

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、公開市場數據提供商提供的公開資料及獨立第三方弗若斯特沙利文提供的資料。由弗若斯特沙利文編製及於本文件引述的報告乃我們委託編製。本公司、獨家保薦人、[編纂]、我們或彼等各自的任何董事、高級職員、僱員、代理或顧問或參與[編纂]的任何其他人士或各方並無獨立核實政府官方來源的資料，且概未就其準確性、公平性及完整性發表任何聲明。有關與我們行業有關的風險的討論，請參閱本文件「風險因素」。

生物製藥市場概覽

2024年，全球製藥市場估值為15,420億美元，預計到2030年將增長至20,639億美元，2035年進一步增至26,493億美元，2024年至2030年的複合年增長率為5.0%，2030年至2035年的複合年增長率為5.1%。中國市場方面，2024年規模為2,267億美元，預計到2030年將增至2,963億美元，2035年增至4,317億美元，2024年至2030年的複合年增長率為4.6%，2030年至2035年的複合年增長率為7.8%。生物製藥領域的強勁增長勢頭由多重結構性驅動因素支撐：全球慢性病及複雜疾病發病率上升、老齡人口持續增長、醫療支出增加、先進療法需求日益增長，以及單克隆抗體、雙特異性抗體及細胞療法生物技術模式的持續創新。

近年來，中國監管機構（特別是國家藥監局）已實施一系列前瞻性措施以加速藥物研發，特別聚焦於創新療法。這些舉措包括加速審評通道、優先審評及附條件批准、加強數據保護以及對境外臨床證據的更廣泛認可。得益於此，國家藥監局批准的創新藥物數量顯著增加：2020年至2025年，創新化學藥年批准數量從19個增至41個。這一顯著增長凸顯了監管改革措施的成效以及國內製藥企業創新能力的持續提升。更多支持政策亦相繼出台，包括將創新療法納入公共報銷目錄以及實施藥品上市許可持有人制度，這些措施既鼓勵研發投入，亦簡化了商業化流程。綜合來看，這些進展已使中國成為生物製藥創新的活躍中心，並有望影響全球行業趨勢，解決全球患者的關鍵治療需求缺口。

腫瘤藥物市場概覽

癌症治療的演進歷程，始終貫穿著對更有效、更微創療法的持續追求。其已從手術、放療、化療等傳統治療模式，逐步過渡到如今以精準醫療及免疫腫瘤學為主導的格局。手術曾作為癌症治療的基石，對於早期局限性腫瘤仍至關重要；但隨著對癌症生物學認識的深化，手術治療往往需要結合全身性治療，或被全身性治療所替代。放療及化療拓寬了可治療癌症的範圍，對實體腫瘤及血液惡性腫瘤均能發揮治療作用，儘管二者因會對健康組織造成附帶損傷而存在顯著的治療副作用。

近年來，中國腫瘤藥物市場已展現出持續的增長態勢，2020年及2024年市場規模分別為286億美元及359億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為5.8%。該市場規模預計未來將實現顯著擴張，到2030年達到734億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為12.6%；到2035年進一步擴張至1,450億美元，2030年至2035年期間的複合年增長率為14.6%。全球腫瘤藥物市場規模從2020年的1,503億美元增長至2024年的2,533億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為13.9%；預計到2030年將達到4,525億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為10.2%；到2035年將進一步達到7,027億美元的收入規模，2030年至2035年期間的複合年增長率為9.2%。

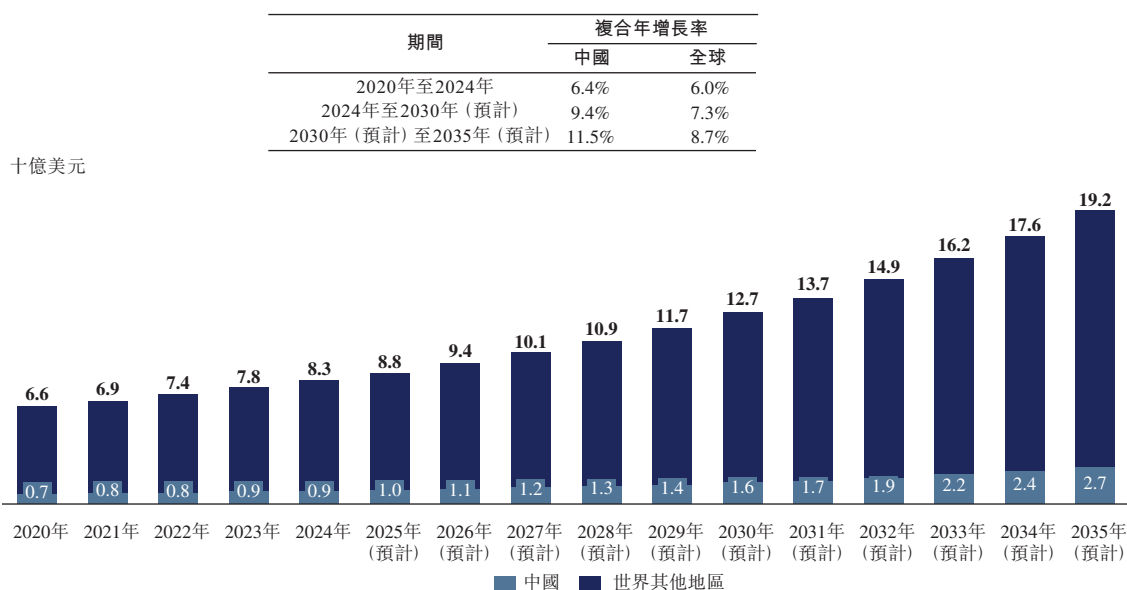
行業概覽

骨髓增殖性腫瘤藥物市場

骨髓增殖性腫瘤(MPN)是一類慢性血液腫瘤，其特徵為造血干細胞和祖細胞調控異常，導致一種或多種成熟血細胞發生克隆性過度生成。其疾病生物學機制通常由JAK2、CALR或MPL基因突變驅動，此類突變可激活JAK-STAT信號通路，進而引發細胞過度增殖、炎性細胞因子信號傳導，部分患者還會出現進行性骨髓纖維化。骨髓纖維化(MF)的特徵為骨髓纖維化、貧血、脾腫大、全身性症狀，且存在向急性白血病進展的風險；真性紅細胞增多症(PV)的特徵為紅細胞總量增多、血細胞比容及血液黏度升高，常伴隨白細胞增多及血小板增多，患者存在血栓形成風險及症狀負擔；原發性血小板增多症(ET)則表現為血小板持續升高及不同程度的微血管症狀，血栓形成及出血併發症是其關鍵臨床關注點。針對骨髓纖維化、真性紅細胞增多症及原發性血小板增多症，治療目標包括症狀控制、血栓風險降低、血細胞計數正常化、脾臟體積縮小及疾病生物學特徵調節。

近年來，中國MPN藥物市場呈持續增長態勢，2020年及2024年的市場規模分別為7億美元及9億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為6.4%。該市場規模預計未來將實現顯著擴張，到2030年達到16億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為9.4%；到2035年進一步擴張至27億美元，2030年至2035年期間的複合年增長率為11.5%。全球MPN藥物市場規模從2020年的66億美元增長至2024年的83億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為6.0%；預計到2030年將達到127億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為7.3%；到2035年將進一步達到192億美元，2030年至2035年期間的複合年增長率為8.7%。下表載列2020年至2035年中國及全球MPN藥物市場的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國MPN市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

骨髓增殖性腫瘤藥物市場的增長驅動因素及未來趨勢

根據弗若斯特沙利文的資料，全球骨髓增殖性腫瘤藥物市場的主要增長驅動因素及未來趨勢包括：

- **癌症患病人數上升。**過去幾十年全球骨髓增殖性腫瘤患病人數不斷上升，從2020年的87.20萬例增至2024年的96.83萬例，複合年增長率達2.7%。這一增長可歸因於人口老齡化、壽命延長及肥胖問題等多重因素。
- **治療可負擔性提升。**癌症治療相關的高昂費用往往會增加治療的複雜性。通過減輕患者的癌症治療經濟負擔來提升治療可負擔性，對推動腫瘤藥物市場的發展至關重要。將創新藥物更廣泛地納入公私保險計劃，已顯著提高患者的藥物可及性以及治療可負擔性。在中國，國家醫保藥品目錄動態擴大腫瘤藥物覆蓋範圍，2020年至2025年期間，每年新增17至36種療法。醫療報銷體系的持續優化減輕了患者的經濟負擔，從而提升了治療的可及性，並推動了藥物市場的增長。
- **精準治療與靶向藥物創新。**通過生物標誌物和JAK-2、CD47等創新靶點推動精準腫瘤學的發展，從而超越EGFR/VEGFR等傳統靶點。針對基因／蛋白質譜定制的靶向療法可應對不同腫瘤亞型，滿足未被滿足醫療需求並推動市場差異化發展。

與此同時，適應症層面的趨勢及驅動因素將為骨髓增殖性腫瘤領域(包括骨髓纖維化、真性紅細胞增多症及原發性血小板增多症)開闢獨特的發展路徑。具體如下：

- **骨髓纖維化**
 - **競爭格局演變與治療前沿拓展。**儘管JAK抑制劑仍是骨髓纖維化治療的基石，但新型JAK2靶向藥物及聯合治療策略正在研發中，以解決第一代治療的主要局限，包括血細胞減少、耐受性問題及疾病改善效果有限。同時，基於JAK2的治療方案正在生物學高風險情況下(如真性紅細胞增多症後骨髓纖維化、原發性血小板增多症後骨髓纖維化及移植前環境)進行評估，目的是在症狀緩解的基礎上實現更深層次的疾病控制。

行業概覽

- **真性紅細胞增多症**
 - **病情改善療法與靶向療法的可及性日益提升。**羅培干擾素 α -2b憑藉其長期的分子和臨床獲益，正從小眾用途擴展到更廣泛的應用，成為適用於早期及高危真性紅細胞增多症的疾病修正療法。同時，新型JAK2靶向抑制劑及基於JAK的聯合治療策略正在改善造血控制及症狀緩解，其應用範圍已超出羥基脲難治性患者群體，並越來越多地在更廣泛的人群中進行評估，包括高危及初治患者。這些趨勢共同擴大符合條件的患者群體，實現更積極主動的疾病管理，並拓展整體市場機遇。

- **原發性血小板增多症**
 - **精準醫療與突變驅動的疾病管理。**治療方案的選擇正日益向基因突變狀態個體化適配，其中JAK2、CALR及MPL基因突變可作為血栓風險評估與治療方案選擇的指導依據。選擇性JAK2抑制劑可精準靶向攜帶驅動突變的異常造血細胞克隆，實現深度清除並延緩疾病向骨髓纖維化進展。與此同時，該類藥物正將ET的治療目標從傳統上側重於「預防和控制血栓併發症」，轉向「降低長期血栓風險、改善患者生存質量及延緩疾病進展」更高維度的治療範式。

JAK抑制劑

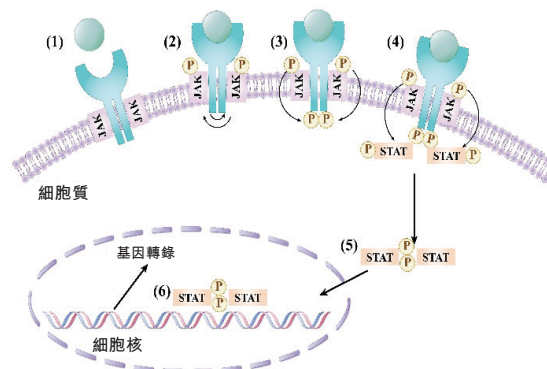
JAK家族包含四種非跨膜酪氨酸激酶，分別為JAK1、JAK2、JAK3及TYK2。這些酶位於細胞因子受體的胞質側，通過JAK-STAT通路將細胞外的免疫信號及生長信號轉化為基因程序。當細胞因子與其受體結合後，成對的JAK通過磷酸化作用實現相互激活，隨後磷酸化受體尾部以招募STAT蛋白。STAT蛋白繼而發生磷酸化並形成二聚體，轉移至細胞核內調控基因轉錄。在家族成員中，JAK2在造血過程中具有獨特的核心地位，因為其可介導促紅細胞生成素、血小板生成素、粒細胞集落刺激因子及多種白細胞介素的受體與STAT3及STAT5偶聯。這一特殊作用定位使JAK2成為紅細胞、血小板、髓系細胞發育以及免疫細胞成熟過程中的關鍵信號節點。

行業概覽

JAK抑制劑的作用機制

骨髓纖維化、真性紅細胞增多症及原發性血小板增多症等骨髓增殖性腫瘤，主要由過度活躍的JAK-STAT信號通路驅動。其中JAK2-V617F突變是最常見的驅動因素，即使沒有配體結合，其也能持續激活JAK2。這種持續信號促使克隆細胞增殖，加劇炎性細胞因子釋放，最終導致脾腫大及臨床症狀。靶向JAK2直擊該生物學機制的核心，通過直接抑制異常信號而非僅控制血細胞計數或炎症反應，實現對大多數PV及眾多MF或ET病例核心分子病變的精準干預。臨床上，這一作用機制已轉化為對羥基脲耐藥或不耐受患者的有效二線控制；在MF治療中，使用如蘆可替尼等藥物能顯著縮小脾臟體積、減輕症狀負擔，並有證據顯示能帶來生存獲益。細胞因子首先與其受體結合，促使兩條受體鏈聚合，使結合於受體的JAK酶相互靠近並為激活做好準備（步驟1）。相鄰的JAK隨後通過添加磷酸基團相互激活，從而啟動其激酶功能（步驟2）。JAK激活後，會在受體尾部添加磷酸，形成吸引胞質內STAT蛋白的特異性錨定位點（步驟3）。被招募的STAT經JAK磷酸化後，可從受體上解離，配對形成二聚體並轉移至細胞核內，以調控與細胞增殖、存活及炎症相關的基因程序（步驟4至步驟6）。

JAK-STAT通路步驟



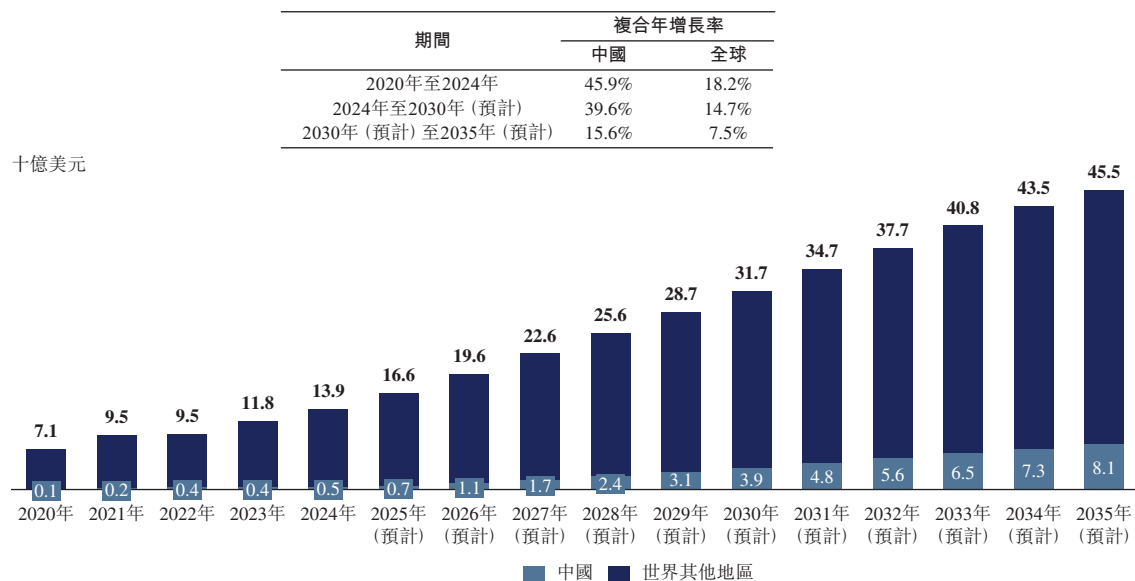
資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

JAK抑制劑市場規模

近年來，中國JAK抑制劑藥物市場呈持續增長態勢，2020年及2024年的市場規模分別為1億美元及5億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為45.9%。該市場規模預計未來將實現顯著擴張，到2030年達到39億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為39.6%；到2035年進一步擴張至81億美元，2030年至2035年期間的複合年增長率為15.6%。全球JAK抑制劑藥物市場規模從2020年的71億美元增長至2024年的139億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為18.2%；預計到2030年將達到317億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為14.7%；到2035年將進一步達到455億美元的收入規模，2030年至2035年期間的複合年增長率為7.5%。下表載列2020年至2035年中國及全球JAK抑制劑藥物市場的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國JAK抑制劑市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

JAK抑制劑在血液惡性腫瘤中的主要適應症

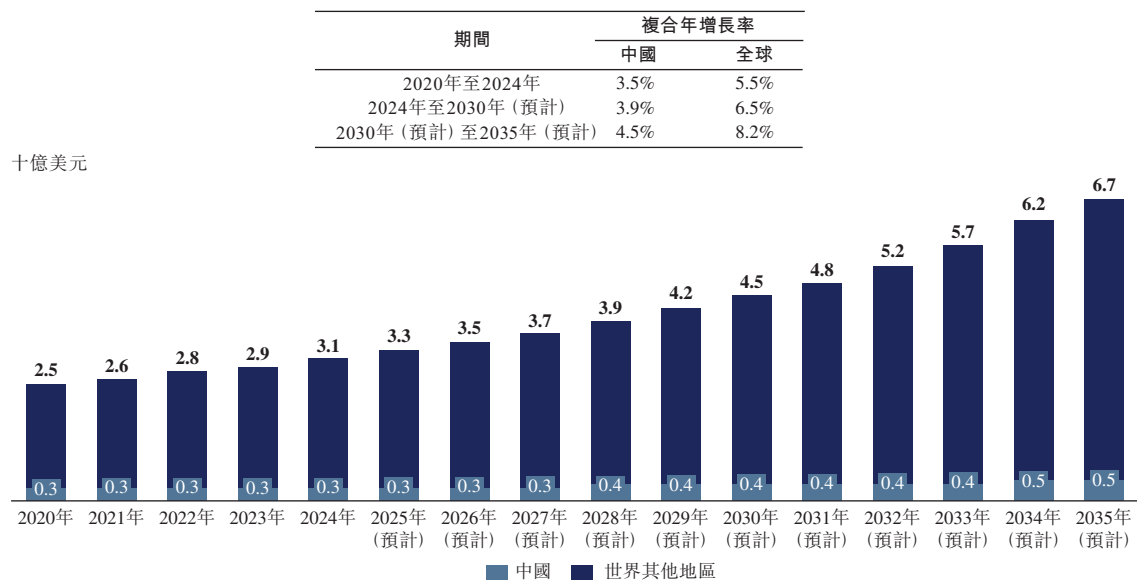
骨髓纖維化

骨髓纖維化(MF)是一類MPN，其特徵為骨髓癥瘕化，取代正常造血組織，進而導致造血功能衰竭。其發病可為原發性MF，或由真性紅細胞增多症或原發性血小板增多症演變而來的繼發性MF。該疾病由可維持JAK-STAT通路激活的基因突變驅動，而此類突變最常見於JAK2、CALR或MPL基因。此類突變會促進克隆增殖，並釋放炎性細胞因子，進而過度刺激成纖維細胞並導致膠原蛋白沉積。患者常出現貧血、脾腫大、疲勞及體質性症狀，其病程可從惰性病進展至高危，並有可能轉化為急性白血病。

行業概覽

2024年中國MF藥物市場規模達到3億美元，2020年至2024年複合年增長率為3.5%，且預計到2030年將達到4億美元，到2035年將達到5億美元，2024年至2030年的複合年增長率為3.9%，2030年至2035年的複合年增長率為4.5%。全球MF藥物市場規模從2020年的25億美元增長至2024年的31億美元，複合年增長率為5.5%，且預計到2030年將達到45億美元，到2035年將達到67億美元，2024年至2030年的複合年增長率為6.5%，2030年至2035年的複合年增長率為8.2%。下表載列2020年至2035年中國及全球MF藥物市場的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國MF市場規模

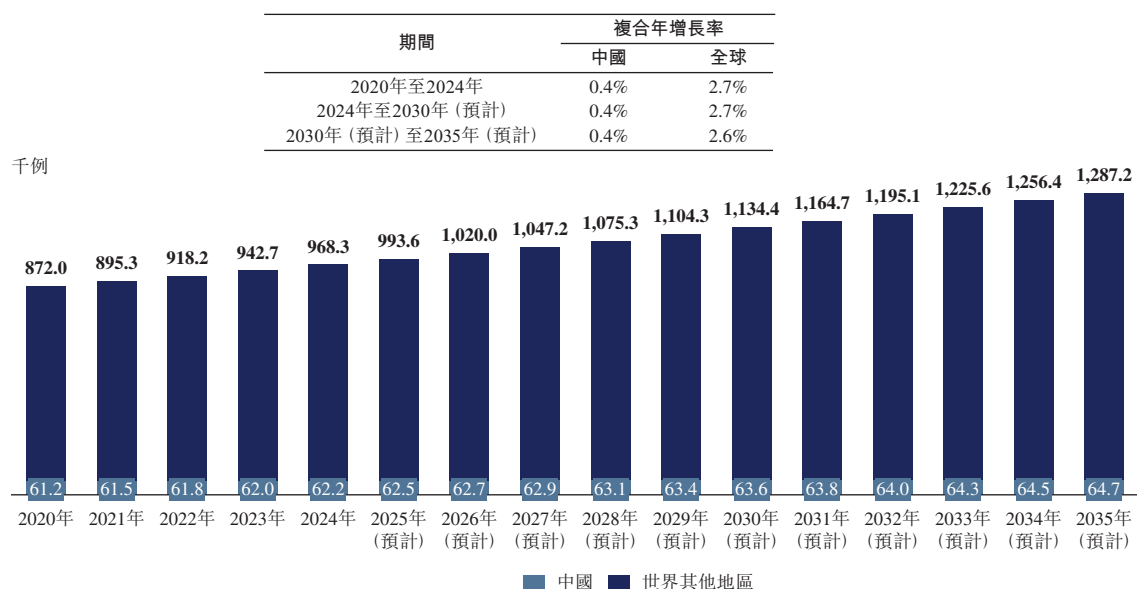


資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

中國MF患病人數已從2020年的6.12萬例增至2024年的6.22萬例，預計到2030年將達到6.36萬例，到2035年將達到6.47萬例，2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.4%、0.4%及0.4%。全球MF患病人數從2020年的87.20萬例增至2024年的96.83萬例，預計到2030年將達到113.44萬例，到2035年將達到128.72萬例，2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為2.7%、2.7%及2.6%。下表載列2020年至2035年中國及全球MF患病人數的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國MF患病人數



資料來源：弗若斯特沙利文

MF的治療范式

在中國，MF患者的SOC治療遵循基於MIPSS70+第二版(MF風險評分)的風險分層。對於低危疾病，首選二類干擾素治療，具體為聚乙二醇干擾素- α (CII)或聚乙二醇干擾素- α -2b (CII)。對於中危(-1級與-2級)疾病，一類治療方案為蘆可替尼或吉卡替尼；二類治療方案使用羥基脲或塞利尼索治療有症狀的患者，使用干擾素、塞利尼索、羥基脲、白消安、克拉屈濱或美法侖治療顯著脾腫大，使用放射療法治療髓外造血、肺動脈高壓或肢體疼痛，以及使用蘆可替尼治療門靜脈高壓；三類治療方案使用潑尼松治療明顯症狀，使用蘆可替尼治療髓外造血、肺動脈高壓或肢體疼痛。對於高危疾病，非移植候選者接受一類蘆可替尼或吉卡替尼聯合支持性治療，支持性治療包括吉卡替尼、沙利度胺或雄激素聯合低劑量潑尼松，以及使用促紅細胞生成素治療貧血。移植候選者進行二線一類異基因造血幹細胞移植，而非移植候選者的二線治療方案包括二類吉卡替尼及三類去甲基化藥物、塞利尼索或短期停藥後重啟蘆可替尼治療。症狀控制目標是使用上述藥物來治療脾腫大、貧血及髓外併發症。在美國，以血小板指標為指導採用莫洛替尼、帕克替尼等新型JAK抑制劑已成為一線治療方案，這些創新JAK抑制劑可與蘆可替尼或吉卡替尼共同納入上述中國治療框架。

行業概覽



資料來源：2025CSCO《惡性血液病診療指南》、弗若斯特沙利文

競爭格局

截至最後實際可行日期，海外市場共有四款獲批用於治療MF的JAK抑制劑藥物，中國已有兩款獲批用於該適應症的JAK抑制劑藥物。下表載列海外市場及中國已上市用於治療MF的JAK抑制劑的詳情。

海外市場已上市用於治療MF的JAK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	適應症	首次獲批日期
莫洛替尼	Ojjaara	JAK1、JAK2、ALK2	葛蘭素史克	MF	2023年9月15日
帕克替尼	Vonjo	JAK2、FLT3、IRAK1、CSF1R、ALK2	蘇庇醫藥	MF	2022年2月28日
菲卓替尼	Inrebic	FLT3、JAK2	百時美施貴寶	MF	2019年8月16日
蘆可替尼	Jakafi	JAK1、JAK2	因塞特醫療	MF、PV、GVHD	2011年11月16日

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文

行業概覽

中國已上市用於治療MF的JAK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	適應症	首次獲批日期
吉卡替尼	澤普平	JAK1、JAK2、JAK3、TYK2、ALK2	蘇州澤璟	MF	2025年5月29日
盧可替尼	Jakavi	JAK1、JAK2	諾華	MF	2017年3月10日

資料來源：藥品審評中心、弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，海外市場暫無處於臨床開發階段的用於治療MF的JAK抑制劑候選藥物，而中國則有三款用於治療MF的JAK抑制劑候選藥物正處於臨床開發階段。

中國用於治療MF的JAK抑制劑研發管線競爭格局

研發管線	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
TQ05105	JAK1/2、ROCK1/2	正大天晴	NDA	骨髓纖維化	2024年7月13日
貝澤昔替尼	JAK2	本公司	NDA	骨髓纖維化	2024年8月22日
氟諾替尼	CDK6、FLT3、JAK2	成都贖靈生物	III期	骨髓纖維化	2025年12月24日

資料來源：藥品審評中心、弗若斯特沙利文

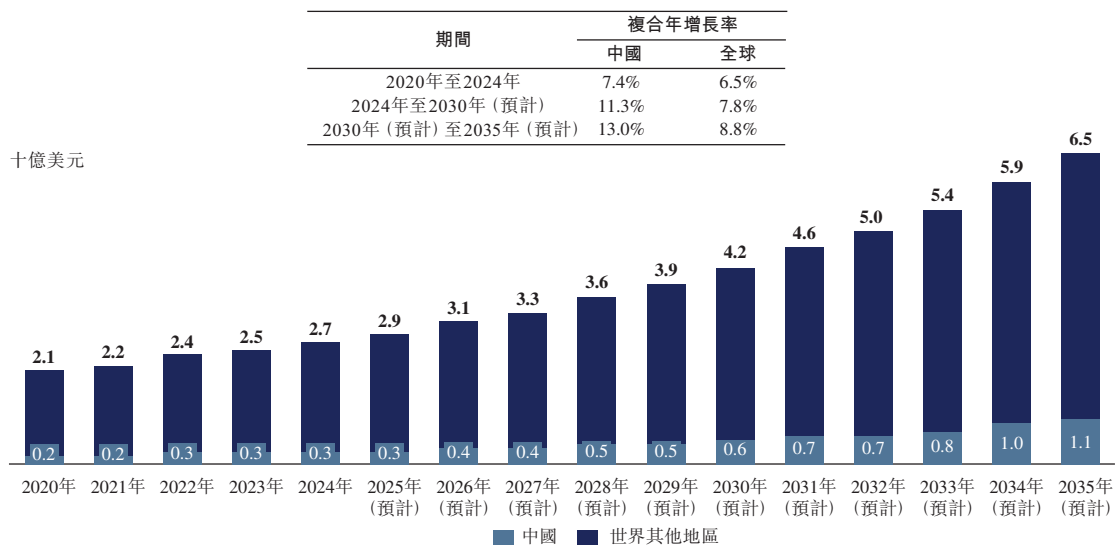
真性紅細胞增多症

真性紅細胞增多症(PV)是一類MPN，其特徵為持續性紅細胞增多，常伴有白細胞及血小板數量的同步升高。在大多數病例中，其驅動因素是激活型JAK2突變，該突變可介導不依賴細胞因子的造血信號傳導。PV的臨床診斷依賴於血紅蛋白或紅細胞比容升高且紅細胞總量增加、骨髓高細胞性並伴三系造血細胞增殖，以及JAK2變異的確認，同時必須排除繼發性紅細胞增多症的可能性。PV患者不僅面臨極高的動脈及靜脈血栓形成風險(含非典型部位血栓事件)，還易出現出血、微循環症狀、皮膚瘙癢、全身疲勞、夜間盜汗及脾腫大引發的各類不適。該疾病會引發血栓併發症且會向MF或較少見的急性髓系白血病進展，繼而縮短了患者的預期壽命。

行業概覽

中國PV藥物市場規模由2020年的2億美元增長至2024年的3億美元，複合年增長率為7.4%，預計到2030年將達到6億美元，到2035年將達到11億美元，2024年至2030年的複合年增長率為11.3%，2030年至2035年的複合年增長率為13.0%。全球PV藥物市場規模由2020年的21億美元增加至2024年的27億美元，複合年增長率為6.5%，預計到2030年將達到42億美元，到2035年將達到65億美元，2024年至2030年的複合年增長率為7.8%，2030年至2035年的複合年增長率為8.8%。下表載列2020年至2035年中國及全球PV藥物市場的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國PV藥物市場規模

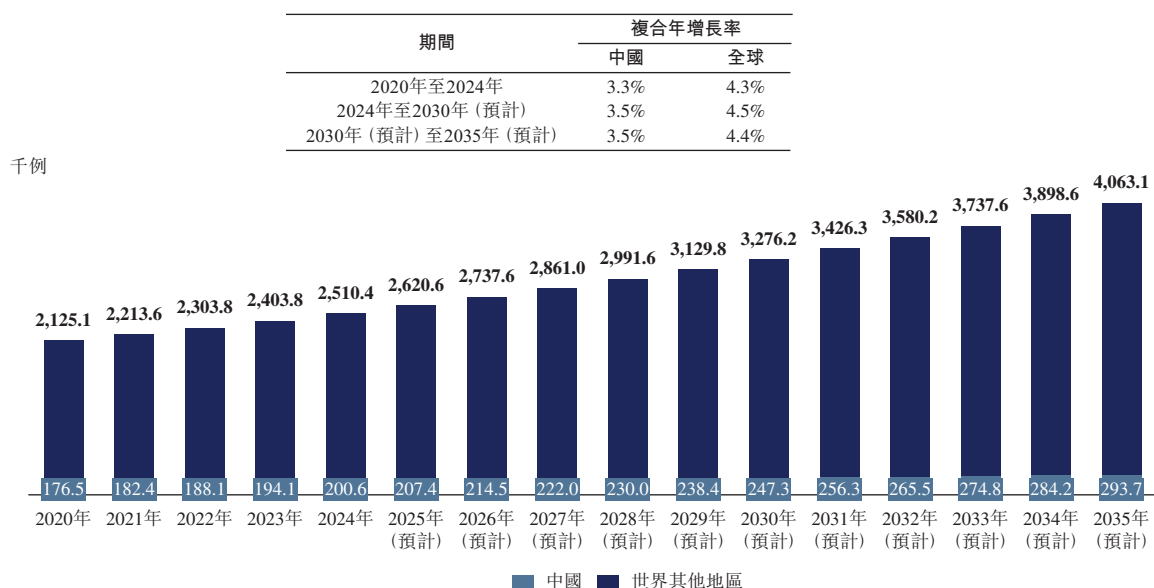


資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

中國PV患病人數已從2020年的17.65萬例增至2024年的20.06萬例，預計到2030年將達到24.73萬例，到2035年將達到29.37萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為3.3%、3.5%及3.5%。全球PV患病人數已從2020年的212.51萬例上升至2024年的251.04萬例，預計到2030年將達到327.62萬例，到2035年將達到406.31萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為4.3%、4.5%及4.4%。下表載列2020年至2035年中國及全球PV患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國PV患病人數



資料來源：弗若斯特沙利文

PV的治療范式

在中國，PV的治療依據患者的年齡及血栓形成史進行危險分層。低危患者，即年齡低於六十歲且無既往血栓形成史者，在無禁忌證的情況下，通常以放血術及低劑量阿司匹林為起始治療。若為控制症狀或應對血細胞計數升高而需加用細胞減滅治療，則一線細胞減滅藥物為干擾素 α -2b，推薦替代藥物為羥基脲或干擾素 α -2a。對於反應不足或不耐受的患者，二線治療可換用蘆可替尼或改用先前未使用過的藥物。高危患者，即年齡在六十歲或以上或有血栓形成史者，則直接接受細胞減滅治療。羥基脲和聚乙二醇干擾素 α -2b是主要選擇，重組干擾素 α -2a和蘆可替尼則在特定病例或病情控制不佳後推薦使用。疾病進展會觸發針對特定通路的臨床管理方案。Post-PV-MF按原發性MF方案治療，加速期或急變期則按MPN加速期或急變期診療方案處理。在美國，對於標準細胞減滅療法反應不足或不耐受的患者，蘆可替尼等JAK抑制劑作為新興治療類別正被日益廣泛地整合應用。

行業概覽



資料來源：2025CSCO《惡性血液病診療指南》—真性紅細胞增多症、弗若斯特沙利文

競爭格局

截至最後實際可行日期，蘆可替尼仍是海外市場唯一一款獲批用於治療PV的JAK抑制劑，而該藥物暫未在中國上市。下表載列海外市場已上市用於治療PV的JAK抑制劑的詳情。

海外市場已上市用於治療PV的JAK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	適應症	首次獲批日期
蘆可替尼	Jakafi	JAK1、JAK2	因塞特醫療	PV、MF、GVHD	2011年11月16日

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，海外市場暫無處於臨床開發階段的用於治療PV的JAK抑制劑候選藥物，而中國則有兩款用於治療PV的JAK抑制劑候選藥物正處於臨床開發階段。其中，貝澤昔替尼已進入III期臨床階段，是臨床進展最快的候選藥物。

中國用於治療PV的JAK抑制劑研發管線競爭格局

研發管線	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
貝澤昔替尼	JAK2	本公司	III期	真性紅細胞增多症	2024年4月1日
氟諾替尼	CDK6、FLT3、JAK2	曠靈生物	II期	真性紅細胞增多症	2025年9月10日

資料來源：藥品審評中心、弗若斯特沙利文

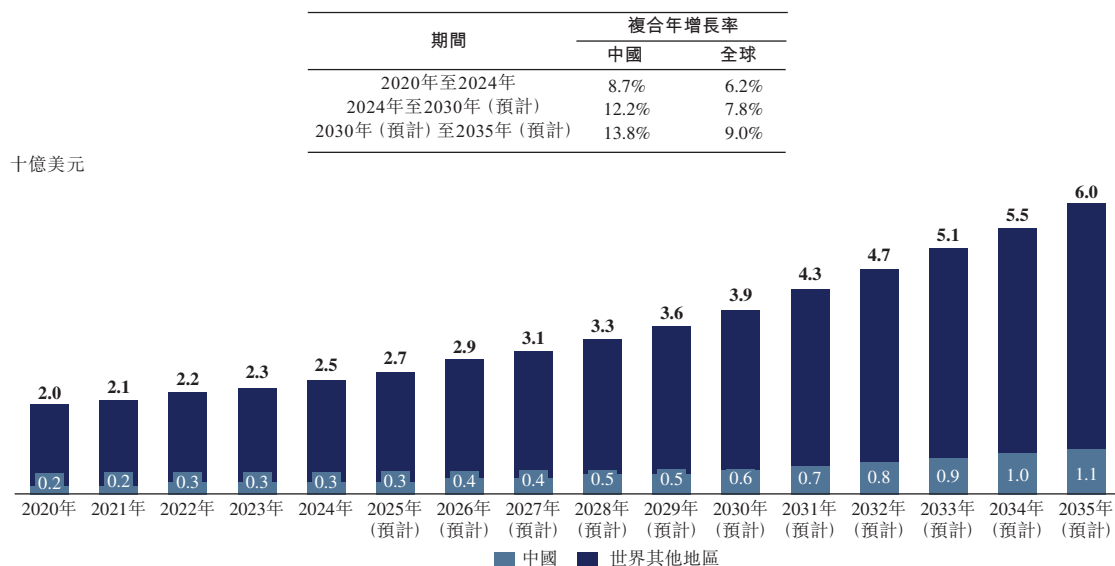
行業概覽

原發性血小板增多症

原發性血小板增多症(ET)是一類慢性MPN，其特徵為血小板持續性增多(血小板計數 $\geq 450 \times 10^9/L$)、BCR-ABL1融合基因檢測為陰性，且骨髓病理學檢查顯示巨核細胞數量異常增多，同時伴有體積大且成熟的表現。該疾病的驅動因素是JAK-STAT信號通路的過度激活，最常見的是由驅動基因突變引起，例如約半數患者存在JAK2-V617F突變，15%至35%的患者存在CALR突變，2%至4%的患者存在MPL突變；此外，信號傳導、表觀遺傳、轉錄或剪接相關基因的額外突變，也會參與疾病表型的形成及病情進展。臨床表現從無症狀到微血管症狀不等，包括頭痛、頭暈、紅斑性肢痛症及肢端感覺異常，同時存在可測量的動脈及靜脈血栓形成風險，出血事件則相對少見。核心治療目標是預防血栓性及出血性事件，同時限制其遠期轉化為ET後MF或(較少見的)急性髓系白血病。

中國ET藥物市場規模由2020年的2億美元增長至2024年的3億美元，複合年增長率為8.7%，預計到2030年將達到6億美元，到2035年將達到11億美元，2024年至2030年的複合年增長率為12.2%，2030年至2035年的複合年增長率為13.8%。全球ET藥物市場規模由2020年的20億美元增長至2024年的25億美元，複合年增長率為6.2%，預計到2030年將達到39億美元，到2035年將達到60億美元，2024年至2030年的複合年增長率為7.8%，2030年至2035年的複合年增長率為9.0%。下表載列2020年至2035年中國及全球ET藥物市場的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國ET藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

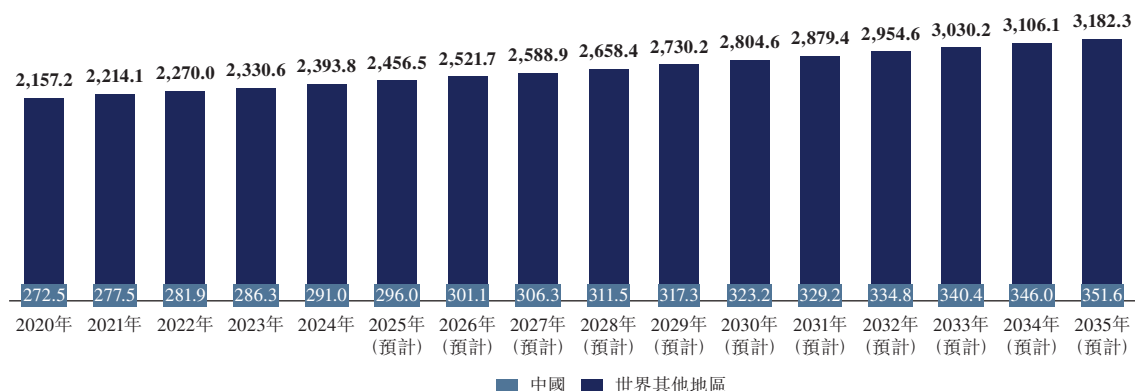
行業概覽

中國ET患病人數已從2020年的27.25萬例增至2024年的29.10萬例，預計到2030年將達到32.32萬例，到2035年將達到35.16萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為1.7%、1.8%及1.7%。全球ET患病人數已從2020年的215.72萬例增至2024年的239.38萬例，預計到2030年將達到280.46萬例，到2035年達到318.23萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為2.6%、2.7%及2.6%。下表載列2020年至2035年中國及全球ET患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國ET患病人數

期間	複合年增長率	
	中國	全球
2020年至2024年	1.7%	2.6%
2024年至2030年（預計）	1.8%	2.7%
2030年（預計）至2035年（預計）	1.7%	2.6%

千例



資料來源：弗若斯特沙利文

ET的治療范式

在中國，ET的標準治療依據患者的年齡及血栓病史進行危險分層。低危患者，即年齡低於六十歲且無既往血栓病史者，在無禁忌證的情況下，接受心血管風險(CVR)控制及每日八十至一百毫克阿司匹林治療。若血細胞計數或臨床症狀需要，則加用細胞減滅治療，藥物包括羥基脲、重組干擾素 α -2a或阿那格雷。高危患者，即年齡達到或超過六十歲或有血栓病史者，起始治療同樣基於CVR控制聯合阿司匹林，並隨即啟動細胞減滅治療，一線藥物選擇羥基脲、重組干擾素 α -2a或阿那格雷。若一線治療療效不足或出現不耐受，則需根據療效、耐受性、妊娠計劃及合併症情況，在這些藥物中輪換選擇二線治療方案。對於特定耐藥或不耐受病例，尤其伴有症狀性脾腫大或顯著體質性症狀者，可超適應症使用JAK抑制劑以實現症狀控制。疾病進展按通路管理：Post-ET-MF按原發性MF治療，加速期或急變期則遵循MPN加速期或急變期診療方案處理。在美國，針對標準細胞減滅療法控制不佳或不耐受的患者，JAK抑制劑作為新興療法正被逐步納入治療方案。

行業概覽

一線治療	低危組（年齡<60歲且無血栓病史） <ul style="list-style-type: none"> 控制CVR 對於存在微血管收縮症狀的患者，給予阿司匹林80-100mg/d 	高危組（年齡≥60歲或有血栓病史） <ul style="list-style-type: none"> 控制CVR 阿司匹林80-100mg/d
	細胞減滅藥物： <ul style="list-style-type: none"> 羧基脲 重組干擾素α2a 阿那格雷 	細胞減滅藥物： <ul style="list-style-type: none"> 羧基脲 重組干擾素α2a 阿那格雷
二線治療	二線治療 <ul style="list-style-type: none"> Post-ET-MF → 按PMF管理 加速期或急變期 → 按MPN加速期或急變期管理 蘆可替尼可用於高危型ET治療，推薦劑量為每日兩次，每次20mg。 	

資料來源：2025CSCO《惡性血液病診療指南》—原發性血小板增多症、弗若斯特沙利文

競爭格局

截至最後實際可行日期，海外市場及中國均未有JAK抑制劑藥物獲批用於治療ET。截至同日，貝澤昔替尼仍是中國唯一一款處於臨床開發階段的用於治療ET的JAK抑制劑候選藥物，海外市場尚無處於臨床開發階段的JAK抑制劑候選藥物。

中國用於治療ET的JAK抑制劑研發管線競爭格局

研發管線	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
貝澤昔替尼	JAK2	本公司	II期	原發性血小板增多症	2025年7月4日

資料來源：藥品審評中心、弗若斯特沙利文

行業概覽

自身免疫性疾病概覽

自身免疫性疾病涵蓋一系列慢性病情，其病理機制為免疫通路持續激活，並最終損傷健康組織。炎症性疾病的發生，源於機體對感染或損傷的保護性炎症反應未能正常消退，反而轉為慢性炎症或發生免疫應答方向偏移，進而重塑局部組織環境，誘發臨床症狀並導致器官功能障礙。自身免疫性疾病是其中的一個特定亞類，由針對自身的免疫反應啟動並維持炎症級聯反應。此類疾病可累及多器官系統，給患者、照護者及醫療系統帶來顯著的臨床與經濟負擔。

本文件所涉適應症，即隸屬於該疾病範疇，具體涵蓋免疫介導的血液系統疾病、免疫驅動的皮膚及胃腸道疾病，以及具有顯著炎症生物學特徵的骨髓增殖性腫瘤。代表性的自身免疫性適應症包括免疫性血小板減少症及自身免疫性溶血性貧血，其病理涉及B細胞及T細胞反應失調，導致血小板破壞或紅細胞溶解。慢性自發性蕁麻疹以反覆發作的風團及瘙癢為特徵，具有自身免疫及肥大細胞活化成分。類風濕關節炎及炎症性腸病等系統性疾病表現為關節及胃腸道的慢性複發性炎症，而移植抗宿主病則涉及移植後的同種免疫損傷。與此同時，骨髓纖維化(MF)、真性紅細胞增多症(PV)及原發性血小板增多症(ET)由JAK-STAT信號通路的異常激活驅動發病，並以系統性炎症性細胞因子環境為特徵，最終引發全身症狀、血細胞減少及血管相關併發症。

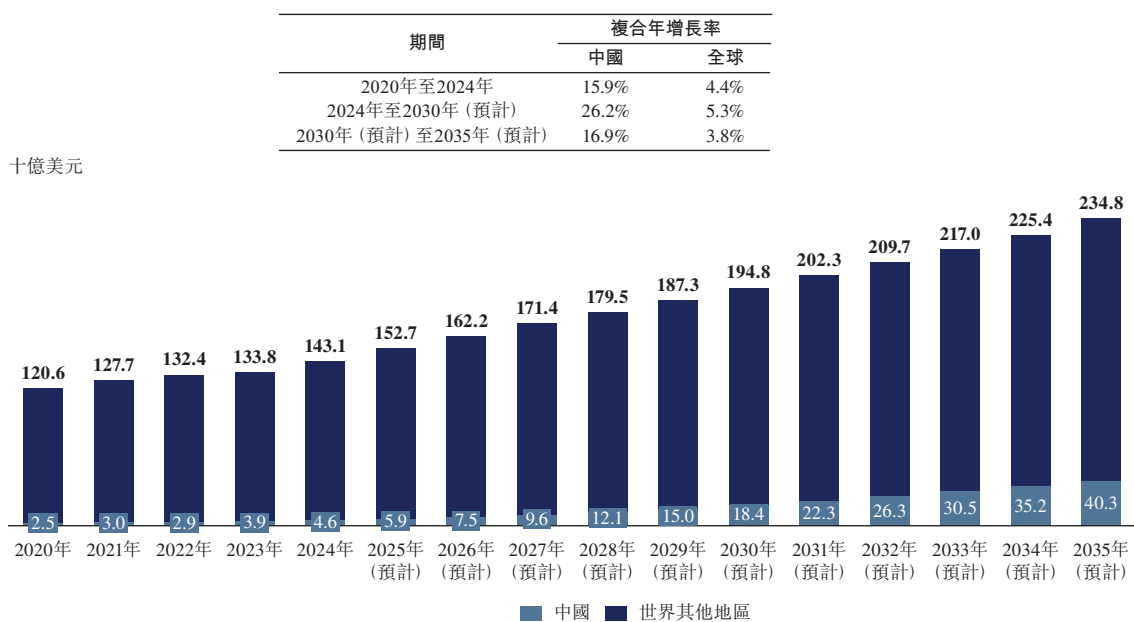
從治療發展歷程來看，該領域已實現從單純的症狀緩解到靶向病情改善的階梯式演進。水楊酸鹽、非甾體抗炎藥及糖皮質激素等早期藥物，可發揮廣譜抗炎作用，有效緩解疼痛、發熱及急性發作症狀，但此類藥物主要針對臨床症狀，無法干預疾病的長期進展。傳統合成改善病情抗風濕藥的問世，為系統性自身免疫性疾病的病情控制奠定了基礎。針對腫瘤壞死因子及關鍵白細胞介素(包括IL-6、IL-17及IL-23)的靶向生物製劑，以及B細胞導向療法，改善了患者的軀體功能，減少了不可逆的組織損傷，並使更大比例的患者能夠實現病情的持續緩解。基於這些進展，調控細胞內信號傳導的靶向合成療法拓展了口服治療的選擇範圍，包括應用於風濕病學、皮膚病學、血液學及胃腸病學的JAK抑制劑，以及用於B細胞及Fc受體介導的自身免疫性疾病的BTK抑制劑。這一進展符合自身免疫性疾病治療變革的理念，即從抗炎症狀控制轉向基於機制的干預。

行業概覽

自身免疫性疾病藥物市場規模

近年來，中國自身免疫性疾病藥物市場呈持續增長態勢，2020年及2024年的市場規模分別為25億美元及46億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為15.9%。該市場預計未來將實現顯著擴張，到2030年將達到184億美元，2024年至2030年複合年增長率為26.2%；並在2035年進一步增長至403億美元，2030年至2035年複合年增長率為16.9%。全球自身免疫性疾病藥物市場價值從1,206億美元增長至2024年的1,431億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為4.4%；預計到2030年將達到1,948億美元，到2035年將達到2,348億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為5.3%，2030年至2035年期間的複合年增長率為3.8%。下表載列2020年至2035年全球自身免疫性疾病藥物市場的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球自身免疫性疾病藥物市場



資料來源：弗若斯特沙利文

自身免疫性疾病藥物市場的驅動因素與未來趨勢

在多重趨勢與驅動因素的共同作用下，自身免疫性疾病藥物市場正進入一個廣泛而快速的演進階段。具體如下：

- 自身免疫性疾病的治療進展。** 在闡明自身免疫發病機制及驗證生物標誌物方面取得的進步，正推動理性設計的靶向療法逐步落地。其中的顯著進展包括可選擇性調控細胞因子及細胞內信號通路（如JAK-STAT、TYK2等）的小分子抑制劑及生物製劑，此類通路在類風濕關節炎、銀屑病及特應性皮炎等疾病中至關重要。此類精準療法使對傳統免疫抑制治療感到難治或不耐受的患者獲益，不僅改變了治療標準並改善了風險－獲益特徵，還實現了更早的干預並推動了市場的持續增長。

行業概覽

- **多靶點抑制劑驅動靶向療法升級。** 新一代雙靶點及多靶點小分子藥物與雙特異性生物製劑，通過同時調控互補性免疫通路（如JAK/TYK2、IL-17/IL-23等），提升治療的精準性。通過解決單靶點藥物存在的應答不全、疾病複發及耐藥等問題，此類療法能夠實現更深層次、更持久的病情控制效果，同時降低脫靶毒性風險。此類高特異性、高效力的療法滿足了療效及安全性方面未被滿足的需求，支持更早的干預及減少類固醇使用的治療方案。隨著關鍵臨床試驗證據的成熟，此類療法有望加速市場採納及增長。
- **口服給藥與緩釋技術提升患者依從性。** 口服BTK抑制劑（如瑞扎布魯替尼等）及其他激酶抑制劑正通過提升便利性、依從性及藥理穩定性，重塑自身免疫性疾病的治療格局。口服靶向藥物能快速達到治療濃度並實現早期病情控制，而長效製劑則可降低給藥頻率，平滑血藥濃度峰谷波動，並增強治療的持續性。此類給藥方式的進步共同減輕了注射負擔，支持了減少類固醇使用的策略，並提升了真實世界中的治療效果。在緩釋製劑、儲庫型製劑及程序化給藥系統方面的持續創新，預計將進一步提升患者依從性並推動市場接受度提高。

與此同時，適應症層面的趨勢與驅動因素，將在免疫性血小板減少症、慢性蕁麻疹及自身免疫性溶血性貧血等領域創造出不同的發展軌跡。具體如下：

- **移植物抗宿主病(GVHD)**
 - **早期治療應用與合理聯用將重塑GVHD治療方案。** 創新藥物的早期應用與合理聯用預計將重新定義GVHD的治療。有效的靶向治療正從後期治療轉向早期治療，成為替代或減少類固醇使用的治療選擇。將靶向藥物與低劑量類固醇或其他免疫調節劑聯用，旨在提升應答持久性，這與其他免疫介導疾病的治療趨勢相一致。
- **免疫性血小板減少症**
 - **精準免疫學與生物標誌物指導的治療。** 治療正轉向基於機制的內型分類，通過區分自身抗體驅動的破壞、血小板生成受損及T細胞失調來預測治療反應。更為完善的檢測方法，包括血小板自身抗體譜、固有細胞活化讀數及細胞因子特徵，將用於患者分層並指導靶向藥物的使用。臨床試驗將越來越多地依據生物標誌物定義的亞組招募患者，以提高應答率並支持精準標籤。

行業概覽

- **慢性蕁麻疹**
 - **治療范式的轉變與治療創新。**新型作用機制正在重塑慢性蕁麻疹的治療格局，如BTK抑制劑瑞米布替尼等藥物已在對抗組胺藥治療無效的患者中展現出良好的療效。由於許多患者對第二代H1抗組胺藥或生物製劑等標準治療方案仍表現為難治性，此類創新靶點藥物旨在提供更強效、更持久的應答，並擴大對難治人群的覆蓋範圍，這標誌著臨床治療已明確向更有效、機制驅動型療法轉型。
- **自身免疫性溶血性貧血**
 - **更早、更精準的診斷有助於實現及時治療。**通過提高AIHA的早期識別率及診斷準確率，可快速、可靠地識別更多患者，從而擴大可治療人群，並使患者在疾病更早階段及時啟動適宜治療。明確的患者分層進一步明確了哪些個體應在何時接受高價值治療，這既能改善臨床結局，又能擴大公平可及性。

JAK抑制劑

JAK抑制劑可調控在自身免疫及炎症反應中起核心作用的失調細胞因子信號傳導。多種炎症性細胞因子(如IL-6、IFN- γ 、GM-CSF等)通過JAK-STAT通路傳遞信號；抑制JAK可減少STAT活化，從而抑制促炎基因的轉錄。這一作用機制可降低巨噬細胞及樹突狀細胞的活化、抑制Th1/Th17細胞的極化、削弱致病性B細胞的輔助作用，同時減少將炎症性白細胞募集至組織的趨化因子。JAK阻斷還可減弱炎症小體預激活及內皮細胞的活化，從而減輕血管炎症。通過廣泛但可逆地調控此類匯聚通路，JAK抑制劑可改善全身性及組織特異性自身免疫性炎症，其作用已超越在骨髓增殖性腫瘤中的應用。

有關JAK抑制劑的更多詳情，請參閱本章節「腫瘤藥物市場概覽 – JAK抑制劑」段落。

JAK抑制劑在自身免疫性疾病中的主要適應症

移植抗宿主病

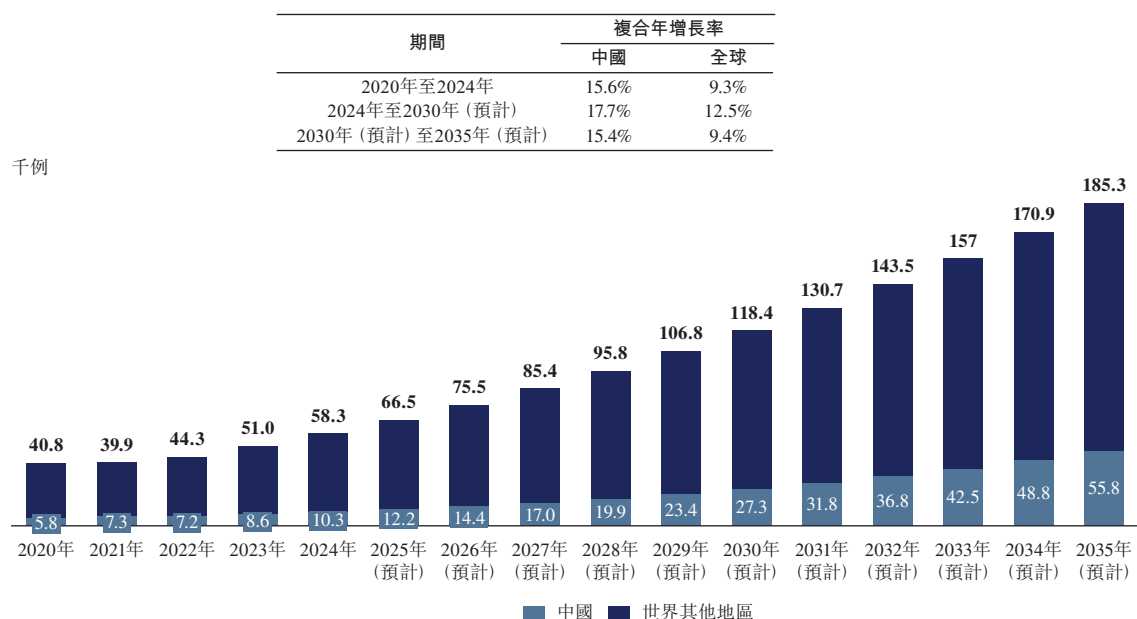
移植抗宿主病(GVHD)是同種異體造血干細胞移植後的一種全身性炎症併發症，供體淋巴細胞將受者抗原識別為異源性物質並發起免疫攻擊，進而損傷多個器官。該疾病分為急性與慢性兩種類型，前者於移植後百日內出現，後者通常在移植後

行業概覽

三至二十四個月發生。該疾病存在兩種亞型：急性移植抗宿主病(aGVHD)和慢性移植抗宿主病(cGVHD)。aGVHD是早期、以炎症為主導的病程；cGVHD則發生較晚，表現為類自身免疫性病變，伴隨進行性纖維化和多器官功能障礙。aGVHD涉及固有性及適應性免疫的廣泛炎症性損傷，常伴有疼痛性泛發性皮炎、胃腸道受累（如腹瀉、消化道出血、腹痛等）、肝酶升高以及眼部或口腔症狀。cGVHD以免疫功能失調為特徵，伴有Th2偏向、自身免疫及纖維化，可導致皮膚增厚、眼干口干、肺部受累（如咳嗽、呼吸困難等）以及持續的肝膽功能異常。

中國aGVHD患病人數從2020年的5,800例增至2024年的1.03萬例，預計到2030年將達到2.73萬例，到2035年將達到5.58萬例，2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為15.6%、17.7%及15.4%。全球aGVHD患病人數從2020年的40.8萬例增至2024年的51.0萬例，預計到2030年將達到118.4萬例，到2035年將達到185.3萬例，2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為9.3%、12.5%及9.4%。下表載列2020年至2035年中國及全球aGVHD患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國aGVHD患病人數

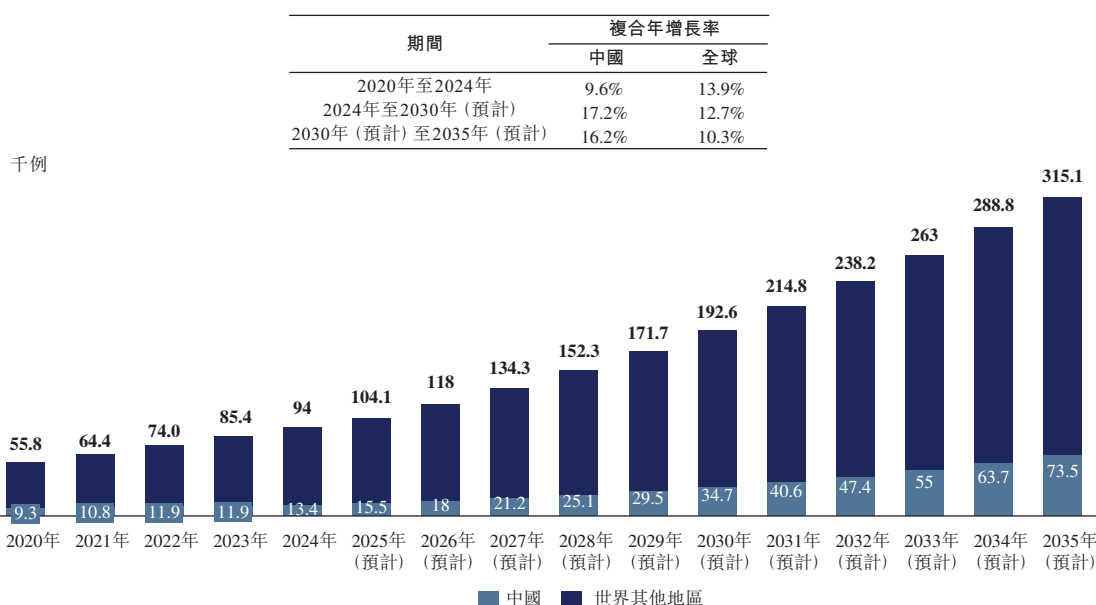


資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

中國cGVHD患病人數從2020年的9,300例增至2024年的1.34萬例，預計到2030年將達到3.47萬例，到2035年將達到7.35萬例，2020年至2024年的複合年增長率為9.6%，2024年至2030年的複合年增長率為17.2%，2030年至2035年的複合年增長率為16.2%。全球cGVHD患病人數從2020年的5.58萬例增至2024年的9.40萬例，預計到2030年將達到19.26萬例，到2035年將達到31.51萬例，2020年至2024年的複合年增長率為13.9%，2024年至2030年的複合年增長率為12.7%，2030年至2035年的複合年增長率為10.3%。下表載列2020年至2035年中國及全球cGVHD患病人數的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國cGVHD患病人數



資料來源：弗若斯特沙利文

GVHD的治療范式

糖皮質激素仍是II-IV級aGVHD的一線療法，但其總體緩解率不足50%，且僅約三分之一的應答者可實現持久緩解。間充質干細胞(MSC)輸注為成熟的二線或三線治療選擇。對於糖皮質激素耐藥性aGVHD(含對多種二線藥物耐藥的病例)，MSC可實現約57%至73%的總體緩解率。此外，國內多中心、前瞻性、隨機對照試驗已證明，在糖皮質激素耐藥性aGVHD中，MSC聯合巴利昔單抗治療的總體緩解率顯著高於單用巴利昔單抗。

對於cGVHD，並非所有患者在確診時都需要系統治療。輕症患者可進行監測或接受局部治療，而中重度患者則需要系統治療。對於中重度cGVHD的一線治療，糖皮質激素單藥或聯合鈣調神經磷酸酶抑制劑仍是標準治療方案，總體有效率約為50%。間充質干細胞療法被推薦作為二線治療方案，緩解率可達57.1%至73.7%。

行業概覽



資料來源：異基因造血幹細胞移植急性移植物抗宿主病診斷與治療中國專家共識（2024年版）、慢性移植物抗宿主病診斷與治療中國專家共識（2024年版）、弗若斯特沙利文

競爭格局

截至最後實際可行日期，一款JAK抑制劑藥物已於海外市場及中國獲批用於治療GVHD。下表載列海外市場及中國已上市用於治療GVHD的JAK抑制劑藥物詳情。

海外市場已上市用於治療GVHD的JAK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	獲批適應症	首次獲批日期
蘆可替尼	JAKAFI	JAK1、JAK2	因塞特醫療	GVHD	2011年11月16日

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文

中國已上市用於治療GVHD的JAK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	獲批適應症	首次獲批日期
蘆可替尼	Jakavi	JAK1、JAK2	諾華	GVHD	2017年3月1日

資料來源：弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，貝澤昔替尼仍是中國唯一一款處於臨床開發階段的用於治療GVHD的JAK抑制劑候選藥物，而海外市場尚無處於臨床階段的用於治療GVHD的JAK抑制劑候選藥物。

中國用於治療GVHD的JAK抑制劑管線競爭格局

研發管線	靶點	公司	階段	適應症	首次發佈日期
貝澤昔替尼	JAK2	本公司	I/II期	GVHD	2022年3月15日

資料來源：弗若斯特沙利文

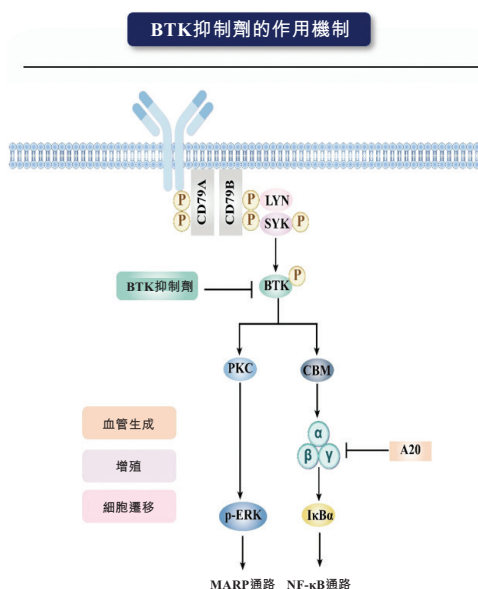
行業概覽

BTK抑制劑

BTK抑制劑是一類靶向療法，可阻斷BTK（即TEC家族中將B細胞受體信號傳導至NF- κ B、MAPK及PI3K等下游通路的胞質激酶），進而調控B細胞的活化、增殖、存活與遷移。病理性BTK信號傳導可維持多種B細胞淋巴瘤的發展，這使得BTK成為一款經過驗證的藥物靶點。伊布替尼是首創共價抑制劑，通過結合BTK激酶結構域中的半胱氨酸481殘基發揮作用，並在慢性淋巴細胞白血病、套細胞淋巴瘤及華氏巨球蛋白血症中展現出高活性。第二代藥物（如阿卡替尼、澤布替尼等）在保持療效的同時增強了效力和選擇性，以此減少脫靶效應。此類藥物的類別毒性包括出血、皮疹、腹瀉及房顫，部分毒性與抑制BTK以外的激酶有關，且患者可能通過BTK或通路改變產生耐藥性。當前研發探索克服不耐受與耐藥性的策略，包括更具選擇性的共價藥物及對半胱氨酸481突變仍保持活性的非共價抑制劑。

BTK抑制劑的作用機制

BCR信號傳導可對基因表達編程，促使克隆擴增、分化為漿細胞及記憶細胞並維持存活，從而支撐抗原特異性抗體產生及適應性反應。在B細胞淋巴瘤中，當BTK持續將BCR信號傳導至NF- κ B及MAPK等效應通路，維持促生存與促增殖轉錄時，該信號環路即呈現病理性。BTK抑制劑可中斷這種組成型信號傳導，減弱下游轉錄程序，從而抑制惡性B細胞的生長與存活。



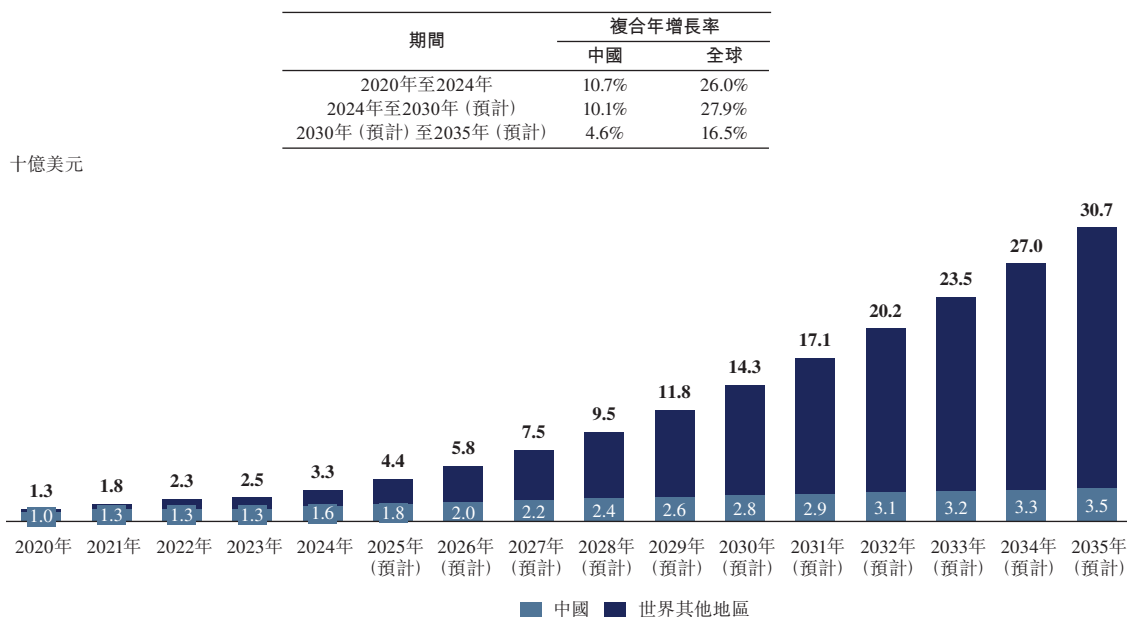
資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文

行業概覽

BTK抑制劑市場規模

近年來，中國BTK抑制劑藥物市場持續增長，2020年市場規模達10億美元，2024年市場規模達16億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為10.7%。該市場預計將顯著擴張，預計到2030年達到28億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為10.1%；到2035年進一步擴張至35億美元，2030年至2035年期間的複合年增長率為4.6%。全球BTK抑制劑藥物市場規模由2020年的13億美元增長至2024年的33億美元，2020年至2024年期間的複合年增長率為26.0%；預計到2030年將達到143億美元，2024年至2030年期間的複合年增長率為27.9%；到2035年將進一步達到307億美元，2030年至2035年期間的複合年增長率為16.5%。下表說明2020年至2035年中國及全球BTK抑制劑藥物市場的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國BTK抑制劑市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

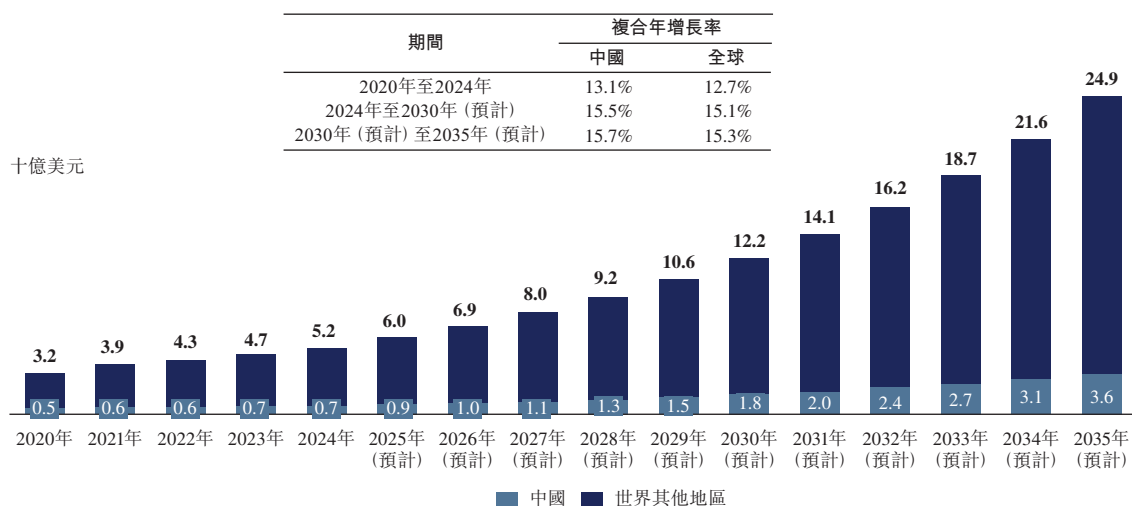
BTK抑制劑在自身免疫性疾病中的主要適應症

免疫性血小板減少症

免疫性血小板減少症(ITP)是一種自身免疫性疾病，其特徵為抗體介導及T細胞介導的血小板破壞以及血小板生成受損，最終導致血小板計數持續偏低。該病診斷基於臨床表現和排除法，核心在於血小板減少症(通常不伴脾腫大)，評估抗血小板抗體與血小板生成素水平，必要時進行骨髓評估，並排除感染、藥物、肝臟疾病或其他自身免疫性疾病等繼發性病因。患者表現為瘀點、紫癜、黏膜出血，嚴重時可出現顱內出血，其出血嚴重程度可通過標準量表進行量化。病程分期為：新診斷期(發病三個月內)、持續期(發病三至十二個月)以及慢性期(發病超過十二個月)。約五分之一的病例繼發於共存疾病，常發生於感染之後，且ITP與慢性淋巴細胞白血病等疾病相關。在成人患者中，該病通常呈慢性病程，且女性患病率更高。

中國ITP藥物市場規模從2020年的5億美元增長至2024年的7億美元，複合年增長率為13.1%，預計到2030年將達到18億美元，到2035年將達到36億美元，2024年至2030年的複合年增長率為15.5%，2030年至2035年的複合年增長率為15.7%。全球ITP藥物市場規模從2020年的32億美元增長至2024年的52億美元，複合年增長率為12.7%，預計到2030年將達到122億美元，到2035年將達到249億美元，2024年至2030年的複合年增長率為15.1%，2030年至2035年的複合年增長率為15.3%。下表載列2020年至2035年中國及全球ITP藥物市場的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國ITP藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

中國ITP患病人數從2020年的21.07萬例增至2024年的21.58萬例，預計到2030年將達到22.10萬例，到2035年將達到22.35萬例，2020年至2024年的複合年增長率為0.6%，2024年至2030年的複合年增長率為0.4%，2030年至2035年的複合年增長率

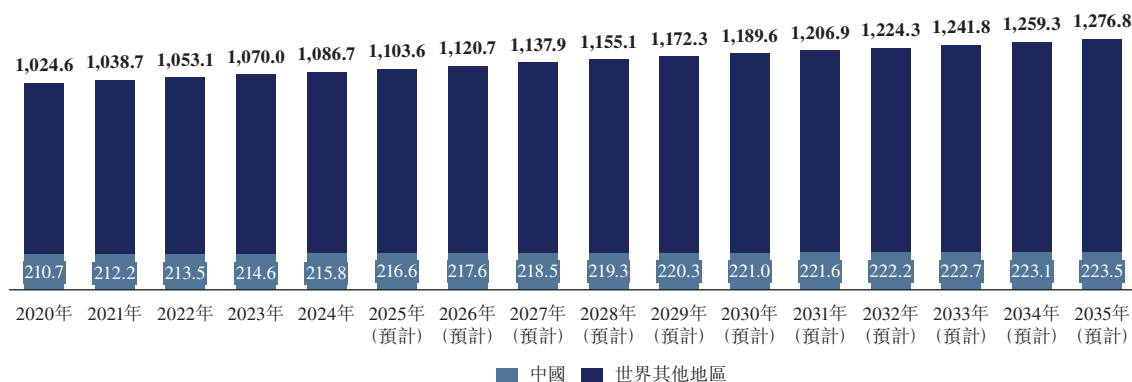
行業概覽

為0.2%。全球ITP患病人數從2020年的102.46萬例增至2024年的108.67萬例，預計到2030年將達到118.96萬例，到2035年將達到127.68萬例，2020年至2024年的複合年增長率為1.5%，2024年至2030年的複合年增長率為1.5%，2030年至2035年的複合年增長率為1.4%。下表載列2020年至2035年中國及全球ITP患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國ITP患病人數

期間	複合年增長率	
	中國	全球
2020年至2024年	0.6%	1.5%
2024年至2030年（預計）	0.4%	1.5%
2030年（預計）至2035年（預計）	0.2%	1.4%

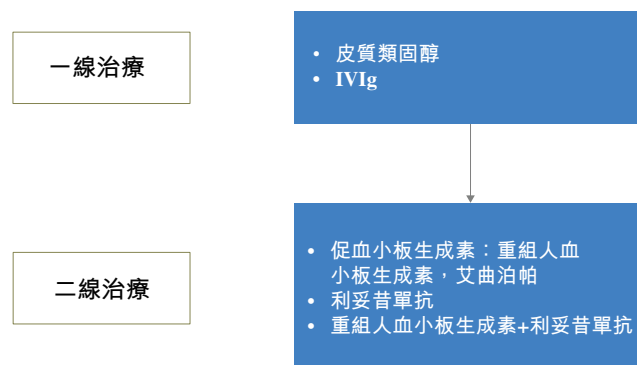
千例



資料來源：弗若斯特沙利文

ITP的治療范式

在中國，免疫性血小板減少症的一線療法使用皮質類固醇（通常是潑尼松或大劑量地塞米松）以快速提升血小板計數；對於需要快速止血支持或對類固醇不耐受的患者，會加用靜脈注射免疫球蛋白。對於反應不足或疾病複發的患者，二線治療方案包括選用促血小板生成素（如重組人血小板生成素及艾曲泊帕等）以促進血小板生成，以及利妥昔單抗以抑制免疫介導性破壞。被選定的患者可接受重組人血小板生成素聯合利妥昔單抗治療，以加深或延長應答。治療方案需根據患者出血風險、合併症及疾病階段進行個體化制定。在美國，BTK抑制劑已成為整合至二線治療策略的創新治療類別。



資料來源：《2019年美國血液學會免疫性血小板減少症指南》、《成人特發性血小板減少性紫癜診斷治療專家共識》、弗若斯特沙利文

行業概覽

競爭格局

截至最後實際可行日期，海外市場有一款獲批用於治療ITP的BTK抑制劑藥物，而中國尚無獲批用於該適應症的BTK抑制劑藥物。下表載列海外市場已上市用於治療ITP的藥物的詳情。

海外市場已上市用於治療ITP的BTK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	獲批適應症	首次獲批日期
瑞紮布魯替尼	Wayriz	BTK	健贊	ITP	2025年8月29日

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，匹妥布替尼仍是海外市場唯一一款處於臨床開發階段的用於治療ITP的BTK抑制劑候選藥物，而中國有六款處於臨床開發階段的用於治療ITP的BTK抑制劑候選藥物。

海外市場用於治療ITP的BTK抑制劑研發管線競爭格局

研發管線	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
匹妥布替尼	BTK	禮來	I/II期	ITP	2024年12月6日

資料來源：臨床試驗、弗若斯特沙利文

中國用於治療ITP的BTK抑制劑研發管線競爭格局

研發管線	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
瑞紮布魯替尼	BTK	賽諾菲／健贊	NDA	ITP	2024年12月30日
CX1440	BTK	本公司	III期	ITP	2025年8月22日
奧布替尼	BTK	諾誠健華	III期	ITP	2023年7月17日
DZD8586	BTK	迪哲醫藥	II期	ITP	2025年12月19日
HZ-A-018	BTK	杭州和正醫藥	II期	ITP	2025年10月24日
匹妥布替尼	BTK	禮來	I/II期	ITP	2025年9月11日

資料來源：藥品審評中心、弗若斯特沙利文

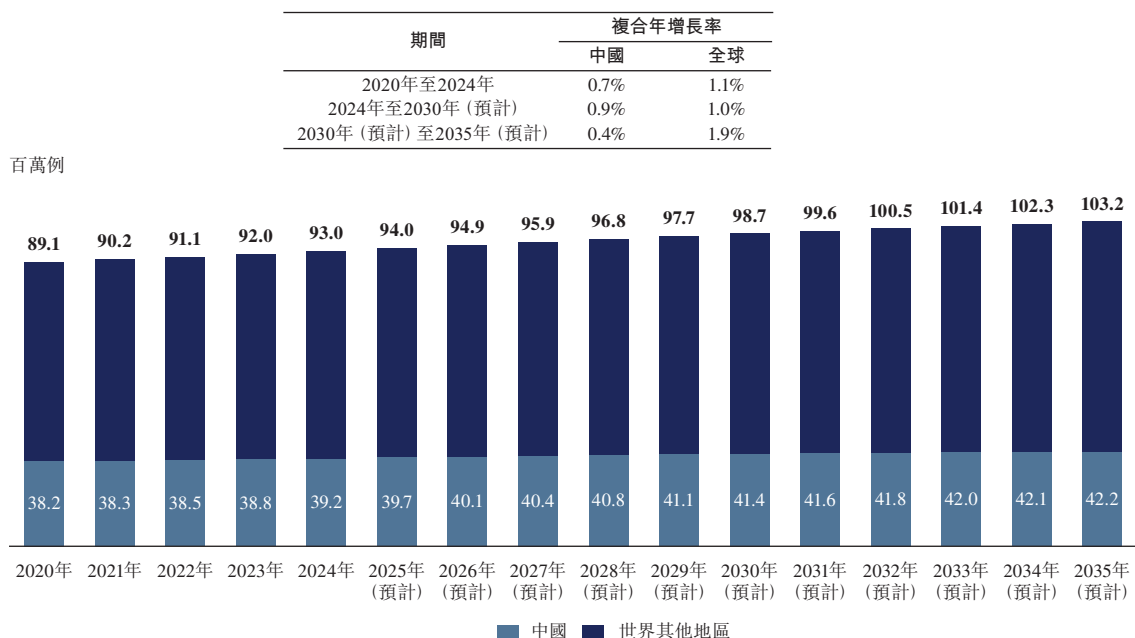
行業概覽

慢性蕁麻疹

慢性蕁麻疹(CU)是一種常見的過敏性皮膚病，其特徵為短暫性、劇烈瘙癢性風團。風團呈輕微隆起狀，大小從數毫米至數厘米不等，通常在數小時內出現並消退，部分患者伴有血管性水腫。該病反映了一種速發型超敏反應，其中肥大細胞激活及組胺釋放導致血管擴張及皮膚水腫。該病由多種刺激因素引發，包括感染、過敏原、藥物、物理因素等，部分患者發病無明確誘因。按病程劃分，急性蕁麻疹病程短於六周，而慢性蕁麻疹病程則為六周或更長時間。蕁麻疹根據病程可分為急性蕁麻疹(≤6周)和慢性蕁麻疹(>6周，CU)。CU根據誘因進一步分為慢性自發性蕁麻疹(CSU)和慢性誘導性蕁麻疹(CIU)。

中國CU患病人數已從2020年的38.2百萬例增至2024年的39.2百萬例，預計到2030年將達到41.4百萬例，到2035年將達到42.2百萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.7%、0.9%及0.4%。全球CU患病人數已從2020年的89.1百萬例增至2024年的93.0百萬例，預計到2030年將達到98.7百萬例，到2035年將達到103.2百萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為1.1%、1.0%及1.9%。下表載列2020年至2035年中國及全球CU患病人數的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國CU患病人數

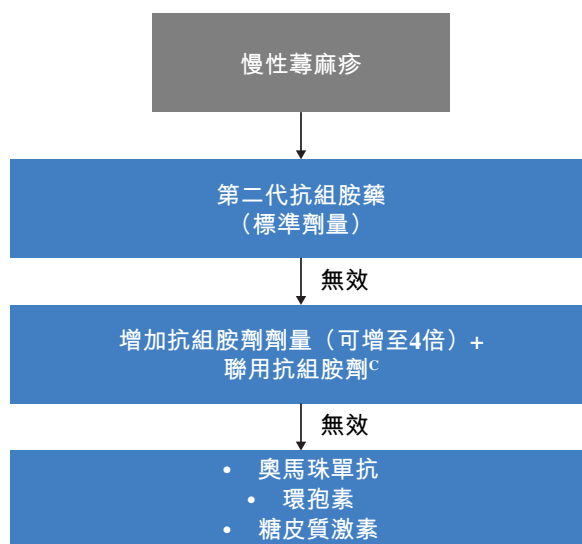


資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

CU的治療范式

在中國，CU的管理始於標準劑量的第二代H1抗組胺藥。若病情控制不佳，劑量可增至四倍，或聯合另一種抗組胺藥治療。對於症狀持續存在的患者，建議加用生物製劑或免疫抑制療法，通常為奧馬珠單抗或環孢素，短期使用糖皮質激素作為嚴重急性發作時的救援治療方案。該病採用階梯式且個體化的療法，以最小化鎮靜作用、維持日常功能並減輕血管性水腫及風團負擔。美國亦採用類似的階梯式治療路徑，BTK抑制劑已成為新增治療選擇，納入後線進階治療方案中聯合使用。



資料來源：《中國蕁麻疹診療指南(2022版)》、弗若斯特沙利文

競爭格局

截至最後實際可行日期，海外市場有一款獲批用於治療CU (包括CSU及CIU) 的BTK抑制劑藥物，而中國有一款獲批用於該適應症的BTK抑制劑藥物。截至同日，海外市場有三款處於臨床階段的用於治療CU (包括CSU及CIU) 的BTK抑制劑候選藥物，而中國有五款處於臨床開發階段的用於治療CU (包括CSU及CIU) 的BTK抑制劑候選藥物。

海外市場已上市的用於治療CU (包括CSU及CIU) 的BTK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	適應症	首次獲批日期
瑞米布替尼	Rhapsido	BTK	諾華	CSU	2025年9月30日

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文

行業概覽

中國已上市用於治療CU (包括CSU及CIU) 的BTK抑制劑藥物

通用名	商品名	靶點	公司	適應症	首次獲批日期
瑞米布替尼	Rhapsido	BTK	諾華	CSU	2025年11月25日

資料來源：國家藥監局、弗若斯特沙利文

海外市場用於治療CU (包括CSU及CIU) 適應症的BTK抑制劑競爭格局

通用名	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
瑞米布替尼	BTK	諾華	III期	CIU	2025年8月21日
TAS5315	BTK	大鵬藥品	II期	CSU	2022年4月19日
瑞紮布魯替尼	BTK	賽諾菲	II期	CSU	2021年11月4日

資料來源：FDA、EMA、臨床試驗、弗若斯特沙利文

中國用於治療CU (包括CSU及CIU) 適應症的BTK抑制劑競爭格局

通用名	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
TM471-1	BTK	河南知微	II期	CSU	2025年12月12日
HWH486	BTK	人福醫藥	II期	CSU	2023年11月20日
CX1440	BTK	本公司	I/II期	CSU、CIU	2025年8月22日
HS-10561	BTK	翰森製藥	I/II期	CSU	2025年3月12日
BGB-16673	BTK	百濟神州 (蘇州)	I期	CSU	2025年5月19日

資料來源：國家藥監局、弗若斯特沙利文

自身免疫性溶血性貧血

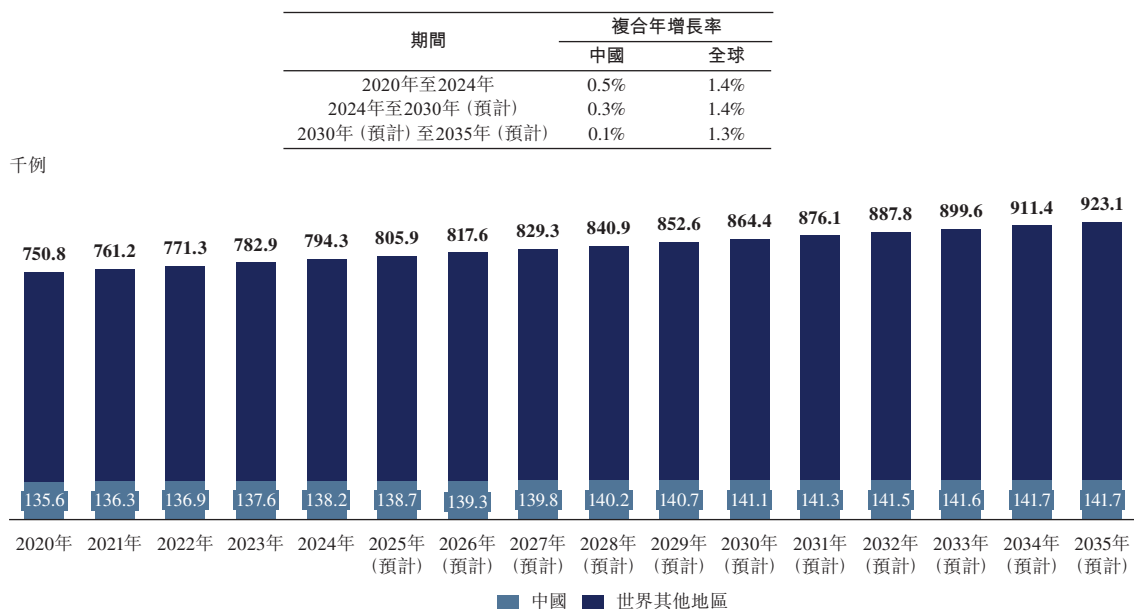
自身免疫性溶血性貧血(AIHA)是一種獲得性自身免疫性疾病，其免疫失調產生自身抗體，這些抗體與紅細胞結合後加速紅細胞破壞，當破壞速度超過骨髓代償能力時，即引發貧血。該病的診斷依據包括貧血證據、溶血實驗室標誌物(如網織紅細胞升

行業概覽

高、觸珠蛋白降低、間接膽紅素增加等)以及通過直接抗球蛋白試驗檢測到紅細胞自身抗體。臨床上，患者表現為疲勞、蒼白、黃疸或尿色加深，部分患者伴有脾腫大；嚴重程度從輕微至危及生命不等。AIHA具有異質性，根據自身抗體熱反應性及發病機制可分為溫抗體型、冷凝集素病(或綜合徵)及混合型，其原發性和繼發性形式與系統性紅斑狼瘡、淋巴瘤或其他惡性腫瘤等疾病相關。繼發性AIHA患者的死亡率更高，且因同種抗體產生及血型相容性問題，給臨床輸血帶來不少挑戰。AIHA包括兩種主要亞型：溫型AIHA (wAIHA)及冷型AIHA (cAIHA)，目前的藥物研發聚焦於wAIHA，因其發病率較高，且主要由Fc介導的血管外溶血驅動，適合B細胞及Fcγ通路靶向療法，同時由於患者常依賴類固醇治療且頻繁複發，因此存在大量未滿足的需求。

中國AIHA患病人數已從2020年的13.56萬例增至2024年的13.82萬例，預計到2030年將達到14.11萬例，到2035年將達到14.17萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.5%、0.3%及0.1%。全球AIHA患病人數已從2020年的75.08萬例增至2024年的79.43萬例，預計到2030年將達到86.44萬例，到2035年將達到92.31萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為1.4%、1.4%及1.3%。下表載列2020年至2035年中國及全球AIHA患病人數的具體情況：

2020年至2035年(預計)全球及中國AIHA患病人數



資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

AIHA的治療范式

在中國，AIHA的治療需根據亞型進行個體化調整。對於wAIHA，一線療法採用糖皮質激素，可聯合或不聯合利妥昔單抗。若治療應答不佳，二線治療選擇包括單獨使用利妥昔單抗，或聯合苯達莫司汀或氟達拉濱，特定病例可選用伊布替尼及硼替佐米。三線治療策略考慮脾切除術及免疫抑制劑，如環孢素A、西羅莫司、硫唑嘌呤、霉酚酸酯、環磷酰胺及達那唑等。對於cAIHA，使用補體抑制劑，包括蘇替莫單抗、佩格塞塔科普蘭及依庫珠單抗等，對於IgM介導的疾病，可採用靜脈注射免疫球蛋白及血漿置換等支持性治療措施。在美國，一線wAIHA治療通常使用潑尼松，聯用或不聯用利妥昔單抗；二線治療則增加基於利妥昔單抗的聯合方案，並使用依庫珠單抗或血漿置換進行緊急控制；新興的BTK抑制劑正作為一種新型選擇被納入治療方案。



資料來源：中華醫學會血液學分會紅細胞疾病（貧血）學組中國成人自身免疫性溶血性貧血診療指南（2023年版）、弗若斯特沙利文

競爭格局

截至最後實際可行日期，海外市場及中國均尚無獲批用於治療AIHA的BTK抑制劑。截至同一日，海外市場僅有一款處於臨床開發階段的用於治療AIHA的BTK抑制劑候選藥物，而中國則有兩款處於臨床開發階段的用於治療AIHA的BTK抑制劑候選藥物。

海外市場用於治療AIHA的BTK抑制劑研發管線競爭格局

通用名	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
瑞紮布魯替尼	BTK	賽諾菲	III期	AIHA	2025年7月25日

資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

中國用於治療AIHA的BTK抑制劑研發管線競爭格局

通用名	靶點	公司	研發階段	適應症	首次發佈日期
瑞紮布魯替尼	BTK	賽諾菲	III期	AIHA	2025年8月11日
CX1440	BTK	本公司	IND批准	AIHA	*

資料來源：藥品審評中心、弗若斯特沙利文

附註*：CX1440於2025年獲得I期臨床試驗IND批准

分子膠概覽

分子膠是一類小分子降解劑，其本身不具備內在酶活性，但可通過重編程細胞泛素－蛋白酶體機制，促進疾病相關蛋白的選擇性清除。分子膠可誘導靶蛋白與E3泛素連接酶之間形成新的相互作用，穩定三元複合物，從而導致靶蛋白泛素化及隨後的蛋白酶體降解。與PROTAC不同，分子膠是單價分子，不含連接子，通常具有更低的分子量，這有利於口服生物利用度和良好的藥代動力學特性。其誘導產生的相互作用界面可賦予高選擇性，並將可成藥空間擴展至無催化活性或無明顯配體結合口袋的蛋白質。沙利度胺類似物（如來那度胺、泊馬度胺等）在腫瘤學及免疫調節領域的應用，已為分子膠提供了臨床概念驗證。持續創新包括發現針對DCAF15、DCAF16及VHL等替代性E3連接酶的分子膠、探索用於多靶點降解的雙功能分子膠概念，以及應用人工智能和蛋白質結構預測技術來設計分子膠誘導的蛋白界面。

分子膠的作用機制

分子膠通過「劫持」泛素－蛋白酶體系統來消除靶蛋白。其作用過程為：單價小分子分子膠以穩定E3泛素連接酶與目標蛋白之間新形成的蛋白質－蛋白質界面的方式結合，從而形成一個三元複合物（連接酶－分子膠－靶蛋白）。這種誘導產生的鄰近效應使得E2-E3複合物能夠對靶蛋白上暴露的賴氨酸進行多聚泛素化修飾，標記其被26S蛋白酶體識別並降解。由於結合依賴於僅在誘導形成的複合物中產生的互補表面，因此降解過程對符合所創建界面的蛋白質具有高選擇性。該工作機制與PROTAC形成對比：PROTAC使用兩個連接的配體來拴系連接酶與靶蛋白，而分子膠為單一的低分子量化合物，無需連接子即可促成相互作用，繼而支持口服生物利用度並簡化藥代動力學特性。

行業概覽

分子膠的增長驅動因素與未來趨勢

根據弗若斯特沙利文的資料，全球分子膠藥物市場的主要增長驅動因素及未來趨勢包括：

- **塑造分子膠藥物市場的科學與技術驅動力。** 分子膠是小分子量、結構簡單的化合物，通過募集E3連接酶至靶蛋白，引發選擇性降解而非抑制。相較於PROTAC，分子膠通常具備更理想的類藥特性、可靠的口服生物利用度以及更簡化的合成與生產工藝。這些屬性有助於降低生產複雜性與成本，同時提升可開發性與可擴展性。這些優勢共同推動了分子膠在腫瘤學與自身免疫性疾病領域更廣泛的應用前景，並加速了其臨床與商業化進程。
- **分子膠降解劑管線擴展與治療領域拓寬。** 分子膠研發管線預計將持續增長，更多候選藥物將進入臨床試驗階段，尤其在腫瘤學領域，以攻克傳統不可成藥的轉錄因子及易產生耐藥的靶點。相關項目亦正拓展至神經學與免疫學領域。新興策略包括利用KEAP1（一種通常介導NRF2泛素化的CUL3銜接蛋白）；分子膠可通過結合KEAP1誘導非天然相互作用，從而重定向KEAP1-CUL3連接酶活性，選擇性降解其他疾病相關蛋白。

與此同時，適應症層面的趨勢與驅動因素將在類風濕關節炎、炎症性腸病及多發性硬化症領域形成差異化發展路徑。具體如下：

- **類風濕關節炎**
 - 精準控蛋白、更佳依從性與更廣覆蓋面。中國類風濕關節炎患者面臨診斷延遲、治療不規範及專科醫生資源分佈不均等情況，導致疾病緩解率低且致殘率高。現有的傳統合成改善病情抗風濕藥可能療效不佳，而有效的生物製劑需注射給藥，影響患者依從性。分子膠通過重新編程蛋白質之間相互作用來精準調控疾病相關的蛋白質，從而提供一種差異化的治療手段，有望擴展可調控的炎症通路。其小分子特性及潛在口服劑型契合長期管理需求，從而提升依從性、可持續性以及在不同治療場景中的可及性。

行業概覽

- **炎症性腸病**
 - 全球疾病負擔日益加重。在歷來低患病率的東亞等地區，IBD發病率持續攀升，而西方國家發病率仍居高不下，這反映出工業化與城市化生活方式在全球範圍的蔓延。老齡人群IBD發病率快速增長，帶來嚴峻的診斷與治療挑戰、更高的合併症風險及多重用藥隱患。隨著全球人口老齡化及醫療需求擴大，IBD的整體臨床與經濟負擔將持續加劇。

- **多發性硬化症**
 - 精準免疫調控將實現持久控制與更廣泛覆蓋。多發性硬化症的治療面臨多重阻礙，如異質表現、生物標誌物有限，以及現有療法雖能抑制複發但難以阻止神經退行性病變並促進功能恢復，其治療覆蓋率因而仍參差不齊。可超越通路抑制的多元機制策略正逐步興起，其可精細調節免疫失衡，減少全身性抑制。在此轉變中，小分子療法（包括分子膠概念）旨在調控關鍵免疫調節因子，擴展治療選項，並提升多發性硬化症長期管理的持久性、可及性及質量。

分子膠在自身免疫性疾病中的主要適應症

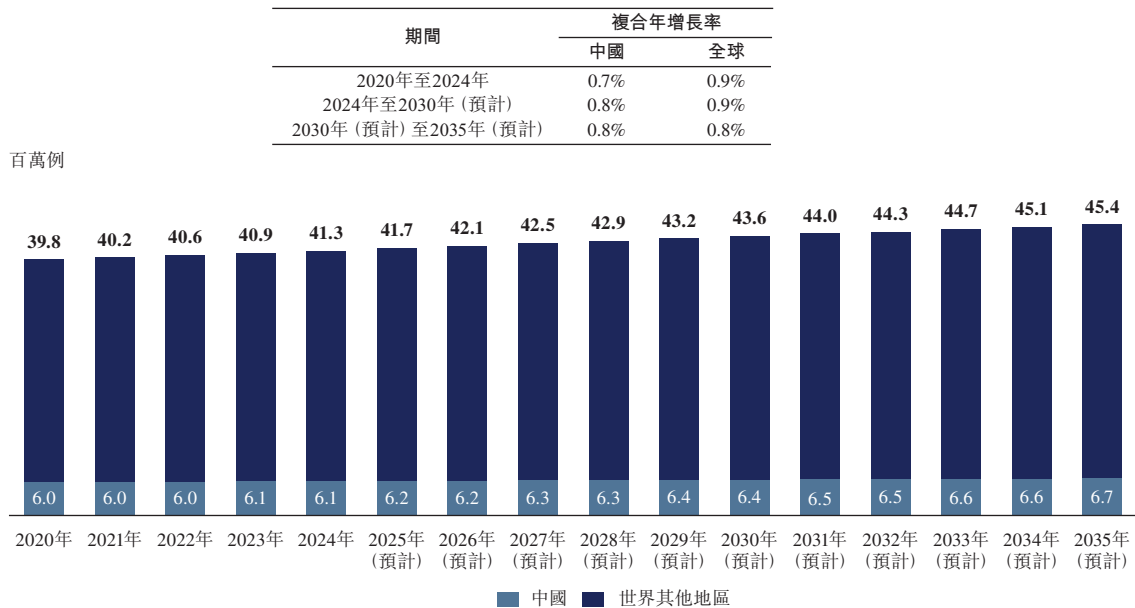
類風濕關節炎

類風濕關節炎(RA)是一類慢性自身免疫性疾病，其特徵為滑膜組織的持續性炎症，可引發滑膜異常增生、關節腫脹疼痛，並造成軟骨與骨組織的進行性侵蝕性損傷。該病通常表現為：關節晨僵與疼痛，且症狀可隨關節活動得到緩解；關節存在觸痛、皮溫升高等炎症表現，常呈手足小關節對稱性受累；同時，患者也常伴隨疲勞、低熱、肌痛、食慾減退等全身性症狀。患病風險受多重因素影響：性別（女性患病率更高）、發病年齡（多集中於中年階段）、疾病家族史、吸煙、暴露於二氧化矽或石棉等特定環境以及肥胖等因素。若病情未得到控制，會增加併發症風險，包括心血管疾病、間質性肺病、骨質疏鬆、腕管綜合徵、類風濕結節、乾燥症狀、伴有少肌性肥胖的異常體成分以及淋巴瘤。

行業概覽

中國RA患病人數已從2020年的6.0百萬例增至2024年的6.1百萬例，預計到2030年將達到6.4百萬例，到2035年將達到6.7百萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.7%、0.8%及0.8%。全球RA患病人數已從2020年的39.8百萬例增至2024年的41.3百萬例，預計到2030年將達到43.6百萬例，到2035年將達到45.4百萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.9%、0.9%及0.8%。下表載列2020年至2035年中國及全球RA患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國RA患病人數



資料來源：弗若斯特沙利文

炎症性腸病

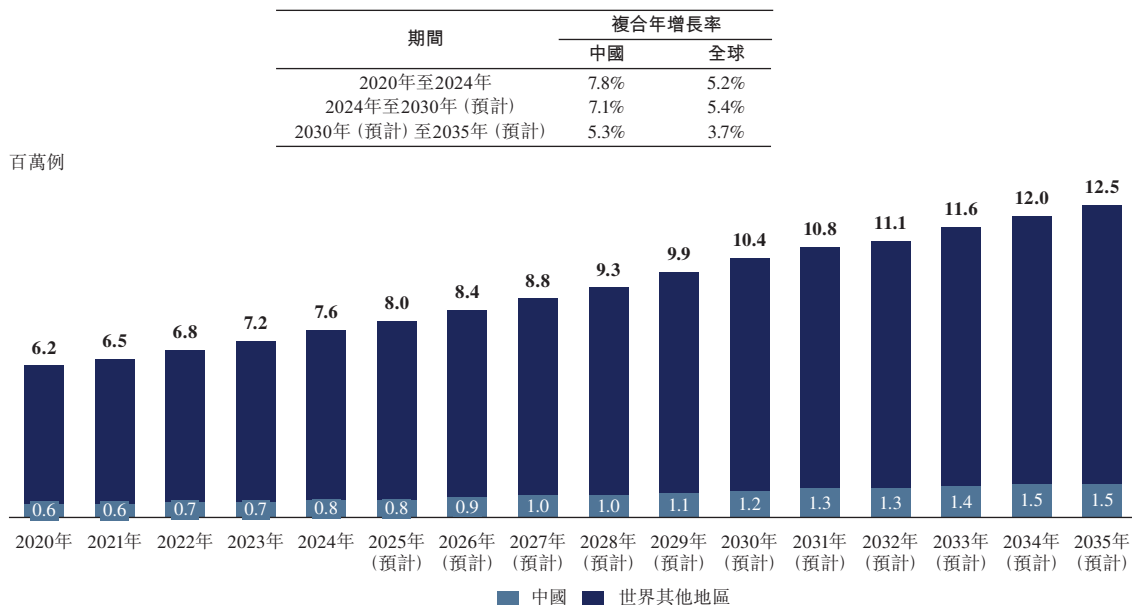
炎症性腸病(IBD)是一類慢性免疫介導性疾病，由遺傳易感性與環境因素相互作用，最終導致腸道免疫應答失調而發病。該病主要分為潰瘍性結腸炎和克羅恩病兩種類型，兩者在炎症分佈範圍與病變深度上均存在差異。潰瘍性結腸炎累及直腸與結腸，表現為連續性黏膜炎症，通常始於直腸並向近端延伸。克羅恩病可累及從口腔至肛門的任何腸段，以末端回腸與近端結腸最為常見，病變呈斑片狀分佈且為透壁性炎症。IBD的診斷需結合內鏡評估（如結腸鏡及小腸膠囊內鏡等）、影像學檢查（CT或MRI小腸造影及腸道超聲）；對於潰瘍性結腸炎，還包括組織學檢查與血清學檢查。

中國IBD患病人數已從2020年的0.6百萬例增至2024年的0.8百萬例，預計到2030年將達到1.2百萬例，到2035年將達到1.5百萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為7.8%、7.1%及5.3%。全球IBD患

行業概覽

病人數已從2020年的6.2百萬例增至2024年的7.6百萬例，預計到2030年將達到10.4百萬例，到2035年將達到12.5百萬例，對應2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為5.2%、5.4%及3.7%。下表載列2020年至2035年中國及全球IBD患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球IBD患病人數



多發性硬化症

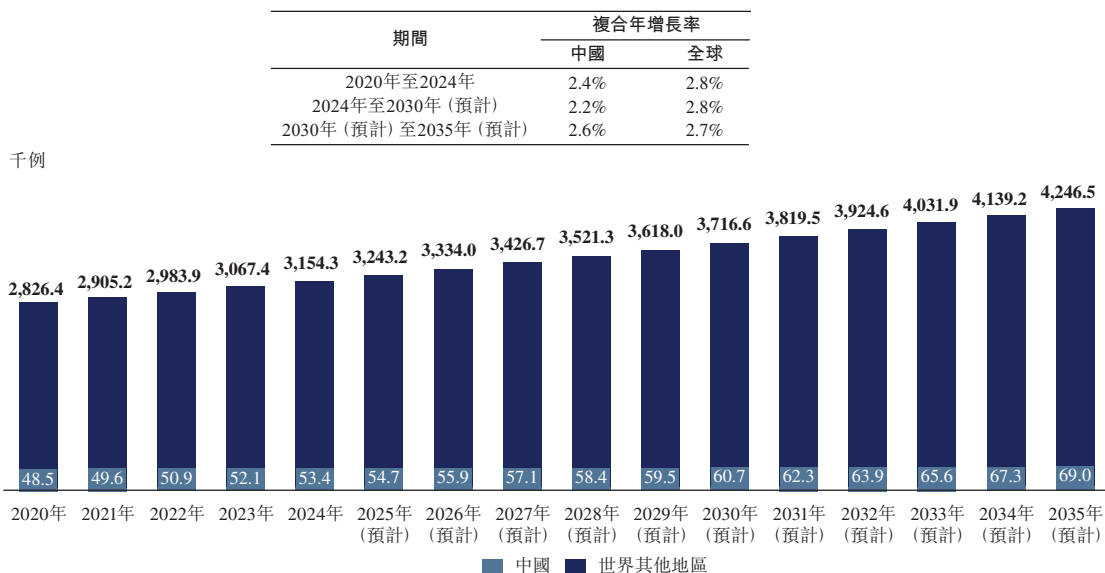
多發性硬化症(MS)是一種慢性免疫介導的中樞神經系統疾病，其炎症會破壞髓鞘並最終損傷軸突，從而干擾大腦與脊髓的信號傳導。許多患者初期會出現臨床孤立綜合徵，伴隨持續至少24小時的神經系統症狀，隨後發展為複發緩解型，特徵為複發後一段時間內部分緩解；部分患者後期轉為繼發進展型，病情逐漸惡化，而較少數患者則屬原發進展型，從初期症狀開始，病情逐漸惡化。症狀因病灶位置而異，可能包括視力模糊或眼球運動時疼痛、四肢麻痺或無力、難以保持平衡、肌肉僵硬、熱敏感、嚴重疲勞、認知遲緩、情緒變化，偶爾出現膀胱或腸道功能障礙。遺傳及環境因素均會影響患病風險，包括女性性別、家族病史、既往艾伯斯坦－巴爾病毒感染、吸煙、肥胖及因陽光照射不足導致的維生素D缺乏。早期診斷及持續管理有助減少複發並延緩功能障礙。

中國多發性硬化症患病人數已由2020年的4.85萬例增至2024年的5.34萬例，預計到2030年將達到6.07萬例，2035年將達到6.90萬例，2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年的複合年增長率分別為2.4%、2.2%及2.6%。全球多發性硬化症

行業概覽

患病人數已由2020年的282.64萬例增至2024年的315.43萬例，預計到2030年將達到371.66萬例，2035年將達到424.65萬例，2020年至2024年、2024年至2030年及2030年至2035年的複合年增長率分別為2.8%、2.8%及2.7%。下表載列2020年至2035年中國及全球MS患病人數的具體情況：

2020年至2035年（預計）全球及中國MS患病人數



資料來源：弗若斯特沙利文

信息來源

我們已聘請市場研究顧問弗若斯特沙利文，為本文件編製弗若斯特沙利文報告。本文件中披露的來自弗若斯特沙利文的信息，均摘錄自弗若斯特沙利文報告，並經弗若斯特沙利文同意後予以披露。在弗若斯特沙利文報告編製過程中，弗若斯特沙利文收集並審閱了公開可得的數據，包括政府來源信息、年度報告、行業及醫學期刊、行業報告、非營利組織收集的其他可用信息，及通過訪談行業關鍵意見領袖所獲取的市場數據。

弗若斯特沙利文在收集與審閱所獲信息時已履行審慎義務，並獨立分析了相關信息，但其審閱結論的準確性在很大程度上依賴於所收集信息的準確性。我們同意就弗若斯特沙利文報告的編製及更新向弗若斯特沙利文支付人民幣580,000元的費用，這些費用的支付不取決於[編纂]是否進行。