

行業概覽

本節所列的部分信息及統計數據，摘自各種官方政府出版物、市場數據提供商及我們委託並由獨立第三方弗若斯特沙利文編製的報告。對於來自官方政府來源的信息，我們、[編纂]、聯席保薦人、[編纂]、[編纂]、[編纂]、任何[編纂]、其各自的董事及顧問，或參與本次[編纂]的任何其他人士或當事方未獨立核實，且未就其準確性作出任何聲明。

在人口老齡化、健康意識提升、預期壽命延長以及研發投入持續增長的推動下，全球醫藥市場規模從2019年的13,245億美元增至2024年的15,420億美元，複合年增長率達到3.1%。預計未來幾年該市場將以4.8%的複合年增長率持續擴張，到2028年將達到18,623億美元，到2033年將進一步增至24,064億美元，2028年至2033年期間的複合年增長率為5.3%。中國醫藥市場規模從2019年的人民幣16,330億元增至2024年的人民幣16,297億元。預計未來幾年該市場將以3.5%的複合年增長率持續擴張，到2028年將達到人民幣18,687億元，到2033年將進一步增至人民幣26,785億元，2028年至2033年期間的複合年增長率為7.5%。這一增長預計將由結構性社會經濟驅動因素支撐，包括人口老齡化結構、可支配收入提升以及分階段實施的全面醫療改革舉措。

中國已推出階段性醫療改革方案，旨在提升醫療體系效率與服務質量。最新的改革藍圖著重強調加強醫保支付方、醫療服務提供方與醫藥企業之間的協同配合。其政策重點包括推進醫療定價與支付機制改革、實現醫療基礎設施現代化以及建設先進醫療中心。中國還致力於通過優化管理與擴充護理能力來提升公立醫院服務質量，通過增加政府補貼與豐富商業保險產品來擴大醫保覆蓋範圍，通過簡化創新藥審批流程來提高審批效率，同時推動數字醫療解決方案的應用，並加大對養老與托育服務項目的制度支持力度。總體而言，這些舉措旨在在全國範圍內構建一個更高效、更經濟、更優質的醫療體系。

全球範圍內，創新藥物的持續開發已成為醫藥行業的核心增長引擎，這一趨勢預計將持續下去。跨國製藥企業正不斷加大研發投入，致力於開發在安全性、療效及患者使用便利性方面更具優勢的差異化候選藥物。與此同時，中國製藥企業也在加速研發創新進程，推進原研候選藥物的開發，並搭建尖端技術平台，進而提升自身競爭力，擴大在全球市場的影響力。

在創新能力提升與政策支持的雙重背景下，我們重點關注的存在大量未被滿足的醫療需求領域——自身免疫性疾病與神經退行性疾病——有望獲得更多投資，並加速產品研發進程。

行業概覽

自身免疫性／炎症性疾病市場

概述

自身免疫性疾病源於免疫系統失調，在該類疾病中，免疫細胞會錯誤地將人體自身健康的細胞和組織識別為外來物。這種錯誤的免疫反應會觸發一系列炎症過程－包括促炎細胞因子釋放、免疫細胞募集以及組織損傷通路激活－最終導致慢性或複發性炎症。在多數自身免疫性疾病中，正是這種持續性炎症驅動著組織損傷、功能障礙及疾病進展。

現有逾百種自身免疫性疾病，幾乎可影響人體的任何部位。根據免疫細胞靶向的自身抗原以及器官受累範圍，自身免疫性疾病可分為：器官特異性自身免疫性疾病，如系統性紅斑狼瘡 (systemic lupus erythematosus, **SLE**) 和類風濕關節炎 (rheumatoid arthritis, **RA**)；和系統性自身免疫性疾病，如銀屑病、慢性自發性蕁麻疹 (chronic spontaneous urticaria, **CSU**) 及特應性皮炎 (atopic dermatitis, **AD**)。遺傳因素與環境因素均可能誘發自身免疫性疾病，該類疾病會引發炎症症狀，不僅影響患者生活質量，嚴重時甚至可能危及生命。下圖展示了自身免疫性疾病的分類情況。

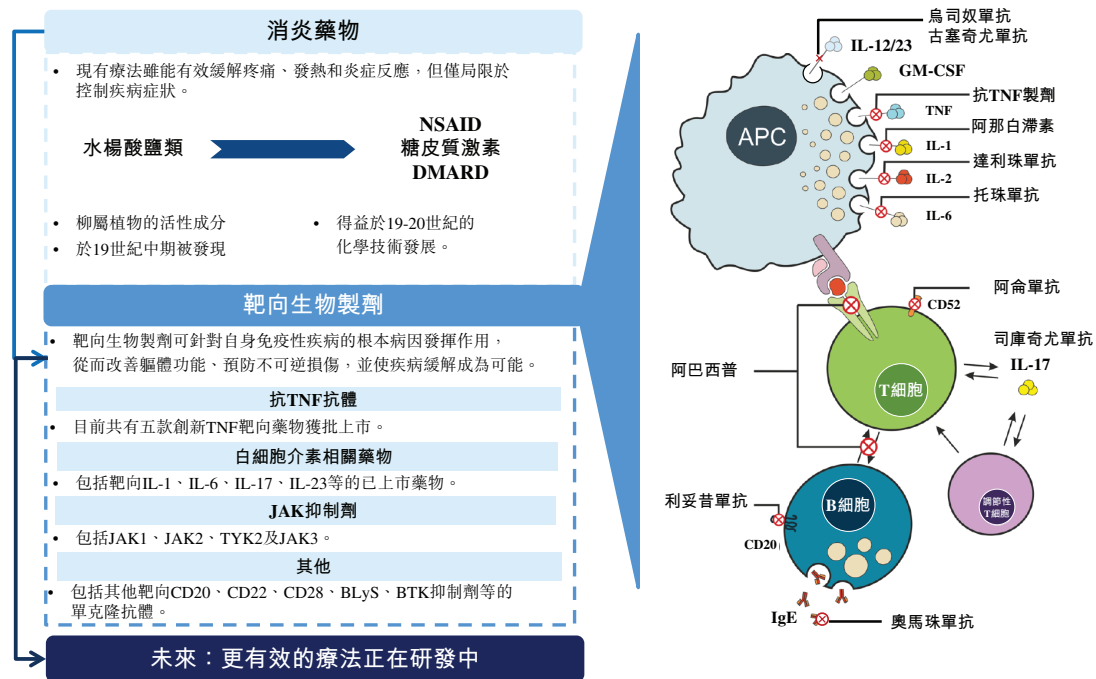


資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

自身免疫性疾病治療的演變歷程

在管理自身免疫性疾病時，治療選擇範圍從傳統的消炎藥物到改善病情抗風濕藥物 (disease-modifying antirheumatic drugs, **DMARD**)，包括針對特定免疫通路的傳統合成DMARD (conventional synthetic DMARD, **csDMARD**) 和生物製劑類DMARD (biologic DMARD, **bDMARD**)。近年來，以細胞為基礎的治療方法逐漸興起，有望重建免疫耐受；與此同時，細胞內信號傳導的小分子抑制劑 (尤其是JAK抑制劑) 可通過口服給藥，針對性阻斷由細胞因子驅動的炎症反應。下圖展示了主要自身免疫性疾病療法的演變歷程。



縮寫：NSAID=非甾體消炎藥；DMARD=改善病情抗風濕藥物

資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

消炎藥物 (包括糖皮質激素和非甾體消炎藥 (nonsteroidal anti-inflammatory drugs, NSAID)) 已被證實具有快速改善症狀的潛力，可緩解疼痛、退熱並減輕炎症反應。然而，傳統消炎藥物對症狀較重的患者療效有限，且長期使用可能引發胃腸道潰瘍、代謝紊亂和腎上腺抑制等副作用，這一點也備受關注。傳統合成改善病情抗風濕藥物 (conventional synthetic disease-modifying antirheumatic drugs, CsDMARD) 雖能實現長期病情控制，但通常需要數週至數月才能完全起效，且可能伴隨多種不良反應。生物製劑能夠高度特異性地靶向細胞外靶點，但需要定期注射或輸注給藥，不僅存在惡性腫瘤及輸注相關反應的風險，還可能因抗藥抗體的產生導致治療窗口較窄。細胞療法 (尤其是CAR-T細胞療法) 對難治性疾病具有應用前景，但其長期安全性仍

行業概覽

有待驗證。相比之下，JAK抑制劑通過阻斷受體結合下游的多個細胞因子通路，可實現與生物製劑相當的快速起效效果並持續減少炎症標誌物，同時能將感染風險降至最低。此外，其口服給藥方式進一步提升了治療依從性，使JAK抑制劑成為自身免疫性疾病療法譜系中一種多功能的替代選擇。下圖展示了主要自身免疫性疾病治療方法的作用機制、代表藥物及優缺點。

類型	作用機制	代表性藥物	優勢	劣勢
糖皮質激素	通過促使脂皮質素釋放，抑制磷脂酶A2，減少花生四烯酸釋放，從而阻止前列腺素（Prostaglandins, PG）和白三烯（Leukotrienes, LT）的形成。	潑尼松、可的松	<ul style="list-style-type: none"> GC具有廣泛的消炎作用，可影響免疫系統的多個組成部分。因此，GC能有效治療多種自身免疫性疾病。 	<ul style="list-style-type: none"> 長期使用可能引發多種不良反應，如骨質疏鬆、體重增加、高血壓、糖尿病、感染易感性增加及腎上腺抑制。 無法阻斷RA進展和關節損傷。
NSAID	通過抑制環氧化酶（cyclooxygenase, COX）活性來發揮消炎作用。	阿司匹林、布洛芬	<ul style="list-style-type: none"> 起效迅速，副作用通常比糖皮質激素更少。 	<ul style="list-style-type: none"> 傳統的非選擇性NSAID會抑制血小板聚集，並引發顯著的胃腸道疾病，如出血、潰瘍及穿孔。 主要發揮消炎和鎮痛作用，但無法有效改善病情或延緩關節損傷。
csDMARD	抑制免疫細胞活性、阻斷特定炎症通路，或干擾免疫反應中的細胞過程。	甲氨蝶呤、柳氮磺吡啶	<ul style="list-style-type: none"> 強調早期使用這類藥物，以預防關節損傷、改善臨床症狀並提高患者預後。 可減輕炎症、緩解症狀，並在一定程度上延緩關節損傷的進展。 	<ul style="list-style-type: none"> csDMARD通常起效緩慢。可能需要數週甚至數月時間才能達到預期的治療效果。 還可能伴隨多種不良反應。
bDMARD	通過抑制TNF- α 和IL-6等細胞因子、抑制T細胞活化及耗竭B細胞等發揮作用，這些細胞因子或細胞均具有促炎性。	TNF抑制劑、白細胞介素抑制劑	<ul style="list-style-type: none"> 由於能選擇性靶向特定免疫成分，bDMARD可有效減輕炎症、緩解症狀並延緩病情進展。 與csDMARD相比，全身性副作用更少。 	<ul style="list-style-type: none"> 價格昂貴且需要定期注射或輸注，這可能對部分患者構成阻礙。 會增加感染和惡性腫瘤的風險。
tsDMARD	參與阻斷包括JAK/MAPK/SYK-BTK/NF- κ B信號通路在內的多條促炎性通路。	JAK抑制劑	<ul style="list-style-type: none"> 通常口服給藥，對患者而言更為便捷，有助於提高治療依從性。這一特點對難以耐受注射或輸液的患者尤為有利。 能有效減輕炎症、緩解症狀並延緩疾病進展。 tsDMARD的感染風險通常相對較低。這使其成為感染易感性較高患者的更安全選擇。 	<ul style="list-style-type: none"> 價格昂貴，可能給患者和醫療系統帶來經濟負擔。 可能導致多種不良反應，如肝毒性、骨髓抑制、胃腸道不適及肝酶升高等現象。
細胞療法	靶向清除驅動病情的致病性免疫細胞。	開發中	<ul style="list-style-type: none"> 通過針對自身免疫性疾病的根本病因進行治療，細胞療法有望實現疾病的長期緩解。 	<ul style="list-style-type: none"> 價格昂貴，原因是其操作流程複雜且所需試劑及設備成本較高。 需開展長期研究來評估細胞療法療效的持久性及長期安全性。

資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

自身免疫性疾病治療的未滿足臨床需求

- 現有的自身免疫性疾病治療方案常難以實現持續療效或可接受的可耐受性。針對RA患者的研究顯示，約58%患者對生物製劑類DMARD療法無反應，其中77%屬於原發性失效（即初始應答不足），23%為繼發性失效（表現為隨時間推移療效喪失）。此外，約10%患者因不耐受停用生物製劑，21.8%患者停用傳統合成DMARD，而接受生物製劑治療的患者中有6.3%因急性不良反應退出治療。雖然針對關鍵致病通路的靶向治療改善了臨床結局並降低了疾病活動度，但這些無應答率和治療限制性毒性數據表明，現有治療方案仍存在重大缺口。要滿足患者的全方位需求，需開發具有全新作用機制、更優安全性的療法，以及經過優化的聯合治療方案，從而實現持久的疾病控制與更廣泛的耐受性。
- 酶選擇性不足仍是現有靶向生物製劑的關鍵局限。廣譜JAK抑制劑可抑制多種JAK酶，導致多種細胞因子通路被意外抑制，T細胞和自然殺傷細胞耗竭，而B細胞不受影響。這種失衡會增加上呼吸道和尿路感染風險，對於本就因自身免疫性疾病而存在免疫功能缺陷的患者尤其如此。此外，托法替布、巴瑞替尼和烏帕替尼均帶有FDA黑框警告，提示可能發生嚴重心血管事件、惡性腫瘤、血栓栓塞併發症及死亡風險，這凸顯了對具有精準靶向作用和更佳安全性的療法的迫切需求。
- 由於對自身免疫性疾病潛在發病機制的認識有限，這類疾病的複雜性進一步加劇。儘管研究已取得進展，但許多自身免疫性疾病的精確發病機制仍不明確，這阻礙了靶向治療和個體化治療方案的發展。此外，紅斑狼瘡等自身免疫性疾病對某些人群的影響尤為顯著，因診斷延誤和醫療資源可及性受限等因素，這類人群的住院率顯著高於平均水平，這凸顯了對更公平醫療策略和更早干預措施的迫切需求。

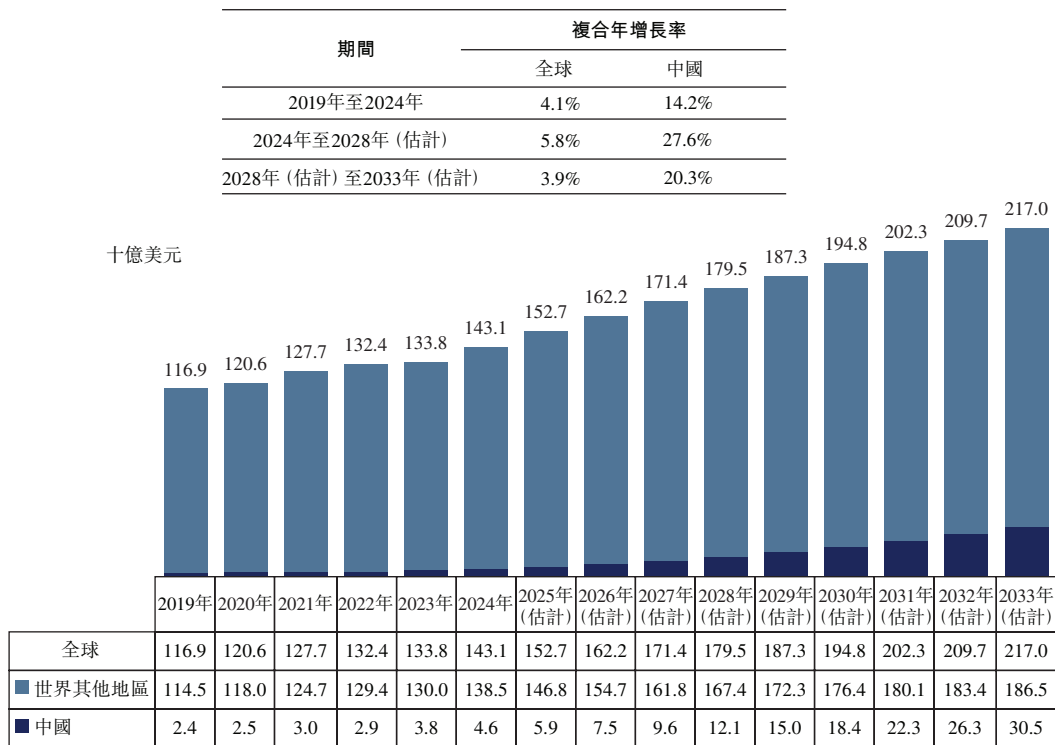
自身免疫性疾病藥物的市場規模

在疾病認知度不斷提高、診斷能力持續進步以及創新療法陸續推出的背景下，近年來全球自身免疫性疾病治療藥物市場保持著穩定的增長態勢。自身免疫性疾病涵蓋類風濕關節炎、銀屑病、系統性紅斑狼瘡和炎症性腸病等逾百種疾病。這類疾病具有慢性病程、影響生活質量且缺乏根治性治療手段等特點，已然成為一個重要且仍在不斷擴大的治療領域。近年來全球自身免疫性疾病藥物市場呈現持續增長趨勢。全球自身免疫性疾病藥物市場規模從2019年的1,169億美元增至2024年的1,431億美元；預計

行業概覽

到2028年將達到1,795億美元，到2033年將進一步攀升至2,170億美元，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的預測複合年增長率分別為5.8%和3.9%。2019年至2024年期間，中國自身免疫性藥物市場規模從24億美元增至46億美元，複合年增長率為14.2%；預計到2028年將達到121億美元，到2033年將達到305億美元，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為27.6%和20.3%。下圖展示了所示期間內全球及中國自身免疫性藥物市場的規模情況。

全球及中國自身免疫性藥物市場情況，2019年至2033年（估計）



資料來源：公共信息、專家訪談、弗若斯特沙利文

自身免疫性藥物市場的驅動因素與未來趨勢

自身免疫性藥物市場的增長預計將受到以下因素的推動：

- 具有未被滿足需求的患者群體持續擴大。老年人口比例不斷上升，是推動市場增長的關鍵因素－老年人因免疫衰老及長期環境暴露，更易罹患自身免疫性疾病。2024年，中國65歲以上人口達220.2百萬人，佔總人口的15.6%；預計到2026年，這一群體將增至236.6百萬人，佔總人口的16.8%，使得慢性自身免疫性疾病的患病人數加速增長。疊加城市化進程與生活方式改變，這一持續擴大的患者群體帶來了對有效療法的持續需求，也使自身免疫性藥物治療領域成為製藥行業的重要增長板塊。

行業概覽

- *創新療法拓展市場容量*。靶向治療的突破性進展改變了自身免疫性疾病的治療格局，JAK抑制劑相較傳統免疫抑制劑展現出更優療效和更高安全性。這類口服小分子藥物可通過JAK-STAT信號通路廣泛阻斷細胞因子信號傳導，不僅起效迅速、給藥方式靈活，還無需靜脈輸注或注射，從而提升了類風濕關節炎、銀屑病等慢性疾病患者的治療依從性與生活質量。其臨床獲益與患者便利性的雙重優勢，有望擴大可覆蓋患者群體並強化自身免疫性疾病的治療格局。例如，截至最後實際可行日期，尚無針對生物製劑類改善病情抗風濕藥物及JAK抑制劑治療無效患者的獲批療法 — 這一類患者屬於難治人群，且存在大量未被滿足的醫療需求。TLL-018有望在該患者群體中展現療效。滿足此需求缺口的創新療法不僅可以改變患者的治療效果，亦能通過觸達目前現有治療服務覆蓋不足的人群來擴大整體市場。
- *政策支持治療創新*。加快審批的監管路徑正助力小分子自身免疫性疾病的療法取得突破。國家藥品監督管理局在「健康中國2030」規劃下出台激勵政策，深化以臨床療效為導向的審評審批改革，強化審批標準，並加快創新藥物與臨床急需藥物的評估流程。改革明確鼓勵TYK2/JAK1抑制劑等雙靶點小分子藥物這類新作用機制藥物的研發，以更精準地作用於更為複雜的免疫通路。與此同時，國家及省級醫保報銷改革致力於提高患者對可負擔療法的可及性，加速自身免疫性疾病的治療市場的增長。
- *市場參與者的動態協作*。製藥企業、科研機構與政府部門之間不斷增加的投資與戰略合作，正為自身免疫性疾病的研發注入動力。資金投入為新型藥物的發現與優化提供支持，而通過合作實現的資源與專業知識共享，不僅縮短了研發週期，還提高了商業化效率。這些協同舉措正在催生更有效、更安全的治療方案，滿足日益增長的患者需求並維持市場擴張。

自身免疫性疾病的藥物市場的未來發展或將呈現以下趨勢：

- *雙靶點與多靶點抑制劑取得進展*。以TYK2/JAK1抑制劑為代表的雙靶點小分子藥物等創新療法，通過同時調控多條免疫通路提升治療精準度。相較於傳統療法，這類藥物能更特異性地作用於相互關聯的炎症級聯反應，從

行業概覽

而解決療效不徹底、疾病複發風險高等關鍵局限性。其高效能與低脫靶效應既能實現更優的疾病控制，又能滿足臨床對安全有效療法的迫切需求。隨著研究不斷深入，多靶點抑制劑有望在自身免疫性疾病治療中發揮日益重要的作用。

- *通過口服給藥與緩釋技術提升患者依從性。*口服給藥與緩釋技術在自身免疫性疾病治療中的重要性日益凸顯。相較於注射劑，口服藥物更為便利，可顯著提高患者的治療依從性。例如，口服JAK抑制劑可快速達到有效血藥濃度，實現早期疾病控制。緩釋製劑則通過減少給藥頻率、降低藥物暴露量波動和增強整體療效，進一步改善結局。這些技術的持續進步有望提升藥物遞送效率，增強患者依從性，支撐自身免疫性疾病市場的增長需求。
- *拓展適應症範圍與挖掘未被滿足需求。*製藥企業正積極拓寬現有自身免疫性疾病療法的適應症範圍，同時針對未被滿足需求開發新療法以提升臨床獲益。許多最初獲批用於單一適應症的藥物（如治療類風濕關節炎的JAK抑制劑），現已被證實對潰瘍性結腸炎、斑禿及白癜風同樣有效，從而擴大了可治療的患者群體。與此同時，製藥企業還正瞄準小眾和罕見自身免疫性疾病領域，旨在提供更多治療選擇。隨著研發與臨床試驗工作的持續推進，預計將有更多藥物實現適應症拓展、更多新療法獲批上市，這將豐富自身免疫性疾病的治療方案，改善自身免疫性疾病的患者結局。

自身免疫性疾病藥物市場的進入壁壘

自身免疫性疾病藥物市場的新進入者面臨著以下主要進入壁壘：

- *在慢性自身免疫性疾病管理中實現高選擇性、高療效和高安全性方面存在較高的技術壁壘。*自身免疫性疾病療法的研發需要整合藥理學、免疫學和藥物化學，以精準靶向致病通路，同時維持最優的類藥性質與生物利用度。實現高選擇性對於最大化療效和最小化脫靶效應至關重要，在需要長期治療的慢性疾病中尤為如此。我們的TLL-018正是這一策略的典範，它不僅具備卓越的選擇性，還採用了業內罕見的雙靶點機制設計。此外，先進的藥物遞送技術同樣重要，這些技術能夠實現控釋效果並確保藥物在體

行業概覽

內得到高效全身吸收。尤其是口服製劑，需採用複雜的工藝技術，以增強藥物在胃腸道中的穩定性並提高生物利用度，這對行業新進入者而言是一大技術障礙。

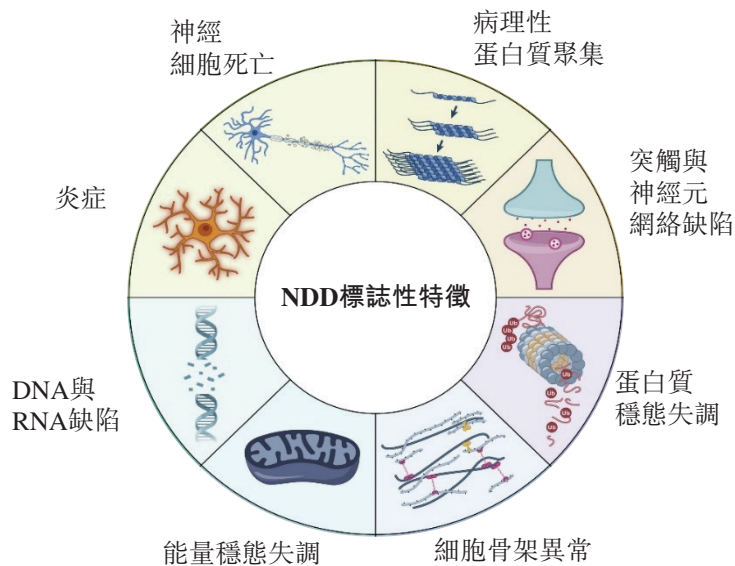
- *專業知識領域存在人才缺口。*研發自身免疫性疾病療法需要匯聚藥物設計、合成化學、藥理學、毒理學及臨床研究領域的資深專家。只有各學科知識相互貫通，才能共同推動化合物優化並確保藥物安全遞送。組建與管理這類多學科團隊極具挑戰性，通常需要建立戰略合作並實施穩健的項目管理。
- *前期資金需求高昂。*在自身免疫性疾病治療藥物市場中，需要投入巨額資金建立生產設施、開展研發活動以及應對複雜的監管體系。對專用設備與技術的需求進一步提高了進入門檻，而嚴格的質量控制標準和耗資巨大的臨床試驗更增加了市場進入成本。

行業概覽

神經退行性疾病市場

概述

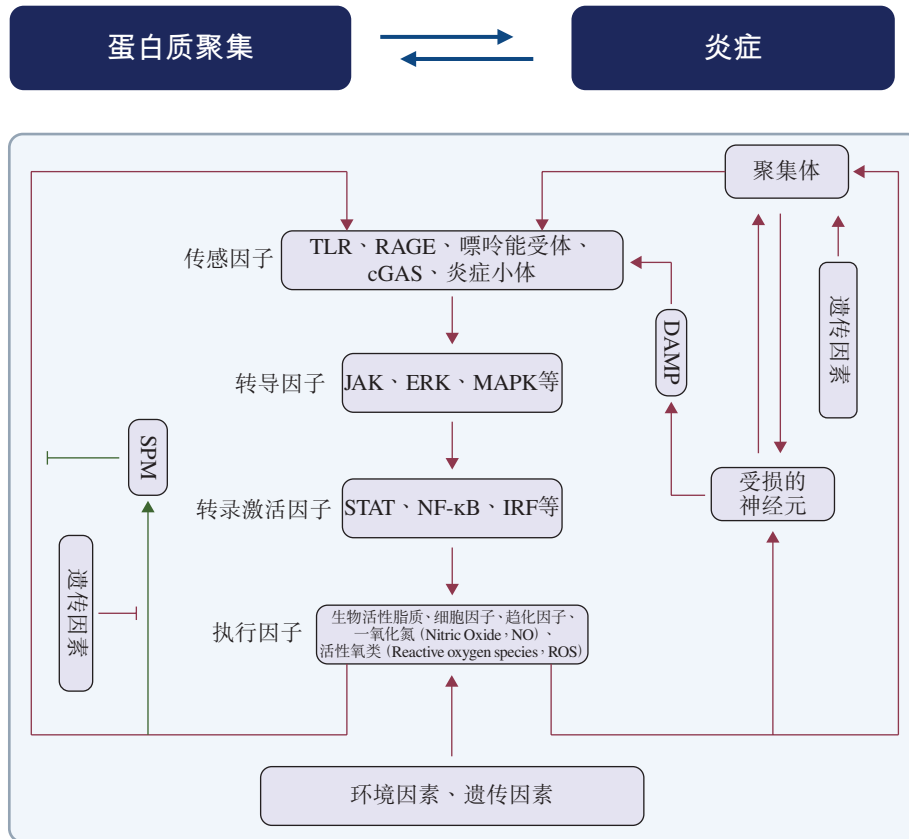
神經退行性疾病是一組異質性神經系統疾病，特徵是中樞或周圍神經系統神經元出現進行性喪失，會嚴重損害患者的記憶、認知、行為、感覺功能和運動控制能力。由於神經元屬於終末分化細胞且無法有效自我更新，其退化會導致神經網絡崩潰及關鍵通訊回路中斷，從而引發長期功能衰退。下圖展示了神經退行性疾病 (neurodegenerative diseases, NDD) 的典型病理特徵。



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

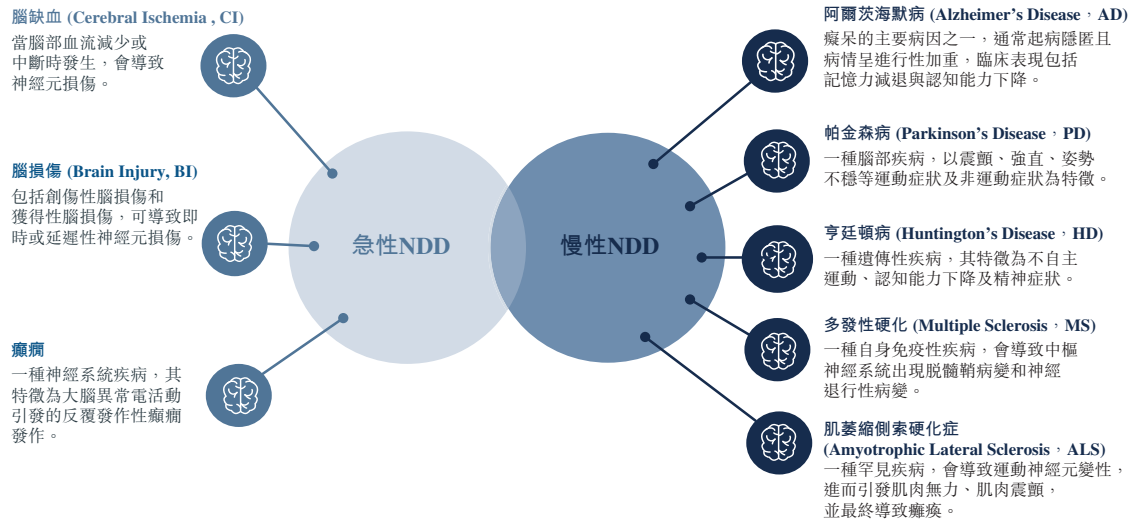
神經炎症是各類神經退行性疾病的共有特徵。大腦中長期存在的炎症反應主要由小膠質細胞和星形膠質細胞驅動，釋放的細胞毒性介質會加劇神經元損傷。炎症不僅是神經退行性病變的結果，還會主動推動病變進展：蛋白質聚集(此類疾病中常見的病理特徵)可引發神經炎症，而神經炎症反過來又會加速蛋白質聚集和神經元丟失。在特定易感人群中，神經炎症甚至可能早於蛋白質沉澱出現，由中樞神經系統細胞的基因變異或外周免疫細胞浸潤所誘發。下圖展示了炎症在神經退行性病變中的作用。



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

臨床上，神經退行性疾病既包含腦缺血、腦損傷和癲癇等急性病症，也涵蓋阿爾茨海默病、帕金森病、亨廷頓病、肌萎縮側索硬化症、多發性硬化、額顳葉癡呆及視神經脊髓炎譜系障礙等慢性疾病。這些疾病共同構成了全球重大健康挑戰，既催生了對創新療法的迫切需求，也為應對日益加重的神經退行性疾病負擔提供了重要發展機遇。下圖展示了神經退行性疾病的分類情況。

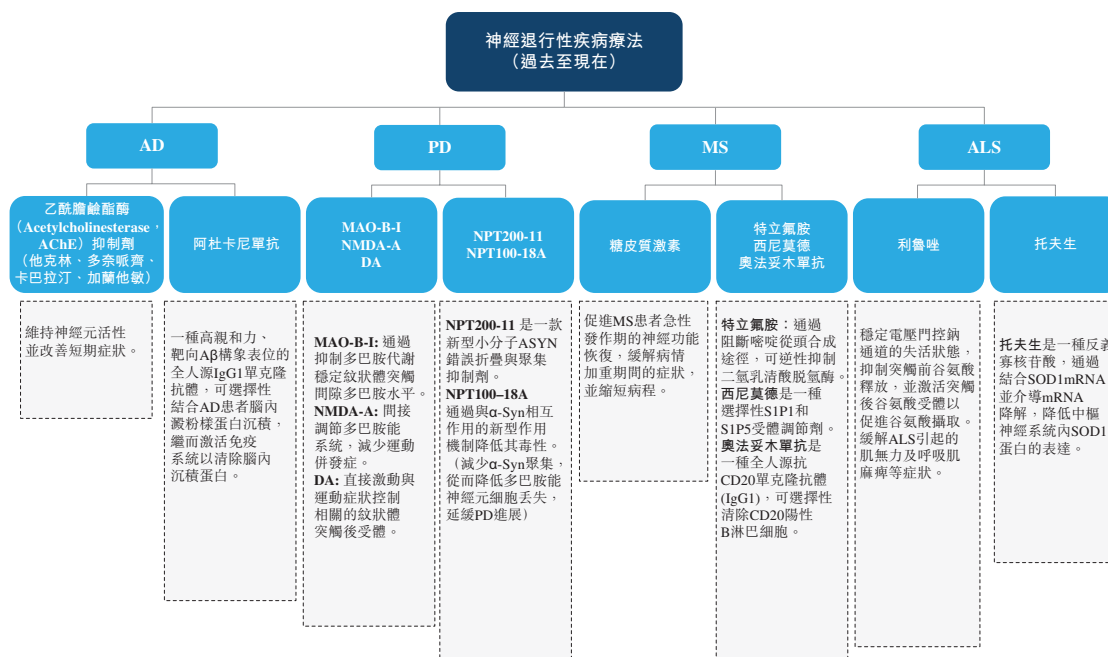


資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

神經退行性疾病的治療範式和未被滿足的臨床需求

研究人員已確定多個共享機制靶點，這些靶點或可促進形成泛神經退行性疾病治療策略，其中包括環境因素、神經炎症、代謝應激、神經血管偶聯及遺傳因素。神經退行性疾病的傳統療法僅能緩解症狀，卻無法延緩病情進展。針對阿爾茨海默病，早期藥物為乙酰膽鹼酯酶抑制劑，通過維持神經元活性來改善記憶與學習功能；近年來，以 β 澱粉樣蛋白沉積為靶向的阿杜卡尼單抗則開始從根源上干預疾病進展。針對帕金森病，早期治療以左旋多巴為基礎方案，旨在恢復多巴胺能信號傳導並控制運動症狀；而目前的新興療法則聚焦於靶向 α -突觸核蛋白聚集和神經炎症通路，以期改善疾病進程。下圖展示了神經退行性疾病療法的演變歷程。

行業概覽



縮寫：AD=阿爾茨海默病；PD=帕金森病；MS=多發性硬化症；ALS=肌萎縮側索硬化症

資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

然而，當前神經退行性疾病的治療仍存在未被滿足的需求：

- 缺乏改善病情療法。** 當前針對神經退行性疾病的治療僅能緩解症狀，無法改變疾病進程，因此迫切需要開發基於作用機制的干預措施。例如，靶向β澱粉樣蛋白斑塊的單克隆抗體多奈單抗，在臨床試驗中已顯示出延緩阿爾茨海默病進展的潛力，這體現了病原導向藥物在填補這一關鍵治療空白方面具有巨大潛力。
- 血腦屏障遞送挑戰。** 血腦屏障是中樞神經系統的重要防線，它阻礙了超過99%的治療藥物，限制這些藥物的臨床療效。基於納米顆粒的平台，如脂質體、聚合物納米顆粒和樹狀大分子，通過利用受體介導的轉胞作用將藥物遞送至目標腦區，展現出廣闊前景。然而，優化這些系統以實現安全、高效且可重複的遞送仍面臨重大挑戰，需進一步改進以突破神經治療研發中的這一關鍵障礙。目前並無獲批的神經炎症靶向療法；生物製劑及免疫療法在穿透血腦屏障方面面臨嚴重的局限性，現有JAK抑制劑缺乏具有臨床意義的血腦屏障滲透。

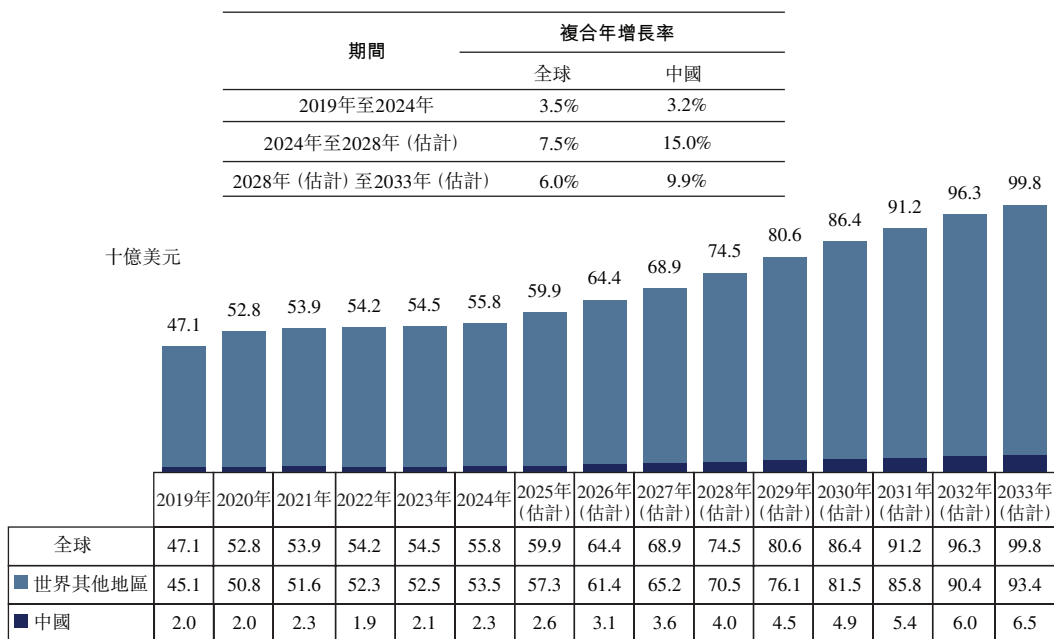
行業概覽

- **早期精準診斷缺口。**神經退行性疾病在臨床症狀顯現前已潛伏多年，而傳統診斷方法僅能在神經元發生不可逆損傷後才能檢出疾病。以人工智能輔助血液檢測為代表的新興技術，有望在帕金森病等病症出現前很久就識別出病理變化，從而為及時干預治療、提升病情改善效果創造可能。
- **多學科協同照護體系不完善。**當前的醫療體系缺乏綜合的醫療、社會及照護者支持體系，導致神經退行性疾病帶來的負擔日益加重，在疾病管理情況欠佳的老齡化人群中尤其如此。新冠疫情導致癡呆症照護服務中斷，且患者隔離程度加劇，進一步放大了癡呆症照護方面的這些缺口。因此，亟需建立以患者為中心的照護模式，將照護者正式納入支持體系，並依託數字平台實現臨床、社會及支持網絡的無縫銜接。

神經退行性疾病藥物的市場規模

神經退行性疾病領域已成為醫藥市場的關鍵增長領域。阿爾茨海默病、帕金森病等中樞神經系統退行性疾病，在老齡化趨勢與缺乏根治性手段的雙重驅動下，已成為全球範圍內一項規模龐大且持續加重的醫療負擔。2019年至2024年期間，全球神經退行性疾病藥物市場規模從471億美元增至558億美元，複合年增長率為3.5%；預計到2028年將達到745億美元，到2033年將達到998億美元，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為7.5%和6.0%。中國神經退行性疾病藥物市場規模從2019年的20億美元增至2024年的23億美元，複合年增長率為3.2%；預計到2028年將達到40億美元，到2033年將達到65億美元，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率將分別為15.0%和9.9%。下圖展示了所示期間內全球及中國神經退行性疾病藥物市場的規模情況。

全球及中國神經退行性疾病藥物市場情況，2019年至2033年（估計）









資料來源：公共信息、專家訪談、弗若斯特沙利文

行業概覽

神經退行性疾病領域值得關注的商業開發交易

鑒於神經退行性疾病藥物研發領域存在較高的進入壁壘，該領域僅有少數商業開發交易得以達成。我們與知名跨國製藥企業Biohaven的合作，自2019年起，在已披露交易總價值方面位居所有合作交易之首，這充分彰顯了該合作關係的戰略意義與商業實力。從地理分佈來看，這些交易反映了中國生物科技企業日益擴大的全球影響力。合作範圍已擴展至北美（如Biohaven、阿佩利斯(Apellis)）、歐洲（如烏得勒支大學醫學中心(UMC Utrecht)、Exeltis）以及亞洲重點市場（如日本）。交易結構呈現多樣化特徵，既有針對已獲批產品的區域商業化權利合作，也有針對新型平台的全球授權合作，充分展現了國際合作模式的靈活性。值得注意的是，在六項重大交易中，有四項涉及同類首創作用機制，包括RNA調控、基因治療及精準精神病學方法，表明中國正成為創新神經療法領域的重要貢獻者。這些進展充分表明，製藥行業對中國神經科學研發能力的信心正不斷增強，同時也凸顯了中國在神經退行性疾病前沿療法領域，正逐漸成為重要創新源頭之一。下圖展示了自2019年起截至最後實際可行日期中國神經退行性疾病領域的對外許可交易情況。

2019年起截至最後實際可行日期中國神經退行性疾病的對外許可交易

許可方	被許可方	靶點	適應症	藥物類型	研發階段*	交易總價值 (百萬美元)
 盛光制藥	Biohaven	TYK2、JAK1	AD、PD	化學藥物	臨床前	960
 索元	Chuang Yi Global Asset Management	SLC6A4、SLC6A3、SLC6A2	難治性抑鬱症	化學藥物	II期	-
 Reaction	烏得勒支大學醫學中心	-	神經退行性疾病	化學藥物	臨床前	-
 Neurophth	阿佩利斯製藥	-	神經退行性疾病	生物藥物	臨床前	-
 Luye Pharma	Exeltis	AChE、BCHE	AD、PD	化學藥物	獲批	-
 Luye Pharma	東和藥品	AChE、BCHE	神經退行性疾病	化學藥物	臨床應用	-

* 指許可交易披露時該藥物所處的臨床階段。

縮寫：AD=阿爾茨海默病；PD=帕金森病

資料來源：洞察數據庫、公共信息、弗若斯特沙利文

行業概覽

神經退行性疾病藥物市場的驅動因素與未來趨勢

神經退行性疾病藥物市場的增長預計將受到以下因素的推動：

- *具有未被滿足需求的患者群體持續擴大。* 具有未被滿足需求的患者群體持續擴大。全球神經退行性疾病藥物市場正因人口加速老齡化而快速發展，尤其在中國等地區表現顯著。2023年，中國65歲以上人口已達216.8百萬人，預計到2026年將增長至242.6百萬人，這一趨勢正推動阿爾茨海默病、帕金森病和ALS的發病人數持續攀升。此外，城市化進程與久坐生活方式進一步加劇了這一態勢，不僅擴大了患者群體規模，還持續推動著對有效干預手段的需求。
- *依託創新療法實現市場擴容。* 以靶向β澱粉樣蛋白和tau蛋白病變的單克隆抗體為代表的改善病情療法，以及針對脊髓性肌萎縮症等罕見病的基因療法，正在通過靶向核心疾病作用機制實現超越症狀緩解的治療突破。在藥物遞送領域，借助納米顆粒載體與受體介導轉運技術實現血腦屏障滲透的研究進展，攻克了以往藥物靶向中樞神經系統的關鍵障礙；而小分子JAK抑制劑則能發揮消炎活性。這些高價值創新療法不僅具備定價優勢，還吸引了大量研發投入，從而拓寬了神經退行性疾病治療領域的市場容量。
- *監管改革加速藥物審批進程。* 在「健康中國2030」戰略指引下，國家藥品監督管理局通過深化審評審批制度改革，建立以療效為導向的審批標準，提高藥品審批門檻，同時加快創新型及臨床急需神經退行性疾病治療藥物的審評速度。與此同時，醫保覆蓋範圍的擴大（例如將阿爾茨海默病的診斷與治療相關項目納入國家醫保藥品目錄），提升了此類治療的可負擔性。這些舉措共同構建了有利的政策環境，以加速神經退行性疾病新型治療手段的研發與臨床應用進程。
- *投資力度加大與研發合作深化。* 不斷增加的投資規模及廣泛的研發合作，為神經退行性疾病藥物市場的擴張提供了動力。大量資本的湧入為創新療法的研發提供了資金支持；而企業、研究機構與政府部門之間的合作，則實現了資源共享與專業優勢互補。這些合作不僅縮短了藥物從研發到商業化的週期，還催生了更安全有效的治療方案，在滿足患者日益增長的治療需求的同時，進一步推動市場規模增長。

行業概覽

神經退行性疾病藥物市場的未來發展或將呈現以下趨勢：

- **早期篩查與預防性干預。**生物標誌物與神經影像學的進步，現已能在神經退行性疾病出現症狀前（即症狀前期或前驅期）、遠早於神經元發生不可逆損傷之前診斷出疾病。這一不斷擴大的早期患者群體正推動治療範式轉向旨在阻斷或顯著延緩病理進程的改善病情療法，同時促進針對高風險人群的預防性治療方案開發。
- **CNS遞送策略優化。**新型療法能夠滲透血腦屏障，解決中樞神經系統藥物遞送不足的歷史性難題。工程化遞送模式包括結構精密的抗體變體、借助新型轉運體實現優化的小分子藥物，以及納米顆粒載體、外泌體、聚焦超聲介導血腦屏障開放等先進技術平台，實現了單克隆抗體、基因療法和神經保護劑向中樞神經靶點的精準遞送。通過攻克這一關鍵障礙，這些創新療法有望提升療效，並重新定義神經退行性疾病的治療範式。
- **聯合治療與多靶點策略拓展。**神經退行性疾病的多因素致病特性限制了單靶點藥物的療效，繼而推動了聯合用藥方案和多靶點分子的研究熱潮。聯合療法通過協同作用機制整合藥物，如將改善病情藥物與對症治療藥物搭配，可同時應對多種病理進程。例如，在阿爾茨海默病中，未來的治療策略可能更多採用獲批抗 β 澱粉樣蛋白藥物與針對神經炎症的干預措施聯用，療效可能優於單一療法。而多靶點化合物經設計可作用於疾病通路中的多個關鍵節點，在增強療效的同時降低耐藥風險。儘管這些策略需要精密研究框架和複雜臨床試驗設計，但它們有望實現更全面的疾病控制作用和更佳的患者結局，能夠重塑神經退行性疾病的治療格局。

神經退行性疾病藥物市場的進入壁壘

神經退行性疾病藥物市場的新進入者面臨著以下主要進入壁壘：

- **調節神經炎症並實現有效血腦屏障滲透所面臨的複雜技術障礙。**開發神經退行性疾病療法面臨重大技術障礙，尤其是在調節神經炎症和實現有效的血腦屏障滲透方面。控制神經炎症需要高選擇性地靶向小膠質細胞和星形

行業概覽

膠質細胞等膠質細胞，以抑制如TNF- α 和IL-1 β 等有害細胞因子，同時保留其保護功能－這一任務因炎症反應在不同疾病階段的動態特性而變得複雜。與此同時，血腦屏障阻礙了大多數傳統藥物到達中樞神經系統，因此需要開發先進的遞送技術，並深入理解其生理特徵和病理特徵。這些挑戰不僅導致治療創新需要投入大量資源，還提高了新進入者的進入門檻，凸顯了持續研發投入與專業技術儲備的必要性。

- **專業人才短缺。**神經退行性疾病藥物市場面臨與人才供給相關的重大挑戰。開發有效的治療方案需要具備神經學、藥理學、藥物化學及臨床研究領域深厚專業知識的跨學科人才。然而，在神經退行性疾病藥物開發領域，具備必備知識及實踐經驗的專業人才存在顯著短缺。此類人才的招聘與留存不僅競爭激烈，成本也極高，這對新進入者構成了巨大障礙。這種專業人才短缺情況仍是制約該領域創新發展與能力提升的關鍵因素。
- **持續高昂的資金需求。**研發新型神經退行性疾病療法需要投入大量資金，涵蓋從基礎研究到臨床試驗，再到最終獲得監管審批的各個階段。早期研究需要在靶點發現、藥物設計和臨床前研究方面投入大量資金，而由於臨床實驗的患者隊列大、觀察週期長且監管標準嚴格，臨床試驗階段的成本尤為高昂。漫長的研發週期需要持續的資金投入，而極高的失敗風險則進一步加劇了資金壓力。這些因素使得新進入者面臨尤為高昂的進入成本，對該領域更廣泛的創新構成了關鍵障礙。

全球JAK抑制劑市場

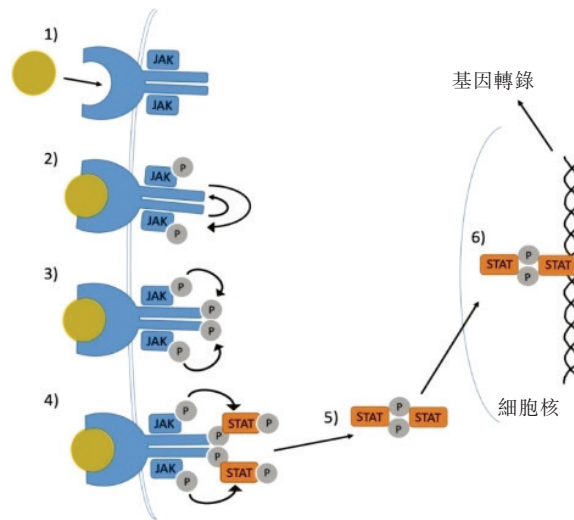
概述

Janus激酶 (janus kinases, **JAK**) 是一類胞質內非受體酪氨酸激酶家族，成員包括JAK1、JAK2、JAK3和TYK2。該家族激酶可與I/II型細胞因子受體結合，並通過JAK-STAT通路介導信號轉導。當細胞因子結合後，受體結合的JAK激酶通過反式磷酸化作用相互激活，並為STAT轉錄因子創建停靠位點。這些轉錄因子隨後發生磷酸化、二聚化及核轉位，進而驅動調控免疫細胞激活、增殖及炎症介質生成的基因表達。異常的JAK-STAT信號傳導通過持續激活促炎細胞因子網絡，構成了類風濕關節炎、尋

行業概覽

麻疹及特應性皮炎等自身免疫性疾病的發病基礎。因此，靶向特定JAK亞型ATP結合位點的選擇性小分子抑制劑已成為恢復免疫穩態並控制疾病活動的有效口服療法。

從作用機制上講，JAK/STAT通路包含以下步驟：步驟1) 配體 (通常為細胞因子) 與受體結合並使其發生交聯；步驟2) 相關JAK激酶相互磷酸化並彼此激活；步驟3) 已激活JAK激酶使受體尾部發生磷酸化；步驟4) 受體尾部成為被募集STAT蛋白的結合位點，這些STAT蛋白隨後被已激活JAK激酶磷酸化；步驟5) 已磷酸化的STAT從受體上解離並形成二聚體；步驟6) STAT二聚體轉位至細胞核，在此調控基因轉錄。以下示意圖展示了JAK/STAT信號通路的步驟。

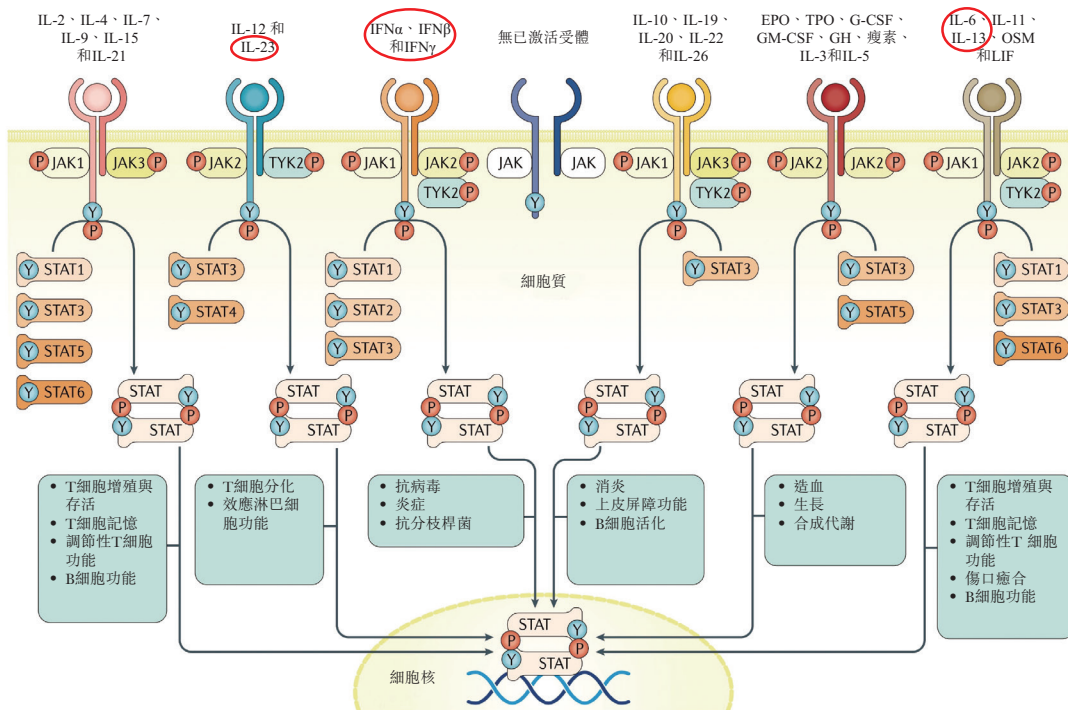


資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

JAK家族是JAK/STAT信號通路的核心組成部分，與多種炎症性疾病和免疫性疾病密切相關。單靶點JAK抑制劑具有良好的選擇性與安全性，應用廣泛；但對於複雜的多通路疾病，雙靶點JAK抑制劑能發揮更強的療效，覆蓋更廣泛的適應症，且具備克服耐藥性的潛力。一款高選擇性JAK1和TYK2抑制劑相較於僅靶向JAK的抑制劑具有多項關鍵優勢：(i)可阻斷IL-23信號傳導，該通路與PsA、炎症性腸病、紅斑狼瘡、RA及潛在CSU等疾病相關；(ii)更強效抑制關鍵細胞因子IL-6（與RA相關）和IL-13（與AD相關）；及(iii)更強效抑制IFN- γ 、IFN- α 及IFN- β ，這些因子在PsA和紅斑狼瘡中起關鍵作用。

雙靶點TYK2/JAK1抑制劑的作用機制如下所示：



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

TLL-018展現出卓越的激酶選擇性。其對JAK1和TYK2具有高靶向抑制作用，對JAK2等非靶點激酶的抑制效應極低，且這一選擇性顯著優於布帕昔替尼，充分體現了其極高的選擇性。下圖展示各JAK抑制劑在選擇性方面的對比情況。

靶點	通用名	體外研究中TYK2/JAK1相對於JAK2的選擇性，IC50 (nM)			結論
		靶點激酶		非靶點激酶	
		JAK1	TYK2	JAK2	
JAK1、TYK2	TLL-018	4	5	>1000	<ul style="list-style-type: none"> 對JAK1和TYK2的選擇性是JAK2的200倍以上。 針對350多種人類激酶的篩選顯示，TLL-018對JAK1和TYK2具有特異性選擇性，對所有其他測試激酶具有90倍及以上的選擇性。 在基於人全血的檢測中，TLL-018對JAK1介導的IL-6信號傳導表現出強效細胞活性 (IC50=0.6µM)，對JAK2介導的細胞因子（如TPO）信號傳導具有超過100倍的選擇性。
	布帕昔替尼	23	17	77	<ul style="list-style-type: none"> 對JAK1和TYK2的選擇性是JAK2的5倍以下。 在其他適應症中觀察到療效，但因較低選擇性可能存在局限性
	Soficitinib	19	0.5	191	<ul style="list-style-type: none"> 對JAK1的選擇性是JAK2的15倍以下。
JAK	托法替布	1	42	2	<ul style="list-style-type: none"> 在頭對頭II期中期分析中，TLL-018與托法替布對比顯示：ACR50應答率在TLL-018 10mg劑量組為48.0%、20mg劑量組為65.4%、30mg劑量組為72.0%，均超過托法替布組的41.7%。
JAK1	阿布昔替尼	29	1247	803	<ul style="list-style-type: none"> 對JAK1的選擇性是JAK2的30倍以下。

資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

用於自身免疫性疾病的JAK抑制劑的競爭格局

截至最後實際可行日期，全球共有超過十款JAK抑制劑獲批上市，包括五款單靶點抑制劑和六款雙靶點或多靶點抑制劑。下表列示截至最後實際可行日期全球已上市的JAK抑制劑。

截至最後實際可行日期全球已上市的用於自身免疫性疾病的JAK抑制劑

靶點	通用名	生產企業	獲批適應症	監管機構	首次批准日期	銷售收入 (2024年，百萬美元)	銷售收入 (2023年，百萬美元)
JAK1、JAK2、JAK3	托法替布	輝瑞、PF PRISM	類風濕關節炎、幼年特發性關節炎、銀屑病關節炎、潰瘍性結腸炎、多關節型幼年特發性關節炎、幼年銀屑病關節炎、強直性脊柱炎	FDA、EMA、國家藥監局	2012-11-06 (FDA) 2017-03-22 (EMA) 2017-03-10 (國家藥監局)	1,168.0	1,703.0
	巴瑞替尼	因塞特醫療公司、禮來公司	類風濕關節炎、特應性皮炎、新冠肺炎、斑禿、幼年特發性關節炎、與附著點炎症相關的關節炎、幼年銀屑病關節炎、多關節型幼年特發性關節炎	FDA、EMA、國家藥監局	2018-05-31 (FDA) 2017-02-13 (EMA) 2019-06-24 (國家藥監局)	957.0	922.6
JAK1、JAK2	蘆可替尼乳膏	因塞特醫療公司	特應性皮炎、非節段型白癜風	FDA、EMA	2021-09-21 (FDA) 2023-04-19 (EMA)	508.0	338.0
	氫代蘆可替尼	印度太陽藥業	斑禿	FDA	2024-07-25 (FDA)	不適用	不適用
JAK3、TEC	利特替替尼	輝瑞	斑禿	FDA、EMA、國家藥監局	2023-06-23 (FDA) 2023-09-15 (EMA) 2023-10-18 (國家藥監局)	不適用	不適用
	烏帕替尼	艾伯維	類風濕關節炎、銀屑病關節炎、強直性脊柱炎、特應性皮炎、潰瘍性結腸炎、非放射學中軸型脊柱關節炎、克羅恩病、多關節型幼年特發性關節炎、幼年銀屑病關節炎、巨細胞動脈炎	FDA、EMA、國家藥監局	2019-08-16 (FDA) 2019-12-16 (EMA) 2022-02-18 (國家藥監局)	5,971.0	3,969.0
JAK1	非戈替尼	Galapagos	類風濕關節炎、潰瘍性結腸炎	EMA	2020-09-24 (EMA)	不適用	不適用
	阿布替替尼	輝瑞	特應性皮炎	FDA、EMA、國家藥監局	2022-01-14 (FDA) 2021-12-09 (EMA) 2022-04-08 (國家藥監局)	215.0	128.0
	艾瑪替替尼	恒瑞	強直性脊柱炎、類風濕關節炎、特應性皮炎、斑禿	國家藥監局	2025-03-18	不適用	不適用
TYK2	氫可來替替尼	百時美施貴寶	斑塊狀銀屑病、膿皰型銀屑病、紅皮病型銀屑病	FDA、EMA、國家藥監局	2022-09-09 (FDA) 2023-03-24 (EMA) 2023-10-18 (國家藥監局)	246.0	170.0
JAK	迪高替尼	日本煙草、鳥居製藥、Akros Pharma	特應性皮炎、濕疹	EMA	2024-09-19 (EMA)	不適用	不適用
	培菲替尼	安斯泰來	類風濕關節炎	國家藥監局	2024-07-30 (國家藥監局)	不適用	不適用

註：表中JAK靶點為廣譜靶點，具體靶點尚未公開披露。

資料來源：FDA、EMA、弗若斯特沙利文

主流JAK抑制劑銷售額快速增長，凸顯出該細分市場具有強勁的商業發展勢頭與巨大的市場潛力。例如，瑞福®(烏帕替尼)2023年全球銷售額達到3,969.0百萬美元，2024年飆升至5,971.0百萬美元，同比增長率約50%。這一增長軌跡凸顯了JAK抑制劑在多種適應症中的應用擴展，使其成為自身免疫性疾病和炎症性疾病領域最具前景的治療類別之一。

行業概覽

JAK抑制劑在自身免疫性疾病領域的市場機遇

類風濕關節炎

類風濕關節炎 (rheumatoid arthritis, **RA**) 是一種慢性系統性自身免疫性疾病，其特徵是持續性滑膜炎，臨床表現為關節僵硬、疼痛和腫脹，最終導致軟骨損傷、關節畸形、功能受損及死亡率升高。RA的病理標誌是滑膜襯里層增生，由促炎細胞因子和免疫細胞浸潤驅動，不僅會損害關節完整性，還會引發發熱、乏力、肌痛和食慾減退等全身症狀。RA治療的主要目標是抑制炎症、預防關節結構損傷、保留軀體功能、緩解疼痛並提高患者生活質量。

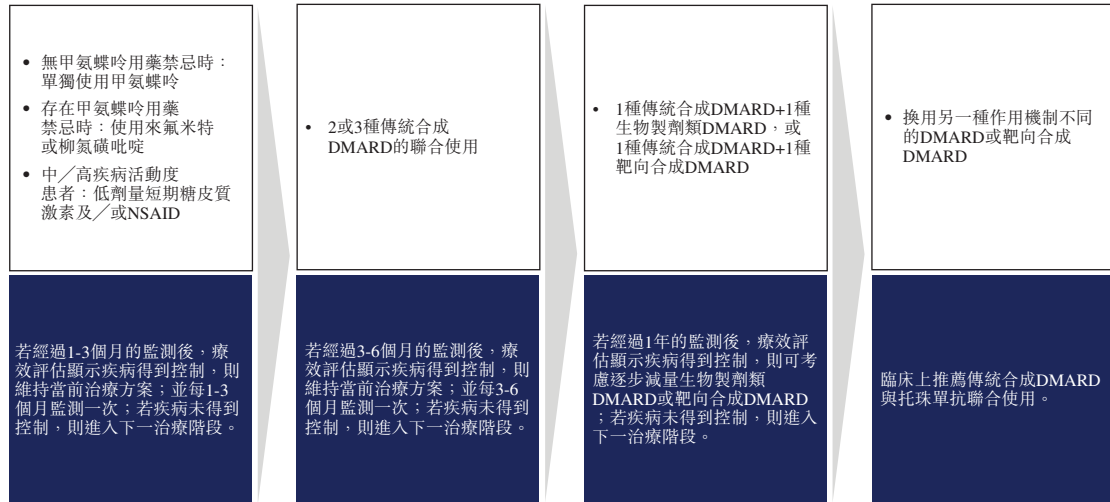
中國RA患病人數保持相對穩定，患病人數從2019年的5.9百萬例增至2024年的6.1百萬例，複合年增長率為0.7%；預計到2028年將達到6.3百萬例，到2033年將進一步增至6.6百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為0.8%及0.9%。

全球RA患病人數不斷上升，從2019年的39.4百萬例增至2024年的41.3百萬例，複合年增長率為1.0%；預計到2028年將達到42.9百萬例，到2033年將進一步增至44.7百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為0.9%和0.8%。

RA的一線治療包括傳統合成改善病情抗風濕藥物 (conventional synthetic disease-modifying antirheumatic drugs, csDMARD)，尤其是甲氨蝶呤、柳氮磺吡啶、來氟米特和羥氯喹，通常與非甾體消炎藥、低劑量皮質類固醇、鎮痛藥、物理療法和職業療法聯合使用，以優化症狀控制和功能能力。在對csDMARD應答不足或不耐受的情況下，引入針對關鍵致病介質的生物製劑類DMARD。此類藥物包括針對腫瘤壞死因子- α (tumor necrosis factor-alpha, TNF- α)、CD20、白細胞介素 (IL-1、IL-6) 或IL-6受體的單克隆抗體和融合蛋白，以及調節T細胞共刺激的製劑。

行業概覽

儘管抗TNF製劑及其他生物製劑已被證實能有效誘導疾病緩解並抑制影像學進展，但依然存在若干未被滿足需求。治療應答喪失可能源於炎症負荷過高、血清藥物濃度不足、藥物清除加速或免疫原性。此外，生物療法還受限於安全性風險、複雜給藥方案及高昂成本。因此，亟需開發兼具更強療效、持續應答、良好安全性及更高可及性的新型治療範式，以優化RA患者的長期結局。下圖展示了在中國推薦的RA治療範式。



註：改善病情抗風濕藥物 (disease-modifying anti-rheumatic drugs, DMARD) 包括甲氨蝶呤、來氟米特、柳氮磺吡啶、羥氯喹、硫唑嘌呤、環磷酰胺等。非甾體消炎藥 (Nonsteroidal Anti-inflammatory Drugs, NSAID) 包括阿司匹林、對乙酰氨基酚、吲哚美辛、萘普生等。

資料來源：弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，全球共有六款JAK抑制劑獲批用於治療RA，其中有五款已在中國上市。截至同日，全球及中國共有三款靶向RA的JAK抑制劑處於III期臨床開發階段。

行業概覽

截至最後實際可行日期全球已上市的用於RA的JAK抑制劑

生產企業	通用名	靶點	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
Galapagos	非戈替尼	JAK1	RA	EMA	2020-09-24
艾伯維	烏帕替尼	JAK1		FDA、EMA	2019-08-16 (FDA) 2019-12-16 (EMA)
因塞特	巴瑞替尼	JAK1、JAK2		FDA、EMA	2018-05-31 (FDA) 2017-02-13 (EMA)
輝瑞	托法替布	JAK1、JAK2、JAK3		FDA、EMA	2012-11-06 (FDA) 2017-03-22 (EMA)

截至最後實際可行日期中國已上市的用於RA的JAK抑制劑

生產企業	通用名	靶點	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
恒瑞	艾瑪昔替尼	JAK1	RA	國家藥監局	2025-03-18
阿斯泰來	吡西替尼	JAK3		國家藥監局	2024-07-30
艾伯維	烏帕替尼	JAK1		國家藥監局	2022-02-18
因塞特	巴瑞替尼	JAK1、JAK2		國家藥監局	2019-06-24
輝瑞	托法替布	JAK1、JAK2、JAK3		國家藥監局	2017-03-10

截至最後實際可行日期中國處於III期臨床階段的用於RA的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期
杭州高光製藥	III期	TLL-018	JAK1、TYK2	2023-08-31
凌科	III期	LNK01001	JAK1	2023-09-22
無錫福欣醫藥	III期	WXFL10203614	JAK1	2023-06-27

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

慢性自發性蕁麻疹

蕁麻疹是一種由經典I型超敏反應介導的過敏性疾病，其特徵是皮膚受刺激後數小時內出現劇烈瘙癢、大小不等（1mm至10cm）的短暫性風團，並自行消退。雖然大多數發作是急性的，通常持續幾天到六週，但有些病例會發展為慢性蕁麻疹，症狀持續時間超過六週。慢性蕁麻疹分為慢性自發性蕁麻疹（chronic spontaneous urticaria，CSU）與慢性誘導性蕁麻疹（chronic inducible urticaria***，CIndU）。CSU為更為常見的形式，會在並無可識別的外部誘因的情況下出現，其特徵是自發性出現風團、血管性水腫或兩者兼而有之，持續六週或更長時間。相比之下，CIndU包含物理性誘因和非物理性誘因：物理性誘因包括症狀性皮膚劃痕症、冷／熱接觸性蕁麻疹；非物理性誘因包括膽鹼能性蕁麻疹、接觸性蕁麻疹和水源性蕁麻疹。

行業概覽

中國CSU患病人數不斷上升，從2019年的23.2百萬例增至2024年的26.1百萬例，複合年增長率為2.4%；預計到2028年將達到28.4百萬例，到2033年將進一步增至31.2百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為2.1%和1.9%。

全球CSU患病人數不斷上升，從2019年的58.2百萬例增至2024年的68.4百萬例，複合年增長率為3.3%；預計到2028年將達到74.1百萬例，到2033年將進一步增至81.6百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為2.0%和1.0%。

截至最後實際可行日期，全球尚無JAK抑制劑獲批用於治療CSU。截至同日，全球僅有三款用於治療CSU的JAK抑制劑處於臨床開發階段，包括TLL-018，即中國唯一一款處於臨床開發階段的JAK抑制劑。

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於CSU的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期	適應症
因塞特醫療公司	II期	磷酸泊沃昔替尼	JAK1	2023-07-07	CSU
輝瑞	II期	利特昔替尼	JAK3、TEC	2025-10-22	

截至最後實際可行日期中國處於臨床階段的用於CSU的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期	適應症
杭州高光製藥	III期	TLL-018	JAK1、TYK2	2024-03-19	CSU

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

特應性皮炎

特應性皮炎 (atopic dermatitis, AD) 是一種慢性、複發性、免疫介導性皮膚病，其特徵為皮膚乾燥、劇烈瘙癢、濕疹樣皮損和嚴重性程度不一的皮疹。其多因素病因涉及遺傳易感性、環境觸發因素、表皮屏障功能障礙、Th2主導的適應性免疫反應及皮膚微生物群的改變。持續性炎症和屏障功能障礙是特徵性劇烈瘙癢和複發性濕疹樣皮疹的根本原因。這些症狀的表現範圍較廣，輕度病例可能僅出現白色糠疹或局限性手部濕疹，嚴重病例則可發展為泛發性紅皮病。診斷標準要求患者存在典型形態與分佈特徵的瘙癢性皮損，且症狀持續超過急性期。

行業概覽

雖然AD不會危及生命，但會帶來顯著的身體、心理和社會經濟影響。該病通常在幼兒期發病，且常持續至成年。中重度患者會出現嚴重的皮膚病變、睡眠障礙，焦慮和抑鬱的發生率也顯著升高；這些問題會導致患者生活質量下降、自尊心受挫，並對學業或職業表現產生負面影響。這些因素凸顯了市場對既能持久控制免疫活性又能修復皮膚屏障的治療方案的迫切需求。

中國AD患病人數不斷上升，從2019年的65.7百萬例增至2024年的72.9百萬例，複合年增長率為2.1%；預計到2028年將達到77.5百萬例，到2033年將進一步增至80.8百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為1.5%和0.8%。

全球AD患病人數不斷上升，從2019年的649.0百萬例增至2024年的700.2百萬例，複合年增長率為1.5%；預計到2028年將達到741.6百萬例，到2033年將進一步增至793.0百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為1.4%和1.3%。

在中國，特應性皮炎的管理根據SCORAD指數評估的疾病嚴重程度確定，從基礎措施入手，包括患者教育、避免誘發因素、規律沐浴、足量使用潤膚劑，必要時還需調整飲食。一線藥物治療以局部外用消炎藥物（包括皮質類固醇和鈣調神經磷酸酶抑制劑）為主，並輔以新型靶向藥物（如局部外用PDE4和JAK抑制劑）。中重度患者除局部外用治療外，還可接受窄譜UVB或UVA1光療。對於難治性或高負擔性病例，可採用全身性免疫抑制劑、生物製劑，以及在急性發作期短期使用系統糖皮質激素，以快速控制炎症、恢復皮膚屏障完整性。

行業概覽

以下是中國國家指南推薦的AD治療範式：



註：SCORAD=特應性皮炎評分

資料來源：《中國特應性皮炎診療指南 (2020版)》、弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，全球共有五款JAK抑制劑獲批用於治療AD，其中有三款已在中國上市。截至同日，全球共有七款用於治療AD的JAK抑制劑處於III期臨床開發階段，其中中國有六款。

截至最後實際可行日期全球已上市的用於AD的JAK抑制劑

生產企業	通用名	靶點	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
OTCPK: TRXPF、日本煙草、Akarx	迪高替尼	JAK	AD	FDA、EMA	2025-07-23 (FDA) 2024-09-19 (EMA)
輝瑞	阿布昔替尼	JAK1		FDA、EMA	2022-01-14 (FDA) 2021-12-09 (EMA)
艾伯維	烏帕替尼	JAK1		FDA、EMA	2019-08-16 (FDA) 2019-12-16 (EMA)
因塞特	巴瑞替尼	JAK1、JAK2		FDA、EMA	2018-05-31 (FDA) 2017-02-13 (EMA)

截至最後實際可行日期中國已上市的用於AD的JAK抑制劑

生產企業	通用名	靶點	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
恒瑞	艾瑪昔替尼	JAK1	AD	國家藥監局	2025-03-18
輝瑞	阿布昔替尼	JAK1		國家藥監局	2022-04-08
艾伯維	烏帕替尼	JAK1		國家藥監局	2022-02-18

行業概覽

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於AD的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名／代號	靶點	首次發佈日期
瑞石生物醫藥	III期	艾瑪昔替尼	JAK1	2021-05-04
Aclaris	II期	ATI-2138	JAK3、ITK	2024-09-03
特科羅	II期	TDM-180935	JAK1、TYK2	2024-04-09
Aclaris	II期	來普昔替尼	JAK1、JAK3	2022-06-20
輝瑞	II期	布帕昔替尼	JAK1、TYK2	2019-04-02
Aclaris	II期	伊達昔替尼	JAK1、JAK3	2018-07-12
Asana	II期	古沙替尼	SYK、JAK1、JAK2、JAK3、TYK2	2018-05-09
諾華	I期	CEE321	JAK	2020-10-27

截至最後實際可行日期中國處於臨床階段的用於AD的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名／代號	靶點	首次發佈日期
杭州高光製藥	I期	TLL-018	JAK1、TYK2	2023-07-07
明慧製藥	III期	伊托法替布	JAK	2025-04-02
啟元生物	III期	QY201	JAK1、TYK2	2025-02-07
江蘇威凱爾醫藥科技	III期	VC005	JAK1	2024-12-13
廣州諾誠健華醫藥	III期	Soficitinib	JAK1、TYK2	2024-08-26
凌科藥業	III期	LNK01001	JAK1	2024-01-03
北京普祺醫藥	III期	普美昔替尼	JAK1、JAK2	2023-02-27
江蘇柯菲平醫藥	II期	H018	JAK1	2025-08-04
成都曠靈生物醫藥	II期	ZL-82	JAK3	2025-04-30
無錫福祈製藥	II期	WXFL10203614	JAK1	2024-08-14
珠海聯邦製藥	II期	TUL01101	JAK1	2023-11-13
廣州嘉越醫藥	II期	JYP0061	JAK1	2023-11-09
邁英諾醫藥	II期	MDI-1228	JAK	2023-09-27
遠森製藥	II期	LW402	JAK1	2023-03-02
蘇州澤環生物製藥	I/II期	吉卡昔替尼乳膏	ALK2、JAK1、TYK2、JAK2、JAK3	2020-06-11
啟元生物	I期	QY211	JAK1、TYK2	2023-02-15
蘇州隆博泰藥業	I期	LBG-1600M	JAK1	2021-06-18

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

行業概覽

銀屑病關節炎

銀屑病關節炎 (psoriatic arthritis, **PsA**) 是一種慢性進行性炎症性關節病，發生於部分銀屑病患者群體中。銀屑病是由遺傳因素和環境因素誘發的免疫介導性皮膚病，以邊界清晰、覆有銀白色鱗片的紅斑斑塊為特徵。其臨床表型包括斑塊狀、膿疱型、紅皮病型及關節病型，後者即表現為PsA。PsA中免疫激活失調從皮膚擴展至滑膜和附著點組織，引發關節腫脹、僵硬和疼痛，若不及時治療可導致不可逆關節損傷及功能障礙。因此，早期識別和干預對於延緩結構進展以及保護患者的活動能力和生活質量至關重要。

中國PsA患病人數保持相對穩定，患病人數從2019年的0.6百萬例增至2024年的0.7百萬例，複合年增長率為1.4%；預計到2028年將仍為0.7百萬例，到2033年將增至0.8百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為1.3%和1.3%。

全球PsA患病人數保持相對穩定，患病人數從2019年的20.2百萬例增至2024年的23.3百萬例，複合年增長率為2.9%；預計到2028年將增至25.3百萬例，到2033年將增至27.9百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為2.1%和2.0%。

截至最後實際可行日期，全球及中國共有三款JAK抑制劑獲批用於治療PsA。截至同日，全球共有六款用於治療PsA的JAK抑制劑處於臨床開發階段，其中中國有五款。

截至最後實際可行日期全球已上市的用於PsA的JAK抑制劑

生產企業	通用名	靶點	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
艾伯維	烏帕替尼	JAK1	PsA	FDA、EMA	2019-08-16 (FDA) 2019-12-16 (EMA)
輝瑞	托法替布	JAK1 JAK2 JAK3			FDA、EMA

截至最後實際可行日期中國已上市的用於PsA的JAK抑制劑

生產企業	通用名	靶點	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
艾伯維	烏帕替尼	JAK1	PsA	國家藥監局	2022-02-18
因塞特	巴瑞替尼	JAK1、JAK2			2019-06-24
輝瑞	托法替布	JAK1、JAK2、JAK3			2017-03-10

行業概覽

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於PsA的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名／代號	靶點	首次發佈日期	適應症
杭州高光製藥	II期	TLL-018	JAK1、TYK2	2023-03-06	PsA
百時美施貴寶	III期	氬可來昔替尼	TYK2	2025-03-11	
武田製藥	III期	Zasocitinib	TYK2	2024-11-04	
輝瑞	II期	布帕昔替尼	JAK1、TYK2	2019-05-24	

截至最後實際可行日期中國處於臨床階段的用於PsA的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名／代號	靶點	首次發佈日期	適應症
杭州高光製藥	I期	TLL-018	JAK1、TYK2	2022-04-19	PsA
恆瑞	III期	艾瑪昔替尼	JAK1	2021-07-09	
百時美施貴寶	III期	氬可來昔替尼	TYK2	2021-09-06	
武田製藥	III期	Zasocitinib	TYK2	2025-04-10	
瀚森製藥	II期	HS-10374	TYK2	2023-11-28	

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

系統性紅斑狼瘡

系統性紅斑狼瘡(systemic lupus erythematosus, **SLE**)是一種高發病率、高死亡率的自身免疫性疾病。它是最常見的狼瘡類型，會導致受累器官出現廣泛炎症和組織損傷。其確切病因尚不明確，但普遍認為與遺傳易感性、激素影響以及感染、紫外線暴露等環境誘因的綜合作用有關。全球範圍內，SLE仍存在大量未被滿足的醫療需求，隨著疾病認知度的提升、診斷能力的改善以及持續的科研投入，市場對更有效且更具針對性的治療方案的需求不斷增長。目前的治療方案，如糖皮質激素、免疫抑制劑、抗瘡藥及生物製劑，主要用於控制症狀和預防病情複發，但在改善患者長期結局和生活質量方面，仍存在巨大的創新空間。

在中國，SLE的患病率呈上升趨勢，患病人數從2019年的1.0百萬例增至2024年的1.1百萬例，複合年增長率為0.7%；預計到2028年病例數將維持在1.1百萬例，到2033年將增至1.2百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為1.3%和1.0%。

2024年，全球SLE患病人數達到8.1百萬例，2019年至2024年的複合年增長率為1.1%。預計到2028年將增至8.6百萬例，到2033年將增至9.1百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為1.3%和1.3%。

截至最後實際可行日期，全球尚無任何JAK抑制劑獲批用於治療SLE，但全球已有一款JAK1抑制劑（烏帕替尼）及一款TYK2抑制劑（氬可來昔替尼）正在進行針對SLE的III期臨床開發。

行業概覽

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於SLE的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期	適應症
艾伯維	III期	烏帕替尼	JAK1	2023-05-06	
百時美施貴寶	III期	氬可來昔替尼	TYK2	2022-11-17	
Alumis	II期	Envudeucitinib	TYK2	2023-07-28	
Galapagos	II期	GLPG3667	TYK2	2023-05-04	
輝瑞	II期	布帕昔替尼	JAK1、TYK2	2019-02-15	SLE
吉利德	II期	非戈替尼	JAK1	2017-09-18	
因塞特、禮來公司	II期	巴瑞替尼	JAK1、JAK2	2016-03-10	
葛蘭素史克	II期	索西替尼	JAK1	2013-04-30	
Rigel Pharmaceuticals	II期	R932333	JAK、SYK	2012-05-11	

截至最後實際可行日期中國處於臨床階段的用於SLE的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期	適應症
艾伯維	III期	烏帕替尼	JAK1	2024-01-19	
百時美施貴寶	III期	氬可來昔替尼	TYK2	2023-03-01	
因塞特、禮來公司	III期	巴瑞替尼	JAK1、JAK2	2019-03-27	SLE
輝瑞	II期	布帕昔替尼-PF-06700841	JAK1、TYK2	2020-03-19	
恒瑞	I期	艾瑪昔替尼	JAK1	2023-12-26	
石藥集團歐意藥業	I期	SYHX1901	JAK1、TYK2、JAK3、SYK	2021-05-13	

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

局部外用JAK抑制劑的適應症

局部外用Janus激酶 (janus kinase, JAK) 抑制劑是一種新興的靶向免疫調節療法，旨在局部抑制JAK-STAT信號通路—該通路是皮膚炎症與自身免疫過程的關鍵介導通路。通過選擇性阻斷促炎性細胞因子引發的胞內信號傳導，局部外用JAK抑制劑可減輕炎症反應、緩解瘙癢症狀，並在特定病症中促進色素再沉著，同時最大限度降低全身暴露及相關安全風險。

自2021年起，隨著監管審批的推進，局部外用JAK抑制劑的臨床應用範圍已擴展至多種皮膚疾病適應症：

- 特應性皮炎 (atopic dermatitis, AD)。Opzelura® (蘆可替尼乳膏) 已在美國等市場獲批用於治療12歲及以上中輕度AD患者。臨床研究表明，其可快速改善瘙癢症狀並促進皮損消退；同時，由於藥物全身吸收量極少，其安全性表現良好。
- 非節段型白癜風。蘆可替尼乳膏也獲批用於治療非節段型白癜風。臨床研究表明，其通過調節黑素細胞的自身免疫性破壞過程促進色素再沉著。

行業概覽

- 慢性手部皮炎。Corectim® (迪高替尼軟膏) 已在日本獲批用於治療慢性手部皮炎，包括局部外用皮質類固醇治療無效的病例。JAK抑制劑在減輕紅斑、鱗屑及皸裂方面的療效，彰顯了其在頑固性炎症性皮膚病領域的治療潛力。

局部外用JAK抑制劑獲批適應症的不斷擴展，印證了其在治療大量未被滿足醫療需求的免疫介導性皮膚病方面的多功能性。其靶向作用機制、快速起效特性及局部遞送方式，使其在皮膚病市場成為一類具有差異化優勢的療法。目前，該藥物針對斑禿、銀屑病及其他局部炎症性疾病的適應症擴展正處於臨床研究階段。

截至最後實際可行日期，全球僅有兩款局部外用JAK抑制劑獲批用於治療皮膚病，但在中國內地尚無任何局部外用JAK抑制劑獲批上市。截至同日，全球共有20款以上處於臨床開發階段的、用於治療皮膚病的局部外用JAK抑制劑，其中中國有15款以上。

截至最後實際可行日期全球已上市的局部外用JAK抑制劑

靶點	通用名	生產企業	獲批適應症	監管機構	首次批准日期
JAK	迪高替尼	日本煙草、鳥居製藥、Akros Pharma	特應性皮炎、濕疹	EMA	2024-09-19 (EMA)
JAK1、JAK2	蘆可替尼乳膏	因塞特醫療公司、Tiofarma	特應性皮炎、非節段型白癜風	FDA、EMA	2021-09-21 (FDA) 2023-04-19 (EMA)

資料來源：FDA、EMA、弗若斯特沙利文

JAK抑制劑在神經退行性疾病領域的市場機遇

目前尚無JAK抑制劑獲批用於治療神經退行性疾病 (neurodegenerative diseases, NDD)，這源於相互關聯的科學與臨床挑戰，其中血腦屏障 (blood-brain barrier, BBB) 滲透是首要障礙，此外還包括選擇性、安全性及疾病複雜性等問題。

- 結構限制。** BBB的緊密內皮細胞連接和外排泵 (如P-糖蛋白) 阻斷了多數全身給藥藥物進入中樞神經系統。而大多數JAK抑制劑 (如托法替布) 要麼分子量過大 (>400Da)，要麼極性過高，導致無法被動擴散。
- 選擇性。** TYK2/JAK1是神經炎症的驅動因素，而抑制JAK2/JAK3會引發貧血、血小板減少及感染風險。非選擇性JAK抑制劑 (如蘆可替尼) 還攜帶FDA黑框警告。
- 安全性權衡。** 早期候選藥物 (如泛JAK抑制劑) 雖在體外研究中顯示出療效，但在體內研究中卻引發了外周毒性，導致CNS適應症的開發被迫中止。
- 神經炎症的複雜性。** JAK-STAT通路與NLRP3、 α -突觸核蛋白及 β 澱粉樣蛋白相互作用，但其在各類NDD (如PD與AD) 中的作用存在差異。單靶點療法在臨床試驗中屢屢受挫。

行業概覽

阿爾茨海默病

阿爾茨海默病 (Alzheimer's disease, AD) 是一種進行性神經退行性疾病，其特徵是大腦中錯誤折疊的蛋白質聚集體大量蓄積，進而引發神經元丟失、腦萎縮，並最終導致記憶與執行功能障礙。在所有癡呆病例中，AD佔比達60-70%，其病程隱匿，臨床表現為隨時間推移逐漸惡化。該病的病因包括多因素性，其中高齡是最顯著的風險因素，此外還包括遺傳易感性、血管性共病及生活方式影響。

中國阿爾茨海默病患者人數不斷上升，從2019年的11.9百萬例增至2024年的14.5百萬例，複合年增長率為4.1%；預計到2028年將達到16.8百萬例，到2033年將進一步增至20.0百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為3.7%和3.6%。

全球阿爾茨海默病患者人數不斷上升，從2019年的35.8百萬例增至2024年的38.4百萬例，複合年增長率為1.5%；預計到2028年將達到40.7百萬例，到2033年將進一步增至43.5百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為1.4%和1.3%。

阿爾茨海默病的治療需要早期診斷、及時開始治療以及終身多學科協作護理。雖然現有藥物可以緩解症狀並延緩疾病進展，但均無法逆轉已形成的病理改變，這構成了巨大的未被滿足臨床需求。與此同時，與疾病階段相適配的支持性干預措施(包括言語與運動康復、吞嚥障礙物理治療、營養優化和腸道功能訓練)，對維持患者身心功能至關重要。以人為中心的非藥物干預策略涵蓋環境調整、感官刺激、結構化行為干預及音樂治療，這些都有助於改善阿爾茨海默病患者的生活質量。

認知增強藥物仍是治療阿爾茨海默病相關認知障礙的基石。膽鹼酯酶抑制劑通過阻止乙酰膽鹼在突觸間隙的水解發揮作用，增強膽鹼能神經傳遞，從而改善患者的注意力和記憶功能。過度谷氨酸能信號會損害突觸可塑性與認知功能，谷氨酸受體拮抗劑則通過限制過度的谷氨酸能信號傳導減輕興奮性神經元損傷。與此同時，大量研究聚焦於針對阿爾茨海默病病理主要特徵(即 β 澱粉樣蛋白聚集及tau蛋白過度磷酸化)的改善病情療法。這些新型治療手段包括旨在促進 β 澱粉樣蛋白斑塊清除的被動與主動免疫療法、抑制tau蛋白聚集的小分子藥物或生物製劑及反義寡核苷酸、疫苗平台等新興治療模式，均致力於在神經退行性級聯反應的上游進行干預。

行業概覽

截至最後實際可行日期，全球尚無任何JAK抑制劑獲批用於治療阿爾茨海默病。中國境外僅有一款針對該適應症的JAK抑制劑處於臨床開發階段，而中國境內，TLL-041是唯一一款治療阿爾茨海默病的JAK抑制劑處於臨床開發階段。

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於阿爾茨海默病的JAK抑制劑

生產企業	研發階段	通用名／代號	靶點	首次發佈日期	適應症
浙江文達醫藥	I期	WD-910	TYK2	2025-03-20	阿爾茨海默病

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

帕金森病

帕金森病是一種進行性神經退行性疾病，其特徵是靜止性震顫、肌強直、運動遲緩及步態、平衡與協調障礙。Hoehn-Yahr分級表由Hoehn和Yahr於1967年首次發佈，是首個用於評估帕金森病進展的分期體系。儘管目前尚無根治性療法，但藥物及支持性措施干預可緩解運動症狀。從病理學上講，帕金森病表現為黑質致密部多巴胺能神經元選擇性喪失，導致紋狀體多巴胺水平下降，進而破壞黑質紋狀體通路信號傳導，此乃該疾病核心運動症狀的病理基礎。

中國帕金森病患者人數不斷上升，從2019年的2.7百萬例增至2024年的3.4百萬例，複合年增長率為4.5%；預計到2028年將達到4.3百萬例，到2033年將進一步增至6.2百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為6.0%和7.8%。

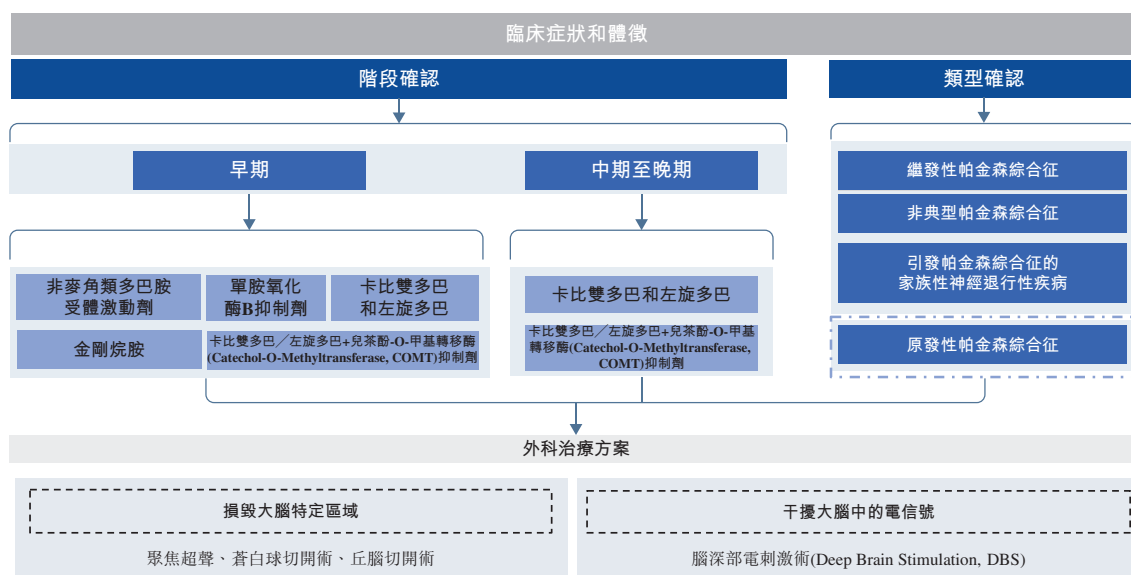
全球帕金森病患者人數不斷上升，從2019年的8.5百萬例增至2024年的9.9百萬例，複合年增長率為3.0%；預計到2028年將達到11.5百萬例，到2033年將進一步增至14.6百萬例，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間的複合年增長率分別為4.0%和4.8%。

帕金森病的診斷需綜合評估患者病史、臨床症狀與體徵，並結合詳細的神經系統檢查及體格檢查。由於目前缺乏確診性的實驗室檢測或影像學檢查手段，診斷需依賴上述多項評估結果的相互印證。

其中，疾病分期與亞型確認是診斷過程的核心環節。在帕金森病早期，臨床管理可選用非麥角類多巴胺受體激動劑、MAO-B抑制劑或金剛烷胺來緩解運動症狀。當病情進展至中晚期，卡比多巴／左旋多巴會成為藥物治療基石，同時可聯合COMT抑制劑以優化多巴胺能神經功能。通過亞型判定，可區分原發性、繼發性、非典型性或家族性帕金森綜合征。

行業概覽

對於藥物治療無效的晚期患者，可適用神經外科干預措施。聚焦超聲、蒼白球切開術或丘腦切開術等病灶消融術可精準作用於特定腦區以減輕症狀負荷。腦深部電刺激術 (Deep Brain Stimulation, DBS) 則提供可調節、可逆的病理神經回路干預方案，進一步改善運動控制。以下是帕金森病的治療路徑圖。



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，全球尚無任何JAK抑制劑獲批用於治療帕金森病，其中TLL-041/BHV-8000是全球唯一處於臨床開發階段的用於帕金森病的JAK抑制劑。

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於帕金森病的JAK抑制劑

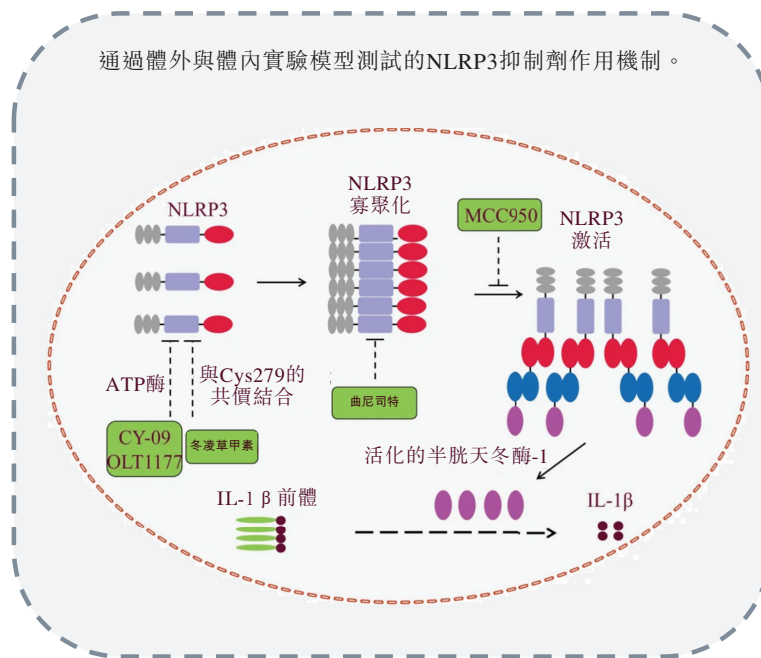
生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期	適應症
Biohaven	II/III期	TLL-041/BHV-8000	TYK2、JAK1	2025-05-16	帕金森病

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

行業概覽

全球NLRP3抑制劑市場

含NACHT、LRR及PYD結構域蛋白3 (NACHT, LRR and PYD domains-containing protein 3, **NLRP3**) 炎症小體是一種多蛋白複合物，由NLRP3、含CARD結構域的凋亡相關斑點樣蛋白 (apoptosis-associated speck-like protein containing a CARD, ASC) 及半胱天冬酶-1前體組成。儘管NLRP3炎症小體對宿主防禦至關重要，但其異常激活會引發多種神經退行性疾病背後的慢性炎症。當感知到病原體相關分子模式 (pathogen-associated molecular patterns, PAMP) 或損傷相關分子模式 (damage-associated molecular patterns, DAMP) 時，NLRP3會發生構象變化，從而募集ASC和半胱天冬酶-1前體形成單一寡聚平台。這一組裝過程會觸發半胱天冬酶-1的激活，進而催化IL-1 β 前體和IL-18前體蛋白水解成熟，形成具有活性的細胞因子形式，並誘導細胞焦亡。下圖展示了NLRP3抑制劑的作用機制。



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

NLRP3抑制劑通過靶向慢性神經炎症的核心上游驅動因子，為治療神經退行性疾病提供了差異化的治療手段。在阿爾茨海默病、帕金森病、肌萎縮側索硬化症 (amyotrophic lateral sclerosis, ALS)、多發性硬化及其他中樞神經系統 (central nervous system, CNS) 疾病中，錯誤折疊或聚集的蛋白質作為危險信號激活小膠質細胞等CNS免疫細胞內的NLRP3炎症小體。這一激活過程會觸發促炎細胞因子 (包括白細胞介素-1 β 和白細胞介素-18) 的釋放，並誘導細胞焦亡，從而形成炎症、氧化應激及進行性神經元丟失的惡性循環。通過在炎症級聯反應的上游節點選擇性阻斷NLRP3炎症小體的激活，NLRP3抑制劑能減少這些細胞因子的產生，阻斷自我擴增的神經炎症環路。這一作用機制有望延緩或改善疾病進程，而非僅緩解症狀，從而滿足神經退行性疾病治療領域亟待解決的大量未被滿足需求。部分小分子NLRP3抑制劑經設計可穿透血腦屏障，直接作用於病變腦區；同時，其靶向作用模式可降低非選擇性消炎藥物常見的廣泛免疫抑制及全身性副作用風險。NLRP3抑制劑能在致病過程早期介入，加之其通過共同炎症通路治療多種神經退行性疾病的潛力，使其成為具有廣闊臨床前景與商業潛力的治療藥物。

除在神經退行性病變領域中的作用外，NLRP3抑制劑還可阻斷炎症小體激活，以減輕IL-1 β 驅動的炎症反應，在急性痛風發作中緩解疼痛，預防關節損傷。在急性痛風治療中，NLRP3抑制劑具有獨特的治療優勢。痛風發作由尿酸鈉晶體在關節內沉積引發，這些晶體直接激活NLRP3炎症小體，導致白細胞介素-1 β 及其他促炎性細胞因子等釋放，進而引發劇烈的關節炎症。通過在炎症級聯反應上游選擇性阻斷炎症小體激活，NLRP3抑制劑能從源頭抑制炎症介質產生，快速緩解疼痛、腫脹及紅斑症狀。這種靶向機制還可規避非甾體消炎藥、皮質類固醇及秋水仙鹼常見的腎臟、心血管及胃腸道安全風險，尤其適用於合併其他疾病或對標準療法不耐受的患者。此外，通過減少炎症小體反覆激活，NLRP3抑制劑有望降低痛風發作頻率並預防長期關節損傷，從而改善長期疾病結局。

行業概覽

截至最後實際可行日期，全球尚無NLRP3抑制劑獲批上市，全球尚無處於臨床階段的用於阿爾茨海默病的NLRP3抑制劑，中國尚無處於臨床階段的用於帕金森病的NLRP3抑制劑。下表列示截至最後實際可行日期海外地區處於臨床開發階段的用於帕金森病的NLRP3抑制劑：

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的用於帕金森病的NLRP3抑制劑

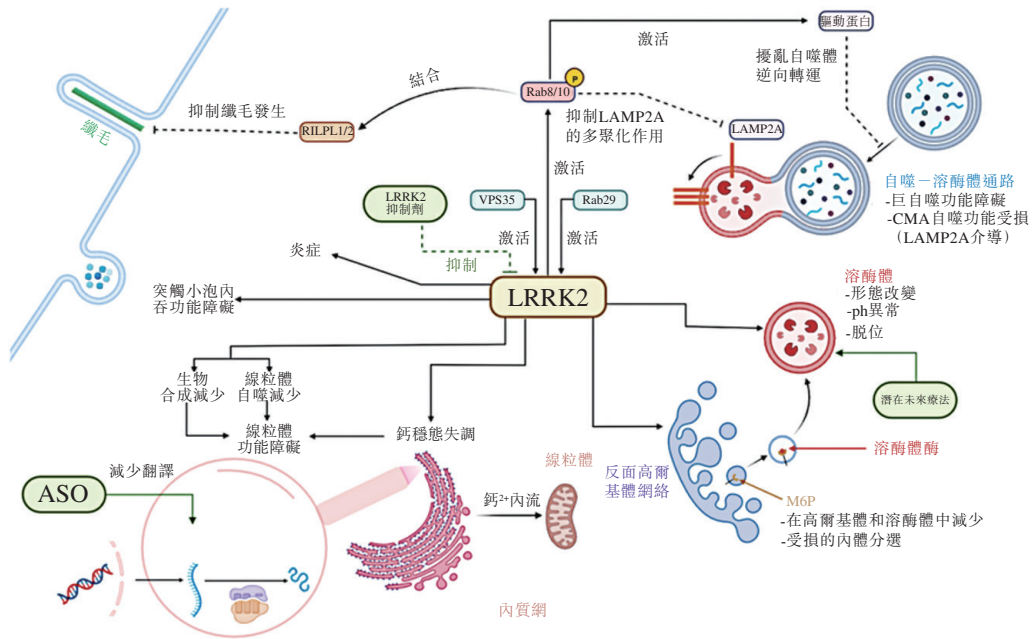
生產企業	研發階段	通用名/代號	靶點	首次發佈日期	適應症
杭州高光製藥	I期	HL-400	NLRP3	2025-05-30	帕金森病
Ventyx Biosciences	II期	VTX3232	NLRP3	2024-08-15	
Nodthera	I期	NT-0796	NLRP3	2023-04-12	
羅氏製藥	I期	selnoflast	NLRP3	2022-04-29	

資料來源：臨床試驗、弗若斯特沙利文

行業概覽

全球LRRK2抑制劑市場

富亮氨酸重複激酶2 (leucine-rich repeat kinase 2, **LRRK2**) 是一種兼具激酶和GTP酶活性的多功能酶。**LRRK2**通過調控纖毛發生、線粒體自噬、細胞自噬及線粒體質量控制，廣泛參與和帕金森病相關的細胞穩態信號通路。**LRRK2**的致病性錯義突變是帕金森病最常見的遺傳風險因素，並與其他神經退行性疾病存在關聯。這些突變會導致**LRRK2**的激酶活性異常升高，進而引發神經元功能障礙。過度活躍的**LRRK2**會使特定Rab GTP酶磷酸化，通過**LAMP2A**損害分子伴侶介導的細胞自噬，擾亂甘露糖-6-磷酸通路介導的溶酶體酶轉運，並干擾初級纖毛形成，上述每種作用機制均會破壞細胞自噬功能、溶酶體功能、線粒體健康及突觸活動。因此，**LRRK2**已成為神經退行性疾病極具吸引力的治療靶點。目前正在開發抑制其激酶結構域的**LRRK2**抑制劑及旨在降低**LRRK2**表達的反義寡核苷酸，以期恢復細胞平衡並延緩PD及相關退行性疾病的進展。下圖展示了過度活躍的**LRRK2**如何導致帕金森病等神經退行性疾病的發生。



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

截至最後實際可行日期，全球尚無LRRK2抑制劑獲批上市。下表列示截至最後實際可行日期處於臨床開發階段的LRRK2抑制劑：

截至最後實際可行日期全球處於臨床階段的LRRK2抑制劑

靶點	通用名	生產企業	適應症	研發階段	首次發佈日期
ABL1、LRRK2	FB-418	IST Biotherapeutics	帕金森病性精神病、肌萎縮側索硬化症	I期	2023-08-16
	DNL151	Denali Therapeutics、渤健	帕金森病	II期	2022-04-26
	NEU-411	Neuron23	帕金森病	II期	2024-11-06
	DNL201	Denali Therapeutics	帕金森病	I期	2018-10-18
	BIB094	伊奧尼斯製藥、渤健	帕金森病	I期	2019-06-04
LRRK2	HT-4253	Halia Therapeutics	阿爾茨海默病	I期	2024-08-05
	ARV-102	Arvinas	帕金森病	I期	2024-10-29
	OPM-201	Institut de Recherches Internationales Servier	帕金森病	I期	2024-11-13
	BT-0267	Avance Clinical Brenig Therapeutics	帕金森病	I期	2024-12-05

資料來源：臨床試驗、弗若斯特沙利文

信息來源

我們委託弗若斯特沙利文對我們候選藥物所定位的主要市場進行分析並編製報告。我們同意向弗若斯特沙利文支付總計約人民幣0.55百萬元的服務費用。除另有說明外，本節所有數據及預測值均引自弗若斯特沙利文報告。弗若斯特沙利文是1961年成立於美國的獨立全球市場研究及諮詢公司。其服務涵蓋多行業市場評估、競爭對標分析及戰略和市場規劃制定。

弗若斯特沙利文報告基於以下假設編製：(i)預測期內，全球及中國整體社會、經濟與政治環境將保持穩定；(ii)未來十年，全球及中國經濟與產業發展有望維持穩定增長態勢；(iii)預測期內，相關核心行業驅動因素將持續推動市場增長；及(iv)不會出現極端不可抗力事件或行業監管變動，導致市場受到重大或根本性影響。

行業概覽

在編製弗若斯特沙利文報告的過程中，弗若斯特沙利文採用了以下核心方法論去收集多渠道信息、驗證所收集的數據與信息，並將每位受訪者的信息及觀點與其他受訪者的信息及觀點進行交叉核對：(i)次級研究，查閱已公開來源的信息，包括國家統計數據、上市公司年報、行業報告及基於沙利文自研數據庫的數據；及(ii)初級研究，包括對行業參與者開展深度訪談。

弗若斯特沙利文的預測基於各類市場決定因素，並通過為這些決定因素分配系數來體現其對市場的相對重要性。市場決定因素既包含主觀假設，也涵蓋客觀因素，因此預測數據可能與實際數據存在差異。

董事及聯席保薦人在選擇和確認指定信息來源、匯編、摘錄及轉載有關信息，以及確保信息無重大遺漏方面，已盡到合理謹慎義務。