

行業概覽

本節所載若干資料及統計數字乃摘錄自多份官方政府刊物、自公開市場數據提供商獲得的資料和獨立第三方灼識行業諮詢有限公司提供的資料。由灼識行業諮詢有限公司編製並於本文件中引用的報告是受我們的委託編寫。我們相信該等資料來源乃取得有關資料的合適來源並已合理審慎摘錄及複製有關資料。我們無理由相信有關資料屬虛假或產生誤導，或遺漏任何事實以致有關資料虛假或產生誤導。我們、聯席保薦人、[編纂]、整體協調人、[編纂]、任何[編纂]、我們或彼等各自的任何董事、高級職員、僱員、代理或彼等任何代表或參與[編纂]的任何其他人士或各方並無對僅來自政府官方來源的資料進行任何獨立核實，亦未就此類官方政府來源的資料的準確性、公平性及完整性發表聲明。有關行業風險的討論，請參閱本文件「風險因素」。

慢性腎臟病及治療領域概覽

慢性腎臟病（「CKD」）簡介

CKD指多種病理生理狀態，在此狀態下腎臟受損並喪失功能，具體表現為腎小球濾過率（「GFR」），在3個月內持續下降，而GFR是反映腎臟從血液中清除廢物和多餘液體能力的指標。CKD患者的腎功能通常會隨時間推移逐漸下降，最終可能進展至腎衰竭。根據血液檢測eGFR計算的腎功能狀況，CKD可分為1至5期（即G1至G5期），其中G5期為終末期腎臟病（「ESRD」），通常需終身透析或腎移植治療。大部分ESRD患者接受透析並對透析產生依賴。

CKD患病人數

CKD是全球第三大高發慢性病。2025年全球CKD患病人數達8.022億人，預計2035年將增至9.439億人，對應的複合年增長率於2020年至2025年為1.7%以及2025年至2035年為1.6%。2025年中國CKD患病人數為1.238億人，預計2035年將增至1.294億人，即2020年至2025年的複合年增長率為0.4%以及2025年至2035年的複合年增長率為0.4%。按疾病階段劃分的CKD患病率詳細分項如下。

| CKD分期 | 定義 | GFR (mL/min/1.73m ²) | CKD 全球總患病率% | CKD 美國佔總患病率% | CKD 中國佔總患病率% |
|-------|--|-------------------------------------|----------------|-----------------|-----------------|
| G1-G2 | <ul style="list-style-type: none"> 輕度腎損害 腎臟運作良好或正常運作 | >60 | 47.7% | 60.7% | 48.1% |
| G3a | <ul style="list-style-type: none"> 輕度至重度腎損害 腎臟運作不佳 | 45-59 | 49.0% | 36.4% | 47.2% |
| G3b | | 30-44 | | | |
| G4 | <ul style="list-style-type: none"> 重度腎損害 腎臟接近功能喪失 | 15-29 | 2.6% | 2.1% | 2.8% |
| G5 | <ul style="list-style-type: none"> 最重度腎損害 腎臟接近功能喪失或腎功能衰竭 | <15 | 0.7% | 0.7% | 1.9% |

資料來源：KDIGO、KDOQI、《中國血液淨化》、灼識諮詢

行業概覽

全球慢性腎臟病市場預計將從2025年的2,440億美元增長至2035年的5,039億美元。於2025年，在CKD藥物中，DKD市場份額超過70%，高磷血症市場份額為5%，以及IgAN市場份額為5%。

尚未滿足的CKD臨床需求

CKD早期通常無任何症狀，因此經常無法及時得到診斷。最終，不少患者首次確診時已處於疾病較晚期階段，此時不可逆損傷已發生。目前，腎臟病認知度仍較低。在全球範圍內，僅有6%的普通人群和10%的高危人群知曉自身的CKD患病狀況。

當前針對CKD患者的醫療干預措施主要用於幫助控制各類症狀、減少併發症並延緩疾病進展。然而，目前缺乏針對CKD的靶向治療藥物或疾病修正藥物，也無有效治療手段可阻止CKD進展。無論接受何種治療，5%至10%的CKD患者會在五年內進展為ESRD。

目前CKD治療不足的部分原因在於患者治療依從性較低。用於控制CKD症狀及併發症的藥物常引發副作用，這些副作用可能進一步加重腎臟、肝臟或心血管系統負擔，並進一步限制可用治療方案的選擇。此外，管理CKD的多種併發症通常需要患者服用各類藥物，其中許多藥物會帶來較重的服藥負擔。

CKD與併發症

根據發病機制，CKD病情可分為三類。

原發性腎臟病，指直接起源於腎臟、與全身性疾病無關的一類腎臟疾病，例如IgA腎病（「**IgAN**」，由IgA沉積引發的慢性腎小球炎症）、局灶節段性腎小球硬化症（「**FSGS**」，部分腎小球節段性硬化導致蛋白尿）及膜性腎病（「**MN**」，腎小球基底膜增厚並伴有免疫複合物沉積）。

繼發性腎臟病，指由其他潛在全身性疾病或健康問題引發的腎臟損傷或功能喪失，例如糖尿病腎臟病（「**DKD**」，由糖尿病患者長期高血糖及代謝變化導致的腎臟損傷）及狼瘡性腎炎（「**LN**」，由系統性紅斑狼瘡引發的腎臟自身免疫性炎症）。

遺傳性腎臟病，指由一個或多個基因致病性變異或突變引發的腎臟疾病，典型代表為常染色體顯性多囊腎（「**ADPKD**」），這是一種遺傳性疾病，特徵為雙側腎臟逐漸形成充滿液體的囊腫，導致腎臟增大並逐漸喪失功能。

CKD是一種複雜的疾病，隨著腎功能的惡化，其進展與多種嚴重併發症相關。高磷血症是常見CKD併發症，主要因腎功能受損導致多餘磷排洩障礙引發。腎性貧血是CKD另一常見併發症，與腎臟促紅細胞生成素生成減少導致紅細胞生成不足相關。

CKD藥物的市場機遇

CKD治療的發展與演進

下圖顯示了CKD藥物研發歷史時間線。

行業概覽



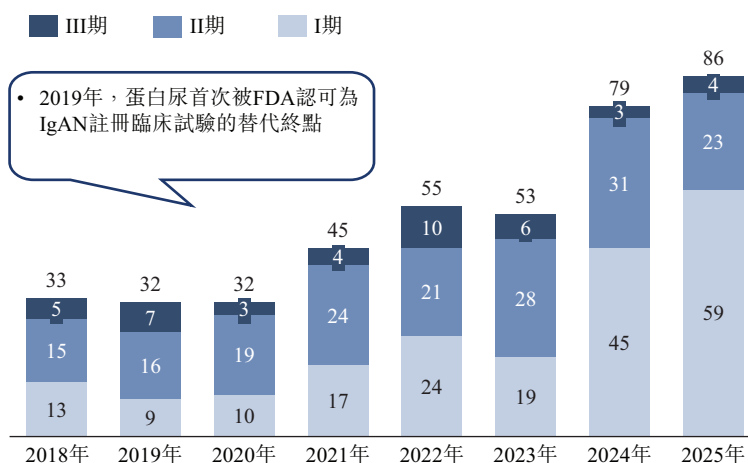
資料來源：Seminars in Nephrology、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

各國政府利好政策推動研發與投資增長

全球監管支持加速CKD治療創新。在美國，FDA傳統上規定要求長期臨床療效的證據，這通常需要大量臨床樣本和長期隨訪，導致研發成本高、拖慢了臨床研發的進度。於2019年，蛋白尿水平被FDA納入針對IgAN的註冊性臨床試驗替代終點。這些監管發展大幅推動CKD藥物研發創新。此外，多個CKD候選藥物獲得快速通道資格認定。在中國，CKD管理被納入《健康中國2030》規劃綱要，該綱要旨在降低非傳染性疾病負擔。中國國家藥監局簡化針對迫切臨床需求的候選藥物審評流程，並將新型腎臟病藥物納入國家醫保藥品目錄。

過去幾年全球CKD藥物開發領域新啟動的臨床管線數量呈現快速增長態勢，具體如下圖所示。然而，2025年全球CKD新增臨床管線數量僅佔全球新增臨床管線總數的不足2%，而腫瘤學領域佔比超過40%，這一對比凸顯出CKD治療領域在技術創新和臨床開發方面仍存在尚未發掘的巨大潛力。

腎臟疾病藥物開發新臨床試驗數量



來源：FDA、CDE、EMA、ClinicalTrials、灼識諮詢

行業概覽

此外，腎臟病治療領域全球併購和授權交易不斷增長。截至2025年12月31日，2020年以來跨國公司腎臟治療領域十大交易總額達854億美元。

2020年以來腎臟疾病治療領域十大交易* (截至2025年12月)

| 排名 | 交易日期 | 標的方/ 許可方 | 收購方/ 被許可方 | 治療靶點 | 腎臟病適應症 | 交易類型 | 關鍵 腎臟資產 | 總交易價值 (十億美元) | 首付款 (百萬美元) |
|----|-----------------|------------------------------------|--------------|-------------------|---------------------------|------|---------------------------------|-----------------|---------------|
| 1 | 2020年 12月12日 | Alexion Pharmaceuticals | 阿斯利康 | C5 | IgAN、C3G | 併購 | 拉武珠單抗、 依庫珠單抗 | 39.0 | 不適用 |
| 2 | 2021年 12月14日 | Vifor | CSL | SLC40A1、KOR | CKD貧血、CKD-ap、 甲狀旁腺功能亢進 | 併購 | FCM、帕替羅默、 地非瑞林 | 11.7 | 不適用 |
| 3 | 2021年 9月30日 | Acceleron Pharma | 默沙東 | ACVR2A、 ACVR2B | CKD貧血 | 併購 | 索他瑞普、 盧帕他賽普 | 11.5 | 不適用 |
| 4 | 2020年 8月19日 | Momenta Pharmaceuticals | 強生 | FcRn | 狼瘡性腎炎 | 併購 | 尼波卡利單抗 | 6.4 | 不適用 |
| 5 | 2024年 4月10日 | Alpine Immune Sciences | Vertex | BAFF/APRIL | IgAN | 併購 | Povetacicept | 4.9 | 不適用 |
| 6 | 2022年 8月4日 | ChemoCentryx | 安進 | C5AR | C3G | 併購 | 阿伐可洋 | 3.7 | 不適用 |
| 7 | 2020年 8月17日 | Principia Biopharma | 賽諾菲 | BTK | FSGS | 併購 | SAR442168、 瑞紮布魯替尼、 PRN473 | 3.7 | 不適用 |
| 8 | 2023年 6月12日 | Chinook Therapeutics | 諾華 | EDNRA、 APRIL | IgAN | 併購 | 阿曲生坦、 zigakibart | 3.5 | 3,200 |
| 9 | 2020年 6月11日 | Corvidia Therapeutics | 諾和諾德 | IL6 | CKD | 併購 | ziltivekimab | 2.1 | 725 |
| 10 | 2024年 5月22日 | Human Immunology Biosciences | Biogen | CD38 | IgAN、pMN、 狼瘡性腎炎 | 併購 | felzartamab | 1.8 | 1,150 |

附註：* 這些交易包括藥物相關和企業相關等多種類型的交易。此外，已完全終止的交易未被納入
資料來源：公司公告、灼識諮詢

CKD藥物市場的進入壁壘

研發壁壘：CKD為一種慢性且具異質性的疾病領域，涉及多種潛在病因、合併症以及不同疾病進展階段的治療目標。開發CKD療法的公司須在明確界定的患者人群中證明具有臨床意義的療效，同時需考慮腎功能、心血管風險、合併用藥及長期安全性。因此，在CKD藥物市場取得成功的研發通常需要具備針對該疾病的臨床開發能力、合適的終點設計，以及設計及執行臨床試驗的經驗。

投資及資源壁壘：CKD藥物的開發通常需要大量投資及營運資源。鑒於CKD的慢性及進展性特徵，臨床項目可能涉及相對較大規模的患者人群、多中心試驗網絡以及持續隨訪期，以評估療效、安全性及耐受性。患者招募及留存可能受疾病分期、合併症、基礎治療及入選標準影響。上述因素可能增加臨床開發、監管申報準備及上市後證據生成的複雜性、週期及成本。

生產壁壘：CKD藥物的生產要求因藥物類型、製劑形式及作用機制而異。部分CKD療法（包括磷結合劑及其他具有特定製劑或質量屬性的產品）可能需要定制化生產工藝、

行業概覽

完善的質量控制體系及可靠的供應鏈管理。其他CKD療法（如小分子藥物）則可能依賴較為常規的製藥工藝，但仍需符合適用的GMP標準並確保產品質量一致。因此，生產能力、工藝控制、質量保證及供應穩定性，視具體產品類別而定，均可能構成不同程度的進入壁壘。

產品組合壁壘：欲在CKD領域確立競爭優勢，企業需要豐富的產品組合，同時廣泛覆蓋CKD相關適應症。此舉可助力企業提供一體化治療方案，提高患者留存率並穩定市場份額。管理此類多元化產品組合需大量投入，建設專業團隊，以協調各適應症的研發、監管及商業化工作。

CKD藥物市場的增長驅動因素與趨勢

人口老齡化與患病人數增加：可觸達的CKD患者群體規模持續擴大，主要受全球人口老齡化以及損害腎功能疾病患病率上升的驅動。隨著基層醫療機構（如社區及鄉鎮級醫療機構）服務能力的提升，CKD的早期篩查與管理得以加強，進一步擴大了患者基礎。更廣泛的醫療保險覆蓋及報銷比例的提升，也增強了患者獲取CKD診斷與治療服務的可及性。

突破性藥物推動臨床療效變革：突破性療法的問世有望確立CKD治療的新標準，並加速CKD藥物市場的增長。例如，AP306旨在通過抑制多種磷酸鹽轉運體，有效降低CKD患者的血磷水平。該藥物具備作用機制創新的潛力，即新藥的設計不僅針對全新的作用通路，還能提升患者的用藥便利性及治療效果。

專科醫療與整合醫療路徑優化長期患者管理：CKD患者常伴有多種慢性疾病，包括高血壓、糖尿病及心血管疾病。這種病情的複雜性，疊加CKD市場迅速擴張與高昂的治療成本，正推動行業向變革性療法轉型。此類療法不僅致力於更有效地解決疾病根源，亦整合縱向的全病程管理路徑，以持續優化患者的長期治療效果。

高磷血症市場概覽

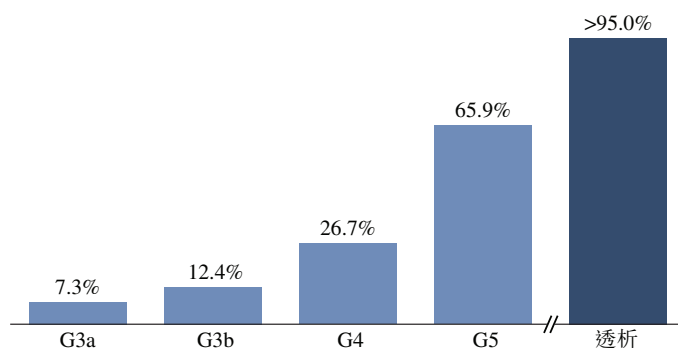
高磷血症簡介

根據KDIGO，高磷血症是一種以血液中磷酸鹽水平升高為特徵的疾病，通常定義為血磷濃度超過4.5 mg/dL。將目標血磷水平降至4.5 mg/dL以下在臨床上具有挑戰性。根據K/DOQI指南，透析患者的目標血清磷水平為3.5-5.5mg/dL。磷酸鹽水平過高會引發嚴重併發症。腎功能受損（尤其是CKD患者）是高磷血症的主要病因。

隨著CKD進展，高磷血症發生率顯著上升。非透析患者的血磷水平通常可通過飲食干預和藥物治療控制。透析患者的血磷水平顯著升高且難以控制。

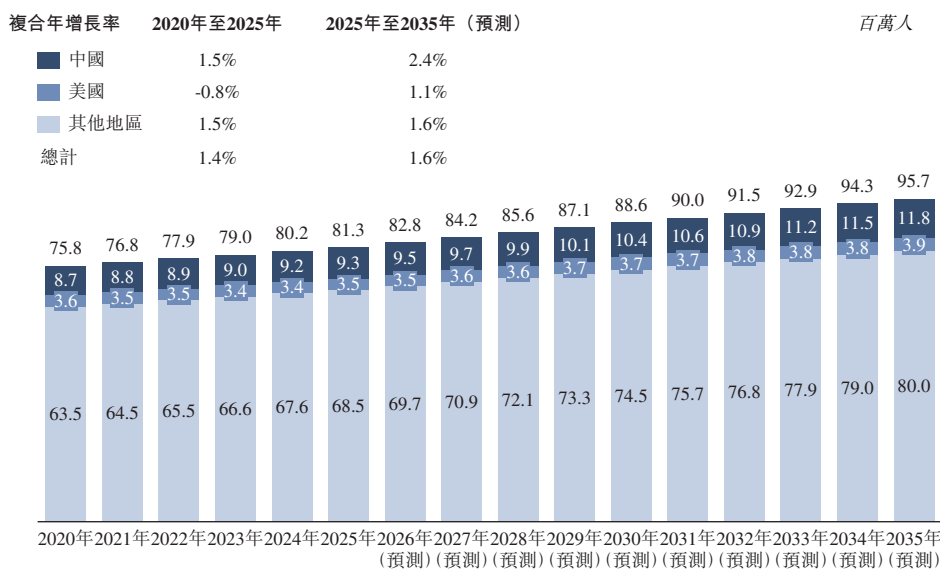
行業概覽

不同CKD分期高磷血症患病率



資料來源：《中國血液淨化》、灼識諮詢

當前臨床實踐中，醫生會向晚期CKD患者例行性開出降磷藥物，而早期CKD的治療則主要仰賴生活方式調整，反映出目前缺乏差異化及有效的療法。磷結合劑是一類主要的降磷藥物，通過結合膳食磷並減少其在血液中的吸收在胃腸道內發揮作用。磷結合劑可根據其活性成分及結合機制進行大致分類。含鈣製劑利用二價鈣離子引發離子沉澱反應，在胃腸道內形成不溶性的磷酸鈣鹽；鏷基製劑利用三價鏷離子，在廣泛的生理pH範圍內與磷酸根離子形成高親和力的離子鍵，生成不可吸收的磷酸鏷複合物；鐵基結合劑則通過配體交換或在氧羥化物核心表面的吸附機制捕獲磷。

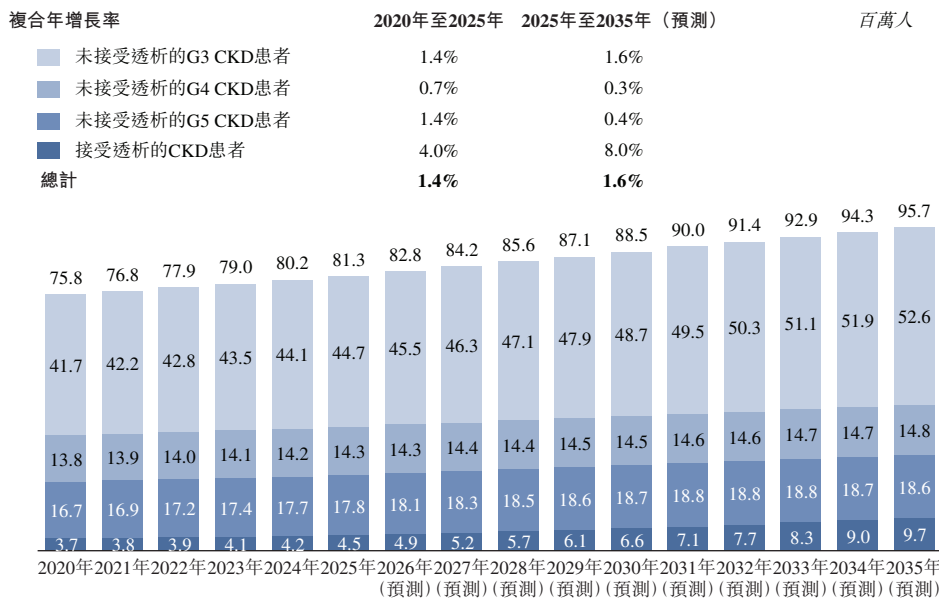


資料來源：CNRDS、JAMA、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

行業概覽

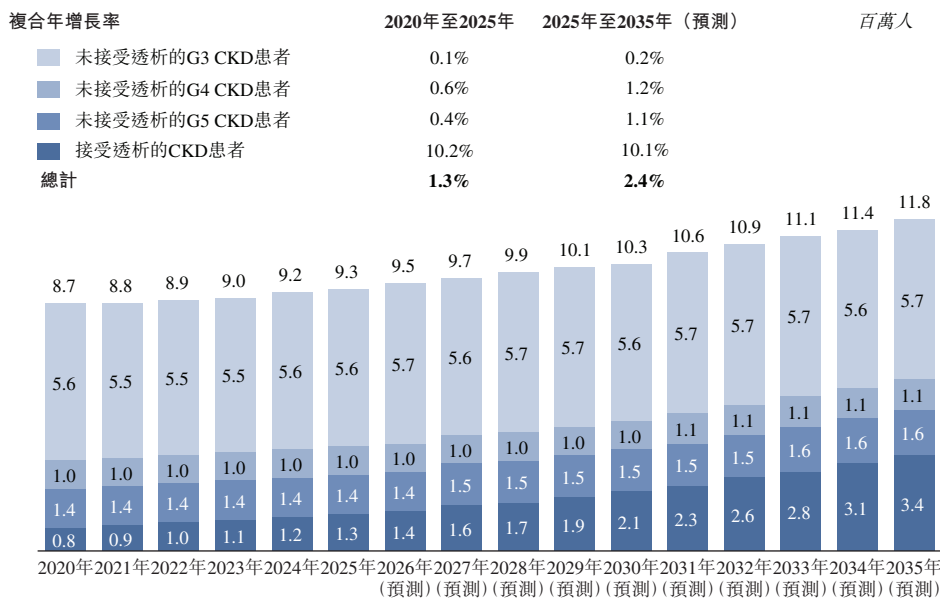
高磷血症患者分為未接受透析的CKD患者及接受透析的CKD患者。就全球而言，於2025年，接受透析的CKD患者佔高磷血症人口的比例為6%，而在未接受透析的CKD患者中，G3、G4及G5 CKD分別佔全球高磷血症總人口的約55%、17%及22%。於中國，接受透析的CKD患者於2025年佔高磷血症人口的14%，而在未接受透析的CKD患者中，G3、G4及G5 CKD分別佔中國高磷血症總人口的約60%、10%及15%。

全球高磷血症患病率，按分期劃分，2020年至2035年（預測）



資料來源：KDIGO、USRDS、ISN-GKHA、Nephrology Dialysis Transplantation、灼識諮詢

中國高磷血症患病率，按分期劃分，2020年至2035年（預測）



資料來源：CNRDS、《中華腎臟病雜誌》、《中華醫學雜誌》、灼識諮詢

行業概覽

高磷血症當前治療模式與醫療需求

有關高磷血症護理治療標準的現時臨床實踐指引及實踐如下。

| 指引 | 管轄權 | 合資格群體 | 治療目標 | 非藥物干預 | | 藥物治療建議 | |
|---------------------|-----|--------------------------|---|--|---|--|---|
| | | | | 飲食干預 | 透析管理 | 鈣基結合劑 | 無鈣藥物 |
| KDIGO CKD-MBD 2017年 | 全球 | CKD G3a-G5D (包括非透析及透析患者) | <ul style="list-style-type: none"> 將升高的磷酸鹽水平降低至正常範圍 | <ul style="list-style-type: none"> 單獨限制膳食磷酸鹽的攝入量或與其他治療聯合治療高磷血症 | <ul style="list-style-type: none"> 對於伴有持續性高磷血症的CKD G5D期患者 (正在透析)，建議增加血磷清除率 | <ul style="list-style-type: none"> 對於接受降磷治療的成年患者，建議限制鈣基結合劑的劑量，與2009年指引相比擴大了限制 | <ul style="list-style-type: none"> - |
| K/DOQI指引 2003年 | 美國 | CKD G3a-G5D (包括非透析及透析患者) | <ul style="list-style-type: none"> 維持CKD患者正常的血清磷水平 | <ul style="list-style-type: none"> 當血清磷升高時，將膳食磷限制在800-1,000毫克/天 (根據蛋白質需求調整) | <ul style="list-style-type: none"> 對於血清磷>7.0 mg/dL的患者，該指引指出還應考慮更頻繁地進行透析 | <ul style="list-style-type: none"> 鈣基結合劑不應用於高鈣血症 (校正血清鈣>10.2 mg/dL) 或PTH連續兩次測量<150 pg/mL的透析患者 | <ul style="list-style-type: none"> 有嚴重血管及/或其他軟組織鈣化的透析患者首選無鈣藥物 |
| 中國專家共識 (2025年版) | 中國 | CKD G3a-G5D (包括非透析及透析患者) | <ul style="list-style-type: none"> 將磷酸鹽水平降低至正常範圍 需要定期監測 | <ul style="list-style-type: none"> 每日磷攝入量應限制在<1,000毫克，並需要控制蛋白質攝入量 | <ul style="list-style-type: none"> 確保充分的透析，並在需要時調整頻率 | <ul style="list-style-type: none"> 鈣基結合劑特別建議用於低鈣血症患者 | <ul style="list-style-type: none"> CKD G3a-G5D患者優先使用無鈣藥物以避免鈣負荷 |

資料來源：KDIGO、KDOQI、《中國血液淨化》、灼識諮詢

目前，常用的磷結合劑包括鈣基結合劑、碳酸鏷和司維拉姆，其中司維拉姆在臨床應用最廣泛。然而，中國和美國分別有約76%和52%的透析患者在用藥後存在血磷控制不佳的情況。此外，現有磷結合劑普遍存在胃腸道副作用頻發、服藥負擔高、系統性吸收及影響人體生理功能等問題，導致磷結合劑的臨床使用率仍處於較低水平。

飲食磷攝入限制及(在適用情況下)透析仍為磷控制的基礎措施，且不應被視為可與藥物治療相互替代。臨床指引強調，降磷治療通常基於多種措施的組合，包括飲食調整、降磷藥物，以及對於接受透析的CKD患者而言的透析清除磷。這一點在非透析環境下尤為重要，因為此類情況下飲食管理仍為核心干預措施，且無透析可用以補償持續的磷負荷。同時，藥物治療仍發揮重要的補充作用，尤其適用於僅依靠飲食措施後血清磷水平仍持續升高的患者，或於透析人群中在基礎透析治療下血清磷仍未達標的患者，因為藥物治療可進一步降低腸道對磷的吸收並改善整體磷控制。

中國磷控制率低的現狀

在中國，約76%的透析患者血磷未達到3.5-5.5 mg/dL的目標水平，顯著高於美國(約52%)和日本(約39%)。血磷水平控制率方面的這一差距，主要歸因於以下原因：

透析治療滲透率偏低：目前，中國ESRD患者的透析普及率仍處於較低水平，約為27%，而美國約為72%，日本則約為98%。這一差距主要源於中國透析中心的可及性有限(超過80%集中於三級或二級醫院)以及透析治療的醫保報銷覆蓋不足。

缺乏新型治療方案：中國的磷控制領域呈現出以非專利藥為主導的治療格局，而新型療法所佔市場份額微乎其微。

行業概覽

治療持續時間較短：在中國，非鈣磷結合劑的平均治療週期約為100天，顯著低於美國的約200天及日本的約250天)。這一差異主要歸因於患者獲取新型治療方案的可及性，以及由此引發的依從性問題，後者源於較高的服藥負擔和藥物副作用。

高磷血症藥物的市場機遇

高磷血症藥物的發展歷程

下圖顯示了磷結合劑發展歷程。

| | 1990年代左右 | 2000年代 | 2010年代 | 2020年代 |
|------|-----------|---|--|--|
| 治療劑 | 鋁／鎂／鈣基 | 司維拉姆／碳酸鋁 | Velphoro® 第一代鐵基磷結合劑 | AP301 下一代鐵基磷結合劑 |
| 改進 | | <ul style="list-style-type: none"> 改善降磷效率 減少心血管疾病和全因死亡 | <ul style="list-style-type: none"> 改善胃腸道安全性 減少服藥數量 | <ul style="list-style-type: none"> 進一步改善降磷效率 耐受性良好，整體安全性良好 無系統性吸收 |
| 剩餘問題 | 逐步淘汰或限制使用 | <ul style="list-style-type: none"> 血磷控制率不理想 胃腸道副作用（如惡心（~20%）、嘔吐（~20%）及便秘（~8%）） 高給藥負擔導致患者依從性下降 肝臟蓄積（鋁） | <ul style="list-style-type: none"> 血磷控制率不理想 每日高給藥負擔 使用前需咀嚼，導致高停藥率及患者依從性欠佳 | <ul style="list-style-type: none"> 腹瀉 |

資料來源：藥品說明書、公司公告、灼識諮詢

與市場上其他磷酸鹽結合劑相比，AP301已展現出較高的血清磷控制率，且給藥方式更為便利，包括無需咀嚼，且與司維拉姆相比，服藥劑量更少，有助於提高患者的用藥依從性。AP301採用有別於其他磷酸鹽結合劑的作用機制，這使得AP301能夠在整個胃腸道的生理相關pH值範圍內保持完整性，並降低磷酸鹽重新釋放回胃腸道而被再次吸收的可能性。在中國進行的一項針對接受維持性透析的CKD患者的頭對頭III期臨床試驗中，與已獲批的處方磷酸鹽結合劑碳酸司維拉姆(58.6%)相比，AP301取得了較高的血清磷應答率(66.7%)，且平均每日劑量暴露量較低(AP301為6.52克／天，而碳酸司維拉姆為7.56克／天)。有關詳情，請參閱「業務－我們的產品管線－AP301：我們的核心產品，一款治療高磷血症的口服磷結合劑」。

泛磷酸鹽轉運蛋白抑制劑是除磷結合劑之外，一種新興的高磷血症治療方式。該類抑制劑預期通過泛抑制所有主要類型的磷轉運體起效，以減少腸道內磷的跨細胞轉運，進而降低血磷水平。

高磷血症藥物的市場規模

1998年，司維拉姆首次獲FDA批准（商品名Renagel®）（鹽酸司維拉姆）並隨後於2000年獲得FDA批准（商品名Renvela®）（碳酸司維拉姆），推動2000年代市場快速擴張。2013年，Velphoro®獲FDA批准，進一步推動全球市場增長。該等批准藥物均為磷結合劑。

行業概覽

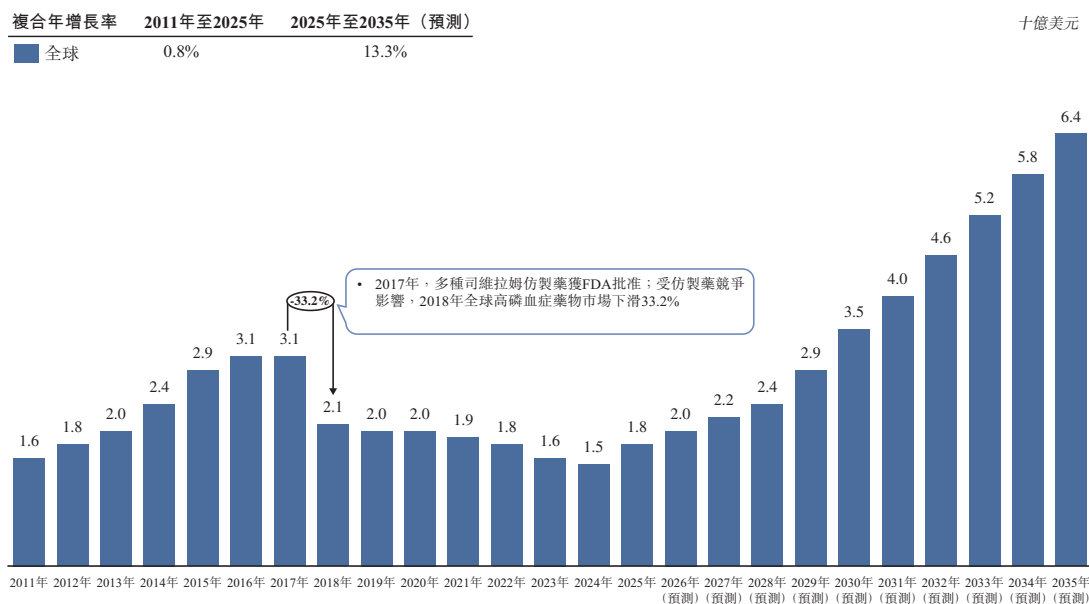
2014年，覆蓋司維拉姆的專利到期，該藥物面臨獨佔權喪失（「LoE」）。2017年，該藥物的多種仿製藥進入市場，導致原研藥銷售額大幅下降。2018年起，全球高磷血症藥物市場已顯著萎縮。

2020年至2024年，全球市場持續萎縮，主要因COVID-19疫情相關干擾，包括導致醫療程序減少及ESRD患者死亡率上升。儘管醫療服務提供在2023年之後恢復正常，但2024年的高磷血症藥品市場繼續受到疫情期間ESRD患者死亡率的滯後影響、透析人群恢復較慢以及仿製藥驅動的持續定價壓力的滯後影響，導致市場規模暫時但緩慢縮小。

2025年，全球市場強勁復甦，主要因Velporo®納入美國ESRD前瞻性付費體系下的TDAPA（過渡性藥物附加付費調整）（Medicare支付機制，針對新型腎透析藥物和生物製品）後，其在美國市場的收入大幅增長。

全球市場預計將自2025年起持續增長，這主要得益於療效更佳、耐受性更好、服藥負擔較輕微的新型療法上市。此增長趨勢因CKD患病率上升、長期疾病管理改善及報銷條件優化而得到進一步加強。例如，美國醫療保險和醫療補助服務中心（「CMS」）已宣佈，自2025年1月1日起，口服藥物（含磷結合劑）已納入ESRD預付制打包付費方案。CMS已明確規定磷結合劑適用過渡性藥物附加支付調整（「TDAPA」）方案，並提供2025年的支付詳情，其中包括對於含磷結合劑處方的月度理賠而言，須在TDAPA基礎上額外支付一筆固定金額。

高磷血症藥物全球市場趨勢，2011年至2035年（預測）



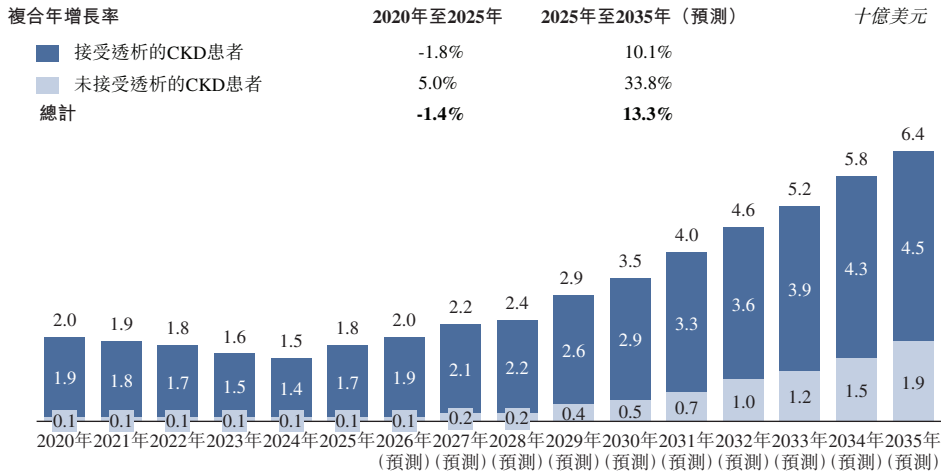
資料來源：USRDS、FDA、EMA、中國國家藥監局、賽諾菲、灼識諮詢

上述高磷血症藥物市場歷史及未來增長的驅動因素亦適用於磷結合劑，其佔全球及中國高磷血症藥物市場的絕大多數份額。於2025年，磷結合劑的全球銷售額達1,726.5百萬美元，佔高磷血症藥物市場約94%；而NHE3抑制劑的銷售額為103.6百萬美元，佔該市場約6%。在高磷血症藥物市場總量中，接受透析的CKD患者佔整體市場

行業概覽

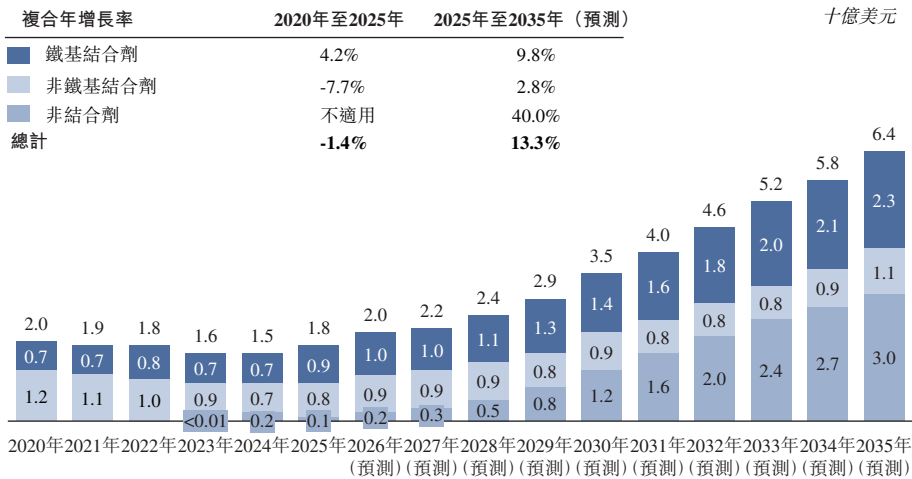
規模的51%。2025年，在各類磷結合劑中，鐵基結合劑佔整體高磷血症市場的51%，而非鐵基結合劑佔整體高磷血症市場的43%。在中國，磷結合劑的總銷售額為人民幣1,824.9百萬元，佔該市場的100%，而轉運體抑制劑因尚未獲批而未產生銷售額。在中國高磷血症藥物市場總量中，接受透析的CKD患者佔整體市場規模的90%。鐵基結合劑佔整體高磷血症市場約15%，而非鐵基結合劑佔整體高磷血症市場85%。

全球高磷血症藥物市場規模，2020年至2035年（預測），按患者類型劃分



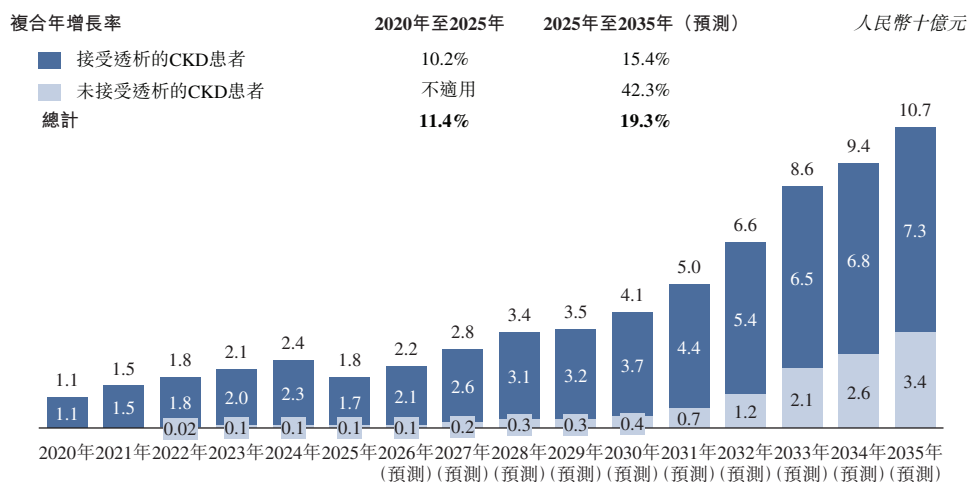
資料來源：KDIGO、Clinical Kidney Journal、Nephrology、年報、USRDS、灼識諮詢

全球高磷血症藥物市場規模，2020年至2035年（預測），按藥物類型劃分



行業概覽

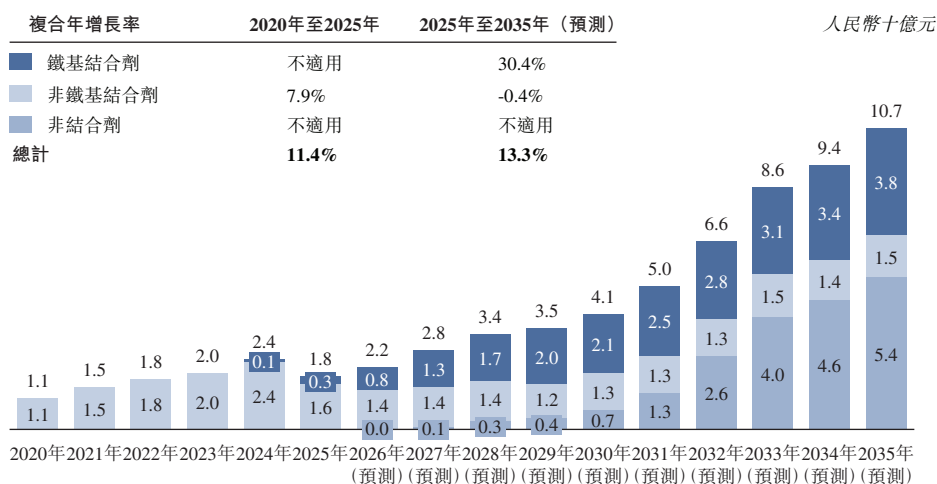
中國高磷血症藥物市場規模，2020年至2035年（預測），按患者類型劃分



附註：由於2023年碳酸鋁及2024年司維拉姆的帶量採購（「帶量採購」），中國市場於2025年出現萎縮。

資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、《中國血液淨化》、CKNET、年報、灼識諮詢

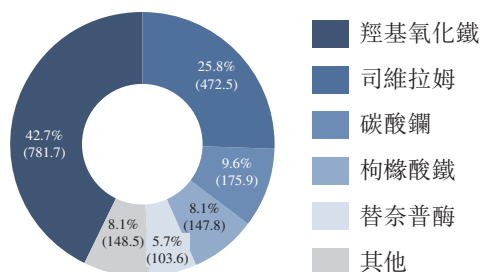
中國高磷血症藥物市場規模，2020年至2035年（預測），按藥物類型劃分



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

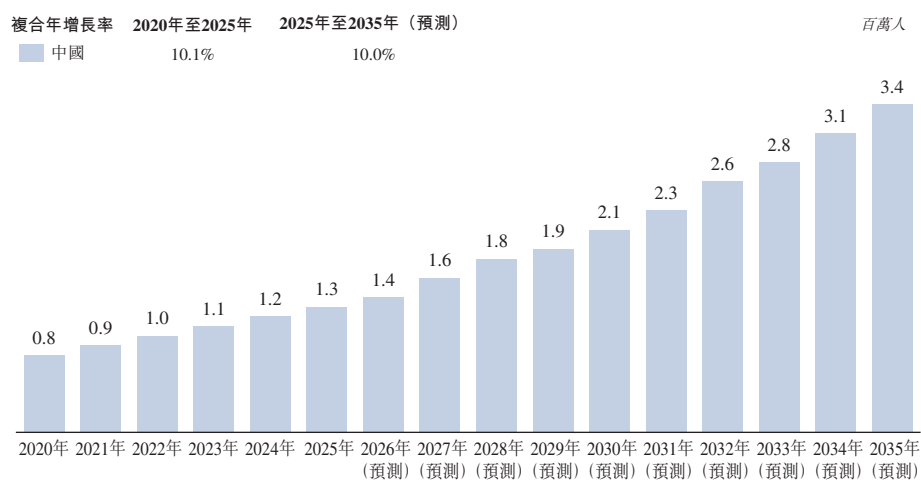
於2025年按入賬銷售額（以百萬美元計）及市場份額（以百分比計）計算的全球前五大高磷血症藥物呈列如下。

行業概覽



資料來源：KDIGO、KDOQI、《中國血液淨化》、灼識諮詢

在中國，接受透析治療的CKD患者（即DD-CKD患者）人數持續迅速增加，如下圖所示。



資料來源：NIDDK、CK-NET、CN-CNRDS、USRDS、DOPPS、灼識諮詢

中國高磷血症藥物市場歷史增長主要由新藥獲批上市推動，包括2013年司維拉姆首次在中國獲批。自2017年磷結合劑被納入國家醫保藥品目錄以來，市場經歷了顯著擴張。受2023年碳酸鏷及2024年司維拉姆的帶量採購影響，2025年市場出現收縮。然而，中國高磷血症藥物市場預計自2025年起回升，主要驅動力包括透析及磷結合劑治療滲透率提升、新型高磷血症藥物的引入及由此帶來的治療週期延長。具體而言，由於主要輪次的價格調整已基本被市場吸收，到2026年，碳酸鏷及司維拉姆的帶量採購的影響預計將基本持平。同時，tenapanor於2025年納入國家醫保目錄，並於2026年開始實施報銷。其有望擴大治療採用並部分抵消先前來自傳統磷結合劑的定價壓力。因此，高磷血症藥物市場預計將自2026年起穩定並恢復增長軌跡。此外，國家衛生健康委員會發布的《2024年國家醫療質量安全改進目標》首次將血磷控制率納入其中標誌著高磷血症管理首次被提升至國家級質量指標，為醫院及醫師標準化治療、改善ESRD患者預後創造了強有力的動力。該政策導向預計將直接加速降磷治療的普及，推動市場增長。

此外，中國CKD患者人數持續增長，預期將加重與CKD相關併發症（包括高磷血症）的疾病負擔。隨著腎功能下降，磷排洩能力會逐步受損，而在真實世界臨床實踐中，飲食控制、透析及傳統磷結合劑未必足以將血清磷維持於目標範圍內。現有療

行業概覽

法相關的胃腸耐受性問題及高服藥負擔所帶來的依從性挑戰，加上CKD管理具有長期性，進一步加劇有關未被滿足的醫療需求。因此，具備更佳療效、更高耐受性及更低服藥負擔的新型降磷藥物預期將可滿足重要臨床需求、提升治療滲透率，並支持中國高磷血症藥物市場持續增長。

高磷血症藥物市場的競爭格局

截至最後實際可行日期，共有七種藥物類型有分子獲准用作降磷藥物，包括六種非鈣降磷分子（即替奈普酶、枸橼酸鐵、羥基氧化鐵、比沙洛姆、碳酸鏷、司維拉姆）及一種鈣基磷結合劑。在美國，除比沙洛姆外，所有藥物類型均有分子獲准用作降磷藥物。在中國，除比沙洛姆外，所有藥物類型均有分子獲准用作降磷藥物。下圖列示截至最後實際可行日期全球所有已獲批用於治療高磷血症CKD患者（目標患者群體）的降磷藥物。

| INN ¹ | 商品名 | 公司 | FDA 批准日期 | 中國國家藥監局 批准日期 | 作用機制 | 治療類型 | 每日劑量 ² | 每日成本 ³ | 專利 到期狀態 | 仿製藥數量 |
|-------------------|-------------------|------------------------|------------|--------------|-----------|------------|-------------------------------|---|-----------|---------------------|
| 醋酸鈣 | PHOSLO® | Fresenius Medical Care | • 1990年10月 | • / | • 鈣基磷結合劑 | • 單藥治療 | • ~8 g | • 約8美元 | • 已到期 | • 全球：>20 • 中國：20 |
| 司維拉姆 | Renvela® Renagel® | 賽諾菲 | • 1998年10月 | • 2013年1月 | • 非鈣基磷結合劑 | • 單藥治療 | • ~9.6 g | • 約35美元 | • 已到期 | • 全球：>40 • 中國：15 |
| 比沙洛姆 ⁴ | Kiklin® | Astellas | • / | • / | • 非鈣基磷結合劑 | • 單藥治療 | • ~7.5g | • / | • 2026年4月 | • / |
| 碳酸鏷 | FOSRENOL® | 武田 | • 2004年10月 | • 2012年2月 | • 非鈣基磷結合劑 | • 單藥治療 | • ~9 g | • 約36美元 | • 已到期 | • 全球：>20 • 中國：16 |
| 羥基氧化鐵 | Velphoro® | Renal Pharma | • 2013年11月 | • 2023年2月 | • 非鈣基磷結合劑 | • 單藥治療 | • ~8.3 g | • 約70美元 | • 2029年5月 | • / |
| 枸橼酸鐵 | Auryxia® | Akebia Therapeutics | • 2014年9月 | • 2026年4月 | • 非鈣基磷結合劑 | • 單藥治療 | • ~9 g | • 約44美元 | • 2026年4月 | • / |
| 替奈普酶 | XPHOZAH® | Ardelyx/ 復星醫藥 | • 2023年10月 | • 2025年2月 | • NHE3i | • 與磷結合劑 聯用 | • ~400 mg + 10 g ⁵ | • 替奈普酶 為約106美元及 結合劑為約 40美元 ⁵ | • 2033年8月 | • / |

附註：1國際非專利名稱；2每日劑量指根據藥品標籤指示的每日攝入製劑總重量；3每日成本按美國批發採購成本(WAC)計算，若無WAC，則基於公開來源的零售價格計算；4比沙洛姆僅於日本獲批並於2012年上市，且在美國或中國並無正在進行的臨床試驗；5替奈普酶適用於作為結合劑的加用治療，其每日用藥成本反映患者整體降磷藥物之服用負擔與費用負擔。「400毫克+ 10克」指每日用藥劑量組合，即400毫克替奈普酶搭配10克併用磷結合劑。替奈普酶屬於NHE3抑制劑，減少腸道吸收磷酸鹽，為高磷血症提供作用機制互補的口服治療選擇。惟該類藥物降磷效果有限，臨床應用受到局限。目前僅有替奈普酶一款NHE3抑制劑獲FDA批准用於高磷血症，且其適用範圍為輔助併用治療，並非一線單藥治療。此外，替奈普酶存在胃腸道耐受性問題，腹瀉為主要不良反應。

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、公司網站、灼識諮詢

下圖顯示截至最後實際可行日期，正在全球進行積極試驗的用於治療高磷血症的在研臨床階段分子。

| 藥物名稱 | 靶點 | 申辦方 | 階段 | 首次發佈日期 | 試驗編號 | 試驗地點 |
|-------|----------------------|-----|------|-------------|--------------------------------------|-------|
| AP301 | 磷結合劑 | 禮邦 | III期 | 2023年5月30日 | NCT07030595; CTR20231624 (已完成) | 中國 |
| | | | | 2025年4月18日 | NCT06933472; CTR20252745 | 中國；美國 |
| AP306 | NaPi-lib、PiT-1、PiT-2 | 禮邦 | II期 | 2023年1月30日 | NCT05764590; CTR20230189 (已完成) | 中國 |
| | | | | 2024年11月27日 | NCT06712654 | 全球 |

行業概覽

此外，於2026年1月，FDA受理氧碳酸鏷的NDA，該藥為Unicycive Therapeutics 開發的一種鏷基口服磷結合劑，用於治療接受透析的CKD患者的高磷血症。

於高磷血症CKD藥物設計中，鐵基及非鐵基磷結合劑具有不同的臨床考量。鐵基磷結合劑在降低血清磷的同時，亦可能改善鐵代謝指標並減少對靜脈注射鐵劑或ESA的需求，這對伴隨貧血的CKD患者可能具有益處。然而，其使用可能受限於胃腸道不良反應、鐵蓄積風險以及監測鐵指標的需要。非鐵基磷結合劑（包括鈣基及非鈣基藥物）通常不會導致鐵過載，且可能適用於更廣泛的患者群體。然而，鈣基磷結合劑可能增加高鈣血症及血管鈣化風險，而若干非鈣基磷結合劑則可能存在高服藥負擔及胃腸道耐受性問題。

下圖比較AP301及AP306與其他目前可用的降磷劑。

| 關鍵藥物 | ● 非結合劑類藥物 ● | | ● 磷結合劑為基礎的治療 ³ ● | | |
|--------------------|--------------------------|------------------------|-----------------------------|----------------------------|-------------------------|
| | AP306 | AP301 | Velphoro | 司維拉姆 | 替奈普酶 + 結合劑 |
| 血磷控制率 ¹ | • >85% ² | • >65% ² | • <50% ² | • <50% ⁴ | • <50% ² |
| 每日劑量 | • 約300 mg | • 約7.5 g | • 約8.3 g | • 約9.6 g | • 約400 mg + 10 g |
| 副作用 | • 輕度至中度腹瀉 | • 輕度至中度腹瀉 | • 胃腸道症狀 | • 胃腸道症狀 | • 胃腸道症狀 |
| 服藥負擔 | • 2至3粒小片劑 | • 6至9粒軟膠囊 | • 3至5粒咀嚼片 | • 8至12粒大片劑 | • 2粒小片劑+ 全劑量磷結合劑 |
| 仿製藥狀況 | • / | • / | • / | • 已有仿製藥上市 | • / |
| 中國患者就醫途徑 | • / | • / | • 已納入國家醫保藥品目錄 • 尚未納入帶量採購 | • 已納入國家醫保藥品目錄 • 已納入帶量採購 | • 替奈普酶尚未納入國家醫保藥品目錄 |
| 評估 | • 在第2期活性對照試驗中，降磷效果高於司維拉姆 | • 較低每日劑量選擇，較小膠囊提高患者依從性 | • 非鈣製劑選擇，胃腸道副作用常見，需要咀嚼 | • 療效中等，服藥負擔高 | • 在加用方案下具有有效降磷效果，但服藥負擔高 |

依據KDIGO
建議限制使用

附註：1血磷控制=血清磷介於3.5-5.5 mg/dL之間，為非頭對頭比較；2基於早期臨床試驗數據估算；3目前，高磷血症的已批准治療選擇僅限於磷結合劑。儘管AP301的每日劑量與Velphoro及司維拉姆相若，AP301可提升患者依從性，原因為Velphoro需經咀嚼服用，而司維拉姆一般所需每日服用片數亦遠高於AP301。

資料來源：FDA、ClinicalTrials.gov、Nephrology Dialysis Transplantation、公司網站、灼識諮詢

糖尿病腎病（「DKD」）市場概覽

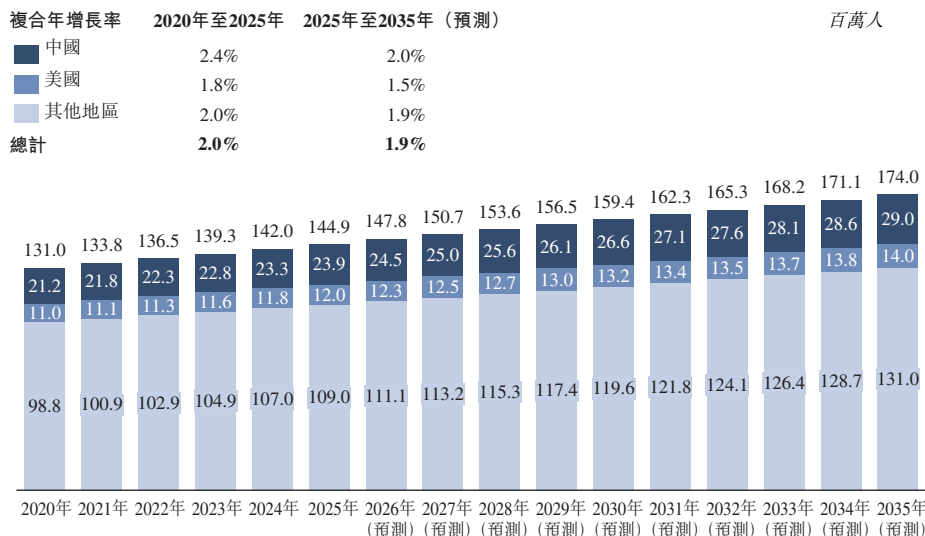
DKD簡介

DKD是由糖尿病引發的腎臟疾病，其早期幾乎無明顯症狀。臨床上，DKD的主要特徵為持續性蛋白尿及／或GFR進行性下降。DKD是全球ESRD的首要誘因，同時還會顯著增加糖尿病患者罹患心血管疾病（「CVD」）及因心血管疾病死亡的風險。

行業概覽

DKD患病人數

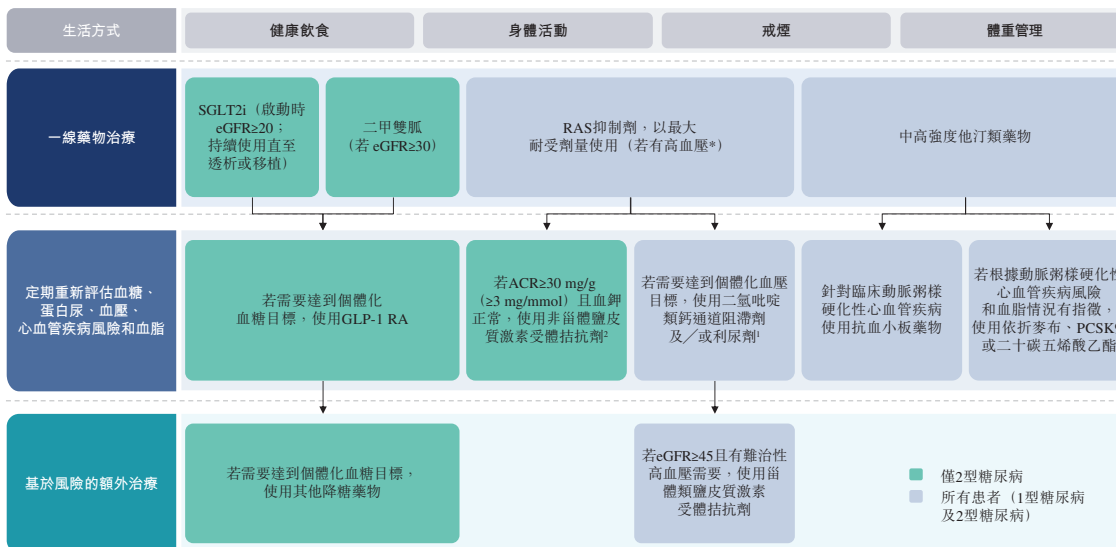
下圖顯示DKD全球患病率。



資料來源：CNRDS、JAMA、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

現有治療模式與醫療需求

下表顯示DKD的治療路徑。



附註：1當存在蛋白尿時，血管緊張素轉換酶抑制劑(ACEi)或血管緊張素II受體阻滯劑(ARB)應作為高血壓(HTN)的一線治療；否則可考慮二氫吡啶類鈣通道阻滯劑(CCB)及/或利尿劑；通常需要這類藥物才能達到血壓目標。2非奈利酮目前是唯具有已證實的臨床腎臟和心血管獲益的非甾體鹽皮质激素受體拮抗劑(MRA)。

資料來源：KDIGO、灼識諮詢

然而，當前DKD治療模式在療效方面存在局限性。目前有多種處於研發階段的療法，有望滿足DKD有效治療領域尚未被滿足的醫療需求。DKD的關鍵治療藥物可根據其作用機制分類，具體如下圖所示。

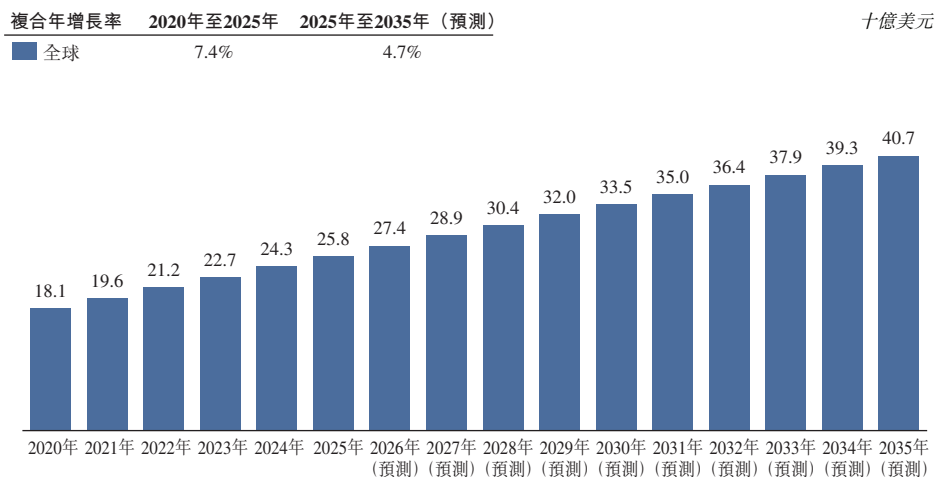
行業概覽

| 候選藥物 | AP303 | 達格列淨 | 司美格魯肽 | 非奈利酮 |
|--|---------|----------|-----------|-------------------|
| 藥物類別 | PPAR激動劑 | SGLT2抑制劑 | GLP-1R激動劑 | 非甾體鹽皮質 激素受體拮抗劑 |
| 降低腎小球內壓 糾正血流動力學 | √√√ | √√ | - | - |
| UACR/UPCR減少 與GFR變化無關 抗炎、肝素酶抑制及其他 | √√√ | - | √√ | √ |
| 恢復腎小管能量供應 脂肪酸氧化 | √√√ | √ | - | - |

資料來源：Expert Opinion on Investigational Drugs、公司網站、灼識諮詢

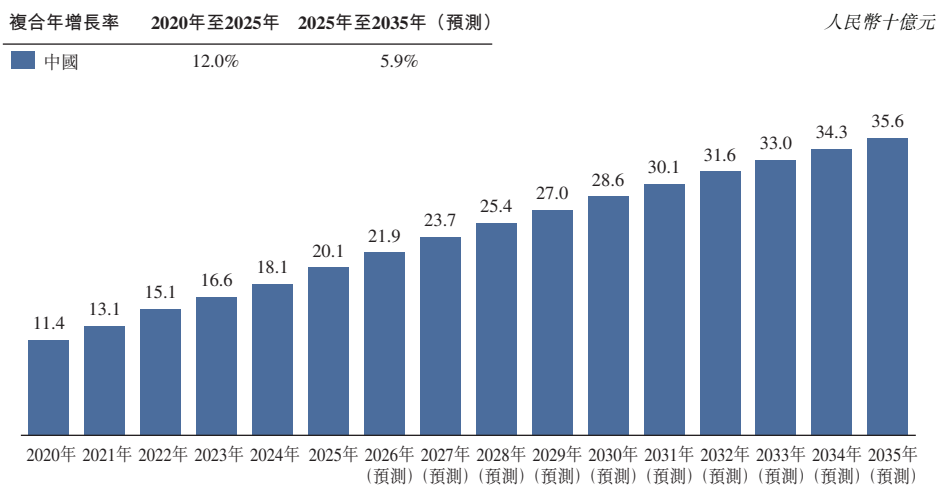
DKD藥物市場機遇

下圖顯示了DKD藥物全球市場規模。



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

下圖顯示了DKD藥物中國市場規模。



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

行業概覽

DKD藥物市場競爭格局

截至最後實際可行日期，全球已獲批的DKD藥物共7款，其中6款已在中國獲批。

全球已獲批的DKD藥物概覽

| INN ¹ | 商品名 | 公司 | FDA 批准日期 | 中國國家藥監局 批准日期 | 靶點 | 劑量 | 每月費用 ² |
|------------------|---------|------|-------------|-----------------|---------------------|--------------------|-------------------|
| 氯沙坦 | COZAAR® | MSD | • 1995年4月 | • 1997年1月 | • ARB | • 50 mg PO QD | • 約140美元 |
| 厄貝沙坦 | AVAPRO® | 賽諾菲 | • 1997年9月 | • 2000年1月 | • ARB | • 300 mg PO QD | • 約270美元 |
| 卡格列淨 | 怡可安® | 強生 | • 2019年9月 | • 2022年6月 | • SGLT2 | • 100~300 mg PO QD | • 約600美元 |
| 達格列淨 | 安達唐® | 阿斯利康 | • 2021年4月 | • 2022年9月 | • SGLT _i | • 10 mg PO QD | • 約600美元 |
| 非奈利酮 | 可申達® | 拜耳 | • 2021年7月 | • 2022年6月 | • MR | • 20 mg PO QD | • 約660美元 |
| 恩格列淨 | 歐唐靜 | 禮來 | • 2023年9月 | • 2023年11月 | • SGLT2 | • 10 mg PO QD | • 約600美元 |
| 司美格魯肽 | 諾和泰® | 諾和諾德 | • 2025年1月 | • 2025年7月 | • GLP-1R | • 0.5 mg SC QW | • 約670美元 |

附註：1 國際非專利名稱；2 每月費用根據美國WAC（WAC價格代表製造商向批發商公佈的藥品目錄價或標價，該價格已上報給第三方藥品定價發佈機構）計算。

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、公司網站、灼識諮詢

截至最後實際可行日期，針對DKD且在全球範圍內開展活躍試驗的藥物中，處於II期及以上臨床試驗階段的候選藥物不足10款。此外，禮邦的AP303即將進入II期階段。

IgA腎病（「IgAN」）市場概覽

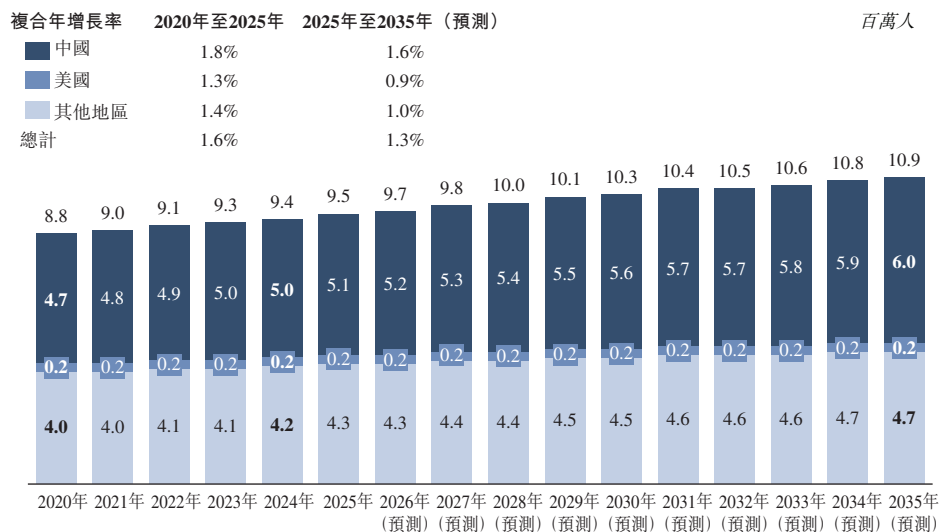
IgAN簡介

IgAN是全球最常見的原發性腎小球腎炎，其特徵為免疫球蛋白A（「IgA」）抗體在腎小球（腎臟的濾過單位）內沉積，進而引發炎症並導致腎臟損傷。IgAN常表現為鏡下血尿（尿液中含血），部分患者可能進展為嚴重蛋白尿（尿液中蛋白過量）、水腫及高血壓。IgAN是腎小球腎炎及腎功能衰竭的主要病因之一：25%至30%的IgAN患者在首次發病後的20至25年內發展為ESRD。

行業概覽

IgAN患病率

下圖顯示了全球IgAN患病率。



資料來源：CNRDS、JAMA、《中華腎臟病雜誌》、灼識諮詢

現有治療模式與醫療需求

下圖顯示了全球IgAN的當前治療模式。



附註：RASi：腎素－血管緊張素系統抑制劑，DEARA：雙重內皮素－血管緊張素受體拮抗藥
資料來源：KDIGO 2025、灼識諮詢

然而，IgAN的診斷與治療面臨以下情況：缺乏無創診斷及監測手段；風險分層效果欠佳且缺乏個性化治療方案；缺乏安全、有效且具針對性的靶向治療藥物；高危及難治性患者的管理面臨挑戰。

IgAN治療藥物市場機遇

IgAN治療藥物的興起

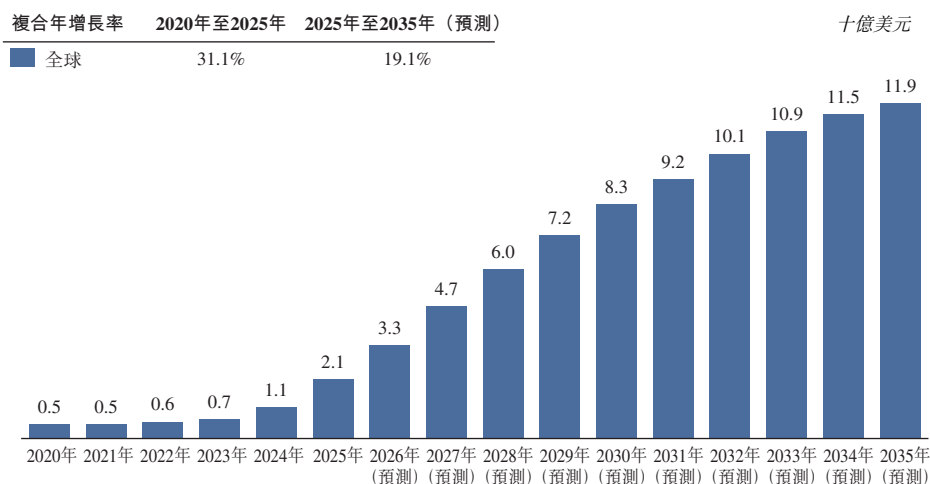
- **B細胞耗竭**，通過靶向腸道相關B細胞，減少致病性IgA1抗體的產生，從而阻止疾病發生。該作用機制下的主要潛在靶點包括B細胞存活因子（如增殖誘導配體（「APRIL」）、B細胞激活因子（「BAFF」）及CD38；

行業概覽

- **補體激活抑制**，通過阻斷關鍵補體成分，抑制炎症反應及免疫介導的腎臟損傷。該作用機制下的主要潛在靶點包括B因子、D因子、C3及C5；
- **致病性IgA1與免疫複合物清除**，通過清除或降解有害的IgA1及免疫複合物，防止腎小球沉積與炎症反應。採用該作用機制的潛在候選藥物包括重組IgA蛋白酶、免疫複合物清除劑及抗FcαRI抗體。該作用機制有望為IgAN治療帶來突破性變革，因其可實現多方面治療獲益，包括預防腎臟損傷、減少炎症級聯反應、防止自身放大效應及潛在阻止疾病進展。此外，患者接受治療後數週內即可顯現療效，且該類藥物有望成為一線治療方案；
- **整體腎臟保護**，通過調節血管張力、促進組織再生，改善腎臟血流、減少纖維化。該作用機制下的主要潛在靶點包括內皮素受體、血管緊張素受體、PPAR激動劑。目前已獲批的該作用機製藥物包括阿曲生坦（內皮素受體拮抗劑）和司帕生坦（內皮素與血管緊張素II受體拮抗劑）。

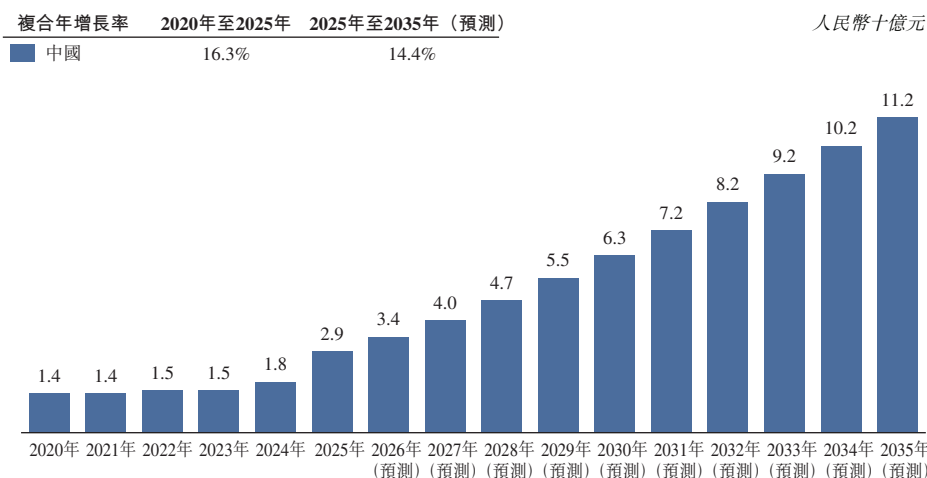
IgAN治療藥物市場規模

下圖顯示了全球IgAN藥物市場規模。



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

下圖顯示了中國IgAN藥物市場規模。



行業概覽

資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

IgAN藥物市場競爭格局

截至最後實際可行日期，全球已獲批的IgAN藥物共5種，其中3種已在中國獲批，具體如下表所示。

全球已獲批准用於治療IgAN的藥物概覽

| INN ¹ | 商品名 | 公司 | FDA 批准日期 | 中國國家藥監局 批准日期 | 作用機制 | 靶點 | 劑量 | 24小時 uPCR較基線降低 ² | 每月費用 |
|------------------|---|---|-------------|-----------------|---------|------------------|-----------------------|--------------------------------|-------------|
| 阿曲生坦 | Vanrafi [®] | 諾華 | • 2025年4月 | • 2025年8月 | • 血流動力學 | • EDNRA | • 0.75 mg PO QD | • -38% (36周) | • 約14,000美元 |
| Iptacopan | Fabhalta [®] | 諾華 | • 2023年12月 | • 2025年9月 | • 補體途徑 | • CFB | • 200 mg PO BID | • -48% (36周) | • 約45,000美元 |
| 司帕生坦 | Filspari [®] | Traverse Therapeutics | • 2023年2月 | • / | • 血流動力學 | • ENDRA/ AT1R | • 200–400 mg PO QD | • -45% (36周) | • 約12,000美元 |
| 布地奈德 | Tarpeyo [®] / Nefeen [®] | Asahi Kasei/ Everest Medicines | • 2021年12月 | • 2023年11月 | • 皮質類固醇 | • / | • 16mg PO QD | • -27% (9個月) | • 約18,000美元 |
| Sibprenilimab | Voyxaact [®] | Ostuka Pharmaceuticals | • 2025年11月 | • 2026年6月 | • B細胞耗竭 | • APRIL | • 400 mg SC, Q4W | • 51.2% (9個月) | • 約30,000美元 |
| 泰它西普 | 泰愛 [®] | 榮昌生物 | • / | • 2026年6月 | • B細胞耗竭 | • BAFF/ APRIL | • 240 mg SC QW | • -55% (III期、 39周) | • / |

附註：1. 國際非專利名稱；2. 每月費用根據美國WAC (WAC價格代表製造商向批發商公佈的藥品目錄價或標價，該價格已上報給第三方藥品定價發佈機構) 計算；3. 安慰劑校正後的24小時uPCR較藥品說明書數據降低

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、藥品說明書、灼識諮詢

截至最後實際可行日期，全球範圍內處於III期及以上臨床試驗階段且針對IgAN的在研藥物共8種，具體如下表所示。這些候選藥物的作用機制主要包括B細胞耗竭與補體激活抑制。

全球IgAN臨床III期及以上管線

| 藥物名稱 | 靶點 | 申辦方 | 階段 | 首次發佈日期 | 24小時uPCR較基線降低 ¹ | 試驗地點 |
|--------------|----------------|--|------|------------|-----------------------------------|----------|
| Atacicept | APRIL; BAFF | Vera Therapeutics | BLA | 2025年11月7日 | • -42% (III期, 36週) | 中國；美國 |
| Sefaxersen | CFB | 羅氏 | III期 | 2023年4月4日 | • -44% ² (II期, 29週) | 中國；美國；其他 |
| Zigakibart | APRIL | Chinook/SanReno 諾華 | III期 | 2023年5月10日 | • -34.2% ² (II期, 28週) | 中國；美國；其他 |
| 拉武珠單抗 | C5 | Alexion Pharmaceuticals 阿斯利康 | III期 | 2024年3月4日 | • -38.3% (III期, 36週) | 中國；美國；其他 |
| Povetacicept | APRIL; BAFF | Alpine Immune Sciences 福泰製藥 | III期 | 2024年8月21日 | • -66% ² (II期, 48週) | 中國；美國；其他 |
| Felzartamab | CD38 | Human Immunology Biosciences Biogen | III期 | 2025年4月20日 | • -39.1% (IIa期, 9個月) | 中國；美國；其他 |
| Mezagitamab | CD38 | 武田 | III期 | 2025年5月9日 | • -54.1% ² (IIb期, 48週) | 中國；美國；其他 |
| BHV-1400 | ASGPR; Gd-IgA1 | Biohaven | III期 | 2026年6月11日 | • 不適用 | 美國 |

附註：1. 安慰劑校正後的24小時尿蛋白肌酐比值(uPCR) 較基線降低；2. 單臂試驗，未進行安慰劑校正
資料來源：Clinicaltrials.gov、藥品審評中心、灼識諮詢

根據灼識諮詢的資料，截至最後實際可行日期，尚無用於IgAN的IgA蛋白酶候選藥物處於臨床開發階段，而AP308是唯一即將進入臨床開發的重組IgA蛋白酶。

行業概覽

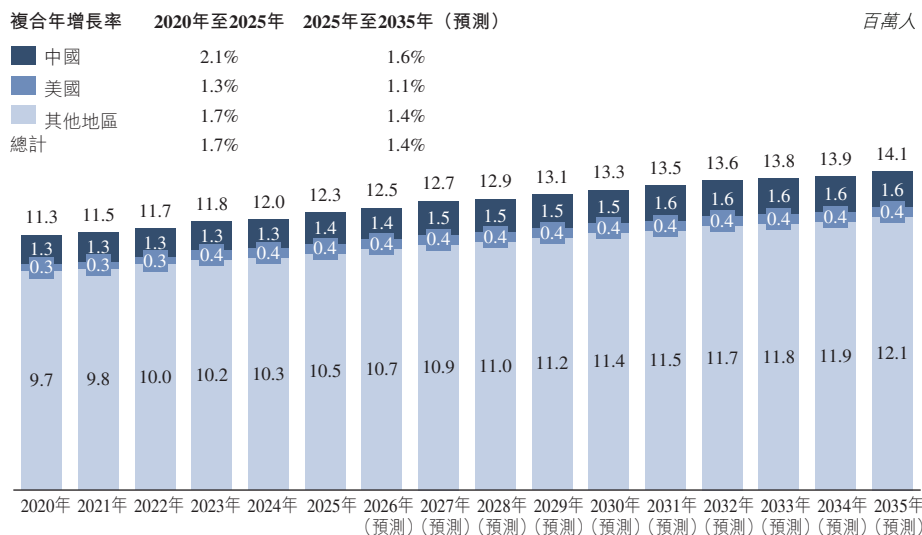
常染色體顯性多囊腎病(「ADPKD」)市場概覽

ADPKD簡介

ADPKD是一種遺傳性腎臟疾病，主要由PKD1和PKD2兩個基因的突變引起。這些基因突變可能導致細胞內抑制信號缺失、腎囊腫進行性增大，最終造成腎功能損傷。

ADPKD患病率

下圖顯示了ADPKD全球患病率。



資料來源：《美國腎臟病雜誌》、《人類遺傳學雜誌》、《腎臟病》、Kidney360、灼識諮詢

現有治療模式與醫療需求

當前ADPKD的管理與治療方法包括飲食與生活方式干預、旨在延緩ADPKD進展的藥物治療、針對ADPKD症狀的藥物控制，以及患者教育與心理護理。然而，目前尚無ADPKD的根治性治療，且缺乏直接針對ADPKD發病機制與囊腫生長的治療方法。

ADPKD治療藥物市場競爭格局

截至最後實際可行日期，托伐普坦是全球唯一獲批的ADPKD治療藥物。自2018年首次獲FDA批准用於治療ADPKD以來，托伐普坦已在全球創造可觀的銷售業績，2023年銷售額突破15億美元。過去，ADPKD治療方法的研發有限。截至最後實際可行日期，有四款ADPKD候選藥物處於II期及以後階段，且正在開展全球臨床試驗。本公司開發的AP303預計即將進入II期臨床試驗階段。

局灶節段性腎小球硬化症(「FSGS」)市場概覽

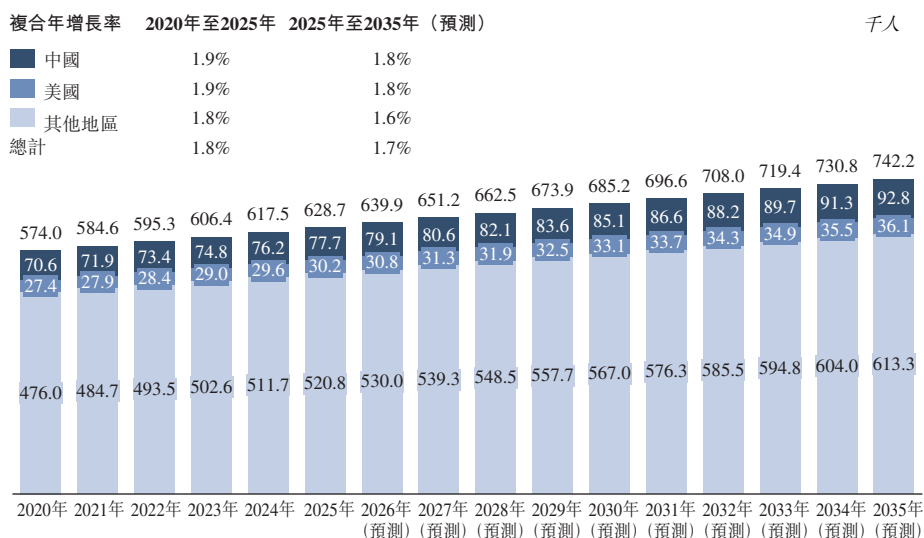
FSGS簡介

FSGS是一種瘢痕組織形成於腎小球的疾病。足細胞(腎小球濾過屏障的關鍵組成部分)受損被認為是FSGS的主要病因。FSGS通常表現為蛋白尿和腎臟水腫，且可能最終進展為ESRD。根據病因，FSGS可分為三類。原發性FSGS(又稱特發性FSGS)，其病因不明。繼發性FSGS由適應性反應(如肥胖)、藥物及感染引發。遺傳性FSGS由足細胞相關基因的遺傳性突變導致。

行業概覽

FSGS患病率

下圖顯示了全球FSGS患病率。



資料來源：《美國腎臟病雜誌》、《人類遺傳學雜誌》、《腎臟病》、Kidney360、灼識諮詢

現有治療模式與醫療需求

對於合併腎臟病綜合徵（一組由腎臟損傷引發的症狀）的原發性FSGS患者，糖皮質激素是主要治療藥物；對於激素抵抗型原發性FSGS患者，鈣調神經磷酸酶抑制劑（「CNI」）是主要治療藥物；對於CNI治療失敗、不耐受或存在禁忌症的FSGS患者，可使用環磷酰胺、利妥昔單抗及嗎替麥考酚酯。

然而，目前FSGS的治療方法存在多重安全性、有效性和可及性問題。長期使用糖皮質激素可能導致耐藥性、藥物依賴或其他副作用。CNI的使用成本較高，且可能引發加速CKD進展的腎毒性，且對於存在腎間質纖維化或血管病變的患者，CNI的療效有限。環磷酰胺會暫時降低血液中白細胞水平，進而增加感染風險。利妥昔單抗可能引發輸液相關反應，這類反應可能危及生命，需立即就醫。嗎替麥考酚酯可能削弱免疫系統，增加發生罕見且嚴重病毒感染的風險。

FSGS治療藥物市場競爭格局

截至最後實際可行日期，司帕生坦於2026年4月獲FDA批准用於減少八歲及以上患有FSGS但並無腎臟病綜合徵的患者的蛋白尿。截至同一日期，全球範圍內處於II期及以上臨床試驗階段且針對FSGS的在研藥物超過10款。此外，禮邦的AP303即將進入II期階段，有望滿足該領域大量未被滿足的醫療需求。

2025年5月，Travere宣布FDA已受理司帕生坦治療FSGS的補充新藥申請，此申請乃基於III期關鍵性試驗，以蛋白尿作為替代終點指標。FDA可能會考慮將蛋白尿水平變化作為FSGS新藥獲批的替代終點。

行業概覽

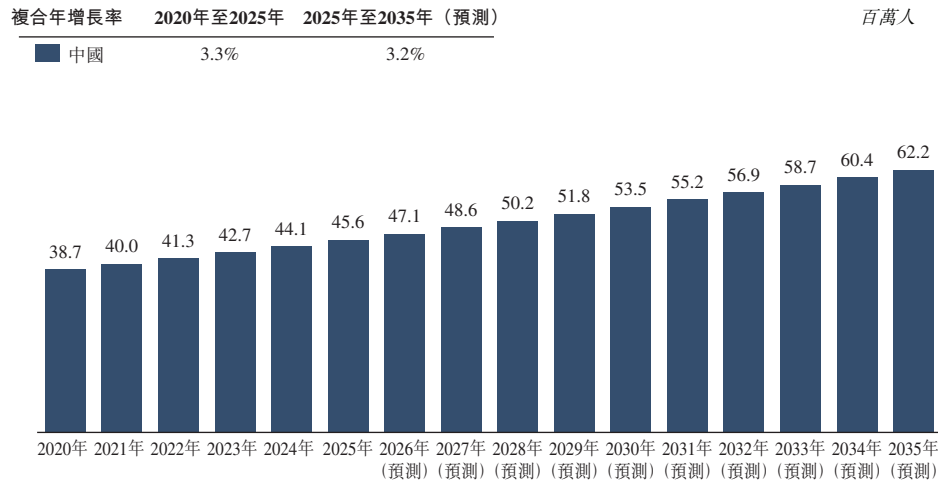
腎性貧血市場概覽

CKD患者腎性貧血簡介

腎性貧血是CKD的常見併發症，此類CKD患者的紅血球計數低於正常水平。

腎性貧血患病率

下圖顯示了中國腎性貧血患病率。



資料來源：NIDDK、USRDS、《柳葉刀》、JAMA、Clinical and Experimental Nephrology、灼識諮詢

現有治療模式

腎性貧血的當前治療方法包括注射用促紅細胞生成素類藥物（「**ESA**」）、靜脈注射（「**IV**」）或口服鐵劑，以及口服缺氧誘導因子脯氨酰羧化酶抑制劑（「**HIF-PH抑制劑**」）。ESA通過刺激紅細胞生成發揮作用；靜脈注射或口服鐵劑通過直接補充鐵儲備發揮作用；缺氧誘導因子脯氨酰羧化酶抑制劑則通過刺激內源性促紅細胞生成素的產生發揮作用。臨床開具ESA時，需根據個體情況調整劑量，以將血紅蛋白維持在目標範圍內。靜脈注射或口服鐵劑的開具需依據患者的鐵狀態。對於ESA應答不佳的患者，經風險－獲益評估後，可考慮使用缺氧誘導因子脯氨酰羧化酶抑制劑。

除ESA外，HIF-PH抑制劑已成為腎性貧血的一種口服治療選擇。與ESA相比，HIF-PH抑制劑可通過口服給藥提供更高便利性，並可能通過調節缺氧誘導因子通路改善鐵的利用。然而，其使用仍取決於患者特徵、透析狀態、安全性特徵、醫保覆蓋情況及醫生判斷。在中國，羅沙司他於2018年12月獲批用於透析依賴性CKD患者的貧血治療，並於2019年8月獲批用於非透析依賴性CKD患者的貧血治療。恩拉度司他於2023年6月獲批用於成人非透析CKD患者的貧血治療，並於2025年9月將其適應症擴展至成人透析CKD患者。羅沙司他亦於2025年納入中國第十一輪帶量採購，可能提升可負擔性及可及性，同時加劇該類產品的價格競爭。

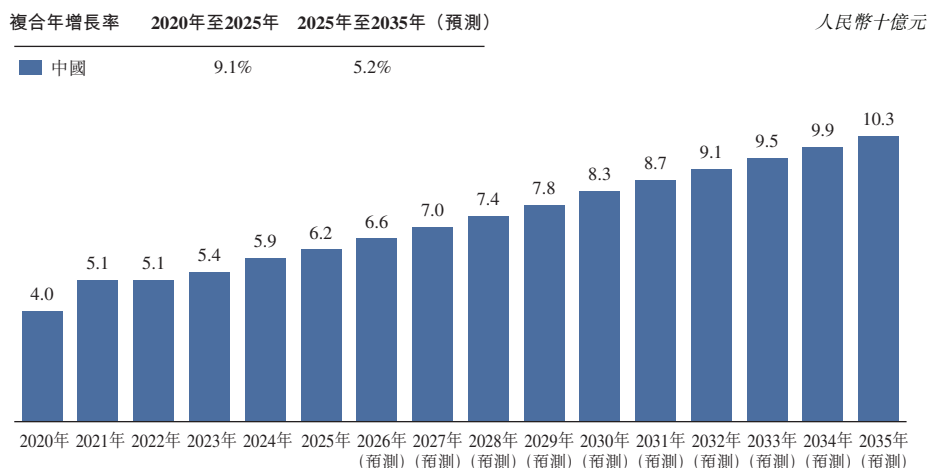
在所有現有治療方法中，ESA被推薦為CKD相關貧血的一線治療方案，其相較於其他治療方法具有明確優勢，ESA可顯著減少CKD患者的輸血需求，緩解貧血相關症狀。靜脈或口服補鐵存在以下情況：可能引發輸注反應、胃腸道不耐受、血紅蛋白糾

行業概覽

正速度慢、CKD患者鐵吸收能力下降，以及需避免與某些藥物／食物發生相互作用。對於HIF-PH抑制劑，儘管其在升高血紅蛋白水平方面與ESA相當或更優，但存在心血管結局、血栓事件及腫瘤進展相關擔憂，這些擔憂導致HIF-PH抑制劑尚未獲得廣泛臨床應用批准。此外，HIF-PH抑制劑的長期安全性尚未得到充分證實。

中國腎性貧血治療藥物市場規模

下圖顯示了中國腎性貧血治療藥物市場規模。2025年，長效ESA在中國市場中的佔比不足5%，而美國及日本的市場佔比分別達到約50%及80%。



資料來源：Clinical Kidney Journal、Nephrology、灼識諮詢

腎性貧血治療藥物市場競爭格局

截至最後實際可行日期，全球已獲批的長效ESA類腎性貧血治療藥物共四種，且均已在中國獲批，具體如下表所示。MIRCERA®是首款獲批准的每月一次注射的長效EPO。

中國獲批准治療腎性貧血的長效ESA概覽

| INN ¹ | 商品名 | 公司 | 批准日期 | 作用機制 | 靶點 | 劑量 | 每月費用 ² | 國家醫保藥品目錄狀態 ³ |
|------------------|------------------|---------|---------------------|-----------|--------|---------------------------------------|-------------------|-------------------------|
| 甲氧聚二醇重組人促紅素 | MIRCERA® 美信羅® | 羅氏／禮邦 | 中國國家藥監局： 2018年7月 | • EPO | • EPOR | • 0.6 µg/kg SC/IV QM | • 約人民幣460元 | • 納入國家醫保藥品目錄 |
| 達依泊汀α | ARANESP® 耐斯寶® | 安進／協和麒麟 | 中國國家藥監局： 2020年6月 | • EPO | • EPOR | • 20 µg SC/IV QW 或 40 µg SC/IV Q2W | • 約人民幣460元 | • 納入國家醫保藥品目錄 |
| 培莫沙肽 | 聖羅萊® | 翰森 | 中國國家藥監局： 2023年6月 | • PEG-EMP | • EPOR | • 0.04 mg/kg SC Q4W | • 約人民幣780元 | • 納入國家醫保藥品目錄 |
| 重組人類紅血球生成蛋白注射液 | 新比澳® | 3S Bio | 中國國家藥監局： 2026年3月 | • EPO | • EPOR | • 5-150 µg SC Q2W | • / | • / |

附註：1 國際非專利名稱；2 每月費用乃基於國家醫保目錄價格；3 指藥物的相關適應症是否納入中國國家醫保目錄

資料來源：中國國家藥監局、FDA、EMA、PMDA、公司網站、灼識諮詢

行業概覽

委託灼識諮詢編製報告

就[編纂]而言，我們已委聘灼識行業諮詢有限公司（「灼識諮詢」）進行詳盡分析，並編製有關我們候選藥物所定位的主要市場的行業報告（「灼識諮詢報告」）。灼識諮詢報告為一家於2014年成立且總部設於中國的全球獨立市場研究及諮詢公司。我們已同意就編製灼識諮詢報告向灼識諮詢支付總計約人民幣810,000元的費用，且我們認為該費用與市場費率一致。有關款項的支付並不取決於我們成功[編纂]或灼識諮詢報告的內容。除灼識諮詢報告外，我們並未就[編纂]委託編製任何其他行業報告。我們確認，在採取合理謹慎措施後，自灼識諮詢編製報告之日起，市場資料並無發生在任何重大方面可能對本節所載資料構成限制、與之矛盾或產生影響的任何不利變化。

灼識諮詢報告中的市場預測乃基於以下主要假設：(i)預計全球及中國的整體社會、經濟及政治環境於預測期內保持穩定；(ii)未來十年，全球及中國的經濟及行業發展可能保持穩定的增長趨勢；(iii)預測期內相關關鍵行業驅動因素可能會繼續推動市場增長；及(iv)不存在可能會對市場造成重大或根本性影響的極端不可抗力因素或行業監管。灼識諮詢報告的可靠性可能受上述主要假設（包括用作進行未來預測的假設）的準確性所影響。