

行業概覽

本節及本文件其他章節所載資料及統計數據乃摘錄自我們委聘的獨立第三方來源（弗若斯特沙利文）編製的報告、各種政府官方刊物及其他公開刊物。我們委聘弗若斯特沙利文負責編製弗若斯特沙利文報告，該報告是一份關於[編纂]的獨立行業報告。我們、聯席保薦人、[編纂]以及彼等各自的任何董事及顧問或參與[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，且並無就其準確性、公平性及完整性發表任何聲明。

新藥研發及監管路徑概覽

基於新分子實體(NME)與現有分子(重定位)獲批之新藥上市申請(NDA)的區別

NDA獲批可基於新分子實體(NME)，亦可基於已為新適應症、新給藥方案或新劑型進行重定位以提高其臨床優勢（包括療效、安全性或患者護理獲益）的現有分子。監管路徑的選擇從根本上決定了所需的研發活動。

NME作為全新分子，需依據美國FDA的505(b)(1)路徑提交申請，通常要求提供完整的非臨床、臨床及化學、生產與控制(CMC)數據資料。相比之下，基於現有分子的重定位類新藥或改良型新藥，可部分依賴已獲批參照藥物的既有數據，並補充針對預期產品特性變更的法規要求所生成的數據。此類重定位類新藥或改良型新藥在美國通過FDA的505(b)(2)提交申請，在中國則對應國家藥監局的第2類新藥註冊路徑。

改良型新藥路徑(505(b)(2))是關鍵的監管機制，它通過優化現有分子的臨床特性，激勵藥物創新，而該等分子已具備經證實的臨床療效與安全性。該路徑的核心優勢在於能夠依賴FDA對參照藥物安全性及有效性的既往結論，或依賴非由申請人開展的或為其開展的研究數據。這種依賴性顯著減少了對廣泛、耗時且昂貴的臨床前及臨床試驗的需求，相比505(b)(1)路徑，能夠縮短研發週期並降低資本支出。

行業概覽

505(b)(2)路徑的戰略優勢及風險

505(b)(2)路徑不僅僅是一個簡化渠道，更是一個允許開發具有顯著臨床優勢的差異化產品的監管框架。此類優勢通常通過以下方面的改良予以證明：

- **安全性提升：**降低副作用或毒性。
- **療效優化：**通過優化藥代動力學及藥效學特性，實現更優的治療結局。
- **患者依從性：**開發更為便捷的劑型（如緩釋製劑、無創給藥），以提高患者（尤指慢性病患者）用藥依從性。

然而，如行業專家所強調，505(b)(2)路徑亦伴隨若干必須審慎管理的特定風險：

- **FDA解釋風險：**FDA對505(b)(2)法規的解釋及其對特定產品的適用標準可能發生變化，這可能導致需要補充臨床試驗或延遲獲批。
- **專利挑戰：**該路徑需符合專利認證要求。申請人必須證明其申報產品未侵犯FDA《橙皮書》中列出的參照藥物相關專利。若專利持有人提起訴訟，FDA可能最多30個月內無法批准該505(b)(2)申請。
- **獨佔權風險：**儘管505(b)(2)路徑為需要新臨床研究的申請提供了三年市場獨佔期，但此項保護存在局限性，無法阻止其他不依賴該申請人新臨床數據的505(b)(2)或505(j)申請獲批。
- **市場競爭：**505(b)(2)產品需與參照藥物、其仿製藥以及具有相似特性的其他改良型劑型競爭。其商業成功取決於產品能否展現出較現有及新興療法更明確、更具說服力的臨床優勢及商業優勢。

行業概覽

下表總結了基於NME或現有分子改良版本(改良型新藥)獲批的NDA在各方面的主要差異：

特徵	創新藥/NME	改良型新藥/現有分子	仿製藥
適用範圍.....	新分子 新適應症	新適應症 新給藥方案 新劑型	藥學等效性： 相同分子及相同標籤
申請類型.....	NDA	NDA	ANDA(簡化新藥申請)
美國FDA路徑.....	505(b)(1)	505(b)(2)	505(j)
中國國家藥監局分類.....	1類新藥	2類新藥	3類新藥或4類新藥
研發週期.....	約8至17年	約3至10年	約3年
研發成功率.....	約6.2%	約22.6%	高(主要基於生物等效性)
研發投入.....	高(介乎約1億美元至26億美元，視適應症類型而定)	中等(約1千萬美元至5千萬美元，視變化類型而定)	低(約1百萬美元至1千萬美元，視複雜程度而定)
市場獨佔期.....	5年(NME)	3年(新臨床研究)	180天(首個提交專利挑戰聲明的申請人)
知識產權(IP)保護.....	分子結構專利，20年	治療方案、給藥方案或組合物專利，20年	不適用
核心優勢.....	治療范式的突破或改良	與NME相比，具有差異化臨床優勢，可解決特定臨床需求，臨床開發風險較低，上市速度快	取決於執行情況以及部分基於獨佔期的盈利能力

資料來源：FDA、國家藥監局、文獻綜述、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

按分子類型分類：小分子、多肽及生物製品

藥品可按其分子式進行分類。

小分子藥物是化學合成的化合物，分子量低（通常小於900道爾頓），結構明確且簡單。通常採用口服給藥，易於通過胃腸道吸收進入血液，從而到達細胞內靶點。改良型新藥策略在小分子領域尤為有效，借助創新藥物遞送系統（如開發緩釋或控釋劑型），可顯著優化藥物的藥代動力學(PK)特徵，從而提高療效並減少副作用。

多肽是氨基酸的短鏈，通常被定義為長度介於小分子和大蛋白質（生物製劑）之間的一類物質。得益於其高特异性、低毒性及調節蛋白質－蛋白質相互作用的能力，多肽正越來越被視為一類獨特且前景廣闊的治療藥物。多肽通常對其靶點表現出高效力及高選擇性，這可轉化為更少的脫靶副作用。然而，它們也面臨着穩定性低、半衰期短、分子量高（通常為數千道爾頓）及口服生物利用度低等挑戰，通常需要通過注射給藥。改良型新藥策略與多肽領域高度相關，其重點在於通過藥物遞送創新，如自動注射器、長效微球或無創遞送方法（例如鼻腔或吸入給藥），來克服上述生物製劑學局限並提高患者依從性。

生物製品是源自活體生物的大型複雜分子，包括蛋白質、多肽、抗體、疫苗以及基因療法和細胞療法等先進療法。受其分子尺寸及複雜性的影響，生物製品通常通過注射或輸注給藥，且其作用靶點常位於細胞表面。改良型新藥策略的原則同樣適用於生物製品，通常涉及創建新藥遞送系統（如干粉吸入或微針透皮系統），以提升患者依從性及藥物利用率。

改良型新藥概覽

改良型新藥法規概覽

美國：FDA 505(b)(2)路徑

美國食品藥品監督管理局(FDA)依據《聯邦食品、藥品和化妝品法》第505條，設立了505(b)(2)新藥申請(NDA)路徑。與傳統505(b)(1)路徑不同，該路徑允許申請人依賴FDA對已獲批藥品的安全性及有效性結論，或依賴非由申請人開展或為其開展的研究數據。然而，FDA通常要求申請人證明任何擬議的變更（如新劑型、新給藥路徑或新適應症）具有有意義的臨床優勢，從而確保505(b)(2)產品並非簡單仿制，而是能提供真正的治療改善。

行業概覽

505(b)(2)申報路徑具備若干顯著的監管優勢及商業優勢。首先，它依賴已有數據進而提升效率，申請人可引用外部數據，從而大幅減少開展大量全新臨床研究及非臨床研究的需求。與505(b)(1)路徑相比，這種依賴通常能縮短研發週期並降低資本支出。此外，該路徑還提供有價值的市場獨佔期；如果申請包含對批准至關重要的新臨床研究（超出生物等效性研究範疇），則該藥物可能有資格獲得三年的市場獨佔期，在此期間可免受仿製藥的競爭。其他獨佔權規定，例如孤兒藥享有7年獨佔期，而新分子實體則為5年，同樣適用於根據505(b)(2)獲批的藥品。

中國：改良型新藥的監管框架（國家藥監局第2類）

中國國家藥品監督管理局（國家藥監局）已建立相應的監管框架以鼓勵改良型新藥開發，並依據2020年《藥品註冊管理辦法》，將其歸類為第2類化學藥品。

國家藥監局第2類藥物強調通過對其各自參照藥物在活性成分、劑型、製劑工藝、給藥途徑或適應症方面的優化，展現顯著的臨床優勢。這與美國505(b)(2)路徑的精神高度契合，即優先考慮臨床價值而非新分子結構。國家藥監局第2類改良型新藥的審批流程通常與創新藥步驟一致；然而，國家藥監局允許採用包括生物等效性（BE）研究在內的橋接試驗替代大規模臨床試驗，尤其針對劑型或給藥途徑的變更，從而加速其在中國市場的上市進程。與美國FDA類似，國家藥監局通過發佈專項技術指導原則（如《改良型新藥調釋製劑臨床藥代動力學研究技術指導原則》），積極支持該領域的發展。這種明確的監管支持有助於降低研發風險，同時也體現了政府致力於推動解決未被滿足的臨床需求的治療創新的決心。

改良型新藥的市場規模及增長趨勢

在日益增長的以患者為中心的給藥系統需求的驅動下，改良型新藥整體市場預計將呈現強勁增長。近年來，FDA通過505(b)(2)路徑批准的藥品數量已超過505(b)(1)路徑。自2017年以來，每年通過505(b)(2)路徑獲批上市的新藥數量均超過50個，其中2024年獲批53個505(b)(2)藥品。目前，改良型新藥已成為全球新藥研發的主力藥品。該領域的核心優勢在於能夠利用現有數據獲得批准，從而減少給藥頻率、維持穩定的血藥濃度，並顯著提升慢性病患者用藥依從性。漸進式創新已成為全球藥品研發管線中的重要趨勢，與真正突破性的新療法並存。這一趨勢已穩固確立，且預期增長率顯著，凸顯了改良型新藥市場具備持續的商業可行性與戰略重要性。

行業概覽

改良型新藥的競爭格局及進入壁壘

通過505(b)(2)路徑開發的改良型新藥，其競爭格局可分為三個領域，每個領域均存在獨特的准入障礙，同時也為劑型驅動的創新帶來獨特機遇。

*與原研藥的競爭：*改良型新藥面臨的主要競爭性挑戰來自原研藥，後者受益於既定的臨床應用、醫生的熟悉度及通常較強的品牌忠誠度。改良型新藥必須通過提供明確、可量化的臨床獲益來克服此點，從而證明改變處方習慣的合理性。這種競爭並非基於活性成分，而是基於新劑型的優越性能。例如，用於急性癲癇發作的管理的地西洋及咪達唑侖的原研注射劑，正受到新型鼻噴霧劑型的直接挑戰。直腸栓劑具有與鼻噴霧劑相同之優勢，然尚未普及。鼻腔給藥路徑具有顯著的臨床優勢——用於院外時可實現無創、快速給藥——此為原研劑型所無法比擬。這一優勢體現在預期的市場轉化率上，鼻噴霧劑預計將佔據急救療法市場的大部分份額。同樣，開發氨己烯酸口服溶液也與現有片劑競爭，其針對兒科群體這一高度特異性的未被滿足需求，而該群體對基於體重的精確給藥及良好適口性至關重要。

*與同一治療領域內其他相似產品的競爭：*改良型新藥還與同一治療類別中針對相同治療需求的其他分子藥物競爭。此競爭可能發生於作用機制相似或相異的替代分子之間。以慢性癲癇領域為例，拉考沙胺的緩釋製劑不僅與原研藥的速釋片劑（維派特®）競爭，還與具有類似作用機制的開浦蘭、Xcopri等其他分子藥物競爭。其競爭優勢在於聚焦為拉考沙胺的忠實用戶提供更優的藥代動力學特性（如更低的峰谷波動、更穩定的血藥濃度），從而轉化為更好的患者依從性及更少的副作用。

*與仿製藥的競爭：*儘管505(b)(2)路徑允許依賴原研藥數據，但由此產生的改良型新藥並非簡單的仿製藥，若採用複雜的製劑技術，此類改良型藥物可能對後續仿製藥的上市形成顯著的技術壁壘。與僅需證明與原研藥生物等效的標準仿製藥（即505(j)簡化新藥申請）不同，許多成功的改良型新藥均依賴於專有的、非簡單的技術，不易被複製。該技術壁壘是抵禦仿製藥競爭最有效的防禦手段。例如，開發一種穩定的高濃度鼻噴霧劑需要在給藥系統中添加專用的吸收促進劑，以實現必要的快速吸收與高生物利用度。以Aegis Therapeutics開發、現隸屬於Neurelis®的Intravail®技術為例，該技術有助於開發無針替代劑型，例如鼻內給藥的腎上腺素（如用於過敏性休克的Neffy®/Opvee®）與偏頭痛治療藥物。同樣，為布立西坦等藥物開發緩釋製劑需要複雜的基質或包衣技術，以實現藥物在24小時內的釋放。這製劑的複雜性是仿製藥進入的關鍵壁壘。另一個案例是最初的紫杉醇製劑（泰素®）需使用聚氧乙烯蓖麻油，該輔料曾引發嚴重的超敏反應。改良型505(b)(2)產品白蛋白結合型紫杉醇（Abraxane®）通過採用

行業概覽

專有的納米粒技術將藥物嵌入白蛋白基質，克服了低溶解度的問題，無需使用易致敏溶劑。複製這種特定的納米粒結構及生產工藝對仿製藥企業而言就是一個重大障礙。

另一個案例是利培酮，其原始口服劑型被改良為長效注射(LAI)劑(如恒德®)。該LAI劑採用複雜的微球技術包埋藥物，實現持續兩周的控釋。生產具有完全相同釋放曲線的生物等效微球產品存在巨大技術挑戰，這實質上在監管獨佔期之外提供了額外的市場獨佔期。這些製劑的複雜性要求開展新的臨床研究並投入大量研發資金，從而可能在監管獨佔期之外形成一段市場獨佔期。

進入壁壘

在製藥／生技領域中，成功不僅僅意味著首發上市；它更是一套聚焦於以下方面的複雜策略：為具有未滿足需求的特定患者群體證實卓越的臨床價值(療效、安全性)，獲得監管機構(如FDA、EMA)認可，並取得有利的給付條件以支持溢價定價，從而建立相對於同質化藥物的穩固市場地位。

以下為改良型新藥建立競爭優勢的關鍵要素解析：

- **先發優勢**：開發具有明顯差異化產品的改良型新藥，可獲得先發優勢。改良產品的改良創新版本能夠創造品牌價值，使後續競爭者難以模仿。
- **監管壁壘(505(b)(2)/國家藥監局第2類新藥)**：雖然比NME路徑更高效，但需證明相對於參照藥物具有有意義的臨床優勢(如安全性、療效或患者依從性提升)，此為一項高標準。所以，小幅改良並不足以滿足上述要求。
- **製劑技術專長**：開發先進給藥系統(如穩定的鼻噴霧劑、複雜的緩釋基質等)需要專有技術及在製劑科學領域的重大投入。
- **臨床驗證**：即使規模有限，仍需通過新的臨床研究證明改良型製劑具有優效性或非劣效性，這會增加研發時間與成本。
- **市場獨佔期**：FDA基於新臨床研究授予的三年市場獨佔期提供了一個重要但有限的保護窗口，要求制定快速有效的商業化策略。

行業概覽

- **專利技術**：改良型新藥的知識產權格局極為複雜，需要進行全面的專利實施自由分析，以避免侵犯原研化合物、製劑、生產工藝及醫療用途的現有專利。這常會引發與現有企業之間成本高昂且耗時冗長的專利訴訟，為新進入者帶來重大的法律及財務不確定性。企業還必須建立並維護自身強大的專利組合(如針對新品型或遞送系統的專利)，使產品免受仿製競爭的威脅。基於專有技術的藥物可將其專利列入FDA的《橙皮書》，從而對仿製藥形成准入壁壘。仿製藥廠商必須證明其未侵犯所列專利，這可能引發訴訟並延遲獲批。
- **商業化能力**：通過505(b)(2)路徑研發並上市新藥，需要成熟的商業化運作體系，而許多以研發為核心的企業尚不具備這種能力。新產品上市要求企業制定穩健的多渠道策略，包括組建經驗豐富的銷售及營銷團隊，以開展醫生教育並滲透已成熟的市場。關鍵在於必須具備有力的臨床效益證據與談判技巧，以獲得國家及地區支付方的報銷資格，並使藥物進入醫院處方集。若未與支付方及經銷商建立穩固合作關係，及缺乏已驗證的往績記錄的市場推廣，新進入者將難以實現商業成功所必需的廣泛市場滲透。這種商業化能力是區別於仿製藥競爭者的關鍵差異點，後者無需投入大量資源於推廣、醫保准入及醫學教育等基礎設施建設。

改良型新藥市場的未來趨勢

在美國FDA 505(b)(2)及中國國家藥監局第2類等監管路徑的支持下，改良型新藥市場預計將持續擴張。其增長態勢將受多項關鍵驅動因素影響，包括新興的患者需求、不斷演進的監管協同，以及藥物給藥領域的新技術進步。

改良型新藥領域創新的主要驅動力在於未被滿足的臨床需求，以及旨在解決此類需求、提升患者便利性及依從性的先進藥物給藥系統的開發。具體而言，控釋給藥系統和針對兒科群體設計的劑型已成為持續多年的發展趨勢。

最後，監管政策正在演進，以積極鼓勵具有臨床優勢的改良型新藥的開發。監管機構及市場日益要求改良型新藥證明相對於參比藥品具有有意義的臨床優勢，確保該審批路徑用於真正的治療創新，而非輕微改動。重定位類新藥需展現出更優的療效及安全性，或對患者護理做出重大貢獻。一項重要的增長催化劑是中國國家藥監局為第

行業概覽

2類藥物設立的明確監管路徑，這標誌着政府對這一發展戰略的強有力支持。該政策結合中國龐大的患者群體及不斷增長的醫療支出，正吸引大量國內外資本投入該國的改良型新藥領域。隨着其他地區監管機構採用類似的鼓勵政策，預計這一趨勢將持續延續。

藥物給藥技術概覽

製藥行業對改良型新藥的關注，本質上與先進藥物遞送技術的開發及應用緊密相關。這些技術廣泛分為改良劑型與特殊／新穎劑型兩大類。相較於傳統製劑，此類劑型旨在通過控制藥物在體內的釋放速率、時間或部位，以改善治療效果，從而減少副作用、提升藥效與患者用藥依從性。部分特殊劑型更專為滿足兒科患者及老年科患者等脆弱群體的獨特需求而設計。以下列舉眾多先進遞送技術中的兩項典型範例。

改良劑型：緩釋技術

緩釋製劑、遲釋製劑及控釋製劑統稱為改良型釋製劑。其中，口服緩釋製劑旨在長時間內持續釋放藥物，以實現長效作用；其通過在胃腸道中緩慢釋放藥物，從而降低藥物在體內的吸收速率。相比之下，控釋製劑旨在以定時、定量且一致的方式釋放藥物，進而維持恒定的血藥濃度並減少峰谷波動（即給藥後血液中藥物水平的週期性升降），從而提升治療效果。遲釋製劑在給藥後不會立即釋放藥物，包括腸溶型製劑、結腸靶向型製劑及脈沖釋放型製劑。

具體而言，口服緩釋系統的核心優勢在於可長時間持續釋放藥物。該市場以多種精密技術為特徵，包括：微丸製劑（球形口服劑型，可提高生物利用度，降低胃腸道刺激性）；骨架緩釋片（根據核心結構材料的不同，可分為不溶性骨架緩釋片、親水凝膠骨架緩釋片、蠟質骨架緩釋片及混合材料骨架緩釋片）；微片（直徑2-3毫米的小型片劑）；腸溶控釋片（設計目的為在胃腸道中順序釋放）；滲透泵片（OROS），能提供不受胃腸道環境差異影響的恒定、速率可控的給藥。

口服緩釋劑型市場是一個高增長領域，其驅動力源於對傳統製劑局限性的突破，特別是傳統製劑需要頻繁給藥及血漿藥物濃度波動顯著等局限性。2024年全球緩釋藥物遞送市場規模已接近600億美元；預計到2033年將達到約1,500億美元，複合年增長率(CAGR)高達10.7%，增長勢頭強勁。

行業概覽

特殊劑型：鼻噴霧及兒科製劑

鼻噴霧給藥

鼻噴霧給藥具有獨特優勢，均適用於治療鼻腔局部疾病及全身性疾病，是一種多功能且應用廣泛的劑型。鼻腔的生理特性——包括其高度血管化、較大的表面積及避免肝臟首過效應的能力——使得特定藥物能夠快速吸收並提高生物利用度。與注射劑相比，這種無創給藥方式無痛且通常能提升患者依從性。

在鼻噴霧給藥系統技術創新、治療應用拓展及患者和醫療專業人員日益青睞的推動下，最近鼻腔給藥受到重視。這一上升趨勢凸顯了市場對鼻腔給藥系統的強勁需求及其作為關鍵高增長領域的不斷普及。在表現最佳的前十款鼻噴霧產品中（見下表），有八款是通過505(b)(2)路徑獲批的。針對這八款通過505(b)(2)路徑獲批的鼻噴霧產品，其市場規模已從2020年的314.7百萬美元增長至2025年的21.6億美元，增幅近七倍。在此期間的複合年增長率約為43%，顯示出強勁的增長勢頭。在比較不同劑型時，以單位計的市場份額從2020年的40%急劇上升至2025年的83%（針對同一分子），表明鼻噴霧產品已成為最受青睞的給藥形式。

前十大獲批鼻噴霧產品（按銷售額排名）

排名	專有名稱	活性成分	給藥平台	申請持有人	獲批日期	MAT 截至2025年 6月的銷售額 (美元)
1	Spravato	鹽酸艾司氯胺酮注射液	雙劑量鼻用液體製劑	Janssen Pharmaceuticals Inc	2019年3月5日	920,145,682美元
2	Valtoco	地西洋	單劑量鼻用液體製劑	Neurelis Inc	2020年1月10日	325,994,170美元
3	Baqsimi	胰高血糖素	單劑量鼻用粉霧劑	Amphastar Pharmaceuticals Inc	2019年7月24日	210,915,093美元
4	Nayzilam	咪達唑侖	單劑量鼻用液體製劑	優時比公司	2019年5月17日	201,365,346美元
5	Xhance	丙酸氟替卡松	多劑量鼻用液體 製劑呼吸給藥系統(EDS)	Optinose Us Inc	2017年9月18日	139,729,082美元
6	Tyrvaya	酒石酸伐尼克蘭	多劑量鼻用液體製劑	Oyster Point Pharma Inc	2021年10月15日	92,142,895美元
7	Zavzpret	鹽酸扎維吉洋	單劑量鼻用液體製劑	輝瑞公司	2023年3月9日	77,786,201美元
8	Ryaltris	糠酸莫米松； 鹽酸奧洛他定	多劑量鼻用液體製劑	Glenmark Specialty Sa	2022年1月13日	35,747,750美元
9	Narcan	鹽酸納洛酮	單劑量鼻用液體製劑	Emergent Operations Ireland Ltd	2015年11月18日	35,354,466美元
10	Nefly	腎上腺素	單劑量鼻用液體製劑	Ars Pharmaceuticals Operations Inc	2025年3月5日	34,305,603美元
總計						2,073,486,288美元

資料來源：弗若斯特沙利文分析的年報

行業概覽

然而，鼻噴霧製劑的開發遠比傳統口服製劑複雜，因為其有效性及安全性取決於源自藥物配方、給藥裝置、患者及用戶界面的眾多因素之間的相互作用。

鼻噴霧給藥領域是改良型新藥 (505(b)(2)) 市場中一個快速擴張的細分領域，其驅動力來自對無創、快速起效療法的需求，尤其是針對中樞神經系統疾病的療法。這一趨勢在急性癲癇發作管理市場的轉變中得以體現，鼻噴霧劑的引入已促使該市場從傳統的非便捷劑型向該創新劑型實現顯著轉型。例如，地西洋從注射劑轉為鼻噴霧劑型的市場轉化率預計將從28%提升至2025年的78%，其鼻噴霧劑銷售額預計將從2021年約45百萬美元增長至2025年的400百萬美元（複合年增長率為71%）。類似地，咪達唑侖鼻噴霧劑的銷售額預計將從2020年的25百萬美元以上激增至2025年的210百萬美元以上，其轉化率也將從36%提高至82%。這一趨勢突顯了能夠提升患者依從性及可及性的劑型——尤其針對院外急救療法——所具有的高商業價值。

兒科藥物劑型

兒科藥品市場是需求未被滿足的一個關鍵領域，針對兒科的特製藥物供需嚴重失衡，在中國市場尤為突出。該市場規模在2024年已達到約1,400億美元，預計到2033年將增長至約4,000億美元，複合年增長率為12.4%。此增長由兒童疾病發病率上升、兒科群體擴大及強有力的監管激勵政策所驅動。

兒科製劑的開發以滿足易於給藥、口感適宜且能實現精準給藥的劑型需求為導向。主要的兒科口服劑型包括口服液體製劑（具有吸收迅速、依從性高的特點）、微顆粒劑（比片劑更易吞嚥，且釋放穩定）以及口腔崩解片(ODT)（適用於存在吞服困難的兒童患者及老年患者）。吸入和鼻腔給藥亦是兒科群體的優選給藥路徑。非口服劑型，如直腸及／或口腔凝膠、氣霧劑及透皮貼劑，也因其高患者依從性及直接靶向能力而具有重要價值。

全球監管機構，包括歐洲藥品管理局(EMA)、FDA及中國國家藥監局，均已發佈指導原則以加速兒科製劑的開發，並針對不同給藥路徑、劑型及輔料對患者的可接受性進行詳細闡釋。這些指導原則強調通過標準化給藥裝置及掩味技術，以最小化風險、提升便利性並確保給藥劑量準確。兒科藥物製備的主要技術，包括定量給藥裝置、提升藥物溶解度和穩定性的方法以及掩味技術，均旨在確保兒童用藥劑量準確、給藥便捷且適口性良好。

行業概覽

基於治療領域的改良型新藥的市場規模、增長情況及潛在患者群體

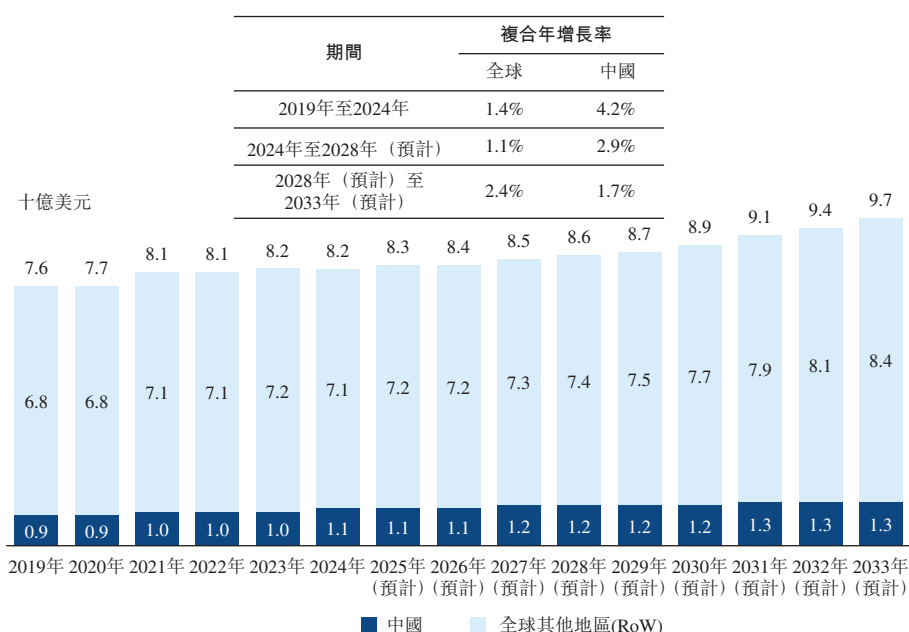
通過505(b)(2)路徑開發的改良型新藥市場，在未被滿足臨床需求高且對提升患者依從性有強烈需求的治療領域尤為具有吸引力，特別是在慢性病及專科疾病領域。在此廣泛領域中，我們特別列舉若干具代表性的疾病領域，以闡明其中蘊含的市場機遇。核心關注的三大治療領域——中樞神經系統疾病、代謝性疾病及其他生活質量相關病情以及孤兒藥適應症——共同構成了一個規模龐大且不斷增長的全球市場機遇。該機遇由市場價值及潛在患者群體規模共同界定。

中樞神經系統疾病

中樞神經系統(CNS)疾病市場是製藥行業規模最大、最複雜的治療領域之一，其市場規模僅次於腫瘤領域。全球中樞神經系統藥物市場涵蓋了抑鬱症、焦慮症、偏頭痛、帕金森病、阿爾茨海默病及癲癇等多種疾病，目前正經歷強勁增長。2020年至2024年期間，全球中樞神經系統藥物市場從2,337億美元增加至2,588億美元，複合年增長率為2.6%；預計到2033年將達到3,482億美元，2024年至2033年間期間的複合年增長率為3.3%。

中樞神經系統疾病市場，尤其是癲癇細分市場，是推動改良型新藥開發的主要驅動力之一。2019年至2024年期間，全球癲癇藥物市場從76億美元增至82億美元，複合年增長率為1.4%；預計到2033年將達到97億美元，2028年至2033年期間的複合年增長率為2.4%。中國癲癇藥物市場增長更為強勁，從2019年的9億美元增至2024年的11億美元（複合年增長率為4.2%），預計到2033年將達到13億美元。

2019年至2033年（預計）全球癲癇藥物市場



資料來源：基於公開資料的弗若斯特沙利文分析，及專家訪談

行業概覽

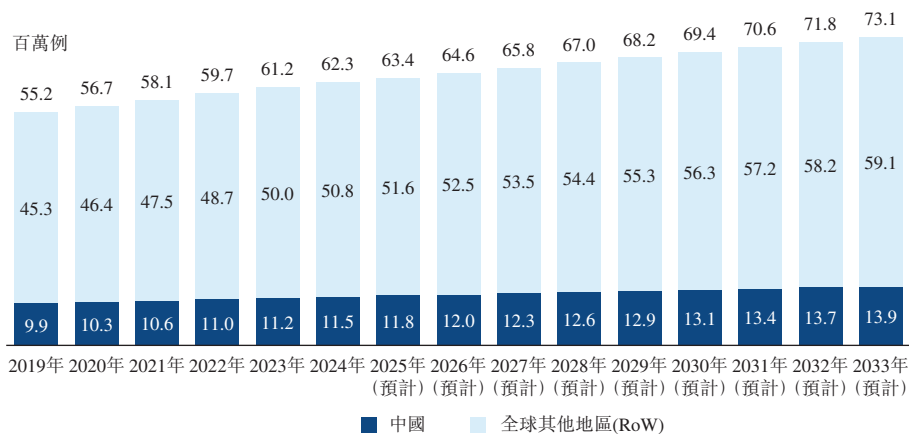
癲癇治療分為慢性期管理和急性發作期急救兩大類。當前治療范式正從症狀控制，轉向更以患者為中心、強調患者照護與用藥依從性的方向發展：

- **慢性期管理**：標準治療方案涉及使用抗癲癇藥物(AED)。關鍵趨勢在於開發緩釋(ER)製劑，以改善藥代動力學特性、降低給藥頻率並減少血藥濃度峰谷波動，從而提高患者依從性並減輕副作用。
- **急性發作期急救**：涉及使用苯二氮草類藥物，以快速終止持續性或群發性癲癇發作。主要趨勢是從傳統的直腸凝膠給藥方式轉向無創、患者友好的遞送系統，主要是鼻腔噴霧劑，其具有起效更快、社會接受度更高及護理人員更易操作的優勢。
- **難治性癲癇發作**：業界日益關注難治性癲癇發作治療方案的開發，通常利用現有藥物的改良型劑型以滿足此類醫療需求高度未被滿足的特定患者群體。

2024年全球癲癇潛在市場達到62.3百萬例患者，2019年至2024年的複合年增長率為2.4%，預計到2033年將達到73.1百萬例患者。中國市場亦規模可觀，2024年患者數為11.5百萬例，預計到2033年患者數將增長至13.9百萬例。

2019年至2033年（預計）全球癲癇患病人數

期間	複合年增長率	
	全球	中國
2019年至2024年	2.4%	3.1%
2024年至2028年（預計）	1.8%	2.3%
2028年（預計）至2033年（預計）	1.8%	2.1%



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文分析的公開資料

代謝性疾病及其他生活質量改善類藥物

行業概覽

代謝性疾病破壞身體將食物轉化為能量的能力，其範圍涵蓋常見疾病如2型糖尿病與肥胖症，至較罕見的遺傳性疾病如苯丙酮尿症(PKU)、戈謝病等。代謝性疾病通常為慢性病症，對生活品質造成顯著影響。該市場由龐大的患者群體及對改善長期治療方案中患者依從性的迫切需求所驅動。以下重點說明三類在改良型新藥市場中備受關注的代謝性疾病。

- **糖尿病**：全球糖尿病市場是醫藥領域最大的市場之一，其驅動力在於快速擴張的老齡化人口。全球糖尿病患者數量從2019年的475.1百萬例增至2024年的589.0百萬例，複合年增長率為4.7%，預計到2033年將達到689.5百萬例。2型糖尿病的治療范式涉及多藥聯用，其主要市場趨勢是開發非注射、便捷的給藥系統，以解決與注射（尤其是高效GLP-1類藥物）相關的嚴重患者依從性問題。
- **肥胖／超重**：全球肥胖及超重治療市場正經歷爆發式增長，這主要歸因於該病症患病率的持續上升及新型治療類別（尤其是GLP-1受體激動劑）在臨床上的成功。全球肥胖症患者數量從2019年的753.3百萬例增至2024年的988.1百萬例，複合年增長率為5.6%，預計到2033年將達到1,448.5百萬例。主要市場趨勢是，針對現有藥物開發高效、便捷且無創的遞送系統，以最大限度地提高患者依從性，並將潛在患者群體擴大到願意自我注射的人群之外。這種對先進藥物遞送技術的關注成為代謝性疾病領域的關鍵創新方向。
- **乾眼症(DED)**：2024年DED市場規模約為60億美元，預計到2033年將達到90億美元，2024年至2033年的複合年增長率為6%。2024年，全球受DED影響的患者人數已達946.6百萬例。於2024年至2033年，該數字預計於2033年達到1,044.4百萬，於2024年至2028年的複合年增長率為1.2%，而於2028年至2033年的複合年增長率為1.0%。乾眼症的治療通常涉及抗炎藥物。市場趨勢聚焦於改進眼科製劑，以增強藥物滲透性、減少副作用，並提升患者舒適度及治療依從性。

行業概覽

胰高血糖素樣肽-1(GLP-1)類藥物及其類似物

近期糖尿病及超重的治療方案主要圍繞胰高血糖素樣肽-1(GLP-1)類藥物及其類似物展開，這類藥物已從根本上重塑了治療格局。GLP-1類似物的主導地位源於其在實現卓越血糖控制及顯著減重方面的雙重功效。此類藥物已迅速成為許多2型糖尿病患者標準治療方案，並越來越多地應用於慢性體重管理。

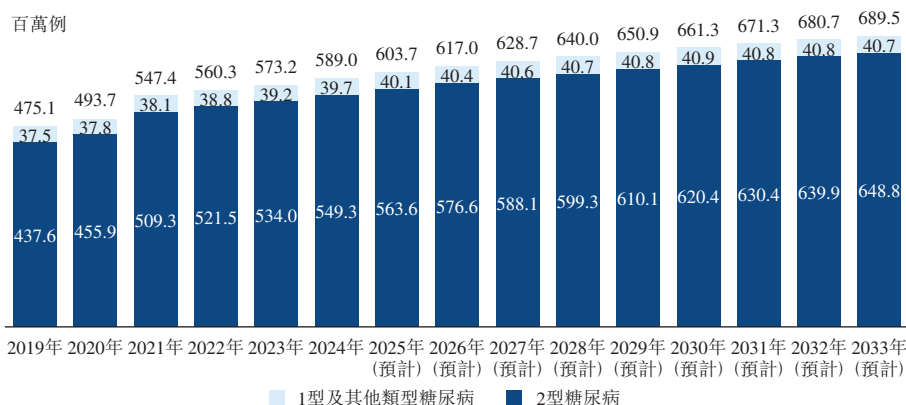
該領域正迅速超越單靶點療法，隨着雙靶點及多靶點藥物的出現而演進。雙受體激動劑分子(如替爾泊肽)代表了下一代藥物，通過同時激活GLP-1受體及葡萄糖依賴性促胰島素多肽受體，實現療效協同增強。雙重激動劑療法已在許多患者中展現出優於傳統療法的血糖控制效果及超過20%的突破性減重成效。雙重激動劑的成功，加速了未來三重激動劑候選藥物的開發進程。此外，業界越來越關注減脂不減肌。傳統減重方式往往伴隨着顯著的瘦體組織流失；而新一代治療策略旨在通過創新機制保護肌肉組織，力求在最大限度減少脂肪的同時，維持代謝活躍組織，這對長期體重管理及整體健康結局至關重要。

一個關鍵的GLP-1創新領域是開發新型給藥系統，如口服製劑。口服司美格魯肽的成功，在於其利用創新型吸收增強劑技術促進腸道吸收，在保持注射型GLP-1療法療效的同時，有望提升患者便利性並擴大治療方案接受度。這一遞送技術的突破為其他生物製劑從注射劑型向口服劑型的轉化開闢了路徑，或將變革慢性疾病的管理模式。最後，長效GLP-1藥物的開發實現了更低的給藥頻率(如每周或每兩周一次)，進一步提升了患者依從性及便利性，鞏固了以患者為中心、高效代謝治療的發展趨勢。

行業概覽

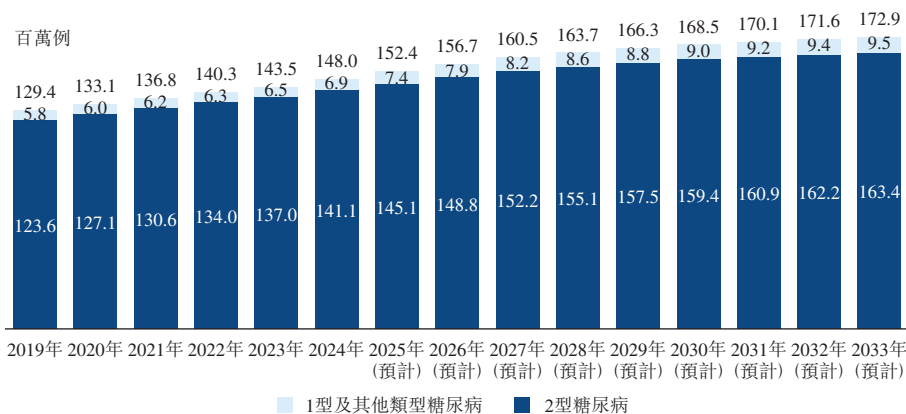
2019年至2033年（預計）全球糖尿病患病人數

期間	複合年增長率		
	2型糖尿病	1型及其他類型糖尿病	總計
2019年至2024年	4.7%	1.2%	4.4%
2024年至2028年（預計）	2.2%	0.6%	2.1%
2028年（預計）至2033年（預計）	1.6%	0.0%	1.5%



2019年至2033年（預計）中國糖尿病患病人數

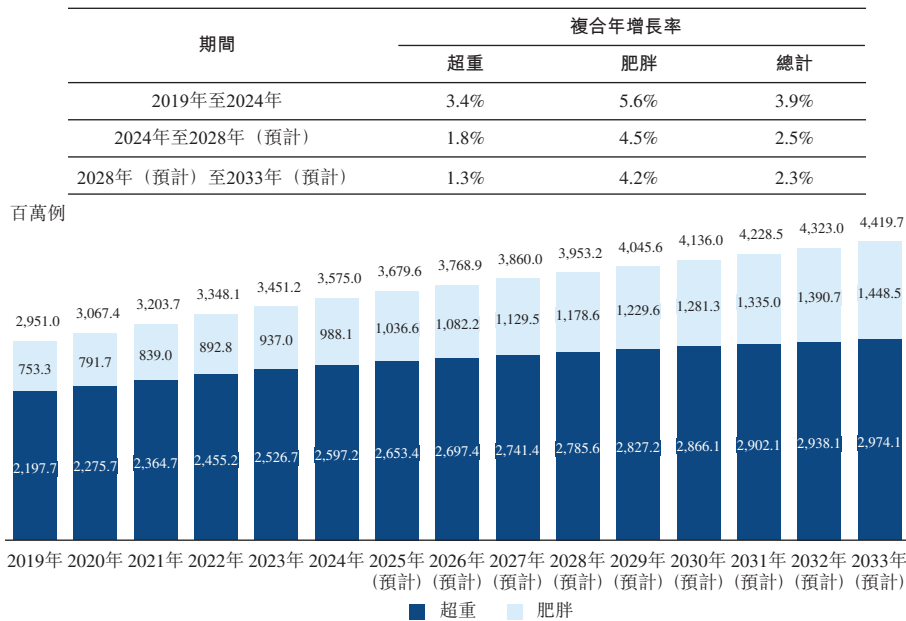
期間	複合年增長率		
	2型糖尿病	1型及其他類型糖尿病	總計
2019年至2024年	2.7%	3.5%	2.8%
2024年至2028年（預計）	2.4%	5.6%	2.5%
2028年（預計）至2033年（預計）	1.0%	2.2%	1.1%



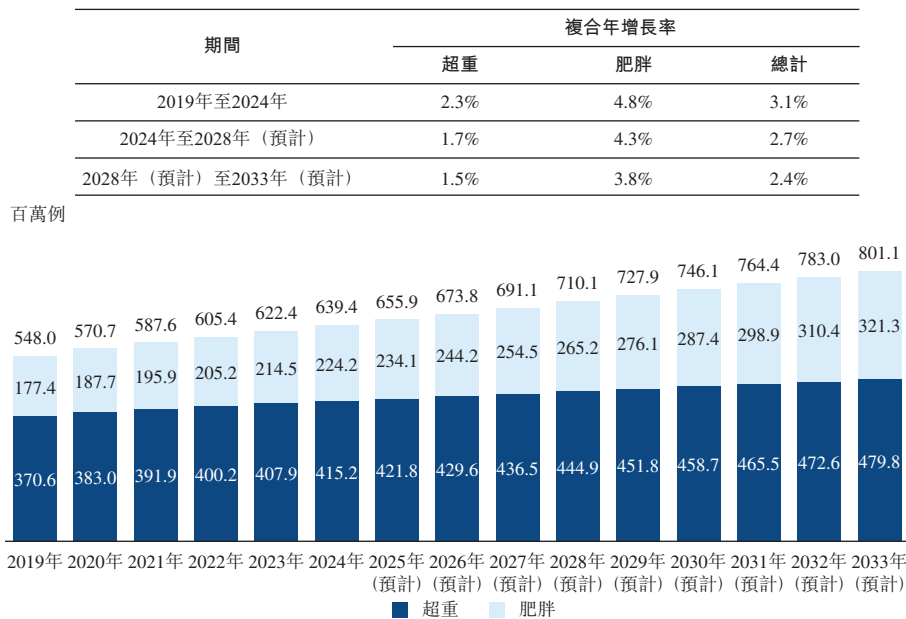
資料來源：世衛組織、國際糖尿病聯盟、美國糖尿病協會、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

2019年至2033年（預計）全球肥胖及超重患病人數



2019年至2033年（預計）中國肥胖及超重患病人數



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

孤兒藥適應症

孤兒藥市場雖然患者數量較少，但由於疾病的嚴重性及監管激勵政策，其產品具有高價值特徵。2024年全球孤兒藥市場規模約為2,000億美元，預計到2033年將達到3,500億美元，2024年至2033年期間的複合年增長率為9%。2024年，全球孤兒藥適應症患病人數超過300百萬例。

孤兒藥的治療方案通常較為複雜，且因疾病狀態的複雜性和病情的罕見性，需要開展患者教育。罕見病的診斷及治療通常涉及嬰幼兒或年幼兒童，往往需要患者與照護者之間進行更深入、更複雜的互動。罕見病的診斷通常意味着患者需終身接受照護，並面臨諸多挑戰，因此需要為照護者及患者提供更全面的支持及教育。孤兒藥生產商針對這些病情所提供的支持包括：專門的專科藥房配藥服務、保險報銷協助，以及持續的培訓教育服務，以確保患者獲得最佳照護。這些服務通常還涵蓋加速藥物供應、營養指導及其他支持性照護措施的教育，以及通過「高接觸」互動確保用藥依從性。以下重點說明三種兒科罕見疾病。

- **杜氏肌營養不良症(DMD)**：DMD是一種嚴重的進行性肌肉萎縮疾病。2024年，全球DMD潛在市場達39.03萬例患者，2019年至2024年期間的複合年增長率為0.9%，預計到2033年將達到41.88萬例患者。DMD的治療方案常涉及皮質類固醇（如地夫可特）。糖皮質激素，特別是潑尼松及地夫可特，仍是經證實能延緩疾病進展、延長獨立行走能力並維持肌肉力量的基礎療法。除皮質類固醇外，治療領域已擴展至包括針對特定基因突變的外顯子跳躍療法（如Eteplirsen[®]、Golodirsen[®]），以及近期針對符合條件的患者加速獲批的基因替代療法（如Elevidys[®]）等先進療法。主要趨勢在於改進現有藥物的劑型，如開發兒科友好型口服混懸液或分散片，以提高患者依從性，並方便存在吞咽困難的兒童給藥。
- **Dravet綜合徵**：Dravet綜合徵是一種嚴重的癲癇類型。2024年，全球Dravet綜合徵患者群體估計為0.2百萬例。治療方案涉及聯合使用抗癲癇藥物，如司替戊醇。目前的標準治療方案採用多藥聯合療法，通常包括司替戊醇（常與氯巴佔聯用）、芬氟拉明(Fintepla[®])及大麻二酚(Epidiolex[®])，這三種均為美國FDA批准的適合該病情的輔助療法。主要趨勢是開發穩定、準確且適口性良好的兒科劑型，以確保這一脆弱患者群體的給藥劑量的一致性。

行業概覽

- **高苯丙氨酸血症(HPA)：**HPA是一種代謝性疾病。2024年，全球HPA患者群體估計為0.5百萬例。治療方案主要涉及飲食限制和使用酶輔因子，如沙丙蝶呤。目前HPA的治療范式是一種以嚴格限制苯丙氨酸飲食為中心的、終身性的多層面方法。藥物干預包括對BH4反應性患者使用酶輔因子沙丙蝶呤(科望®)，以及對其他治療未能達到充分控制的成年患者使用酶替代療法聚乙二醇化苯丙氨酸解氨酶(帕林齊®)。此外，有時會使用大分子中性氨基酸來阻斷苯丙氨酸通過血腦屏障的轉運。目前正探索利用先進技術，如透過腺相關病毒(AAV)將正確的PAH基因傳遞至肝臟，以及運用CRISPR-Cas9生成鹼基編輯器直接修正PAH基因突變。關鍵趨勢是開發現有療法的改良型、便捷劑型，以提高患者對長期治療的依從性。

疾病領域及產品市場

中樞神經系統疾病藥物市場概覽

中樞神經系統疾病藥物市場是全球製藥行業中一個重要且不斷增長的細分領域，其驅動力源自疾病的高患病率、病情的慢性特徵及在藥物遞送和患者依從性方面持續存在的未被滿足需求。

癲癇疾病概覽及潛在市場

癲癇是一種慢性腦部疾病，其特徵為反覆發作的癲癇發作，即身體局部(部分性)或全身(全面性)出現短暫的不自主運動。該疾病在全球範圍內患病率很高，為治療干預創造了一個龐大且穩定的潛在市場。

該市場的創新日益聚焦於優化已上市活性成分的遞送方式，以提升療效、減少副作用並改善患者生活質量，尤其是通過505(b)(2)路徑及國家藥監局第2類路徑進行開發。

- **慢性期管理：**標準治療方案涉及使用AED。AED的選擇高度取決於癲癇發作類型。對於局灶性發作，一線選擇包括卡馬西平、拉考沙胺、拉莫三嗪、左乙拉西坦、奧卡西平、托吡酯及唑尼沙胺；二線選擇包括布立西坦及氨己烯酸。對於全面性發作，一線治療通常採用拉莫三嗪、左乙拉西坦或丙戊酸鈉。慢性期管理的關鍵趨勢是開發緩釋(ER)製劑，以改善藥代動力學特性、降低給藥頻率並減少血藥濃度峰谷波動，從而提高患者依從性並減輕副作用。

行業概覽

- 急性發作期急救：涉及使用苯二氮草類藥物，以快速終止持續性或群發性癲癇發作。主要趨勢是從傳統的直腸凝膠給藥方式轉向無創、患者友好的遞送系統，主要是鼻腔噴霧劑，其具有起效更快、社會接受度更高及護理人員更易操作的優勢。

競爭格局：慢性癲癇(製劑優化)

慢性癲癇治療市場競爭激烈。該細分市場的競爭優勢並非源自新穎的活性成分，而在於通過更優的藥代動力學及患者依從性來證明有意義的臨床優勢，這正是505(b)(2)路徑的核心原則。

- **氨己烯酸**：該藥物用於治療嬰兒痙攣症，其市場主要針對兩歲以下的嬰幼兒群體。本公司的口服溶液劑型滿足了臨床對精準劑量、適口性良好且易於給藥的兒科製劑的未被滿足需求，使其成為極少數能為這一脆弱患者群體提供改良劑型的廠商之一。
- **拉考沙胺**：競爭格局包含每日兩次的速釋片劑及其仿製藥。本公司專注於開發緩釋膠囊，通過降低給藥頻率並提供更穩定的血藥濃度直接參與競爭，這相較於現有標準療法具有顯著優勢。
- **拉莫三嗪**：這款廣譜抗癲癇藥現有多種劑型(片劑、分散片)。本公司開發的干混懸劑在兒科市場具有戰略性定位，為替代碾碎藥片或使用穩定性較差的液體製劑提供了極具吸引力且有利於提升用藥依從性的新選擇。
- **布立西坦**：競爭產品包括速釋片劑。本公司開發的緩釋製劑旨在克服該藥物半衰期短的缺陷，通過提供更穩定的治療效果並減少峰谷波動相關副作用，使其站上該藥物劑型創新的前沿。

氨己烯酸競爭格局

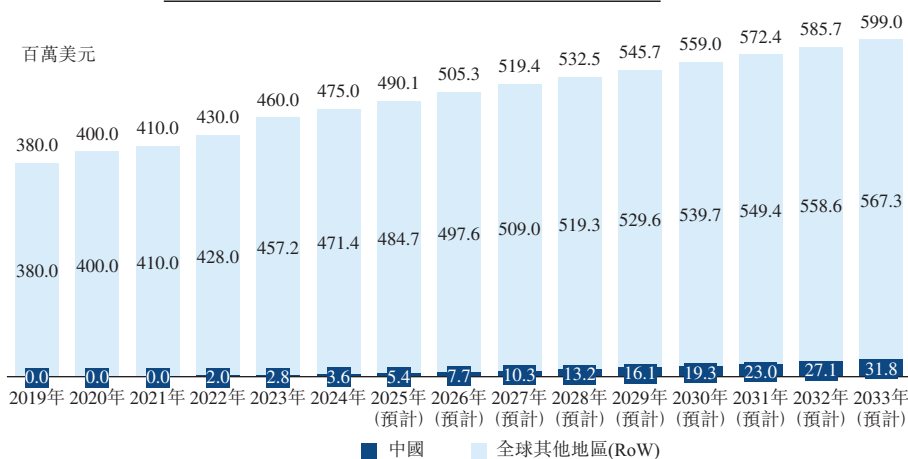
氨己烯酸由丹麥靈北製藥有限公司以喜保寧®為商品名在全球上市銷售，是一種重要的抗癲癇藥物，主要適應症為嬰兒痙攣症(IS)——尤其針對結節性硬化症(TSC)患者，並可作為難治性複雜部分性發作的輔助療法。其作用機制涉及不可逆抑制GABA轉氨酶，從而提高大腦中抑制性神經遞質GABA的水平，進而發揮抗癲癇作用。該藥物被多項國際指南列為TSC相關嬰兒痙攣症的一線治療方案。全球氨己烯酸市場屬於

行業概覽

專科孤兒藥細分市場。2019年至2024年期間，全球氨己烯酸市場規模從380.0百萬美元增長至475.0百萬美元，複合年增長率為4.6%；預計到2028年和2033年將分別達到532.5百萬美元和599.0百萬美元，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2.9%和2.4%。中國氨己烯酸市場正迅速崛起，其規模從近乎零增長至2024年的3.6百萬美元，預計到2028年和2033年將分別達到13.2百萬美元和31.8百萬美元，複合年增長率分別為38.2%和19.2%。

2019年至2033年（預計）全球氨己烯酸市場

期間	複合年增長率	
	全球	中國
2019年至2024年	4.6%	-
2024年至2028年（預計）	2.9%	38.2%
2028年（預計）至2033年（預計）	2.4%	19.2%



資料來源：公開資料、專家訪談、弗若斯特沙利文分析

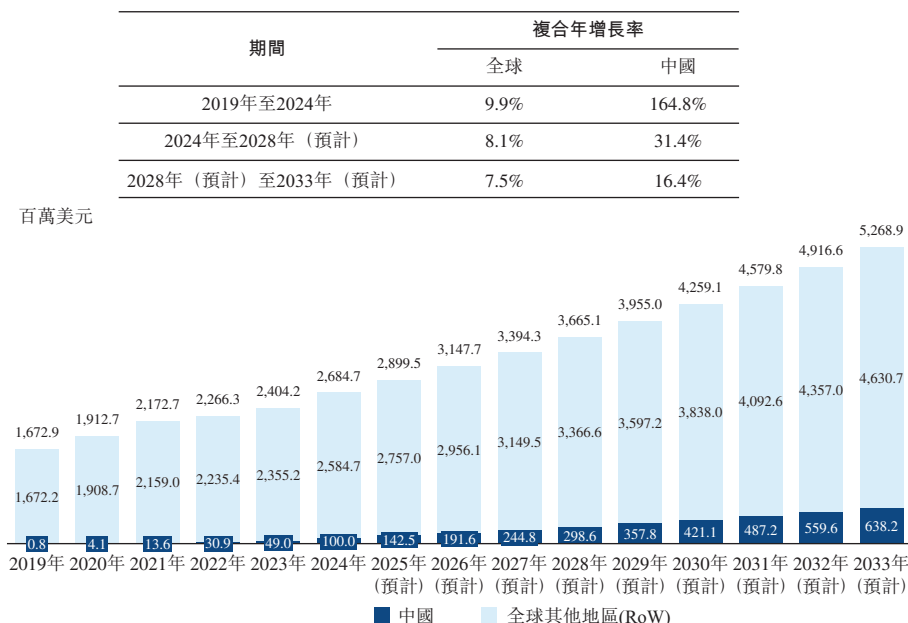
氨己烯酸市場的主要競爭優勢在於通過兒科製劑優化確保嬰幼兒給藥劑量的精確性及用藥依從性。該藥物通常以片劑或顆粒劑形式給藥，須用水溶解，這常導致劑量不準確、適口性差且藥物浪費。這種改良型新藥劑型在劑量精準性、給藥便利性及適口性方面均具有顯著優勢，使其成為需要按體重給藥且存在吞咽困難的嬰幼兒患者的首選。這種對優化兒科劑型的戰略關注，使本公司能夠憑藉活性成分既有的臨床成功，搶佔高增長的中國市場及服務不足的全球兒科細分市場，同時為仿製片劑競爭者構築了顯著的進入壁壘。

行業概覽

拉考沙胺競爭格局

拉考沙胺自2008年起由優時比以維派特®為商品名在全球上市銷售，是一種獲批用於癲癇患者部分性發作輔助治療的關鍵第二代AED。本公司(奧科達)銷售一款緩釋膠囊產品「Motpoly XR™」。拉考沙胺市場規模龐大且呈持續增長態勢，這得益於臨床對有效且耐受性良好的慢性AED的需求。2019年至2024年期間，全球拉考沙胺市場規模從1,672.9百萬美元增長至2,684.7百萬美元，複合年增長率為9.9%；預計到2028年和2033年將分別達到3,665.1百萬美元和5,268.9百萬美元，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8.1%和7.5%。中國拉考沙胺市場正以更為迅猛的態勢增長，預計到2033年將達到638.2百萬美元，2024年至2028年期間的複合年增長率為31.4%，2028年至2033年期間為16.4%。

2019年至2033年(預計)全球拉考沙胺市場



資料來源：公開資料、專家訪談、弗若斯特沙利文分析

拉考沙胺市場的主要競爭優勢在於通過劑型優化提升患者依從性，並維持穩定的治療血藥濃度。鑒於癲癇治療需要長期規律用藥，緩釋(ER)製劑對於解決傳統速釋製劑存在的血藥濃度波動大、患者依從性差等臨床痛點具有關鍵意義。拉考沙胺ER膠囊的改良劑型具備多重綜合優勢，包括給藥便利性(每日一次)、平穩的血藥濃度、持久的療效及良好的耐受性。值得注意的是，本公司的ER製劑是FDA批准的該分子唯一一款癲癇治療用緩釋膠囊藥物，這為仿製藥競爭者構築了較高的市場進入壁壘，同時凸顯了改良型新劑型在該細分市場的戰略價值。公司對開發拉考沙胺、布立西坦等關鍵AED的改良劑型的關注，與市場趨勢直接契合，利用緩釋拉考沙胺等劑型優化產品的成熟臨床及商業成功經驗。

行業概覽

拉考沙胺競爭格局

全球已上市拉考沙胺					
劑型	廠商	品牌名	上市許可機構	首次獲批日期	適應症
口服溶液 片劑 注射劑	優時比	Vimpat®	FDA、EMA、日本	2008年10月28日(FDA) 2008年8月29日(EMA) 2016年7月4日(日本)	局灶性發作、 全身強直陣攣 發作
緩釋膠囊	本公司	Motpoly™	FDA	2023年5月4日	

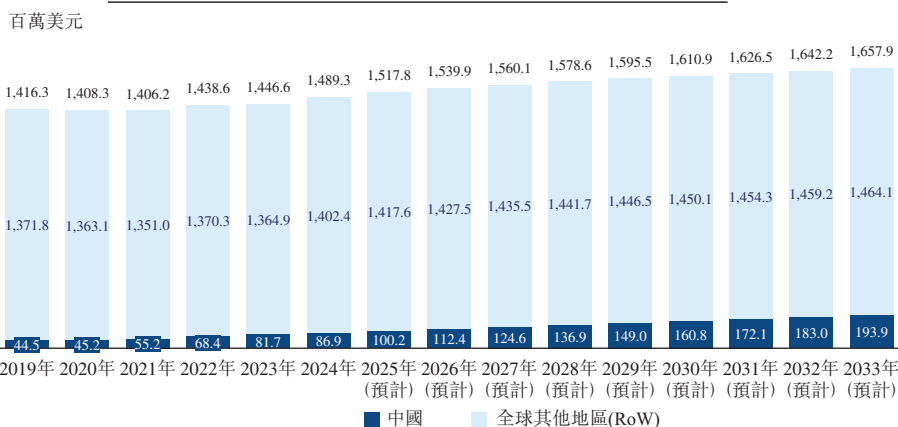
資料來源：FDA、EMA、國家藥監局、藥審中心、臨床試驗、弗若斯特沙利文分析

拉莫三嗪競爭格局

拉莫三嗪自1994年起由葛蘭素史克以利必通®為商品名上市銷售，是一種重要的第二代廣譜AED，也廣泛用作雙相情感障礙的心境穩定劑。拉莫三嗪市場成熟且穩定，這得益於其廣泛的用途及較老一代AED副作用更小的特徵。全球拉莫三嗪市場於2024年達到1,489.3百萬美元，預計在2024年至2028年期間將以1.5%的溫和複合年增長率增長，在2028年至2033年期間將以1.0%的複合年增長率增長。相比之下，中國拉莫三嗪市場正經歷顯著更快的增長，於2024年達到86.9百萬美元，預計在2024年至2028年期間將以12.0%的複合年增長率增長，在2028年至2033年期間將以7.2%的複合年增長率增長。

2019年至2033年（預計）全球拉莫三嗪市場

期間	複合年增長率	
	全球	中國
2019年至2024年	1.0%	14.3%
2024年至2028年（預計）	1.5%	12.0%
2028年（預計）至2033年（預計）	1.0%	7.2%



資料來源：公開資料、專家訪談、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

拉莫三嗪市場的主要競爭優勢聚焦於兒科友好型及提升用藥依從性的劑型。儘管葛蘭素史克後續於1998年上市了分散片(需配製為混懸液)，並於2009年出口崩解片，但針對兒童及吞咽困難患者，其按體重精準給藥的需求及服藥便捷性不足的問題，仍是目前臨床中一項顯著的未被滿足需求。此外，拉莫三嗪需要謹慎的劑量遞增調整，而液體製劑更便於實現這一過程。本公司通過開發拉莫三嗪干混懸劑在市場佔據戰略性定位，以填補這一關鍵空白。

布立西坦競爭格局

布立西坦作為第三代抗癲癇藥物，是突觸小泡蛋白2A(SV2A)的高親和力配體。全球布立西坦市場自2016年起由原研企業優時比公司及其品牌Briviact®主導。優時比認識到兒科市場的重要性，於2016年同步推出了Briviact®片劑、注射劑及口服溶液。目前，由於專利保護，美國市場尚未有仿製藥布立西坦(Briviact®)上市，但已有數項產品獲得FDA的暫定批准。隨著專利到期臨近，仿製藥預計將於2030年4月左右陸續上市。在中國市場，未來的競爭焦點預計將集中在改良劑型的開發上，尤其是緩釋劑型，旨在提升患者用藥依從性，並將每日兩次給藥頻率降低至每日一次。憑藉其優越的藥理學特性，布立西坦市場正處於高速增長階段。2019年至2024年期間，全球布立西坦市場規模從250.8百萬美元增長至810.0百萬美元，複合年增長率達26.4%；預計到2028年和2033年將分別達到1,367.1百萬美元和1,845.6百萬美元，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14.0%和6.2%。

競爭格局：急性癲癇發作管理(急救治療)

急性癲癇發作管理的競爭格局正在經歷快速變革，正從傳統的有創或不便捷的給藥方式向無創、速效的劑型轉變。這一轉變是由對院外急救治療以控制癲癇叢集性發作及癲癇持續狀態的迫切需求所驅動的。

地西洋競爭格局

地西洋是一種歷史悠久的苯二氮草類藥物，是獲准用於治療癲癇持續狀態、麻醉及破傷風等病情的關鍵藥物。地西洋市場規模龐大且呈持續競爭激烈態勢，這要歸因於臨床對急慢性病情有效、速效且可靠治療方案的需求。

全球地西洋市場是一個成熟細分市場，在中國市場佔有顯著份額，眾多廠商及劑型的存在即是明證。地西洋市場的主要競爭優勢在於通過製劑優化來提升患者依從性，並確保快速、穩定的治療血藥濃度。鑒於癲癇持續狀態等急性適應症對快速起效

行業概覽

的迫切需求，以及不同臨床場景對靈活給藥方式的要求，開發多樣化的改良型劑型意義重大。市場上已存在多種劑型，包括膜劑（如威海華新藥業）及各種注射劑型（如天津金耀藥業、四川省長征藥業等），這凸顯了改良型新藥劑型在該細分市場的戰略價值。此類改良型劑型在給藥便利性、血藥濃度穩定性及快速起效方面提供了全面的優勢。值得注意的是，中國市場上劑型的多樣性及廠商的數量，造就了高度競爭的環境，凸顯了對差異化產品的需求。公司對開發關鍵藥物改良型劑型的關注，正是順應了這一市場趨勢，同時也利用了劑型優化產品的成熟臨床及商業成功經驗。

代謝性疾病及其他生活質量改善類藥物市場概覽

代謝性疾病及生活質量改善類藥物市場是一個廣闊且快速發展的領域，其驅動力來自糖尿病、乾眼症等慢性疾病的高患病率。這些疾病嚴重影響患者生活質量，並構成全球主要的健康負擔。

疾病概覽及潛在市場：糖尿病

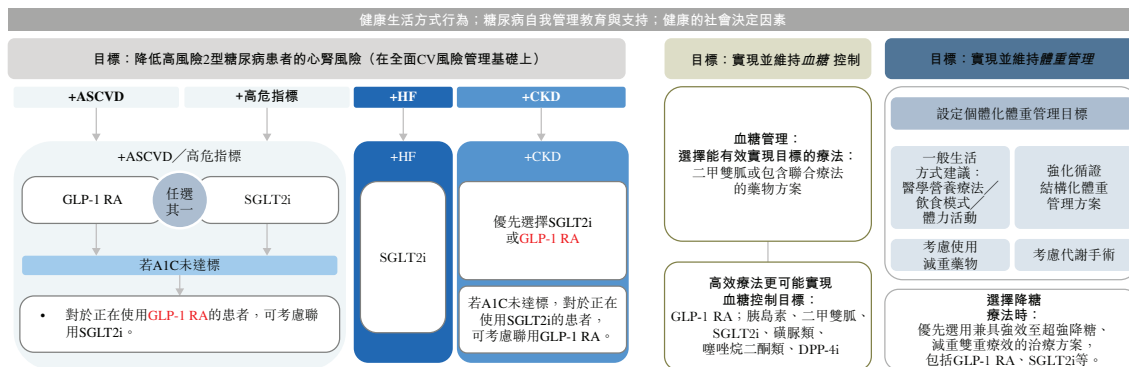
糖尿病是一種慢性代謝性疾病，以高血糖為特徵，由胰島素分泌缺陷、胰島素作用缺陷或兩者兼有所引起。該疾病主要分為1型糖尿病(T1DM)及2型糖尿病(T2DM)，其中T2DM佔絕大多數病例。

T1DM及T2DM的治療方案均較為複雜，涉及藥物治療、生活方式干預及嚴格的血糖監測。糖尿病的治療范式正在發生重大轉變，從單純的控制血糖向注重心腎風險降低及體重管理轉變：

- **1型糖尿病：**T1DM治療的基石仍是胰島素療法，通常通過每日多次注射或持續皮下胰島素輸注給藥。非胰島素治療方案，如GLP-1受體激動劑(GLP-1RA)，正越來越多地用作輔助療法，以實現適度的糖化血紅蛋白(A1C)降低、輔助減重並減少胰島素劑量。
- **2型糖尿病：**治療方案高度個體化。對於大多數患者，二甲雙胍仍是傳統的一線藥物。然而，對於已確診動脈粥樣硬化性心血管疾病、心力衰竭或慢性腎臟病的患者，治療范式已發生重大轉變：無論患者糖化血紅蛋白(HbA1c)水平如何，具有明確心腎獲益證據的GLP-1RA或鈉-葡萄糖協同轉運蛋白2現已被視為一線療法。對於未達到血糖目標的患者，臨床常採用聯合療法，即合併使用兩種或以上藥物，例如GLP-1RA、二肽基肽酶4及鈉-葡萄糖協同轉運蛋白2抑制劑的組合。

行業概覽

2型糖尿病的治療范式



註：ACEi：血管緊張素轉換酶抑制劑；ACR：尿白蛋白／肌酐比值；ARB：血管緊張素受體阻滯劑；ASCVD：動脈粥樣硬化性心血管疾病；CGM：持續葡萄糖監測；CKD：慢性腎臟病；CV：心血管；CVD：心血管疾病；CVOT：心血管結局試驗；DPP-4i：二肽基肽酶-4抑制劑；eGFR：估算腎小球濾過率；GLP-1 RA：胰高血糖素樣肽-1受體激動劑；HF：心力衰竭；HFpEF：射血分數保留的心力衰竭；HFrEF：射血分數降低的心力衰竭；HHF：心力衰竭住院；MACE：主要不良心血管事件；MI：心肌梗死；SDOH：健康的社會決定因素；SGLT2i：鈉-葡萄糖協同轉運蛋白2抑制劑；T2D：2型糖尿病；TZD：噻唑烷二酮類；DSMES：糖尿病自我管理教育與支持；SDOH：健康的社會決定因素；CGM：持續葡萄糖監測。

資料來源：2024年美國糖尿病學會(ADA)《糖尿病診療標準》、弗若斯特沙利文分析

糖尿病的競爭格局及未被滿足需求

當前競爭格局的特點是治療方案正向聯合療法及兼具血糖控制、體重管理雙重獲益的藥物轉變。然而，巨大的未被滿足需求仍然存在，尤其是在藥物遞送及患者依從性方面。

對於T1DM，大多數患者需接受胰島素注射治療，包括每日多次注射或持續皮下胰島素輸注。儘管GLP-1 RA、SGLT2i等非胰島素藥物可作為輔助療法，但對注射胰島素的依賴仍是影響患者依從性及生活質量的主要障礙。

對於T2DM，治療范式呈現高度分層化，涉及多種藥物（二甲雙胍、GLP-1 RA、SGLT2i、DPP-4i、TZD等）。其目標是在管理體重、降低心腎風險的同時，實現並維持血糖控制。這些多藥聯合方案通常包含口服藥物及注射藥物，其複雜性對長期治療依從性構成顯著挑戰。

市場正日益青睞能簡化這些複雜給藥方案的創新藥遞送技術。例如，人源化長效GLP-1 RA製劑因其在血糖及體重管理方面的雙重卓越療效而備受需求。

行業概覽

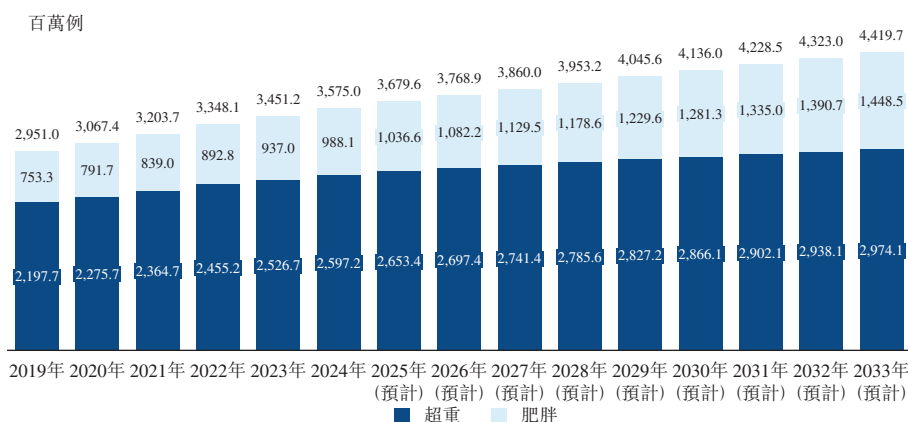
肥胖／超重藥物市場概覽

全球肥胖及超重治療市場正經歷前所未有的增長及轉型。這一激增主要由於新型治療類別（尤其是胰高血糖素樣肽-1受體激動劑（GLP-1 RA））近期取得臨床成功。這類藥物正適時應對全球肥胖盛行率上升的趨勢，而肥胖在近年已成為一項重大的公共衛生危機。

2024年，全球肥胖藥物市場規模約為25億美元，預計到2033年將達到80億美元，2024年至2033年期間的複合年增長率為18%。關鍵市場趨勢正從傳統減重藥物，轉向高效能的GLP-1 RA。該類藥物於臨床應用已近二十年，其使用歷史在很大程度上顯示出長期用藥具有良好的安全性，特別是在心血管與代謝健康方面。然而，當前主流的注射劑型治療方案對患者依從性及市場滲透力均構成了重大障礙。市場的未來將聚焦於針對這些強效分子開發高效、便捷且無創的遞送系統，以最大限度地提高患者依從性，並擴大潛在患者群體。這種對先進藥物遞送技術的關注成為代謝疾病領域的關鍵創新方向，可直接滿足改善患者體驗及提高依從性的需求。

2019年至2033年（預計）全球肥胖及超重患病人數

期間	複合年增長率		
	超重	肥胖	總計
2019年至2024年	3.4%	5.6%	3.9%
2024年至2028年（預計）	1.8%	4.5%	2.5%
2028年（預計）至2033年（預計）	1.3%	4.2%	2.3%



資料來源：文獻綜述、弗若斯特沙利文分析

行業概覽

GLP-1激動劑的競爭格局

司美格魯肽及替爾泊肽市場，憑藉其在2型糖尿病及肥胖症領域的成功，已成為醫藥行業中擴張最迅速、競爭最激烈的細分市場之一，目前該市場主要由原研企業諾和諾德 (Novo Nordisk，產品為Ozempic®、Wegovy®) 與禮來 (Lilly，產品為Mounjaro®、Zepbound®) 主導。司美格魯肽具有先發優勢，但替爾泊肽在當前競爭中正取得領先。這是因為替爾泊肽 (Mounjaro®/Zepbound®) 是GLP-1與GIP受體的雙重激動劑，能模擬兩種腸道激素；而Ozempic®/Wegovy®僅為GLP-1受體的單一激動劑，使得替爾泊肽在血糖控制與顯著減重方面效果更為突出。這兩項產品都是治療肥胖症和2型糖尿病的強效工具，在2型糖尿病和肥胖症市場確立牢固地位。

司美格魯肽市場正經歷爆發式增長，這主要得益於其在糖尿病及體重管理方面的高效性。2019年至2024年期間，全球司美格魯肽市場規模從17億美元增長至293億美元，複合年增長率高達77.0%。預計到2028年和2033年，該市場規模將分別達到460億美元和560億美元，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12.0%和4.0%。中國司美格魯肽市場雖處於起步階段但增長迅猛，規模從近乎零增長至2024年的9億美元，預計到2028年和2033年將分別達到34億美元和71億美元，2024年至2028年期間和2028年至2033年期間增長勢頭強勁，複合年增長率分別為37.7%和16.0%。這一快速增長凸顯了市場對有效代謝療法的巨大未被滿足需求，以及該藥物在不斷演變的競爭格局中的主導地位。

未來趨勢及戰略定位

未來競爭的核心，在於競相開發新一代GLP-1激動劑，並關鍵性地克服注射給藥對患者依從性造成的障礙。關鍵市場趨勢正轉向非侵入性遞送系統 (如口服或鼻噴霧劑型)，以擴大可治療的患者群體。本公司透過專注於解決GLP-1激動劑遞送難題的改良型新藥劑型 (包括多款GLP-1激動劑候選藥物)，已在此高增長領域佔據策略性地位，其佈局符合市場對便捷、非注射型療法的迫切需求。

無創遞送：開發非注射型胰島素及GLP-1 RA以克服與注射相關的心理及生理障礙，仍是創新的關鍵領域。

優化口服製劑：市場對能夠減少給藥頻率並提高現有小分子藥物生物利用度的優化口服製劑的需求持續增長。

複方產品：市場青睞單一片劑或單一裝置的複方產品，這類產品簡化了T2DM管理所需的複雜多藥治療方案。

行業概覽

孤兒藥市場概覽

孤兒藥市場是製藥行業中一個專業化且高價值的細分市場，其定義是針對患者群體規模較小的罕見病開發治療方案。該市場的特點包括醫療需求高度未被滿足、監管激勵政策力度強勁（例如根據美國FDA《孤兒藥法案》享有七年市場獨佔期），以及關注於改善患有慢性且通常危及生命疾病的患者的生活質量。與更廣泛的製藥市場趨勢一致，孤兒藥領域的創新日益受到505(b)(2)路徑的驅動。該路徑允許快速開發能提升療效、安全性及患者依從性的改良型製劑。

地夫可特競爭格局

地夫可特是一種皮質類固醇前體藥物，適用於治療2歲及以上患者的DMD，並獲批作為這一罕見嚴重遺傳性疾病的一線療法。其作用機制在於其活性代謝物21-地夫可特與糖皮質激素受體結合，產生抗炎及免疫抑制作用，繼而延緩疾病進展。全球地夫可特市場是一個專業的孤兒藥細分市場，原研藥企為PTC Therapeutics（商品名為Emlaza®）。該市場的特點是亟需開發兒科友好型劑型，以確保年幼患者能夠準確、一致並長期堅持用藥。

地夫可特的競爭格局由原研企業的成熟市場地位與仿製藥及改良型新藥製劑（尤其在美國市場）的快速進入之間的博弈所定義。主要的競爭動態聚焦於開發能夠提高患者依從性、並便於存在吞嚥困難的兒童給藥的劑型上。公司通過開發地夫可特混懸液劑型（已獲美國FDA批准），在這一不斷演變的格局中佔據戰略性地位。這種對兒科友好型混懸液劑型的關注，直接滿足了DMD患者群體對精準、適口且易於給藥的關鍵未被滿足需求，相比傳統片劑形成了顯著的競爭優勢，並使公司成為孤兒藥細分市場的關鍵參與者。

沙丙蝶呤競爭格局

沙丙蝶呤二鹽酸鹽，由BioMarin公司以科望®為商品名在全球上市銷售，是四氫生物蝶呤(BH4)（苯丙氨酸代謝所必需的輔因子）的合成形式。該藥物適用於治療由BH4反應性苯丙酮尿症引起的HPA。沙丙蝶呤的作用機制是恢復機體代謝苯丙氨酸的能力，進而降低血液中的神經毒性水平。全球沙丙蝶呤市場屬於專業化的孤兒藥細分領域，其市場動態深受患者友好型劑型需求的影響。這類劑型可保障患者（尤其是兒科患者群體）實現終身用藥依從性。

行業概覽

沙丙蝶呤的競爭格局由原研藥的成熟市場地位與仿製藥及改良型新藥劑型快速進入市場之間的博弈所定義，這一現象在美國市場尤為突出。主要的競爭動態聚焦於開發能夠提高患者依從性、便於兒童給藥的劑型。公司通過開發沙丙蝶呤粉末劑，用於溶液製備（已獲美國FDA批准），在這一不斷演變的格局中佔據戰略性地位。

孤兒藥市場的未來趨勢及戰略定位

未來孤兒藥市場的特點是監管支持力度持續加大且企業更加關注劑型創新以提升患者生活質量。包括《孤兒藥法案》在內的監管框架，為企業應對這些罕見病情提供了清晰的路徑及商業激勵。

關鍵趨勢在於將先進的藥物遞送系統應用於已上市的孤兒藥，以克服在給藥及依從性方面的局限。例如，開發針對地夫可特及沙丙蝶呤的劑型，直接滿足了兒科患者群體中適口性、精準給藥及給藥便利性等至關重要的未被滿足需求。企業推出這些更優劑型，在戰略上佔據了主導各自利基市場的有利位置。這種對以患者為中心的劑型的關注，與市場對不僅有效且易於長期使用的治療方案的需求高度契合。