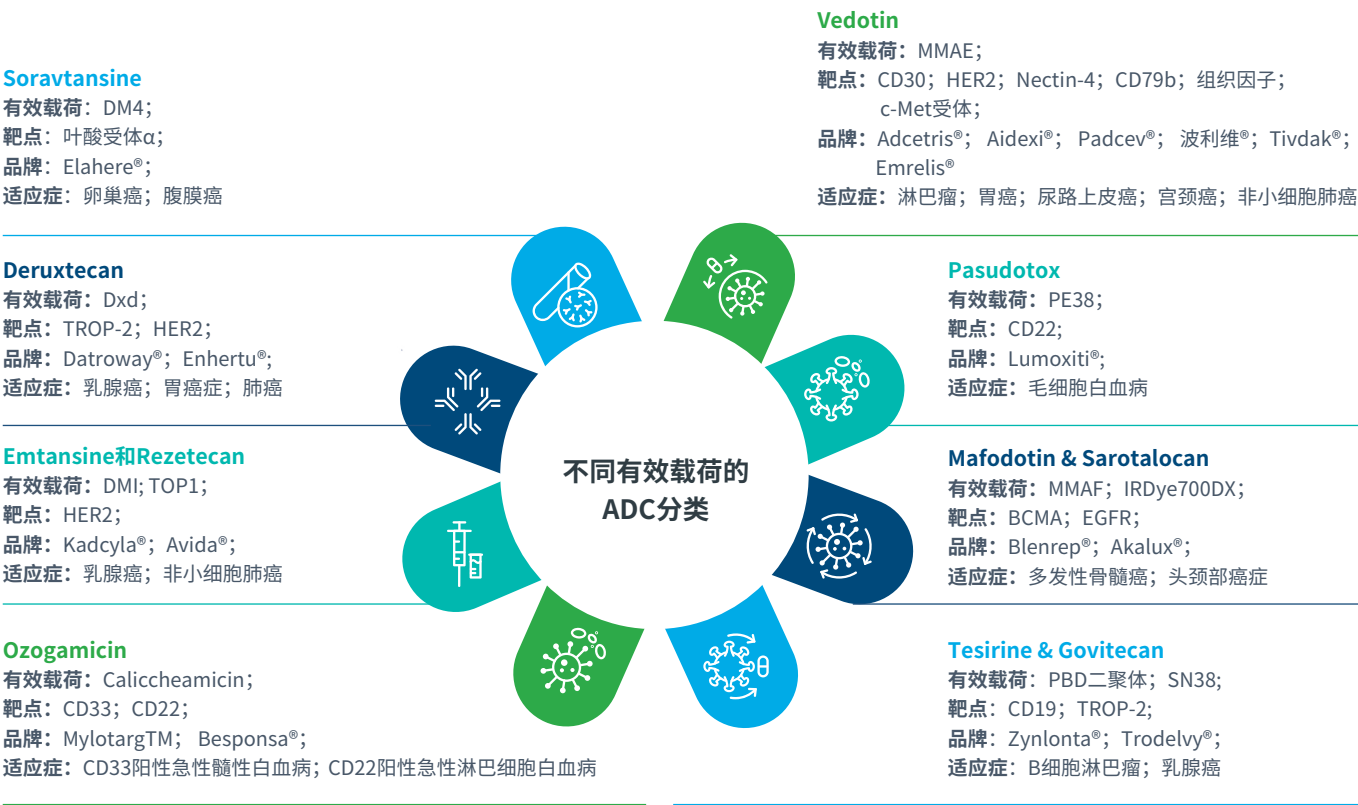
2023年
美国ADC市场规模达

113亿美元

且仍在快速增长



图1：不同类型已上市ADC的有效载荷、靶点、品牌及适应症



靶点说明——CD：各种细胞表面分子的分化簇，包括 CD30、CD79b、CD22、CD19 和 CD33；c-Met受体——间充质上皮转化因子；HER2——人表皮生长因子受体2；BCMA——B细胞成熟抗原；EGFR——表皮生长因子受体；TROP-2——滋养层细胞表面抗原2。

ADC的结构及作用机制

ADC由三个关键成分组成：单克隆抗体（mAb）、连接子和有效载荷。mAb通过其抗原结合片段（Fab）识别肿瘤相关抗原（T-Ag），并能触发补体依赖性细胞毒性作用（CDC）、抗体依赖性细胞毒性作用（ADCC）和抗体依赖性细胞吞噬作用（ADCP）等免疫反应，诱导细胞凋亡或坏死（图2）。连接子将抗体与有效载荷连接起来，实现有效载荷的可控释放。

超过 70% 的 ADC 使用可裂解连接子，这些连接子在溶酶体的酸性或酶环境中断裂，例如 Mylotarg 和 Enhertu[®] 中的类型。Kadcyla[®] 中使用的不可裂解连接子则具有更高的血浆稳定性，只有在癌细胞内吞后才会释放有效载荷。细胞毒性有效载荷是 ADC 的核心活性成分，涵盖多种药物类别。微管蛋白结合剂是最广泛使用的有效载荷，占已获批 ADC 的 53.3% 和处于 III 期临床试验候选药物的 45.8%。其他有效载荷包括 DNA 损伤剂和拓扑异构酶 I（TOP1）抑制剂。ADC 的一个关键设计指标是药物抗体比（DAR），已获批的 ADC 中该比值通常在 0 到 8 之间，以平衡疗效和安全性。

图2：ADC的四步骤作用机制



ADC的发展

ADC已发展至第四代，每一代都在特异性、稳定性和效力方面有所提升（表 1）。1975年杂交瘤技术取得进步后，医学家在早期的ADC中使用了鼠源抗体和基础连接子，为新一代ADC奠定了基础。第二代和第三代ADC引入了人源化抗体、位点特异性偶联以及强效有效载荷。

最新的第四代ADC，如 Trodelvy®，具有比（DAR）、新型有效载荷以及双靶点策略，即使在耐药肿瘤中也能增强疗效。尽管取得了进展，但诸如复杂的偶联工艺以及对有效载荷的耐药性等挑战仍然存在。

表1：ADC的发展

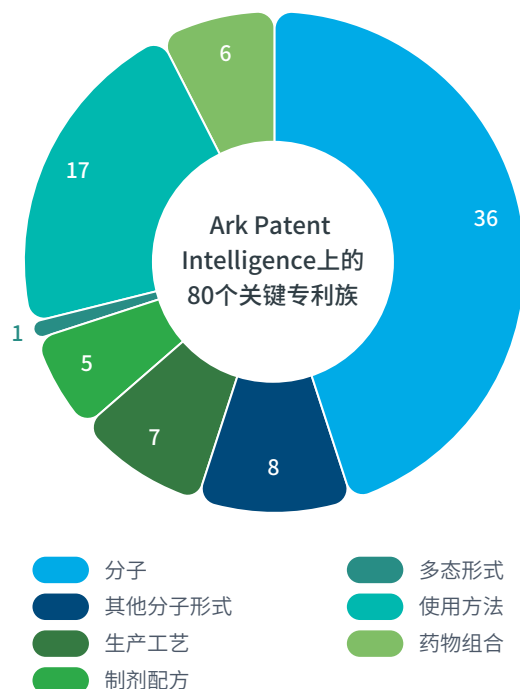
ADC迭代	时间线	抗体类型	药物载量	优势	劣势	代表药物
第一代	2000年前	鼠源性或嵌合抗体	0-8	概念验证，基础靶向能力	稳定性差、存在脱靶毒性	Mylotarg、Besponsa
第二代	2000-2015年	人源化抗体	4-8	改进的连接子，安全性更高	疗效有限、易产生耐药性	Kadcyla、Adcetris
第三代	2015-2020年	全人源化抗体	2-4	位点特异性偶联，有效载荷更强	技术工艺复杂，成本高昂	Enhertu
第四代	2020年-至今	多特异性抗体	7-8	智能载荷、可控释放、多靶点作用	技术挑战大、临床数据有限	Trodelvy

Ark Patent Intelligence数据中的ADC专利格局

根据 IQVIA Ark Patent Intelligence 数据，近年来全球 ADC 的专利格局显著拓展。截至2025年8月，全球已上市和已注册的ADC产品共有18种，约有80个关键专利族，仅分子专利就有超过36个专利族（图3）。

Ark Patent Intelligence提供全球范围内的广泛信息，包括药品审批、市场洞察、关键专利、监管保护、诉讼趋势以及对已上市、已注册和处于 III 期临床试验阶段药品的深入分析。

图3：Ark Patient Intelligence中不同ADC专利类型与族数量的关系



案例分析一

Kadcyla和Enhertu的战略见解

Kadcyla 和 Enhertu 都是以 Trastuzumab (曲妥珠单抗) 为基础的 HER2 靶向 ADC，但它们在有效载荷和连接子方面有所不同。罗氏旗下的 Kadcyla (Trastuzumab emtansine) 于 2013 年在美国和欧洲获批，采用的是 DM1 有效载荷和稳定连接子，用于治疗乳腺癌。相比之下，第一三共研发的 Enhertu (Trastuzumab deruxteca) 于 2019 年在美国获批，2021 年在欧洲获批，采用的是 DXd 有效载荷和可裂解连接子，用于治疗多种癌症，包括乳腺癌、肺癌、胃癌和实体瘤。

据 Ark Patent Intelligence 数据称，截至 2025 年 8 月，Kadcyla 在美国的独家保护期于 2025 年 2 月到期，在欧洲已于 2023 年 11 月截止，其关键专利分别于 2015 年至 2028 年到期。这意味着生物类似药 Trastuzumab emtansine 获批不再有任何障碍，但最早也要到 2026 年才能在美国上市，2028 年在欧洲上市。

相比之下，生物类似药 Trastuzumab deruxtecan 在欧洲最早 2029 年才能获批，在美国则要到 2031 年。Enhertu 享有更长的专利保护期，其专利在美国有效期至 2033 年 12 月，在欧洲至 2036 年 1 月（表 2）。这表明药企通过多样化组合抗体、连接子和有效载荷来创造新型 ADC 的潜力和机遇。例如，尽管原研 Trastuzumab 已不在专利保护期内，但各公司仍在其研发管线中推进创新的 ADC 变体，如 Trastuzumab botidotin、Trastuzumab duocarmazine、Trastuzumab brengitecan 等。与生产现有 ADC 的生物类似药相比，使用成熟的抗体开发新型 ADC 通常更具经济效益。此外，这些创新产品还能获得强有力的专利保护和更长的法律保护期，从而加大了生物类似药竞争对手进入市场的难度。

表2：Kadcyla和Enhertu在美国和欧洲专利及独占权到期情况

活性成分	地区	品牌	批准日期	独占权类型	独占权到期	专利类型	专利到期	保护失效期
曲妥珠单抗-美坦新 Trastuzumab emtansine	美国	Kadcyla	2013年2月	BASE (基础专利)	2017年2月	使用专利号 US7097840	2026年7月	2026年7月
	欧洲		2013年11月	NCE (新化学实体)	2021年11月	分子专利+SPC (补充保护证书) EP1689846	2028年11月	2028年11月
曲妥珠单抗-德鲁斯特康 Trastuzumab deruxtecan	美国	Enhertu	2019年12月	BASE	2023年12月	分子专利+PTE (专利期限延长) US10155821	2033年12月	2033年12月
	欧洲		2021年1月	NCE	2029年1月	分子专利+SPC EP3101032	2036年1月	2036年1月

数据来源：Ark Patent Intelligence

案例分析二

Adcetris和Polivy的战略见解

Adcetris®（本妥昔单抗维多汀 Brentuximab vedotin）和 Polivy®（泊洛妥珠单抗维多汀 Polatuzumab vedotin）是血液瘤领域领先的ADC。两者均采用微管破坏剂MMAE作为有效载荷，可破坏微管结构并诱导细胞死亡。Adcetris由Seagen公司研发，分别于2011年和2012年在美国和欧洲获批用于霍奇金淋巴瘤（HL）和系统性间变性大细胞淋巴瘤。Polivy由Genentech公司研发，于2019年在美国获批，2020年在欧洲获批用于弥漫性大B细胞淋巴瘤（DLBCL）。

据Ark Patent Intelligence数据称，Adcetris在欧洲的独占保护期将持续到2023年10月，在美国将持续到2024年2月，其关键专利将于2026年至2027年间到期（表3）。另一方面，Polivy在欧洲的独占权将持续到2028年1月，在美国将持续到2031年6月。其在美国的分子专利将于2029年8月失效，而通过补充保护证书（SPC）延长的欧洲分子专利将一直有效至2033年7月。

这表明，生物类似药本妥昔单抗维多汀 Brentuximab vedotin有望获批，尽管其最早在美国上市要到2026年，欧洲2027年。相比之下，生物类似药泊洛妥珠单抗维多汀 Polatuzumab vedotin 最早也要到2028年才能在欧洲获批，2031年才能在美国获批，Polivy享有更长的专利保护期，其在美国的专利有效期至2031年6月，欧洲至2033年7月。

上述专利即将到期，将为生物类似药的竞争打开通道；然而，通过将不同的单克隆抗体与相同的连接子和有效载荷相结合来开发新的ADC，可能会带来诸如泰利妥珠单抗维多汀和恩诺单抗维多汀等创新疗法。这种做法可能会显著改变市场格局，使创新公司能够获得新的产品保护和竞争优势。

表3：Adcetris和Polivy在美国和欧洲专利及独占权到期情况

活性成分	地区	品牌	批准日期	独占权类型	独占权到期	专利类型	专利到期	保护失效期
本妥昔单抗 维多汀 Brentuximab vedotin	美国	Adetris	2011年8月	BASE	2016年2月	分子专利- US7659241	2026年7月	2026年7月
	欧洲		2012年10月	NCE	2020年10月	分子专利+SPC EP1545613	2027年10月	2027年10月
波拉妥珠单抗 维多汀 Polatuzumab vedotin	美国	Polivy	2019年6月	BASE	2023年6月	分子专利 US8722857	2029年8月	2031年6月
				BAAE (生物活性成分独占权)	2031年6月			
	欧洲		2020年1月	NCE	2028年1月	分子专利+SPC EP2474557	2033年7月	2033年7月

数据来源：Ark Patent Intelligence

结论

ADC 通过提供针对乳腺癌、胃癌和血液癌等疾病的靶向疗法，正在推动癌症治疗的发展。像Enhertu和Kadcyla这样的重磅药物彰显了其商业价值。尽管存在脱靶毒性、耐药性和高生产成本等挑战，但分子设计和稳定性的进步仍在不断改善其疗效。据 Ark Patent Intelligence 数据显示，Kadcyla 在美国和欧洲的专利将于 2026 年至 2028 年到期，而Enhertu在这两个地区的专利保护期则延长至 2033 年至 2036 年。在淋巴瘤治疗方面，Adcetris 和 Polivy 是可行的治疗选择。不过，Adcetris 可能在 2027 年后面临生物类似药的竞争，而 Polivy 则享有更长的保护期。不断扩展的专利格局以及多样化的ADC组合为药企带来了新的机遇，也为患者带来了新的希望。

更多信息，敬请垂询

Carina Zhang
IQVIA艾昆纬高级医学总监，肿瘤和血液医学负责人
carina.zhang@iqvia.com

关于 IQVIA

IQVIA 艾昆纬 (纽交所代码: IQV) 是全球领先的临床研究服务、商业洞察和医疗健康智能解决方案提供商, 专注于为生命科学和医疗健康行业提供服务。

IQVIA Connected Intelligence™ 以高质量的医疗健康数据、高级分析、前沿技术和广泛的专业领域知识以及IQVIA医疗级人工智能为基础, 连接医疗生态的各个环节。IQVIA拥有约88,000名员工, 包含医疗健康、生命科学、数据科学、数字化和卓越运营等各领域专家, 足迹遍布100多个国家和地区, 助力客户加速创新医疗的临床开发和商业化进程, 以更好的医疗成果惠及患者。

IQVIA 致力于保护全球患者个人隐私, 通过多元化隐私增强技术和保障措施, 以及大数据分析信息, 帮助医疗健康行业利益相关方识别疾病模式, 有效开展精准疗法, 改善治疗效果。IQVIA的洞察和执行能力能够帮助生物科技公司、医疗器械和制药公司、医学研究者、政府机构、支付方以及其他医疗利益相关方深入了解疾病、人类行为和科技进步, 共同朝着治愈各类疾病的方向迈进。

敬请关注
IQVIA艾昆纬
官方微信



扫一扫
关注IQVIA艾昆纬
视频号



更多详情, 请登录官网www.IQVIA.com查询

IQVIA 艾昆纬中国

上海

艾昆纬医药科技(上海)有限公司

上海市浦东新区耀龙路1359号
晶耀商务广场1幢9楼
+86 21 2422 8888

艾昆纬企业管理咨询(上海)有限公司

上海市浦东新区耀龙路1359号
晶耀商务广场1幢9楼
+86 21 3325 2288

北京

艾昆纬医药科技(上海)有限公司北京分公司

北京市朝阳区建国门外大街乙12号
汇京双子座西塔8层
+86 10 89197599

艾昆纬企业管理咨询(上海)有限公司北京分公司

北京市朝阳区建国门外大街乙12号
汇京双子座西塔8层
+86 10 89197599

大连

艾昆纬医药发展(大连)有限公司

辽宁省大连市高新技术产业园区
汇贤园1号楼10层10-02/04
+86 411 8498 8188

广州

艾昆纬医药科技(上海)有限公司广州分公司

广东省广州市越秀区越华路112号
珠江国际大厦4401-4403
+86 20 2829 5799

