

2025年6月

前沿视点 VIEW POINT



目录

2025年全球肿瘤市场趋势和展望	01
肿瘤临床开发生产力	04
肿瘤领域新活性物质	06
癌症患者对新疗法的获取和使用	09
肿瘤药物支出	11
2024年全球医药市场交易回顾	13
尽管市场持续波动，交易总额保持稳定	13
并购下行趋势仍在持续	13
诺华与Merck & Co.并列为最活跃的交易者	16
谨慎的被许可方降低了预付款，但提高了交易总额	17
产品交易仍集中在肿瘤领域	19
研发联盟保持稳定，广泛的平台合作占据主导地位	20
2025年展望	22
打造医疗系统迎接CAR-T细胞疗法时代	23
CAR-T细胞疗法背景	23
CAR-T细胞疗法患者旅程	24
各国CAR-T细胞疗法的使用概况	24
克服各国在CAR-T细胞疗法方面的障碍	32
数字创新重塑临床试验设计开发	33
推动设计开发变革的关键因素	33
临床设计和开发的数字化转型	34
变革性技术呼之欲出	35
在整个设计过程中推动创新	36
可能的挑战	36
结论	37

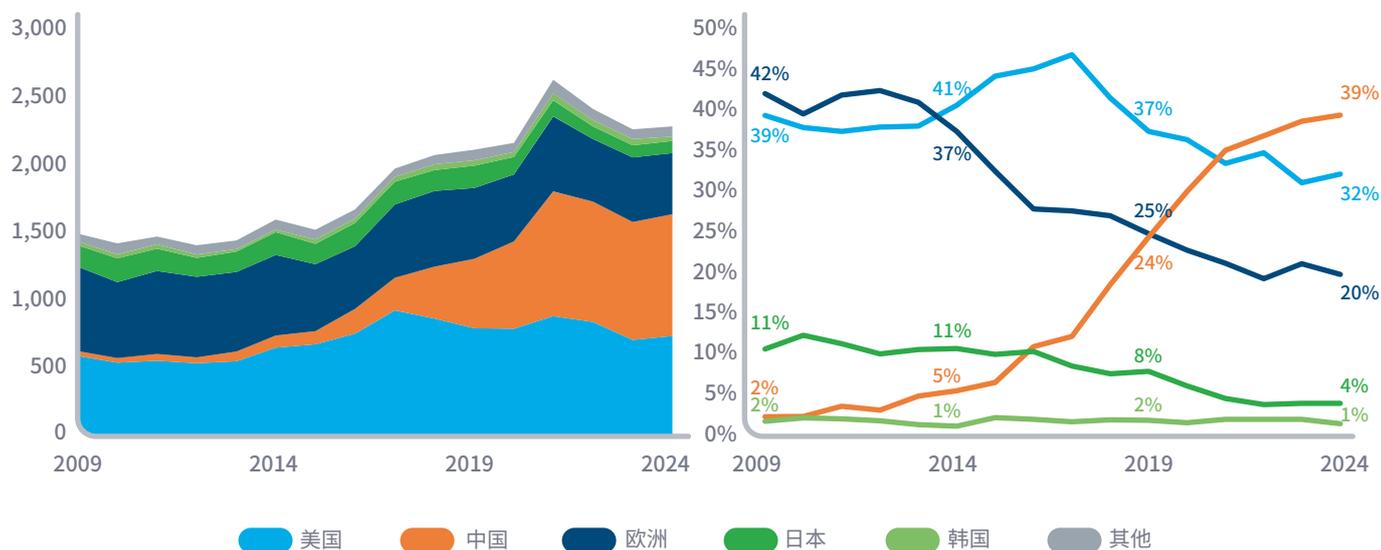
2025年全球肿瘤市场趋势和展望

- 2024年肿瘤领域试验的启动数量略有增加，达到2162项，与2021年所达峰值相比有所下降。比2019年增加了12%，主要集中在罕见癌症和实体瘤方面。
- 非商业化新兴生物制药公司的肿瘤试验占比达53%，而十年前这一比例仅为24%，商业化新兴生物制药公司主导的试验则占总数的8%。
- 中国企业的肿瘤试验占比已升至39%，而十年前这一比例仅为5%，并且中国企业在本国开展的试验占比达84%。
- 新型肿瘤治疗方式，尤其是细胞和基因疗法、抗体药物偶联物(ADC)以及多特异性抗体，在肿瘤试验中占比达35%。
- 自2019年以来，全球PD-1/PD-L1抑制剂试验的启动量下降了16%，不过仅在中国开展的研究增加了50%。
- 血液瘤的细胞和基因试验主要集中在嵌合抗原受体T细胞(CAR-T)疗法上，而其他基于细胞的免疫疗法，主要是T细胞受体(TCR)和肿瘤浸润淋巴细胞(TIL)疗法在实体瘤中进行的试验。
- CAR-T试验的启动量较2022年的峰值下降了15%，且仍主要集中在血液瘤方面。
- 过去5年全球已有9种ADC获批，其临床试验启动量平均每年增长32%，是实体瘤领域增长最快的治疗方式。
- 目前已有14种双特异性抗体上市用于癌症治疗，自2019年以来，多特异性抗体的试验数量已增加两倍多。
- 放射性配体疗法正在多种肿瘤中进行试验，不过主要集中在前列腺癌和神经内分泌癌方面。
- 随着监管机构和行业申办方不断扩大癌症药物研发的范围，以加快为患者提供新的治疗选择，多种新型治疗方式正在迅速发展，它们单独使用或联用都具有巨大的潜力。
- 自2022年以来，每年都有近20项来自AI公司的肿瘤试验启动。
- 在癌症试验中，黑人/非裔美国人和西班牙裔受试者的参与率低于其发病率，而死亡率却高于其他人群，自2019年以来改进有限。
- 癌症的发病率在性别上是均等的，但过去五年中的试验却侧重于男性肿瘤，而且在46%的肿瘤试验中，女性的参与比例低于男性5%以上，而男性参与比例低于女性5%以上的试验仅占21%。

肿瘤研发活动

中国企业的肿瘤试验量占新启动试验总数的39%，而十年前这一比例仅为5%

图1：2009-2024年按公司总部所在地划分的肿瘤试验启动量及占比



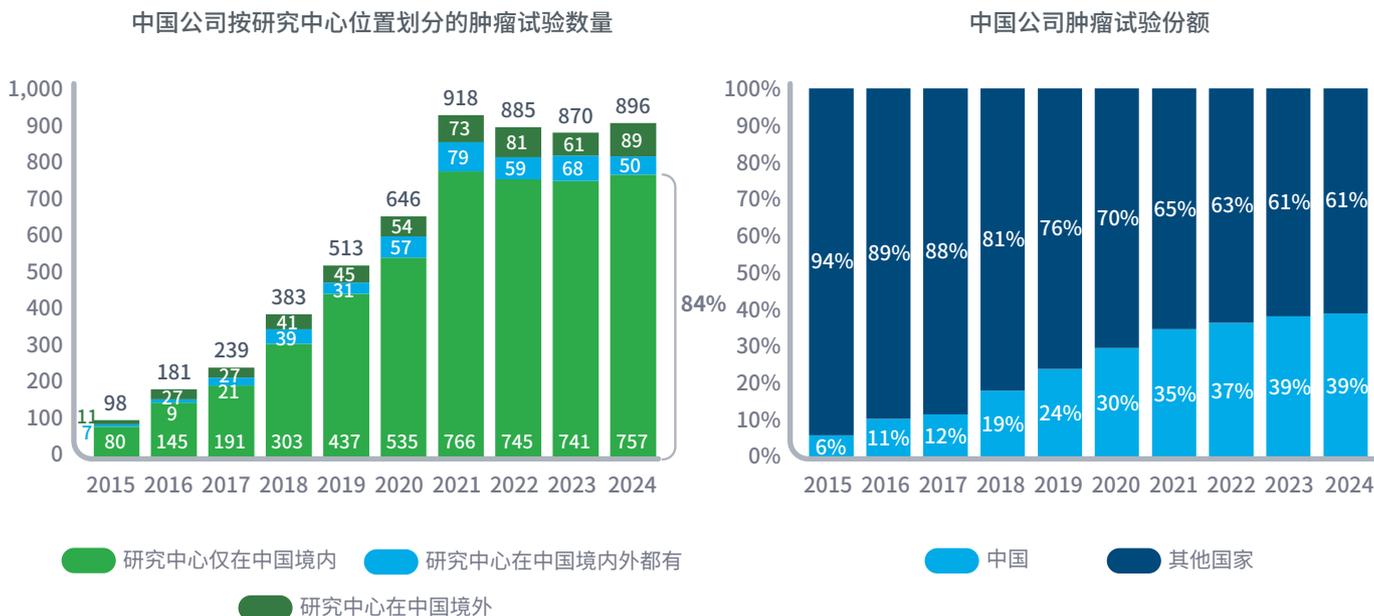
数据来源：Citeline Trialtrove, Jan 2025; IQVIA Institute, Apr 2025.

- 随着肿瘤研发活动的增加，该领域企业的地理分布也扩大到了美国和欧洲以外的地区。
- 自2019年以来，美国公司的肿瘤临床试验份额下降了5%，2024年美国公司启动的试验总数占32%。
- 欧洲公司的这一份额从五年前的25%下降至2024年的20%，而同期欧洲公司启动的试验绝对数量减少了14%。
- 日本公司在肿瘤试验中所占的份额也在下降，从五年前的8%下降至2024年的4%，试验数量下降了45%。
- 目前，由中国公司开展的临床试验占肿瘤试验总数的39%，高于五年前的24%和2009年的2%，超过了美国和欧洲公司。在过去十年中，由中国公司开展的临床试验显著增长，凸显了中国企业将在全球新产品开发中发挥重要作用。

肿瘤学研究及开发活动

中国84%的试验在国内开展，并启动了全球39%的肿瘤试验，而2015年这一比例仅为6%

图2：2015年至2024年中国企业肿瘤试验研究中心位置和肿瘤试验所占份额



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

- 2024年，中国企业启动了896项肿瘤试验，较2023年的870项略有增加，过去四年总体保持这一数量，占全球肿瘤试验总数的39%。
- 大多数中国公司的试验活动仅在中国境内开展，此类试验占2024年试验总数的84%。
- 2024年，中国企业启动的包含中国境内研究中心的国际试验占6%，与10年中的平均值7%相近。
- 这些公司在2024年开展的国际临床试验中，完全在中国境外进行的占10%。
- 大多数中国公司仅在中国境内进行了试验，而一些国际试验则包括了非中国的合作伙伴。
- 中国公司开展的单国试验数量庞大，这使得中国成为全球单国试验数量最多的国家之一。
- 许多仅在中国开展的研究处于早期阶段，这是由于庞大的患者群体，其中很多患者此前未接受过治疗。
- 后期阶段试验更多在国际范围内进行，并可能影响该药物在开展试验国家的最终获批。从历史上看，仅在中国开展的后期试验，其相关药物进入国际市场的可能性较低，但这一趋势未来可能发生变化。

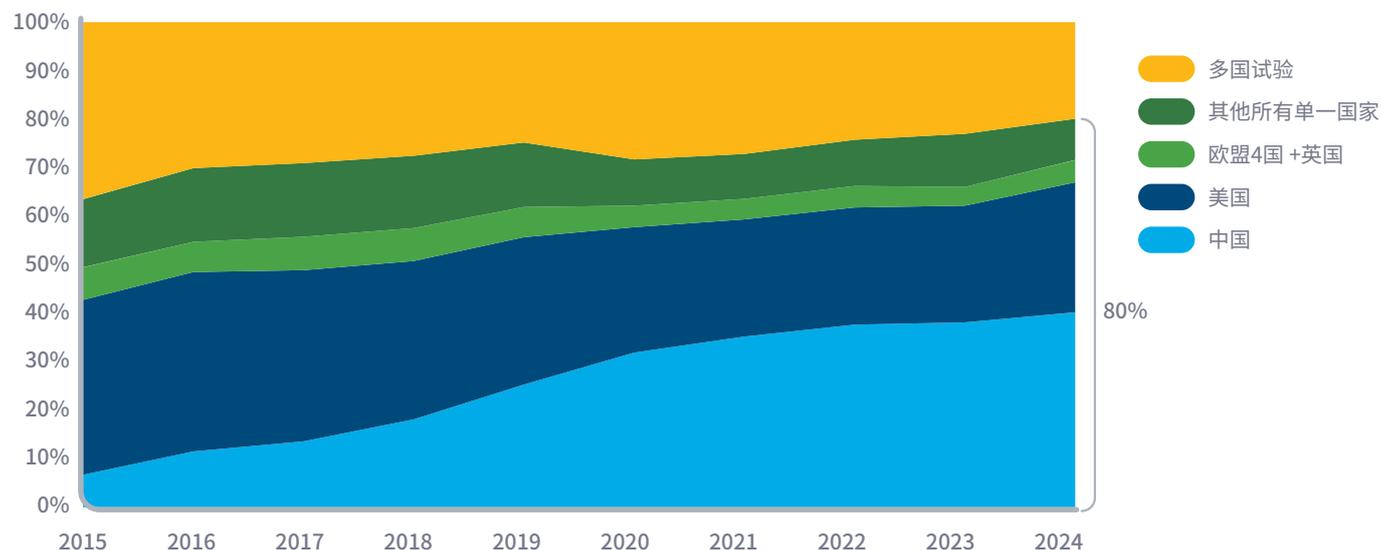
肿瘤临床开发生产力

- 2023年肿瘤试验的综合成功率仅为4%，到2024年已升至7%。自2019年以来，整体成功率的提升主要得益于I期和III期实体瘤试验成功率的提高。
- 与其它治疗领域形成对比的是，2019年至2024年，肿瘤试验的复杂性降低了9%，这是由于研究中心和国家覆盖范围的缩减所致。
- 肿瘤试验研究中心的数量在2021年达到峰值61,000个后有所下降，但预计到2024年将稳定在45,000个以上，这一数字与2023年大致相当。
- 单国试验的比例持续上升，到2024年已达到80%，其中仅在中国开展的试验占了一半。
- 2023至2024年间，肿瘤试验的受试者总数增加了10%，达到30.6万人，这一数字接近2021年的峰值水平。
- 肿瘤试验的入组时间线一直颇具挑战性，自2020年以来，中位持续时间一直超过30个月，不过2023年至2024年间缩短了3个月。
- 自2022年以来，肿瘤试验的平均间隔期每年增加三到四个月，但仍低于其他领域的试验间隔期。
- 自2019年以来，肿瘤临床开发的整体生产率提高了51%，这在很大程度上是由实体瘤项目推动的，但2024年的生产率仍低于所有疾病领域综合平均值。
- 在肿瘤领域采用新型试验设计已十分成熟，近年来这一比例一直保持在较高水平，约为28%至32%。

肿瘤临床开发生产力

更多的试验是由中国开展的单国试验，占试验总数的40%，而在2015年这一比例仅为7%

图3：2015年至2024年按研究中心所在地划分的肿瘤试验启动情况



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

- 由于多国研究比例的下降和单一国家试验活动的增加，肿瘤临床试验涉及国家的平均数量呈下降趋势。而单一国家的试验活动不断增加，尤其是在中国。
- 2015年，多国研究占试验启动总数的37%，但到2024年已降至20%；2015年试验启动总数为503项，2021年达到峰值644项，2024年降至403项。
- 随着单一国家开展的试验重要性的日益凸显，监管机构对试验人群能否代表真实世界患者群体的关注给试验设计带来了很大挑战，这有可能导致试验结果无法支持在更多国家和地区的审批。
- 在临床试验的国家参与度方面，中国的变化最为显著，中国的单一国家研究占全球试验启动的比例从2015年的7%上升到2024年的40%。
- 总体而言，除中国以外的全球试验活动总量略有下降，2015年的试验启动数为1287项，2021年达到峰值1535项，2024年降至1210项。
- 过去十年间，美国的单一国家试验启动数从497个增至542个，但所占份额从2015年的36%降至2024年的27%。
- 欧盟4国 + 英国的单一国家试验启动数在2015年为93项，占试验启动总数的7%，在过去十年间有所增长，但到2024年又降至93项，占全球试验启动数的5%，这还不包括其在多国试验活动中所占的份额。

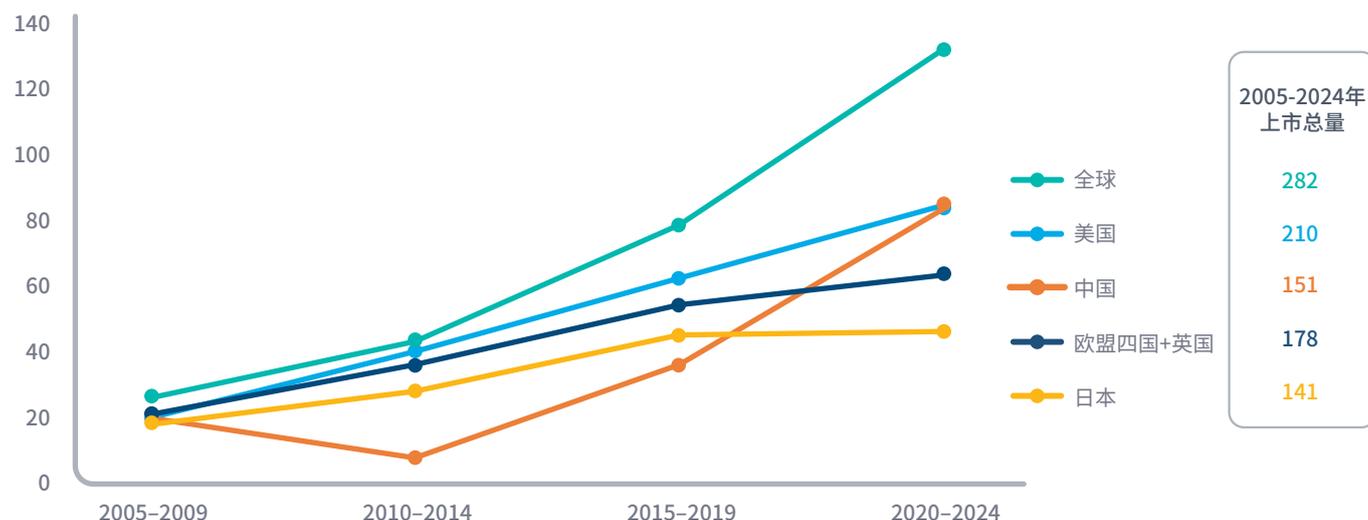
肿瘤领域新活性物质

- 2024年全球共上市25种新型活性物质(NAS)，2020至2024年期间，每年平均上市26种，而此前五年平均每年上市16种。
- 过去五年全球共上市132种肿瘤新活性物质，20年来总计上市282种，地域差异显著，其中自2019年以来中国的新药上市速度明显加快。
- 过去五年，中国肿瘤新药上市数量增长了一倍多，主要由仅在国内上市的新药推动，包括国内研发的PD-1/PD-L1抑制剂和尚未在其他地区上市的CAR-T疗法。
- 自2020年以来，有31种美国上市的NAS未在欧洲上市，仅一种欧洲的NAS在美国无法获得。
- 2024年美国新上市的16种抗癌药物中，有10种属于首创药物，而且过去五年中获批的NAS越来越多地基于单个临床试验证据。
- 2024年，超过三分之一的药物在初始专利申请后的10年内上市，其上市时间的中位数为11年。
- 2024年美国获批的16种新肿瘤药物中有14种是由新兴生物制药公司研发的，其中10种也是由新兴生物制药公司上市的。
- 过去10年，美国有150项新药申请获批，另外还有384项标签扩展申请获批，平均每种药物超过2项。
- 自2015年以来，已有55种新型抗癌药物用于治疗血液瘤，99种用于治疗实体瘤，其中一些药物获批用于多种适应症。
- 乳腺癌、肺癌以及非霍奇金淋巴瘤的NAS在首次获批后获得了大量额外的批准，通常是在同一肿瘤类型中扩大了适用患者群体。
- 过去五年中，77%的肿瘤药物上市时的年治疗费用超过10万美元，而20年前这一比例仅为14%。2024年，生物制剂的费用中位数比小分子药物高出近10万美元。
- 2024年，欧洲药品管理局批准了11种用于肿瘤治疗的NAS，其中包括2种用于血液瘤的药物和9种用于实体瘤的药物。
- 在欧洲主要市场开展的卫生技术评估表明，大多数肿瘤药物的附加效益很小，而且在过去10年中，卫生技术评估机构越来越多地指出这些药物几乎没有或根本没有附加效益。

肿瘤领域新型活性物质

过去5年全球共上市了132个肿瘤NAS，而过去20年总数达282个，且地域差异较大

图4：全球及部分国家上市的肿瘤领域NAS



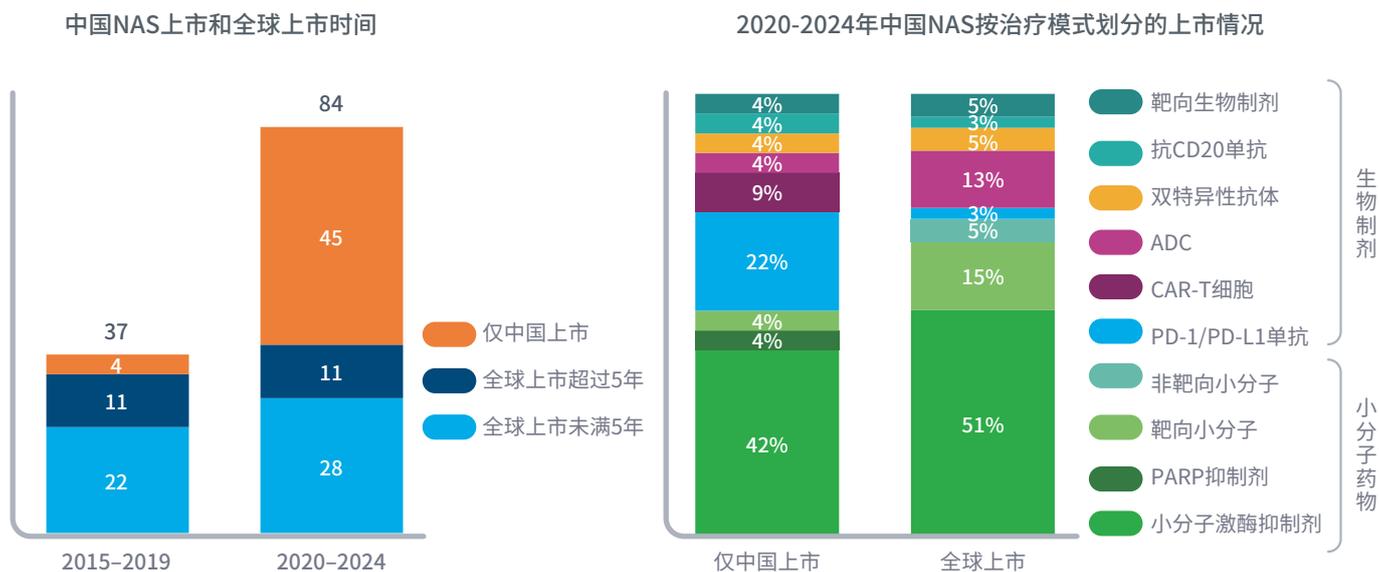
数据来源：IQVIA Institute, Apr 2025.

- 在过去五年中，全球共有132个肿瘤NAS上市，高于前五年的79个，且主要地区的上市数量发生了很大变化。
- 中国的NAS数量从2015-2019年的37个快速增长到过去五年的84个，几乎与美国（85个）的NAS上市数量持平。
- 值得注意的是，在过去五年中，中国有45个NAS迄今尚未在其他市场上市，开创了一种前所未有的国内优先或仅在國內创新的模式。
- 美国仍然领先于其他发达市场，过去五年上市了85个NAS，而欧盟4+英国为64个，日本为47个。
- 由于新药上市的时间滞后，在最近五年中，美国和欧洲的肿瘤新药上市数量差距达到了21个。
- 过去十年间，美国的单一国家试验启动数从497个增至542个，但所占份额从2015年的36%降至2024年的27%。
- 近年来，日本的新药上市速度有所放缓，但新的改革措施将使较早在日本上市的药物有资格获得新的激励措施，这可能会扭转该国目前的趋势。

肿瘤领域新型活性物质

过去五年，中国肿瘤NAS上市量增加了一倍多，这主要由仅在国内上市的新药推动

图5：2015-2024年中国肿瘤NAS上市情况及在全球上市时间



数据来源：IQVIA Institute, Apr 2025.

- 过去十年，中国实施的重大监管改革改变了新药的临床开发和监管审查流程。
- 过去五年中，中国肿瘤新药的上市数量激增，总数达到84个，而此前五年内只有37个。这一增长归功于中国国家药品监督管理局 (NMPA) 实施的监管加速措施，以及对国内新兴企业投资的增加。
- 过去五年中，共有28种药物在全球上市后五年内在中国上市，高于前一个五年的22种。
- 越来越多的肿瘤新药仅在中国国内上市，而未在其他主要市场上市。2020年至2024年，有45个NAS仅在中国上市，其类型与全球上市的药品不同，展现出专为中国市场打造的新药研发模式。
- 在中国上市的10种PD-1/PD-L1和4种CAR-T肿瘤药物未在其他任何市场上市。

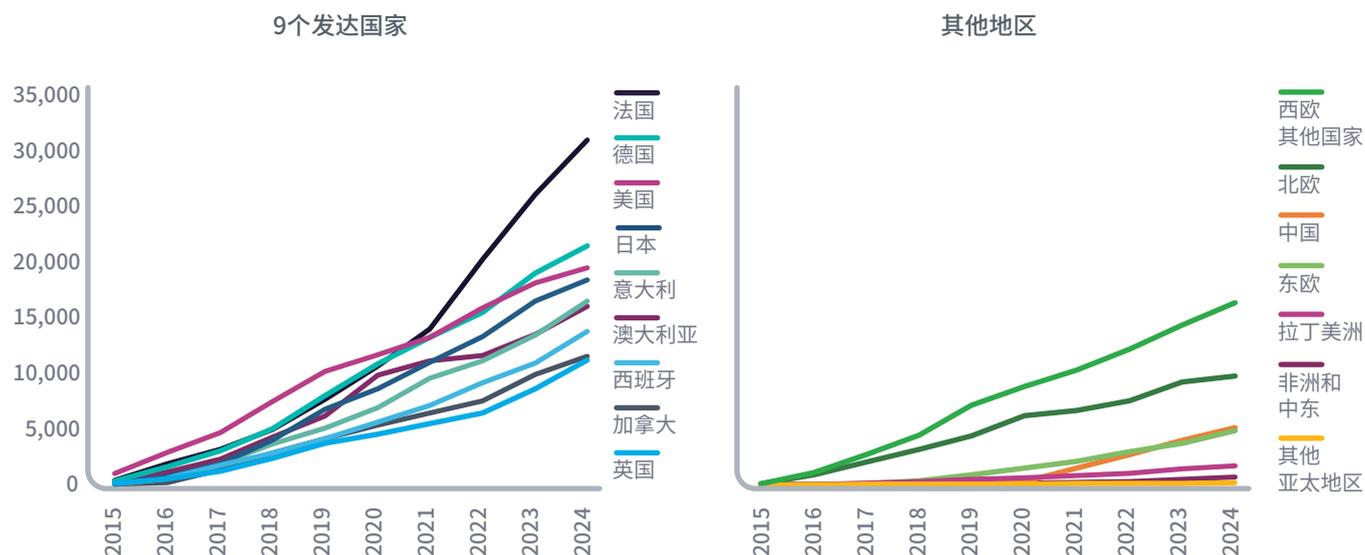
癌症患者对新疗法的获取和使用

- 自2019年以来，全球肿瘤治疗天数每年增长3%，其中大部分增长来自新兴制药市场国家，过去五年这些国家的治疗天数增长了45%。
- 尽管在2024年，靶向治疗方案仅占总量的12%，但这类治疗在过去五年中增长最为迅猛，增幅达36%，因为越来越多的患者接受了此类疗法。
- 过去五年中，美国各类肿瘤患者接受生物标志物检测的平均人数有所增长，且美国与欧盟四国及英国患者人均接受生物标志物检测的数量存在差异。
- 在高收入国家，PD-1/PD-L1抑制剂的使用量迅速上升，但人均使用量存在差异，且部分国家有所滞后；而在中国，随着更多疗法的上市，过去四年其使用量显著增加。
- PD-1/PD-L1检查点抑制剂的使用已转向转移前癌症、更早的治疗阶段以及多种肿瘤的治疗。
- ADC的人均使用量在发达国家之间存在差异，不过法国、美国和德国处于领先地位，过去五年中，由于符合条件的患者群体扩大以及新药上市，其使用量有所增长。
- 免疫疗法、ADC和PARP抑制剂改变了女性相关癌症的治疗模式。
- 2024年，31%的晚期转移性前列腺癌患者接受了放射性药物治疗，而2021年这一比例仅为7%，因为针对前列腺特异性膜抗原（PSMA）阳性的患者，靶向放射性配体疗法已显示出显著疗效。
- 在美国、欧盟4国和英国，超过15%的晚期多发性骨髓瘤患者现已接受双特异性抗体治疗，而CAR-T疗法的使用率仍然较低。
- 在欧洲主要国家中，接受CAR-T治疗的大B细胞淋巴瘤（LBCL）患者比例各不相同，2023年法国最高，达30%，意大利最低，为11%，但所有国家的使用率都在增长。
- 在弥漫性大B细胞淋巴瘤（DLBCL）中，CAR-T治疗的患者接受治疗率在各国差异较大，加拿大的转诊患者为39%，意大利为88%，未接受治疗的原因在各国也有所不同，但疾病进展是最常见的原因。

癌症患者获取和利用科学进步的情况

PD-1/PD-L1抑制剂在主要市场的使用量迅速上升，但人均使用量存在差异，部分市场有所滞后

图6：2015-2024年每10万人中PD-1/PD-L1检查点抑制剂的限定日剂量（DDDs）



数据来源：IQVIA MIDAS, World Bank Population Estimates, Dec 2024; IQVIA Institute, Apr 2025.

- PD-1/PD-L1 检查点抑制剂的广泛应用反映了其在各种实体瘤中的强大疗效，这促进了基于生物标志物检测结果的临床应用。
- 不同国家的PD-1/PD-L1 用药情况差异很大，法国、德国和美国的人均用药量几乎是英国和加拿大的2到3倍。
- 在9个主要发达国家中，多数国家的PD-1/PD-L1 使用率与西欧国家相似，而北欧国家的使用率则相对落后。
- 在2021年之前中国对这些 PD-1/PD-L1 药物的使用有限，但在人均用药量方面已大幅超过其他亚洲国家，目前达到英国用药量的一半，与东欧国家的用药量相近。在过去五年中，中国已有10种 PD-1/PD-L1 抑制剂上市，且尚未进入国际市场。到2024年，中国可供患者使用的此类药物总数已达到约20种，而发达国家平均只有7种。
- 在亚洲其他国家、拉丁美洲、非洲和中东的许多中低收入国家，PD-1/PD-L1抑制剂的供应十分有限，因此人均用药量很低。
- PD-1/PD-L1 药物的使用受到生物标志物检测的影响，同时也取决于其在治疗方案中的位置，这些药物正逐渐被用于更早的治疗阶段，且治疗持续时间更长。

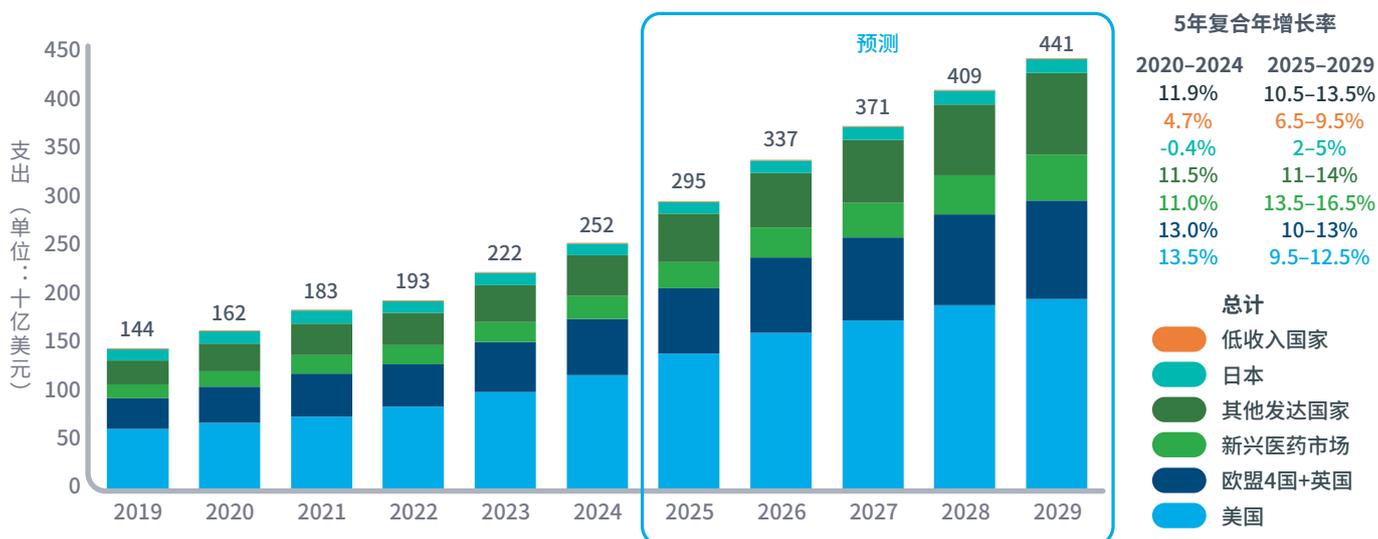
肿瘤药物支出

- 2024年全球抗癌药物按标价计算的支出达到 2520 亿美元，预计到 2029 年将达到 4410 亿美元，但未来五年其增长率将放缓，这主要是由于小分子药物和生物制剂专利到期的影响。
- 美国占全球肿瘤治疗支出的 46%，未来五年各地区的增长情况将有所不同，其中新兴制药市场国家的增长率最高。
- 在主要市场，肿瘤领域生物类似药的使用量已超过分子总量的 50%，其中澳大利亚的使用率最高，日本最低，2024 年生物类似药为支付方节省了超过 80 亿美元。
- 预计在排名前十的肿瘤治疗领域中，有七种肿瘤的治疗支出将实现两位数增长，这些领域均有大量突破性新药问世。
- PD-1/PD-L1 抑制剂在大多数实体瘤的治疗中均有应用，2024 年全球支出达到 600 亿美元，较 2019 年的 240 亿美元大幅增长，占有肿瘤药物支出的近四分之一。
- 预计从 2028 年开始，随着首批 PD-1/PD-L1 抑制剂专利到期，并面临生物类似药的竞争，支出增长将放缓，但到 2029 年支出仍将超过 990 亿美元。
- 目前，全球在肿瘤领域用于 ADCs 和双特异性抗体的支出规模不大，但到 2029 年将显著增长，这是由于新药上市、适应症的拓展以及在更早治疗阶段应用的推动。
- 肿瘤领域细胞和基因疗法在临床和商业化方面仍有重大不确定性，但其全球支出有可能从目前的 50 亿美元增长到 2029 年的 140 亿美元。

肿瘤药物支出

美国占全球肿瘤治疗支出的46%，未来5年各地区的增长情况将有所不同

图7：2019-2029年各地区肿瘤治疗支出（单位：十亿美元）



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

- 2024年，全球肿瘤药物支出增至2520亿美元，其中74%集中在主要发达国家市场(美国、欧盟4+英国和日本)，在过去五年中保持稳定。
- 预计未来五年，特别是2028年和2029年，这些主要发达国家市场的支出增长将放缓，因为届时部分产品开始面临仿制药和生物类似药的竞争，包括PD-1/PD-L1抑制剂的首批生物类似药。
- 美国肿瘤药物支出已从2019年的620亿美元增至2024年的1160亿美元，占全球支出的46%，预计2029年将增至约1950亿美元，年均增长率约为9.5%至12.5%，而过去五年为13.5%。
- 过去五年，新兴医药市场国家的肿瘤药物支出年均增长11.0%，未来五年预计将加速增长，年均增长约为13.5%至16.5%。在过去五年中，中国占新兴医药市场增长的55%，但在2015-2019年期间，中国的支出增长曾有所放缓。
- 预计到2029年，随着新兴医药市场国家以及美国、欧盟4+英国和日本以外的其他发达国家医疗保健服务覆盖范围的扩大，全球肿瘤药物支出将继续增长。
- 低收入国家占全球肿瘤药物支出的比例不到1%，2024年之前，这些国家的年增长率较低，仅为4.7%，但随着更多的治疗方案进入这些国家，更多的患者得到治疗，预计到2029年，这些国家的年增长率将有所提高。

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

2024年全球医药市场交易回顾

尽管市场持续波动，交易总额保持稳定

在经历了2023年的低迷之后，2024年生命科学领域的交易活动持续放缓，由于宏观经济不利因素仍然存在，企业全年都对并购、许可和合作研发交易持谨慎态度。从2023年到2024年，并购活动持续减少，高利率和监管审查使得交易数量下降。与此同时，并购总金额下降35%至1280亿美元，且生物制药领域的收购交易均低于50亿美元。

2024年，生命科学公司的许可交易依然低迷，因为被许可方可在简化产品组合的同时，对引进的资产类型更加挑剔。与2023年类似，2024年的治疗许可交易中，涉及临床阶段的占据了更大比例，因为公司倾向于规避风险，投资临床开发阶段更靠后的项目。尽管2023年至2024年的许可交易总金额基本保持不变，但由于涉及高期权和里程碑款项的风险缓解型交易结构，平均和中位交易额均有所上升。

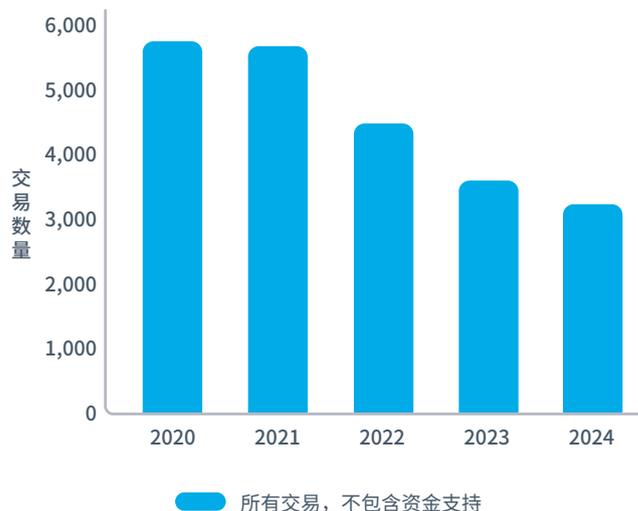
2023年平均预付款大幅飙升之后，2024年减少了38%，但仍高于2020年和2021年新冠期间的平均水平。

诺华与Merck & Co. 并列成为交易数量最多的企业，诺华总交易额排名第一。就交易数量而言，肿瘤再次成为合作交易最多的领域，但几乎所有治疗领域的交易活动都低于2023年。尽管专利悬崖迫在眉睫，但2024年合作研发活动仍保持低位，交易额与2023年相当，因为生命科学领域的主要企业继续将重点放在关键的增长机会上，或深化现有合作，以优化自身产品。

并购下行趋势仍在持续

与2023年情况类似，2024年生命科学领域的交易活动依然低迷，由于市场状况持续不明朗，交易方仍持谨慎态度。除单独的研究资助外，2024年签署的交易总数较2023年下降了10%，较2020年的峰值水平下降了44%（图1）。遵循往常的规律，2024年第一季度交易总量最高，随后逐渐放缓，而并购活动则全年保持稳定（图2）。

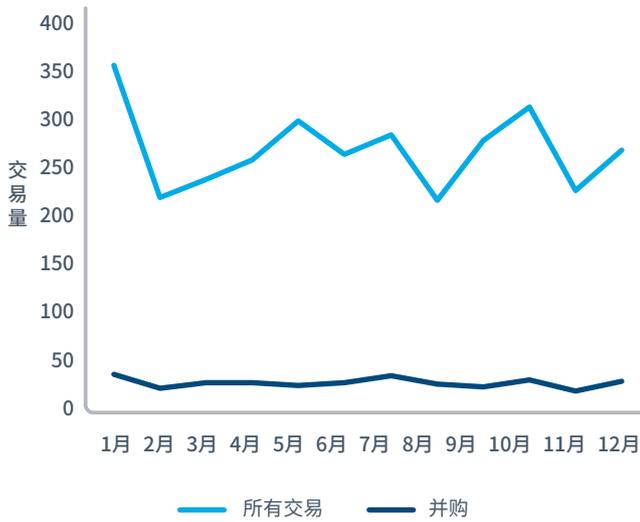
图1：2020-2024年交易数量（不包含资金支持）



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

2024年生物技术融资呈现出复苏的积极迹象，随着市场状况趋于稳定，肿瘤和肥胖等高增长领域极大地激发了投资者的兴趣。全年生物技术指数表现坚挺，例如纳斯达克生物技术指数在2024年第三季度达到了三年来的最高点。2024年生物制药领域的风投资金出现反弹，打破了自2021年峰值以来持续两年的下滑趋势，虽投资规模扩大，但轮次减少。同样，IPO在2024年也实现了稳定的同比增长，扭转了2022年的低迷。尽管有这些积极的迹象，但与2023年类似，整体市场对生物科技公司而言依然充满挑战，许多公司不得不结束或拆分项目，以专注于核心资产，或者加快裁员步伐，以期延长资金链。

图2：2024年各月签署的交易



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

2021年峰值过后，2024年生命科学领域的并购活动依然低迷，持续的宏观经济压力和监管审查让买家望而却步。未出现类似2023年辉瑞与Seagen的大型并购，大型药企倾向于价格适中的补充性收购，以获取其重点治疗领域的资产或能力，而非可能面临漫长监管审批流程的高价转型交易。

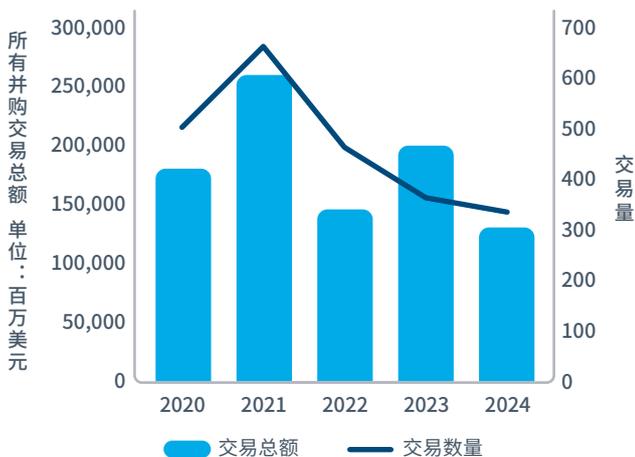
2024年生命科学领域并购交易（此处定义为签署但并未完成的合并、业务收购和资产拆分）的数量较2023年下降了8%，与整体交易活动放缓的趋势一致，降至五年来的最低点（图3）。2024年所有已签署的并购交易总额（包括或有对价）为1280亿美元，与2023年相比下降了35%。与此同时，并购的平均交易额也有所下降。从2023年的12.26亿美元下降18%至2024年的10.05亿美元，但仍高于2020年和2021年新冠疫情期间的水平（图4）。必须指出的是，2023年的交易数据受到辉瑞以430亿美元收购Seagen的极大影响。因此，剔除异常值影响的中位数总交易额从2023年的1.08亿美元大幅增长193%至2024年的3.16亿美元，这主要是由于2024年披露的交易额超过1亿美元的交易数量增多。

表1：2023年与2024年并购交易的总额、平均值和中位数对比

所有的交易	2023	2024	变化
所有并购交易总额	1973.61亿美元	1286.61亿美元	-35%
交易额平均值	12.26亿美元	10.05亿美元	-18%
交易额中位数	1.08亿美元	3.16亿美元	+193%

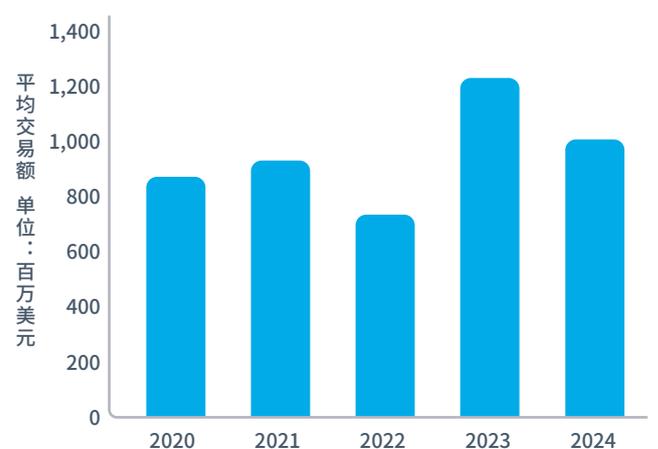
数据来源：IQVIA Pharma Deals.

图3：2020至2024年并购交易数量及总额



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

图4：2020至2024年并购交易的平均交易额



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

2024年十大并购交易(按潜在交易总金额排名,数据来源于IQVIA Pharma Deals 数据库)中,有八笔是在上半年宣布的,这表明下半年高额并购交易活动有所放缓。2024年十大并购交易的总额为596.1亿美元,相当于当年所有已签署并购交易总额的46%。2023年十大并购交易的总额为1199.5亿美

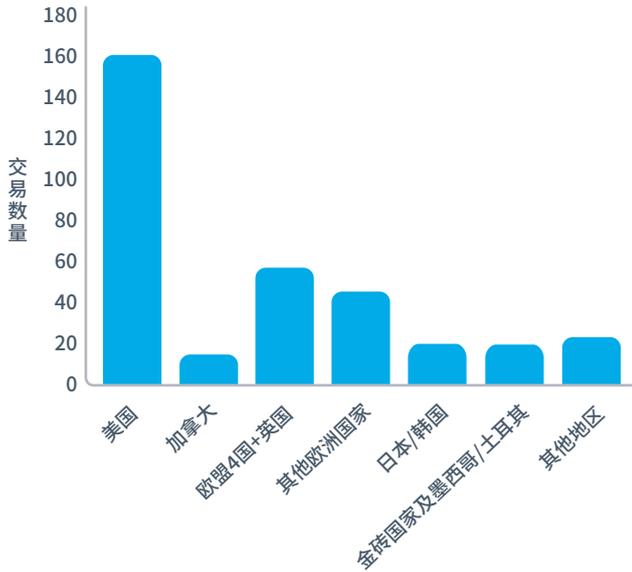
元,占当年总额的61%。2024年十大并购交易中,仅有两笔交易额超过100亿美元,而2023年有四笔;2023年有七笔并购交易额在50亿至100亿美元之间,而2024年没有此类规模的交易。

表2: 2024年按交易额排名的十大收购案

总交易额	公司	交易产品
165亿美元	Novo Holdings, Catalent	CDMO服务、交付技术和制造解决方案
131亿美元	Johnson & Johnson, Shockwave Medical	血管内碎石术治疗冠状动脉和外周动脉病变
49亿美元	Vertex Pharmaceuticals, Alpine Immune Sciences	Povetacicept (ALPN-303)是B细胞活化因子(BAFF)和增殖诱导配体(APRIL)的双重拮抗剂,正在进行IgA肾病的I期开发
43亿美元	Gilead, CymaBay Therapeutics	口服PPAR8激动剂seladelpar用于治疗原发性胆汁性胆管炎
42亿美元	Edwards Lifesciences, BD (Becton, Dickinson and Co.)	将Edwards的危重症产品组,包括监测技术和先进的AI临床决策工具,拆分给BD
38亿美元	Baxter, Carlyle	拆分Baxter的肾脏护理部门Vantive,包括腹膜透析、血液透析和器官支持治疗产品
37亿美元	Boston Scientific, Axonics	Axonics R20TM和Axonics F15TM系统用于提供骶神经调节疗法
32亿美元	Lilly, Morphic	MORF-057,口服小分子a437整合素抑制剂,用于治疗炎症性肠病
30亿美元	Merck & Co., EyeBiotech	Restoret (EYE103), Wnt信号通路的激动剂,用于治疗糖尿病黄斑水肿
27亿欧元 (29.1亿美元)	Novartis, MorphoSys	Pelabresib (CPI-0610),后期研究阶段的BET抑制剂,用于治疗骨髓纤维化;Tulmimetostat (CPI-0209),早期研究阶段的EZH2和EZH1双重抑制剂,用于治疗实体瘤或淋巴瘤

数据来源: IQVIA Pharma Deals.

图5：2024年按目标公司所在地区划分的并购交易



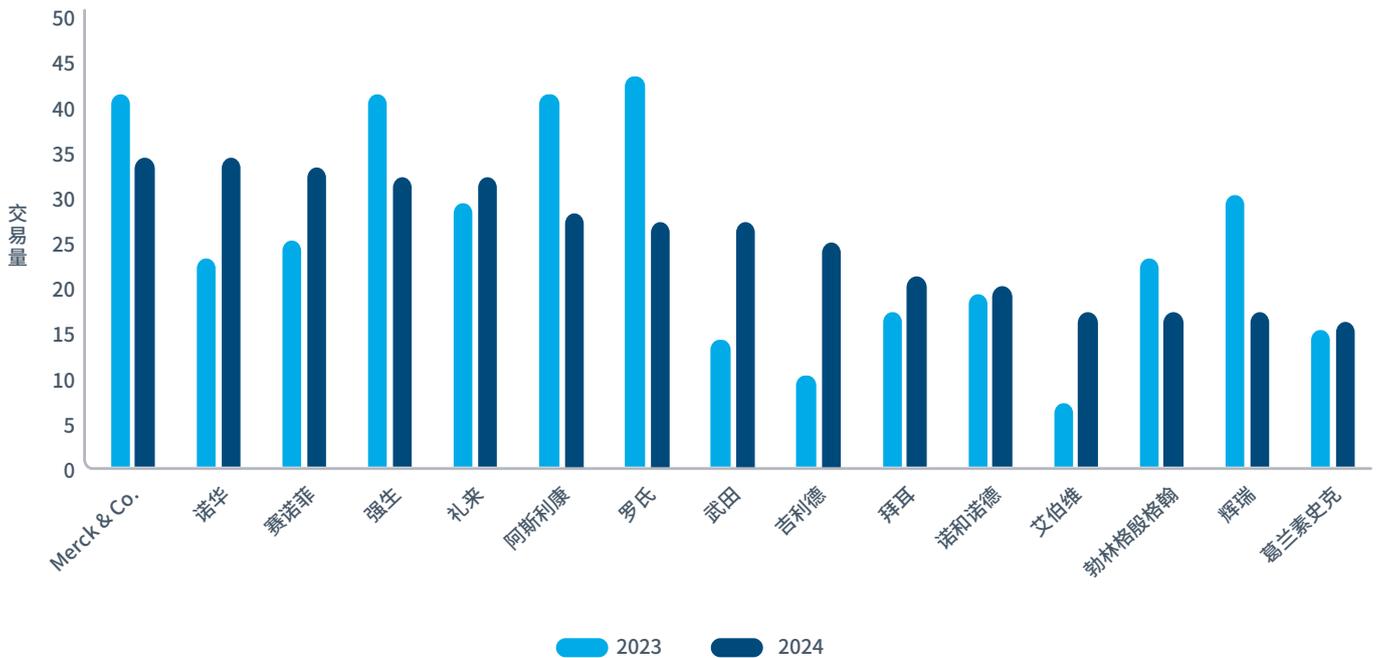
数据来源：IQVIA Pharma Deals.

2024年，美国再次主导了并购市场，美国本土公司被收购的交易占生命科学领域所有并购交易的48% (图5)。欧洲五大市场(法国、德国、意大利、西班牙和英国)的公司以17%的交易份额成为第二大被收购群体。在欧盟和英国的并购交易中，43%涉及英国公司，23%涉及德国公司。在金砖国家及墨西哥、土耳其 (BRICMT) 的并购交易中，绝大多数是印度(50%)或中国(44%)的公司被收购。

诺华与Merck & Co.并列为最活跃的交易者

尽管 Merck & Co. 的交易数量同比下降了17%，但2024年仍以34笔公开披露的交易与诺华并列成为生命科学领域最活跃的交易方，诺华的交易数量则增长了48% (图6)。赛诺菲的交易活跃度上升了五位，排名第三，而强生则下降一位排名第四。辉瑞在前15大交易方中交易数量降幅最大，其公开披露的交易数量从2023年的30笔降至2024年的17笔，降幅达43%。

图6：2023年与2024年活跃的交易公司

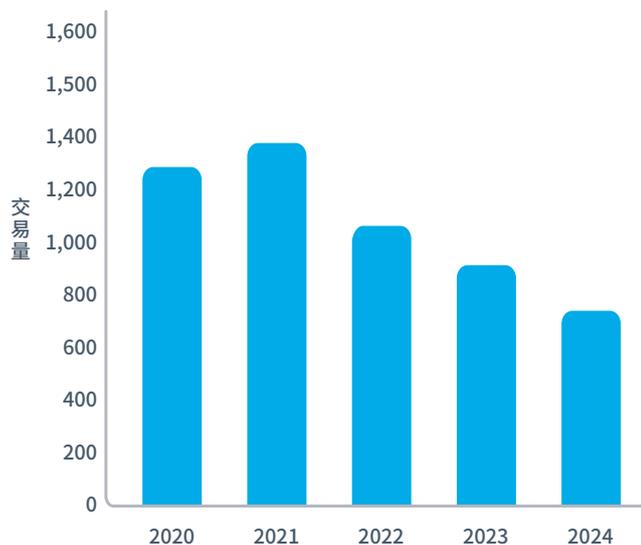


数据来源：IQVIA Pharma Deals.

谨慎的被许可方降低了预付款，但提高了交易总额

2024年，生命科学领域的许可活动进一步减少，大型药企在选择产品方面仍保持谨慎。生命科学领域的许可交易数量从2023年到2024年下降了18%，降幅略高于整体交易的降幅，因为谨慎的交易者重新调整了投资组合，仅在高增长领域进行投资(图7)。

图7：2020-2024年许可交易数量



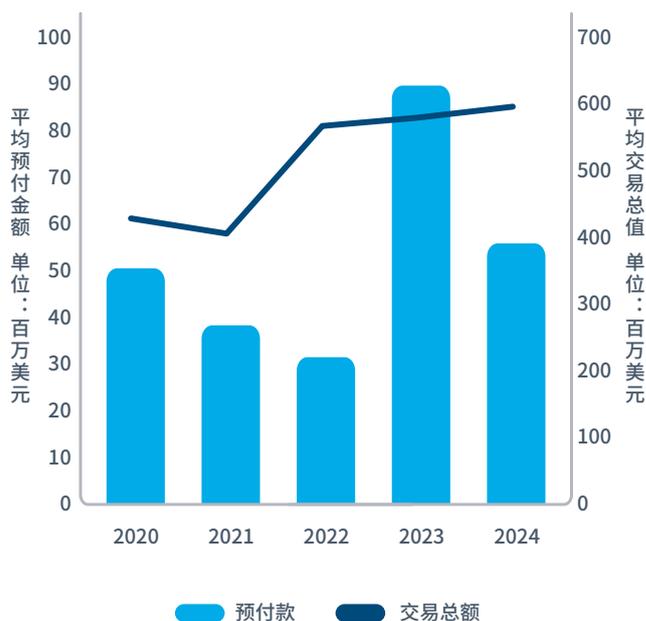
数据来源：IQVIA Pharma Deals.

基于期权和里程碑款项的交易有助于提高交易总额，因为谨慎的被许可方选择在研发和商业化过程中分散风险。

2024年签订的许可交易的平均预付款减少了38%，而中位数预付款项仅减少了4%。总体而言，2024年被许可方支付的预付款总额为95亿美元，较2023年的155亿美元减少了39%。必须指出的是，2023年的数据因Merck & Co.与第一三共达成的220亿美元交易（其中包含55亿美元预付款）而严重偏高。若将这一交易从2023年的分析中剔除，2024年许可交易的平均金额增加19%，平均预付款仅减少5%。

尽管许可交易数量持续下降，但2024年的许可总额与前几年持平，所有披露的许可交易的潜在总额达到1522亿美元，略低于2023年的1601亿美元和2022年的1615亿美元。2024年许可交易的平均额增长了3%，达到6.06亿美元，而中位交易额则增长了45%，达到2.72亿美元(图8)。

图8：2020至2024年许可交易的平均交易总额和平均预付款



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

表3展示了2024年按总预付款（包括现金和股权）排名的前10大合作交易。尽管宏观经济形势依然严峻，但大型药企在2024年仍表现出动用积累的现金以获取有前景和创新性产品的意愿。与2023年类似，2024年有四笔许可交易的预付款超过5亿美元。

表3：2024年按预付款排序的十大合作交易（不包括结算及产品收购）

总交易额	预付款	公司	研发领域	研发阶段
29亿美元	10亿美元	PTC Therapeutics, Novartis	PTC518, 用于亨廷顿病	II期
32.88亿美元	5.88亿美元	LaNova Medicines, Merck & Co.	LM-299, 程序性细胞死亡蛋白1/血管内皮生长因子双特异性抗体	I期
14.1亿美元	5亿美元	Sanofi, Novavax	新冠疫苗Nuvaxovid, 及新型流感与新冠组合疫苗	已上市; 发现
128.15亿美元	5亿美元	Arrowhead Pharmaceuticals, Sarepta Therapeutics	基于SiRNA的疗法, 用于肌肉, 中枢神经系统和罕见肺部疾病	临床前; 发现; I/II期
14.5亿欧元 (15.5641亿美元)	4亿欧元 (4.2936亿美元)	GSK, Curevac	MRNA候选疫苗, 用于季节性流感、禽流感和新冠	II期; I期
未披露	3.5亿美元	Viatrix, Idorsia	Selatogrel, 用于急性心肌梗死; Cenerimod, 用于系统性红斑狼疮	III期
17.19亿美元	3.3亿美元	Kura Oncology, Kyowa Kirin	Ziftomenib, 选择性口服menin抑制剂, 用于急性髓系白血病	II期
20.05亿美元	3亿美元	Protagonist Therapeutics, Takeda	Rusfertide, 铁调素模拟肽, 用于真性红细胞增多症	III期
13.1亿美元	2亿美元	Keros Therapeutics, Takeda	Elritercept (KER-050), 用于血液癌症的贫血	II期
41.65亿美元	1.85亿美元	Shanghai Argo Biopharmaceutical, Novartis	基于心血管RNAi的疗法	发现; I期; I/II期

数据来源：IQVIA Pharma Deals.

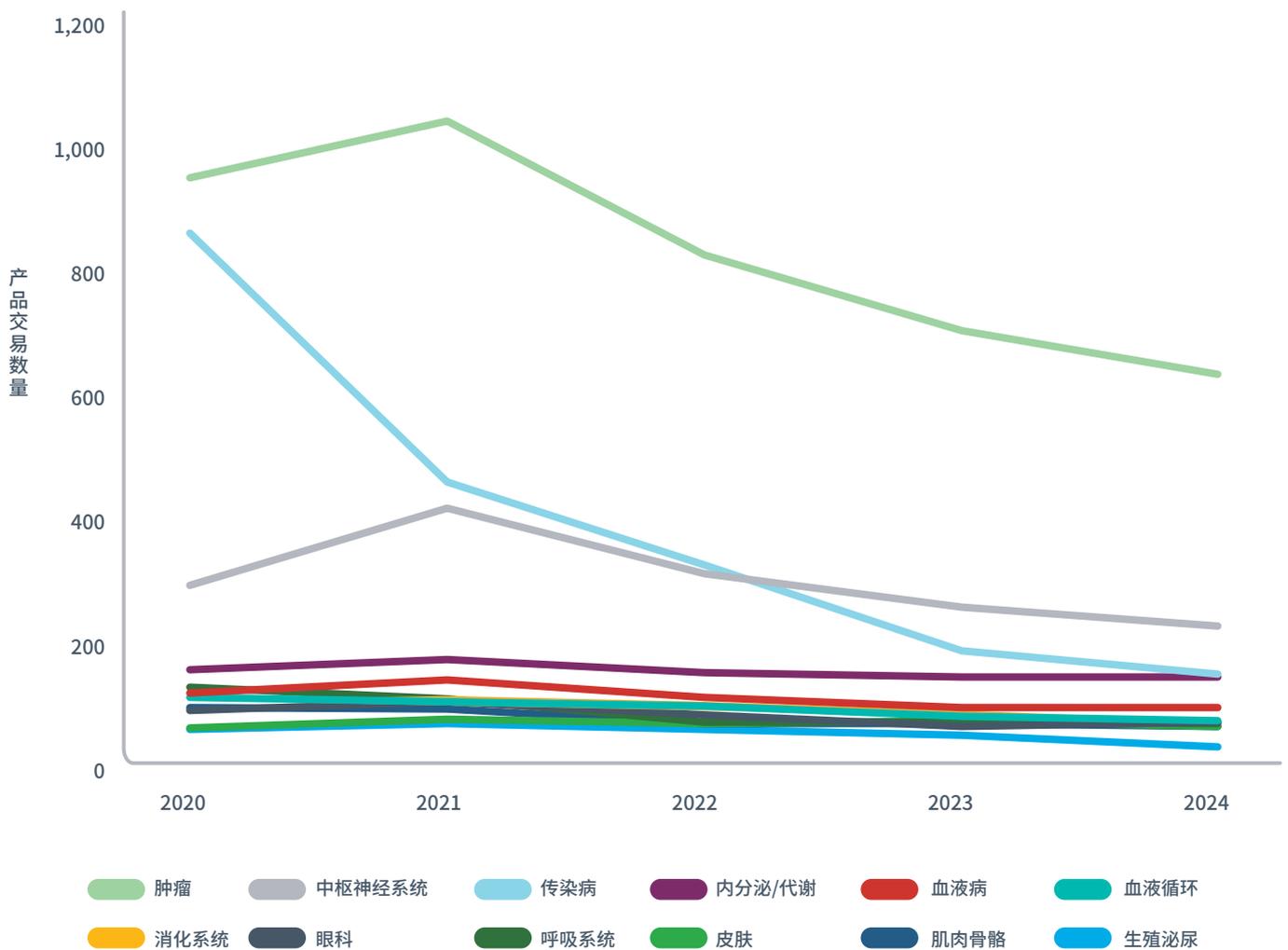
产品交易仍集中在肿瘤领域

图9按适应症领域对产品交易（包括产品收购、许可、许可选择权、合作开发和合作研发交易）进行了分析。2024年，肿瘤再次成为生命科学领域最热门的交易领域，尽管交易数量较上年有所减少，但降幅与整体交易活动的降幅基本一致。在2024年签署的交易中，约40%涉及癌症治疗、诊断或医疗器械，这一比例与2023年相同。中枢神经系统疾病仍是2024年交易的第二大热门领域，内分泌/代谢和血液病分别位居第四和第五。以产品为重点的传染病交易数量在2020年因新疫

情达到前所未有的水平后，在2024年较2023年又下降了20%，超过整体交易活动的降幅，使其在排名中降至第三位。在分析涵盖的12个治疗领域中，有9个领域的交易活动在2023至2024年出现下降，其中传染病和泌尿生殖系统疾病领域的降幅最大，分别为20%和36%。

2024年，中枢神经系统疾病领域仍位居第二，各大药企积极扩展其在日益激烈的市场中的影响力。该领域的投资主要由创新递送技术驱动，这些技术有助于克服将治疗药物递送至中枢神经的难题。

图9：2020-2024年按治疗领域划分的产品交易数量



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

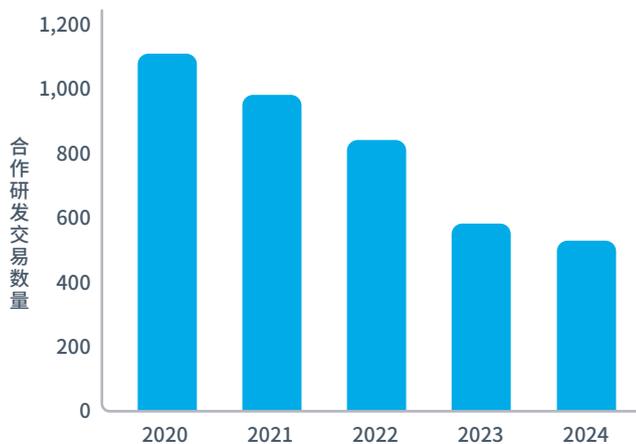
研发联盟保持稳定，广泛的平台合作占据主导地位

2023年至2024年，合作研发联盟（此处定义为涉及双方或多方合作研发的发现阶段或临床前阶段交易）的数量下降了10%，降至5年来的最低点（图10）。与2023年类似，这一年来，几家大型药企拆分了优先级较低的产品，并终止了当前无进展的合作，以削减成本并精简运营。尽管面临长期创新的压力，但生命科学领域的主要企业仍保持谨慎，只投资于那些能为其庞大的研发组合提供强大治疗方案的合作项目。

2024年所有已签署的合作研发交易的总额为582.7亿美元，较2023年下降了10%，多靶点和多模式联盟继续受到关注（图11）。与2023年的情况类似，2024年的总额中约有40%来自10个高额的研发联盟。已披露财务条款的合作研发交易的平均额同比下降了15%，从2023年的8.497亿美元降至7.193亿美元，而2022年的平均总额曾创下10.67亿美元的历史新高。不过，交易的中位数数值增长了8%，从2023年的5.07亿美元增至2024年的5.5亿美元。当年，有21项交易的金额达到10亿美元或以上，与2023年发布的交易数量相同。

这表明存在通胀压力，2024年合作研发交易的预付款平均增长了16%，从2023年的4050万美元增至4690万美元，出人意料地超过了2020年和2021年因新冠疫情而促成的高额合作（图12）。2024年合作研发联盟的预付款总额达15亿美元，高于2023年的13亿美元。必须指出的是，本分析未包含2024年为扩大前几年签署的合作研发联盟而支付的款项。

图10：2020-2024年合作研发交易数量



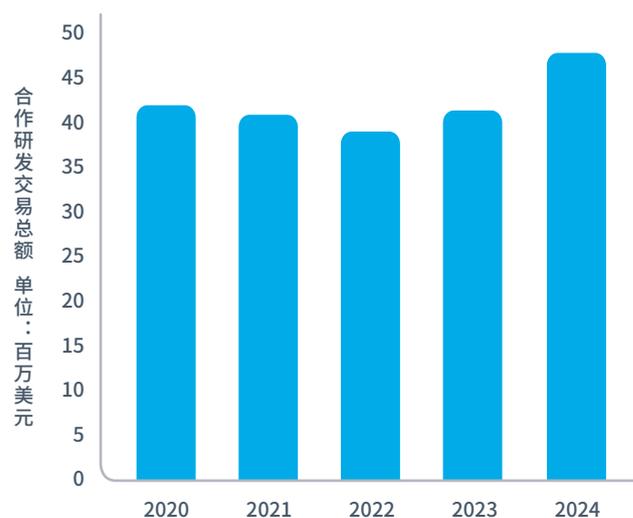
数据来源：IQVIA Pharma Deals.

图11：2020-2024年合作研发交易总额与平均交易额



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

图12：2020-2024年合作研发交易的平均预付金额



数据来源：IQVIA Pharma Deals.

表4展示了2024年按潜在交易总额排名的前10大合作研发交易。尽管交易活动持续放缓，但生命科学公司仍愿意为未来可能带来收益的项目和技术签署高额交易。

表4：2024年按潜在交易总额排序的前十大治疗领域合作研发交易

总交易额	预付款	公司	研发领域	研发阶段 (项目/靶点数量)
35.95亿美元	5500万美元	Prime Medicine, Bristol Myers Squibb	基于Prime Assisted Site-Specific Integrity Gene Editing (PASSIGE™) 技术的体外T细胞疗法	发现 (多个)
30亿美元	1.25亿美元 (包括2500万美元股权)	Dren Bio, Novartis	用于癌症治疗的双特异性抗体	发现 (多个)
28.9亿美元	1.8亿美元	PeptiDream, Novartis	采用PDPS (肽代谢平台系统) 技术的大环肽	发现 (多个)
24.22亿美元	1.5亿美元	Schrödinger, Novartis	用于未公开靶点的小分子开发	发现 (多个)
20.15亿美元	6500万美元	Gilgamesh Pharmaceuticals, AbbVie	用于精神疾病的下一代神经塑性剂	发现 (多个)
20亿美元	未披露	Suzhou Ribo Life Science, Ribocure Pharmaceuticals, Boehringer Ingelheim	基于siRNA的疗法, 用于非酒精性或代谢功能障碍相关性脂肪性肝炎	发现 (多个)
19亿美元	未披露	Mestag Therapeutics, Merck & Co.	使用RAFT (逆转活化成纤维细胞技术) 识别治疗炎症疾病的靶点	发现 (多个)
18.7亿美元	7000万美元	Flare Therapeutics, Roche	用于肿瘤转录因子靶点的小分子药物	发现 (多个)
15.81亿美元	5600万美元	Merus, Gilead Sciences	靶向双肿瘤相关抗原的三特异性抗体	发现 (最多3个)
15.49亿美元	4900万美元	Triana Biomedicines, Pfizer	用于包括肿瘤在内的多种疾病领域的多个靶点的分子胶降解剂	发现 (多个)

数据来源: IQVIA Pharma Deals.

2025年展望

2024年虽未达预期，但2025年生命科学领域的交易预期仍值得期待。许多观察人士认为，该行业将迎来更为活跃的一年。尽管宏观经济仍存在不确定性，但推动交易活动的几个关键因素依然存在，促使企业从战略上进行调整，并动用其积累的资本。最值得注意的是，一些行业领军的重磅药物即将面临专利到期，这意味着药企将需要依靠交易来获取中期和近期的收入，以减轻未来可能出现的损失。

考虑到这一点，2025年的并购活动值得期待，因为战略收购将使企业得以扩张并实现产品组合的多元化。在经历了2024年相对平淡的一年后，对反垄断法规更清晰的理解可能会为2025年宣布的变革性交易铺平道路。强生于1月宣布以每股132美元的现金收购Intra-Cellular Therapies，总股权约为146亿美元。并于2025年4月9日完成收购，这是自2023年3月辉瑞以430亿美元收购Seagen以来最大的一次生物科技公司收购。不过，大型药企仍会热衷于继续寻求100亿美元以下的小规模、资产驱动型附加交易，以相对较低的价格锁定未来的收入来源。2025年初的一个例子是葛兰素史克以11.5亿美元收购IDRx及其针对胃肠道间质瘤的精准治疗药物研发管线。

随着市场开始企稳，2024年新兴生物科技公司的融资环境呈现复苏迹象，预计2025年还将进一步改善。然而，初创企业仍将依赖与成熟企业的合作与联盟来维持现金流并实现增长目标。风险规避型被许可方仍将倾向于预付款较少、后期付款较多的交易，罗氏与信达生物最近签订许可交易，推

进I期Delta样配体3靶向ADC (IBI3009) 用于小细胞肺癌的开发。该交易涉及8000万美元的预付款及最高可达10亿美元的里程碑款项。不过，对风险较低的临床阶段产品的投资将继续推高许可费用，例如日本新药株式会社以1.1亿美元的预付款获得Regenxbio的后期基因疗法RGX-121 (用于亨特综合征治疗) 和RGX-111 (用于赫尔勒综合征治疗) 的许可。

预计到2025年，肿瘤领域仍将在治疗性交易领域占据主导地位，但由于对新型开创性疗法的需求不断增长，免疫、神经和代谢类疾病领域也将出现显著的交易活动。在2024年持续放缓之后，预计2025年合作研发活动将保持稳定，因为大型药企将继续精简业务并缩小小研发产品组合。涵盖多个靶点且后期付款金额较高的联盟将继续吸引最高的合作交易额，例如Vertex与Orna Therapeutics达成的为期三年的基因编辑疗法合作，用于治疗镰状细胞病和输血依赖型β地中海贫血，该合作涉及6500万美元的预付款以及高达40多亿美元的期权费和里程碑款项。新型治疗模式，尤其是能够作用于此前被认为“不可成药”的靶点疗法将继续吸引大型药企的关注，例如艾伯维已与Neomorph合作，投入高达16.4亿美元用于开发针对肿瘤和免疫领域多个靶点的新分子胶降解剂。

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



打造医疗系统迎接CAR-T细胞疗法时代

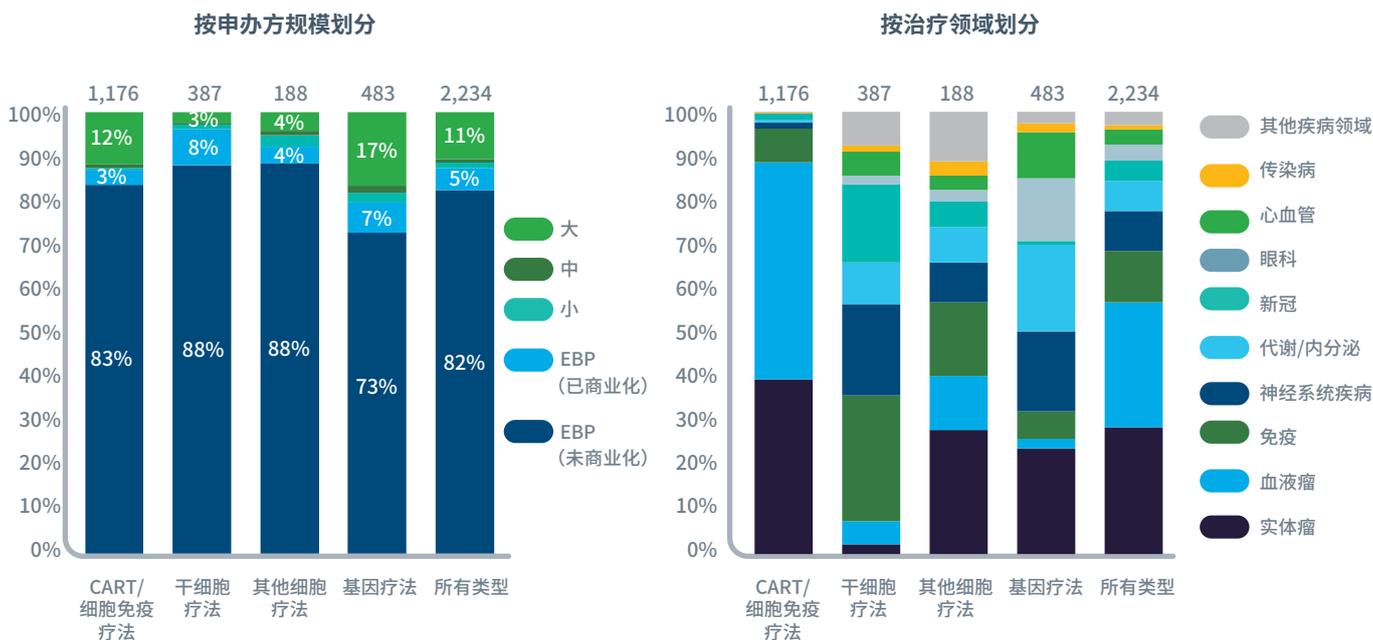
CAR-T细胞疗法背景

嵌合抗原受体 (CAR) T 细胞疗法属于先进治疗药物产品 (ATMPs)。目前商业化的CAR-T细胞产品,主要通过血液分离术采集患者自身的(自体) T 细胞(T细胞是免疫系统中发挥关键作用的白细胞,能够对抗肿瘤),然后对这些T细胞进行基因工程改造,使其表达CAR结构,以识别肿瘤细胞表面的特定蛋白质,如CD19或B细胞成熟抗原(BCMA),从而使得CAR-T细胞能够更有效地识别并攻击肿瘤细胞。

CAR-T细胞疗法被认为是一种非常成功的免疫疗法,在复发性或难治性(R/R)恶性血液瘤中疗效显著。CAR-T细胞可用于治疗重大疾病,帮助降低社会成本,并使R/R患者的病情持续缓解,甚至治愈,而这类患者以往的治疗选择相对有限,往往预后不佳。

2017年, Tisagenlecleucel (Kymriah) 和 Axicabtagene-ciloleucel (Yescarta) 成为全球首批获批的CAR-T产品。Tisagenlecleucel 已获欧洲药品管理局 (EMA) 批准用于治疗儿童及25岁以下B细胞急性淋巴细胞白血病(ALL)患者,这些患者对既往治疗无效、或经历至少两次复发,或在接受干细胞移植后复发。此外,该药还被批准用于治疗成人复发性或既往治疗无效(经过至少二线及以上治疗)的弥漫性大B细胞淋巴瘤(DLBCL)和滤泡性淋巴瘤(FL)。Axicabtagene-ciloleucel 已获EMA批准用于治疗一线化疗免疫治疗后12个月内复发、或对一线治疗无效的成人DLBCL和B细胞淋巴瘤(HGBL),用于治疗R/R DLBCL和原发性纵隔大B细胞淋巴瘤(PMBCL)以及接受过至少三线及以上全身治疗后复发的成人FL。

图1: 2020-2024年按治疗领域和公司规模划分的细胞和基因疗法试验启动概况



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

自CAR-T疗法获批以来，这两种CAR-T产品以及另外四种CAR-T产品已在欧盟、英国、澳大利亚和加拿大获批用于其他更多的适应症和早期治疗。此外，CAR-T细胞疗法也可以在医院内进行，这使得医院能够在特定条件下为患者开发和和使用包括CAR-T细胞疗法在内的ATMPs。除了已获批的适应症外，CAR-T细胞疗法和其他免疫细胞疗法还在多种血液瘤和实体瘤以及自身免疫性疾病等非肿瘤适应症中进行研究（图1）。鉴于对CAR-T细胞疗法开发的广泛兴趣，这些疗法的需求可能会快速增加。

CAR-T细胞疗法患者旅程

CAR-T细胞疗法的治疗需要多学科团队的协作，包括转诊医生和治疗医生、护士、药剂师，以及患者及其护理人员。政策制定者也是关键的利益相关方，因为他们决定了整体环境，为这些价格高昂的治疗产品提供资金支持，并且能够引导投资以优化医疗健康系统的整体流程。患者和医疗系统完成一次CAR-T治疗的过程可以分为多个阶段。通常情况下，如果患者符合治疗条件，就会被转诊至专科治疗机构。这些治疗的实施仅限于在符合国际、国家或区域管理要求的指定治疗中心完成。这些中心需要能够应对治疗引发的不良事件，比如细胞因子释放综合征（CRS）、免疫效应细胞相关神经毒性综合征（ICANS）、感染和血细胞减少症等，并能为患者提供急救措施。CAR-T疗法治疗过程分为以下几个阶段：首先，患者在治疗中心进行单个核细胞采集（采集患者的T细胞），然后这些细胞将被送至CAR-T细胞生产研究中心进行制备生产。在CAR-T细胞制备期间，患者可能会接受桥接治疗，以确保其病情不会恶化，并能够接受后续的CAR-T治疗。一旦患者的CAR-T细胞制备完成，患者将接受预处理治疗，并输注这些经过重新编程的CAR-T细胞。

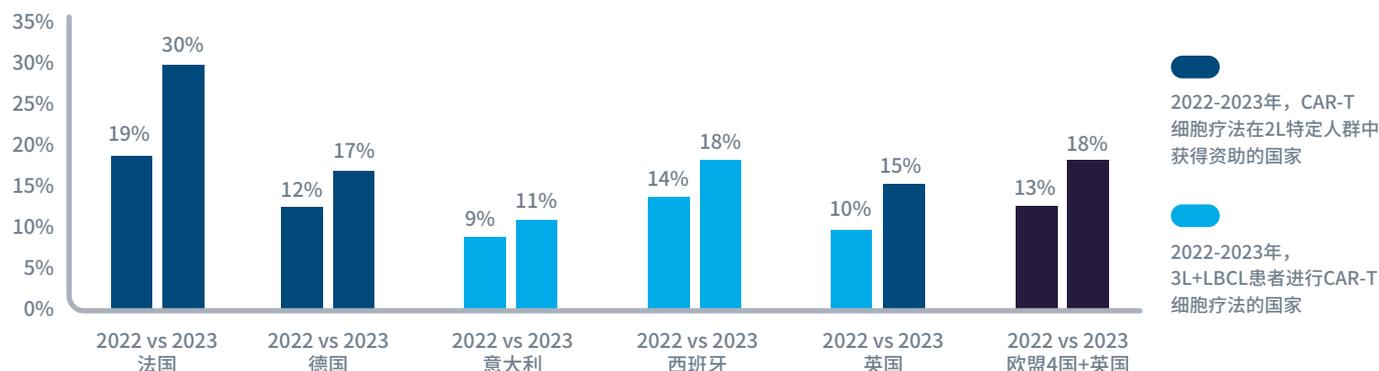
治疗后，患者需留在医院或医院附近接受监测。经过治疗医生四周的监测后，患者将被转回转诊的肿瘤科进行长期随访监测。

鉴于CAR-T细胞疗法及相关护理复杂的步骤，患者能否进行这种疗法取决于能否克服各个阶段的诸多挑战。例如，对于某些患者来说，前往治疗中心的距离可能是个障碍；转诊医生可能对CAR-T细胞疗法作为治疗选择了解不足；治疗审批和资金申请的程序可能导致治疗延误；转诊网络可能没有建立完善，无法及时转诊。这些挑战因国家而异，影响了能否及时为符合条件的患者提供治疗。任何延误都可能影响患者的治疗结局。2019年的一项研究指出，CAR-T细胞疗法的等待时间每延长一个月，患者相对死亡率就会增加6.2%。另一项2022年的研究发现，等待时间每缩短两个月，每位接受治疗的患者生存率就会提高3.3%。

各国CAR-T细胞疗法的使用概况

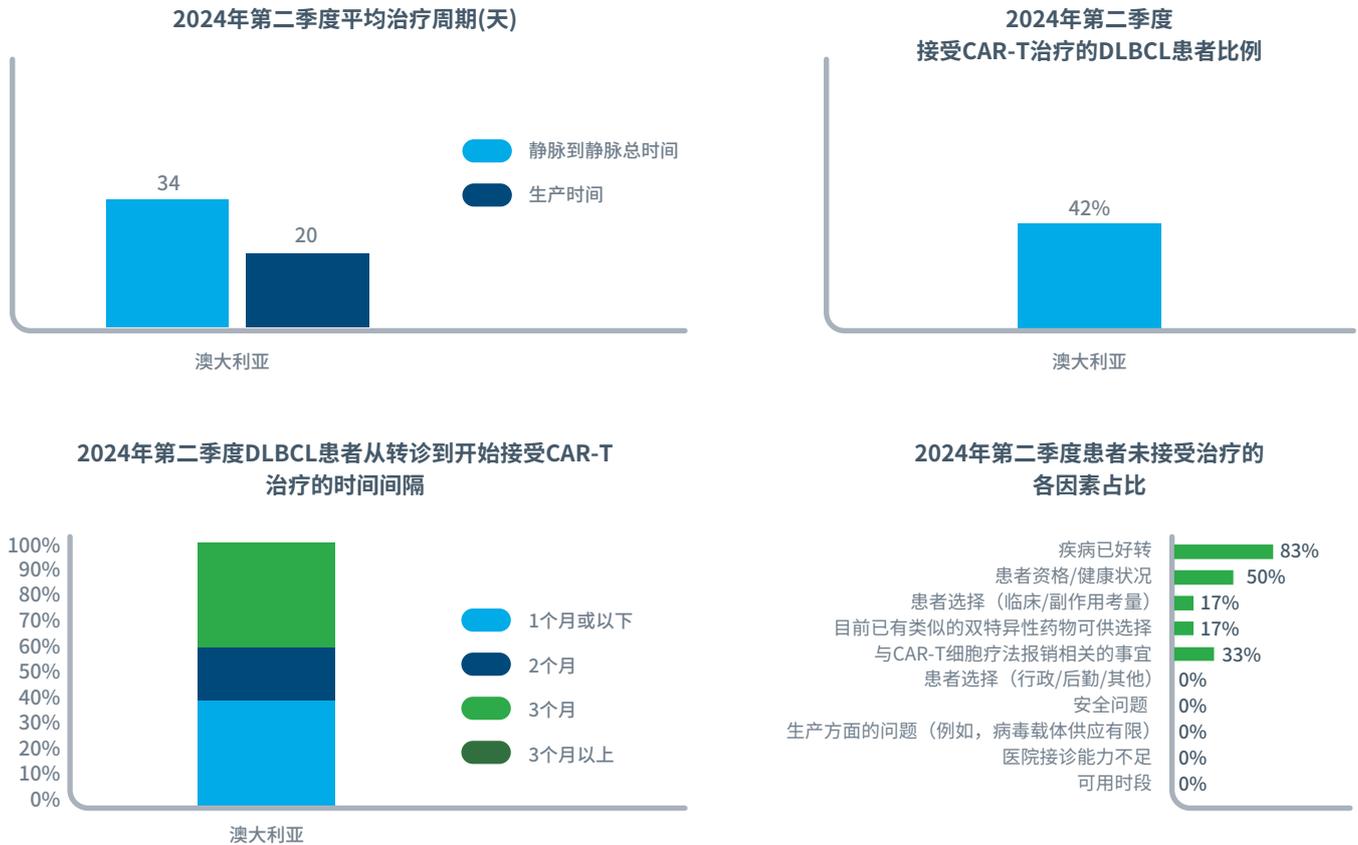
为研究不同国家患者获得CAR-T疗法的情况并揭示其中的差异，本报告分析了意大利、法国、德国、西班牙和英国的二线及以上R/R LBCL患者中接受CAR-T细胞疗法的患者比例（图2），包括可能有资格接受CAR-T细胞疗法的患者，但有些患者可能身体过于虚弱或合并症过多，不符合CAR-T细胞治疗的条件，或需要考虑其他药物治疗。2022年至2023年间，所有国家中之前未接受过CAR-T疗法的LBCL 2L+R/R患者接受CAR-T治疗的比例均有所上升。然而，各国的总体比例存在差异。2023年，法国接受CAR-T疗法的患者比例最高，为30%，意大利最低，为11%。各国CAR-T细胞疗法比例的差异可能由多种因素驱动，例如治疗中心的数量、转诊和治疗启动/给药流程以及报销政策等。各国CAR-T细胞疗法的不同利用率凸显了重新审视这些因素的必要性，以及需要深入分析各国的主要障碍和潜在解决方案。

图2：2022年-2023年间，接受药物治疗的LBCL 2L+ R/R且之前未接受过CAR-T细胞疗法的患者中，使用CAR-T细胞疗法的比例



数据来源：Numerator (IQVIA CAR T-cell patient assessment), Denominator (IQVIA Oncology Dynamics).

图3：澳大利亚主要治疗提供方数据



数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

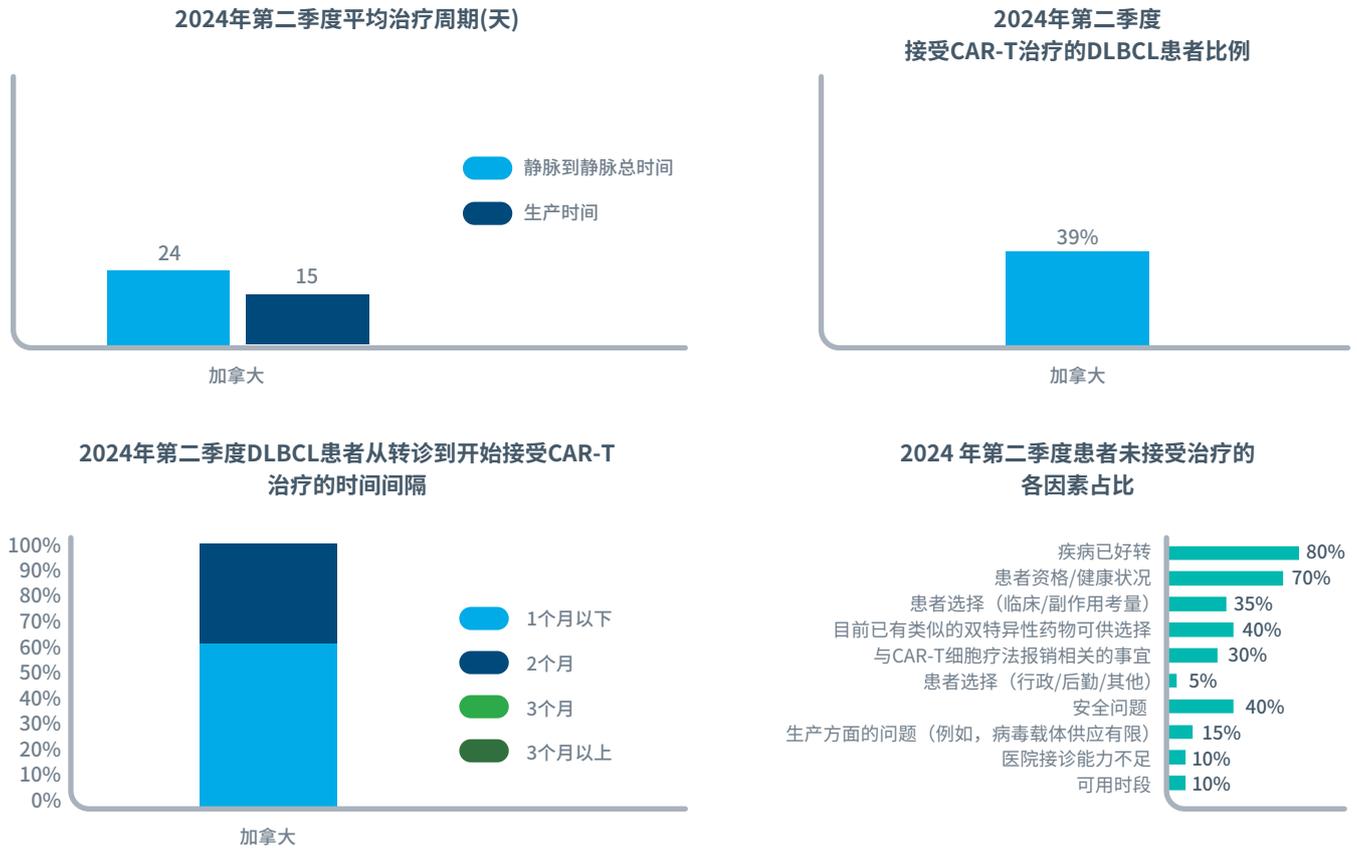
尽管澳大利亚的CAR-T细胞疗法数量不断增加，患者获得治疗的机会也在扩大，但仍有一些问题需要在政策和操作层面进行讨论：

- 澳大利亚仅设有7家成人CAR-T治疗中心；4个州和地区暂无治疗中心，包括人口众多的南澳大利亚州阿德莱德市。这些州以及澳大利亚偏远地区有限的治疗资源，使得部分患者不得不长途跋涉前往外地接受治疗，导致治疗资源的分配不均衡。
- CAR-T细胞疗法及其他细胞和基因疗法的健康技术评估（HTA）和报销流程十分复杂，且缺乏明确指南，这可能导致

在获得澳大利亚治疗用品管理局（TGA）批准后，这些疗法的使用仍存在延迟。此外，CAR-T细胞疗法的资金支持往往仅限于疗法本身的购买成本，而其他相关费用诸如辅助服务、基础设施以及患者支持等通常未被涵盖。而且，CAR-T的交付由各州和地区管理，导致各州和地区之间的资金支持存在差异，从而造成全国范围内的不均衡。

- 医院的接诊能力问题，包括单采设备和病床数量有限，增加了负责患者CAR-T治疗的专业医护人员的工作负担。缺乏护理协调员使得医护人员在治疗患者方面耗费了更多的时间。

图4：加拿大主要治疗提供者数据



数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

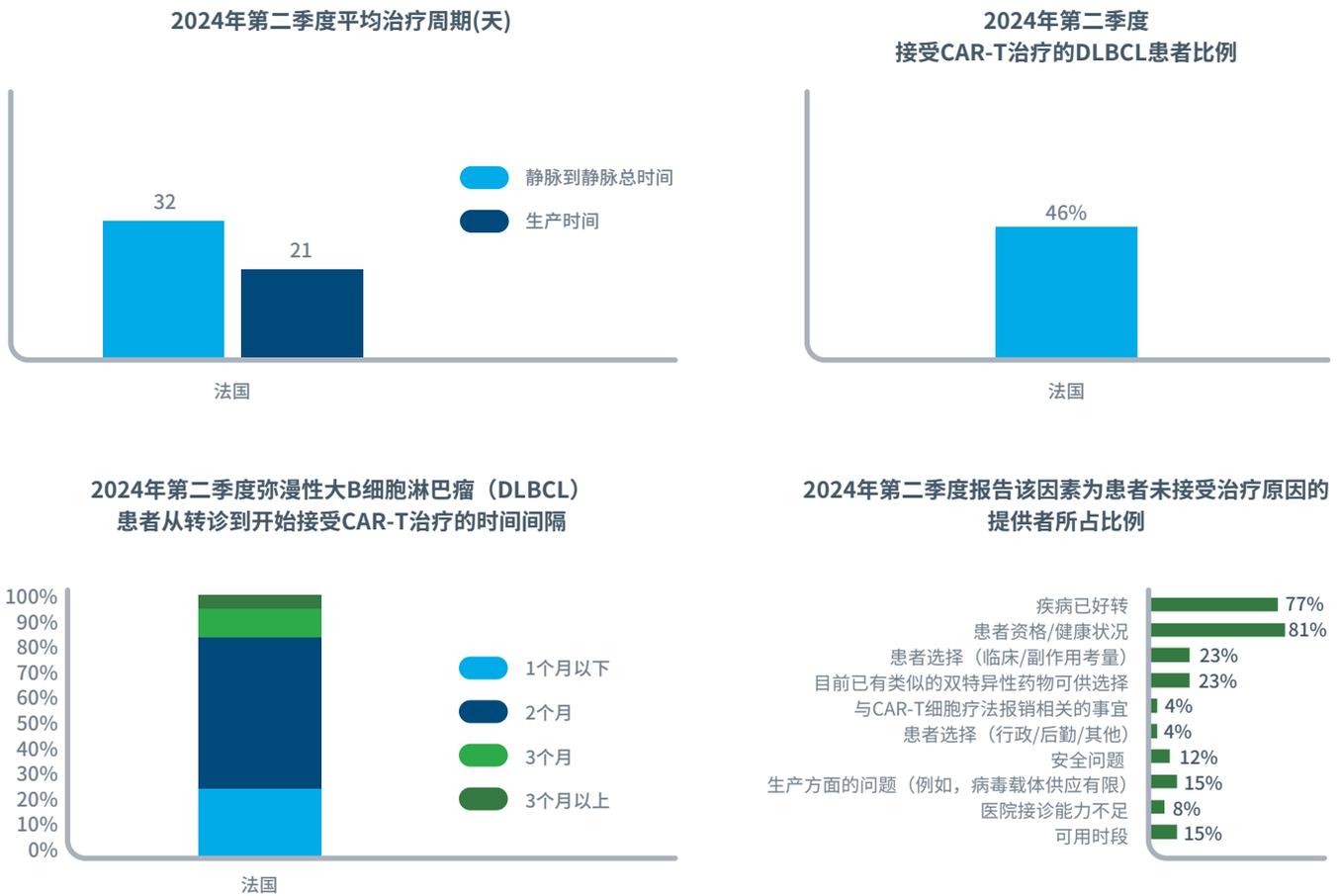
CAR-T细胞疗法在加拿大正逐渐成为某些患者的常规治疗方式，然而仍存在一些需要关注的障碍：

- 在加拿大一些较小省份和偏远的地区，CAR-T细胞治疗中心的可及性有限。由于地域辽阔，一些患者可能需要长途跋涉至CAR-T细胞治疗中心后才能接受治疗，而且由于在治疗中心附近的长期停留期间缺乏帮助和照顾，他们可能会选择放弃CAR-T治疗。
- 尽管加拿大拥有全民公费医疗体系，但每个省和地区都管理着各自的公共保险计划，而且大多数加拿大人还通过私人保险获得公共保险未涵盖的服务。这造成了支付体系的碎片化，可能导致高成本治疗的获取出现延误和不均衡。

- 最后，医院的接诊能力问题，包括影像、单采和介入放射学等辅助服务方面的能力，以及人力资源的限制，都制约了可接受CAR-T疗法的患者数量，而且随着CAR-T细胞疗法在更多适应症上的应用，符合条件的患者群体会大幅增加，这些问题将会进一步加剧。

法国

图5：法国主要治疗提供方数据



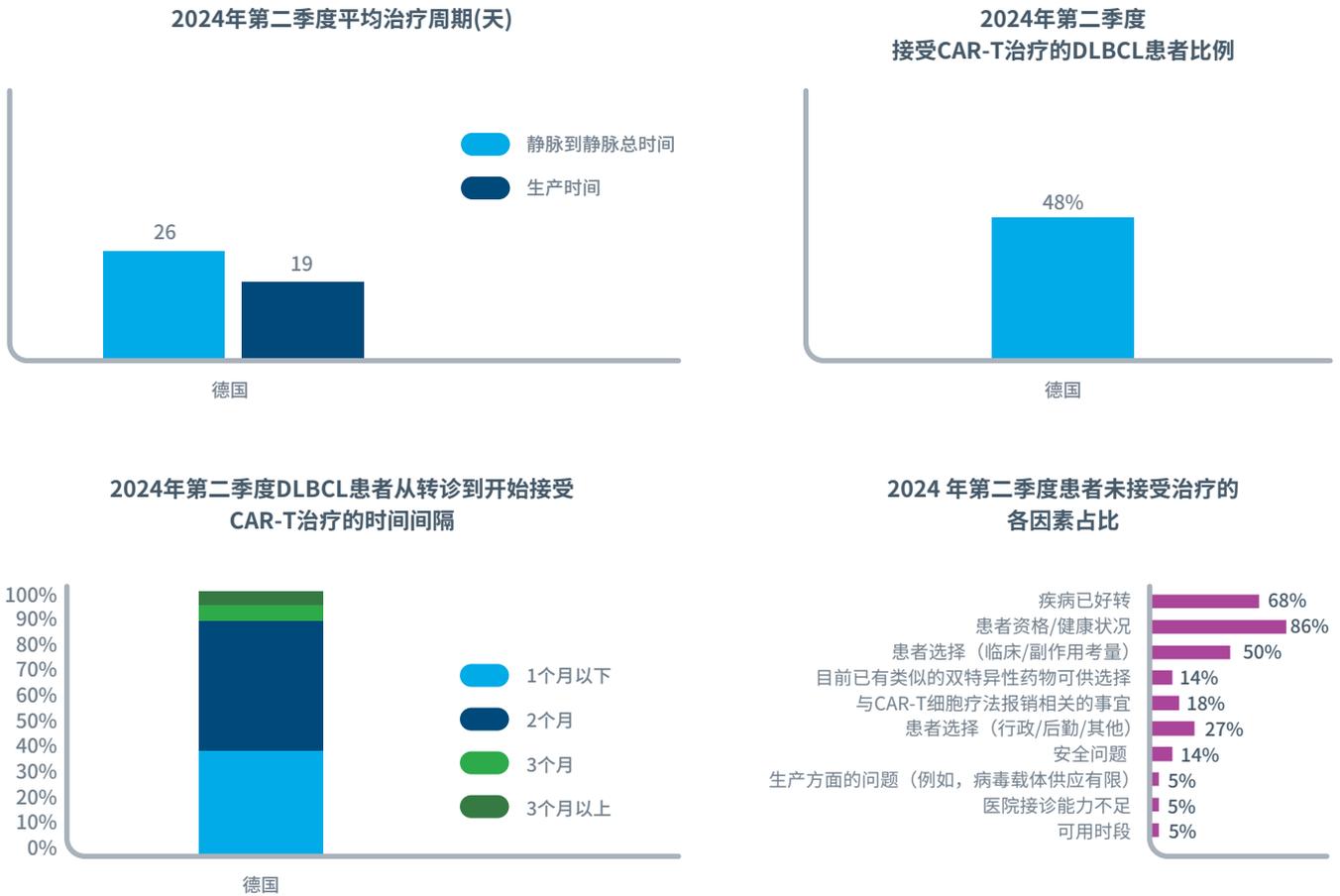
数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

法国已建立起一套高效机制，为符合条件的患者提供CAR-T疗法，拥有成熟的转诊网络以及完善有序的治疗审批、启动和实施流程。从政策角度来看，有几个方面需要加以考虑：

- 随着接受CAR-T治疗的患者数量增加，确保随时监测接诊能力以及充分覆盖治疗费用。

- 评估现有人员配备情况，并制定资金筹集途径以支持增加人员的成本。

图6：德国主要治疗提供方数据



数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

尽管德国在过去几年已设立了多个治疗中心，但仍有一些问题需要在政策和操作层面进行讨论：

- 由于缺乏标准化的转诊网络，加之转诊人员的知识水平和认知差异，可能导致患者转诊延误，在此期间患者的病情可能会恶化。
- 缺乏及时的报销审批以及流程太繁琐也会导致进一步的治疗延误。

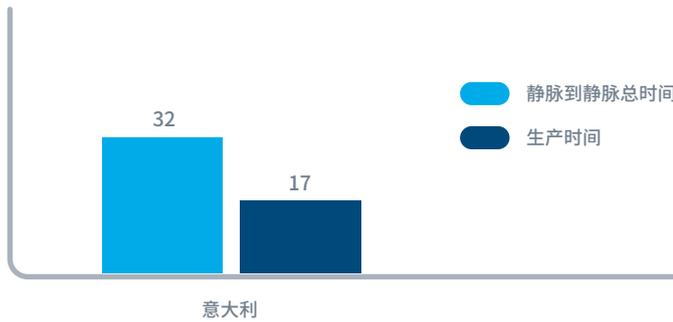
- 一些中心 ICU 不足，以及其他接诊能力问题亟待评估和解决（例如单采设备、人员配备情况等）。

意大利

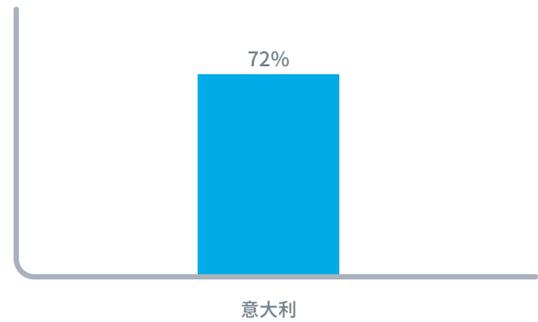
图7：意大利主要治疗提供方数据



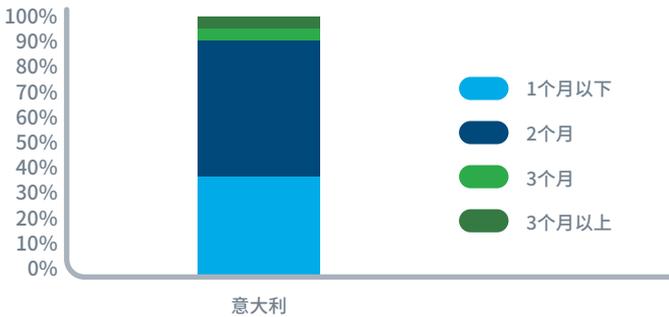
2024年第二季度平均治疗周期(天)



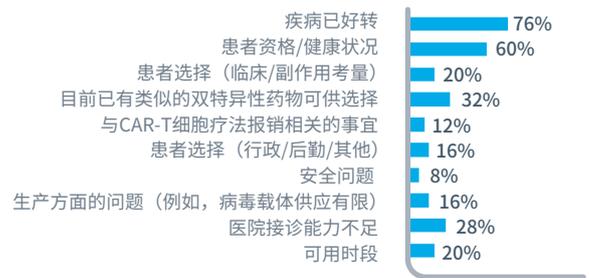
2024年第二季度接受CAR-T治疗的DLBCL患者比例



2024年第二季DLBCL患者从转诊到开始接受CAR-T治疗的时间间隔



2024年第二季度患者未接受治疗的各因素占比



数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

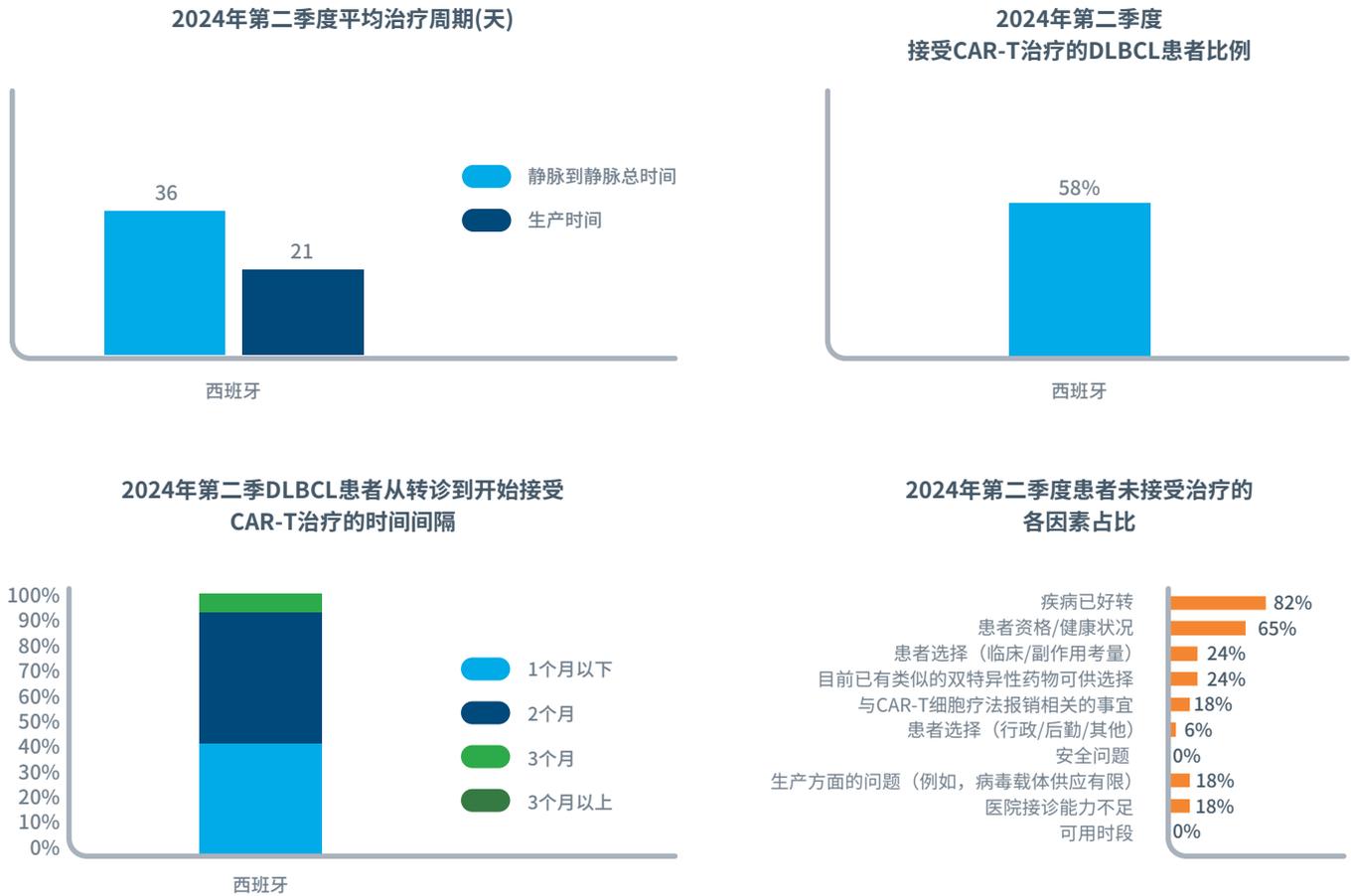
尽管CAR-T细胞疗法在意大利的应用呈上升趋势，但仍有一些问题需要从政策和操作层面进行讨论：

- 意大利现有34家CAR-T治疗中心，但这些中心主要集中在北部地区。20个地区中有5个暂无治疗中心。这可能会给患者带来出行方面的困难，增加转诊和转诊医生培训的挑战，同时资金获取更复杂。
- 为提供CAR-T疗法的医院提供及时的资金支持对患者的治疗至关重要。然而，由于为跨地区患者提供资金存在困难，这可能导致治疗延误。

- 由于缺乏区域性的CAR-T转诊或护理网络的整合，加之转诊医生的知识水平和认知差异，可能导致转诊延误，在此期间患者的病情可能会恶化。
- 意大利在单采设备、ICU以及经验丰富的医护人员配备方面仍然不足，早期规划和资金方面的挑战依然存在。

西班牙

图8：西班牙主要治疗提供方数据



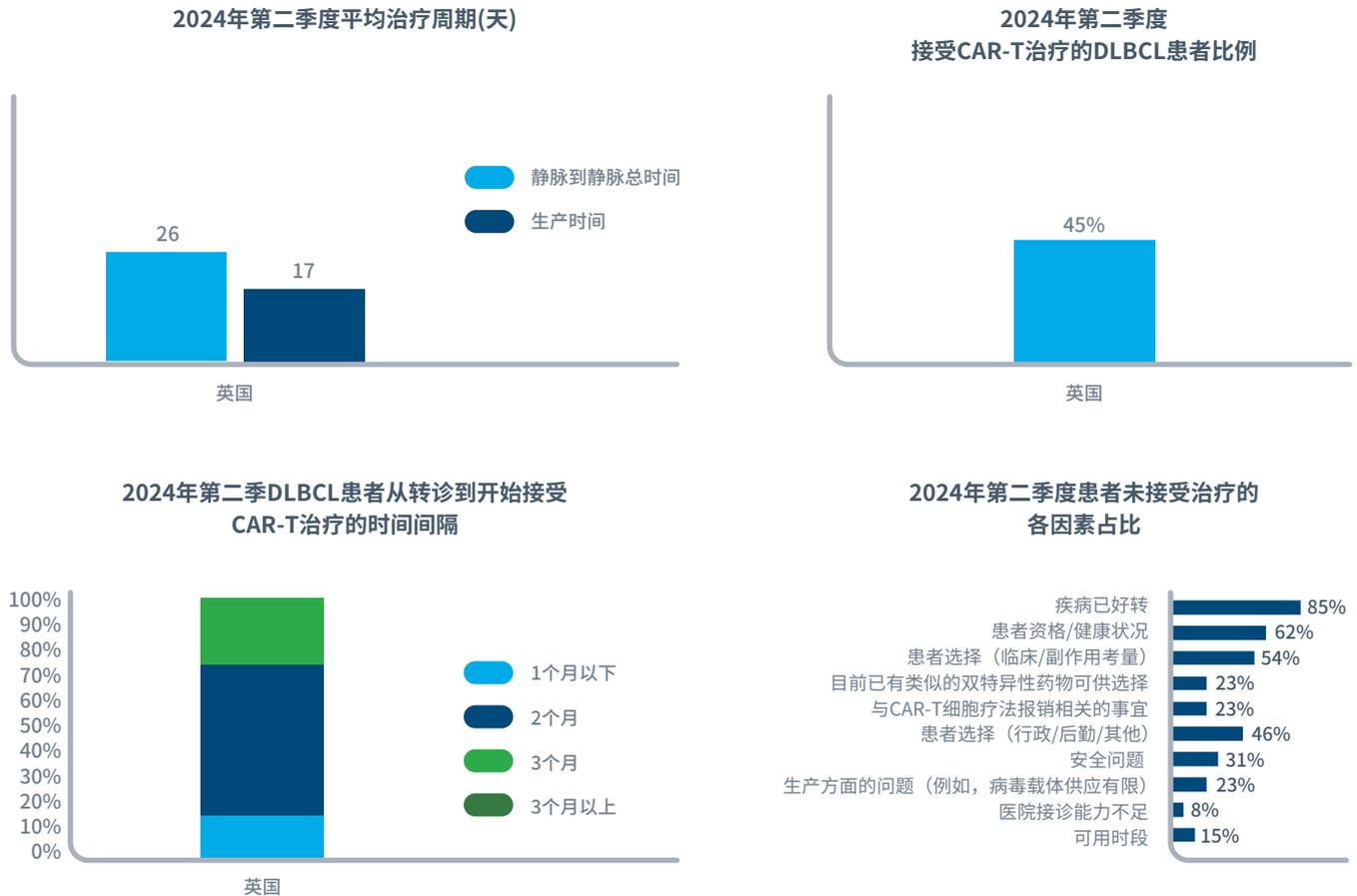
数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

在西班牙，符合资格的患者使用CAR-T细胞疗法的情况持续增加，通过定期评估国家计划，可以及时发现问题和不足，从而优化政策。然而，某些问题仍需进一步关注。例如：

- 西班牙虽已建立了转诊网络，但需确保各地转诊医生公平地接受CAR-T细胞疗法相关培训。

- 不同地区 CAR-T 细胞疗法的实施及时间安排仍存在差异。诸如单采设备、ICU 以及经验丰富的工作人员数量等问题，加上早期规划和资金支持不足，仍是挑战。增加专人负责病例流程和数据收集，有助于减轻临床医生负担，并加快治疗进程。

图9：英国主要治疗提供方数据



数据来源：IQVIA CAR T-cell Monitor, Jun 2024.

英国在CAR-T疗法的交付方面有所改善，得益于转诊流程的优化和同种异体移植中心网络的利用。但从政策和操作的角度来看，仍有一些问题需要解决：

- 转诊的沟通和指导虽已建立，但缺乏一致性和统一性。
- 部分转诊医生掌握的信息不足，这会导致转诊延误。
- 需要确保有足够的单采设备和ICU，保障患者公平地获得治疗机会。

- 应关注患者尤其是弱势群体对转诊出行费用的担忧。评估现有治疗中心的可及性以及是否需要增设新中心。
- 需要评估员工是否工作负担过重，并确认是否有经过培训的后备员工和资金支持。评估当前CAR-T细胞疗法护理状况，做好未来规划，以确保治疗工作在需求增长时仍能够持续顺利推进。

克服各国在CAR-T细胞疗法方面的障碍

为了在全球范围内有效推广CAR-T细胞疗法，我们需要解决一系列共同的挑战。这些挑战不仅涉及技术层面，还包括政策、资金和操作等多个方面。以下是一些关键的解决方案和建议：

1. 制定全面的国家/地区计划

各国和地区应制定详细的计划，以评估CAR-T细胞疗法的实施情况，并定期监控实施进展。这种计划可以帮助识别和解决患者获取CAR-T治疗的不平等问题。通过建立全国和地区的关键数据收集系统，更好地实施有影响力的政策变革。

2. 确保可持续的资金支持

CAR-T细胞疗法及其相关费用较高，因此确保资金支持的可持续性至关重要。政府和相关机构应建立适当的资助体系，以消除经济障碍，确保所有符合条件的患者都能获得治疗。此外，治疗中心应密切关注资金的可用性，以减少治疗延误。

3. 建立标准化的转诊系统

为了提高患者获取CAR-T细胞疗法的效率，应建立标准化的转诊系统。这包括在国家或地区层面设立转诊中心，并采用最佳实践，以确保转诊医生和治疗医生之间的有效沟通。转诊中心应定期与治疗中心进行双向沟通，并提供培训和相关材料，帮助转诊医生更好地理解和管理CAR-T细胞疗法。

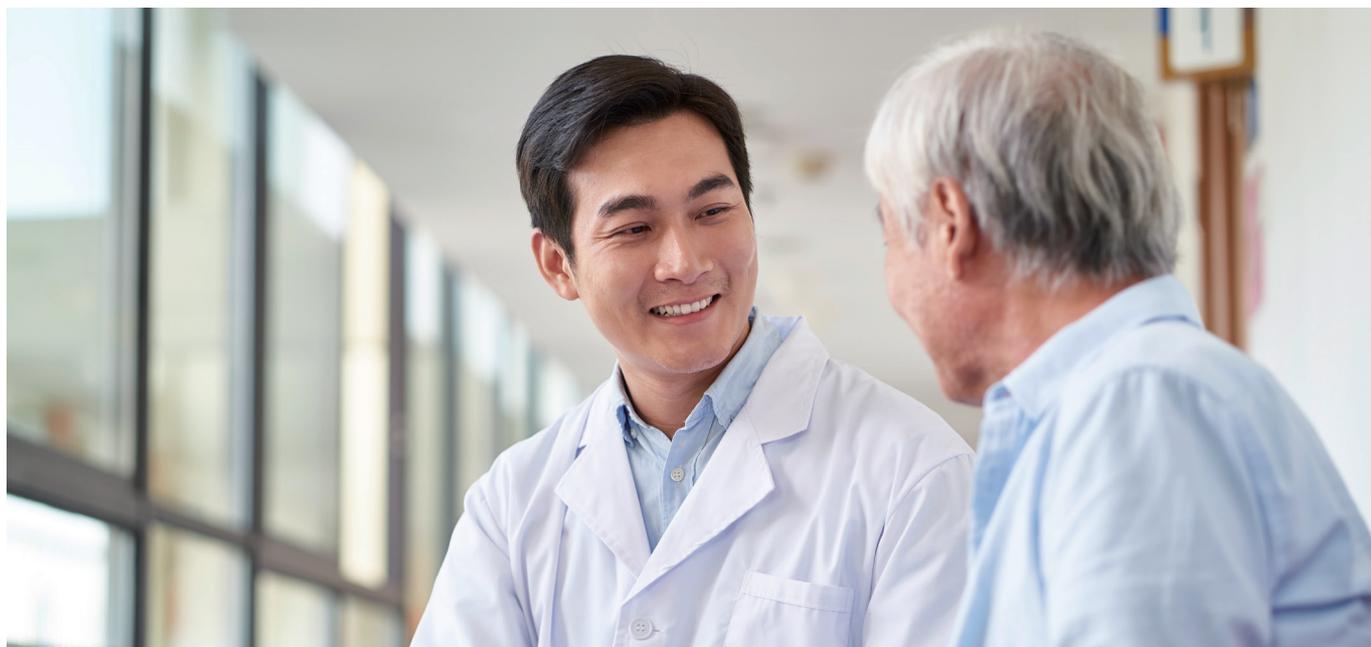
4. 协调审查细胞疗法需求

为了优化患者治疗的及时性，各国和地区应定期协调审查CAR-T细胞疗法的需求。这包括前瞻性监测活动，以确保尽早规划未来需求，并优化资源分配。医院和国家/地区相关机构应协调评估高需求区域，并确定资金来源以解决能力问题。

通过这些措施，我们可以更好地克服CAR-T细胞疗法在全球推广过程中遇到的障碍，确保更多患者能够受益于这一创新疗法。

更多信息，敬请垂询

Shihu Wei
昆拓首席医学官
shihu.wei@kuntuo.com



数字创新重塑临床试验设计开发

临床试验领域正经历前所未有的快速变革。精准医疗方兴未艾、技术发展日新月异、监管力度不断加大、药物研发的竞争也愈发激烈。为应对这一环境，申办方纷纷致力于设计更精简、更高效的试验方案，力求减少不必要的修改，弥合种族和族裔差异，支持可持续发展，缩短试验周期，并提高受试者留存率。然而，考虑到这些不同目标的相互影响，试验方案变得更加复杂，可能导致临床试验表现不佳。本白皮书深入探讨了导致试验方案复杂化的因素，以及数字化转型如何优化试验设计，从而实现更高效的临床试验。

推动设计开发变革的关键因素

个性化医疗的兴起、监管要求的不断提高以及对更复杂数据收集方法的需求，都在增加设计的复杂性。如今，II期和III期试验方案平均包含超过18个终点指标、30项纳入和排除标准，以及分别需收集210万和350万个数据点。此外，研究还表明，具有相对较多终点指标、入选和排除标准以及程序的试验方案会导致以下情况：

- 降低医生转诊率
- 程序管理负担加重
- 研究志愿者参与意愿降低
- 患者招募和留存率降低
- 患者用药依从性降低
- 数据量增加
- 方案偏离和重大修订的发生率增高

最终，方案的复杂性会导致更高的失败率、更长的临床试验周期、更差的数据质量以及更高的药物开发研究和项目成本。

除了复杂性不断增加之外，自2015年以来，所有临床试验阶段中临床试验方案的修改频率和平均修改次数都有所上升。实际上，从2015年到2022年，这一数字增长了近60%。其中约三分之一的修改本可避免，与试验方案的复杂性高度相关，涉及相对较多的终点指标、程序以及覆盖更多国家的研究中心。尽管试验方案的修订出于多种原因，其中一些是为了受试者的最大利益（例如，保护研究志愿者的安全），但它们也会造成极大的挑战，并且是临床试验中最大的计划外延误和额外成本。

上述挑战所带来的时间与成本压力、监管要求以及加快将疗法带给患者的愿望，正在推动设计开发的数字化转型。本文重点介绍了采用创新技术和运用分析手段如何为设计决策提供信息，以降低复杂性和负担，并优化方案以提高运营效率。

数字化转型为方案设计和开发带来的主要益处包括：

- 做出更明智的设计决策，并权衡不同因素的影响
- 比较优化方案、最经济方案和最快方案在时间和成本方面的差异
- 更快地优化设计决策
- 识别不可避免的风险
- 发现隐藏的复杂性以及应对之法
- 支持风险评估和风险缓解策略
- 评估潜在修订变更的影响

临床设计和开发的数字化转型

如今，当人们提到创新时，通常会想到人工智能 (AI)，尤其是生成式 AI 和大型语言模型的应用。然而，创新可以比这更简单。创新是创造新想法、新产品或新方法的过程，这些新事物能带来显著的改进或以独特的方式解决问题。创新往往需要跳出固有思维模式，挑战现状，并运用创造力开发出能增加价值或提高效率的解决方案。

在几项研究中，塔夫茨药物研发中心 (Tufts CSDD) 主张简化试验方案，并将重点放在可避免的修订上，以减少重大修订所带来的挑战和延误。实现这一目标的方法是整合多个工具和数据源，以便更早、更快甚至循环生成能为设计决策提供信息的见解，从而实现更有效和更精简的设计。

基于证据的设计

理想的设计应采用多因素方法，这意味着在做出研究决策时，不仅要考虑操作上的可行性，还要兼顾科学、商业和监管方面的视角或目标。战略分析可以在设计开发的任何阶段应用，从研究概念或设计框架的制定，到草拟方案，再到初次修改后的优化。然而，每个阶段所支持的决策、获得的洞察以及数据分析的影响都会有所不同。

应用数据、分析并不断对各种方案进行迭代，使研究团队能够进行早期探索和试验设计优化，提供见解以降低不确定性、减少风险，并最终缩短时间、降低成本。在早期设计阶段，通过整合针对适应症的正确数据，并对这些数据进行深入分析，可获取有关患者患病率、标准治疗、竞争格局和真实世界治疗模式等领域的见解，从而增强决策能力。

公共和专有数据库可用于比较试验方案设计，与相同适应症和相同阶段的近期试验的设计进行比较，以找出相似之处和差异，如终点的选择。例如，在一项针对重度抑郁症的 III 期研究中，数据显示在类似的试验中使用最广泛的首要终点是蒙哥马利-阿斯伯格 (Montgomery-Asberg) 抑郁量表。有了这些信息，设计团队可以选择相同的终点，或者选择完全不同的终点。在早期设计决策的整个过程中，都可以考虑类似的情况。

将分析应用于不同的数据源确实是一项开创性的举措。由此产生的洞察力使申办方能够采用以设计为导向的方法来优化其方案，从而降低复杂性、提高入组率并降低运营风险。但如果这种创新能够更进一步升级呢？如果 AI 建模能够生成模拟结果，以进一步探索终点指标或入选标准，并评估其对临床、运营和商业的影响？或者提供疗效和安全性预测？甚至提供技术成功的概率？这将彻底改变整个行业。

应用分析能够为早期设计中的诸多决策提供见解



AI模拟用于设计优化

一旦研究的关键设计决策确定下来，就可以应用AI模拟来预测受试者在临床环境中的反应。基于大型患者数据集、生物医学知识图谱和临床试验数据训练而成的突破性技术可用于预测试验结局。

试验模拟展示了预测性分析如何应用于洞察生成。可以运行模拟来评估各种设计选择，如终点选择。例如，对照组总体生存率与研究药物总体生存率的模拟可能表明存在统计学上的显著差异。同时，后续分析可以评估不同的终点，例如无进展生存期。如果研究组之间未发现统计学上的显著差异，可能最终影响所选终点。借助这项技术，申办方可以对设计决策进行压力测试，以了解其如何影响结局，例如疗效和安全性，从而预测临床试验的技术成功率，使申办方能够有效地优化其设计。

此外，AI驱动的临床技术可以运用蒙特卡罗 (Monte Carlo) 模拟等技术来理解风险和不确定性的影响。本质上，AI能够生成包含不同关键决策组合 (例如，终点指标、入选标准等) 的多种方案，以确定成功概率最高的方案。

在运营层面，申办方希望优化患者招募和研究中心选址，从而加快入组速度。利用真实世界数据结合模拟测试不同的患者负担参数，能够确定最有效的国家或研究中心选择策略，以提升患者招募和留存率。在试验方案制定的早期阶段就考虑这些因素，能够在招募工作尚未开始之前就为试验的成功奠定基础。

随着此类技术在业内普及，模拟分析可能会成为每项试验设计的标准流程。最终，有助于将更有效的疗法更快、更经济地推入市场——同时减轻患者的负担。

然而，为了优化研究设计以更好地评估科学性，试验方案经常进行调整，这会导致研究复杂性增加，甚至使最终研究方案出现不一致。而采用数字化方案则可以减少这种常见问题的发生。

数字化试验方案的优势

当前的试验方案制定流程往往缺乏连贯性。一个重要原因是临床试验方案的信息仍然依赖于人工共享。这从根本上阻碍了技术进步，无法采用数字方法。这也影响了方案数据的无缝整合，无法通过机器学习和自然语言处理来实现自动化，并利用分析手段进行改进。

尽管多个标准制定组织 (如 ICH、CDISC、HL7) 正在努力统一标准，但迄今为止，尚未有国际公认的临床试验方案格式和核心内容标准。这使得分析工作以及与其他流程的整合变得更加困难。格式和核心内容的差异导致了临床试验方案在搜索、审查和评估方面的低效和困难。出于这些原因，药企申办方越来越多地将传统的方案开发转向数字化方案。

数字化临床试验方案为临床试验的开展方式带来了显著的改进，为申办方、患者以及更广泛的医疗保健系统带来了诸多益处。数字化方案不仅简化了临床试验的设计和管理流程，还实现了内容的重复利用、自动化工作流程的实施以及快速评估的应用。

申办方可以采用两种方法来创建数字内容：在数字化工具内直接撰写方案，或者通过方案数字化技术转换现有方案。无论哪种数字化方式，都可采用多种方法来读取、映射和提取方案信息，实现自动分析和报告。在技术平台内使用结构化内容创作，方案内容可以无缝地融入其他文档以及其他技术工具，实现跨系统协同。

随着数字方案，技术分析，包括生成式AI的应用，可对临床试验方案进行评估，创建有意义的评估基准并实现方案评分功能。

变革性技术呼之欲出

随着行业认识到结构化和数字化方案内容的价值，相关技术也在不断进步，能够实现方案的自动化分析，从而快速获得洞察。机器学习使团队能够高效地处理和分析数字化的方案数据。与传统的统计分析相比，机器学习更具灵活性，能够快速处理大量不同类型的方案数据，因此在预测风险、后期预算评估以及预测设计元素对研究结局的影响等方面具有广泛的应用价值。更进一步，试验方案设计实践和执行表现的基准数据已可生成，为临床试验设计决策提供信息。这些信息作为重要的基准指标，用于评估方案设计元素及其潜在影响。

自动化试验方案评分有助于进行情景规划，提供可行的见解



方案评分

提供患者负担、研究中心负担以及复杂性方面的信息



情景规划

能够调整设计元素以实时查看对评分的影响

可行的见解

变革性技术使申办方能够发现导致方案复杂性的关键因素，与行业标准进行对比，并进行情景规划，从而做出基于数据的决策，以降低整体复杂性和负担。通过了解特定试验设计元素对患者的影响和认知，可以简化方案，提高患者的依从性和整体有效性。诸如研究访视次数和所需检测类型等元素可能会被认为负担过重，这对试验是否成功执行有着重要影响。患者负担评分越低，运营结局往往越好。此外，分析还可以确定设计的各个方面对特定种族或族裔可能产生的影响，帮助申办方进行多样性规划。

真正的开创性是将各种方法融合，从而获得更广泛、更深入且更具操作性的见解。诸如生成式AI这样的新技术可以融入技术中，以推进当前的分析。例如，除了提供评分来表明哪些设计元素是繁重的之外，生成式AI还可以快速浏览大量方案库，并分析为什么这些方案过于繁重以及得分较低的方案有何不同之处。预测性算法可以提供特定设计元素对研究结局（如入组率、成本和持续时间）的影响。这些运营估算可用于后续规划和预算制定。

将各项能力加以整合，能使申办方在最终确定方案之前，具备开展情景规划的能力，从而优化其方案。通过这些技术应用于设计更具可操作性的方案，申办方有望减少可避免的修订从而降低成本和延误，提高招募和留用率，减轻研究中心的负担，并提高研究的整体成功率。

在整个设计过程中推动创新

IQVIA位于数字化转型的前沿。我们的专业人员、数据科学家以及机器学习工程师通力合作，从概念到最终方案，设计出流程更简捷、更优化的研究方案。我们的工作重点在于推动医疗健康事业的发展，助力申办方实现以下目标：

- 做出更明智的设计决策，并权衡不同因素的影响
- 比较优化方案、最经济方案和最快方案在时间和成本方面的差异
- 更快地优化设计决策
- 识别不可避免的风险
- 发现隐藏的复杂性以及应对之法
- 支持风险评估和风险缓解策略
- 评估潜在修订变更的影响

可能的挑战

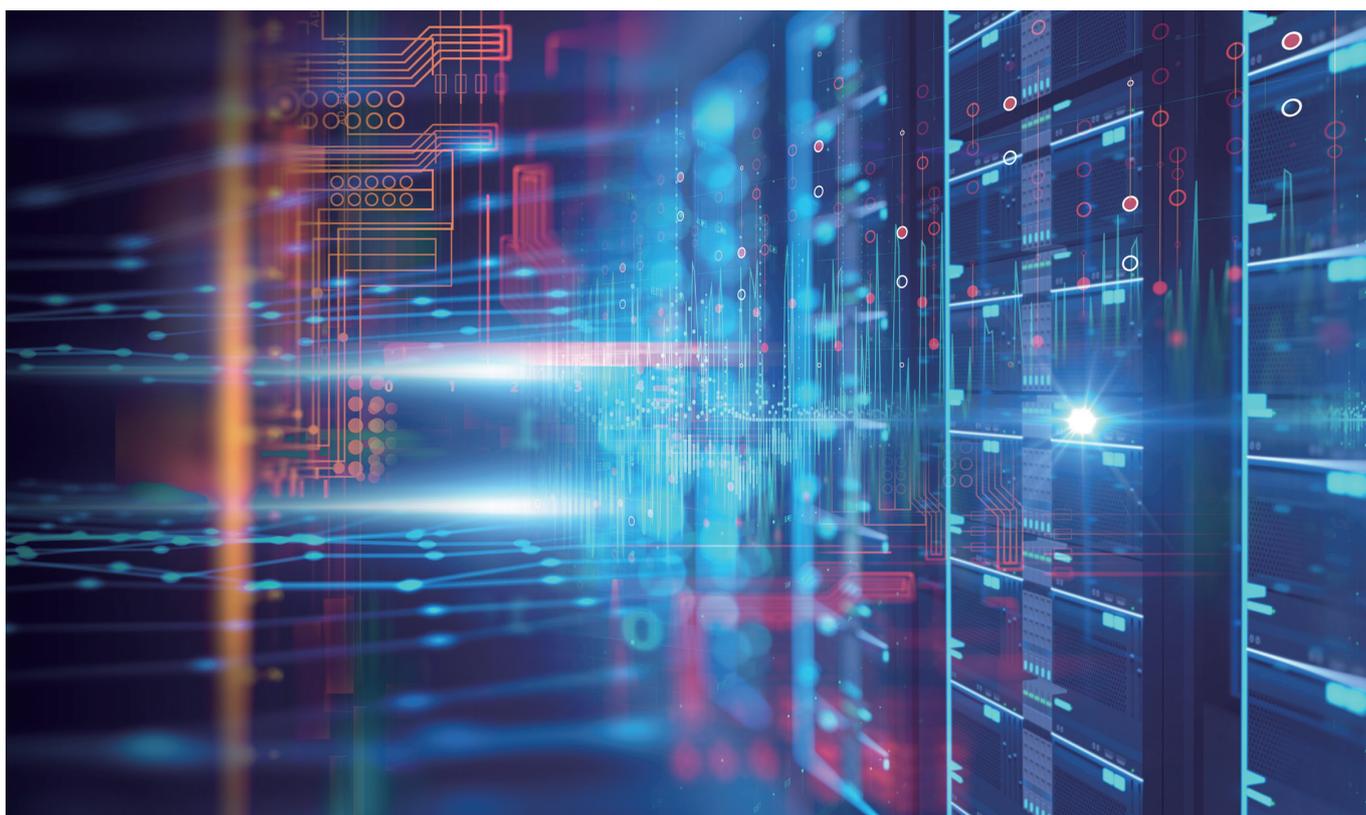
与任何创新一样，药企申办方在设计开发方面寻求创新时，也会面临诸多挑战。企业常常会面临员工的抵触，因为员工习惯了传统的流程。这会减缓数字化转型的进程，并引发内部的变革管理问题。除了人员和流程之外，旧系统是一个关键问题。当考虑采用新的技术时，IT团队必须确定这些技术可在其现有基础设施中运行，整合过程可能既复杂又昂贵。企业需要权衡采用数字工具（包括用于方案设计的工具）的机会成本，或者决定是否依靠外部供应商（如CRO）来支持这些创新。

还需要注意的是，对于医疗健康数据而言，数据隐私和伦理问题始终是人们关注的重点。确保数据合规以及制定保护患者隐私的流程至关重要。这些挑战有时会减缓甚至阻碍创新。申办方、CRO、科技公司和其他供应商需要采取措施，并留意可能出现的后果。监管机构也需密切关注AI/机器学习在临床研究中的应用，以帮助保护患者。

结论

随着申办方努力应对不断变化的临床开发环境，采用新的药物开发策略，可以看到在试验设计方面的创新方法不断涌现。随着手持设备和移动应用程序的更广泛应用，以及患者健康数据更广泛地被整合到临床试验分析数据中，数据量和数据多样性将会增加。Tufts 2022年的研究结果还表明，优化试验方案修订流程至关重要。通过更快速、更高效的数据共享来改善内部团队与合作伙伴（如CRO、全球研究中心和监管机构）之间沟通与协调的技术解决方案可能会发挥重要作用。

数字化转型将彻底改变临床研究的设计和实施方式。随着时间的推移，我们可以期待自动化和AI驱动的方法成为行业标准。互联设备、移动健康应用程序、预测技术和个性化医疗将成为创新的驱动力。然而，在广泛应用这些技术之前，对其安全性和有效性进行评估将至关重要。尽管面临挑战，但数字化转型在设计方面的益处超过了困难，这将带来更高效、更有效的临床试验，并引领临床试验设计的未来。



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

