

行業概覽

本章節及本文件其他章節所載資料及統計數據，均摘錄自不同政府官方出版物、公開可得來源、市場研究報告、獨立供應商提供的其他資料，以及灼識諮詢出具的獨立行業報告。我們委聘灼識諮詢編製了獨立行業報告（即灼識諮詢報告），以供本次[編纂]之需。來自政府官方來源的資料未經我們、聯席保薦人、[編纂]、其各自任何董事及顧問，或參與本次[編纂]的任何其他人士或各方獨立核實，亦不就其準確性作出任何聲明。因此，本文件所載來自政府官方來源的資料可能存在不準確之處，不應過度依賴。

全球及中國醫藥市場

概述

在人口老齡化、醫療保健支出不斷增加及持續科技創新的背景下，全球醫藥行業持續擴張。全球醫藥市場規模由2020年的13,330億美元增長至2024年的16,638億美元，複合年增長率為5.7%，預計到2035年將達到24,279億美元，2024年至2035年的複合年增長率為3.5%。中國仍是推動全球醫藥市場增長的最重要貢獻者之一，市場規模由2020年的2,026億美元增長至2024年的2,408億美元，複合年增長率為4.4%，預計到2035年將達到4,609億美元，自2024年起的複合年增長率為6.1%。

2024年，腫瘤藥物主導全球醫藥市場，市場份額達15.8%，其次是免疫和炎症學（「I&I」）疾病和中樞神經系統（「CNS」）治療，分別佔12.3%和9.2%。在中國醫藥市場中，腫瘤藥物同樣位居首位，佔比15.4%；神經系統疾病治療藥物佔比6.2%。I&I治療藥物在中國市場佔比4.4%，相較於全球趨勢，中國免疫性疾病治療領域存在顯著差距，同時具備強勁增長潛力，增速超過全球醫藥市場的增長。

增長動力及未來趨勢

在全球生物製藥領域格局快速演變的背景下，持續創新、治療重點優化以及中國作為關鍵研發引擎的崛起，正推動行業邁入下一增長階段。

- **藥品開發的創新。**在全球範圍內持續創新，努力開發創新療法，如多靶向藥物、具有新型作用機制和特有的分子骨架的藥物以及聯合治療策略，這些療法可以提供更好的患者結果，並克服當前在療效、耐受性及患者覆蓋範圍方面的挑戰和限制。

行業概覽

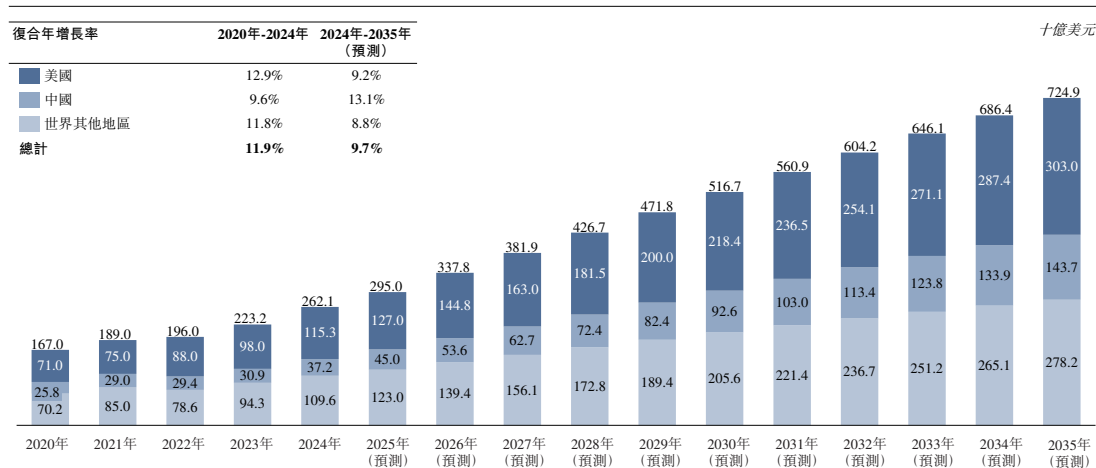
- 治療模式演進。**全球製藥和生物技術公司正在積極開發新型療法，旨在解決在整個治療領域的當前治療標準下，仍有大量未滿足的醫療需求。這些創新療法有可能使更廣泛的患者群體受益，包括那些不符合現有治療方案適用條件或接受當前療法後未能獲得滿意療效的患者。
- 戰略重點領域。**2024年，腫瘤、CNS及I&I藥物合計佔全球醫藥市場份額超過37%成為三大核心領先治療領域。與之形成鮮明對比的是，上述領域藥物在中國市場的合計佔比約26%，凸顯出巨大的市場滲透率差距，但也使中國市場成為未來全球相關領域增長的主要驅動力。
- 中國作為創新樞紐。**中國已迅速成為新型療法研發的全球創新樞紐，2024年按交易總額計，約30%的對外授權交易源自中國，而2020年這一比例僅為6%。

全球及中國腫瘤治療藥物市場

全球腫瘤治療市場規模

在全球範圍內，腫瘤仍然是發病率和死亡率居高不下的主要原因之一。根據灼識諮詢報告，全球腫瘤治療藥物市場規模由2020年的1,670億美元增長至2024年的2,621億美元，複合年增長率為11.9%，預計到2035年將增至7,249億美元，2024年至2035年的複合年增長率為9.7%。在中國，市場規模由2020年的258億美元增長至2024年的372億美元，預計到2035年將達到1,437億美元，2024年至2035年的複合年增長率為13.1%。

全球腫瘤藥物市場規模（美國、中國及世界其他地區），2020年－2035年（預測）



資料來源：國際癌症研究機構(IARC)、NCCR、NCCN、中國臨床腫瘤學會(CSCO)、灼識諮詢

行業概覽

小分子藥物仍是腫瘤治療的基石，在2024年全球十大暢銷腫瘤藥物中佔據七席。蘆可替尼(Jakafi®/Jakavi®)2024年全球第十大暢銷腫瘤藥物，為陰性Ph-MPN兩大主要亞型——骨髓纖維化和PV——的現行標準治療藥物，全球銷售額約47億美元。下表載列2024年全球十大最暢銷腫瘤藥物。

排名	藥物	國際非專利藥品名稱	公司	靶點	主要適應症	形態	2024年銷售額 (十億美元)	腫瘤類型
1	Keytruda	帕博利珠單抗	默沙東	PD-1	黑色素瘤、NSCLC、頭頸癌	生物製劑	29.5	實體瘤
2	兆珂	達雷妥尤單抗	強生	CD38	MM	生物製劑	11.7	血液腫瘤
3	歐狄沃	納武利尤單抗	百時美施貴寶	PD-1	黑色素瘤、NSCLC、腎細胞癌	生物製劑	11.0	實體瘤
4	泰瑞沙	奧希替尼	阿斯利康	EGFR	EGFR突變型NSCLC	小分子藥物	6.5	實體瘤
5	Imbruvica	依魯替尼	艾伯維/強生	BTK	CLL/SLL、MCL、GVHD	小分子藥物	6.4	血液腫瘤
6	瑞復美	來那度胺	百時美施貴寶	CRBN/CK1α	MM、MDS、MCL、FL	小分子藥物	6.0	血液腫瘤
7	唯擇	阿貝西利	禮來	CDK4/6	乳腺癌	小分子藥物	5.3	實體瘤
8	Xtandi	恩雜魯胺	安斯泰來/輝瑞	AR	前列腺癌	小分子藥物	5.2	實體瘤
9	愛博新	哌柏西利	輝瑞	CDK4/6	乳腺癌	小分子藥物	4.9	實體瘤
10	Jakafi/Jakavi	蘆可替尼	因塞特/諾華	JAK1/2	骨髓纖維化、PV	小分子藥物	4.7	血液腫瘤

來源：年報、FDA、NMPA、灼識諮詢

在2024年全球最暢銷的十大血液惡性腫瘤藥物中，有七個是小分子藥物，蘆可替尼位列榜單第四。下表載列2024年全球十大最暢銷血液惡性腫瘤藥物。

排名	藥物	國際非專利藥品名稱	公司	靶點	主要適應症	形態	2024年銷售額 (十億美元)	腫瘤類型
1	兆珂	達雷妥尤單抗	強生	CD38	MM	生物製劑	11.7	血液腫瘤
2	Imbruvica	依魯替尼	艾伯維/強生	BTK	CLL/SLL、MCL、GVHD	小分子藥物	6.4	血液腫瘤
3	瑞復美	來那度胺	百時美施貴寶	CRBN/CK1α	MM、MDS、MCL、FL	小分子藥物	6.0	血液腫瘤
4	Jakafi/Jakavi	蘆可替尼	因塞特/諾華	JAK1/2	骨髓纖維化、PV	小分子藥物	4.7	血液腫瘤
5	Pomalyst/Imnovid	泊馬度胺	百時美施貴寶	CRBN/IKZF1/3	MM	小分子藥物	3.6	血液腫瘤
6	康可期	阿可替尼	阿斯利康	BTK	CLL/SLL、DLBCL	小分子藥物	3.1	血液腫瘤
7	百悅澤	澤布替尼	百濟神州	BTK	血液惡性腫瘤	小分子藥物	2.6	血液腫瘤
8	唯可來	維奈克拉	艾伯維/羅氏	BCL2	CLL/SLL、AML	小分子藥物	2.6	血液腫瘤
9	Adcetris	本妥昔單抗	輝瑞/武田	CD30	cHL、sALCL	生物製劑	1.9	血液腫瘤
10	利布洛澤	羅特西普	百時美施貴寶/默克	ActRIIB/ACVR2B	β-地中海貧血、MDS-LR	生物製劑	1.8	血液腫瘤

來源：年報、FDA、NMPA、灼識諮詢

行業概覽

全球腫瘤治療市場增長驅動因素及未來趨勢

在快速演變的腫瘤治療領域，持續的科學進步與治療範式的不斷轉變正推動新一輪創新浪潮，主要體現在以下關鍵趨勢：

- *患者群體持續擴大*。在患者數量穩步增長的推動下，全球腫瘤治療市場持續擴張。發達經濟體與新興經濟體的癌症疾病負擔均不斷加重，催生了對創新療法的持續需求。
- *多靶點治療策略*。轉向通過協調的多通路調節解決疾病複雜性的多靶點療法，是腫瘤治療管線的核心發展趨勢。此類療法通過同時作用於多條信號通路或耐藥機制，旨在提升治療效果與響應持久性。
- *更優的選擇性*。精準醫療的進步推動更優的選擇性治療方案的發展，此類方案在最大化療效的同時最大限度降低副作用，進而提升其臨床價值與商業價值。小分子藥物能夠穿透細胞，調控大分子生物藥無法觸及的細胞內靶點，展現出獨特的選擇性優勢。

骨髓增生性腫瘤(「MPN」)

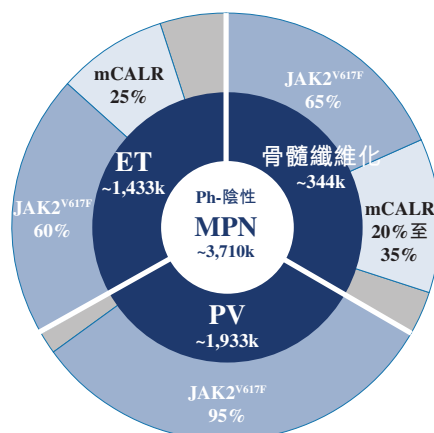
概述

骨髓增生性腫瘤(「MPN」)是一組克隆性造血干細胞疾病，其特徵為一種或多種血細胞系列過度增殖，包括費城染色體陽性(Ph-陽性)MPN(慢性髓系白血病)和費城染色體陰性MPN。世界衛生組織(「WHO」)現行分類定義了三種經典的費城染色體MPN：骨髓纖維化、真性紅細胞增多症(「PV」)和原發性血小板增多症(「ET」)。這些疾病具有共同的分子基礎，尤其以JAK2^{V617F}、CALR或MPL基因的激活突變為特徵，這些突變會持續激活JAK-STAT信號通路。

如下圖所示，全球估計有3.7百萬例費城染色體陰性MPN患者。PV是最常見的亞型，約1.9百萬例患者；其次是ET，約1.4百萬例患者；而骨髓纖維化患者數量約為0.3百萬例。驅動突變譜因亞型而異：PV幾乎完全由JAK2^{V617F}突變驅動；ET顯示出更大的遺傳異質性，約60%的病例存在JAK2^{V617F}突變，約25%存在CALR突變；而骨髓纖維化患者中約65%具有JAK2^{V617F}突變，且CALR突變比例較高，約為20%至35%。

行業概覽

按亞型及基因突變劃分的Ph-MPN患病率



資料來源：自然綜述、灼識諮詢

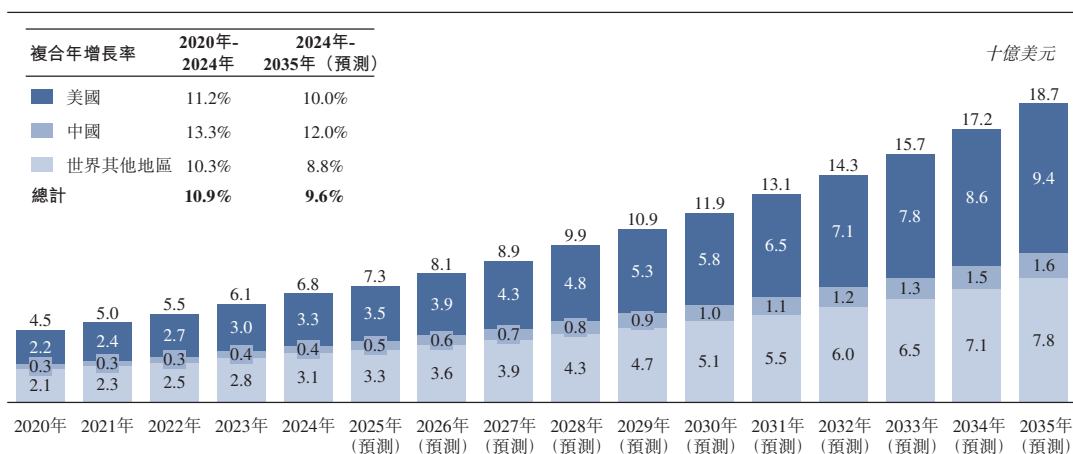
MPN (如PV、ET及低中危骨髓纖維化) 屬於慢性髓系惡性腫瘤，通常進展緩慢。許多患者在確診後可存活十年或更長時間，據報道，ET和PV的中位總生存期普遍在10至15年之間，低中危骨髓纖維化為4至10年，因此治療管理通常是長期性的。這種漫長的治療週期，可能為有效療法帶來顯著的累積性需求和市場潛力。

費城染色體陰性MPN的市場機遇

根據灼識諮詢報告，全球費城染色體陰性藥物市場從2020年的45億美元增長至2024年的68億美元，複合年增長率為10.9%。預計到2035年該市場規模將達到187億美元，2024年至2035年的複合年增長率為9.6%。

在中國，該市場規模從2020年的3億美元增長至2024年的4億美元，複合年增長率為13.3%。預計到2035年將增至16億美元，2024年至2035年的複合年增長率為12.0%。

全球費城染色體陰性MPN藥物市場規模



資料來源：AAD、GloboCan、CMACSD、專家訪談、灼識諮詢

行業概覽

2024年，蘆可替尼藥片（商品名：Jakafi/Jakavi）全球銷售額約為47億美元，其中美國市場Jakafi收入為28億美元，國際市場Jakavi收入為19億美元。在美國，Jakafi被用於多種血液適應症。根據Incyte公司數據，MPN約佔全球接受Jakafi治療患者總數的75%至82%。

截至2025年9月30日止九個月，蘆可替尼藥片全球銷售額總計38億美元，其中美國市場貢獻22億美元（較去年同期增長12%），世界其他地區貢獻16億美元（同比增長7%）。

如下表所示，MPN中的骨髓纖維化藥物交易在全球範圍內一直處於高度活躍狀態，反映出大型製藥公司濃厚且持續的興趣。過去十年的代表性交易包括多項高價值收購與許可協議，交易總價值約在11億美元至70億美元之間。

排名	日期	轉讓方	受讓方	骨髓纖維化資產／交易詳情	交易總價值 (百萬美元)	交易類型
1	2018年1月	Impact Biomedicines	Celgene	菲卓替尼(Inrebic)	~7,000	單項資產併購
2	2024年2月	MorphoSys	諾華	Pelabresib	~2,925	單項晚期資產併購
3	2022年4月	Sierra Oncology	葛蘭素史克	莫洛替尼(Ojjaara/Omjara)	~1,900	單項資產併購
4	2023年5月	CTI BioPharma	Sobi	帕克替尼(Vonjo)	~1,700	單項資產併購
5	2009年11月	Incyte	諾華	蘆可替尼(Jakavi)	~1,100	許可（不包括美國權益）

資料來源：公司公告、灼識諮詢

面對如此巨大的商業化市場機遇，大型製藥公司已投入數十億美元級別的戰略資金，以拓展其在MPN領域的佈局。自2018年以來，針對JAK2驅動疾病相關資產的收購總金額已超過130億美元，其中包括：Celgene公司於2018年以70億美元收購Impact Biomedicines（菲卓替尼），葛蘭素史克於2022年以19億美元收購Sierra Oncology（莫洛替尼），SOBI於2023年以17億美元收購CTI BioPharma（帕克替尼），以及諾華於2024年以29億美元收購MorphoSys（pelabresib）。這些交易反映出業界強烈的信心：此類藥物針對特定未被滿足需求的管線產品（如貧血管理、血細胞減少緩解及更廣泛的耐受性提升），即便在已有主導性藥物存在的情況下，仍有望佔據可觀的市場份額。

葛蘭素史克的OJJAARA®（莫洛替尼）近期上市軌跡便印證了這一趨勢：該產品於2023年9月獲美國FDA批准用於僅伴有貧血的骨髓纖維化患者，其銷售額從上市首年的43百萬美元迅速攀升至2024年的459百萬美元，並在2025年前九個月錄得收入515百

行業概覽

萬美元，據此推算2025年全年收入約為687百萬美元，這驗證了具有差異化的新產品能在高價值MPN細分市場實現快速滲透。

JAK抑制劑在MPN領域的應用

JAK家族包含四種非受體酪氨酸激酶（JAK1、JAK2、JAK3和TYK2），其作為JAK-STAT通路中細胞因子受體信號傳導的關鍵介質，調控著包括免疫調節、造血和炎症等在內的關鍵生理過程。JAK2扮演著尤其核心且不可替代的角色，其為控制骨髓造血輸出的生長因子受體的信號傳導夥伴；在MPN中，JAK2^{V617F}突變是疾病的主要驅動因素，賦予激酶組成性活性，並釋放病理性JAK-STAT信號，導致造血祖細胞不受控制地增殖。

隨著MPN治療領域的不斷發展，同時靶向多條致癌通路並激活免疫系統的重要性日趨明確。針對腫瘤細胞增殖和抗腫瘤免疫的多機制方法，代表著改善血液惡性腫瘤長期治療結局的前沿方向。例如，JAK2抑制劑可靶向MPN及若干淋巴瘤中異常細胞因子信號傳導這一核心環節，而CDK4/6抑制劑則抑制細胞週期進程，尤其與激素受體陽性癌症相關，並在淋巴惡性腫瘤中展現出新興應用潛力；FLT3抑制劑靶向一個已驗證的急性髓系白血病驅動因子，該突變也出現在部分轉化型或繼發性血液惡性腫瘤中，使多激酶抑制劑成為合理的下一代治療選擇，能夠同時針對慢性期疾病和易轉化疾病生物學機制發揮作用。

骨髓纖維化

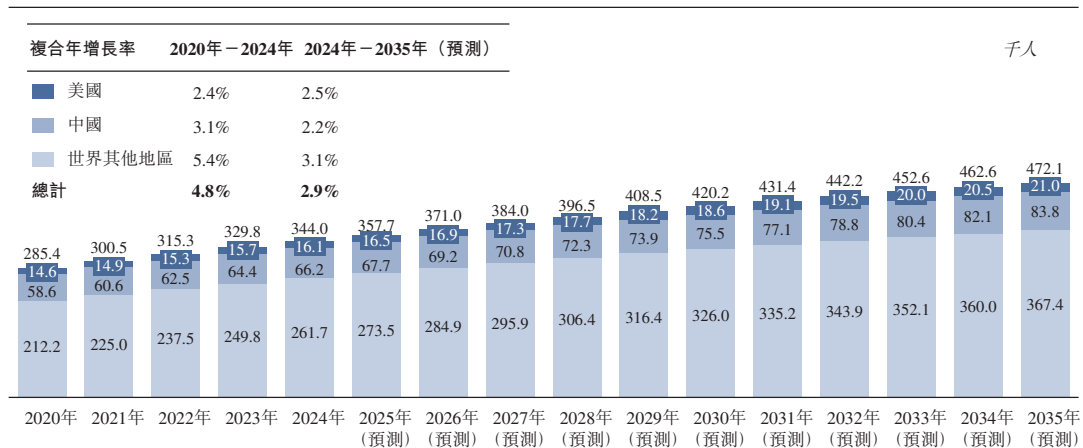
概述

骨髓纖維化是一種罕見且侵襲性的血液惡性腫瘤，以骨髓纖維化進行性發展為特徵，該病變會損害正常造血功能，導致血細胞減少、髓外造血（主要發生於脾臟）及全身性症狀慢性且不可治癒。根據風險因素的數量，慢性且無法治癒的患者被分為低危、中危-1、中危-2和高危組，對應的中位生存期分別為11.3年、7.9年、4.0年和2.3年。

行業概覽

全球骨髓纖維化患病人數從2020年的28.54萬人增長至2024年的34.40萬人，複合年增長率為4.8%，預計2035年將達到約47.21萬人，複合年增長率為2.9%。在美國，MF患病人數從1.46萬人增長至1.61萬人，複合年增長率為2.4%，預計2035年將達到2.10萬人，複合年增長率為2.5%。中國骨髓纖維化患病人數從2020年的5.86萬人增長至2024年的6.62萬人，預計2035年將達到8.38萬人。在世界其他地區，MF患病人數從21.22萬人增長至26.17萬人，複合年增長率為5.4%，預計2035年將達到36.74萬人，複合年增長率為3.1%。

骨髓纖維化全球患病人數



資料來源：NCCN、CSCO、Blood、灼識諮詢

骨髓纖維化的治療範式與尚未被滿足的臨床需求

當前骨髓纖維化的治療範式以風險適配及症狀驅動為核心，JAK-STAT抑制劑為核心標準治療方案。中危／高危或有症狀患者通常接受已獲批的JAK抑制劑治療，具體藥物選擇基於脾腫大、全身性症狀、貧血或血小板減少等主要臨床問題。低危、無症狀患者常採取觀察策略，少數體能狀態良好的高危患者會被推薦接受異基因干細胞移植。但該療法受限於較高的治療相關發病率與死亡率，因此僅適用於少數特定患者群體。此類藥物可顯著降低脾臟體積並減輕症狀負擔，但無法根除惡性克隆，且多數患者最終會因疾病進展或治療相關血細胞減少而失去治療響應或終止治療。

行業概覽

依據NCCN指南，骨髓纖維化的治療路徑同樣遵循風險分層原則。低危無症狀患者通常採取定期評估監測策略；有症狀患者則需根據血小板計數及臨床需求，選用蘆可替尼、帕克替尼或莫洛替尼等JAK抑制劑開展治療。針對高危患者，需評估其異基因造血干細胞移植的適配性，因該療法仍是目前唯一可能實現治癒的方案。不適合移植的患者，需採用現有JAK抑制劑治療，並定期監測療效、藥物耐受性及疾病進展情況。

骨髓纖維化治療路徑，NCCN



資料來源：NCCN、灼識諮詢

在CSCO指南中，MF的治療範式同樣以風險分層和移植適應症評估為核心。極低危和低危無症狀患者一般採取觀察隨訪或納入臨床試驗，同時可考慮聚乙二醇干擾素 α 或羅培干擾素 $\alpha-2b$ 等干擾素類藥物治療。對於存在症狀或伴嚴重脾腫大的低危至中危患者，可選用蘆可替尼或吉卡昔替尼等JAK抑制劑，也可採用羥基脲或塞利尼索治療。針對高危及極高危患者，異基因造血干細胞移植(ASCT)被視為首選且具有潛在治癒性的治療方案；不適合移植的患者，則根據症狀給予JAK抑制劑或支持治療。然而，實踐中，由於許多骨髓纖維化患者因為高齡、合併其他疾病、體能差、脾臟腫大及具有移植相關死亡率的風險而不符合條件，因此ASCT的使用受到限制。實際數據表明，超過90%的患者不適合移植，因此基於JAK抑制劑的療法仍然是大多數高危及極高危患者的主要治療選擇。對於疾病進展至加速期或急變期的患者，若符合指徵，可採用去甲基化藥物聯合維奈克拉或IDH抑制劑治療，後續若條件允許，需進一步評估移植可行性。

行業概覽

骨髓纖維化治療路徑，CSCO

		一線治療	二線治療
MF	極低危/低危	無症狀 • 參與臨床試驗或觀察(I) • (聚乙二醇化) 干擾素α、羅培干擾素α-2b (II)	
	低危/中危	有症狀 • 蘆可替尼、吉卡替尼(I) • 羧基脲、塞利尼索(I) • 濃尼松(III)	適合移植： • HSCT (I) • 塞利尼索(III) 不適合移植： • 臨床試驗(I) • 吉卡替尼(II) • HMA (II) • 塞利尼索(III) • 短期停藥後重新啟用蘆可替尼(III)
		伴顯著脾腫大 • 蘆可替尼、吉卡替尼(I) • 干擾素、塞利尼索、羧基脲、白消安、克拉屈濱、美法侖(II) • 脾切除術、脾照射(III)	
	高危/極高危	適合HSCT • 蘆可替尼 (移植前橋接治療) (II) • 考慮移植前行脾切除術(III)	
不適合HSCT • 蘆可替尼、吉卡替尼、臨床試驗(I) • 參照低/中危組進行症狀管理(II)			
加速/急變期	適合HSCT • 異基因造血干細胞移植 (移植前方案：強化化療、去甲基化藥物±強化化療或維奈克拉) (I) • 臨床試驗，蘆可替尼用於症狀管理(II) • IDH抑制劑 (如存在IDH突變) (III)		
	不適合HSCT • 臨床試驗(I) • HMA±維奈克拉或低強度化療(II) • IDH抑制劑 (如存在IDH突變) (III)		

資料來源：CSCO、灼識諮詢

附註：

- (I) CSCO 1級推薦。具有高等級臨床證據與專家共識支持，代表已確立的標準治療方案。
- (II) CSCO 2級推薦。具有中等級臨床證據與專家共識支持，可依患者個別情況及臨床判斷予以考慮的治療方案。
- (III) CSCO 3級推薦。僅有有限的臨床證據與專家意見支持，通常屬於在特定臨床情境下可選擇或探索性的治療方案。

根據灼識諮詢報告，隨著治療時間推移，至少50%的蘆可替尼用藥患者會因疾病進展及藥物毒性中斷治療。約40%的患者在接受蘆可替尼治療1-2年後出現療效減退。約50%的患者會在用藥3-5年內停止使用蘆可替尼，顯示蘆可替尼復發／難治／不耐受患者存在顯著的未被滿足醫療需求。

儘管第一代JAK抑制劑的問世改變了骨髓纖維化的治療管理模式，但由於疾病的生物學異質性、治療持久性有限，以及複發或高危患者缺乏有效治療選擇，仍存在尚未被滿足的重大醫療需求。

- 基於JAK2的治療範式使約35%的骨髓纖維化患者未得到充分治療：驅動基因突變數據顯示，約65%的骨髓纖維化患者攜帶JAK2^{V617F}突變，CALR突變佔比約20%-35%，MPL突變佔比約5%，另有約5%為不攜帶JAK2、CALR或MPL突變的「三陰性」患者。蘆可替尼及其他已商業化JAK抑制劑均圍繞JAK2介導的信號通路進行優化，其臨床證據在JAK2突變型疾病中最为充分，導致當前獲批藥物無法充分覆蓋約35%的骨髓纖維化患者所存在的顯著生物學多樣性。

行業概覽

- **一線治療響應不佳及耐受性問題：**蘆可替尼治療的主要瓶頸在於實現深度、持久響應的患者比例有限。脾腫大以及疲勞、盜汗等症狀不僅嚴重影響患者生活質量，還導致較高的治療中斷率。此外，劑量限制性貧血和血小板減少常導致療效受損，接受蘆可替尼治療的患者中，任何級別的貧血發生率可超過60%。約50%的患者因疾病進展及／或血小板減少終止蘆可替尼治療。
- **二線治療療效有限：**多數患者因耐藥或不耐受導致一線治療失敗。這類複發／難治患者預後極差（中位總生存期約14-16個月），且缺乏明顯有效的標準治療方案。這凸顯了對能夠顯著且持續改善脾腫大和症狀、同時避免骨髓抑制毒性的藥物的迫切需求，此類藥物具備可觀的市場潛力。
- **白血病轉化風險較高：**相當比例的骨髓纖維化患者最終會進展為急性髓系白血病（「AML」），該轉化伴隨預後顯著惡化且治療選擇有限。當前標準治療方案中尚無能夠有效降低該風險的藥物。我們的在研產品FM的抑制譜覆蓋FLT3（AML領域經充分驗證的靶點），這使其不僅有望用於控制骨髓纖維化症狀，還可能阻斷白血病轉化進程，從而延長疾病控制時間，並可能提升患者生存期。

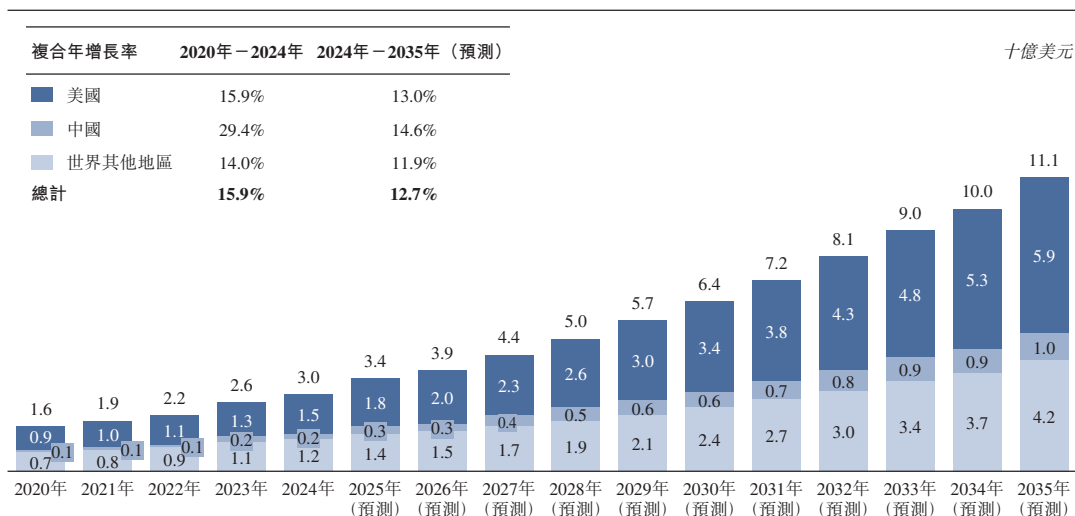
骨髓纖維化全球市場規模

根據灼識諮詢報告，全球骨髓纖維化藥物市場規模從2020年的16億美元增長至2024年的30億美元，複合年增長率為15.9%。該市場規模預計2030年將達到64億美元，2035年達到111億美元，2024年至2035年的複合年增長率為12.7%。

在美國，骨髓纖維化藥物市場規模從2020年的9億美元增長至2024年的15億美元，複合年增長率為15.9%。預計2030年將達到34億美元，2035年達到59億美元，2024年至2035年的複合年增長率為13.0%。在中國，該市場規模從2020年的1億美元增長至2024年的2億美元，複合年增長率高達29.4%。預計2030年將達到6億美元，2035年達到10億美元，2024年至2035年的複合年增長率為14.6%（增速放緩）。同時，世界其他地區骨髓纖維化藥物的市場規模從2020年的7億美元增長至2024年的12億美元，複合年增長率為14.0%，預計2030年將達到24億美元，2035年達到42億美元，2024年至2035年的複合年增長率為11.9%。

行業概覽

全球骨髓纖維化藥物市場規模



資料來源：CSCO、NCCN、年度報告、The Oncologist、MIMS、灼識諮詢

JAKi治療骨髓纖維化的全球競爭格局分析

近年來，全球骨髓纖維化治療領域以JAK通路抑制劑作為中高危患者的主要治療手段為核心特徵。已獲批藥物包括蘆可替尼、菲卓替尼、帕克替尼及莫洛替尼。其主要區別在於根據MF確診時基線血小板水平及血紅蛋白水平，針對不同人群進行治療。蘆可替尼仍為一線標準治療方案。2025年，作為莫洛替尼氫代形式的吉卡昔替尼，通過一項針對羥基脲的3期頭對頭臨床試驗，在中國獲批上市。其主要用於血小板計數高於 $100 \times 10^9/L$ 的MF患者。市場整體情況表現為，JAK抑制劑繼續作為標準治療方案，各地區可選用的治療方案不斷增加。截至最後實際可行日期，全球已有五種商業化JAK抑制劑獲批用於骨髓纖維化治療。

行業概覽

全球獲批用於骨髓纖維化的JAKi競爭格局

國際非專利藥品名稱	商品名	公司	靶點	適應症	單藥/ 聯合療法	治療線	首次獲批日期	患者 每年費用	監管機構
蘆可替尼	JAKAFI®/ JAKAVI® JAKAFI®	Incyte / 諾華	JAK1/JAK2	中高危骨髓纖維化	單藥	一線	2011年 11月16日	20.4萬 美元	FDA
					單藥	一線	2017年 3月10日	人民幣 19.2萬元	NMPA
菲卓替尼	INREBIC®	BMS	FLT3/JAK2	中高危骨髓纖維化	單藥	一線/ 二線	2019年 8月16日	20.4萬 美元	FDA
帕克替尼	VONJO®	Sobi	FLT3/JAK2/ IRAK1/ CSF1R/ALK2	血小板計數低於50×10 ⁹ /L的 中高危骨髓纖維化	單藥	一線/ 二線	2022年 2月28日	30.0萬 美元	FDA
莫洛替尼	OJJAARA®	GSK	JAK1/JAK2/ ALK2	貧血性中高危骨髓纖維化	單藥	一線/ 二線	2023年 9月15日	33.6萬 美元	FDA
鹽酸 吉卡昔替尼	澤普平®	澤璟製藥	JAK1/JAK2/ JAK3/TYK2/ ALK2	中高危骨髓纖維化	單藥	一線	2025年 5月27日	人民幣 24.0萬元	NMPA

資料來源：FDA、NMPA、EMA、灼識諮詢

雖然蘆可替尼單一療法仍然是目前的標準治療方法，但正在探索聯合治療策略以改善臨床結果並解決對單一藥物JAK抑制的耐藥性。早期臨床研究，如基於蘆可替尼涉及BET抑制劑及BCL-2抑制劑的聯合療法，正在研究旨在實現更深入、更持久的療效應答的多通路調節方法。然而，多種基於蘆可替尼的聯合療法未能在TSS50等關鍵症狀終點上展現出有意義的改善，且存在毒性增加的問題。這些結果表明，多通路單藥療法可減輕聯合療法中觀察到的重疊或疊加毒性，同時保留更廣泛的通路調節，與基於JAK抑制劑的聯合療法相比，可能代表了一種更具前景及差異化的骨髓纖維化治療範例。

已獲批用於骨髓纖維化治療的JAK抑制劑，其臨床研究普遍顯示可降低患者的脾臟體積並減輕症狀負擔。不同研究中第24周脾臟體積至少縮小35%（「SVR35」）的報告率約為22%至42%，具體數值因患者個體特徵及基線血液學狀態存在差異。在早期階段評估中，FM等新藥已顯示出可測量的脾臟改善及症狀緩解效果。在一項FM與蘆可替尼頭對頭對比的IIb期臨床試驗中，FM低劑量組和高劑量組達到關鍵脾臟縮小指標SVR35的患者比例（分別為80.0%和96.2%）、達到症狀改善指標TSS50的患者比例（分別為84.0%和96.2%），均顯著高於蘆可替尼組（SVR35：66.7%；TSS50：58.3%）。在現有治療方案中，血小板減少、貧血等血液學不良事件為最常見的治療相關發現，不同化合物的具體安全性特徵存在差異。上述結果充分體現了JAK-STAT抑制劑在骨髓纖維化治療中的臨床活性，以及業界為評估不同患者人群的安全性及療效參數作出的不懈努力。

行業概覽

主要JAKi治療骨髓纖維化的關鍵療效與安全性數據

藥品名稱	FM	蘆可替尼	菲卓替尼	帕克替尼	莫洛替尼
公司	本公司	Incyte/Novartis	BMS	Sobi	GSK
給藥頻率	QD	BID	QD	BID	BID
試驗（臨床階段）	NCT05153343（2b期）	COMFORT-1（3期）	JAKARTA（3期）	PERSIST-2（3期）	MOMENTUM（3期）
時間點	第24周	第24周	第24周	第24周	第24周
療效	SVR35	42%	36%（400 mg） 40%（500 mg）	18%	25%
	TSS50	46%	36%（400 mg） 34%（500 mg）	25%	22%
臨床限制	/	僅限於就PT>200X10 ⁹ 使用全劑量 ；按血小板水平下調劑量	嚴重和致命腦病的 方框警告	限於 PLT < 50 × 10 ⁹ /L	貧血患者

附註：相關數據並非來自頭對頭臨床試驗。

資料來源：FDA Label、Blood、灼識諮詢

縮寫：PLT指血小板計數；QD指每日一次；BID指每日兩次。

根據灼識諮詢報告，截至最後實際可行日期，全球共有六種用於治療骨髓纖維化的JAK2抑制劑處於臨床開發階段。

JAK2抑制劑治療骨髓纖維化的全球競爭格局分析

藥物	公司	靶點	適應症	治療線	單藥/聯合	臨床階段	首次公示日期	試驗地區
邦瑞替尼	邦順製藥	JAK1/JAK2	中高危骨髓纖維化	一線	單藥	NDA	2024年8月22日	中國
羅伐替尼	正大天晴	JAK1/JAK2/ ROCK1/ROCK2	中高危骨髓纖維化	一線	單藥	NDA	2024年7月13日	中國
				一線	聯合	1/2期	2023年8月14日	中國
FM	本公司	JAK2/FLT3/ CDK6	中高危骨髓纖維化 RUX複發/難治/不耐受性 骨髓纖維化	一線	單藥	3期	2025年12月24日	中國
				二線	單藥	2期	不適用 ⁰	中國
XH-5102	鼎和醫藥	JAK2	骨髓增生性腫瘤	二線	單藥	1/2期	2023年1月16日	中國
INCB160058	Incyte	JAK2 V617F	骨髓增生性腫瘤	二線	單藥	1期	2024年3月15日	美國、其他
AJ1-11095	Ajax Therapeutics	JAK2	原發性骨髓纖維化（「PMF」）、 真性紅細胞增多症後 骨髓纖維化（「PPV-MF」）或 原發性血小板增多症後 骨髓纖維化（「PET-MF」）	二線	單藥	1期	2024年4月3日	美國

附註：

- 本公司已於2025年10月向國家藥監局提交溝通申請，以尋求其批准直接就FM治療對JAK抑制劑（包括蘆可替尼）耐藥或不耐受的骨髓纖維化患者開展註冊性2b期臨床試驗。

資料來源：CDE、clinicaltrials.gov、灼識諮詢

行業概覽

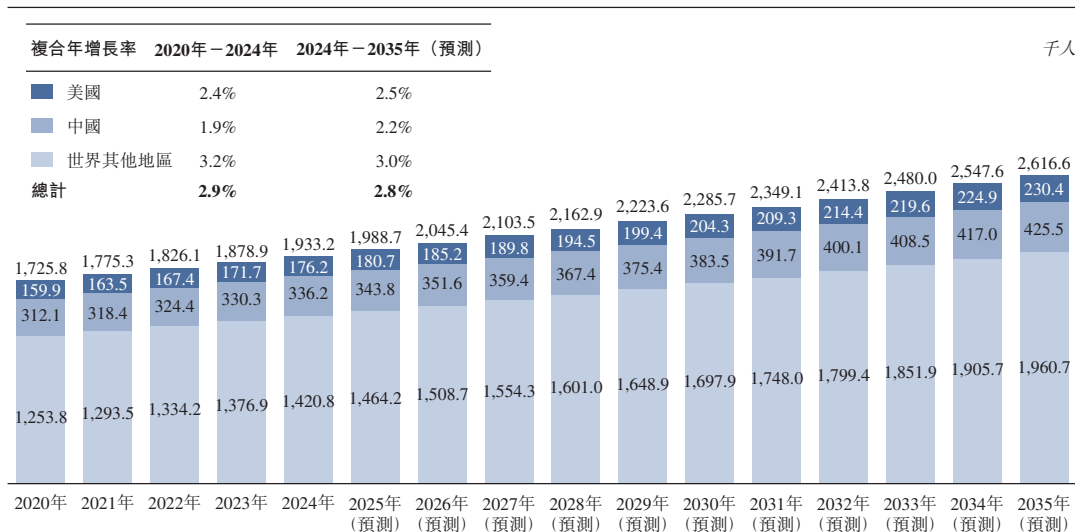
真性紅細胞增多症(「PV」)

概述

PV是一種慢性MPN，其特徵為造血干細胞的克隆性增殖及紅細胞持續過度生成，進而導致紅細胞增多症及血液黏度升高。約95%的患者存在JAK2體細胞突變（其中以JAK2^{V617F}突變為主），為驅動疾病發生的核心機制。本病確診中位年齡約為60-65歲。PV的標誌性併發症包括血栓事件、獲得性血小板功能異常引發的出血表現、約15%的患者在10年內進展為骨髓纖維化(「PPV MF」)，以及2%-5%的患者在10-15年內轉化為AML。儘管治療手段不斷進步，但PV仍給患者帶來沉重疾病負擔，包括需持續管理症狀、因放血治療或細胞減滅治療產生的生活方式限制，以及血栓栓塞或出血併發症的持續風險。

根據灼識諮詢報告，全球PV患病率由2020年的172.58萬人增長至2024年的193.32萬人，預計2035年將達到約261.66萬人。在中國，患病率由2020年的31.21萬人增長至2024年的33.62萬人，預計2035年將達到42.55萬人。

真性紅細胞增多症全球患病率(美國、中國及世界其他地區)



資料來源：NCCN、CSCO、Blood、灼識諮詢

PV的治療範式與尚未被滿足的臨床需求

PV的治療採用風險分層策略，核心目標為預防血栓及出血併發症。低危患者(年齡<60歲、無血栓病史)通常僅接受放血治療。中高危患者則需接受細胞減滅治療，傳統方案以羥基脲為主，近年來JAK抑制劑(如蘆可替尼)的應用逐漸增加。儘管JAK抑制劑自2014年起獲美國食品藥品監督管理局(FDA)批准，但羥基脲憑藉成本優勢、使用便利性及明確的安全性數據，仍為多數患者的一線細胞減滅治療方案，JAK抑制劑則作為二線治療選擇。實現疾病持久緩解或疾病修飾仍面臨挑戰。

行業概覽

依據NCCN指南，PV的治療選擇同樣需結合風險分層及症狀狀態。針對低風險患者，管理的核心在於通過小劑量阿司匹林聯合靜脈放血療法降低心血管風險；僅當患者出現明顯症狀或血細胞比容水平控制不佳時，方考慮啟動細胞減滅治療。針對高風險患者，推薦將羥基脲或羅培干擾素 $\alpha 2b$ 作為一線治療方案；特定情況下，亦可選用羅培干擾素 $\alpha 2a$ 或其他干擾素製劑。對於無法耐受羥基脲或經治療後產生耐藥性的患者，蘆可替尼為首選替代藥物，可為疾病控制及症狀緩解提供有效治療選擇。儘管相關治療手段已取得進展，但PV進展為骨髓纖維化，或疾病進入加速期／急變期，仍是臨床治療中亟待解決的難題，這也凸顯出臨床仍亟需能夠干預疾病病理進程的治療方案，而非僅局限於控制血液學指標的對症治療手段。

依據CSCO指南，PV管理同樣以風險分層為核心原則。低風險患者首選阿司匹林聯合靜脈放血治療；僅在患者出現症狀或血細胞比容控制不佳時，才考慮實施細胞減滅治療。針對高危患者，推薦將羥基脲或羅培干擾素 $\alpha 2b$ 作為一線治療方案；對於無法耐受或對上述藥物耐藥的患者，可選用重組干擾素 $\alpha 2a$ 或蘆可替尼。相較於NCCN，CSCO更強調將干擾素納入早期治療方案，同時仍將蘆可替尼列為二線治療的首選藥物。

儘管對疾病的認知不斷深化，且細胞減滅治療與JAK抑制劑已投入臨床應用，但PV的管理仍受限於症狀持續存在、風險控制不足及缺乏疾病修飾療法等問題。

- *症狀控制不佳與生活質量受限*：多數PV患者存在持續性全身症狀，尤以瘙癢（發生率30%-50%）、乏力及盜汗為主；此類症狀對細胞減滅治療的應答僅為部分緩解，嚴重影響患者生活質量。儘管蘆可替尼在對照試驗中顯示出改善症狀的療效，但在真實世界中無法實現症狀的普遍消除，亟需具備更強症狀靶向能力的新型藥物。
- *血栓與出血風險管控欠佳*：儘管採取細胞減滅治療及阿司匹林預防，PV患者每年仍以2%-5%的高發生率出現血栓及出血事件，20%-30%的患者在長期隨訪中發生重大血栓併發症。當前標準治療方案無法可靠預防上述事件，且現有療法未針對性解決獲得性血小板功能異常問題，導致患者即使在紅細胞壓積控制理想的情況下，仍面臨不可預測的出血風險。

行業概覽

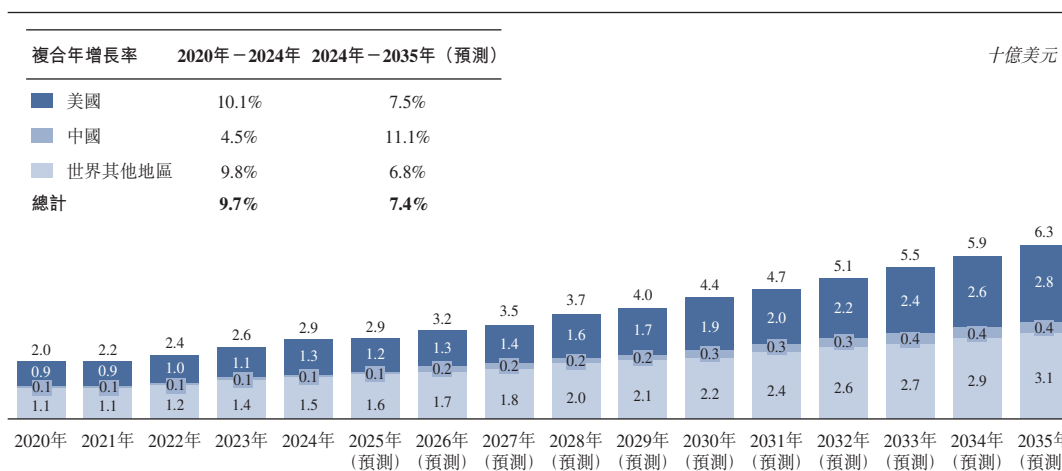
- 疾病進展與轉化缺乏有效預防手段：約15%的PV患者在10年內進展為PV後骨髓纖維化，2%-5%轉化為AML，然而當前羥基脲及JAK抑制劑方案未能證實可降低上述轉化風險。靶向FLT3等互補通路或實現更深度克隆抑制的藥物，有望延長無病生存期並預防此類嚴重併發症，這也是當前治療體系中的關鍵缺口。

PV全球市場規模

根據灼識諮詢報告，全球PV治療藥物市場近年來穩步擴張。市場規模由2020年的約20億美元增長至2024年的29億美元，複合年增長率為9.7%。受新型療法上市及診斷率提升驅動，預計2030年市場規模將達44億美元，2035年達63億美元，2024年至2035年的複合年增長率為7.4%。

在美國，PV藥物市場規模由2020年的9億美元增長至2024年的13億美元，複合年增長率為10.1%，預計2030年將達19億美元，2035年達28億美元，同期複合年增長率為7.5%。在中國，市場雖起步基數較低，但增長迅速。2020年銷售額為1億美元，預計2030年將達3億美元，2035年達4億美元，2024年至2035年的預期複合年增長率為11.1%。世界其他地區的PV藥物市場規模由2020年的10億美元增長至2024年的15億美元，複合年增長率達9.8%，預計到2030年將增至22億美元，2035年進一步達到31億美元，2024年至2035年的複合年增長率為6.8%。

全球PV藥物市場規模



資料來源：CSCO、NCCN、JAMA、Medicine、灼識諮詢

行業概覽

JAKi治療PV的全球競爭格局分析

截至最後實際可行日期，全球範圍內僅有一款商業化JAK抑制劑用於PV治療，即蘆可替尼；該藥物獲批用於對羥基脲應答不足或不耐受的PV患者的二線單藥治療。該產品於2014年首次在美國獲批上市。美國蘆可替尼銷售增長主要受PV的銷售推動。

全球獲批PV JAKi競爭格局

國際非專利藥品名稱	商品名	公司	靶點	適應症	單藥/聯合	治療線	首次獲批日期	監管機構
蘆可替尼	Jakafi®/Jakavi®	Incyte	JAK1/JAK2	•用於對羥基脲治療響應不足或不耐受的PV患者	單藥	二線	2014年12月4日	FDA

資料來源：FDA、灼識諮詢

根據灼識諮詢報告，截至最後實際可行日期，全球共有四款用於PV治療的JAK抑制劑處於臨床階段。這些在研候選藥物主要針對標準治療應答不足或不耐受的患者，聚焦二線治療場景開展研究，且臨床試驗主要在中國及美國進行。持續推進的臨床項目體現了業界通過新一代JAK靶向療法拓展PV治療方案作出的不懈努力。

藥物	公司	靶點	適應症	治療線	單藥/聯合	臨床階段	首次公示日期	試驗地區
邦瑞替尼	Bangshun	JAK1/JAK2	真性紅細胞增多症	二線	單藥	3期	2024年4月1日	中國
FM	Our Company	JAK2/FLT3/CDK6	真性紅細胞增多症	二線	單藥	2期	2025年9月10日	中國
XH-5102	Xunhe Pharmaceutical	JAK2	骨髓增生性腫瘤	二線	單藥	1/2期	2023年1月16日	中國
INCB160058	Incyte	JAK2 ^{N617F}	骨髓增生性腫瘤	二線	單藥	1期	2024年3月15日	美國、其他

資料來源：CDE、clinicaltrials.gov、灼識諮詢

行業概覽

HDAC抑制劑市場機遇概述與分析

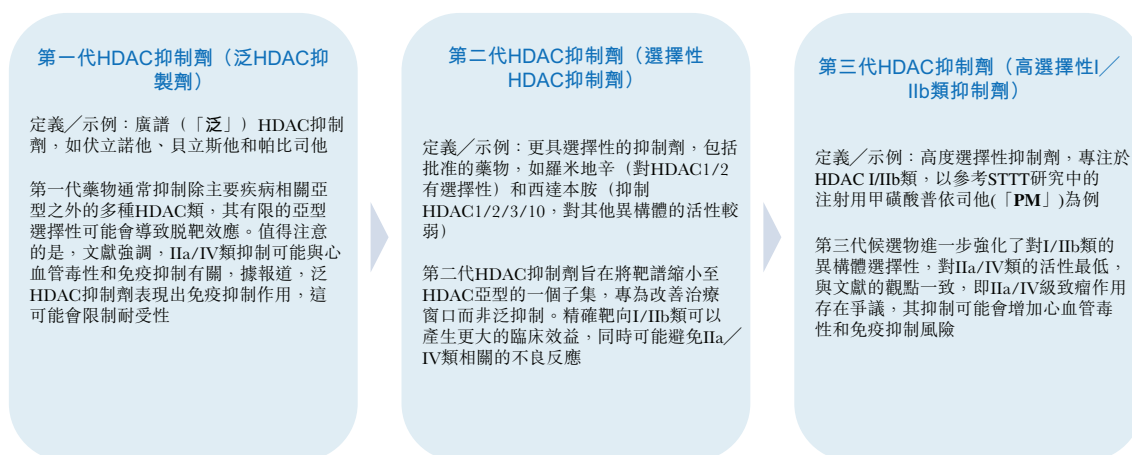
HDAC抑制劑的作用機制與治療潛力

組蛋白去乙酰化酶(「HDAC」)抑制劑通過逆轉腫瘤抑制基因的沉默發揮作用，主要機制為修飾染色質結構以促進基因表達。HDAC通過移除組蛋白上的乙酰基維持染色質「閉合」狀態，進而抑制基因轉錄。抑制HDAC活性可增加組蛋白乙酰化水平，導致染色質鬆弛，並重新激活調控細胞週期阻滯、細胞凋亡及分化等關鍵細胞進程的沉默基因。

鑒於HDAC在促進腫瘤生長中的作用，靶向HDAC活性已成為癌症治療的重要策略。第一代泛HDAC抑制劑(如伏立諾他、羅米地辛)已獲臨床批准用於治療特定淋巴瘤；然而，其非選擇性活性易引發脫靶毒性與耐藥性，限制了更廣泛的臨床應用。目前研究方向聚焦於開發選擇性HDAC抑制劑、實施生物標誌物驅動的給藥方案，以及設計將HDAC抑制與化療、免疫檢查點阻斷或其他靶向療法相結合的聯合治療方案，以提升治療效果。

選擇性HDAC抑制劑相比泛HDAC抑制劑更具優勢，可靶向特定HDAC亞型，從而增強療效並減少副作用。I類HDAC抑制可重塑腫瘤微環境，或能提升免疫治療應答率；IIb類HDAC抑制則可破壞轉移機制並使特定癌蛋白失穩。選擇性抑制仍是藥物研發的活躍領域，或可定義下一代腫瘤治療藥物。選擇性HDAC抑制劑與免疫檢查點抑制劑或細胞免疫療法聯用，已顯示出協同增強抗腫瘤免疫應答的潛力，其療效可媲美當前一線治療方案。

HDAC抑制劑已經從早期的廣譜泛HDAC抑制劑發展為越來越有選擇性為重點的藥物，如下表所示。



資料來源：信號轉導與靶向治療、灼識諮詢

行業概覽

下表列出了關鍵HDAC抑制劑的比較分析，詳細說明了在單個HDAC亞型和類別中的抑制效力 (IC₅₀值)，以及相關的心臟安全指標 (hERG鉀通道的IC₅₀)，從而突出了從第一代到第三代HDAC抑制劑在亞型選擇性和安全性方面逐步改善的趨勢。

HDAC家族	子類	IC ₅₀ (nM)				
		帕比司他	伏立諾他	貝利司他	西達本胺	注射用甲磺酸普依司他(「PM」)
HDACi的演變		第一代HDACi 泛HDAC抑制劑		第二代HDACi 選擇性抑制劑		第三代HDACi： 對HDAC I/IIb 具有高度選擇性， 心臟毒性最小
I	HDAC1	2.5	75.5	17.6	95	0.81
	HDAC2	13.2	362	33.3	160	1.4
	HDAC3	2.1	57.4	21.1	67	1.7
	HDAC8	277	1,069	157	733	3.8
IIb	HDAC6	10.5	27.1	14.5	>10,000	11.5
	HDAC10	2.3	88.4	31.3	78	1.1
IIa	HDAC4	203	>10,000	1,236	>10,000	1,072
	HDAC5	7.8	163	76.3	>10,000	426
	HDAC7	531	>10,000	598	>10,000	590
	HDAC9	5.7	78.1	44.2	>10,000	622
IV	HDAC11	2.7	109	44.2	432	3,349
hERG IC ₅₀ (μM)		3.5	>30	>30	32	>100

資料來源：Nature、灼識諮詢

瀰漫性大B細胞淋巴瘤(「DLBCL」)

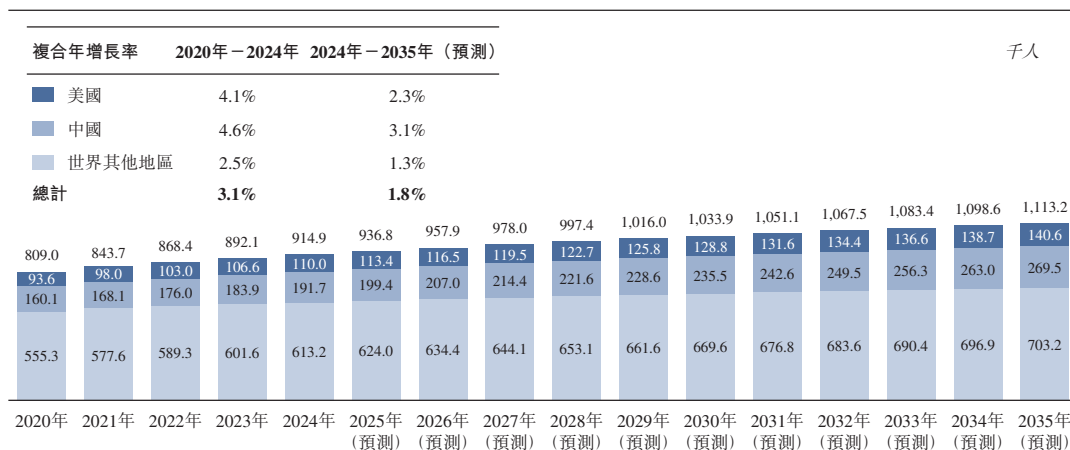
概述

DLBCL是一種起源於成熟B淋巴細胞的侵襲性惡性腫瘤，其特徵為淋巴結或結外組織中出現大體積異型B細胞的瀰漫性浸潤。該疾病是全球最常見的非霍奇金淋巴瘤(「NHL」)亞型，約佔所有NHL病例的30%-40%。

根據灼識諮詢報告，2020年全球DLBCL患病人數約為80.9萬人，預計到2035年將達到約111.32萬人。同期內，中國DLBCL患病人數預計將從約16.01萬人增長至26.95萬人。據同一來源數據顯示，複發／難治DLBCL約佔所有DLBCL病例的20%—30%。此類患者通常對一線治療無應答或在初步應答後快速出現疾病複發。複發／難治DLBCL的預後情況依舊不佳，且治療選擇十分有限，這凸顯了醫療領域對於更有效、更易獲取的治療方案的持續需求。

行業概覽

DLBCL全球患病人數



資料來源：NCCN、CSCO、Blood、灼識諮詢

DLBCL的治療規範與尚未被滿足的臨床需求

一線治療：R-CHOP方案（利妥昔單抗、環磷酰胺、多柔比星、長春新鹼、潑尼松）是新診斷DLBCL的一線標準治療方案，可治癒約60%的患者。然而，約40%的患者會出現原發難治或快速複發的情況，其中雙表達淋巴瘤（「**DEL**」）及三表達淋巴瘤（「**TEL**」）等高風險亞組患者的預後尤為不良。儘管Pola-R-CHP方案（用維泊妥珠單抗替換R-CHOP方案中的長春新鹼）等新型治療方案展現出療效提升，但仍有相當比例的高風險患者發生早期複發，凸顯了對更有效一線療法的持續未滿足需求。

二線治療（複發／難治，符合移植條件）：對於適合的患者，補救性化療後自體干細胞移植(ASCT)仍然是首選途徑。雖然這種方法可以帶來持久的緩解，但在早期複發(<12個月)或有原發性難治疾病的患者中，其成功率急劇下降，並且許多高危分子亞型患者未能獲得顯著療效。

二線治療（不符合移植條件）和後續治療：對於不符合ASCT條件的患者或移植後複發的患者，CAR-T療法已逐漸成為標準療法，具有高有效率。但其缺點顯著，包括高治療成本和潛在的嚴重毒性，如細胞因子釋放綜合征（「**CRS**」）和神經毒性，限制了可及性和耐受性。雙特異性抗體逐漸作為替代治療出現，並已在CAR-T後階段中證明了功效。然而，它們也具有CRS和神經毒性的風險，並且反應的長期持久性仍在評估。其他靶向方案（如坦昔妥單抗+來那度胺或Pola-BR）提供了治療選擇，但對高危人群的療效有限，這些人群包括患有原發難治DLBCL、早期複發、DEL／TEL遺傳學或既往CAR-T/ASCT治療失敗的人群。

行業概覽

根據NCCN指南，DLBCL的治療方案仍需依據分期及風險等級制定。對於早期非腫塊型病灶，臨床通常採用三至六個療程的R-CHOP，聯合或不聯合受累野放療(「ISRT」)；而針對腫塊型或晚期病灶，則採用6個療程的R-CHOP或Pola-R-CHP。對於高風險病例，可考慮採用劑量調整型EPOCH-R。患者完成初始治療後，需定期接受臨床檢查及影像學評估隨訪。儘管上述治療方案已日趨完善，但高風險或難治性患者的長期療效仍不理想，這也凸顯了對更有效、更持久治療方案的迫切需求。

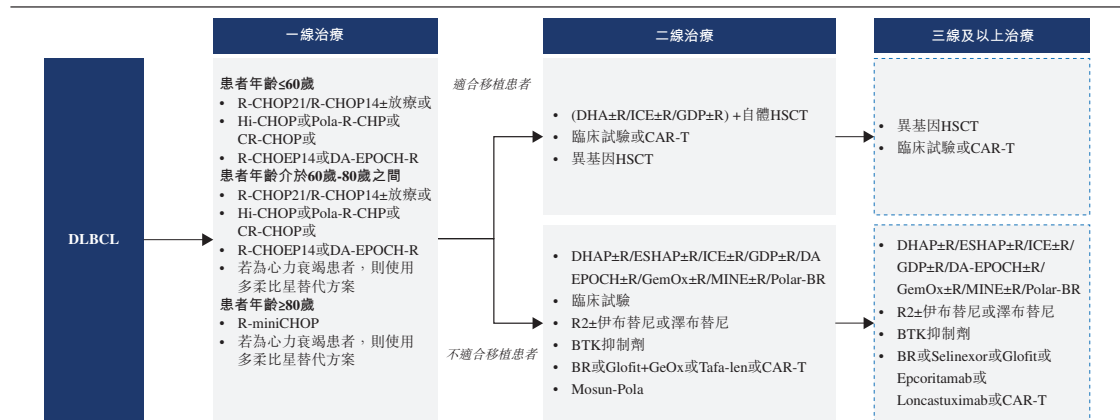
DLBCL治療路徑，NCCN



資料來源：NCCN 2025、灼識諮詢

根據CSCO指南，DLBCL的一線治療仍以R-CHOP或強化治療方案為核心。疾病複發後，符合條件的患者可接受自體移植或CAR-T療法輔助的挽救性化療；不符合條件的患者則採用R2、BTK抑制劑，或基於莫妥珠單抗的聯合治療方案。儘管現有治療選擇較多，但難治性及高危患者的療效仍不理想，這進一步凸顯了對更有效治療手段的需求。

DLBCL治療路徑，CSCO



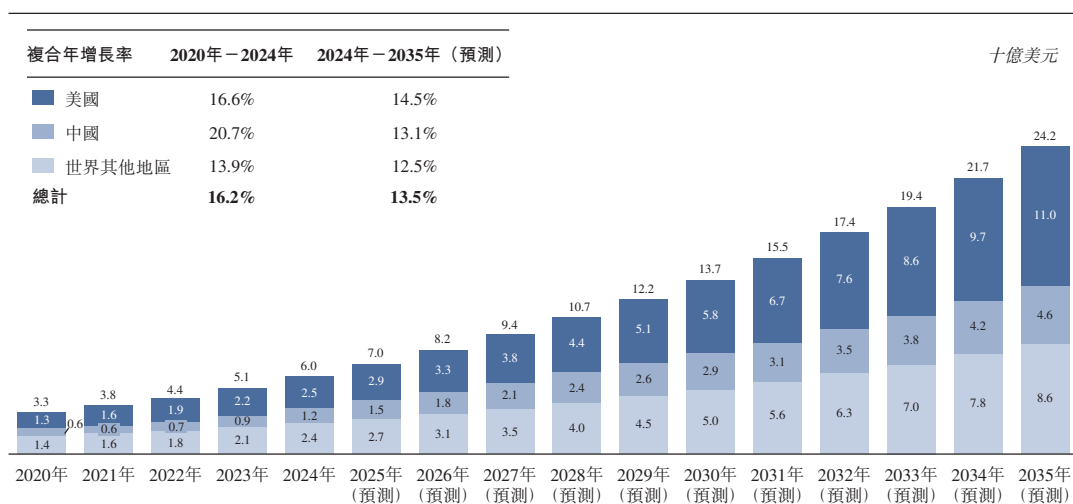
資料來源：CSCO 2025、灼識諮詢

行業概覽

DLBCL全球市場規模

根據灼識諮詢報告，全球DLBCL藥物市場規模從2020年的33億美元增長至2024年預計的60億美元。預計到2035年，該市場規模將進一步增長至242億美元，2024年至2035年的複合年增長率為16.2%。中國仍是關鍵增長引擎，市場規模從2020年的6億美元增長至2024年的12億美元，預計到2035年將達到46億美元，預測期內複合年增長率為13.1%。

全球DLBCL藥物市場規模



資料來源：CSCO、NCCN、Future Oncology、灼識諮詢

DLBCL領域HDACi全球競爭格局分析

截至最後實際可行日期，已有兩款HDAC抑制劑獲監管機構批准用於治療DLBCL，包括微芯生物科技的西達本胺(HDAC1/2/3/10)，於2024年4月24日獲批與R-CHOP聯合用於MYC/BCL2陽性DLBCL的一線治療；以及必貝特醫藥的伊吡諾司他(HDAC/PI3K)，於2025年6月30日獲批作為單藥療法，適用於至少接受過兩種全身性治療後仍復發或難治DLBCL患者。

行業概覽

根據灼識諮詢報告，截至最後實際可行日期，中國有三款用於治療DLBCL的HDAC抑制劑處於臨床開發階段，其中包括用於DLBCL一線至三線或以上治療的PM，以及另外兩款主要針對複發性或難治疾病的HDAC抑制劑。

DLBCL的HDACi全球競爭格局分析

藥物	公司	靶點	適應症	治療線	單藥／聯合	臨床階段	首次公示日期	試驗地區
艾貝司他	徐諾藥業	HDAC	r/r DLBCL	三線及以上	單藥	新藥上市申請	2025年9月17日	中國
伊吡諾司他	必貝特醫藥	HDAC/PI3K	r/r DLBCL	三線及以上	聯合	3期	2024年11月8日	中國
PM	本公司	HDAC I/IIb	DLBCL	三線及以上	單藥	3期	2025年6月8日	中國
				一線／二線	聯合	3期	不適用 ⁽¹⁾	中國

資料來源：CDE、clinicaltrials.gov、灼識諮詢

註：本公司計劃於2026年向國家藥監局提交溝通申請，尋求批准開展PM聯合免疫療法及含／不含化療用於DLBCL一線治療及二線治療的註冊性臨床試驗。

多發性骨髓瘤(「MM」)

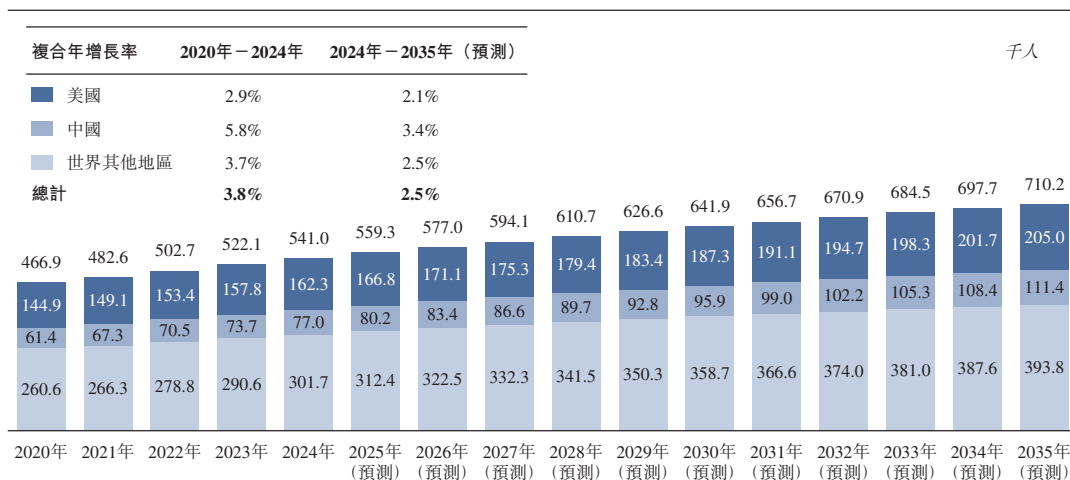
概述

MM是一種克隆性漿細胞惡性腫瘤，其特徵為骨髓中單克隆漿細胞不受控制增殖，導致異常免疫球蛋白過量產生，並引發終末器官損傷，表現為高鈣血症、腎功能障礙、貧血及骨病變(即「CRAB」特徵)。全球MM約佔所有癌症的1%-2%，佔血液系統惡性腫瘤的約10%，確診中位年齡約為69歲，男性及非洲裔人群發病率較高。過去二十年間，得益於蛋白酶體抑制劑、免疫調節藥物及單克隆抗體的應用，患者生存率顯著提升，但MM仍基本無法治癒，且大多數患者在病程中會經歷多次複發。

根據灼識諮詢報告，全球MM患病人數從2020年的46.69萬人增長至2024年的54.10萬人，預計2035年將達到約71.02萬人。中國MM患病人數從2020年的6.14萬人增長至2024年的7.70萬人，預計2035年將達到11.14萬人。

行業概覽

全球MM患病人數



資料來源：NCCN、CSCO、Blood、灼識諮詢

MM的治療範式與尚未被滿足的臨床需求

當前MM的治療範式高度依據移植適配性及治療線數分層，三聯或四聯方案構成核心治療基礎。對於適合移植的患者，標準一線治療通常包括：以蛋白酶體抑制劑、免疫調節藥物及地塞米松或基於CD38抗體的四聯方案進行誘導治療，隨後採用高劑量美法侖聯合ASCT，再以來那度胺維持治療。不適合移植的患者一般接受以來那度胺或硼替佐米聯合CD38單克隆抗體為核心的持續或固定療程三聯／四聯方案。在複發／難治性場景下，治療順序高度個體化，需綜合考慮既往治療暴露史、難治性、合併症及後續治療可及性。

行業概覽

儘管MM治療取得顯著進展，不同患者群體仍存在大量尚未被滿足的臨床需求。

- *高風險疾病的持續複發與不良預後*：即使採用現代三聯／四聯方案、自體移植及維持治療，幾乎所有MM患者最終都會複發；攜帶高風險細胞遺傳學特徵、髓外病變或早期複發的患者，其無進展生存期和總生存期顯著短於標準風險患者。現有標準治療雖能加深初始應答，但未能縮小這一生存差距，凸顯亟需能在生物學高風險MM中實現持久、無治療緩解及真正疾病根除的療法。
- *毒性、治療負擔與生活質量限制*：標準MM治療方案需長期或持續給藥，且常採用腸外給藥方式及複雜給藥時間表，導致累積毒性（如周圍神經病變、血細胞減少、感染及治療相關心血管事件）。老年及體弱患者尤其易出現減量及停藥情況，進而影響長期疾病控制，因此亟需在維持或提升療效的同時降低毒性、簡化多年治療流程的方案。
- *多類藥物失敗及BCMA靶向治療後的選擇有限*：越來越多患者成為「三類藥物難治」甚至「五類藥物難治」患者；儘管BCMA靶向CAR-T細胞療法和雙特異性抗體能產生高應答率，但許多患者仍會複發，或因體能狀態、生產週期、或可及性障礙而無法接受治療。BCMA靶向治療失敗後的患者預後極差，且目前尚無明確的後續藥物序貫或聯合標準，因此亟需具備新作用機制且更易獲取的現貨型免疫療法，以實現經多線治療MM患者的疾病控制。

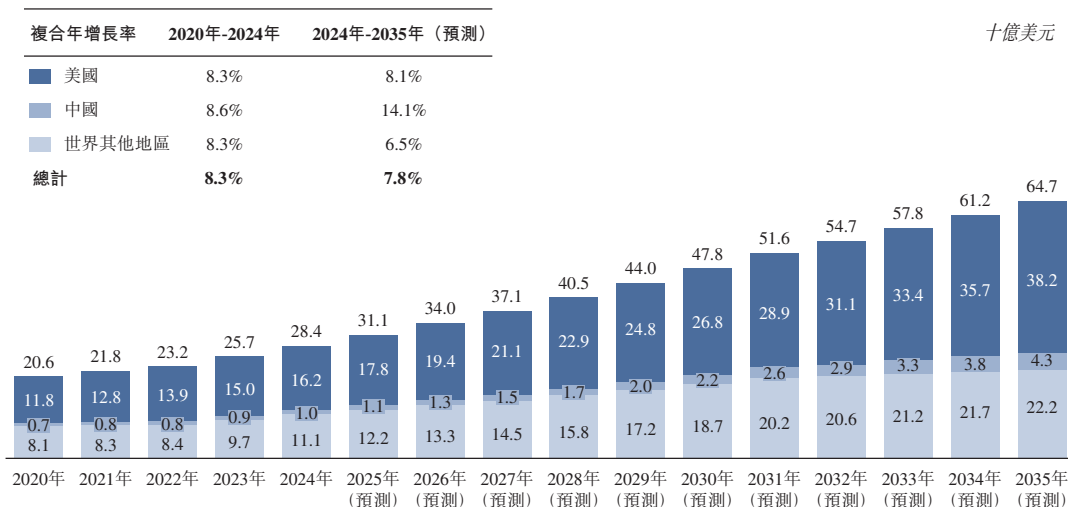
MM全球市場規模

全球MM藥物市場穩步增長，從2020年的206億美元增長至2024年的284億美元，複合年增長率為8.3%。在持續創新及治療應用範圍擴大的推動下，該市場預計2030年達到478億美元，2035年達到647億美元，2024年至2035年的複合年增長率為7.8%。

在美國，MM藥物市場從2020年的118億美元增長至2024年的162億美元，複合年增長率為8.3%，預計2030年達到268億美元，2035年達到382億美元，2024年至2035年的複合年增長率為8.1%。中國市場從2020年的7億美元增長至2024年的10億美元，複合年增長率為8.6%，預計2030年達到22億美元，2035年達到43億美元，同期複合年增長率為14.1%。全球其他地區的MM藥物市場從2020年的81億美元增長至111億美元，複合年增長率為8.3%，預計2030年達到187億美元，2035年達到222億美元，2024年至2030年的複合年增長率為6.5%。

行業概覽

全球MM藥物市場規模



資料來源：CSCO、NCCN、Oncology and Therapy、自然綜述、灼識諮詢

MM領域HDACi全球競爭格局分析

截至最後實際可行日期，中國有一款選擇性HDAC抑制劑候選藥物 (PM，靶向HDAC I和IIb) 處於MM治療的臨床開發階段。

MM的HDACi全球競爭格局分析

藥物	公司	靶點	適應症	治療線	單藥/聯合	臨床階段	首次公示日期	試驗地區
PM	本公司	HDACi/IIb	複發或難治多發性骨髓瘤	二線+	單藥	I期	2020年1月22日	中國
				二線+	聯合	I/2期	2024年4月22日	中國

資料來源：CDE、clinicaltrials.gov、灼識諮詢

外周T細胞淋巴瘤 (「PTCL」)

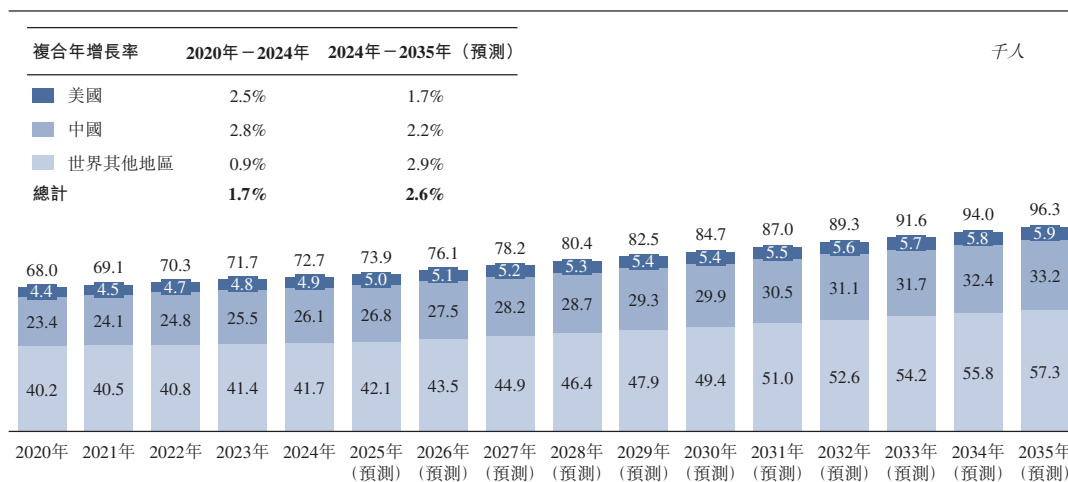
概述

PTCL是一類高度異質性的侵襲性NHL，起源於胸腺後成熟T淋巴細胞，全球範圍內約佔所有NHL病例的10%-15%，美國約佔5%，中國約佔25%。PTCL約佔所有T細胞淋巴瘤的60-70%，指胸腺外發生的成熟T細胞和NK細胞腫瘤，是TCL的主要亞型。該疾病通常在晚期確診，且具備不良預後特徵，包括B症狀、LDH升高及國際預後指數評分較高；儘管擁有現有的治療手段，患者5年總生存率仍僅為30%-40%，複發／難治性患者的中位總生存期僅5.8個月，凸顯PTCL作為高負擔、難治性惡性腫瘤的屬性，存在尚未被滿足的重大臨床需求。

行業概覽

根據灼識諮詢報告，全球PTCL患病率從2020年的6.8萬例增長至2024年的7.27萬例，預計2035年將達到約9.63萬例。中國PTCL患病率從2020年的2.34萬例增長至2024年的2.61萬例，預計2035年將達到3.32萬例。

PTCL全球發病率



資料來源：NCCN、CSCO、Blood、灼識諮詢

PTCL的治療範式與尚未被滿足的臨床需求

隨著新型靶向藥物獲批，PTCL治療範式已發生重大變化，但以CHOP方案為基礎的化療或CHOP類方案仍是大多數初診PTCL患者的標準一線治療方案。對於達到緩解的患者，體能狀態良好且符合條件的患者可採用大劑量化療聯合ASCT進行鞏固治療，然而該治療效果仍不理想，且大量患者無法獲得該治療機會。在複發／難治場景下，患者接受HDAC抑制劑、抗葉酸藥物普拉曲沙的序貫單藥治療，或越來越多地使用JAK1選擇性抑制劑等靶向藥物，治療方案選擇取決於患者既往治療史、體能狀態及具體PTCL亞型。但大多數複發／難治PTCL患者僅能獲得有限療效（客觀緩解率<30%），且緩解持續時間短；對於多線治療失敗的患者，目前尚無統一的標準治療方案，導致這一預後極差的患者群體存在顯著治療缺口。

行業概覽

儘管PTCL治療管理近年取得進展，仍存在尚未被滿足的重大醫療需求，尤其是複發／難治性患者群體：

- *現有治療療效有限*：複發／難治PTCL患者因現有治療手段效果有限，預後持續不佳。標準挽救性化療方案的總緩解率通常僅約為30%-40%，且緩解期較短，既往關鍵研究顯示中位無進展生存期僅3.5個月。真實世界中完全緩解病例罕見，且複發頻繁，反映PTCL的侵襲性和異質性特徵
- *患者毒性負擔較高*：多藥化療方案及符合條件患者接受的自體HCT伴隨顯著不良事件，包括嚴重骨髓抑制、感染風險升高及器官特異性毒性。此類毒性可能危及生命，且常導致患者（尤其是老年或合併基礎疾病患者）無法完成治療，凸顯開發更安全、副作用更少的治療方案的重要性
- *複發／難治PTCL患者治療選擇有限*：即使PTCL患者初始治療響應良好，複發仍較為常見且進展迅速。複發／難治PTCL患者首次複發後的中位總生存期約為14.5個月，凸顯疾病的侵襲性。現有治療手段難以實現長期疾病控制，尤其是經多線治療或複發／難治患者。亟需可誘導持久緩解並延長生存期的治療方案

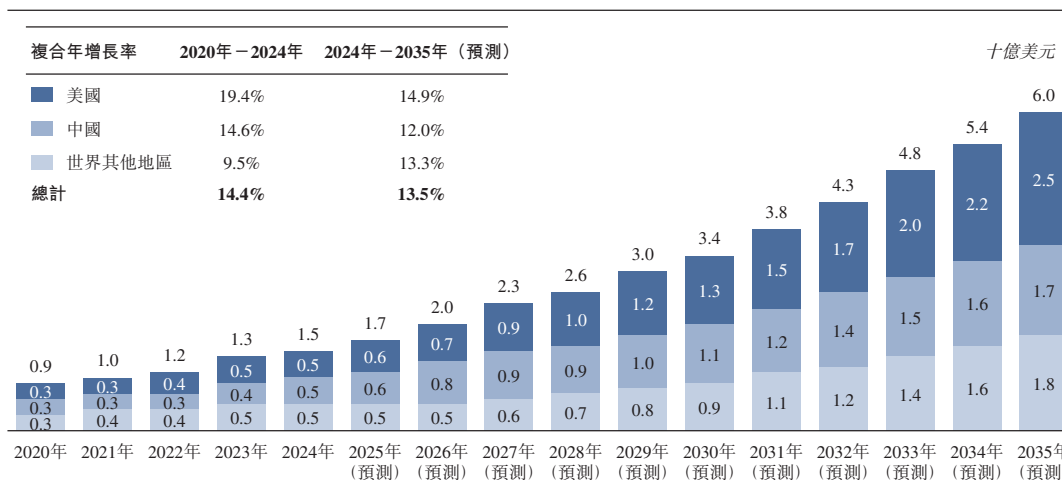
PTCL全球市場規模

近年全球PTCL藥物市場穩步增長，從2020年約9億美元增長至2024年15億美元，複合年增長率達14.4%。在持續創新及治療可及性提升的推動下，預計2030年市場規模將達38億美元，2035年達60億美元，2024年至2035年的複合年增長率為13.5%

美國PTCL藥物市場規模從2020年3億美元增長至2024年5億美元，複合年增長率達19.4%，預計2030年將進一步增長至13億美元，2035年達25億美元，2024年起複合年增長率為14.9%。中國市場規模從2020年3億美元增長至2024年5億美元，複合年增長率為14.6%，預計2030年將達11億美元，2035年達17億美元，2024年至2035年的複合年增長率為12.0%。全球其他地區的PTCL藥物市場規模從2020年的3億美元增長至5億美元，複合年增長率為9.5%。預計到2030年將達到9億美元，2035年將達到18億美元，2024年至2035年期間的複合年增長率為13.3%。

行業概覽

全球PTCL藥物市場規模



資料來源：CSCO、NCCN、Future Oncology、灼識諮詢

PTCL領域HDACi全球競爭格局分析

截至最後實際可行日期，兩款HDAC抑制劑已商業化用於PTCL治療－美國的貝利司他及中國的西達本胺，均獲批作為複發或難治性疾病的二線單藥治療方案。此前在美國獲批的羅米地辛(Istodax®)已退出市場。

根據灼識諮詢報告，截至最後實際可行日期，三款HDAC抑制劑正處於PTCL治療的臨床開發階段，包括貝利司他、伊吡諾司他及普依司他，上述藥物正於不同治療線的2期或3期研究中接受評估。

PTCL領域的HDACi全球競爭格局分析

藥物	公司	靶點	適應症	治療線	單藥/聯合	臨床階段	首次公示日期	試驗地區
貝利司他	Acrotech Biopharma	HDAC	PTCL	1線	聯合	3期	2023年10月10日	美國、其他地區
伊吡諾司他	必貝特	HDAC/PI3K	PTCL	二線及以上	單藥	2期	2021年1月27日	中國
PM	本公司	HDACi/Ilb	PTCL	二線及以上	單藥	2期	2023年11月29日	中國

資料來源：CDE、clinicaltrials.gov、灼識諮詢

行業概覽

HR+ / HER2 - 乳腺癌

概述

乳腺癌是全球第二常見確診的惡性腫瘤。HR+ / HER2 - 疾病是主要乳腺癌亞型，約佔總病例的70%。約有5%至10%的患者在確診時已處於晚期階段，而全球晚期乳腺癌患者的五年生存率約為30%。

根據灼識諮詢的資料，全球HR+ / HER2 - 乳腺癌藥物市場規模由2020年的313億美元上升至2024年的400億美元，並預期於2035年達到約692億美元，對應2024年起的複合年增長率為5.1%。在中國，HR+ / HER2 - 乳腺癌藥物市場規模由2020年的39億美元增至2024年的50億美元，複合年增長率為6.5%。預計到2035年，該市場將增長至90億美元，2024年至2035年的整體複合年增長率為5.4%。

HR+ / HER2 - 乳腺癌的治療範式與臨床未滿足需求

儘管內分泌療法在HR+ / HER2 - 乳腺癌中具有核心地位，但耐藥性仍是主要的臨床挑戰，估計有40%至50%的晚期患者表現出內分泌耐藥性。雖然一線治療方案能夠提供有效的疾病控制，但在復發或轉移性情況下，治療效果通常會減弱。在此背景下，HDAC通過調控促進腫瘤進展和內分泌耐藥的表觀遺傳機制，在HR+ / HER2 - 乳腺癌中展現出潛力。基於HDAC的療法可能有助於恢復復發性或轉移性疾病患者的內分泌敏感性，並延長其疾病控制時間。

全球中樞神經系統治療藥物市場

全球中樞神經系統(「CNS」)疾病負擔概況

CNS疾病包括以進行性神經元損傷及功能衰退為特徵的一系列神經系統疾病。儘管病因不同，但許多都具有一個共同的病理，即慢性、失調的神經炎症，驅動著疾病的進展。現有療法大多為對症緩解，凸顯出在解決CNS疾病潛在生物學機制的疾病修飾療法上存在大量未滿足的醫療需求。

行業概覽

2024年，全球十大暢銷CNS藥物中有七種是小分子藥物，凸顯了該小分子形態在CNS適應症中持續具有商業重要性。CNS環境通常優選小分子藥物，因為它們可以被設計用於大腦滲透，從而實現口服、全身治療，其中大型生物製劑穿過血腦屏障的途徑可能有限。小分子藥物亦有實際優勢，例如方便給藥、可擴展製造和可調節細胞內靶點。

下表載列2024年全球十大最暢銷CNS藥物。

排名	藥物	國際非專利藥品名稱	公司	靶點	主要適應症	形態	2024年銷售額 (十億美元)
1	Ocrevus	Ocrelizumab	瑞士羅氏／基因泰克	CD20	多發性硬化症	生物製劑	7.7
2	Invega	帕潘立酮	強生	D2R/5-HT2AR	精神分裂症	小分子藥物	4.2
3	Vraylar	卡利拉嗪	艾伯維	D2R/D3R/5-HT1AR	精神分裂症，抑鬱症	小分子藥物	3.3
4	Kesimpta	奧法木單抗	諾華	CD20	多發性硬化症	生物製劑	3.2
5	Ingrezza	Valbenazine	Neurocrine	VMAT2	遲發性運動障礙	小分子藥物	2.3
6	Rexulti	依匹哌啶	大家／丹麥靈北製藥	D2R/5-HT1AR/5-HT2AR	精神分裂症，抑鬱症	小分子藥物	2.5
7	Tysabri	那他珠單抗	渤健	CD49d	多發性硬化症	生物製劑	1.7
8	Austedo	Deutetrabenazine	以色列梯瓦	VMAT2	亨廷頓氏舞蹈病，遲發性運動障礙	小分子藥物	1.8
9	Abilify	阿立哌唑	大家／丹麥靈北製藥	D2R/5-HT1AR/5-HT2AR	精神分裂症，雙相情感障礙I型	小分子藥物	1.6
10	Xywav	鈣、鎂、鉀及煙丁酸鈉	爵士製藥	GABAB-R	發作性嗜睡病	小分子藥物	1.5

資料來源：年報、FDA、國家藥監局、灼識諮詢

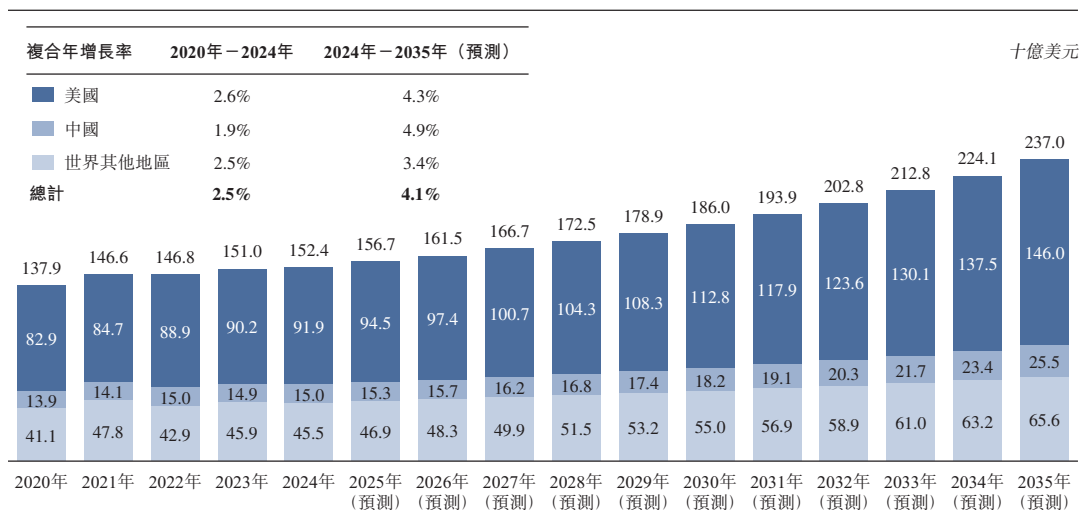
全球CNS藥物治療市場規模

全球CNS藥物治療市場呈現穩步擴張態勢，從2020年的1,379億美元增長至2024年的1,524億美元，複合年增長率為2.5%。在神經退行性疾病及精神疾病領域持續創新的推動下，該市場預計2030年將達到1,860億美元，2035年達到2,370億美元，2024年至2035年的複合年增長率為4.1%。

美國市場方面，CNS藥物治療市場從2020年的829億美元增長至2024年的919億美元，複合年增長率為2.6%，預計2030年將增至1,128億美元，2035年增至1,460億美元，2024年至2035年的複合年增長率為4.3%。中國市場從2020年的139億美元擴張至2024年的150億美元，實現1.9%的溫和複合年增長率，預計2030年將激增至182億美元，2035年增至255億美元，2024年至2035年期間的複合年增長率達到4.9%的強勁水平。世界其他地區的CNS藥物治療市場規模從2020年的411億美元增長至2024年的455億美元，複合年增長率為2.5%，預計到2030年將達到550億美元，2035年將達到656億美元，2024年至2035年期間的複合年增長率為3.4%。

行業概覽

全球CNS藥物治療市場規模



資料來源：年報、灼識諮詢

CNS領域的市場機遇

CNS市場NLRP3抑制劑的概況與分析

NLRP3（含pyrin結構域的NOD樣受體家族3）是炎症小體的核心組成部分，炎症小體作為多蛋白信號複合物，可識別病原體相關分子模式及危險相關分子模式，進而觸發半胱天冬酶-1激活，最終促使促炎細胞因子IL-1 β 及IL-18成熟並分泌。該過程已被充分證實為一系列CNS疾病的驅動因素，包括阿爾茨海默病、帕金森病、多發性硬化症，以及CAPS等自身炎症性綜合症。NLRP3抑制劑可阻斷炎症小體組裝及細胞因子生成，已在CAPS治療中展現出卓越療效，且在臨床前模型中顯示出良好的神經保護作用，例如在帕金森病模型中減少 α -突觸核蛋白病理並保護多巴胺能神經元。

除CNS及自身炎症性疾病領域的應用外，最新臨床前證據表明，NLRP3抑制劑與GLP-1受體激動劑的聯合療法有望成為肥胖治療領域極具潛力的前沿方向。臨床前研究證實，可穿透腦部屏障的NLRP3抑制劑與司美格魯肽等GLP-1激動劑聯用，能實現更顯著的減重效果，且即使在單獨使用GLP-1模擬物的效果進入平台期後，仍可進一步推動體重下降，凸顯出巨大的市場潛力。

行業概覽

全球以NLRP3抑制劑為重點的交易領域已有超過10筆交易，按交易總額計前5名如下表所示。

排名	日期	轉讓人	受讓人	資產/交易詳情	主要適應症	CNS滲透	交易總額 (百萬美元)	交易類型
1	2017-08	IFM Therapeutics LLC	BMS	BMS-986301、BMS-986299	全身炎症性疾病	N	~2,320	併購
2	2019-04	IFM Tre	諾華	3款NLRP3抑制劑，包括IFM-2427及兩項臨床前資產	CNS疾病、NASH、IBD	Y	~1,575	併購
3	2026-01	Ventyx Biosciences	禮來	VTX3232及其他小分子藥	PD、炎症性疾病	Y	~1,200	併購
4	2025-11	樂捷安康	Neurocrine Biosciences	TT-02332	CNS疾病、炎症性疾病	Y	~881.5	授權許可
5	2022-09	Ventus Therapeutics	諾和諾德	VENT-01	NASH、慢性腎病、其他心血管及代謝性疾病	N	~703	授權許可

資料來源：公司公告、灼識諮詢

CNS市場RIPK1抑制劑的概況及分析

RIPK1抑制劑靶向受體相互作用蛋白激酶1(「RIPK1」)的激酶活性，該激酶是連接炎症與壞死性細胞死亡的核心細胞命運決定主要調節因子。通過阻斷病理條件下RIPK1的異常激活，該等小分子藥物能夠中斷關鍵的神經炎症與自身免疫信號通路。與外周抗炎療法不同，RIPK1抑制在CNS中展現出「三重功效」— 挽救細胞、減輕急性炎症並預防慢性神經退行性病變。臨床前研究已證明其在阿爾茨海默病、ALS、MS及中風等主要CNS疾病中具有廣泛的神經保護潛力，但其臨床轉化研究仍在進行中。

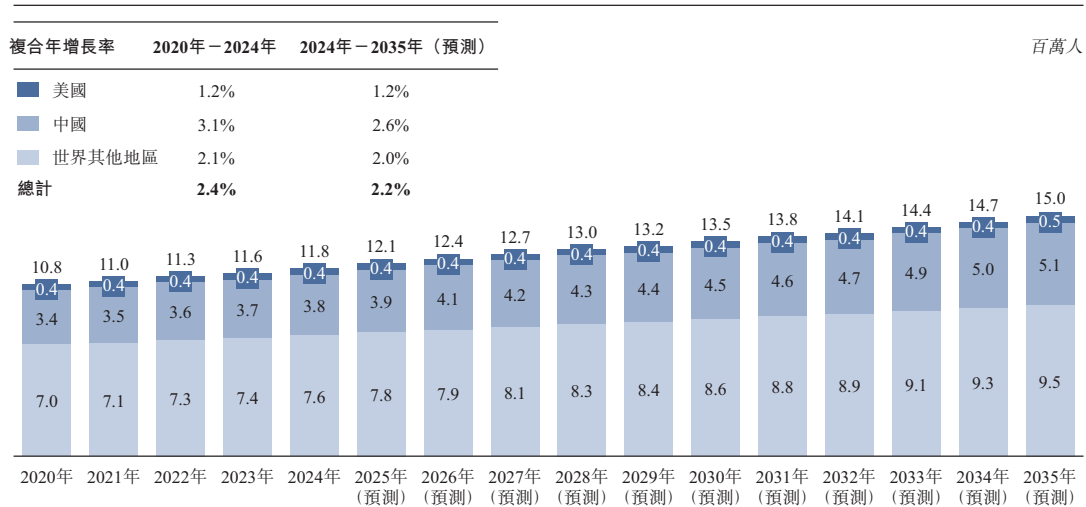
帕金森病(「PD」)

PD是一種主要影響運動功能的進行性神經退行性疾病。其發病機制為黑質區多巴胺能神經元丟失，進而引發震顫、肌強直、運動遲緩及姿勢不穩等特徵性運動症狀。PD還可能導致睡眠障礙、情緒改變、認知障礙及自主神經功能障礙等非運動症狀。目前，PD尚無法被完全治癒或逆轉。現有治療手段(包括左旋多巴、多巴胺激動劑等藥物，以及深部腦刺激等先進療法)可緩解症狀並改善生活質量，但無法阻止或逆轉疾病進展。

行業概覽

根據灼識諮詢報告，全球PD患病率從2020年的10.8百萬例增至2024年的11.8百萬例，預計2035年將達到約15.0百萬例。在中國，患病率從2020年的3.4百萬例增至2024年的3.8百萬例，預計2035年將達到5.1百萬例。

全球PD患病率



資料來源：《柳葉刀》、灼識諮詢

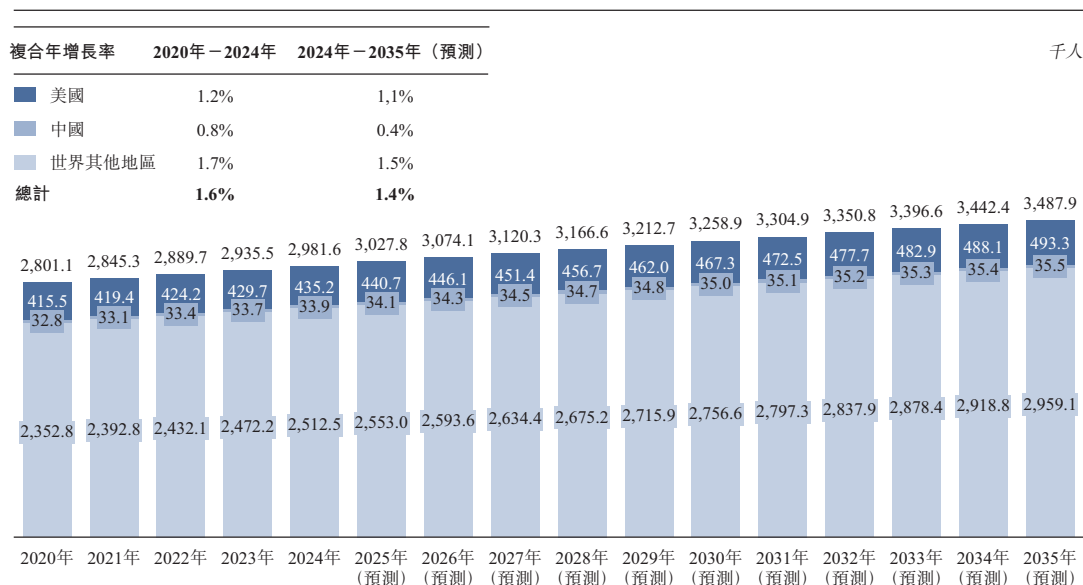
多發性硬化(「MS」)

MS是一種慢性自身免疫性疾病，因炎症反應損害大腦和脊髓神經周圍的保護髓鞘。在大腦和脊髓受MS影響的區域，神經信號傳導速度減慢或受阻，引發神經系統症狀，可能導致患者生活質量下降及殘疾。

根據灼識諮詢報告，全球MS患病率從2020年的2.8百萬例增至2024年的3.0百萬例，預計2035年將達到約3.5百萬例。中國MS患病率由2020年的3.28萬人增至2024年的3.39萬人，預計2035年將達到3.55萬人。

行業概覽

全球MS患病率



資料來源：《流行病學與全球健康雜誌》、《神經病學》、灼識諮詢

全球及中國I&I疾病市場

概述

I&I疾病涵蓋一系列異質性慢性炎症及系統性疾病，其特徵為病原免疫反應，即身體免疫系統錯誤攻擊自身抗原，導致組織炎症、器官功能障礙及進行性殘疾。主要I&I疾病包括類風濕關節炎（「RA」）、特應性皮炎（「AD」）、炎症性腸病（「IBD」，包含克羅恩病及潰瘍性結腸炎）等。全球約有5,000萬至8,000萬人群受自身免疫性疾病影響，佔全球人口的5%至10%，其中發達國家患病率更高，發展中國家發病率呈上升趨勢。

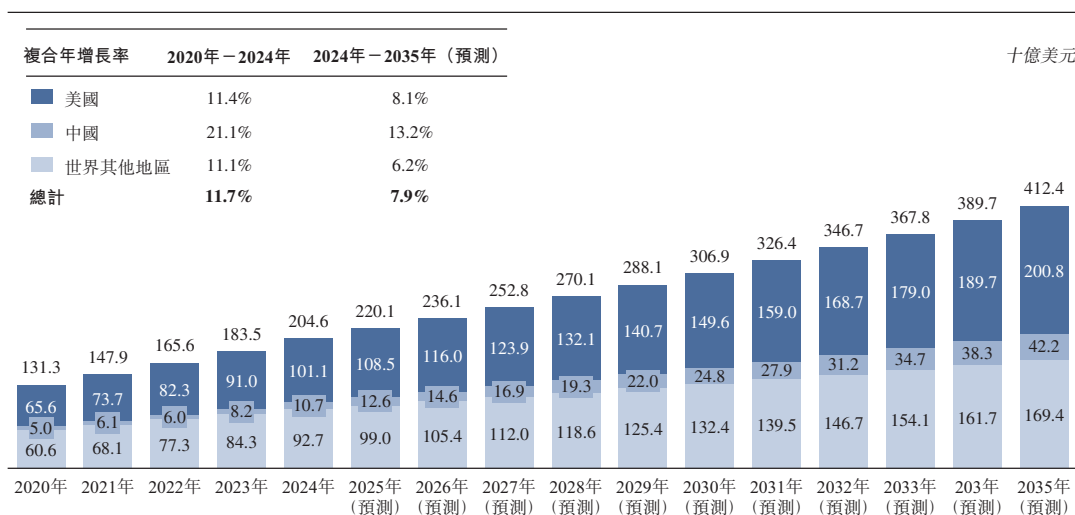
全球I&I藥物市場規模

全球I&I藥物市場近年來持續擴張，從2020年的約1,313億美元增長至2024年的2,046億美元，複合年增長率達11.7%。隨著創新持續推進及患者可及性提升，該市場預計2030年將達到3,069億美元，2035年進一步增至4,124億美元，2024年至2035年的複合年增長率為7.9%。

行業概覽

美國市場方面，I&I藥物市場規模從2020年的656億美元增長至2024年的1,011億美元，複合年增長率為11.4%，預計2030年將達1,496億美元，2035年增至2,008億美元，2024年至2035年的複合年增長率為8.1%。中國市場呈現高速增長態勢，從2020年的50億美元增長至2024年的107億美元，複合年增長率高達21.1%，預計2030年將升至248億美元，2035年進一步增至422億美元，同期複合年增長率為13.2%。世界其他地區的I&I藥物市場規模從2020年的60.6億美元增長至2024年的92.7億美元，複合年增長率為11.1%，預計到2030年將達到1,324億美元，2035年將達到1,694億美元，2024年至2035年的複合年增長率為6.2%。

全球I&I藥物市場規模



資料來源：AAD、GlobalCan、CMACSD、專家訪談、灼識諮詢

全球I&I治療市場的增長驅動因素及未來趨勢

在疾病認知度提升、治療創新持續推進及尚未被滿足的臨床需求長期存在的背景下，全球免疫學藥物市場近年來實現穩步增長。得益於生物製劑及靶向小分子療法在多種自身免疫性適應症中的持續應用，市場展現出強勁且持續的增長勢頭：

- 發病率上升及疾病早期識別：**全球自身免疫性疾病的患病率和發病率呈上升趨勢，驅動因素包括診斷能力提升、醫生與患者篩查意識增強，以及感染、衛生假說、職業暴露等環境與生活方式因素的潛在影響。盡早識別自身免疫性疾病能夠在早期更易治療的階段進行干預，擴大了龐大患者群體規模，推動了疾病修飾療法的需求增長。

行業概覽

- **靶向小分子和生物治療的擴展：**在過去的二十年裡，通過引入JAK抑制劑、單克隆抗體（抗TNF、抗IL-6、抗CD20藥物）、白細胞介素途徑抑制劑和其他靶向藥物，自身免疫治療的前景發生了革命性的變化，與傳統合成的緩解疾病抗風濕藥物（「DMARD」）相比，這些藥物具有更好的療效和更好的耐受性。下一代口服小分子藥物和生物製劑的持續開發，加上多種自身免疫性疾病適應症範圍的擴大，正在推動市場增長並推動每位患者的治療成本上升，特別是在發達市場，這些藥物被迅速採用為一線或二線療法。
- **緩解誘導及根治性療法存在未被滿足的需求：**儘管目前已有多種免疫抑制劑及生物製劑可供使用，但大部分自身免疫性疾病患者仍無法實現持續緩解或無藥緩解，需長期依賴治療並承受相關累積毒性與感染風險，且器官損傷及功能衰退仍在持續進展。大量患者對現有標準治療應答不足、無法耐受或存在原發性難治性疾病，這為新一代藥物創造了巨大市場機遇，此類藥物需具備誘導深度緩解、實現治療中斷或降級的能力，或提供解決不同疾病通路的新機制，進而豐富治療手段並推動市場持續擴張。

I&I市場中RIPK2抑制劑的作用機制

RIPK2（受體相互作用絲氨酸／蘇氨酸蛋白激酶2）是NOD1和NOD2模式識別受體下游固有免疫信號的關鍵介導因子，可感知細菌肽聚糖並調控包括NF- κ B及MAPK激活在內的炎症反應。RIPK2抑制提供了與JAK抑制截然不同的互補性抗炎機制，尤其適用於由菌群失調、腸道屏障功能障礙及固有免疫過度激活驅動的疾病（如IBD及其他潛在I&I疾病）。

I&I市場中JAK抑制劑的作用機制

JAK家族是I&I適應症的經驗證目標。JAK抑制劑為口服小分子藥物，靶向Janus激酶（「JAK」）家族酶（JAK1、JAK2、JAK3、TYK2），該家族酶是JAK-STAT信號通路的核心組成部分。通過抑制STAT蛋白的磷酸化與激活，此類藥物可有效阻斷多種促炎細胞因子的細胞內信號傳導。該機制具備廣泛的抗炎及免疫抑制作用，使JAK抑制劑治療適用於RA、銀屑病關節炎、AD、IBD等多種免疫介導性疾病的治療。JAK抑制劑的研發已從第一代非選擇性抑制劑發展至新一代高選擇性抑制劑，通過減少脫靶效應（如與JAK2抑制相關的骨髓抑制）優化安全性特徵。

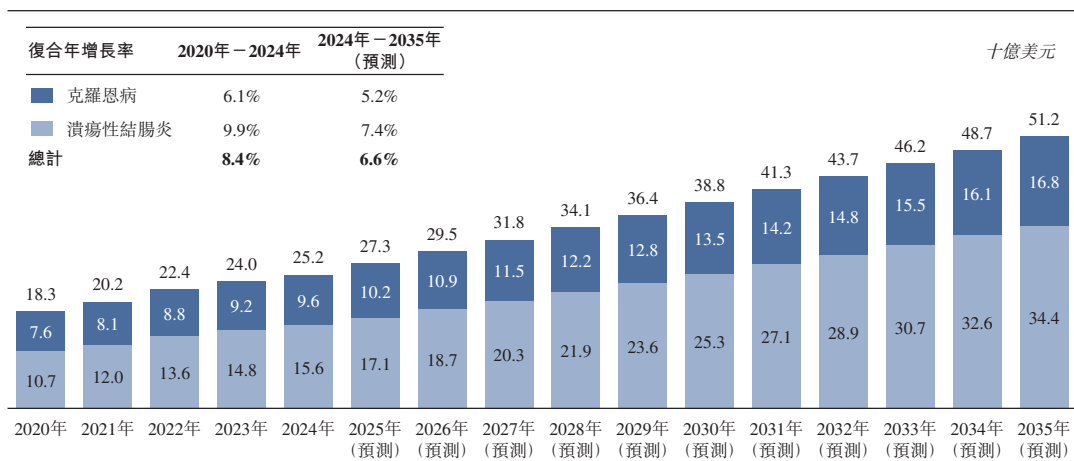
行業概覽

炎症性腸病 (「IBD」)

概述

IBD是一種慢性胃腸道炎症性疾病，主要包括潰瘍性結腸炎(「UC」)及克羅恩病(「CD」)。根據灼識諮詢的資料，2024年全球IBD藥物市場規模約為252億美元，預計到2035年將擴增至約512億美元，2024年至2035年的複合年增長率為6.6%。UC佔IBD藥物市場的主要份額，2024年約佔IBD藥物市場價值的62%。

全球IBD藥物市場規模

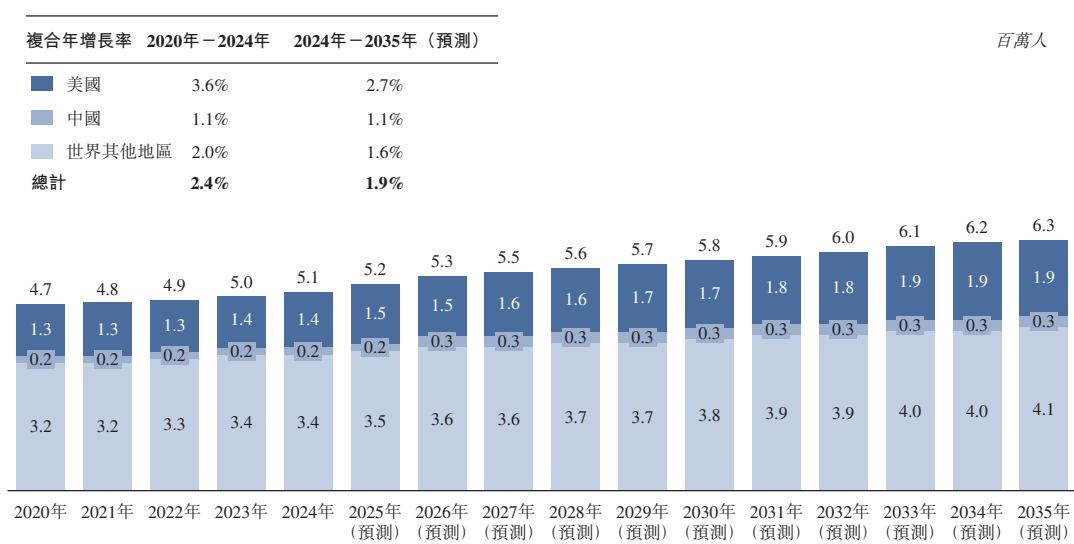


資料來源：NCCN、CSCO、Annual reports、年報、灼識諮詢

UC是一種慢性復發－緩解型炎症性疾病，以直腸始發、向近端連續蔓延的淺表黏膜炎症為特徵，2024年全球潰瘍性結腸炎患者約達510萬人，中國患者約為20萬人。該病典型症狀包括血性腹瀉、腹部絞痛、排便急迫感、里急後重，常伴隨腸外表現，且結直腸癌發病風險升高，嚴重影響患者生活質量。

行業概覽

全球UC患病人數



資料來源：胃腸病學、公共衛生前沿、WHO、灼識諮詢

UC的治療範式與尚未被滿足的臨床需求

UC的治療遵循階梯式、目標導向原則，旨在誘導並維持無激素緩解狀態，同時預防併發症。5-氨基水楊酸類藥物仍是輕中度患者的一線治療方案；中重度UC的標準治療方案則逐步拓展至靶向TNF- α 、整合素、白細胞介素等通路的生物製劑及口服JAK抑制劑。儘管治療手段不斷豐富，仍有大量患者對現有療法存在原發無應答或應答丟失，凸顯對具備更優持久性及安全性的新型作用機製藥物的持續需求。

儘管生物製劑及小分子療法取得顯著進展，許多中重度UC患者仍面臨諸多治療局限與尚未被滿足的需求，包括無應答、應答丟失、症狀持續存在以及黏膜未完全愈合等問題。

此外，RIPK2是NOD樣受體下游的關鍵信號傳導介質，調控涉及腸道免疫失調的促炎通路。RIPK2已成為UC的潛在治療靶點，因為抑制其激酶活性或調節其支架功能，可能減少致病性先天免疫信號傳導，並有助於改善疾病控制。

行業概覽

特應性皮炎(「AD」)

概述

AD是一種慢性、復發－緩解型炎症性皮膚病，以劇烈瘙癢、皮膚屏障功能受損及固有免疫與適應性免疫應答失調為特徵，全球患病人群約247.1百萬，其中2024年中國患病人數達54.6百萬。AD多見於幼兒期起病，且常持續發病在成年期或於成年階段發病；重度AD患者約佔全部AD患者的10%-20%，其生活質量、睡眠狀況、工作效率及心理健康均受到嚴重影響。

AD的治療範式與未滿足需求

當前AD的管理遵循階梯式治療原則，治療強度依據疾病嚴重程度確定。對於輕中度患者，起始治療方案為潤膚劑及局部外用藥物。近年來，白細胞介素抑制劑等靶向生物製劑獲批上市，徹底改變了中重度AD的治療格局；相較於傳統免疫抑制劑，此類藥物療效更優、安全性更高，已成為中重度AD的首選一線全身治療方案。隨著口服及局部小分子抑制劑的問世，治療手段進一步豐富，實現了更個性化、基於作用機制的治療選擇。儘管取得上述進展，仍有大量患者存在疾病控制不佳、療效隨時間衰減或對現有療法不耐受等問題，凸顯這一持續增長的市場中仍存在未被滿足的需求。

生物製劑雖革新了中重度AD的管理模式，但許多患者仍面臨疾病控制不佳、症狀持續存在的困境，表明仍存在尚未被滿足的醫療需求，包括反應不完全、療效喪失、持續瘙癢及功能損傷等問題。

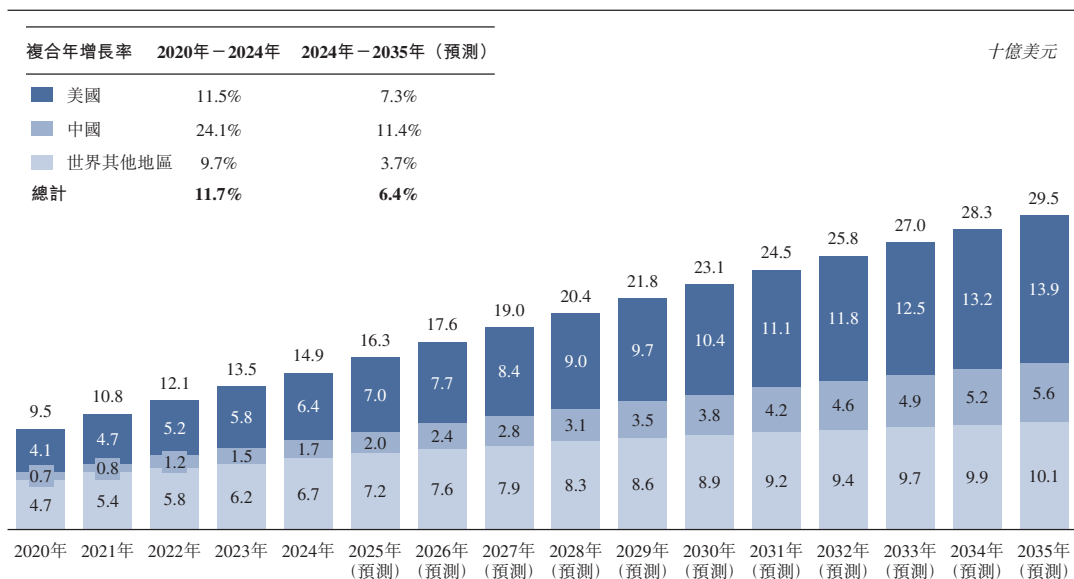
全球AD市場規模

全球AD藥物市場近年來穩步增長。2020年市場規模為95億美元，2024年增至149億美元，複合年增長率達11.7%。在生物製劑及JAK抑制劑應用範圍持續擴大的推動下，該市場預計2030年將達到231億美元，2035年進一步增至295億美元，2024年至2035年的複合年增長率為6.4%。

美國AD藥物市場規模從2020年的41億美元增至2024年的64億美元，預計2030年達104億美元，2035年達139億美元，2024年至2035年的複合年增長率為7.3%。中國市場增長迅速，2020年規模為7億美元，2024年增至17億美元，複合年增長率高達24.1%；預計2030年將達到38億美元，2035年達56億美元，同期複合年增長率為11.4%。世界其他地區的AD市場規模從2020年的47億美元增長至2024年的67億美元，複合年增長率為9.7%，預計到2030年將達到89億美元，2035年將達到101億美元，2024年至2035年的複合年增長率為3.7%。

行業概覽

全球AD市場規模



資料來源：CSCO、灼識諮詢

JAKi抑制劑治療AD的全球競爭格局分析

截至最後實際可行日期，已有四款JAK抑制劑獲批商業化上市，用於AD治療：烏帕替尼(RINVOQ®)、阿布昔替尼(CIBINQO®)均已在美國及中國獲批用於中重度AD，蘆可替尼乳膏(OPZELURA®)則在美國獲批用於輕中度AD及艾瑪昔替尼(艾速達®)，在中國獲批用於成人中重度AD。

獲批用於AD的JAKi全球競爭格局

國際非專利藥品名稱	商品名	公司	靶點	給藥方式	適應症	首次獲批日期	監管機構	
烏帕替尼	RINVOQ® 瑞福®	艾伯維	JAK1	口服	• 用於患有難治性中重度特應性皮炎的成人和12歲及以上兒科患者	2022年1月14日	FDA	
						2022年2月18日	NMPA	
蘆可替尼乳膏	OPZELURA®	因賽特	JAK1/JAK2	外用	• 用於患有輕中度特應性皮炎非免疫功能低下的成人和2歲及以上兒科患者	2021年9月21日	FDA	
阿布昔替尼	CIBINQO® 希必可®	輝瑞	JAK1	口服	• 用於患有難治性中重度特應性皮炎的成人	2022年1月14日	FDA	
						• 用於患有難治性中重度特應性皮炎的成人和12歲及以上兒科患者	2023年2月10日	FDA
						• 用於患有難治性中重度特應性皮炎的成人	2022年4月8日	NMPA
					• 用於患有難治性中重度特應性皮炎的成人和12歲及以上兒科患者	2024年2月23日	NMPA	
艾瑪昔替尼	艾速達®	恒瑞	JAK1	口服	• 用於患有中重度特應性皮炎的成人	2025年4月1日	NMPA	

資料來源：FDA、NMPA、灼識諮詢

行業概覽

截至最後實際可行日期，全球範圍內有六款JAK抑制劑處於治療AD的2期及後期臨床開發階段。此類藥物涵蓋多種口服及局部製劑，靶向JAK1、JAK2、JAK3及TYK2，正針對不同治療線及疾病嚴重程度開展評估。越來越多的跨國藥企及中國製藥企業主導相關研發項目，反映出該治療領域創新持續推進、競爭日趨激烈。

AD領域(2期或以上)的JAK抑制劑管線全球競爭格局

藥物	公司	適應症	劑型	Target靶點	臨床階段	首次公示日期	地區
鹽酸吉卡昔替尼	澤璟製藥	AD	片劑	JAK1, JAK2, JAK3, TYK2, ALK2	3期	2022年6月21日	中國
QLM3003	齊魯製藥	AD	軟膏	JAK1, JAK2, JAK3	3期	2025年3月17日	中國
來昔昔替尼	Aclaris Therapeutics	AD	軟膏	JAK1, JAK3	2期	2020年10月22日	美國
ATI-2138	Aclaris Therapeutics	AD	片劑	JAK3, ITK	2期	2024年9月3日	美國
托法替尼	CAGE Bio	AD	軟膏	JAK1, JAK2, JAK3	2期	2025年1月30日	美國
ZL-82	本公司	AD	片劑	JAK3	2期	2025年4月25日	中國

* 附註：僅包括2期或以上最高臨床階段

資料來源：clinicaltrials.gov、CDE、灼識諮詢

類風濕關節炎 (「RA」)

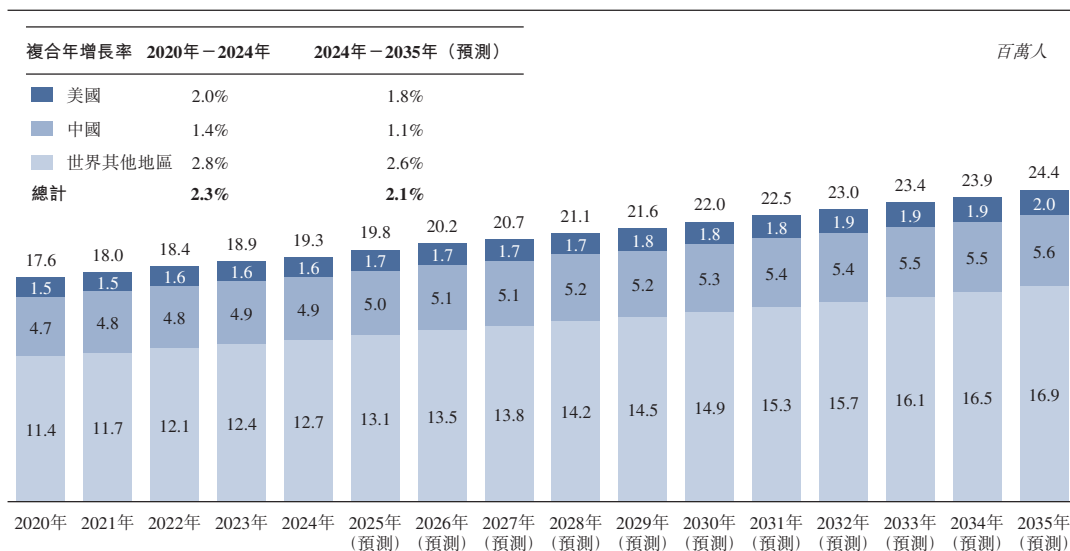
概述

RA是一種慢性系統性自身免疫性炎症疾病，以對稱性多關節炎為特徵，主要累及中小關節，可導致進行性軟骨破壞、骨侵蝕、關節畸形及嚴重功能障礙。該病由免疫激活失調驅動，促炎細胞因子、自身抗體及適應性免疫應答發揮致病作用；常伴隨心血管疾病、骨質疏鬆等多種嚴重關節外表現，且死亡率升高，已成為一類重大慢性疾病負擔，不僅帶來高額醫療成本，更嚴重降低患者生活質量。

根據灼識諮詢報告，全球RA患病人數從2020年的1,760萬人增至2024年的1,930萬人，預計2035年將達到約2,440萬人。中國患病人數從2020年的470萬人增至2024年的490萬人，預計2035年將達到560萬人。

行業概覽

全球RA患病人數



資料來源：風濕病學和免疫學研究、WHO、灼識諮詢

RA的治療範式與尚未被滿足的臨床需求

當前RA的治療遵循目標導向策略，以甲氨蝶呤等傳統合成改善病情抗風濕藥 (DMARD) 作為一線治療方案，強調早期干預。對於應答不足的患者，治療需迅速升級，採用DMARD或JAK抑制劑等靶向合成DMARD；此類藥物療效顯著且為口服劑型，優勢突出。儘管擁有上述先進治療選擇，仍有大量患者無法實現緩解，或出現應答丟失、藥物毒性等問題，這凸顯了實現持久無藥疾病控制這一目標仍面臨重重挑戰。

儘管類RA治療取得顯著進展，仍有相當一部分患者疾病控制不佳、功能受損，多個疾病維度的臨床需求尚未得到滿足。

行業概覽

資料來源

就[編纂]而言，我們已委託市場研究及諮詢公司灼識諮詢（一家獨立第三方）對我們的候選藥物所針對的呼吸系統及藥物疾病市場及其他潛在市場進行研究、分析並編製報告（簡稱「灼識諮詢報告」）。灼識諮詢報告由灼識諮詢獨立編製，未受本集團及其他相關方影響。我們已同意就灼識諮詢報告的編製及用於[編纂]和公司先前[編纂]嘗試支付總計約人民幣0.63百萬元的費用，我們認為該費用符合市場費率。灼識諮詢是一家成立於香港的諮詢公司，為多個行業提供專業行業諮詢服務。灼識諮詢的服務包括行業諮詢、商業盡職調查及戰略諮詢。

在彙編及編製報告過程中，灼識諮詢利用多種資源進行了初步及次級研究。初步研究包括訪談關鍵行業專家及主要行業參與者。次級研究包括分析來自各類公開數據源的數據，包括但不限於中國國家統計局、國家藥品監督管理局、食品藥品監督管理局、中華人民共和國國家衛生健康委員會及WHO。灼識諮詢報告中的市場預測基於以下關鍵假設：(i)預測期間整個中國社會、經濟及政治環境預計將保持穩定；(ii)未來十年中國經濟及產業發展可能保持穩定增長趨勢；(iii)相關關鍵行業驅動因素在預測期間可能持續推動我們的候選藥物所針對的呼吸系統及肺部疾病藥物市場及其他潛在市場的增長，例如呼吸系統及肺部疾病患病率上升、呼吸系統及肺部疾病診斷水平及認知度提高、新藥數量增加、政府扶持計劃及政策的支持、研發支出增長以及藥物可及性改善；以及(iv)不存在可能對市場造成劇烈或根本性影響的極端不可抗力或行業監管。