

行業概覽

本節所載若干資料及統計數字乃摘錄自多份官方政府刊物、自公開市場數據提供商獲得的資料和獨立第三方灼識行業諮詢有限公司提供的資料。由灼識行業諮詢有限公司編製並於本文件中引用的報告是受我們的委託編寫。我們相信該等資料來源乃取得有關資料的合適來源並已合理審慎摘錄及複製有關資料。我們無理由相信有關資料屬虛假或產生誤導，或遺漏任何事實以致有關資料虛假或產生誤導。我們、聯席保薦人、整體協調人、[編纂]、[編纂]、[編纂]、任何[編纂]、我們或彼等各自的任何董事、高級職員、僱員、代理或彼等任何代表或參與[編纂]的任何其他人士或各方並無對政府官方來源的資料進行任何獨立核實，亦未就其準確性、公平性及完整性發表聲明。有關行業風險的討論，請參閱本文件「風險因素」。

慢性腎臟病及治療領域概覽

慢性腎臟病（「CKD」）簡介

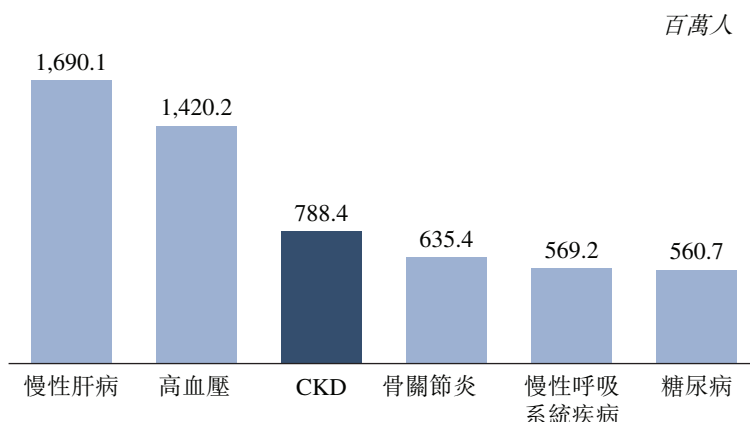
CKD指多種病理生理狀態，在此狀態下腎臟受損並喪失功能，具體表現為腎小球濾過率（「GFR」），在3個月內持續下降，而GFR是反映腎臟從血液中清除廢物和多餘液體能力的指標。CKD患者的腎功能通常會隨時間推移逐漸下降，最終可能進展至腎衰竭。根據血液檢測eGFR計算的腎功能狀況，CKD可分為1至5期（即G1至G5期），其中G5期為終末期腎臟病（「ESRD」），通常需終身透析或腎移植治療。CKD還可能引發多種嚴重併發症，包括礦物質和骨代謝紊亂（例如高磷血症，特徵為血磷水平升高）、腎性貧血，以及心血管疾病風險升高。

CKD患病人數

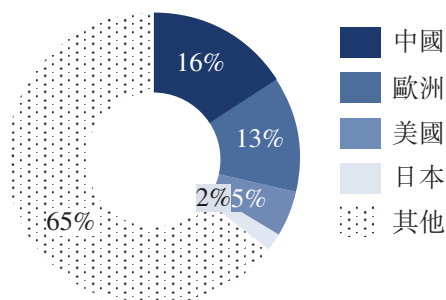
CKD是全球第三大高發慢性病。根據灼識諮詢的資料，2024年全球CKD患病人數達7.9億人，預計2035年將增至9.4億人。在所有國家中，中國CKD患者群體規模最大，2024年為1.2億人，預計2035年將增至1.3億人。全球慢性腎臟病市場預計將從2024年的2226億美元增長至2035年的5039億美元，展現出巨大的市場潛力。

行業概覽

2024年主要慢性疾病全球患病率



主要地區慢性腎臟病全球患病率，2024年



來源：《自然》、《柳葉刀》、世界衛生組織、健康指標與評估研究所、灼識諮詢

CKD高患病率主要由人口老齡化加劇及糖尿病、高血壓等慢性病高發所致，這兩種疾病是CKD的常見病因。

尚未滿足的CKD臨床需求

CKD早期通常無任何症狀，因此經常無法及時得到診斷。許多CKD患者因此並未察覺自身狀況，這導致大量未確診病例，進而錯失早期干預的機會。最終，不少患者首次確診時已處於疾病較晚期階段，此時不可逆損傷已發生。目前，腎臟病認知度仍較低。在全球範圍內，僅有6%的普通人群和10%的高危人群知曉自身的CKD患病狀況。

行業概覽

當前針對CKD患者的醫療干預措施主要用於幫助控制各類症狀、減少併發症並延緩疾病進展，例如可降低血糖水平的SGLT2抑制劑，以及能降低腎小球內壓力和減少蛋白尿的腎素－血管緊張素系統抑制劑。然而，目前缺乏針對CKD的靶向治療藥物或疾病修正藥物，也無有效治療手段可阻止CKD進展。無論接受何種治療，5%-10%的CKD患者會在五年內進展為ESRD。

目前CKD治療不足的部分原因在於患者治療依從性較低。用於控制CKD症狀及併發症的藥物常引發副作用，這些副作用可能進一步加重腎臟、肝臟或心血管系統負擔，並進一步限制可用治療方案的選擇。此外，管理CKD的多種併發症通常需要患者服用各類藥物，其中許多藥物會帶來較重的服藥負擔。這些挑戰共同降低了依從性並損害治療效果。

CKD給個人和社會均帶來沉重的經濟負擔。在個人層面，隨着CKD進展至晚期，治療費用急劇上升。管理多種併發症進一步增加經濟壓力，尤其是因需要複雜治療和頻繁醫療護理所致。在社會層面，勞動力中CKD患者數量的增加可能導致勞動生產率下降。同時，CKD患者群體的擴大也使醫療系統面臨更大壓力。例如，在美國，CKD和ESRD患者可獲得相對全面的醫療護理，2020年醫療保險(Medicare)按服務收費模式下，所有CKD受益人群的總支出為957億美元，佔該模式下與這些疾病相關總支出的25.2%。

因此，臨床迫切需要用於CKD的創新性疾病修正療法，此類療法需在顯著改善治療效果的同時，實現更優的患者依從性和成本效益。

CKD與併發症

根據發病機制，CKD病情可分為三類，即原發性腎臟病、繼發性腎臟病和遺傳性腎臟病。

原發性腎臟病，指直接起源於腎臟、與全身性疾病無關的一類腎臟疾病，例如IgA腎病（「**IgAN**」，由IgA沉積引發的慢性腎小球炎症）、局灶節段性腎小球硬化症（「**FSGS**」，部分腎小球節段性硬化導致蛋白尿）、膜性腎病（「**MN**」，腎小球基底膜增厚並伴有免疫複合物沉積）。

行業概覽

繼發性腎臟病，指由其他潛在全身性疾病或健康問題引發的腎臟損傷或功能喪失，例如糖尿病腎臟病（「**DKD**」，由糖尿病患者長期高血糖及代謝變化導致的腎臟損傷）、狼瘡性腎炎（「**LN**」，由系統性紅斑狼瘡引發的腎臟自身免疫性炎症）。

遺傳性腎臟病，指由一個或多個基因致病性變異或突變引發的腎臟疾病，典型代表為常染色體顯性多囊腎（「**ADPKD**」）。ADPKD是一種遺傳性疾病，特徵為雙側腎臟逐漸形成充滿液體的囊腫，導致腎臟增大並逐漸喪失功能。

CKD是一種複雜的疾病，隨着腎功能的惡化，其進展與多種嚴重併發症相關。高磷血症是CKD常見併發症，主要因腎功能受損導致多餘磷排洩障礙引發。高磷血症可能導致礦物質代謝紊亂，增加心血管疾病風險。腎性貧血是CKD另一常見併發症，與腎臟促紅細胞生成素生成減少導致紅細胞生成不足相關。腎性貧血常導致CKD患者預後不良、生活質量下降及死亡率升高。

CKD藥物的市場機遇

CKD治療的發展與演進

CKD的傳統治療策略依賴於通過阻斷腎素－血管緊張素系統來控制血壓，以及控制血糖。此類方法僅能延緩終末期腎臟病的發生，且可能伴隨明顯的副作用。然而在2001年至2017年間，無用於治療CKD的疾病修正療法新獲批上市。近期CKD治療的發展受益於針對心血管症狀和糖尿病的療法的發展而有所進展。

20世紀早中期，CKD早期管理以核心腎功能檢測（如Jaffe肌酐法）為開端，20世紀50-60年代透析技術問世，成為腎衰竭患者的生命維持療法。20世紀末至21世紀初，血管緊張素轉換酶（「**ACE**」）抑制劑和血管緊張素II受體（「**ARB**」）阻滯劑通過控制血壓延緩CKD進展，成為標準治療方案。21世紀00年代至2010年代中期，鈉－葡萄糖協同轉運蛋白2（「**SGLT2**」）抑制劑上市，最初用於治療糖尿病，後被證實具有腎臟保護作用。自2019年起，FDA將蛋白尿水平變化列為IgA腎病藥物獲批的替代終點，這一舉措使CKD關鍵臨床試驗能更高效地開展，推動該領域科學突破加速。

行業概覽

21世紀20年代起，疾病修正療法有望重塑CKD管理模式。目前處於研發階段的新型療法，如非甾體鹽皮質激素受體拮抗劑（「nsMRAs」）、血流動力學調節劑、IgA蛋白酶、核因子- κ B抑制劑、B細胞耗竭療法及補體療法等，可能為CKD帶來更有效、更安全的治療選擇。此外，針對高磷血症等難以管理的CKD併發症的研發關注度也在提升，推動下一代磷結合劑和新型非結合劑降磷藥物的研發。CKD藥物研發的持續創新有望滿足重大未被滿足的醫療需求，改善患者預後，改變標準療法。

CKD藥物研發歷史時間線



資料來源：Seminars in Nephrology、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

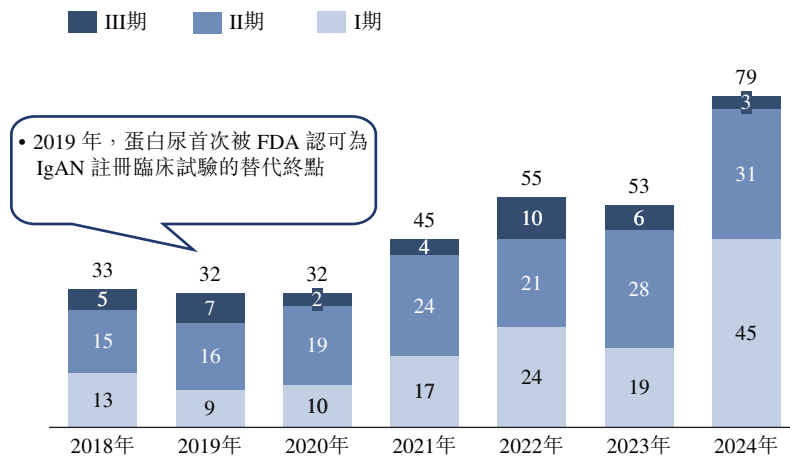
各國政府利好政策推動研發與投資增長

全球監管支持加速CKD治療創新。在美國，2014年前FDA傳統上規定要求長期臨床療效的證據，這通常需要大量臨床樣本 and 長期隨訪，導致研發成本高、拖慢了臨床研發的進度。於2019年，蛋白尿水平被FDA納入針對IgAN的註冊性臨床試驗替代終點。這些監管發展大幅縮短臨床試驗周期、降低成本，推動CKD藥物研發增長，使該領域成為充滿活力的創新領域。此外，多個CKD候選藥物獲得快速通道資格認定，快速通道資格認定旨在加快針對嚴重疾病且存在未被滿足醫療需求的療法的審評進程。在中國，政府出台專項國家衛生政策改善CKD醫療服務。值得注意的是，CKD管理已被納入《健康中國2030》規劃綱要，該綱要旨在降低非傳染性疾病負擔。此外，中國國家藥監局簡化針對迫切臨床需求的候選藥物審評流程，並將新型腎臟病治療藥物納入更新後的國家醫保藥品目錄。這些措施有望提高患者對CKD治療的可及性和可負擔性。

行業概覽

監管與報銷政策框架的協同推動，正重新激發CKD藥物研發的投資熱情。根據灼識諮詢的資料，過去幾年全球CKD藥物開發領域新啟動的臨床管線數量呈現快速增長態勢，2024年全年新增臨床管線總數達79條，較2019年（FDA首次將蛋白尿納入IgAN註冊性臨床試驗替代終點）實現翻倍以上增長。然而，2024年全球CKD新增臨床管線數量僅佔全球新增臨床管線總數的不足2%，而腫瘤學領域佔比超過40%，這一對比凸顯出CKD治療領域在技術創新和臨床開發方面仍存在尚未發掘的巨大潛力。

全球腎臟疾病藥物研發新臨床試驗數量



來源：FDA、CDE、EMA、ClinicalTrials、灼識諮詢

此外，越來越多跨國製藥企業將戰略重心轉向腎臟疾病領域，這一趨勢體現在腎臟病治療領域全球併購和授權交易的增長勢頭中。截至2025年9月30日，2020年以來跨國公司腎臟治療領域十大交易總額達854億美元，為創新腎臟病治療資產奠定堅實估值基準。

行業概覽

2020年以來腎臟疾病治療領域十大交易（截至2025年9月）*

排名	交易日期	標的方/許可方	收購方/被許可方	治療靶點	腎臟病適應症	交易類型	關鍵腎臟資產	總交易價值 (十億美元)	首付款 (百萬美元)
1	2020年12月12日	Alexion Pharmaceuticals	阿斯利康	C5	IgAN, C3G	併購	拉武珠單抗、依庫珠單抗	39.0	不適用
2	2021年12月14日	Vifor	CSL	SLC40A1, KOR	CKD貧血、CKD、甲狀腺功能亢進	併購	FCM、帕替羅默、地非瑞林	11.7	不適用
3	2021年9月30日	Acceleron Pharma	默沙東	ACVR2A, ACVR2B	慢性腎病貧血	併購	索他瑞普、盧帕他賽普	11.5	不適用
4	2020年8月19日	Momenta Pharmaceuticals	強生	FcRn	狼瘡性腎炎	併購	尼波卡利單抗	6.4	不適用
5	2022年8月4日	ChemoCentryx	安進	C5AR	C3G	併購	阿伐可泮	3.7	不適用
6	2020年8月17日	Principia Biopharma	賽諾菲	BTK	FSGS	併購	SAR442168、瑞蒙布魯替尼、PRN1793	3.7	不適用
7	2023年6月12日	Chinook Therapeutics	諾華	EDNRA, APRIL	IgAN	併購	阿曲生坦、zigakibart	3.5	3,200
8	2020年6月11日	Corvidia Therapeutics	諾和諾德	IL6	CKD	併購	zilivekimab	2.1	725
9	2025年3月24日	The United Laboratories	諾和諾德	GLP1R, GIPR, GCGR	CKD	許可	UBT251	2.0	200
10	2024年5月22日	Human Immunology Biosciences	渤健	CD38	IgAN、pMN、狼瘡性腎炎	併購	felzartamab	1.8	1,150

附註：* 這些交易包括藥物相關和企業相關等多種類型的交易。此外，已完全終止的交易未被納入。

資料來源：公司公告、灼識諮詢

CKD藥物市場的進入壁壘

全球CKD藥物市場具有巨大發展機遇，正快速擴張。其增長驅動因素包括患病人數增加、近期上市具有延緩或阻止疾病進展及管理併發症潛力的高價值創新療法，以及對有效治療的持續需求。然而，儘管市場前景廣闊，但CKD藥物市場對新進入者存在顯著壁壘，主要源於以下因素。

研發壁壘

CKD發病機制複雜，從臨床前發現到臨床試驗執行的整個研發周期均需高度專業知識，這可能阻礙新技術和新療法的快速推出。因此，與腫瘤等發病機制研究更透徹的治療領域相比，CKD領域的競爭格局和管線成熟度仍相對落後。

資金與資源壁壘

CKD病情進展的特性要求通過大規模、長期臨床試驗驗證療法的持續有效性和安全性，導致前期資金投入需求巨大。此外，此類臨床試驗的患者招募難度大，且需涉及多個臨床中心，進一步增加臨床試驗管理和數據分析的複雜性與成本。臨床研發的資金和運營壁壘可能減慢創新步伐，並限制了新開發者進入市場的數目。

行業概覽

生產壁壘

CKD治療藥物(尤其是磷結合劑)的生產，需依托專用生產設施與嚴格的質量控制體系，且通常需採用專業的製藥生產工藝。擁有自主生產能力通常是減少供應鏈中斷、提升成本效益的優選方案，而這些正是提升定價競爭力的必要前提。若缺乏此類基礎設施，藥物研發企業或在擴大生產規模和有效參與市場競爭方面遭遇重大困難。

產品組合壁壘

欲在CKD領域確立領導地位與競爭優勢，企業需擁有豐富的產品組合，同時廣泛覆蓋CKD相關適應症。此舉可助力企業提供一體化治療方案，提高患者留存率並穩定市場份額。然而，管理此類多元化產品組合需大量投入，建設專業團隊，以協調各適應症的研發、監管及商業化工作。

CKD藥物市場的增長驅動因素與趨勢

人口老齡化與患病人數增加

CKD患者群體規模持續擴大，此乃由全球人口老齡化以及糖尿病、高血壓等CKD關鍵誘因的發病率不斷上升共同推動。此外，醫療服務向社區及鄉鎮級基層醫療機構的延伸，提升CKD的早期發現與管理水平，進而進一步擴大患者基數。同時，更完善的醫保覆蓋與更高的報銷支持力度，提升患者獲取CKD診斷與治療服務的便利性。上述因素的共同作用，將催生對有效的CKD治療方案日益增長的市場機遇與需求。

突破性藥物推動臨床療效變革

潛在突破性療法的推出，可能通過在CKD患者中展現疾病改善獲益，推動臨床實踐發生模式轉變。這可能為CKD確立新的標準療法，並推動CKD藥物市場增長。例如，AP306旨在抑制多種磷酸鹽轉運體，以有效降低CKD患者的血磷水平。該藥物在II期臨床試驗中已展現更優療效，且具有更低服藥負擔的特點。AP306的研發體現了作用機制創新的潛力，即新藥研發不僅以新型通路為靶點，還致力於提升患者便利性與結局。

行業概覽

專科醫療與整合醫療路徑優化長期患者管理

CKD患者常合併高血壓、糖尿病、心血管疾病等多種慢性病，增加疾病管理難度。醫療體系碎片化及多學科診療需求常導致醫療服務缺口、治療衝突和患者預後不佳。這種複雜性，加之CKD市場快速擴張且成本高昂，正推動治療向變革性療法轉變，此類療法不僅能更有效針對疾病根源，而且可以整合長期醫療路徑，優化患者長期預後。專業腎臟藥物開發者在推動這一變革方面具備獨特優勢，它們可提供全面解決方案，推進醫學教育，確立新醫療標準實現領先。

高磷血症市場概覽

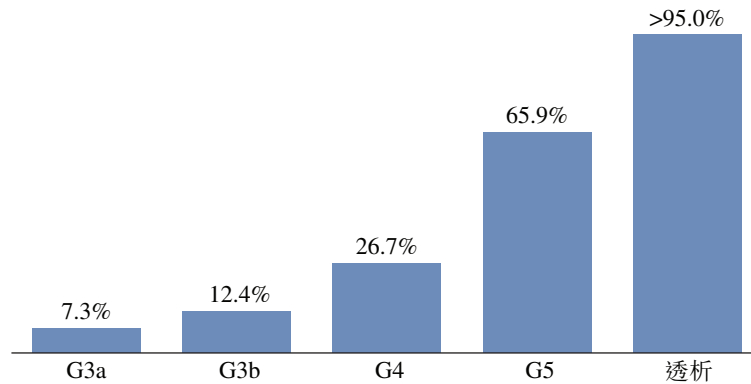
高磷血症簡介

根據KDIGO，高磷血症是一種以血液中磷酸鹽水平升高為特徵的疾病，通常定義為血磷濃度超過4.5 mg/dL。根據K/DOQI指南，透析患者的目標血磷水平為3.5-5.5 mg/dL。然而，將目標血磷水平降至4.5 mg/dL以下在臨床上具有挑戰性。磷酸鹽是維持骨骼健康、能量生成和細胞功能的必需礦物質，但水平過高會引發嚴重併發症。磷酸鹽穩態主要由腎臟調節，腎臟負責排洩多餘磷酸鹽。因此，腎功能受損（尤其是CKD患者）是高磷血症的主要病因。研究顯示，CKD患者血磷濃度每上升1mg/dL，死亡風險便增加27%。

隨着CKD進展，高磷血症發生率顯著上升。非透析患者的血磷水平通常可通過飲食干預和藥物治療控制，高磷血症臨床表現相對較輕，但可能進展為骨代謝異常。透析患者的血磷水平顯著升高且難以控制，臨床表現包括骨病、血管鈣化、繼發性甲狀腺功能亢進。

行業概覽

不同CKD分期高磷血症患病率



資料來源：《中國血液淨化》、灼識諮詢

當前臨床實踐中，醫生會向ESRD患者例行性開出降磷藥物，而早期CKD的治療則主要仰賴生活方式調整，反映出目前缺乏有效的新型療法。

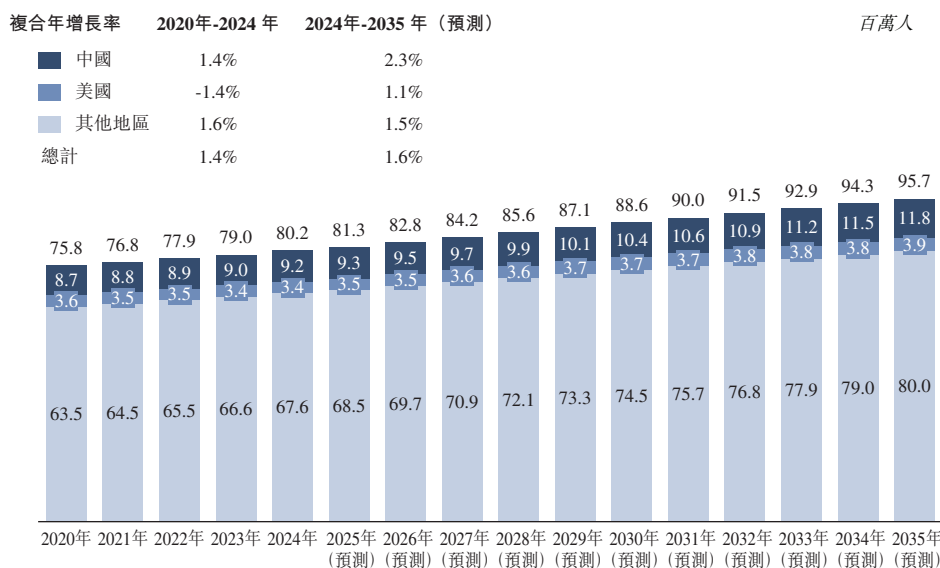
根據灼識諮詢的資料，2024年全球高磷血症患病率達8020萬，2020年至2024年複合年增長率為1.4%。預計2035年將增至9570萬人，2024年至2035年複合年增長率為1.6%。

2024年，中國高磷血症患病率達920萬，佔全球高磷血症患者總數的11.5%。預計到2035年，這一數字將增至1180萬，2024-2035年複合年增長率為2.3%。透析患者中高磷血症的高發生率持續推動對有效血磷控制的巨大需求。中國接受透析的ESRD患者人數2024年已超過110萬，2020年至2024年複合年增長率為10.0%；預計該群體將於2035年達340萬，複合年增長率預計為10.1%。

2024年，美國高磷血症患病率為340萬，預計2035年將達到390萬人，2024年至2035年複合年增長率為1.1%。

行業概覽

全球高磷血症患病人數2020-2035年（預測）



資料來源：CNRDS、JAMA、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

高磷血症當前治療模式與醫療需求

當前高磷血症管理遵循「3D」原則，即飲食(Diet)、透析(Dialysis)和藥物(Drug)。飲食管理要求患者限制高磷酸鹽添加劑食物的攝入。然而，準確估算和遵守膳食磷酸鹽限制對患者來說可能具有挑戰性，往往導致目標達成率低。透析治療包括血液透析（利用機器過濾血液後將過濾後的血液回輸患者體內）和腹膜透析（利用患者腹腔內腹膜作為膜結構過濾血液）。然而，透析僅能在約4小時內降低血磷水平，限制了其作為長期磷酸鹽控制策略的有效性。藥物治療主要依賴磷結合劑、維生素D及其他治療高磷血症併發症的藥物。其中，磷結合劑是治療的基石，因為透析和飲食限磷的效果有限。

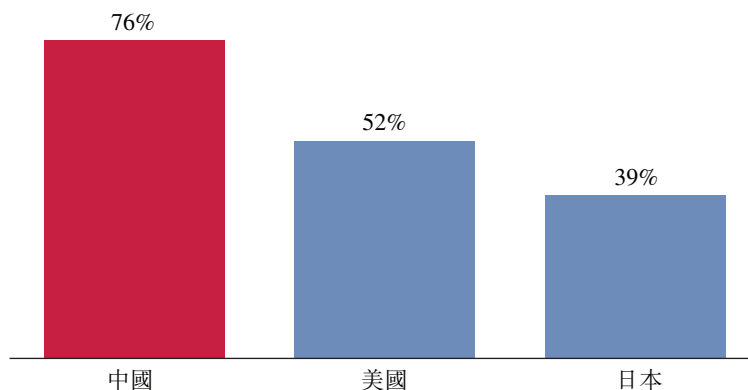
行業概覽

目前，常用的磷結合劑包括鈣基結合劑、碳酸鏷和司維拉姆，其中司維拉姆在臨床應用最廣泛。然而，現有磷結合劑的磷結合效率有限，中國和美國分別有約76%和52%的透析患者在用藥後存在血磷控制不佳的情況。此外，現有磷結合劑普遍存在胃腸道副作用頻發、服藥負擔高、系統性吸收及影響人體生理功能等問題，導致磷結合劑的臨床使用率仍處於較低水平。因此，亟需降磷效率更高、副作用更少的新型治療方案，以改善高磷血症CKD患者的治療效果和用藥體驗。

中國磷控制率低的現狀

在中國，約76%的透析患者血磷未達到3.5-5.5 mg/dL的目標水平，顯著高於美國（約52%）和日本（約39%）。

中國大陸與其他國家／地區透析患者血磷控制不佳率對比



附註：根據K/DOQI指南，透析患者的目標血磷水平為3.5-5.5 mg/dL。

資料來源：DOPPS、Nature Scientific Reports、灼識諮詢

血磷水平控制率方面的這一差距，主要歸因於以下原因：

透析治療滲透率偏低

中國ESRD患者的透析治療滲透率仍處於低位約27%，遠低於美國的約72%及日本的約98%。這一差距主要由於歷史上中國透析中心資源有限（超過80%集中於三級或二級醫院），以及透析治療的醫保報銷覆蓋不足。

行業概覽

缺乏新型治療方案

在中國，高磷血症治療領域仍以專利過期藥物為主導，新型療法的市場份額極小。這一現狀為創新療法的引入和滲透創造了獨特的機會。

治療持續時間較短

在中國，非鈣磷結合劑的平均治療持續時間（「DOT」）約為100天，遠低於美國（約200天）和日本（約250天）。這種差異主要歸因於以下因素：一是患者獲取新型治療方法的途徑有限；二是較高的服藥負擔和副作用導致患者依從性問題。而這些問題的背後，可能是不同市場間醫保覆蓋範圍與報銷機制的差異，以及較高的經濟負擔和醫療資源分布不均。

美國與日本的高磷血症市場

美國和日本的高磷血症市場是全球最成熟的市場，美國和日本ESRD患者的透析滲透率分別達約72%和約98%，這得益於完善的醫療報銷體系，該體系為患者獲得透析治療提供廣泛支持。

然而，美國仍有約52%的透析患者、日本仍有約39%的透析患者無法達到目標血磷水平。透析患者磷控制率相對較低，主要因缺乏有效的新型治療方案。當前主流磷結合劑治療常存在耐受性問題、高服藥負擔及一定副作用。這表明美國和日本市場仍存在大量未被滿足的醫療需求，也凸顯對更有效、對患者更友好療法的需求日益增長。

高磷血症藥物的市場機遇

高磷血症藥物的發展歷程

磷結合劑的劑型發展歷程如下：1990年代以鋁基／鎂基／鈣基磷結合劑為主，2000年代起司維拉姆／碳酸鏷成為主流，2010年代起出現第一代鐵基磷結合劑Velporo®（蔗糖羥基氧化鐵）。這一發展過程的特徵為磷結合劑的降磷效率逐步提升，安全性和耐受性逐步改善。

行業概覽

與其他磷結合劑相比，鐵基磷結合劑具有服藥負擔相對較低、副作用較少的優勢。然而，全球當前主流鐵基治療藥物Velporo®仍存在不便咀嚼的劑型，導致臨床試驗中觀察到停藥率較高等缺點。AP301是下一代鐵基磷結合劑，具有無味、無嗅、無需咀嚼可提高有效性、服藥負擔低、磷結合能力強等特點，且其纖維－鐵聚合物帶來安全優勢等，同時有望降低成本。

磷結合劑發展歷程

	1990年代	年代	2010年代	2020年代
治療劑	鋁／ 鎂／鈣基	司維拉姆／碳酸鋁	Velporo® 第一代鐵基磷結合劑	AP301 下一代鐵基磷結合劑
改進	逐步淘汰或 限制使用	<ul style="list-style-type: none"> 改善降磷效率 減少心血管疾病和全因死亡 	<ul style="list-style-type: none"> 改善胃腸道安全性 減少服藥數量 	<ul style="list-style-type: none"> 進一步改善降磷效率 耐受性良好，整體安全性良好 無系統性吸收
剩餘問題		<ul style="list-style-type: none"> 胃腸道副作用（如惡心、嘔吐、便秘） 高給藥負擔 肝臟蓄積（鋁） 	<ul style="list-style-type: none"> 每日高給藥負擔 使用前需咀嚼，導致高停藥率 	

資料來源：藥品說明書、公司公告、灼識諮詢

泛磷酸鹽轉運蛋白抑制劑是除磷結合劑之外，一種新型的高磷血症治療方式。該類抑制劑預期通過泛抑制所有主要類型的磷轉運體發揮治療作用，以減少腸道內磷的跨細胞轉運，進而降低血磷水平。AP306是一種泛磷酸鹽轉運蛋白抑制劑，其在臨床前研究及臨床試驗中已顯示出多項良好結果，包括血磷顯著降低且更高比例患者達到目標水平、耐受性良好且胃腸道不良反應可控、改善腎功能障礙以及減少血管鈣化。

高磷血症藥物的市場規模

過去二十年，全球高磷血症藥物市場增長主要由新藥上市推動。1998年，司維拉姆首次獲FDA批准（商品名Renagel®）（鹽酸司維拉姆）並隨後於2000年獲得FDA批准（商品名Renvela®）（碳酸司維拉姆），推動2000年代市場快速擴張。2013年，Velporo®獲FDA批准，進一步推動全球市場增長。

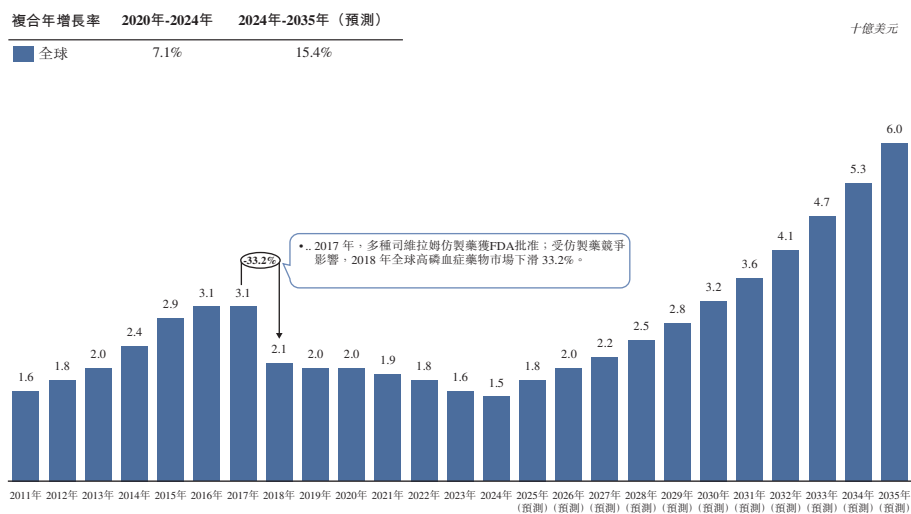
行業概覽

2014年，覆蓋司維拉姆的專利到期，該藥物面臨獨佔權喪失（「LoE」）。2017年後，該藥物的多種仿製藥進入市場，導致原研藥銷售額大幅下降。2018年起，全球高磷血症藥物市場已顯著萎縮。

2020年至2024年，全球高磷血症藥物市場持續萎縮，主要因COVID-19疫情相關干擾，包括導致透析頻次減少及ESRD患者死亡率上升。

2025年，全球高磷血症藥物市場強勁復甦，主要因Velporo®納入美國ESRD前瞻性付費體系下的TDAPA（過渡性藥物附加付費調整）（Medicare支付機制，針對新型腎透析藥物和生物製品）後，其在美國市場的收入大幅增長。預計2025年起，隨着新型高磷血症藥物持續上市，全球高磷血症藥物市場將保持增長態勢。

高磷血症藥物全球市場趨勢，2011年-2024年

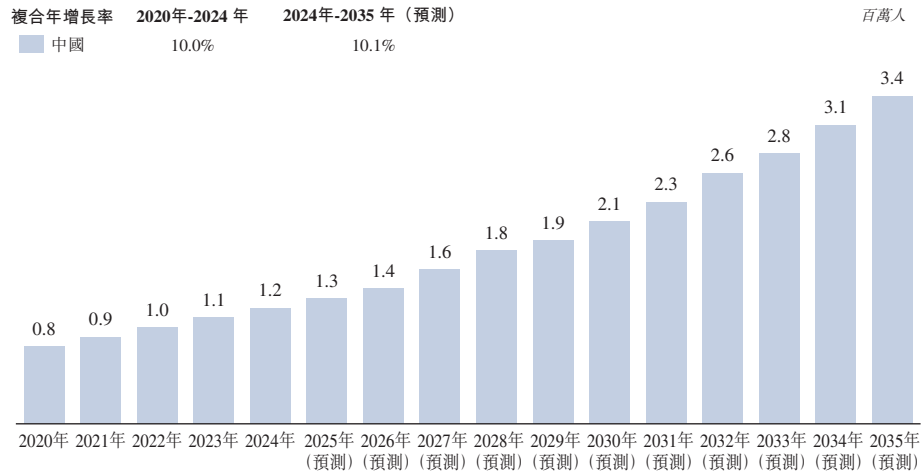


資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

根據灼識諮詢的資料，中國接受透析治療的ESRD患者數量快速增長，2024年達120萬人，2020年至2024年複合年增長率為10.0%；預計2035年將達到340萬人，2024年至2035年複合年增長率為10.1%。這一增長主要源於透析滲透率提升，而透析滲透率提升則得益於透析中心覆蓋範圍擴大及更優惠的透析報銷政策。透析患者群體的快速增長將成為中國高磷血症藥物市場增長的重要驅動力。

行業概覽

中國接受透析治療的ESRD患者數量，2020年-2035年（預測）

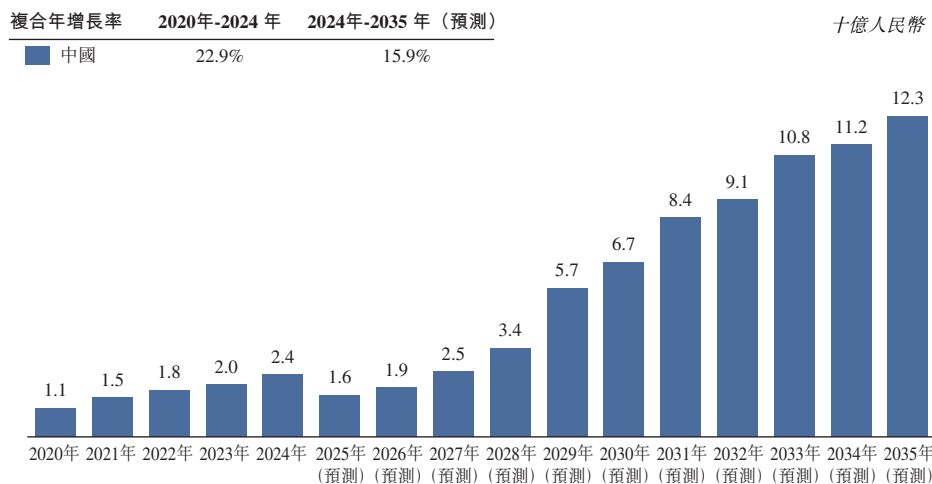


資料來源：NIDDK、CK-NET、CN-CNRDS、USRDS、DOPPS、灼識諮詢

中國高磷血症藥物市場歷史增長主要由新藥獲批上市推動，包括2013年司維拉姆首次在中國獲批。自2017年磷結合劑被納入國家醫保藥品目錄以來，市場經歷了顯著擴張，並在2020至2024年間保持22.9%的高複合年增長率。受2023年碳酸鏽及2024年司維拉姆的帶量採購影響，預計2025年市場將出現收縮。然而，中國高磷血症藥物市場預計自2025年後回升，主要驅動力包括透析及磷結合劑治療滲透率提升、新型高磷血症藥物的引入及由此帶來的治療周期延長。此外，另一重要市場催化劑是國家衛生健康委員會發布的《2024年國家醫療質量安全改進目標》首次將血磷控制率納入其中。這標誌着高磷血症管理首次被提升至國家級質量指標，為醫院及醫師標準化治療、改善ESRD患者預後創造了強有力的自上而下的動力。該政策導向預計將直接加速降磷治療的普及，推動市場增長。

行業概覽

中國高磷血症藥物市場規模，2020年-2035年（預測）



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

高磷血症藥物市場的競爭格局

截至最後實際可行日期，全球已獲批用於高磷血症的非鈣降磷分子共五種，其中多數為磷結合劑，且獲批時間已超過十年。最新獲批的新藥是Tenapanor，它是一種鈉／質子交換體3（「NHE3」）抑制劑，2023年獲FDA批准作為附加治療藥物，用於對磷結合劑不耐受或血磷水平無法通過磷結合劑控制的患者。

全球已獲批的主要高磷血症降磷藥物概述

INN／藥物名稱 ¹	商品名	公司	FDA 批准日期	中國國家藥監局 批准日期	作用機制	每日劑量 ²	每日費用 ³
司維拉姆	Renvela® Renagel®	賽諾菲	• 1998年10月	• 2013年1月	• 磷結合劑	• ~9.6 g	• 約35美元
碳酸鏷	FOSRENOL®	武田	• 2004年10月	• 2012年2月	• 磷結合劑	• ~9.0 g	• 約36美元
羥基氧化鐵	Velphoro®	CSL Vifor	• 2013年11月	• 2023年2月	• 磷結合劑	• ~8.3 g	• 約70美元
枸橼酸鐵	Auryxia®	Akebia Therapeutics	• 2014年9月	• /	• 磷結合劑	• ~9 g	• 約44美元
Tenapanor	XPHOZAH®	Ardelyx/ 復星醫藥	• 2023年10月	• 2025年2月	• NHE3i	• ~400 mg + 10 g	• 約106美元 (Tenapanor) 及約40美元 (結合劑)

附註：1 國際非專利名稱；2 每日劑量質量指根據藥品說明書指示的每日藥物製劑總攝入量；3 每日成本基於美國批發採購成本計算，若不可得，則基於當地公開來源的價格

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、公司網站、灼識諮詢

行業概覽

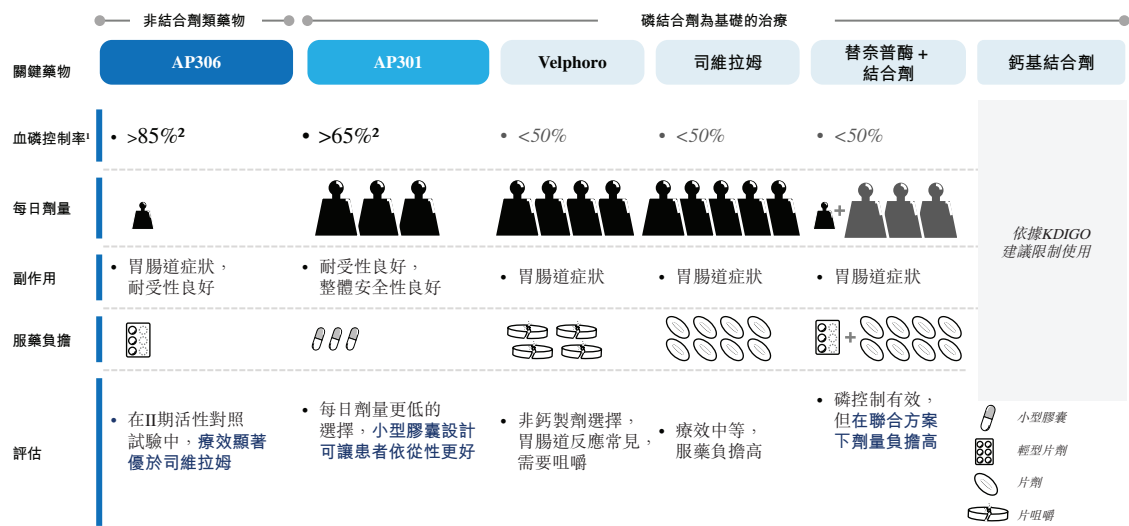
截至最後實際可行日期，根據灼識諮詢的資料，全球高磷血症臨床試驗階段(I期及以後)在研分子中，僅有兩款處於活躍狀態的全球臨床試驗管線，即本公司開發的AP301和AP306。其中，AP301研發進展更領先，已完成中國註冊III期臨床試驗，全球III期臨床試驗正在進行中。

全球高磷血症的臨床研發管線*

藥物名稱	靶點	申辦方	階段	首次發佈日期	試驗編號	試驗地點
AP301	磷結合劑	禮邦	III	2023年5月30日	NCT07030595; CTR20231624 (已完成)	中國
				2025年4月18日	NCT06933472; CTR20252745	中國；美國
AP-306	NaPi-Iib, PiT-1, PiT-2	禮邦	II	2023年1月30日	NCT05764590; CTR20230189 (已完成)	中國
				2024年11月27日	NCT06712654	全球

與現有其他降磷藥物相比，AP301具有高磷結合效率、整體良好的安全性、低服藥負擔、非咀嚼劑型帶來的更佳患者依從性以及潛在成本優勢等突出特點。AP306作為一種具有新型作用機制的泛磷酸鹽轉運蛋白抑制劑，其降磷效率遠超現有藥物，且有潛力使大多數患者的血磷水平達到指南推薦範圍。

降磷藥物對比



附註：1 血磷控制= 血磷處於3.5-5.5 mg/dL；2 根據早期臨床試驗數據估計

資料來源：FDA、ClinicalTrials.gov、Nephrology Dialysis Transplantation、公司網站、灼識諮詢

行業概覽

糖尿病腎病（「DKD」）市場概覽

DKD簡介

DKD是由糖尿病引發的腎臟疾病，其早期幾乎無明顯症狀。臨床上，DKD的主要特徵為持續性蛋白尿及／或GFR進行性下降。

DKD是全球ESRD的首要誘因，同時還會顯著增加糖尿病患者罹患心血管疾病（「CVD」）及因心血管疾病死亡的風險，而心血管疾病是DKD患者的首要死亡原因。

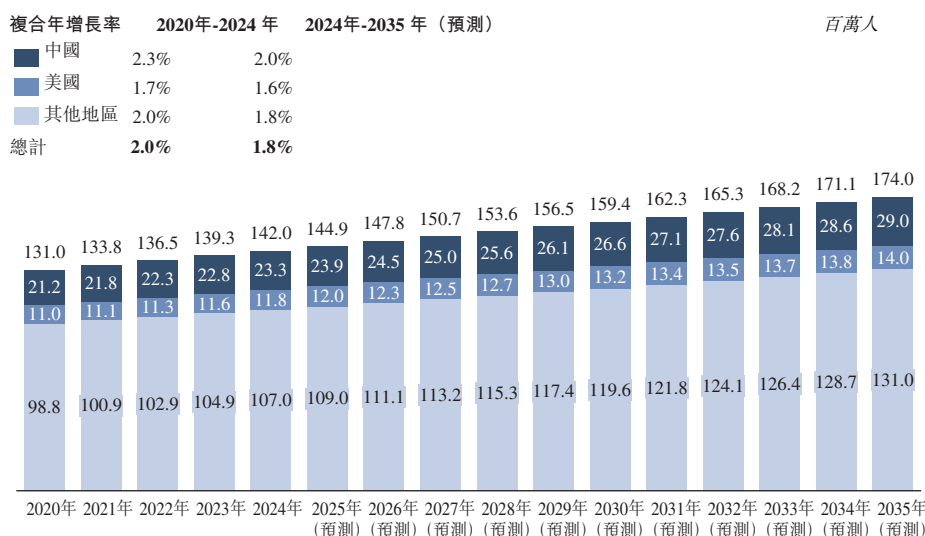
DKD的發病機制複雜，導致腎功能損傷的主要驅動因素包括代謝因素、血流動力學因素、生長相關因素以及促炎與促纖維化因素。其中，促炎與促纖維化因素會引發腎小球基底膜增厚、腎小管細胞損傷及細胞膜氧化損傷等問題。

DKD患病人數

根據灼識諮詢的資料，2024年全球DKD患者數量達1.42億人，2020年至2024年的複合年增長率為2.0%。預計到2035年，全球DKD患者數量將增至1.74億人，2024年至2035年的複合年增長率為1.8%。

在所有國家中，中國的DKD患者數量最多。2024年，中國DKD患者達2,330萬人，佔全球DKD患者總數的16.4%，這一現象主要源於公眾對糖尿病及其風險的認知不足。預計到2035年，中國DKD患者數量將增至2900萬人，2024年至2035年的複合年增長率為2.0%。

DKD腎臟病全球患病率，2020-2035年（預測）



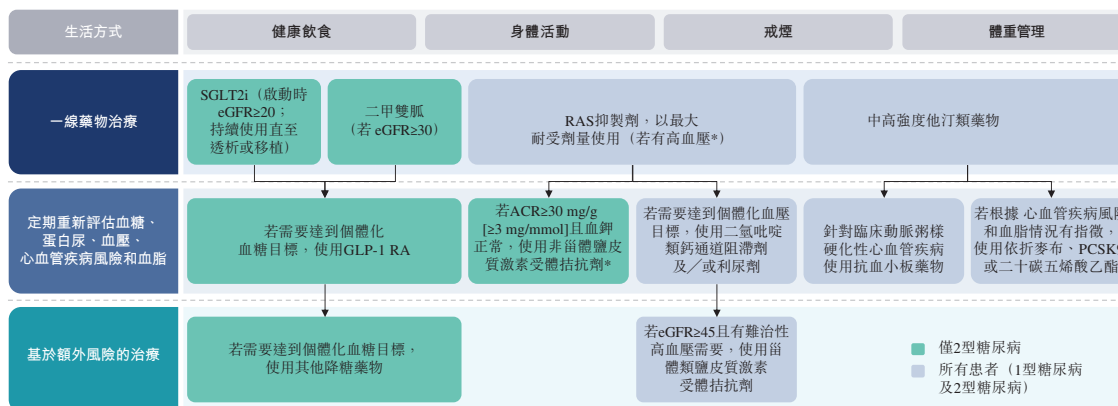
資料來源：CNRDS、JAMA、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

行業概覽

現有治療模式與醫療需求

DKD的管理需採用全面、多維度的方法，包括常規生活方式干預、用於控制血糖、血壓及血脂的一線藥物治療，以及基於對血糖、蛋白尿、血壓、心血管疾病風險及血脂水平的持續定期評估而制定的風險適應性療法額外風險導向型治療。

DKD治療路徑



附註：1當存在蛋白尿時，血管緊張素轉換酶抑制劑(ACEI)或血管緊張素II受體阻滯劑(ARB)應作為高血壓(HTN)的一線治療；否則可考慮二氫吡啶類鈣通道阻滯劑(CCB)及/或利尿劑；通常需要這三類藥物才能達到血壓目標。2非奈利酮目前是唯具有已證實的臨床腎臟和心血管獲益的非甾體鹽皮質激素受體拮抗劑(MRA)。

資料來源：KDIGO、灼識諮詢

然而，當前DKD治療模式在療效方面存在局限性。目前有多種處於研發階段的新型療法，有望滿足DKD有效治療領域尚未被滿足的醫療需求。DKD的關鍵治療藥物可根據其作用機制分類，包括降糖調節劑、SGLT2抑制劑、胰高血糖素樣肽-1 (「GLP-1」)受體激動劑、內皮素受體拮抗劑、nsMRA，以及其他處於早期臨床階段的藥物。

行業概覽

糖尿病腎臟病治療現況

候選藥物	AP303	Dapagliflozin	Semaglutide	Finerenone
藥物類別	PPAR激動劑	SGLT2 抑制劑	GLP-1R 激動劑	非甾體鹽皮質 激素受體拮抗劑
降低腎小球內壓 糾正血流動力學	√√√	√√	-	-
GFR變化的蛋白尿 降低不依賴於 抗炎、肝素酶抑制及其他	√√√	-	√√	√
恢復腎小管能量供應 脂肪酸氧化	√√√	√	-	-

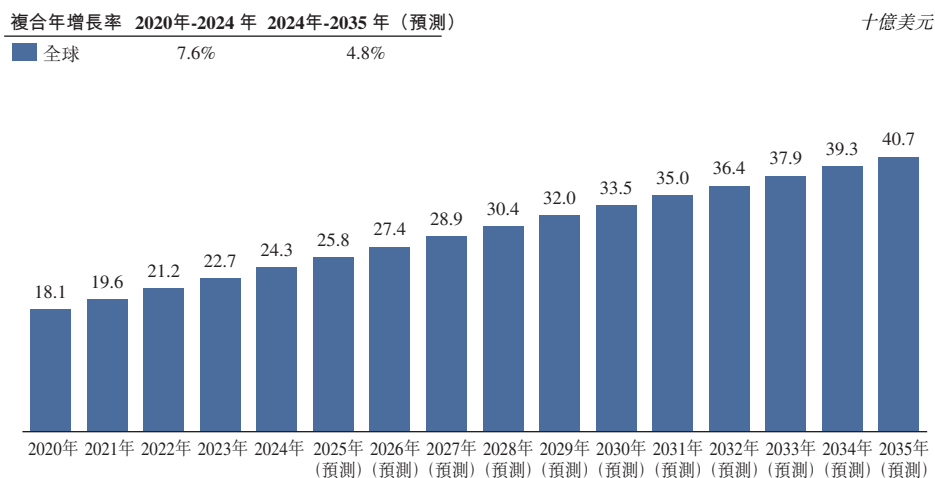
資料來源：Expert Opinion on Investigational Drugs、公司網站、灼識諮詢

AP303是目前處於研發階段的新型DKD治療藥物之一，它是一種過氧化物酶體增殖物激活受體（「PPAR」）激動劑。與其他DKD候選治療藥物相比，AP303具有獨特的潛在優勢，其可通過多種通路阻止腎功能進行性喪失，具體包括降低腎小球內壓力、不依賴GFR變化的蛋白尿降低，以及恢復腎小管能量供應。

DKD治療藥物市場機遇

根據灼識諮詢的資料，2024年全球DKD治療藥物市場規模達243億美元，2020年至2024年的複合年增長率為7.6%。受糖尿病患者數量增加的推動，預計到2035年，全球DKD治療藥物市場規模將進一步擴大至407億美元，2024年至2035年的複合年增長率為4.8%。

DKD藥物全球市場規模，2020年-2035年（預測）

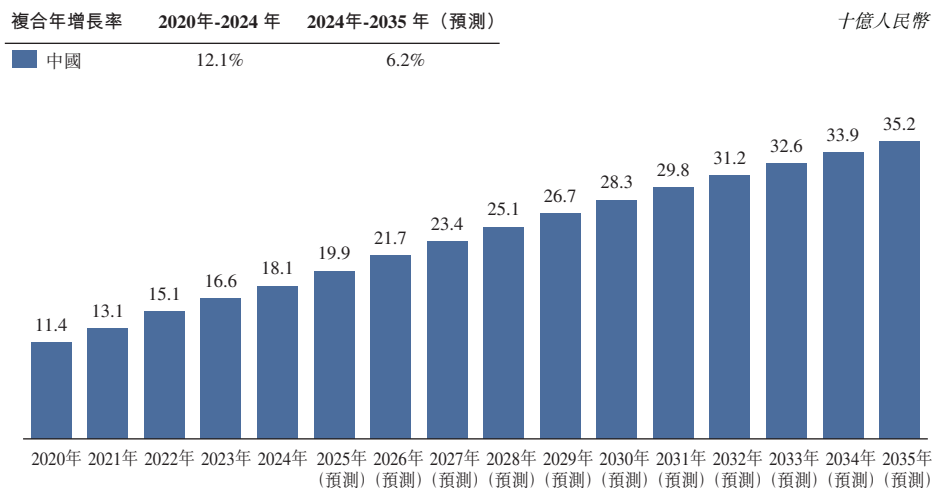


資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

行業概覽

中國DKD治療藥物市場規模的增長速度快於全球市場。2024年，中國DKD治療藥物市場規模達人民幣181億元，2020年至2024年的複合年增長率為12.1%；預計到2035年，該市場規模將進一步擴大至人民幣352億元，2024年至2035年的複合年增長率為6.2%。這一增長主要由中國糖尿病患者數量增加、臨床用藥需求上升及患者對新型藥物接受度提高所驅動。

DKD藥物中國市場規模，2020年-2035年（預測）



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

DKD治療藥物市場競爭格局

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，全球已獲批的DKD治療藥物共7款，其中6款已在中國獲批。

2010年後全球已獲批的DKD治療藥物概覽

INN/藥物名稱 ¹	商品名	公司	FDA 批准日期	中國國家藥監局 批准日期	目標	劑量	每月費用 ²
卡格列淨	怡可安®	強生	• 2019年9月	• 2022年6月	• SGLT2	• 100-300 mg PO QD	• 約600美元
達格列淨	安達唐®	阿斯利康	• 2021年4月	• 2022年9月	• SGLT2	• 10 mg PO QD	• 約600美元
非奈利酮	可申達®	拜耳	• 2021年7月	• 2022年6月	• MR	• 20 mg PO QD	• 約660美元
恩格列淨	歐唐靜	禮來/ 勃林格殷格翰	• 2023年9月	• 2023年11月	• SGLT2	• 10 mg PO QD	• 約600美元
司美格魯肽	諾和泰®	諾和諾德	• 2025年1月	• 2025年7月	• GLP-1R	• 0.5 mg SC QW	• 約670美元

附註：1 國際非專利名稱；2 每月費用根據美國批發商採購成本價計算。

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、灼識諮詢

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，針對DKD且在全球範圍內開展活躍試驗的藥物中，處於II期及以上臨床試驗階段的候選藥物不足10款。此外，禮邦的AP303即將進入II期階段。

行業概覽

IgA腎病(「IgAN」)市場概覽

IgAN簡介

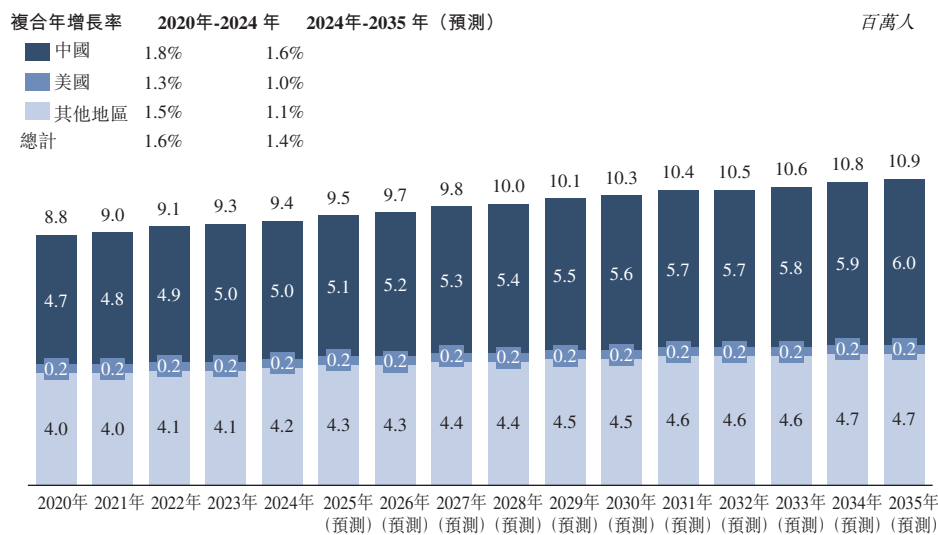
IgAN是全球最常見的原發性腎小球腎炎，其特徵為免疫球蛋白A(「IgA」)抗體在腎小球(腎臟的濾過單位)內沉積，進而引發炎症並可能導致腎臟損傷。IgAN常表現為鏡下血尿(尿液中含血)，部分患者可能進展為嚴重蛋白尿(尿液中蛋白過量)、水腫及高血壓。IgAN是腎小球腎炎及腎功能衰竭的主要病因之一，25-30%的IgAN患者在首次發病後的20-25年內會發展為ESRD。

廣泛認可的「4重打擊假說」為理解IgAN的發病機制提供了框架，即IgAN的發病始於半乳糖缺陷型IgA1(「Gd-IgA1」)的產生(第一重)。這些異常IgA分子會觸發抗糖抗體的形成(第二重)。隨後發生的免疫複合物形成(第三重)會導致系膜區沉積與腎小球炎症(第四重)，最終導致進行性腎小球瘢痕形成。

IgAN患病率

根據灼識諮詢的資料，2024年全球IgAN患者約940萬人。在所有國家中，中國的IgAN患者數量最多，2024年達500萬人，佔全球IgAN患者總數的53.2%。預計到2035年，中國IgAN患者數量將增至600萬人，2024年至2035年的複合年增長率為1.6%。IgAN在不同人群中的患病率差異顯著。東亞裔人群患病率最高，其次是高加索人種，而撒哈拉以南非洲裔人群患病率相對較低。全基因組關聯研究表明，東亞裔人群攜帶的IgAN風險等位基因多於歐洲人及非洲人。

全球IgA腎臟病患病率，2020年-2035年(預測)



資料來源：CNRDS、JAMA、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

行業概覽

現有治療模式與醫療需求

IgAN當前的治療模式以支持治療為起始，具體包括生活方式干預、血壓控制及SGLT-2抑制劑的使用。經過3個月的優化支持治療後，若尿蛋白仍持續高於0.75-1.0克／天，則需考慮進一步治療。免疫抑制治療作為二線治療方案，其用藥包括糖皮質激素、環磷酰胺、氫氯喹、嗎替麥考酚酯及雷公藤提取物。其他治療手段涵蓋布地奈德緩釋劑、伊普可泮等創新藥物以及傳統中藥。

IgA腎臟病的當前治療模式



附註：RASi：腎素－血管緊張素系統抑制劑，DEARA：雙重內皮素－血管緊張素受體拮抗藥

資料來源：KDIGO 2025、灼識諮詢

然而，在IgAN的診斷與治療領域，仍存在大量未被滿足的醫療需求，具體包括：缺乏無創診斷及監測手段；風險分層效果欠佳且缺乏個性化治療方案；缺乏安全、有效且具針對性的靶向治療藥物；高危及難治性患者的管理面臨挑戰。

IgAN治療藥物市場機遇

IgAN新型治療藥物的興起

FDA認可IgAN新藥獲批的臨床替代終點，這一舉措推動了IgAN創新治療藥物的研發。隨着新型候選藥物快速推進研發與獲批進程，IgAN的治療格局有望發生變革，為臨床管理與患者預後帶來新的希望。

行業概覽

目前，IgAN治療藥物的新型潛在作用機制主要分為四類：

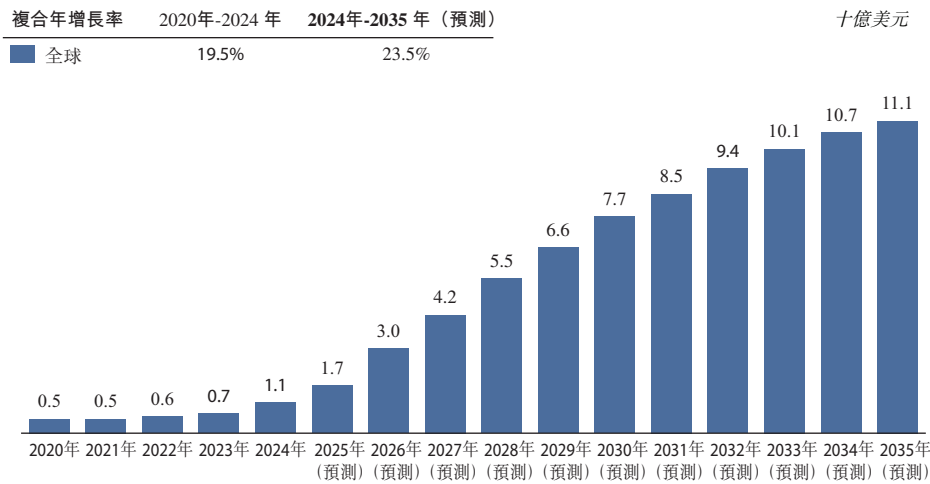
- **B細胞耗竭**，通過靶向腸道相關B細胞，減少致病性IgA1抗體的產生，從而阻止疾病發生。該作用機制下的主要潛在靶點包括B細胞存活因子（如增殖誘導配體（「**APRIL**」）、B細胞激活因子（「**BAFF**」）及CD38；
- **補體激活抑制**，通過阻斷關鍵補體成分，抑制炎症反應及免疫介導的腎臟損傷。該作用機制下的主要潛在靶點包括B因子、D因子、C3及C5；
- **致病性IgA1與免疫複合物清除**，通過清除或降解有害的IgA1及免疫複合物，防止腎小球沉積與炎症反應。採用該作用機制的潛在候選藥物包括重組IgA蛋白酶、免疫複合物清除機製藥物及抗Fc α RI抗體。該新型作用機制有望為IgAN治療帶來突破性變革，因其可實現多方面治療獲益，包括預防腎臟損傷、減少炎症級聯反應、防止自身放大效應及潛在阻止疾病進展。此外，患者接受治療後數周內即可顯現療效，且該類藥物有望成為一線治療方案。根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，尚無IgA蛋白酶候選藥物進入臨床研發階段，而AP308是即將進入臨床研發階段的唯一重組IgA蛋白酶藥物；
- **整體腎臟保護**，通過調節血管張力、促進組織再生，改善腎臟血流、減少纖維化。該作用機制下的主要潛在靶點包括內皮素受體、血管緊張素受體、PPAR激動劑。根據灼識諮詢的資料，目前已獲批的該作用機製藥物包括阿曲生坦（內皮素受體拮抗劑）和司帕生坦（內皮素與血管緊張素II受體拮抗劑）。AP303採用這種作用機制，將很快進入II期臨床研究，作為IgAN的潛在療法。截至最後實際可行日期，它是該類別中唯一一種開展全球試驗的候選藥物。

IgAN治療藥物市場規模

根據灼識諮詢的資料，2024年全球IgAN治療藥物市場規模達11億美元，預計到2035年將達到111億美元，2024年至2035年的複合年增長率為23.5%。

行業概覽

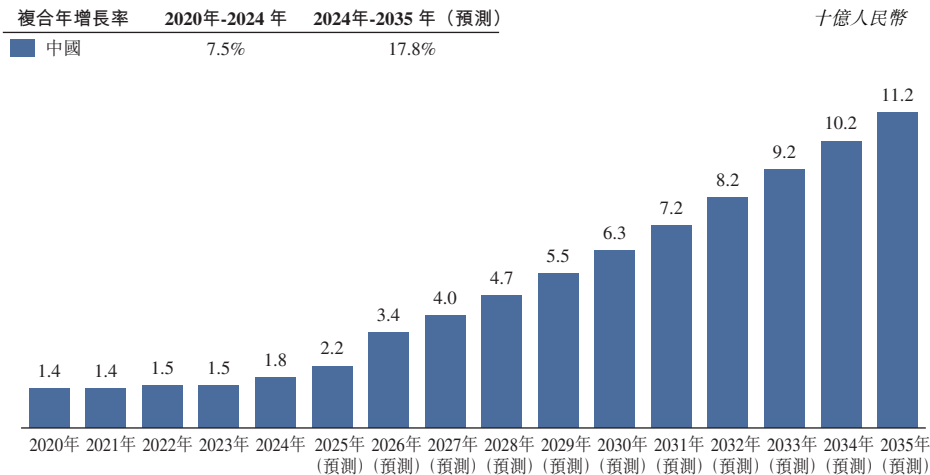
全球IgA腎臟病藥物市場規模，2020-2035年（預測）



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

2024年中國IgAN治療藥物市場規模達人民幣18億元，預計到2035年將達到人民幣112億元，2024年至2035年的複合年增長率為17.8%。

中國IgA腎臟病藥物市場規模，2020-2035年（預測）



行業概覽

IgAN治療藥物市場競爭格局

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，全球已獲批的IgAN治療藥物共4種，其中3種已在中國獲批，具體如下表所示。

全球已獲批的IgAN治療藥物概覽

INN/藥物名稱 ¹	商品名	公司	FDA 批准日期	中國國家藥監局 批准日期	靶點	劑量	較基線的 24小時 uPCR降低	每月費用 ²
阿曲生坦	Vanrafi [®]	諾華	• 2025年4月	• 2025年8月	• EDNRA	• 0.75 mg PO QD	• -36% (36周)	• 約14,000美元
Iptacopan	Fabhalta [®]	諾華	• 2023年12月	• 2025年9月	• CFB	• 200 mg PO BID	• -38% (36周)	• 約45,000美元
司帕生坦	Filspari [®]	Traverse Therapeutics	• 2023年2月	• /	• ENDRA/ AT1R	• 200-400 mg PO QD	• 35% ³ (36周)	• 約12,000美元
布地奈德	Tarpeyo [®] /Nefecon [®]	Calliditas/ Everest Medicines	• 2021年12月	• 2023年11月	• /	• 16 mg PO QD	• -27% (9個月)	• 約18,000美元

附註：1. 國際非專利名稱；2. 每月費用根據美國批發商採購成本價；3. 藥物說明書中提供的安慰劑校正後的24小時尿蛋白/肌酐比值(uPCR)降低數據；4. 陽性對照(厄貝沙坦)校正後的uPCR降低數據來自PROTECT研究

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、藥物說明書、灼識諮詢

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，全球範圍內處於III期及以上臨床試驗階段且針對IgAN的在研藥物共8種，具體如下表所示。這些候選藥物的作用機制主要包括B細胞耗竭與補體激活抑制。

全球IgAN臨床III期及以上管線¹

藥物名稱	靶點	申請方	階段	首次發佈日期	較基線的24小時uPCR降低	試驗地點
Sibeprenlimab	APRIL	大家製藥	BLA	2025年3月31日	• -50.2% (III期, 9個月)	中國；美國；其他
Atacicept	APRIL; BAFF	Vera Therapeutics	III	2021年1月20日	• III期, -42% (III期, 36周)	中國；美國
Sefaxersen	CFB	羅氏	III	2023年4月4日	• II期, -44% ² (II期, 29周)	中國；美國；其他
Zigakibart	APRIL	Chinook/SanReno 諾華	III	2023年5月10日	• I/II期, -34.2% ² (I/II期, 28周)	中國；美國；其他
Ravulizumab	C5	Alexion Pharmaceuticals AstraZeneca 阿斯利康	III	2024年3月4日	• II期, -29.5% (II期, 26周)	中國；美國；其他
Povetacicept	APRIL; BAFF	Alpine Immune Sciences 福泰製藥	III	2024年8月21日	• II期, -66% ² (II期, 48周)	中國；美國；其他
Felzartamab	CD38	Human Immunology Biosciences 百健	III	2025年4月20日	• IIa期, -39.1% (IIa期, 9個月)	中國；美國；其他
Mezagitamab	CD38	武田	III	2025年5月9日	• Ib期, -54.1% ² (Ib期, 48周)	中國；美國；其他

附註：1. 安慰劑校正後的24小時尿蛋白/肌酐比值(uPCR) 較基線降低；2. 單臂試驗，未進行安慰劑校正

資料來源：Clinicaltrials.gov、藥品審評中心、灼識諮詢

行業概覽

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，尚無用於IgAN的IgA蛋白酶候選藥物處於臨床開發階段，而AP308是唯一即將進入臨床開發的重組IgA蛋白酶。此外，採用全新作用機制的PPAR激動劑AP303，同樣即將作為IgAN的潛在治療藥物進入II期臨床研究。

常染色體顯性多囊腎病（「ADPKD」）市場概覽

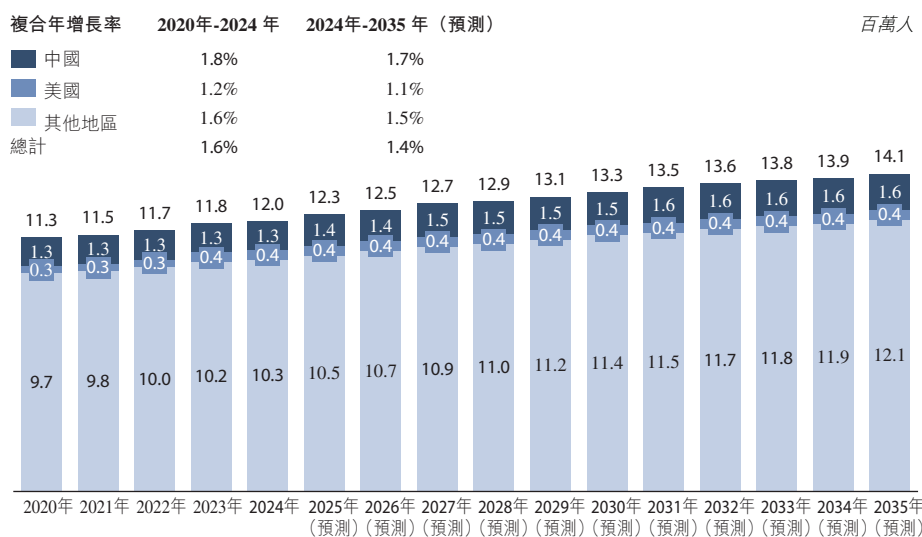
ADPKD簡介

ADPKD是一種遺傳性腎臟疾病，主要由PKD1和PKD2兩個基因的突變引起。這些基因突變可能導致細胞內抑制信號缺失、腎囊腫進行性增大，最終造成腎功能損傷。ADPKD為常染色體顯性遺傳病，患者子女患病概率為50%，目前尚無根治性治療方法。大多數患者在成年後出現雙側腎囊腫，且隨着年齡增長，病變會逐步破壞腎臟結構與功能。ADPKD可能引發疼痛，甚至危及生命。隨着疾病進展，囊腫不斷增大導致腎臟體積變大，進而引發從高血壓到腎痛等一系列併發症。

ADPKD患病率

根據灼識諮詢的資料，2024年全球ADPKD患者約1,200萬人。在所有國家中，中國因人口基數大，ADPKD患者數量最多，2024年約130萬人。預計到2035年，中國ADPKD患者數量將穩步增至160萬人，2024年至2035年的複合年增長率為1.7%。

ADPKD全球患病率，2020年-2035年（預測）



資料來源：《美國腎臟病雜誌》、《人類遺傳學雜誌》、Kidney360、灼識諮詢

行業概覽

現有治療模式與醫療需求

當前ADPKD的管理與治療方法包括飲食與生活方式干預、旨在延緩ADPKD進展的藥物治療、針對ADPKD症狀的藥物控制，以及患者教育與心理護理。然而，目前尚無ADPKD的根治性治療，且缺乏直接針對ADPKD發病機制與囊腫生長的治療方法。

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，托伐普坦是全球唯一獲批的ADPKD治療藥物。臨床研究結果顯示，托伐普坦可有效抑制ADPKD患者腎囊腫增大，延緩腎功能惡化。但托伐普坦對晚期CKD或透析階段患者的療效有限，且因其具有嚴重肝毒性，存在藥物誘導肝損傷的風險。此外，托伐普坦治療需患者嚴格依從，且需進行密切肝功能監測，提高療效和安全性。

PPAR激動劑AP303正在開發中，作為潛在FIC的疾病修正療法，旨在為包括ADPKD在內的多個高價值適應症提供廣泛的腎臟保護。PPAR激動劑AP303是血流動力學調節劑的代表性候選藥物。與其他ADPKD治療方法相比，AP303可能具有多項獨特優勢，包括通過多通路降低高濾過應激、延緩ADPKD進展，與現有治療方法潛在的協同作用，以及更廣泛的腎臟保護效果。

ADPKD治療藥物市場競爭格局

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，托伐普坦是全球唯一獲批的ADPKD治療藥物。自2018年首次獲FDA批准用於治療ADPKD以來，托伐普坦已在全球創造可觀的銷售業績，2023年銷售額突破15億美元。

過去，新型ADPKD治療方法的研發有限。根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，有四款ADPKD候選藥物處於II期及以後階段，且正在開展全球臨床試驗。此外，本公司開發的AP303預計即將進入II期臨床試驗階段。

行業概覽

局灶節段性腎小球硬化症(「FSGS」)市場概覽

FSGS簡介

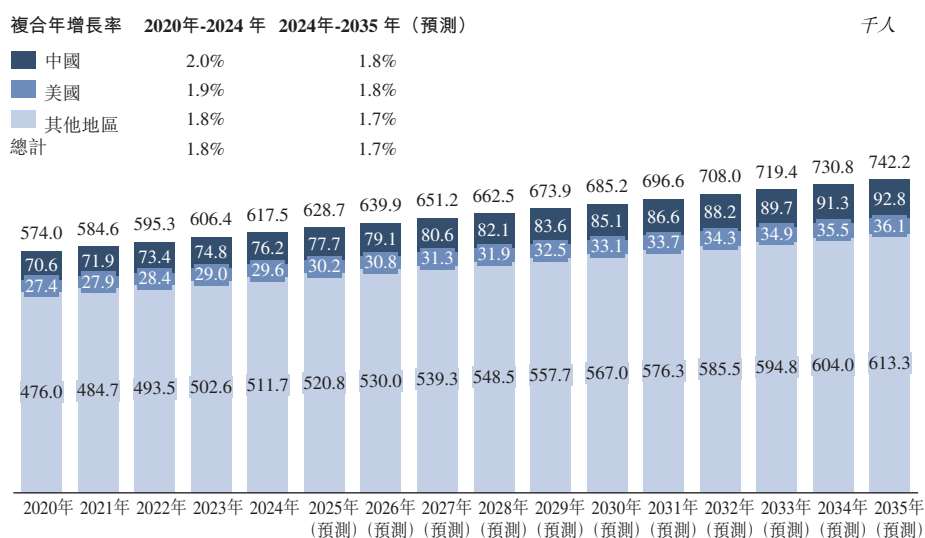
FSGS是一種癥痕組織形成於腎小球的疾病。足細胞(腎小球濾過屏障的關鍵組成部分)受損被認為是FSGS的主要病因。FSGS通常表現為蛋白尿和腎臟水腫，且可能最終進展為ESRD。

根據病因，FSGS可分為三類。原發性FSGS(又稱特發性FSGS)，其病因不明。繼發性FSGS由適應性反應(如肥胖)、藥物及感染引發。遺傳性FSGS由足細胞相關基因的遺傳性突變導致。FSGS的診斷首先通過腎活檢發現FSGS病變，隨後根據患者是否存在腎臟病綜合徵及基因篩查結果進行分層，進而將患者進一步診斷為原發性FSGS、繼發性FSGS或遺傳性FSGS。

FSGS患病率

根據灼識諮詢的資料，2024年全球FSGS患者60萬人。在所有國家中，中國因人口基數大，FSGS患者數量最多，2024年10萬人。預計到2035年，中國FSGS患者數量將維持在10萬人的穩定水平。

全球及中國FSGS患病率，2020年-2035年(預測)



資料來源：《美國腎臟病雜誌》、《人類遺傳學雜誌》、《腎臟病》、Kidney360、灼識諮詢

行業概覽

現有治療模式與醫療需求

對於合併腎臟病綜合徵（一組由腎臟損傷引發的症狀）的原發性FSGS患者，糖皮質激素是主要治療藥物；對於激素抵抗型原發性FSGS患者，鈣調神經磷酸酶抑制劑（「CNI」）是主要治療藥物；對於CNI治療失敗、不耐受或存在禁忌症的FSGS患者，可使用環磷酰胺、利妥昔單抗及嗎替麥考酚酯。

然而，目前FSGS的治療方法存在多重安全性、有效性和可及性問題。長期使用糖皮質激素可能導致耐藥性、藥物依賴或其他副作用。CNI的使用成本較高，且可能引發加速CKD進展的腎毒性。此外，對於存在腎間質纖維化或血管病變的患者，CNI的療效有限。環磷酰胺會暫時降低血液中白細胞的數量，進而增加感染風險。利妥昔單抗可能引發輸液相關反應，這類反應可能危及生命，需立即就醫。嗎替麥考酚酯可能削弱機體免疫系統，增加發生罕見且嚴重病毒感染的風險。

AP303是正在開發中的潛在FIC的疾病修正療法，旨在為包括FSGS在內的一系列適應症提供廣泛的腎臟保護。AP303是一款代表性候選藥物，旨在通過調節腎小球血流動力學，糾正FSGS等疾病中升高的腎小球內壓力。與其他FSGS治療方法相比，AP303可能具有多項獨特優勢，包括通過作用於多條通路延緩FSGS進展、可能與標準治療產生協同效應，以及具有心血管保護作用。

FSGS治療藥物市場競爭格局

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，全球尚無專門針對FSGS獲批的治療藥物。截至同一日期，全球範圍內處於II期及以上臨床試驗階段且針對FSGS的在研藥物超過10款。此外，禮邦的AP303即將進入II期階段，有望滿足該領域重大未被滿足的醫療需求。

2025年5月，Travere宣布FDA已受理司帕生坦治療FSGS的補充新藥申請，此申請乃基於III期關鍵性試驗，以蛋白尿作為替代終點指標。FDA可能會考慮將蛋白尿水平變化作為FSGS新藥獲批的替代終點。

行業概覽

腎性貧血市場概覽

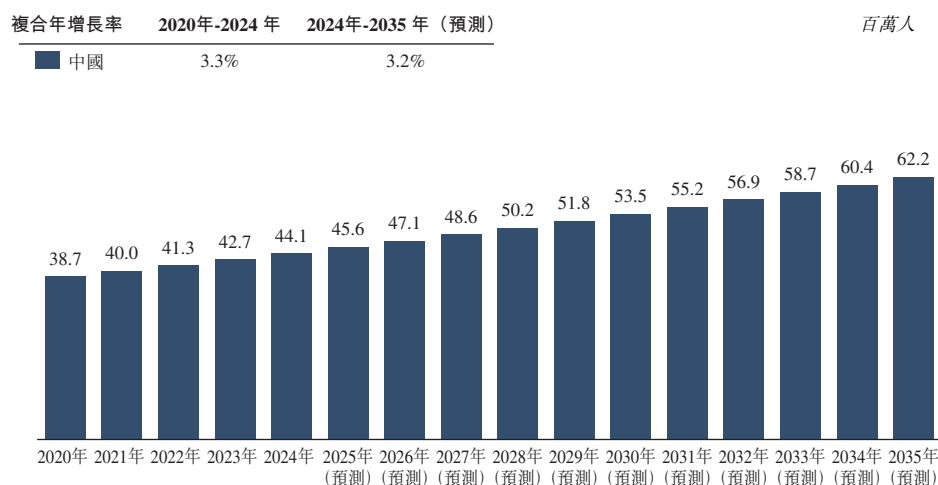
CKD患者腎性貧血簡介

腎性貧血是CKD的常見併發症，此類CKD患者的紅血球計數低於正常水平。儘管腎性貧血的發病機制通常為多因素作用，但主要病因是腎臟無法產生足夠的內源性促紅細胞生成素（「EPO」）及鐵代謝紊亂。腎性貧血常與CKD患者不良預後、生活質量下降及死亡率升高相關。

腎性貧血患病率

根據灼識諮詢的資料，2024年中國腎性貧血患者約4,410萬人。預計到2035年，中國腎性貧血患者數量將增至6,220萬人，2024年至2035年的複合年增長率為3.2%。

中國腎性貧血患病率，2020年-2035年（預測）



資料來源：NIDDK、USRDS、《柳葉刀》、JAMA、Clinical and Experimental Nephrolog、灼識諮詢

現有治療模式

腎性貧血的當前治療方法包括注射用促紅細胞生成素類藥物（「ESAs」）、靜脈注射（「IV」）或口服鐵劑，以及口服缺氧誘導因子脯氨酰羧化酶抑制劑（「HIF-PH抑制劑」）。從作用機制看，ESA通過刺激紅細胞生成發揮作用；靜脈注射或口服鐵劑通過直接補充鐵儲備發揮作用；缺氧誘導因子脯氨酰羧化酶抑制劑則通過刺激內源性促紅細胞生成素的產生發揮作用。臨床開具ESA時，需根據個體情況調整劑量，以將血紅蛋白維持在目標範圍內。靜脈注射或口服鐵劑的開具需依據患者的鐵狀態。對於ESA應答不佳的患者，經風險－獲益評估後，可考慮使用缺氧誘導因子脯氨酰羧化酶抑制劑。

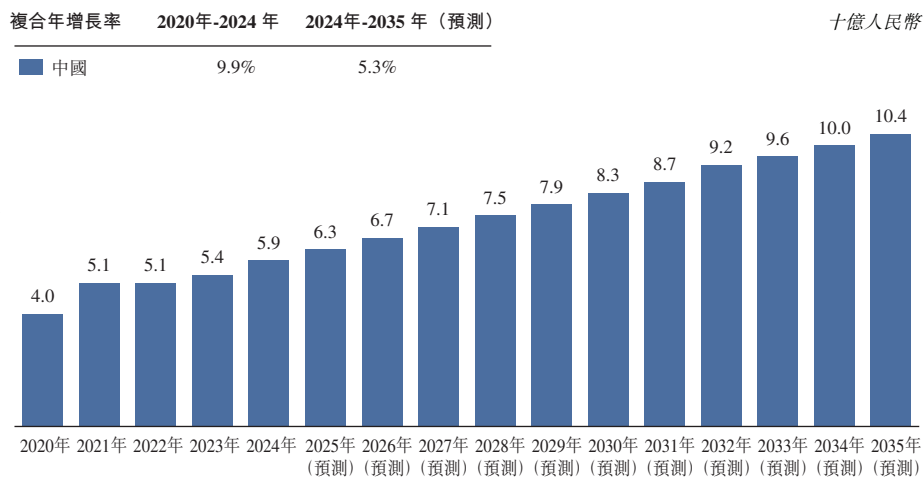
行業概覽

在所有現有治療方法中，ESA被推薦為CKD相關貧血的一線治療方案，其相較於其他治療方法具有明確優勢，ESA可顯著減少CKD患者的輸血需求，緩解貧血相關症狀。靜脈或口服補鐵存在諸多局限性，包括可能引發輸注反應、胃腸道不耐受、血紅蛋白糾正速度慢、CKD患者鐵吸收能力下降，以及需避免與某些藥物／食物發生相互作用。對於HIF-PH抑制劑，儘管其在升高血紅蛋白水平方面與ESA相當或更優，但存在心血管結局、血栓事件及腫瘤進展等不良事件相關擔憂，這些擔憂導致HIF-PH抑制劑尚未獲得廣泛臨床應用批准。此外，HIF-PH抑制劑的長期安全性尚未得到充分證實。

中國腎性貧血治療藥物市場規模

根據灼識諮詢的資料，2024年中國腎性貧血治療藥物市場規模達人民幣59億元，預計到2035年將增至人民幣104億元，2024年至2035年的複合年增長率為5.3%。2024年，長效ESA在中國市場中的佔比不足5%，而美國及日本的市場佔比分別達到約50%及約80%，這一差距凸顯出其巨大的市場擴張潛力。

中國腎性貧血治療藥物市場規模，2020年-2035年（預測）



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

行業概覽

腎性貧血治療藥物市場競爭格局

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，全球已獲批的長效ESA類腎性貧血治療藥物共3種，且均已在中國獲批，具體如下表所示。MICERA®是首款獲批准的每月一次注射的長效EPO。

中國獲批用於治療腎性貧血的長效ESA概覽

INN/藥物名稱 ¹	商品名	公司	批准日期	作用機制	靶點	劑量	每月費用 ²	國家醫保藥品目錄狀態 ³
甲氧聚二醇重組人促紅素	MIRCERA® 美信羅®	羅氏/禮邦	中國國家藥監局： 2018年7月	• EPO	• EPOR	• 0.6 µg/kg SC/IV QM	• 約人民幣460元	• 納入國家醫保藥品目錄
達依泊汀α	NESP® 耐斯寶®	安進/協和麒麟	中國國家藥監局： 2020年6月	• EPO	• EPOR	• 20 µg SC/IV QW or 40 µg SC/IV Q2W	• 約人民幣460元	• 納入國家醫保藥品目錄
培莫沙肽	聖羅萊®	Hansoh	中國國家藥監局： 2023年6月	• PEG-EMP	• EPOR	• 0.04mg/kg SC Q4W	• 約人民幣780元	• 納入國家醫保藥品目錄

附註：1 國際非專利名稱；2 每月費用乃基於國家醫保目錄價格；3 指藥物的相關適應症是否納入中國國家醫保目錄

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、公司官網、灼識諮詢

委託灼識諮詢編製報告

就[編纂]而言，我們已委聘灼識行業諮詢有限公司（「灼識諮詢」）進行詳盡分析，並編製有關我們候選藥物所定位的主要市場的行業報告（「灼識諮詢報告」）。灼識諮詢報告為一家於2014年成立且總部設於中國的全球獨立市場研究及諮詢公司。我們已同意就編製灼識諮詢報告向灼識諮詢支付總計約人民幣810,000元的費用，且我們認為該費用與市場費率一致。有關款項的支付並不取決於我們成功[編纂]或灼識諮詢報告的內容。除灼識諮詢報告外，我們並未就[編纂]委託編製任何其他行業報告。我們確認，在採取合理謹慎措施後，自灼識諮詢編製報告之日起，市場資料並無發生在任何重大方面可能對本節所載資料構成限制、與之矛盾或產生影響的任何不利變化。

灼識諮詢報告中的市場預測乃基於以下主要假設：(i) 預計全球及中國的整體社會、經濟及政治環境於預測期內保持穩定；(ii) 未來十年，全球及中國的經濟及行業發展可能保持穩定的增長趨勢；(iii) 預測期內相關關鍵行業驅動因素可能會繼續推動市場增長；及(iv) 不存在可能會對市場造成重大或根本性影響的極端不可抗力因素或行業監管。灼識諮詢報告的可靠性可能受上述主要假設（包括用作進行未來預測的假設）的準確性所影響。