

行業概覽

本節所載若干資料及統計數據乃摘錄自多份政府官方刊物、來自公開市場數據供應商的可得來源及獨立第三方來源弗若斯特沙利文。由弗若斯特沙利文編製並於本文件引述的報告乃由我們委託。我們相信，該等資料的來源乃屬適當，且我們已於摘錄及轉載該等資料時採取合理審慎措施。我們無理由相信該等資料屬虛假或具誤導性，或任何事實遭遺漏而會導致該等資料屬虛假或具誤導性。來自官方政府來源的資料概未經我們、獨家保薦人、[編纂]、[編纂]、[編纂]、[編纂]、[編纂]、彼等各自的任何董事、僱員、代理或顧問或參與[編纂]的任何其他人士或訂約方獨立核實，亦無就其準確性、公平性及完整性作出任何陳述。關於與我們行業相關的風險，請參閱本文件「風險因素」一節。

基因療法市場概覽

概覽

基因療法是指利用遞送載體將正常或具治療作用的外源基因轉導至靶細胞，從而替換或糾正致病基因的一種方法。與其他傳統療法相比，基因療法旨在解決疾病的遺傳根源，而非僅僅緩解症狀，從而能夠實現傳統療法無法達成的持久或治愈性結果。

基因療法的病毒載體技術演變已從整合慢病毒載體，發展到廣譜但靶向有限的野生型AAV載體，及至現今為實現精準靶向及增強安全性而設計的新一代AAV載體。該等創新的主要優勢在於其能夠優化組織特異性遞送、將免疫原性及相關風險降至最低，並維持或延長治療性基因的表達。根據弗若斯特沙利文的資料，自首款基因療法藥物上市近20年來，全球已有19種基因療法產品獲批上市。基因療法的應用已從遺傳性疾病擴展至惡性腫瘤、慢性疾病及傳染病。

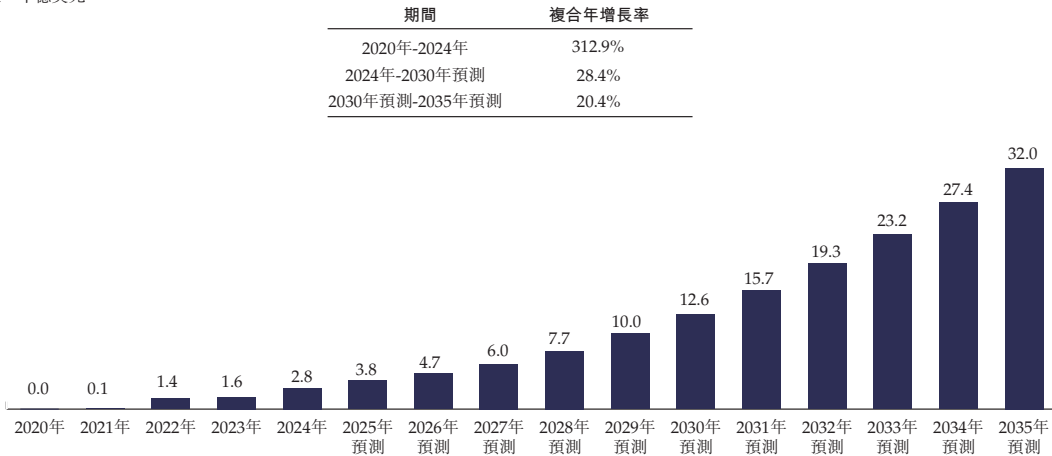
行業概覽

基因療法的市場規模

全球基因療法市場預計將由2024年的約28億美元增長至2030年的126億美元，複合年增長率為28.4%，並將於2035年進一步增長至320億美元，2030年至2035年的複合年增長率為20.4%。下圖載列2020年至2035年全球基因療法的歷史及預測市場規模：

全球基因療法市場，2020年-2035年預測

單位：十億美元

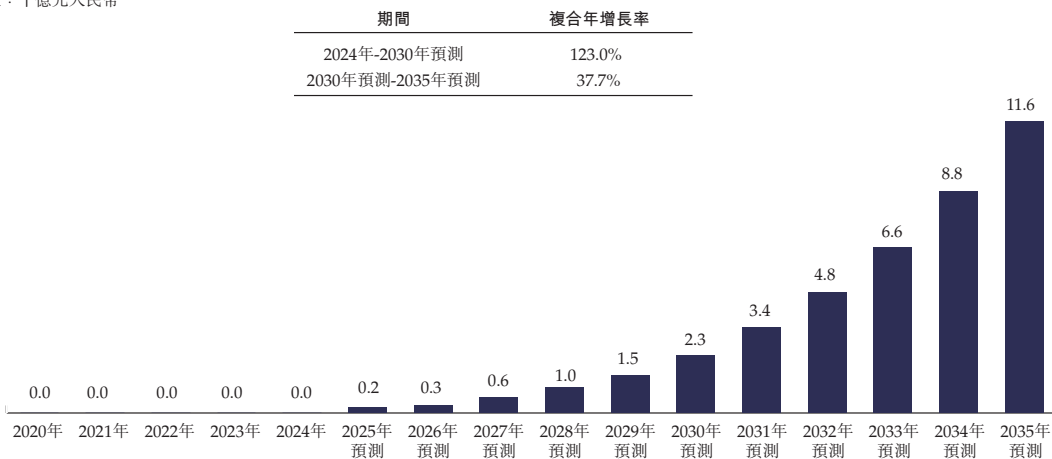


來源：弗若斯特沙利文分析

於2020年至2024年，中國並無推出基因療法產品。中國基因療法市場預計將由2024年的約人民幣0.0億元增長至2030年的人民幣23億元，複合年增長率為123.0%，並將於2035年進一步增長至人民幣116億元，2030年至2035年的複合年增長率為37.7%。下圖載列2020年至2035年中國基因療法的歷史及預測市場規模：

中國基因治療市場，2020年-2035年預測

單位：十億元人民幣



資料來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

基因療法的增長動力及未來趨勢

根據弗若斯特沙利文的資料，基因療法的增長主要受以下因素所推動：

- *在罕見病中的療效及擴展至常見疾病。* 基因療法通過直接解決根本遺傳原因，在罕見及遺傳性疾病中已證明其經確證的臨床療效，從而獲得多項監管批准，並在脊髓性肌萎縮症、血友病、鎌狀細胞病及遺傳性視網膜疾病等病症中帶來持久的治療益處。基於該等成功，載體工程、遞送技術及靶點生物學的進步正促使基因療法擴展至更流行的疾病，包括眼科、心血管及神經退行性疾病。該等領域正在進行的臨床項目說明了該領域已從罕見單基因疾病演變為面向具有重大未滿足醫療需求的更廣泛患者群體，突顯了基因療法日益增長的治療及商業潛力。
- *透過AI驅動平台實現靶向遞送的病毒載體設計進展。* AI驅動平台在推進病毒載體設計方面發揮著重要作用。第一代基於慢病毒載體的基因療法通常在組織嗜性、非造血組織中的轉導效率以及插入突變的潛在風險方面存在局限。新一代載體工程利用高通量篩選及AI輔助設計平台等技術，提升載體效率及安全性以滿足不斷變化的需求，其重點在於(i) AAV衣殼的優化(增強組織特異性轉導及降低免疫原性)、載體包裝能力的擴大及慢病毒整合位點的修飾(盡量降低插入突變的風險)；及(ii)通過整合組織特異性啟動子(如肝臟特異性白蛋白啟動子、視網膜特異性啟動子)及配體-受體介導的靶向結合實現精準靶向及組織特異性遞送。
- *生產、價格及報銷可及性。* 高昂的生產成本一直是基因療法獲廣泛採納的主要障礙。載體生產、細胞處理及可擴展生物製造方面的進步預計將隨時間推移大幅降低生產成本，並使基因療法產品更易獲得。此外，外包後期開發及使用非獨家許可，可降低成本並提高可及性。協作醫療模式及報銷策略，包括中國商業保險對基因及細胞療法等高價值療法的覆蓋，可進一步提高患者可及性。

行業概覽

- **政策支持與監管。**政府及監管機構日益建立結構化框架及激勵措施，以加速基因療法的開發。在中國，《醫療衛生機構開展研究者發起的臨床研究管理辦法》（2024年10月1日起生效）支持學術主導的臨床試驗。在美國，NIH資助機制及FDA「研究發起人」法規促進了研究者發起的試驗（IITs）。同時，不斷增長的公共及私人投資持續推動早期研究及臨床轉化，降低研發壁壘，並為創新基因療法更有效地惠及患者創造更多機會。

脊髓性肌萎縮症(SMA)藥物市場概覽

概覽

脊髓性肌萎縮症(SMA)是一種常染色體隱性下運動神經元疾病，其特徵為進行性近端肌無力及骨骼肌萎縮。SMA由SMN1基因突變引起。正常的SMN1基因編碼運動神經元存活蛋白(SMN)。突變的SMN1無法產生功能性SMN蛋白，導致骨骼肌萎縮，並損害SMA患者的運動、吞咽及呼吸功能。SMN2亦編碼SMN蛋白，但一種特定的同義突變導致其約90%的前體mRNA在剪接過程中跳過外顯子7，產生不穩定、可降解的 $\Delta 7$ 截短蛋白，該蛋白缺乏完全的生理功能。就發病年齡及達到的最大運動功能而言，SMA可分為不同類型。SMA 1型通常於六個月大之前發病，而SMA 2型及SMA 3型通常分別在18個月大之前和之後發病。

SMA 1型佔SMA疾病的約60%，而SMA 2型佔SMA疾病的約20%至27%，SMA 3型佔SMA疾病的約12%至20%。

行業概覽

現有治療方案及局限性

目前SMA的治療方案主要分為三大類：基於腺相關病毒(AAV)的基因療法、反義寡核苷酸(ASO)及小分子療法。主要的上市產品有Zolgensma®(索伐瑞韋，一種基於AAV9的基因療法)、Spinraza®(諾西那生鈉，一種鞘內注射的ASO)及Evrysdi®(利司撲蘭，一種口服小分子剪接修飾劑)。此三種產品已在全球多個主要市場獲批用於治療SMA。下表從作用模式與機制、療效、安全性、給藥方式及便利性五個方面對SMA的不同治療方案進行了比較：

	諾西那生鈉 (Spinraza®)	利司撲蘭 (Evrysdi®)	ZOLGENSMA	ITVISMMA
模式與機制	<ul style="list-style-type: none"> ASO 調節SMN2剪接 	<ul style="list-style-type: none"> 口服小分子 調節SMN2剪接 	<ul style="list-style-type: none"> 基因療法 遞送功能性SMN1基因 	<ul style="list-style-type: none"> 基因療法 遞送功能性SMN1基因
療效	<ul style="list-style-type: none"> 改善運動功能，延緩疾病進展，幫助患者達成一些運動里程碑 	<ul style="list-style-type: none"> 幫助患者達成關鍵運動里程碑，改善呼吸和吞嚥功能，降低永久性通氣的風險 	<ul style="list-style-type: none"> 疾病修飾；顯著改善存活率，使患者能夠達成多個運動里程碑，並顯示出持續的長期療效 	<ul style="list-style-type: none"> 改善各類SMA的運動功能和存活率，持續的SMN1上調支持長期疾病控制
安全性	<ul style="list-style-type: none"> 與腰椎穿刺相關的風險(頭痛、背痛、感染) 	<ul style="list-style-type: none"> 長期總體耐受性良好；嚴重不良事件與諾西那生鈉相當或在某些研究中更低 	<ul style="list-style-type: none"> 可控風險包括肝毒性、血小板減少症和輸注反應 需要新的基因療法以允許在神經元中精確表達SMN，從而達到最佳的安全性和療效平衡 	<ul style="list-style-type: none"> 與靜脈注射相比，全身性風險較低(肝毒性、血小板減少症)
給藥方式	<ul style="list-style-type: none"> 經由腰椎穿刺進行鞘內注射 需要多次的起始劑量和維持劑量 	<ul style="list-style-type: none"> 在家每日口服給藥，方便長期使用 	<ul style="list-style-type: none"> 一次性給藥 無需重複治療 	<ul style="list-style-type: none"> 一次性給藥 無需重複治療 鞘內注射，能夠直接遞送至中樞神經系統
便利性	<ul style="list-style-type: none"> 需要終身治療 重複的醫院腰椎穿刺 依從性低 	<ul style="list-style-type: none"> 需要持續每日給藥以維持治療效果 	<ul style="list-style-type: none"> SMN1基因的長期表達 無需重複給藥即可維持多年持續療效 	<ul style="list-style-type: none"> 持續的SMN1基因表達 無需重複給藥即可獲得持久的臨床效益

資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文分析

目前SMA的治療面臨以下核心挑戰：(i)依從性不足：SMA需要長期用藥及終身管理。治療依從性是一種受劑型特點、患者功能狀況、護理成本、給藥方式及藥物耐受性等多種因素影響的綜合行為，會隨時間推移而下降；(ii)神經元SMN靶向性有限：目前的SMA基因療法，尤其是Zolgensma，顯示出SMN蛋白分佈不均，在外周組織(如肝臟和心臟)中過度表達，但在運動神經元中水平不足。此舉限制了功能恢復，並增加了全身毒性和免疫相關風險；及(iii)治療成本高昂：已獲批的基因療法Zolgensma單次治療費用超過200萬美元。相比之下，其他價格相對較低的療法(如Spinraza和Evrysdi)則需要終身給藥。這導致患者治療成本高昂、醫療負擔沉重及依從性差。

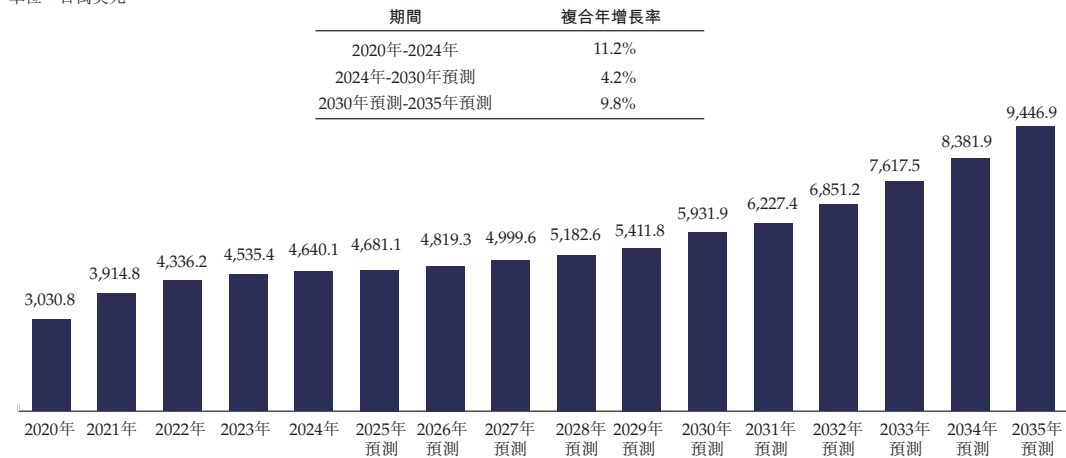
行業概覽

SMA藥物的市場規模

全球SMA藥物市場由2020年的30.308億美元增長至2024年的46.401億美元，複合年增長率為11.2%，預計將於2030年進一步增長至59.319億美元，2024年至2030年的複合年增長率為4.2%，並於2035年增長至94.469億美元，2030年至2035年的複合年增長率為9.8%。下圖載列2020年至2035年全球SMA藥物的歷史及預測市場規模：

全球SMA藥物治療市場，2020年-2035年預測

單位：百萬美元

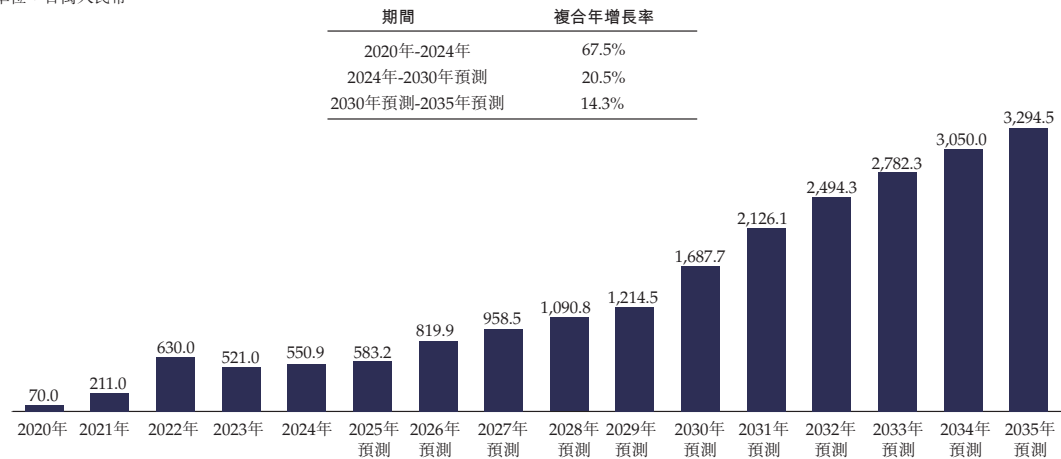


資料來源：弗若斯特沙利文分析

中國SMA藥物市場由2020年的人民幣0.700億元增至2024年的人民幣5.509億元，複合年增長率為67.5%，預計將於2030年增長至人民幣16.877億元，2024年至2030年的複合年增長率為20.5%，並於2035年進一步增長至人民幣32.945億元，2030年至2035年的複合年增長率為14.3%。下圖載列2020年至2035年中國SMA藥物的歷史及預測市場規模：

中國SMA藥物治療市場，2020年-2035年預測

單位：百萬人民幣



資料來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

SMA 藥物管線的競爭格局

截至最後實際可行日期，全球有四種已獲批的SMA藥物及五種SMA候選藥物處於臨床開發階段。下圖載列全球已上市及臨床階段的SMA藥物：

全球已獲批的SMA藥物

品牌名稱	通用名稱	作用模式	公司	適應症	首次批准日期	2024年全球銷售額 (十億美元)
SPINRAZA	諾西那生鈉	ASO	渤健	SMA	2016/12/23	1.6
ZOLGENSMA	Onasemnogene Abepravovec-xioi	基因療法	諾華	SMA	2019/5/24	1.2
EVRYSDI	利司撲蘭	小分子	基因泰克	SMA	2020/8/7	2.0
ITVISM	Onasemnogene Abepravovec-brve	基因療法	諾華	SMA	2025/11/24	不適用

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次批准日期指研究記錄首次在FDA上可供查閱的日期。
3. 僅包括原研藥，不包括仿製藥及複方藥物。

來源：FDA、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

全球臨床階段的SMA藥物

管線	公司	作用模式	臨床階段	適應症	首次發佈日期
Apitegromab...	Scholar Rock	抗體	BLA	SMA 2/3型	2025年2月8日
Salanersen.....	渤健	寡核苷酸	III期	SMA 2型	2025年10月28日
NMD670	NMD Pharma	小分子	II期	SMA 3型	2023年4月3日
ANB-004	Biocad	基因療法	I/II期	SMA	2023年2月17日
GB221.....	Gemma	基因療法	I/II期	SMA 1型	2025年7月17日
	Biotherapeutics				

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次發佈日期指研究記錄首次在Chinadrugtrials.org.cn或Clinicaltrials.gov上可供查閱的日期。
3. 臨床階段指最新的臨床試驗以及首次發佈日期。
4. 僅包括過去三年內活躍的管線
5. 僅包括I期以上的臨床試驗

資料來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

截至最後實際可行日期，中國有兩種已獲批的SMA藥物及五種SMA候選藥物處於臨床開發階段。下圖載列中國已上市及臨床階段的SMA藥物：

中國批准的SMA藥物

品牌名稱	學名	藥物類型	公司	適應症	首次批准日期
Spinraza	Nusinersen	ASO	百健	SMA	2019/2/22
艾滿欣	Risdiplam	小分子	羅氏	SMA	2021/6/16

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次批准日期指研究記錄首次在國家藥監局上可供查閱的日期。
3. 僅包括原研藥，不包括仿製藥及複方藥物。

來源：國家藥監局、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

中國臨床階段的SMA藥物

管線	公司	作用模式	臨床階段	適應症	首次發佈日期
OAV101 IT.....	諾華	基因療法	BLA	SMA	2025年8月2日
GC101	北京錦籃基因	基因療法	III期	SMA 2型	2025年5月16日
EXG001-307....	廣州嘉因	基因療法	I/II期	SMA 1型	2022年9月29日
GC101	北京錦籃基因	基因療法	I/II期	SMA 1型	2023年1月12日
GC101	北京錦籃基因	基因療法	I/II期	SMA 3型	2024年5月23日

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次發佈日期指研究記錄首次在Chinadrugtrials.org.cn或Clinicaltrials.gov上可供查閱的日期。
3. 臨床階段指最新的臨床試驗以及首次發佈日期。
4. 僅包括過去三年內活躍的管線
5. 僅包括I期以上的臨床試驗

來源：CDE、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

SMA治療市場的增長動力及未來趨勢

根據弗若斯特沙利文的資料，SMA治療市場的增長主要受以下因素所推動：

- *科學突破與未滿足的需求*。以Zolgensma為代表，基因療法已取得重大突破。即使現有療法已顯著改善生存率和運動結果，SMA，尤其是其嚴重類型，仍然缺乏最佳治療方法。現有方案在療效、持久性、遞送及安全性方面面臨局限，突顯出對更有效、更安全治療方法的需求。這種未被滿足的剛性醫療需求為後續的市場准入、醫保談判突破以及支付體系對高價創新藥物的接納提供了核心合理性支持。
- *政策與支付環境*。全球主要監管機構已為SMA療法建立了快速審批通道，顯著縮短了上市時間，使產品能夠更快地送達患者。國家醫療保障局(NHSA)通過對國家醫保藥品目錄(NRDL)的動態調整，將部分罕見病藥物納入報銷範圍。儘管價格高昂，但製藥公司談判、醫療保險准入及分期付款等創新支付方案改善了藥物可及性，成為市場擴張的關鍵驅動力。
- *意識增強與早期識別*。醫生及公眾對SMA的認識不斷提高，加之基因檢測的普及，縮短了診斷時間。這使得更多患者能夠被識別並開始治療。此外，強大的患者組織提高了社會對該疾病的認識。彼等積極推動政策改革、藥物可及性及研發進展，成為市場發展的關鍵驅動力。

根據弗若斯特沙利文的資料，SMA治療市場的未來趨勢如下：

- *基因療法策略的進步*。基因療法策略的進步將專注於(i)更優的AAV衣殼：具有更高中樞神經系統(CNS)嗜性的新型衣殼有望提高治療療效，而減少肝臟轉導可降低肝毒性並提高安全性，其逃逸現有中和抗體的能力將擴大合資格患者群體；(ii)啟動子工程：採用組織特異性或細胞類型特異性啟動子以精確調控SMN基因表達並增強安全性；及(iii)過渡到更具靶向性及更安全的基因替代設計：儘管目前的基因替代療法(如Zolgensma)已確立了SMA的治療模式，但仍需進一步提高安全性及療效。EXG001-307 (SMA 1型)採用增強設計，在一個更受控的啟動子下遞

行業概覽

送一個功能性SMN轉基因，實現高效的運動神經元表達，同時限制外周活性，從而改善整體的安全性及療效特徵。

- **支付與可及性創新。**支付與可及性方面的創新主要體現在(i)深化創新支付模式：為解決高昂的治療成本問題，基於療效的支付協議、長期分期付款計劃及保險精算模型將變得更加普遍。該等模式旨在為付款人分擔風險、提高藥物可及性並確保製藥公司的回報；及(ii)全球市場擴張及本地化：公司可採取本地化生產及差異化定價等策略，在該等價格敏感但潛力巨大的市場中實現增長。
- **生產規模擴大與成本優化。**生產規模擴大與成本優化主要包括三個方面：(i)工藝強化與優化：採用更高效的上游及下游工藝，如懸浮細胞培養系統、改進的純化方法及更高產能的生物反應器，以提高一致性並減少批次間的差異；(ii)通過技術創新降低成本：實施自動化、模塊化生產及分析驅動的工藝控制，以降低生產成本並支持可持續的長期定價模式；及(iii)增強供應鏈可靠性：加強全球供應鏈及原材料採購，以確保持續供應，尤其是對於需要長期或反復給藥的療法。

眼底新生血管疾病藥物市場概覽

概覽

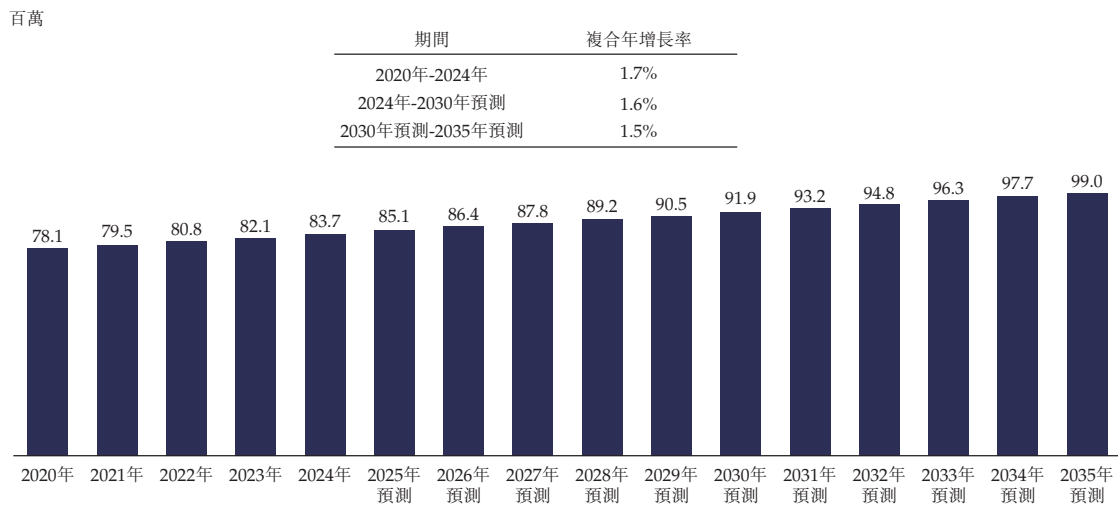
眼底新生血管疾病指因眼底新生血管生長引起的出血、滲出及增生等病理變化而影響視力的一組眼部疾病。目前，眼底新生血管的發病機制尚未完全闡明。環境及遺傳因素均起主要作用，其他風險因素包括糖尿病、高血壓及衰老。主要的眼底新生血管疾病包括濕性年齡相關性黃斑變性(wAMD)、糖尿病黃斑水腫(DME)及視網膜靜脈阻塞(RVO)。

行業概覽

眼底新生血管疾病的患病率

2024年，全球眼底新生血管疾病的患病率達到8,370萬，2020年至2024年的複合年增長率為1.7%。據估計，全球眼底新生血管疾病的患病率將於2030年達到9,190萬，2024年至2030年的複合年增長率為1.6%，並預計將於2035年進一步增長至9,900萬，2030年至2035年的複合年增長率為1.5%。下圖說明全球眼底新生血管疾病的歷史及預測患病率：

全球眼底新生血管疾病盛行率，2020年-2035年預測



來源：弗若斯特沙利文分析

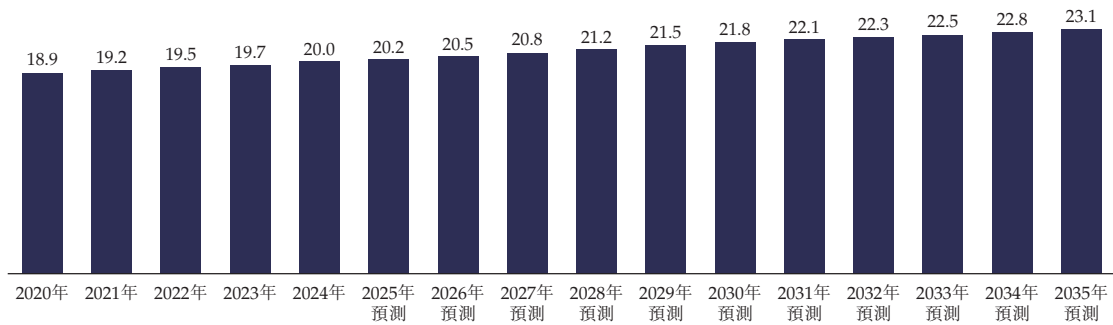
行業概覽

2024年，中國眼底新生血管疾病的患病率達到2,000萬，2020年至2024年的複合年增長率為1.4%。據估計，中國眼底新生血管疾病的患病率將於2030年達到2,180萬，2024年至2030年的複合年增長率為1.4%，並預計將於2035年進一步增長至2,310萬，2030年至2035年的複合年增長率為1.2%。下圖說明中國眼底新生血管疾病的歷史及預測患病率：

中國眼底新生血管疾病患病率，2020年-2035年預測

百萬

期間	複合年增長率
2020年-2024年	1.4%
2024年-2030年預測	1.4%
2030年預測-2035年預測	1.2%



來源：弗若斯特沙利文分析

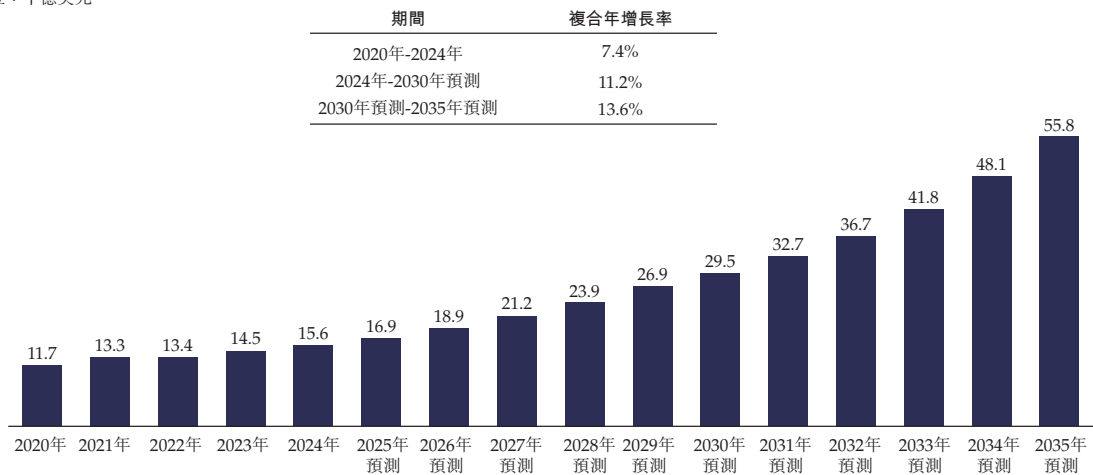
行業概覽

眼底新生血管疾病藥物的市場規模

全球眼底新生血管疾病藥物治療市場於過往大幅擴張，並預計將進一步增長。預計將由2024年的約156億美元增長至2030年的295億美元，複合年增長率為11.2%，並預計將於2035年進一步增長至558億美元，2030年至2035年的複合年增長率為13.6%。下圖載列2020年至2035年全球眼底新生血管疾病藥物的歷史及預測市場規模：

全球眼底新生血管疾病藥物治療市場，2020年-2035年預測

單位：十億美元



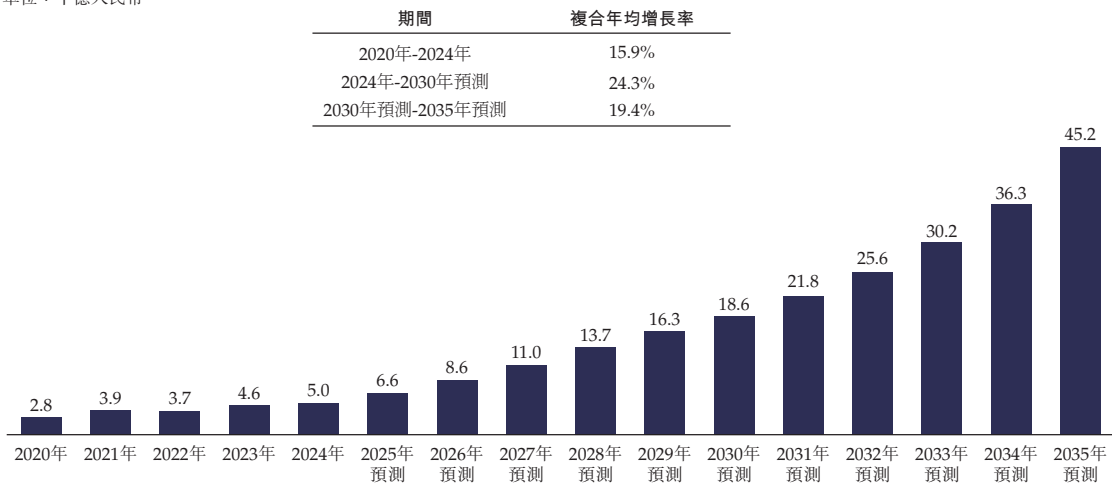
來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

中國眼底新生血管疾病藥物治療市場預計將由2024年的約人民幣50億元增長至2030年的人民幣186億元，複合年增長率為24.3%，並預計將於2035年進一步增長至人民幣452億元，2030年至2035年的複合年增長率為19.4%。下圖載列2020年至2035年中國眼底新生血管疾病藥物的歷史及預測市場規模：

中國眼底新生血管疾病藥物治療市場，2020年-2035年預測

單位：十億人民幣



資料來源：弗若斯特沙利文分析

wAMD 概覽

年齡相關性黃斑變性(AMD)，亦稱老年性黃斑變性，是一種導致老年人嚴重視力損害甚至失明的眼病。患者多在50歲以上，病情可同時或相繼影響雙眼。根據病理變化，AMD可分為「濕性」和「幹性」兩種類型。濕性AMD (wAMD)，亦稱新生血管性AMD (nAMD)，約佔所有AMD患者的10%至15%，但其對視力的損害遠大於幹性AMD。

wAMD的主要特徵為黃斑區的脈絡膜新生血管(CNV)或視網膜新生血管等病理特徵。其亦可伴有視網膜水腫，以及視網膜滲出、出血、癍痕形成及其他變化。目前，其發病機制尚不清楚，可能與年齡、環境、遺傳、氧化應激、脂質代謝及免疫反應等多種因素有關。

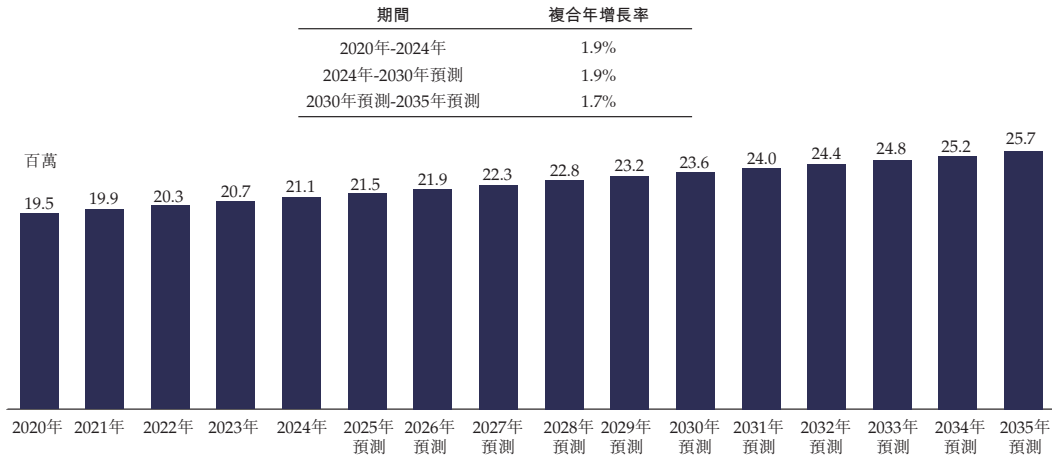
wAMD是黃斑新生血管(MNV)的同義詞，可分為三種類型(1型、2型、3型)。1型MNV包括隱匿性脈絡膜新生血管(舊稱)和作為亞型的PCV，2型對應於典型的脈絡膜新生血管，3型即視網膜血管瘤樣增生(RAP)。所有MNV類型均涉及脈絡膜或視網膜的異常血管生長，導致視網膜水腫、出血、滲出，並隨後導致嚴重視力喪失。

行業概覽

wAMD的患病率

2024年，全球wAMD的患病率達到2,110萬，2020年至2024年的複合年增長率為1.9%。據估計，全球wAMD的患病率將於2030年達到2,360萬，2024年至2030年的複合年增長率為1.9%，並預計將於2035年進一步增長至2,570萬，2030年至2035年的複合年增長率為1.7%。下圖說明全球wAMD的歷史及預測患病率：

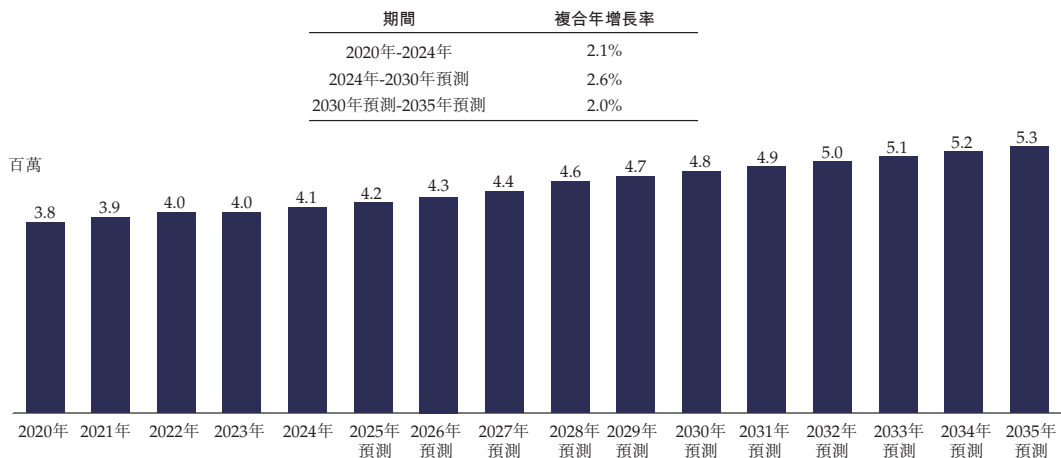
全球濕性老年性黃斑部病變(wAMD)盛行率，2020年-2035年預測



來源：弗若斯特沙利文分析

2024年，中國wAMD的患病率達到410萬，2020年至2024年的複合年增長率為2.1%。據估計，中國wAMD的患病率將於2030年達到480萬，2024年至2030年的複合年增長率為2.6%，並預計將於2035年進一步增長至530萬，2030年至2035年的複合年增長率為2.0%。下圖說明中國wAMD的歷史及預測患病率：

中國濕性老年性黃斑部病變(wAMD)患病率，2019年-2030年預測



來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

眼底新生血管疾病的現有治療方案

目前市場上眼底新生血管疾病的主要治療方案有三種：抗體(如蘭尼單抗)、融合蛋白(如阿柏西普)及基因療法。下表載列該等三種主要治療方案於機制、療效、安全性、給藥方式及便利性等方面的比較：

類別	抗體藥物 (如蘭尼單抗)	融合蛋白 (如阿柏西普)	基因療法
作用機制	結合並抑制VEGF-A，阻斷病理性血管滲漏及新生血管形成。	作為VEGF「陷阱」，結合VEGF-A、VEGF-B及PlGF，以實現多靶點抑制	使用載體 (如AAV) 將抗VEGF基因遞送至視網膜細胞，從而能夠持續局部產生治療性蛋白。
主要療效	濕性年齡相關性黃斑變性：抑制新生血管形成，改善／維持視力。 RVO：減輕黃斑水腫，改善視力。 DME：減輕黃斑水腫，穩定或改善視力。	濕性年齡相關性黃斑變性/RVO/DME：療效與抗體相當或更優；多靶點作用或有益於部分患有難治性水腫或濕性年齡相關性黃斑變性的患者。	在所有三種情況下，通過單次治療實現長期、穩定的抗VEGF表達，旨在獲得持續的解剖學及視力益處。目前大多數臨床數據主要集中於濕性年齡相關性黃斑變性。
安全性	玻璃體內注射相關風險：感染、眼內壓升高、眼內出血、視網膜脫離。各適應症的風險特徵相似。	整體安全性特徵與抗體藥物相似。	局部表達理論上可減少全身暴露。長期安全性、免疫原性及載體相關炎症正在評估中
給藥方案	濕性年齡相關性黃斑變性：每月負荷劑量，然後每4-8週注射一次。 RVO：每月一次直至水腫消退，然後可延長間隔時間。 DME：每月負荷劑量，然後每4-8週注射一次，穩定後或可延長間隔時間	濕性年齡相關性黃斑變性：負荷階段，然後每8-12週注射一次。 RVO/DME：亦採用負荷+按需／延長維持；與抗體相比，較長的半衰期或允許更長的維持間隔。	單次玻璃體內注射。旨在消除所有三種情況下重複注射的需求。
治療負擔	高。需要終身或長期定期門診及注射，特別是對於濕性年齡相關性黃斑變性。對於穩定的RVO/DME患者，負擔或會減輕。	中至高。注射頻率通常低於抗體，但仍需要長期、定期的治療和監測	潛力高。旨在將治療模式從「慢性管理」轉變為「一次性干預」，從而顯著減輕患者及醫療系統的長期負擔。

資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

眼底新生血管疾病藥物的競爭格局

截至最後實際可行日期，全球有四種已獲批的眼底新生血管疾病藥物及八種wAMD候選藥物處於臨床開發階段。下圖載列全球已上市及臨床階段的眼底新生血管疾病：

全球已獲批的眼底新生血管疾病藥物

品牌名稱	通用名稱	靶點	公司	作用模式	適應症	首次批准日期	2024年 全球 銷售額 (十億 美元)
LUCENTIS..	蘭尼單抗	VEGF-A	基因泰克	抗體	<ul style="list-style-type: none"> • wAMD • RVO • DME • DR • mCNV 	2006年 6月30日	1.0
EYLEA.....	阿柏西普	VEGF-A/B、 PIGF	再生元	融合蛋白	<ul style="list-style-type: none"> • wAMD • RVO • DME • DR • ROP 	2011年 11月18日	5.97
BEOVU	佈羅魯珠 單抗	VEGF-A	諾華	抗體	<ul style="list-style-type: none"> • wAMD • DME 	2019年 10月7日	不適用
VABYSMO..	法瑞西單抗	VEGF-A、 Ang2	基因泰克	抗體	<ul style="list-style-type: none"> • wAMD • DME • RVO 	2022年 1月28日	3.9

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次批准日期指研究記錄首次在FDA上可供查閱的日期。
3. 僅包括原研藥，不包括仿製藥及複方藥物

來源：FDA、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

全球臨床階段的眼底新生血管疾病藥物

靶點	藥物名稱/代號	公司	臨床階段	適應症	首次發佈日期
VEGF	ABBV-RGX-314	艾伯維	II/III期	nAMD	2021/1/12
			II期	DME	2025/4/16
VEGF	Ixoberogene Soroparvovec	Adverum Biotechnologies	III期	nAMD	2025/3/4
VEGF-A/B/C, PlGF	4D-150	4D Molecular Therapeutics	III期	nAMD	2025/3/7
			II期	DME	2023/7/5
VEGF-A	NG101	Neuracle Genetic	I/II期	nAMD	2023/8/9
VEGF-A/B/C/D, ANG2, PlGF	EXG202	Exegensis Bio	I/II期	wAMD	2025/9/17
VEGF-A/B/C/D, ANGPT2, PlGF	EXG102-031	Exegensis Bio	I期	wAMD	2023/6/6
VEGF	KH631	康弘藥業	I期	nAMD	2022/12/10
VEGF	KH658	康弘藥業	I期	nAMD	2025/2/8

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次發佈日期指研究記錄首次在Chinadrugtrials.org.cn或Clinicaltrials.gov上可供查閱的日期。
3. 臨床階段指最新的臨床試驗以及首次發佈日期。
4. 僅包括過去五年內活躍的管線

來源：*Clinicaltrials.gov*、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

截至最後實際可行日期，中國有五種已獲批的眼底新生血管疾病藥物及15種眼底新生血管疾病候選藥物處於臨床開發階段。下圖載列中國已上市及臨床階段的眼底新生血管疾病藥物：

中國已獲批的眼底新生血管疾病藥物

品牌名稱	通用名稱	靶點	公司	作用模式	適應症	首次批准日期
諾適得	蘭尼單抗	VEGF-A	諾華	抗體	<ul style="list-style-type: none"> • wAMD • DME • DR • RVO • CNV 	2011/12/31
朗沐	康柏西普	VEGF-A/B, PlGF	康弘藥業	融合蛋白	<ul style="list-style-type: none"> • nAMD • pmCNV • DME • RVO 	2013/11/29
艾力雅	阿柏西普	VEGF-A/B, PlGF	拜耳	融合蛋白	<ul style="list-style-type: none"> • nAMD • DME 	2018/2/2
羅視佳	法瑞西單抗	VEGF-A, Ang2	羅氏	抗體	<ul style="list-style-type: none"> • DME • nAMD • RVO 	2023/12/13
倍優適	布羅魯珠單抗	VEGF-A	諾華	抗體	<ul style="list-style-type: none"> • DME 	2025/5/28

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次批准日期指研究記錄首次在國家藥監局上可供查閱的日期。
3. 僅包括原研藥，不包括仿製藥及複方藥物

來源：國家藥監局、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

中國臨床階段的眼底新生血管疾病藥物

靶點	藥物名稱/代號	公司	臨床階段	適應症	首次發佈日期
VEGF	AL-001	安龍生物	II期	wAMD	2025/2/18
VEGF	LX102	朗信昂昇	I/II期	nAMD	2023/1/19
VEGF	KH631	康弘藥業	I/II期	nAMD	2023/2/2
VEGF	FT-003	方拓生物	I/II期	nAMD	2023/8/21
VEGF-A/B/C/D, ANGPT2, PIGF	EXG102-031	Exegenes Bio	I/II期	wAMD	2023/10/12
VEGF	FT-003	方拓生物	I/II期	DME	2023/10/27
VEGF	RRG001	鼎新基因	I/II期	nAMD	2023/11/21
VEGF-A	SKG0106	九天/攬月生物	I/II期	nAMD	2023/12/27
ANG2,VEGF-A	XMVA09	星眸生物	I/II期	wAMD	2024/4/12
VEGF	JWK001	金唯科	I/II期	nAMD	2024/5/30
VEGF	KH658	康弘藥業	I/II期	nAMD	2024/6/17
ANG2	IVB103	諾雅生物	I/II期	nAMD	2024/11/29
不適用	NGGT007	Next Generation Gene Therapeutics	I/II期	nAMD	2025/1/16
VEGF-A/B/C/D, ANGPT2, PIGF	EXG202	Exegenes Bio	I/II期	wAMD	2025/9/18
VEGF	CRG-B191	CorreGe	I/II期	wAMD	2025/11/6

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次發佈日期指研究記錄首次在Chinadrugtrials.org.cn或Clinicaltrials.gov上可供查閱的日期。
3. 臨床階段指最新的臨床試驗以及首次發佈日期。
4. 僅包括過去三年內活躍的管線

來源：CDE、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

眼底新生血管疾病治療市場的增長動力及未來趨勢

根據弗若斯特沙利文的資料，眼底新生血管疾病治療市場的增長主要受以下因素所推動：

- *患者人數不斷增加。*人口結構轉變，包括人口老齡化及慢性系統性疾病(如糖尿病及心血管疾病)患病人數上升，正推動主要視網膜血管疾病(包括wAMD、DME及RVO)的患者人數持續增長。生活方式的改變及慢性疾病患者存活率的提高，導致疾病發病率增加及長期治療需求上升。篩查計劃的加強、視網膜影像檢查的普及以及疾病意識的提高，正促使診斷率及早期干預率上升，進一步擴大已治療患者群體。
- *長效及創新的治療方式。*長效生物製劑通過減少注射頻率、改善依從性、提高患者生活質量及簡化臨床工作流程，解決了包括wAMD在內的眼底新生血管疾病的關鍵未滿足需求，對臨床醫生及付款人極具吸引力。長效藥物亦通過惠及難以頻繁就診或對傳統抗VEGF療法反應不佳的個體，擴大了合資格患者群體。能有效延長給藥間隔或提供持續治療暴露的技術正成為研發、合作及投資的主要焦點，並定位為市場增長的主要引擎。
- *報銷及政策支持。*國家及地區對視網膜疾病的報銷範圍持續擴大，預計將改善患者獲得創新療法的渠道，並減輕wAMD、DME及RVO患者的長期財務負擔。鼓勵慢性眼科疾病治療創新的政策舉措，支持先進生物製劑及新型治療模式的批准、採納及應用。經加強的報銷機制及患者援助計劃促進了早期治療啟動及持續疾病管理，從而提高了整體治療滲透率及市場增長。

根據弗若斯特沙利文的資料，wAMD治療市場的未來趨勢如下：

- *長效及持續釋放。*持續開發具有更長持久性的藥物，以減少注射頻率及提高患者依從性。基因療法或可減少或免除終身玻璃體內注射，從而提高患者依從性及生活質量。例如，臨床試驗中的基於AAV的抗VEGF基因療法已顯示出持續的蛋白表達，顯著減少了重複注射的需求。更長的持久性可降低醫療負擔及就診次數，較傳統抗VEGF療法更具優勢。

行業概覽

- **多靶點及聯合療法。**針對新生血管形成所涉多種途徑(例如VEGF、ANG2、PIGF途徑)的療法日益受到關注。聯合方案及多靶點生物製劑旨在克服對抗VEGF單一療法的耐藥性或欠佳反應。新型多途徑靶向藥物旨在穩定更大部分患者的病情，同時降低黃斑萎縮的風險。
- **微創及新型遞送。**未來，wAMD治療旨在提高患者舒適度，減少與手術相關的併發症，並擴大先進治療的可及性。探索侵入性較小的給藥途徑，包括玻璃體內及脈絡膜上給藥途徑，以增強組織滲透並降低手術風險。實現非侵入性給藥途徑將需要開發及改造能夠高效遞送功能性治療劑的新型載體。

法佈里病藥物市場概覽

概覽

法佈里病(FD)是一種X連鎖隱性溶酶體貯積症。法佈里病可影響男性及女性，但女性的症狀更具可變性，從無症狀到重度症狀不等。其由GLA基因(位於Xq22.1)的突變引起，導致 α -半乳糖苷酶A(α -Gal A)活性缺乏。這導致糖鞘脂底物三己糖神經醯胺(Gb3)及其衍生物脫醯基Gb3在組織中積累。Gb3/脫醯基Gb3的積累會引發溶酶體功能障礙、炎症、氧化應激、血管平滑肌增生及細胞死亡，最終導致包括心臟及腎臟在內的多個器官的纖維化及缺血。

行業概覽

法佈里病藥物的競爭格局

截至最後實際可行日期，全球有三種已獲批的法佈里病藥物及三種法佈里病候選藥物處於臨床開發階段。下圖載列全球已上市及臨床階段的法佈里病藥物：

全球已獲批的法佈里病藥物

品牌名稱	通用名稱	作用機制	公司	適應症	首次批准日期	2024年全球銷售額 (百萬美元)
Fabrazyme	Agalsidas	外源性 α -Gal A酶 (ERT)	Sanofi B.V.	法佈里病	2003-04-24	1,098
Galafold	Migalastat Hydrochloride	α -Gal A穩定劑 (分子伴侶)	Amicus Therapeutics	法佈里病	2018-08-10	458.1
Elfabrio	Pegunigalsidase Alfa-iwxj	外源性 α -Gal A酶 (ERT，半衰期更長)	Chiesi Farmaceutici Spa	法佈里病	2023-05-09	不適用*

附註：

1. 另有一種藥物亦可用於治療法佈里病，名為Replagal，於2001年8月3日首次獲EMA批准；
2. 行業資料截至2026年1月6日。
3. 首次批准日期指研究記錄首次在FDA上可供查閱的日期。
4. 僅包括原研藥，不包括仿製藥及複方藥物

*：於2024年，Protalix向Chiesi銷售Elfabrio產生2,930萬美元的銷售額。

來源：FDA、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

全球臨床階段的法佈里病藥物

管線	公司	模式	臨床階段	適應症	首次發布日期
ST-920	Sangamo Therapeutics	GLA	生物製劑許可申請	法布瑞氏症	2025-11-21
AMT-191	UniQure biopharma	GLA	第I/II期	法布瑞氏症	2024-02-21
HM15421	GC Biopharma	GLA	第I/II期	法布瑞氏症	2025-03-05

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次發布日期指研究記錄首次在Chinadrugtrials.org.cn或Clinicaltrials.gov上可供查閱的日期。
3. 臨床階段指最新的臨床試驗以及首次發布日期。
4. 僅包括過去三年內活躍的管線

來源：Clinicaltrials.gov、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

截至最後實際可行日期，中國有兩種已獲批的法佈里病藥物及三種法佈里病候選藥物處於臨床開發階段。下圖載列中國已上市及臨床階段的法佈里病藥物：

中國已獲批的法佈里病藥物

品牌名稱	學名	療法	公司	適應症	首次批准日期
法布贊® (注射用阿加糖酶β)	阿加糖酶β	外源性α-半乳糖苷酶A (ERT)	賽諾菲B.V.	法布瑞氏症	2019-12-18
瑞普佳®	阿加糖酶α濃縮溶液	外源性α-半乳糖苷酶A (ERT)	武田	法布瑞氏症	2025-05-19

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次批准日期指研究記錄首次在國家藥監局上可供查閱的日期。
3. 僅包括原研藥，不包括仿製藥及複方藥物

來源：國家藥監局、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

中國臨床階段的法佈里病藥物

管線	公司	作用模式	臨床階段	適應症	首次發佈日期
AL 01211*	AceLink	GCS	II期	法布里病	2023-10-28
ZS805	四川至善唯新生物 科技有限公司	GLA	I/II期	法布里病	2024-12-16
EXG110	Exegensis Bio	GLA	I/II期	法布里病	2025-01-26

附註：

1. 行業資料截至2026年1月6日。
2. 首次發佈日期指研究記錄首次在Chinadrugtrials.org.cn或Clinicaltrials.gov上可供查閱的日期。
3. 臨床階段指最新的臨床試驗以及首次發佈日期。
4. 僅包括過去三年內活躍的管線

* : AL 01211是一種小分子藥物。

來源：CDE、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

寡核苷酸藥物市場概覽

概覽

寡核苷酸是一類單鏈或雙鏈的小合成核酸聚合物(≈20-mer)，可用於調節基因表達，寡核苷酸藥物則是一類在分子水平上靶向疾病相關RNA的療法，在調節基因表達方面具有序列特異性的精確度。主要的寡核苷酸包括siRNA、ASO、適配體及AOC。截至最後實際可行日期，全球主要監管機構已批准約八種siRNA藥物、十種ASO藥物及一種適配體藥物。

行業概覽

寡核苷酸藥物市場規模

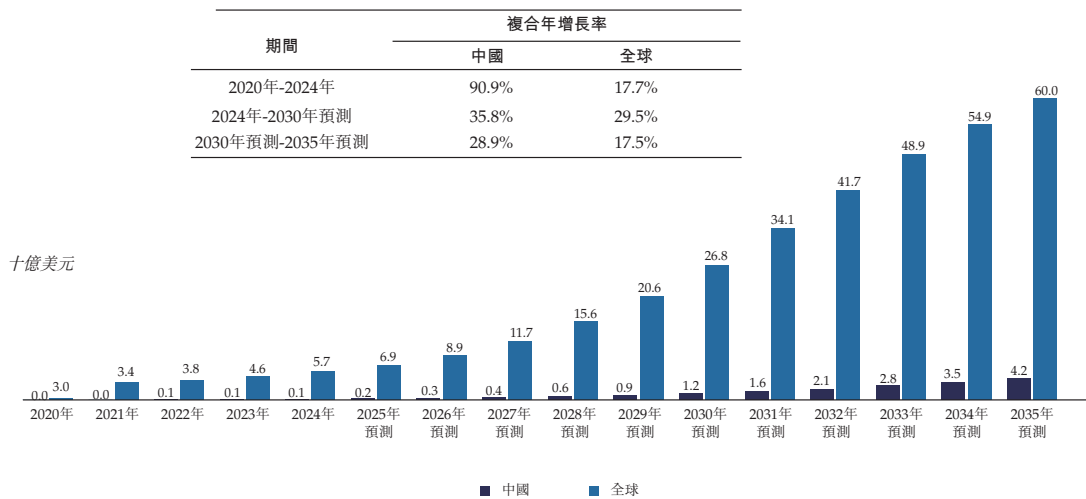
全球寡核苷酸藥物市場規模從2020年的30億美元增長至2024年的57億美元，複合年均增長率(CAGR)為17.7%。預計到2030年和2035年，市場規模將分別達到268億美元與600億美元，複合年均增長率分別為29.5%和17.5%。在中國，該市場在2024年已達到1億美元。預計到2030年，中國市場將增長至12億美元，複合年均增長率為35.8%；並將於2035年進一步增長至42億美元，複合年均增長率為28.9%。

在中國，以寡核苷酸為基礎的藥物市場於2024年已達到1億美元。預計到2032年，中國市場將增長至21億美元，複合年均增長率為23.7%；並預計於2040年進一步增長至84億美元，複合年均增長率為18.7%。

在治療領域方面，用於治療神經系統疾病的寡核苷酸藥物比例從2020年的12.8%增加到2025年的18.7%，反映出研發重心正明顯轉向神經系統適應症。

下圖載列2020年至2040年全球及中國寡核苷酸藥物市場的歷史及預測市場規模：

全球及中國寡核苷酸藥物市場規模，2020年-2035預測



資料來源：弗若斯特沙利文分析

全球寡核苷酸藥物管線

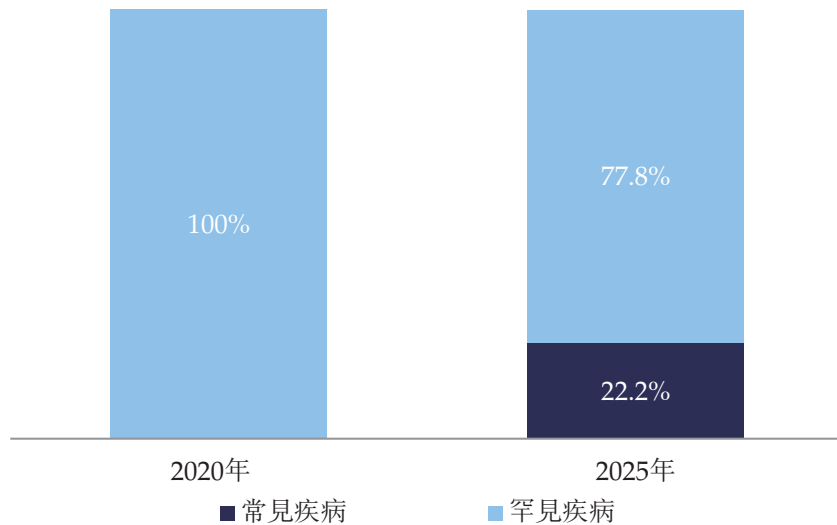
全球已有超過300種寡核苷酸藥物進入臨床管線，其中僅約10.5%進入臨床III期，大部分處於臨床II期或以下。當前治療管線的一個主要趨勢是將寡核苷酸藥物的應用範圍從肝靶向疾病擴展至神經系統疾病等其他領域。這一轉變反映出，隨著技術及遞送方法的進步使該等療法成為可能，對神經系統疾病領域大量未獲滿足的需求的關注日益增加。

行業概覽

就治療領域而言，用於治療神經系統疾病的寡核苷酸藥物佔比從2020年的12.8%增至2025年的18.7%，反映出向神經系統適應症的重大轉變。

在神經系統疾病的寡核苷酸藥物研發管線中，常見疾病的佔比顯著上升，從2020年的0.0%增至2025年的22.2%。該趨勢清楚表明，寡核苷酸藥物技術正突破其對罕見病的傳統關注，並加速向擁有更龐大患者群體的常見神經系統疾病擴展。下圖載列2020年至2025年按疾病類型劃分的寡核苷酸藥物的百分比：

神經寡核苷酸藥物研發管線的構成



來源：Clinicaltrials、弗若斯特沙利文分析

寡核苷酸藥物市場的增長動力及未來趨勢

根據弗若斯特沙利文的資料，寡核苷酸藥物市場的增長主要受以下因素所推動：

- **技術突破。**寡核苷酸療法的最新進展已顯著擴大其臨床潛力及市場吸引力。化學修飾及骨架化學的改進增強了反義寡核苷酸(ASO)、siRNA及其他寡核苷酸模式的穩定性，從而實現更長的體內半衰期及更可預測的藥代動力學。此外，遞送技術的創新，從先進的偶聯物到受體介導的組織特異性靶向，實現了肝臟以外的有效分佈，從而將適用性擴

行業概覽

展至更廣泛的組織及疾病適應症。此外，生產平台的進步提高了可擴展性、產品質量及成本效益，支持臨床級及商業級寡核苷酸的可靠生產。總之，該等技術突破降低了開發壁壘，提高了治療療效，並擴大了寡核苷酸藥物的潛在市場。

- **擴大目標適應症。**寡核苷酸藥物(ASO、siRNA及AOC)最初主要專注於可精確靶向單基因突變的罕見遺傳病，如杜氏肌營養不良症(DMD)及脊髓性肌萎縮症(SMA)，但該領域目前正經歷向慢性疾病的重大範式轉變。AOCs旨在將單克隆抗體的組織靶向特異性與寡核苷酸的序列選擇性基因調節能力相結合，這對於基因表達失調驅動的疾病尤其適用。AOCs的適應症研究範圍涵蓋腫瘤學、神經肌肉疾病及代謝性疾病。
- **精準醫療及靶向治療的需求不斷上升。**寡核苷酸藥物能夠高度特異性地調節基因表達，從而有能力在分子水平上應對疾病機制。這使其對於傳統小分子或生物製劑可能無效的遺傳病、癌症、神經系統疾病及其他複雜疾病極具吸引力。由於全球對精準醫療的需求顯著增長，對寡核苷酸藥物的需求亦將增加。
- **資本及政策支持。**中國政府的政策為寡核苷酸藥物的研發及商業化營造了有利環境。「十四五」規劃等關鍵政策明確將新型遞送系統及核酸療法列為優先事項，並輔以稅收優惠及研發補貼。國家藥監局的優先審評通道顯著加快了創新型藥物(包括寡核苷酸藥物)的審批進度。該等政策降低了研發風險及成本，激勵國內外公司在中國推進寡核苷酸藥物開發及市場准入。

根據弗若斯特沙利文的資料，寡核苷酸藥物市場的未來趨勢如下：

- **向常見疾病領域擴展。**寡核苷酸藥物最初僅限於治療罕見遺傳病，現正準備戰略性地擴展至更常見及廣泛的疾病。未來的發展將優先考慮具有巨大市場機遇的高患病率疾病，如神經退行性、心血管、代謝及腫瘤疾病。這一戰略轉變乃由解鎖新靶點器官的先進遞送系統所促成，並因現有寡核苷酸療法的驗證而加速。通過應對龐大的患者群體，該等新適應症將顯著擴大市場需求，吸引大量投資，並為該技術奠定堅實的商業基礎。

行業概覽

- **新一代遞送及開發。**下一波寡核苷酸類療法浪潮將新穎設計與先進靶向技術相結合，從而能夠系統性地克服關鍵遞送障礙。通過對配體工程、接頭穩定性及寡核苷酸有效載荷進行計算優化，研究人員現可預測性地設計偶聯物，以實現對先前難以觸及的組織(包括中樞神經系統、肌肉及腫瘤)的精準遞送。這種智能化平台融合正將寡核苷酸類療法的應用高效地擴展至神經退行性疾病及腫瘤學等常見疾病領域。
- **通過全球化及改善用藥渠道實現增長。**該領域的成熟正推動著對全球市場擴張及患者用藥渠道的雙重關注。儘管美國及歐盟處於領先地位，但在戰略政策、資金及快速跟進發展的推動下，中國正崛起為一支主要力量，從而加劇了競爭並加速了全球創新。與此同時，要在擁擠的主流市場取得成功，將需要通過便利的給藥方案(如季度注射)、具成本效益的生產及有競爭力的定價來優化產品組合，以確保獲得報銷並擴大患者用藥渠道。