

行業概覽

本節及本文件其他章節所載資料及統計數據摘錄自我們委託灼識諮詢編製的灼識諮詢報告以及多份政府官方刊物及其他公開可得刊物。我們委託灼識諮詢編製灼識諮詢報告，該報告是一份關於[編纂]的獨立行業報告。我們、獨家保薦人、[編纂]、其各自任何董事、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來自政府官方來源的資料。

全球和中國血液惡性腫瘤市場

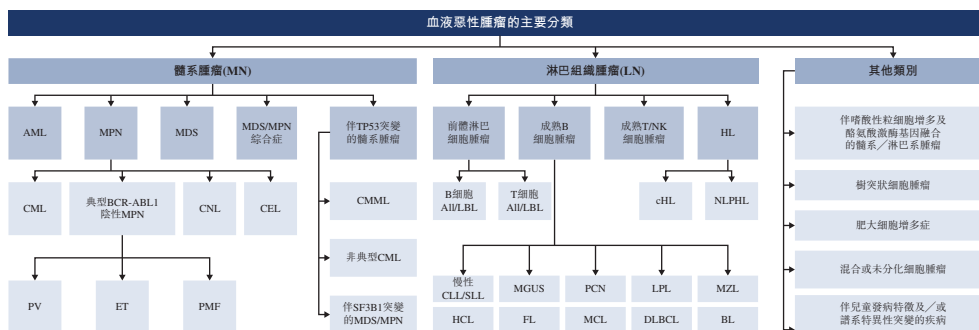
血液惡性腫瘤概述

血液惡性腫瘤(HM)是來源於造血組織(如骨髓或免疫系統細胞)的癌症，由造血干細胞(HSC)的異常分化引起，而造血干細胞負責通過髓系和淋巴系生成所有血細胞類型。

血液癌症領域包含三個具有不同的治療需求和增長軌跡的類型：(i)淋巴瘤是淋巴系統癌症，霍奇金淋巴瘤的特徵在於存在稀有的霍奇金和里德－斯特恩伯格(HRS)細胞，該等細胞來源於免疫球蛋白基因突變的Epstein-Barr病毒陽性B細胞；(ii)多發性骨髓瘤是B細胞癌症，表現為突變漿細胞的失控增殖，由基因突變(如KRAS、NRAS、BRAF和FAM46C突變)引發，導致異常增生和骨髓損傷；及(iii)白血病是指未成熟血細胞急性快速生長的血癌，慢性白血病進展較緩慢，慢性髓系白血病(CML)影響干細胞向髓系細胞分化，而慢性淋巴細胞白血病(CLL)則影響B淋巴細胞或T淋巴細胞。

HM流行病學

HM共同構成巨大且不斷增長的全球健康負擔。2025年，全球HM患病病例達到5.7百萬例，預計到2035年將增至6.7百萬例，2026年至2030年的年複合增長率為1.8%，而2031年至2035年則為1.5%。在中國，2025年HM患病病例達到1.0百萬例，預計到2035年將穩步增至1.2百萬例。在美國，2025年HM患病病例達到1.0百萬例，預計到2035年將穩定增至1.1百萬例。血液惡性腫瘤是一種多樣且複雜的腫瘤，源於造血或淋巴組織，主要影響血液、骨髓及淋巴結。該等惡性腫瘤的廣泛特徵在於異常血細胞的失控增殖，這干擾健康血細胞的生成及功能。



資料來源：Globocan、灼識諮詢

行業概覽

非霍奇金淋巴瘤(NHL)是一大類源自淋巴細胞的血液癌症，淋巴細胞是免疫系統中的關鍵白血球。其包括眾多B細胞及T細胞亞型，可發生在淋巴結或腸胃道、骨髓、肝臟及中樞神經系統等結節外部位。2025年，全球非霍奇金淋巴瘤患病病例由2021年的2.5百萬例增至2.7百萬例，預計到2035年將達到3.0百萬例。在中國，非霍奇金淋巴瘤患病病例由2021年的0.4百萬例增至2025年的0.5百萬例，預計到2035年將達到0.6百萬例。在美國，NHL患病病例由2021年的0.3百萬例增至2025年的0.4百萬例，預計到2035年將達到0.5百萬例。

HM藥物的市場規模

得益於HM治療範式的轉變，全球HM藥物市場呈現持續增長態勢，從2021年的334億美元增至2025年的607億美元，年複合增長率為12.6%。預期該市場將維持其增長，2026年至2030年的年複合增長率為9.9%，而2031年至2035年則為7.7%，到2035年市場規模有望達到1,438億美元。在中國，受靶向HM新穎療法的獲批及患者生存率提升所驅動，中國血液惡性腫瘤藥物市場經歷快速擴張，從2021年的人民幣223億元翻倍至2025年的人民幣450億元，年複合增長率為15.8%。預計這一強勁增長趨勢將持續，2026年至2030年的年複合增長率為13.6%，而2031年至2035年則為11.2%，到2035年市場規模將達到人民幣1,484億元。

HM藥物的市場驅動因素和未來趨勢

新一代靶向療法的發展。針對新型分子靶點和治療平台的持續研究(包括小分子藥物設計的不斷迭代，以提高安全性和有效性)不斷取得臨床突破。新興模式在難治性病例中展現出良好療效，通過擴大治療選擇和改善治療指數推動市場增長。

聯合療法是市場增長的催化劑。利用協同機制的合理藥物組合(特別是BTK抑制劑與Bcl-2抑制劑或免疫療法的聯合應用)已展現出增強的臨床反應、更廣泛的適應症覆蓋面及延緩耐藥發展的特性。該等優化治療方案正在確立新的護理標準，同時通過延長治療週期和擴大患者適用範圍創造巨大市場機遇。

不斷增長的治療需求和慢性病管理範式的轉變。在人口老齡化和環境因素的推動下，血液惡性腫瘤發病率不斷上升，催生了大量未得到滿足的醫療需求。相當一部分患者還會出現難治性或復發性疾病。突破性靶向療法的問世顯著改善了臨床結果，使許多血液癌症轉變為慢性疾病。該治療方法的演變催生了長期生存者對有效靶向藥物的持續需求，他們既追求生存獲益，也期待生活質量改善。

藥物研發與商業化的政策支持。監管方面的進步加快了新型血液腫瘤藥物的研發和商業化進程。例如，由五部門聯合發佈的《關於開展兒童血液病、惡性腫瘤醫療救治及保障管理工作的通知》要求建立全國兒童血液系統惡性腫瘤診療網絡，推動統一臨床標準，並完善轉診及多學科管理機制。該政策亦加強重點腫瘤藥物的供應保障，並指導監管機構優先審評審批臨床急需的兒童用藥，從而提升血液系統惡性腫瘤治療的可及性及規範化水平。《健康中國2030》規劃綱要提出國家戰略目標，以提升藥品及醫療器械的整體質量、安全性及可及性。

行業概覽

全球和中國BTK抑制劑市場

BTK抑制劑簡介

布魯頓酪氨酸激酶(BTK)是非受體酪氨酸激酶Tec家族的細胞質成員，在B細胞和骨髓系細胞中表達，但在T細胞、漿細胞和自然殺傷細胞中不表達。它在三個獨立路徑中發揮核心作用：通過BCR信號傳導激活B細胞，通過Fc- γ 受體信號傳導激活免疫複合物介導的單核細胞和巨噬細胞（驅動細胞因子的產生，如IL-1 β 、IL-6和TNF- α ），以及通過破骨細胞的增殖促進成骨。從機制上講，抗原識別時BTK激活會啟動PLC- γ 信號傳導，導致NF κ B和MAPK路徑激活、轉錄重編程以及隨後的B細胞增殖和分化。因此，抑制BTK可阻礙B細胞生長，抑制炎症細胞因子釋放，並干擾IL-21介導的B細胞成熟。該等關鍵功能使BTK抑制成為治療血液惡性腫瘤和炎症性疾病的基石。

BTK抑制劑的優勢

B細胞惡性腫瘤的治療格局已發展至涵蓋多種治療模式，包括BTKi、CAR-T、ADC、bsAb及其他新興靶向治療方法，這均反映於臨床研究及治療指引中。其中BTKi代表已確立的療法，並因具口服給藥、相對可控的安全性特徵，以及長期使用的成熟臨床經驗，而在若干適應症的多種治療情境中獲廣泛應用。相比之下，CAR-T及bsAb於R/R患者的臨床試驗中雖展現高反應率，但一般而言，其安全性管理較為複雜，包括細胞因子釋放症候群等風險，且治療成本較高，可及性亦較為有限。ADC通過靶向機制遞送細胞毒性藥劑，並已在後線治療中顯示出臨床活性；然而，其使用或會伴隨治療相關毒性，且可能取決於抗原表達情況。分子膠降解劑及HDAC抑制劑等新興治療模式目前正處於臨床研究階段，或可為治療選擇有限的患者提供額外選項。總體而言，儘管不同治療方法展現出不同的臨床特徵，且適用於不同的治療情境，BTKi預期將繼續成為特定疾病情境下治療範式中重要且廣泛應用的組成部分。

BTK抑制劑的發展

BTK抑制劑按結合機制分為共價（不可逆）或非共價（可逆）兩類。非共價抑制劑通過獨立於C481的可逆方式結合ATP結合腔，利用多個接觸點以對野生型及突變型BTK產生有效抑制作用。其具有更高選擇性（可降低脫靶毒性）、對關鍵耐藥突變保持活性，並具備更靈活的給藥方式。其開發可滿足對共價抑制劑治療失敗患者的未滿足需求，提升耐受性，並支持前線治療應用，從而擴大該重要治療領域的機會。BTK抑制劑已歷經四代演進，每一代均突破前代藥物的局限性，同時擴大治療潛力和市場機會。下表載列四代BTK抑制劑的主要特點。

BTK抑制劑世代對比

參數	第一代	第二代	第三代	第四代
代表藥物	伊布替尼	阿卡替尼、 澤布替尼、奧布替尼	匹妥布替尼	洛布替尼(LP-168)
結合模式	共價	共價	非共價	共價&非共價
口服生物利用度	低	中等	高	高
半衰期	4至6小時	1至4小時	~19小時	~17小時
靶點選擇性	差	中等	中等	優秀
毒性（TRAE停藥率）	非常高 (12%-32%)	中等 (10%-23%)	中等 (6%)	低 (0.7%)
主要耐藥機制	C481x, L528W	C481x, L528W	T474I、L528W等	未報告
狀態	已獲批	已獲批	已獲批	已提交NDA
標價（每100mg）	~人民幣120元	~人民幣95元至200元	~人民幣215元	—

資料來源：CSCO、RESONATE(2)試驗、ASCEND試驗、BRUIN試驗、灼識諮詢

行業概覽

第一代BTK抑制劑確立了臨床療效，但存在脫靶毒性；第二代和第三代藥物則提高了選擇性並克服了耐藥性，增強了安全性、療效，並為更廣泛的患者群體提供了治療選擇。以LP-168為代表的新一代BTK抑制劑採用創新工程設計方法，在單一分子中結合共價兼非共價結合機制，既能實現不可逆抑制劑的持續靶點佔位，又能通過可逆結合作用維持對C481S突變的活性。與早期BTK抑制劑不同，LP-168可在不同結合位點與BTK作用，實現雙位點調控，這可能進一步增強抑制效力並擴大對耐藥性的覆蓋範圍。該雙機制設計旨在通過提供多種BTK結合模式，突破前幾代藥物的二元限制，從而有可能防止或延緩耐藥性的產生，同時保持選擇性。然而，LP-168潛在的臨床優勢仍有待透過本公司現行及未來臨床試驗的結果予以明確證實及驗證。再者，即使獲得了監管批准，LP-168最終的商業成功亦將在很大程度上取決於定價談判的成功以及我們市場推廣及商業化工作的有效執行。

BTK抑制劑的耐藥性

根據現有已獲批准BTK抑制劑（包括伊布替尼、阿卡替尼及其他同類藥物）的已發表臨床研究，BTKi治療所產生之耐藥性之出現情況因疾病類型而異。在復發／難治性套細胞淋巴瘤中，BTKi的臨床研究報告之總體緩解率約為60%至80%，顯示約20%至40%患者可能呈現原發性耐藥性。在獲得緩解之患者中，緩解持續時間之中位數約為20至26個月，且兩年緩解率約為50%，表明約一半患者可能於治療兩年內出現獲得性耐藥性。在初治CLL/SLL患者中，BTKi已顯示高達95%以上的總體緩解率，表明原發性耐藥性水平較低，一般低於5%。長期追蹤數據顯示持續緩解，約90%至95%的患者於四年時仍維持無惡化存活期，反映隨時間推移獲得性耐藥性的發生率較低¹。在復發／難治性CLL/SLL患者中，BTKi已顯示約90%的總體緩解率，表明約10%的患者或會出現原發性耐藥性。無惡化存活期之中位數約為40至50個月，顯示獲得性耐藥性隨時間逐步發展，約40%至60%的患者於三年內出現病情惡化。BTK抑制劑於CLL/SLL臨床研究中的中位緩解持續時間通常未達標，反映大部分患者可維持持久緩解。

在R/R MZL中，BTKi的臨床研究已報告整體反應率約為45%-60%，顯示約40%-55%的患者可能出現原發性耐藥性；而在有反應的患者中，中位反應持續時間(mDoR)約為30個月，表明病情惡化是隨時間逐漸發生的，且約三分之一的患者於治療後一至兩年內出現耐藥性。在R/R DLBCL中，BTK抑制劑的療效相對有限，在非GCB亞型中的整體反應率約為40%，顯示約60%的患者可能出現原發性耐藥性。在有反應的患者中，反應通常維持時間較短，而Kaplan-Meier曲線顯示無惡化存活期隨時間迅速下降，僅有少數患者（一般少於20%）能維持無惡化狀態超過6個月，表明大多數患者於此期間內即出現疾病惡化²。此等有限的反應持久性，主要反映許多腫瘤對B細胞受體訊號傳導通路的依賴性有限，而非明確可歸因於BTKi抑制劑特異性的耐藥機制。

BTK抑制劑適應症及治療路徑

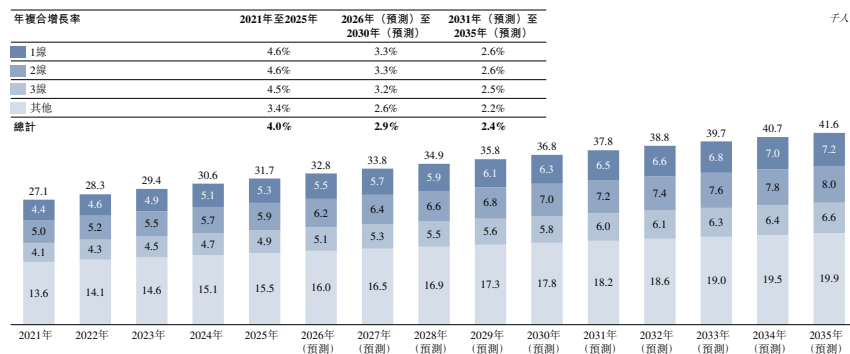
BTK在B細胞調控中發揮關鍵作用，使其成為多種炎症性疾病（包括類風濕性關節炎）中靶向抑制B細胞的有力候選藥物。在腫瘤學領域，BTK抑制劑已獲批用於多種B細胞惡性腫瘤，包括MCL、CLL/SLL、DLBCL和MZL等。

行業概覽

MCL

套細胞淋巴瘤(MCL)是一種侵襲性B細胞淋巴瘤，需要根據患者的健康狀況和疾病分期進行針對性治療。該疾病對BCR介導的生存信號的依賴性使其對BTK抑制劑的反應異常敏感。中國MCL的發病率已由2021年的27.1千人增至2025年的31.7千人，年複合增長率為4.0%，並預計到2035年將達到41.6千人，2026年至2030年的年複合增長率為2.9%，而2031年至2035年則為2.4%。美國MCL的發病率由2021年的16.6千人增至2025年的19.8千人，年複合增長率為4.5%，預計到2035年將達到26.0千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.2%，而2031年至2035年則為2.2%。在MCL中，五年生存率通常約為30%，接受治療的患者中位總生存期約為6年。由於需要長期治療管理，這構成了BTK抑制劑穩定且持續的可治療患者群體。在確診時，約75%至85%的患者已處於晚期(III至IV期)。在實際臨床中，約70%患者年齡低於65歲，理論上可考慮自體造血幹細胞移植(「ASCT」)，但因體能狀況、合併症或治療相關因素，最終實際接受ASCT的患者不足25%。

中國MCL患病病例，2021年至2035年（預測）



資料來源：CSCO、NCCN、灼識諮詢

MCL的治療路徑

前線治療

對於新診斷的MCL，治療方案的選擇主要取決於是否符合移植資格。年輕且體能狀況良好的患者通常接受強化免疫化療方案（例如R-CHOP/R-DHAP交替方案），隨後進行ASCT。年長或不適合移植的患者則一般採用苯達莫司汀聯合利妥昔單抗(BR)或改良R-CHOP方案進行治療。在符合移植條件的患者中，誘導治療通常採用強化免疫化療方案。除少數於診斷時呈惰性病程的患者外，其餘約80%的侵襲性／典型MCL患者均需接受誘導治療。在接受誘導治療的可移植患者中，約50%使用以利妥昔單抗為基礎的聯合方案，其餘患者則接受其他強化誘導治療方案。BTK抑制劑在一線治療中的引入標誌著治療範式的轉變。含BTKi的治療方案在特定人群中已顯示出優於傳統免疫化療的療效，並因此被指南推薦（如澤布替尼聯合利妥昔單抗）作為年長或體能較差患者的一線首選方案。在一線治療情境中，BTK抑制劑通常與免疫化療及／或其他靶向藥物聯合使用，而非非常規單藥治療。

行業概覽

維持治療與復發／難治性 (「R/R」) 情境

在一線治療後，對治療有臨床反應的患者通常會進入以利妥昔單抗±共價BTKi的維持治療，直至疾病進展或出現毒性為止；然而，約45%的患者在五年內復發，且隨時間推移，最高可達70%的患者出現疾病進展。

在R/R情境中，根據NCCN/CSCO指南，BTK抑制劑為核心治療方案，作為首選二線標準治療，約有80%的R/R患者接受BTKi治療方案。對於BTKi初治的患者，通常以共價BTKi (如伊布替尼、阿卡替尼、澤布替尼) 作為單藥治療，或與利妥昔單抗／維奈托克聯合使用。共價BTKi佔主導地位 (使用率約95%)，主要以單藥或聯合利妥昔單抗／維奈托克使用；而ncBTKi因可及性及成本限制，其使用率仍然較低。於三線及後續治療中，尤其是先前接受共價BTKi治療後出現疾病進展的情況下，治療選擇可能包括ncBTKi (如匹妥布替尼)、CAR-T、維奈克拉方案、來那度胺聯合利妥昔單抗，或為符合條件的患者進行異基因移植。

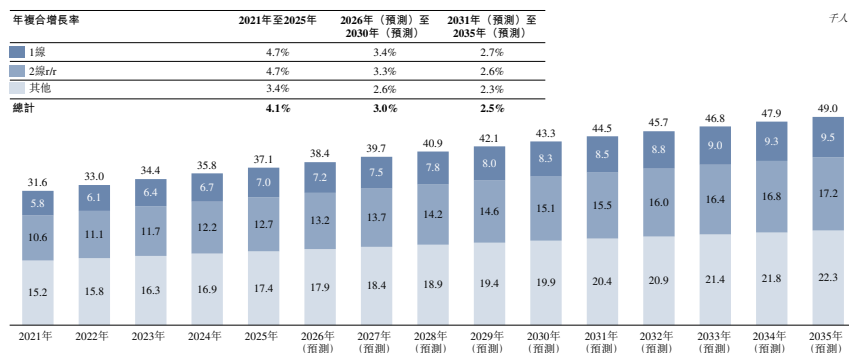
治療序列

BTK抑制劑與BCL-2療法之間目前尚無固定的治療序列；治療選擇通常需根據既往治療、疾病特徵、耐藥性及耐受性進行個體化判斷。共價BTK耐藥 (通常涉及C481S突變或信號通路轉換) 突顯出對新型藥物和優化治療策略的需求。在一線治療中，較傾向採用BTKi/BCL-2聯合方案；而在R/R情境下，則根據既往暴露情況採用BCL-2±BTKi方案。BTKi之間的轉換通常源於不耐受、毒性、耐藥或復發。對於既往接受過共價BTKi治療的患者，可根據可及性考慮給予ncBTKi單藥治療，如匹妥布替尼。LP-168為新一代雙重共價／ncBTKi，主要針對共價BTKi治療後的使用場景，在既往接受共價藥物治療的R/R B細胞惡性腫瘤中，已顯示出客觀緩解及可控的安全性，且在ncBTKi治療後仍具有一定活性。BTKi構成MCL各治療線的核心治療基礎，並被NCCN/CSCO列為二線優選方案 (約80%的R/R患者採用)。對於BTKi初治的R/R MCL，起始治療可選擇共價BTKi±利妥昔單抗／維奈克拉；而對於共價BTKi治療後進展的患者，可選擇的治療方案包括ncBTKi (如匹妥布替尼)、CAR-T、來那度胺聯合利妥昔單抗、維奈克拉聯合方案，或對符合條件的患者進行異基因移植以追求治癒。

CLL/SLL

CLL/SLL是發病率最高的成人白血病之一，也是BTK抑制劑的基礎適應症，其發病機制是B細胞受體信號傳導異常，促進惡性B細胞在淋巴組織中存活和增殖。中國CLL/SLL的發病率已由2021年的31.6千人增至2025年的37.1千人，年複合增長率為4.1%，預計到2035年將增至49.0千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.0%，而2031年至2035年則為2.5%。美國CLL/SLL的發病人數由2021年的約195.9千人增至2025年的229.5千人，年複合增長率為4.0%，預計到2035年將增至296.2千人，2026年至2030年的年複合增長率為2.9%，而2031年至2035年則為2.1%。在CLL/SLL患者中，五年生存率約為88%，接受治療的患者中位總生存期可達十年。在特定患者群體中，基於BTK抑制劑的治療可能進一步延長生存期。這意味著BTK抑制劑具有一個穩定且持續的可治療患者群體，受長期治療管理需求驅動。

中國CLL/SLL患病病例，2021年至2035年 (預測)



資料來源：CSCO、NCCN、灼識諮詢

行業概覽

CLL/SLL的治療路徑

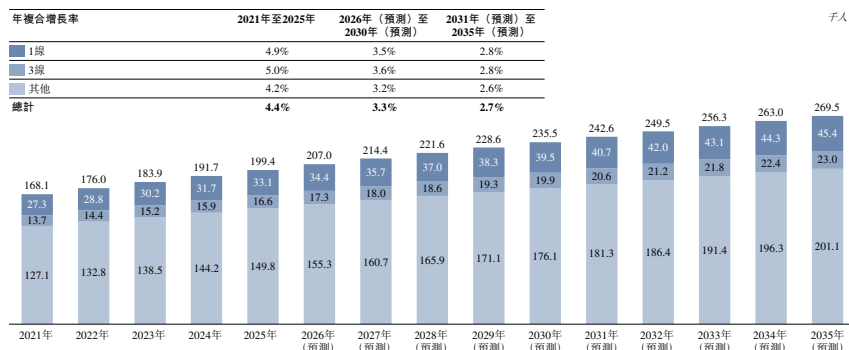
CLL/SLL的治療格局發生了根本性轉變，BTK抑制劑在所有治療方案中佔據主導地位，有效取代化療免疫療法成為治療標準。在一線治療場景中，基於BTK的治療方案及基於BCL-2抑制劑的定程治療方案被列為首選方案，而傳統化療免疫療法則僅適用於疾病生物學特徵較佳或無法接受靶向治療的特定患者。在靶向治療中，例如BTKi和BCL-2抑制劑方案，可跨多線治療使用，指南未規定固定序列。兩類均可於一線治療中選用，對於復發或難治性疾病，常根據既往治療暴露情況採取序貫使用策略。BTKi與BCL-2抑制劑的選擇取決於疾病生物學、共病情況、既往治療經歷及治療目標，而非預先設定的順序。在對BTKi產生耐藥或不耐受後，可考慮使用非共價BTKi（如匹妥布替尼），而對BTKi和維奈托克均失效的患者，通常會轉向其他作用機制的替代治療方案。基於BTKi的治療方案（單藥或聯合用藥）代表核心的一線治療方式，應用於超過60%的病例，且根據目前的BTKi方案，約有5%的患者在1年內復發。

約30%的CLL/SLL患者會在一線治療後復發，其中約60%及70%的患者分別會在5年及10年內出現疾病進展。在R/R情境下，治療選擇取決於既往暴露及耐藥機制：對於BTKi初治患者，通常優先考慮BTK抑制劑（約25%作為二線治療使用）；而對於既往接受過BTKi治療的患者，則轉向BCL-2等替代方案。在接受cBTKi治療後，患者可考慮轉換至另一種cBTKi或ncBTKi（如匹妥布替尼（如可及））；對於帶有C481S突變的耐藥患者，較適合採用ncBTKi，而對於非BTKi依賴性病例，則通常轉向維奈托克或PI3K抑制劑。

DLBCL

彌漫大B細胞淋巴瘤(DLBCL)作為最常見的侵襲性非霍奇金淋巴瘤（佔NHL的40-50%），已成為BTK抑制劑不斷拓展的前沿領域，尤其是在慢性BCR信號傳導驅動淋巴瘤發生的非生發中心B細胞（非GCB）亞型中，BTK抑制劑在複發／難治性病例中顯示出良好活性。中國DLBCL的發病率由2021年的168.1千人增至2025年的199.4千人，年複合增長率為4.4%，預計到2035年將達到269.5千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.3%，而2031年至2035年則為2.7%。美國DLBCL的發病率由2021年的98.0千人增至2025年的113.4千人，年複合增長率為3.7%，預計到2035年將達到140.6千人，2026年至2030年的年複合增長率為2.5%，而2031年至2035年則為1.7%。在中國，非GCB DLBCL約佔整體DLBCL患者群體的68%，其發病率由2021年的114.3千人增至2025年的135.6千人，年複合增長率為4.4%，預計到2035年將達到183.2千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.3%，而2031年至2035年則為2.7%。在美國，非GCB DLBCL約佔整體DLBCL患者群體的40%，其發病率由2021年的39.2千人增至2025年的45.3千人，年複合增長率為3.7%，預計到2035年將達到56.2千人，2026年至2030年的年複合增長率為2.5%，而2031年至2035年則為1.7%。

中國DLBCL患病病例，2021年至2035年（預測）



行業概覽

在DLBCL中，五年生存率通常約為65%。接受治療的患者中位總生存期通常可達8年。亞型特異性的中位總生存期數據目前尚未被一致報導。根據臨床經驗及專家意見，該亞型相較其他亞型具有較高的復發風險。受長期治療管理需求驅動，這意味著BTK抑制劑在該領域對應一個穩定且具持續性的可治療患者群體。

DLBCL的治療路徑

在DLBCL中，免疫化療仍為既定的一線標準治療。靶向藥物主要在特定臨床情境下被納入應用，而非在化療前常規使用。在復發或難治性的情況下，治療選擇通常根據患者是否適合接受移植及整體身體狀況進行分層。以免疫化療為基礎的治療方案仍發揮重要作用，而靶向治療及免疫治療方案則根據疾病特徵、既往治療情況及藥物可及性被選擇性加入。在靶向治療方面，DLBCL並不存在BTK抑制與BCL-2抑制之間明確的序貫治療模式。BTK抑制具有較強的選擇性，並以疾病生物學特徵為導向，主要考慮用於生物標誌物界定的人群，如非GCB型疾病，且多見於復發或難治性的情況下，通常作為聯合治療方案的一部分，而非作為普遍適用的靶向治療基礎方案。

截至目前，尚無任何BTK抑制劑獲批用於治療DLBCL。根據相關指南，BTK抑制劑在臨床實踐中主要針對非GCB型疾病，並主要用於復發或難治性的情況下（約佔30%以上的DLBCL患者），而這亦構成BTKi的一項主要潛在適應症。根據NCCN指南，伊布替尼被明確列為復發／難治性非GCB DLBCL的治療選擇，既可作為單藥治療，也可聯合來那度胺和利妥昔單抗，這體現了慢性BCR信號傳導在此分子亞型中的重要作用。對於不適合接受CAR-T細胞療法或既往治療失敗的患者，基於BTK抑制劑的治療方案提供了口服給藥且耐受性良好的單藥治療選擇，並且聯合其他療法能夠實現更高療效。儘管挽救性化療後進行自體干細胞移植和CAR-T細胞治療仍是符合條件的患者的首選方案，但BTK抑制劑正在日益增長的無法耐受強化療法的老年或體弱患者中確立其治療地位。

非GCB DLBCL

根據CSCO及NCCN有關DLBCL的指南，儘管目前尚無任何BTK抑制劑正式獲批用於DLBCL治療，但BTK抑制劑可作為部分非GCB DLBCL患者的治療選擇。在中國，CSCO 2025年淋巴瘤指南指出，對於年齡通常小於60歲的年輕非GCB DLBCL患者，伊布替尼聯合免疫化療顯示出更佳療效，因此將含伊布替尼的免疫化療方案納入部分一線治療情境下的考慮。相比之下，NCCN指南則主要將BTK抑制劑定位於復發／難治性情境，其中以伊布替尼為基礎的方案被列為非GCB DLBCL的救治性治療選擇之一。非GCB DLBCL的可及市場規模以其於整體DLBCL患者群體中的佔比衡量，非GCB病例約佔已確診DLBCL患者的50%至60%。

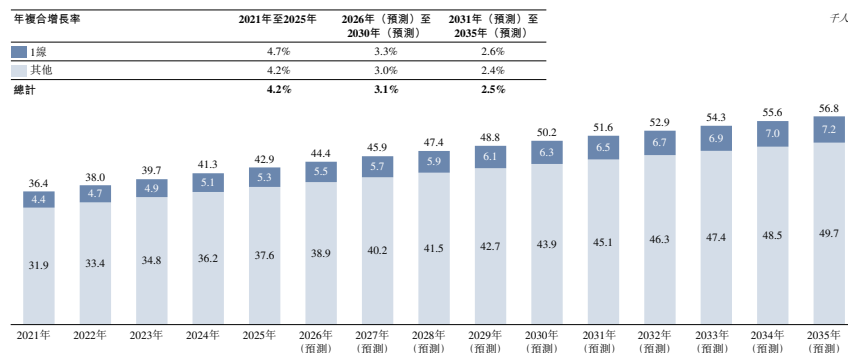
MZL

MZL已成為重要的BTK抑制劑應答適應症，伊布替尼、澤布替尼和匹妥布替尼已獲得FDA批准用於復發／難治性疾病的治療，其總應答率高達50%至80%，中位無進展生存期超過2年，BTK抑制劑已成為首選口服治療藥物，使患者免於化療，同時在這類通常進展緩慢但無法治癒的B細胞惡性腫瘤（BCR信號傳導在其中發揮著核心的致病作用）中提供持久的疾病控制。中國MZL的發病率由2021年的36.4千人增至2025年的42.9千人，年複合增長率為4.2%，預計到2035年將達到56.8千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.1%，而2031年至2035年則為2.5%。美國MZL的發病率由2021

行業概覽

年的23.4千人增至2025年的28.3千人，年複合增長率為4.9%，預計到2035年將達到37.8千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.4%，而2031年至2035年則為2.3%。在MZL中，五年生存率約為90%。接受治療的患者中位總生存期可超過5年。部分患者亞群，包括不適合接受手術干預的患者，其生存期可能顯著較短。有報告顯示，該等患者群體的總生存期約為3至4年。約30%的MZL患者會在5年內進展為R/R MZL。MZL通常呈惰性病程，具有較長生存期及反覆復發的特點；儘管少部分局限於I期的患者可能有望治癒，但大多數晚期患者在長期隨訪中預計仍會復發。

中國MZL患病病例，2021年至2035年（預測）



資料來源：CSCO、NCCN、灼識諮詢

MZL的治療路徑

在MZL中，治療方案的選擇取決於疾病亞型、階段、腫瘤負荷及治療目標。對於I至II期患者，治療以局部治療為主，放療或抗CD20單抗治療（如利妥昔單抗）為主要治療選擇。對於III至IV期患者，一線治療以免疫化療為基礎，同時在復發或難治性情境中，於後線逐步引入標靶治療，其中，共價BTK抑制劑通常自二線起作為單藥使用，而非共價BTK抑制劑（如匹妥布替尼）則多用於既往接受過BTK治療後的後續線單藥治療。

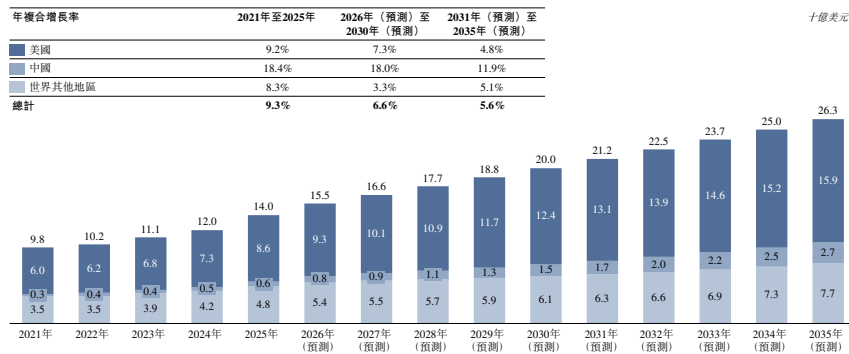
在靶向治療中，BTK抑制劑是R/R MZL中首選且使用最廣泛的方案，並受到臨床證據與指南的支持。在此疾病中，目前尚未建立BTK抑制劑與BCL-2抑制劑之間可互換或常規聯合使用的治療範式。BTK抑制劑通常不作為MZL的一線治療，而是多於二線及後續治療中引入。當疾病復發或進展時，BTK抑制劑成為指南推薦的重要R/R口服全身性治療選項，其在復發／難治性情境中的使用率通常約為50%至60%。

BTK抑制劑藥物市場規模

隨著BTK抑制劑越來越多地納入全球治療指南，NCCN和CSCO建議將澤布替尼、阿卡替尼和匹妥布替尼等藥物用於多線治療，全球BTK抑制劑藥物市場呈現穩步增長勢頭。自2021年至2025年，該市場年複合增長率為9.3%，從98億美元增至140億美元。預期該市場將於2030年達到200億美元及於2035年達到263億美元，2026年至2030年的年複合增長率為6.6%，而2031年至2035年則為5.6%。下圖列示全球BTK抑制劑藥物市場的增長態勢。

行業概覽

全球BTK抑制劑市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：全國腫瘤登記中心、CSCO、國家藥監局、國家醫保藥品目錄、年報、灼識諮詢

全球BTKi市場增長：

歷史增長驅動因素：

產品演進及靶向治療的臨床採用：治療範式已由化療方案轉向靶向治療，其中第二代共價BTKi推動了更高的臨床使用率與更廣泛的應用。臨床數據證實，相較早期治療方案，BTKi在耐受性及療效方面均有改善，這為其臨床採用提供了有力支撐。持續治療需求與用藥模式：對於許多B細胞惡性腫瘤，BTKi需長期持續給藥，形成重複使用模式。大量既有患者群體、持續的新發病例及延長的治療週期共同保障了穩定的需求，並推動了歷史市場增長。

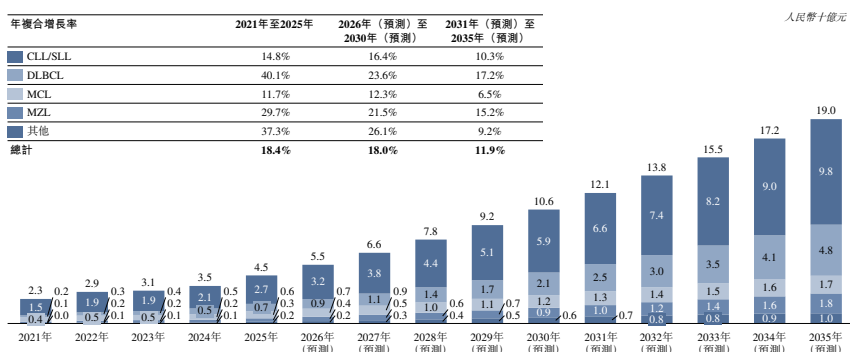
預期增長假設：

下一代技術與產品創新的推進：BTK靶向治療模式的持續創新有望拓展可治療患者群體，並延伸治療序列選擇，尤其是在復發或難治性情境下。下一代治療方案（包括旨在克服耐藥性及提升選擇性的藥物）預計將促進BTKi進一步市場滲透，支撐市場持續擴張。下一代技術與產品創新的推進：BTK靶向治療模式的創新有望進一步拓展可治療患者群體，並延伸治療序列選擇，尤其是在R/R情境下。下一代治療方案（包括旨在克服耐藥性及提升選擇性的藥物）預計將加深BTKi的市場滲透，支撐市場持續擴張。

中國BTK抑制劑市場呈現出巨大增長潛力。自2021年至2025年，該市場展現18.4%的強勁年複合增長率，自人民幣23億元增至人民幣45億元。展望未來，市場規模預計繼續大幅擴大，預計到2035年將達到人民幣196億元，2026年至2030年的年複合增長率為18.0%，而2031年至2035年則為11.9%。下圖列示中國BTK抑制劑藥物市場的增長態勢。

行業概覽

中國BTK抑制劑市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：全國腫瘤登記中心、CSCO、國家藥監局、國家醫保藥品目錄、年報、灼識諮詢

在中國BTK抑制劑市場中，CLL/SLL、DLBCL、MCL及MZL於2025年所佔份額分別為59.2%、15.7%、14.3%及7.2%。預計至2035年，CLL/SLL、DLBCL、MCL及MZL所佔份額將分別約為51.6%、25.0%、8.7%及9.7%，對應市場規模分別約為人民幣98億元、人民幣47億元、人民幣17億元及人民幣18億元。2026年至2030年，CLL/SLL、DLBCL、MCL及MZL領域的BTK抑制劑市場規模預計將分別以約16.4%、23.6%、12.3%及21.5%的年複合增長率增長，及於2031年至2035年，預期相應市場將分別按約10.3%、17.2%、6.5%及15.2%的複合年增長率增長。

為進一步說明BTK抑制劑針對的主要適應症的治療線分佈，於2025年，2L R/R CLL/SLL約為人民幣12億元，佔中國BTK抑制劑市場的27.0%。就3L DLBCL而言，於2025年使用BTK抑制劑的金額達約人民幣6億元，佔中國BTK抑制劑市場的13.0%。就MCL而言，2L R/R MCL及3L R/R MCL分別貢獻約人民幣4億元及人民幣2億元，分別佔中國BTK抑制劑市場的8.5%及5.0%。

總體而言，疾病患病率主要受流行病學驅動，因此以相對穩定且緩和的節奏增長，短期催化劑有限。相比之下，藥物市場規模主要受治療滲透率不斷提高所推動，並得到多項商業及臨床因素（包括前線治療採用、治療資格擴寬、療程延長以及新一代療法推出）支持，該等因素隨着時間推移可能會動態演變。

尤其對BTK抑制劑而言，市場增長與相對緩和的疾病患病率複合年增長率之間存在明顯差異，此主要受以下因素驅動：(i)產品創新及升級，具有更佳療效及安全性特徵的新一代BTK抑制劑能廣泛應用於不同治療環境，並在每位患者身上實現更高價值；(ii)治療滲透率提高，BTK抑制劑獲更廣泛的患者群體及前線治療採用，在患者群體擴張之外進一步推動市場增長；及(iii)療程延長，臨床結果及耐受性的改善隨着時間推移延長治療持續時間，從而增加每名患者的藥物使用量，並支持整體市場的複合年增長率。

中國BTKi市場增長：

歷史增長驅動因素：

報銷覆蓋與可負擔性提升：隨著主要BTKi納入國家醫保藥品目錄，患者自付成本降低，藥物可負擔性得到提升，這推動了不同地區及各級醫療機構的用藥增長。國產創新藥崛起與市場擴張：中國國產BTKi憑藉臨床研發進展及價格可及性優勢，實現快速商業化，促進了市場滲透率提升及整體市場擴張。診斷能力提升與臨床規範化：診斷能力的提升及臨床指南的更廣泛採納，有助於更早確診，並增加包括BTKi在內的靶向治療藥物的使用。

行業概覽

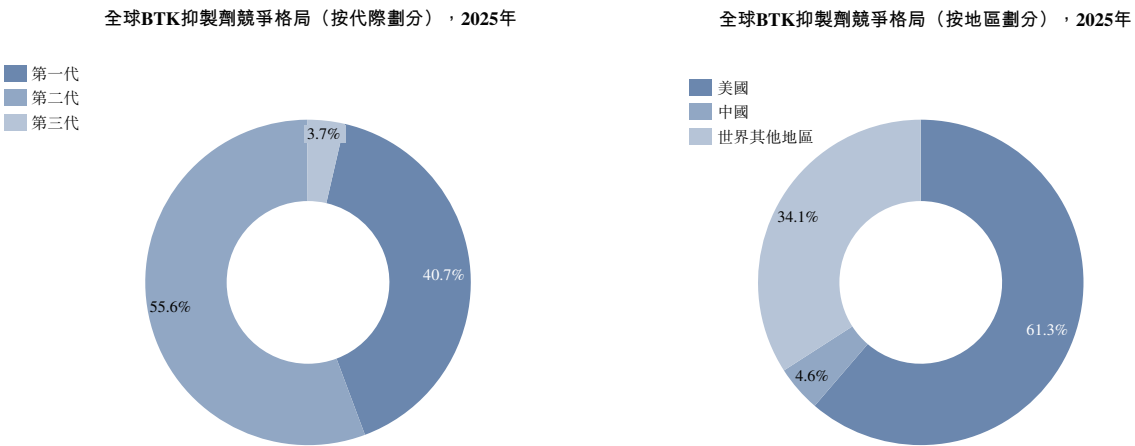
預期增長假設：

治療範式持續轉變與後續治療需求：由化療方案向靶向治療的轉變預計將在一線及復發情境中持續深化。BTKi在早期治療線中的使用增加，可能導致需要後續治療（包括下一代BTKi及其他新機製藥物，例如BTK降解劑）的患者人數不斷增加，這有望支撐市場的持續增長。

競爭格局

於2025年，全球BTKi市場規模總額為140億美元，其中美國為86億美元，中國為6.4億美元，世界其他地區為48.0億美元。同年，第一代BTKi產品貢獻57億美元（40.7%），第二代BTKi產品貢獻78億美元（55.6%），第三代BTKi產品則佔剩餘5億美元（3.7%）。下圖載列按地區及代際劃分的BTKi市場競爭格局。

全球BTK抑制劑競爭格局，2025年



資料來源：年報、專家訪談、灼識諮詢

截至最後實際可行日期，全球和中國共有五種已獲批BTK抑制劑藥物。中國目前已上市的BTK抑制劑平均單價約為每100毫克人民幣160元。

截至最後實際可行日期獲FDA及／或國家藥監局批准的腫瘤治療BTK抑制劑

商品名	藥品國際非專利名稱	結合方式	公司	首次獲批日期／地區	適應症	給藥途徑	標價	國家醫保藥品目錄 (NRDL)*
IMBRUVICA® 僅珂®	伊布替尼	共價	楊森	2013年11月FDA 2018年1月國家藥監局	2L+ MCL、2L+ CLL/SLL、 2L+ MZL、WM、cGVHD	口服	¥15,000 (140mg*90)	乙類
CALQUENCE® 康可期®	阿卡替尼	共價	阿斯利康	2017年10月FDA 2023年3月國家藥監局	2L+ MCL、2L+ CLL/SLL	口服	¥10,000 (100mg*56)	乙類
BRUKINSA® 百悅澤®	澤布替尼	共價	百濟神州	2019年11月FDA 2020年6月國家藥監局	2L+ MCL、2L+ CLL/SLL、 2L+ MZL、WM、FL	口服	¥5,000 (80mg*64)	乙類
宜諾凱®	奧布替尼	共價	諾誠健華	2020年12月 國家藥監局	2L+ MCL、2L+ CLL/SLL 、2L+ MZL	口服	¥3,000 (50mg*30)	乙類
JAYPIRCA® 捷帕力®	匹妥布替尼	非共價	禮來	2023年1月FDA 2024年10月國家藥監局	3L+ MCL、3L+ CLL/SLL	口服	¥3,000 (50mg*28)	乙類

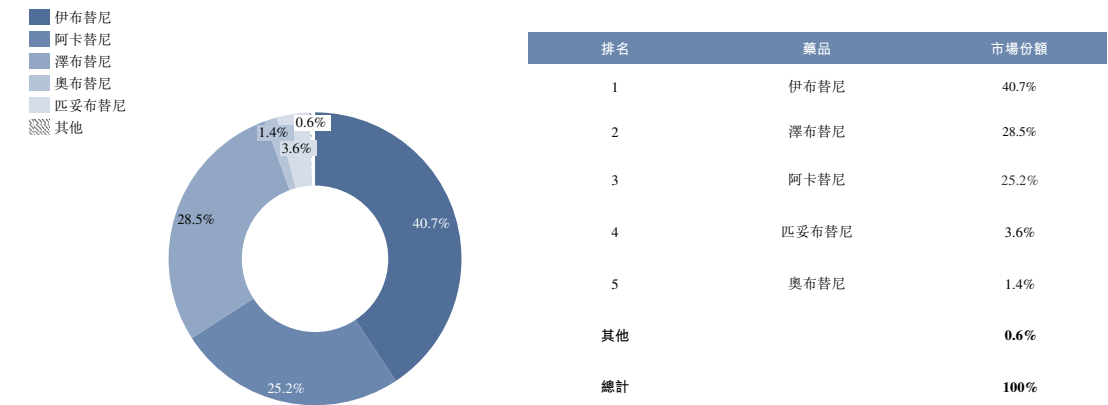
資料來源：FDA、國家藥監局、灼識諮詢

* 根據中國國家醫保藥品目錄框架，乙類藥品指臨床上有效但須部分報銷的藥品。患者須承擔部分治療費用，而具體報銷比例則由各地醫療保險政策決定，各地或有差異。因此，儘管納入國家醫保藥品目錄一般可改善患者的負擔能力及可及性，患者仍須承擔一定程度的自付費用，而實際定價亦可能因各地區的報銷實務而有所不同。

行業概覽

下表概述2025年已獲批BTK抑制劑的全球市場份額（按收入計）。

全球BTK抑制劑競爭格局，2025年



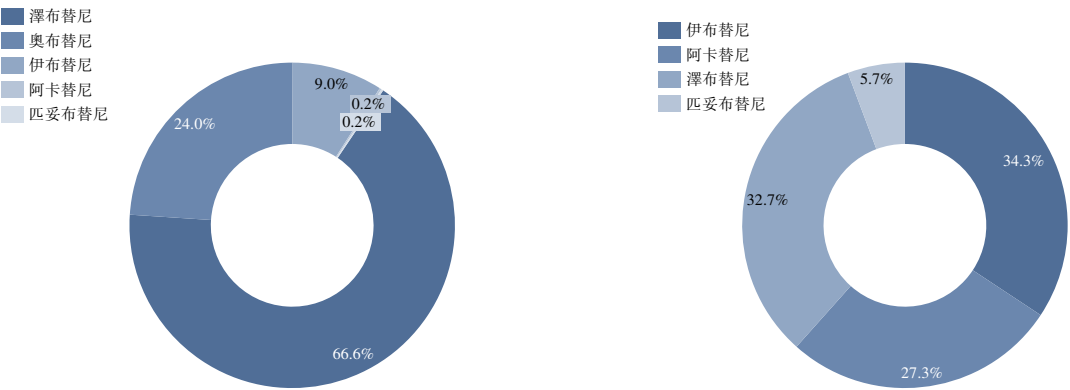
資料來源：年報、專家訪談、灼識諮詢

中國及美國BTK抑制劑競爭格局，2025年

中國BTK抑制劑競爭格局，2025年

美國BTK抑制劑競爭格局，2025年

下表概述2025年中國及美國已獲批BTK抑制劑的市場份額（按收入計）。



資料來源：年報、專家訪談、灼識諮詢

行業概覽

截至最後實際可行日期，全球在腫瘤適應症方面共有六款BTK抑制劑處於III期或以上臨床階段。於該等候選產品中，僅LP-168已進入中國的NDA審查階段。此外，亦有七款BTK候選藥物處於II期，2款處於I/II期，以及14款處於I期臨床階段。BTK PROTAC降解劑被視為更廣泛的BTK靶向治療領域內一項相關的新興治療模式，並已計入上述BTK候選藥物數量中。然而，NX-2127等特定候選藥物目前尚處於早期臨床階段，因此未列入下表。

處於III期或以上階段的全球BTK靶向腫瘤治療研發管線

開發代號	藥品國際非專利名稱	結合模式/ 作用機制	公司	研發階段	最高階段適應症	試驗地點
LP-168	洛布替尼	共價+非共價	龍鵬	NDA*	MCL、CLL/SLL	/
MK-1026	奈塔布替尼	非共價	默克	III期	CLL/SLL	中國、美國、其他
BGB-16673	卡他德布替尼	降解劑	百濟神州	III期	CLL/SLL	中國、美國、其他
HMPL-760	–	非共價	和黃醫藥	III期	DLBCL	中國
HBW-3220	–	非共價	海博為醫藥	III期	CLL/SLL	中國

資料來源：藥品審評中心、ClinicalTrials.gov、灼識諮詢

* 目前正在審評中的LP-168的NDA申請，旨在將其作為單藥療法，用於治療既往接受過至少兩次系統性治療（包括一種BTK抑制劑）的復發或難治性MCL成年患者，從而將其定位為MCL的潛在三線治療選擇。該NDA申請獲一項中國R/R MCL患者II期註冊臨床試驗(NCT05716087)所支持。詳情請參閱「業務－我們的藥物組合－核心產品LP-168－處於NDA階段的共價兼非共價雙機制BTK抑制劑－臨床開發摘要」。

下表概述按研發階段劃分的各適應症BTKi數量。

BTKi所處階段	MCL	CLL/SLL	DLBCL	MZL
IND	/	/	/	/
I期	14	16	15	14
I/II期	6	4	6	4
II期	2	1	3	4
II/III期	/	/	/	/
III期	/	5	5	/
NDA	1	/	/	/

行 業 概 覽

下表概述用於MCL、CLL/SLL、DLBCL及MZL處於III期及以上階段的非BTK抑制劑在研藥物。

用於MCL III期及以上階段的全球非BTKi管線

藥品國際非專利名稱	公司	靶點	作用方式	研發階段	適應症	試驗地點
格菲妥單抗	羅氏	CD20、CD3	bsAb	III期	3L+ MCL	全球（含中國）

資料來源：藥品審評中心、ClinicalTrials.gov、灼識諮詢

用於CLL/SLL III期及以上階段的全球非BTKi管線

開發代碼	公司	靶點	作用方式	研發階段	適應症	試驗地點
DZD8586	地哲醫藥	LYN、BTK	雙重抑制劑	III期	2L+ CLL/SLL	中國
TQB3909	正大天晴	BCL-2	單抗	III期	2L+ CLL/SLL	中國

資料來源：藥品審評中心、ClinicalTrials.gov、灼識諮詢

用於DLBCL III期及以上階段的全球非BTKi管線

開發代碼／ 藥品國際非專利名稱	公司	靶點	作用方式	研發階段	適應症	試驗地點
Polmacabtagene autoleucel	藝妙神州	CD19	CAR-T	NDA	2L+ DLBCL	/
Golcadomide	百時美施貴寶	CRBN、IKZF1、IKZF3	分子膠降解劑	III期	1L DLBCL	全球（不含中國）
Zilovetamab Vedotin	默沙東	ROR1	ADC	III期	1L DLBCL	全球（不含中國）
SHR-A1912	恆瑞醫藥	CD79B	ADC	III期	2L DLBCL	中國
Purinostat Mesylate	廣靈生物	HDAC	小分子抑制劑	III期	2L DLBCL	中國
rondecabtagene autoleucel	Lyell	CD19, CD20	CAR-T	III期	2L DLBCL	美國
Surovatamig	阿斯利康	CD19, CD3	bsAb	III期	1L LBCL	全球（含中國）
SCTB35	神州細胞	CD20, CD3	bsAb	III期	2L+ DLBCL	中國

資料來源：藥品審評中心、ClinicalTrials.gov、灼識諮詢

行業概覽

用於MZL III期及以上階段的全球非BTKi管線

藥品國際非專利名稱	公司	靶點	作用方式	研發階段	適應症	試驗地點
Odronextamab	再生元	CD20、CD3	bsAb	III期	2L MZL	全球（不含中國）

資料來源：藥品審評中心、ClinicalTrials.gov、灼識諮詢

增長驅動因素

下文概述全球及中國BTK抑制劑市場的主要增長驅動因素。

全球BTK抑制劑市場

- 產品演進：**治療範式已已由化療為基礎顯著轉向靶向藥物，其中第二代共價BTK抑制劑推動了更高的臨床使用率與更廣泛的應用。第三代及新興第四代共價BTK抑制劑正逐步解決關鍵未滿足醫療需求，即有效管理對第一代療法產生復發或不耐受的患者，包括具有耐藥突變的患者。其快速採用得益於臨床數據支持，顯示出最佳的耐受性及對第一代BTK抑制劑暴露後觀察到的耐藥相關突變的活性。
- 下一代技術進展：**BTK靶向治療技術的創新持續拓展可治療患者群體，並延伸治療序列選擇，尤其是在R/R情境下。下一代方法（包括旨在克服靶點耐藥及提升選擇性的藥物）正在加強BTK通路在早期治療線之外的作用。此創新循環在持續的臨床結果與指南更新支持下，預計將進一步加深市場滲透並維持增長動能。
- 持續治療需求與相關患者基礎：**對於許多B細胞惡性腫瘤，BTK抑制劑通常需長期持續給藥，形成重複使用的模式。大量既有患者群、持續的發病率及長期治療需求支持了結構性穩定的市場需求。對慢性疾病控制及長期治療的需求，進一步推動市場的持續使用與市場擴張。

中國BTK抑制劑市場

- 報銷覆蓋與可負擔性提升：**隨著主要BTK抑制劑納入國家醫保藥品目錄，患者自付成本顯著下降，過去限制使用的經濟障礙得到有效緩解。可負擔性的改善進一步擴大了不同地區及各級醫療機構的用藥可及性。
- 國產創新崛起與市場結構演變：**中國國產BTK抑制劑憑藉具競爭力的臨床療效、成本優勢及全國化商業化能力，實現快速商業化，其市場份額持續提升，標誌著市場由進口藥主導逐步轉向更加多元化及競爭化的格局。同時，部分國產產品參與全球臨床試驗及國際合作，進一步凸顯中國企業創新能力的持續增強。
- 診斷能力提升與臨床規範化：**診斷能力的提升（包括在基層醫療機構）促進了血液腫瘤的早期識別與分類。同時，標準化臨床指南的推廣有助於提升靶向治療（如BTK抑制劑）的規範化應用。上述因素共同推動更多患者能夠及時接受符合指南的治療。

行業概覽

- **治療範式轉變與後續治療需求：**治療模式轉變及後續治療需求：中國臨床實踐持續從化療方案向靶向治療轉變，涵蓋一線及複發情境。隨著BTK抑制劑越來越早使用，耐藥及不耐受情況預計將驅動後續治療需求。此動態支持下一代BTK抑制劑等新選項的開發及採用，旨在應對新興耐藥機制並延長持久疾病控制。

BTK抑制劑市場預計增長的關鍵假設

市場對BTK靶向療法的預測採用若干關鍵假設，例如(i)全球宏觀經濟環境及醫療支出預計在未來十年將保持大致穩定的增長趨勢；(ii)相關需求驅動因素，包括人口老齡化、診斷覆蓋率提升、治療認知增加以及報銷擴張支持的更高可負擔性，預計將持續增加接受治療的患者基數；(iii)假設BTK抑制劑在已批准的血液學適應症中的滲透率將隨指南採納、更廣泛醫院目錄覆蓋以及醫師熟悉度的提升而逐步上升，同時治療持續時間與當前臨床實踐大致一致；(iv)假設價格將沿穩定且合理的軌跡變化，反映國家醫保藥品目錄動態、招標及市場競爭強度，部分被增量價格調整部分將由用量增長所抵銷；及(v)預計期間不會出現極端不可抗力事件或突發的監管或報銷變化，導致患者可及性、臨床使用或競爭格局發生根本性中斷。

全球及中國Bcl-2抑制劑市場

概述

細胞凋亡是一種高度受調控的過程，通過清除異常細胞維持組織穩態，其功能受損可導致腫瘤發生和耐藥性。凋亡可通過外源性（死亡受體）或內源性（線粒體）途徑進行，其中內源性途徑受Bcl-2家族調控：抗凋亡蛋白（Bcl-2、Bcl-XL、MCL-1）促進細胞存活，而促凋亡效應蛋白（BAX、BAK）及BH3單體蛋白作為感應器促進細胞死亡。Bcl-2作為關鍵的抗凋亡蛋白，位於線粒體外膜，通過其BH3結合槽隔離促凋亡蛋白，阻止BAX/BAK寡聚、線粒體膜通透及細胞色素c/SMAC釋放，從而阻斷半胱天冬酶級聯反應。癌細胞常通過過度表達Bcl-2來逃避凋亡；在細胞應激狀態下，BH3單體蛋白與Bcl-2結合，置換被隔離的效應蛋白，恢復凋亡平衡。癌細胞常通過過度表達Bcl-2來打破促凋亡與抗凋亡的平衡，從而逃避凋亡。在細胞應激狀態下，BH3單體蛋白與Bcl-2的疏水結合槽結合，置換被隔離的效應蛋白，抑制其抗凋亡功能；這使BAX/BAK得以寡聚、穿透線粒體膜，釋放細胞色素c及SMAC，啟動半胱天冬酶。小分子Bcl-2抑制劑模仿BH3單體蛋白，以高親和力結合Bcl-2的結合槽，恢復凋亡信號。此策略在Bcl-2依賴型腫瘤中效果顯著，例如維奈托克可突破凋亡閾值，迅速誘導腫瘤細胞死亡，驗證了Bcl-2抑制作為精準治療策略的有效性。

Bcl-2抑制劑藥物的適應症

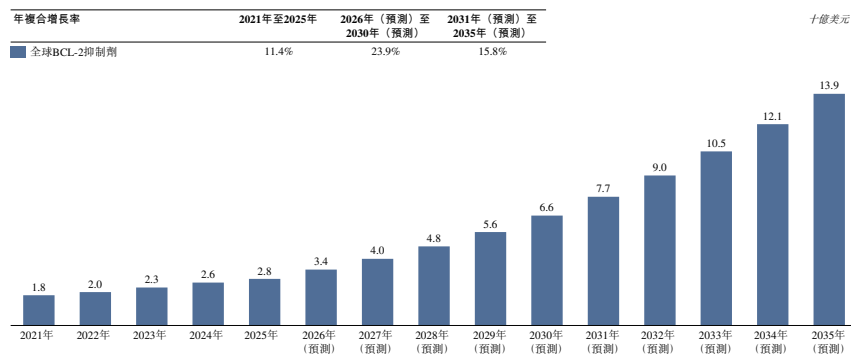
Bcl-2抑制劑已將血液腫瘤學轉變為靶向治療，而維奈克拉則在治療Bcl-2依賴性白血病過程中顯示出療效。CLL/SLL仍為主要適應症，憑藉深入而持久的應答，重塑治療範式並維持了市場需求。適應症擴展目標為R/R MDS（尤其是BTKi初治患者）、MF（針對該服務不足腫瘤中的細胞凋亡缺陷）及R/R AML/MDS的合併症狀以緩解耐藥性並提高療效。

市場規模

全球Bcl-2抑制劑市場呈現持續增長態勢，由2021年的18億美元增至2025年的28億美元，年複合增長率高達11.4%，預計2035年將達到139億美元，2026年至2030年的年複合增長率為23.9%，而2031年至2035年則為15.8%。下圖列示全球Bcl-2抑制劑藥物市場的增長態勢。

行業概覽

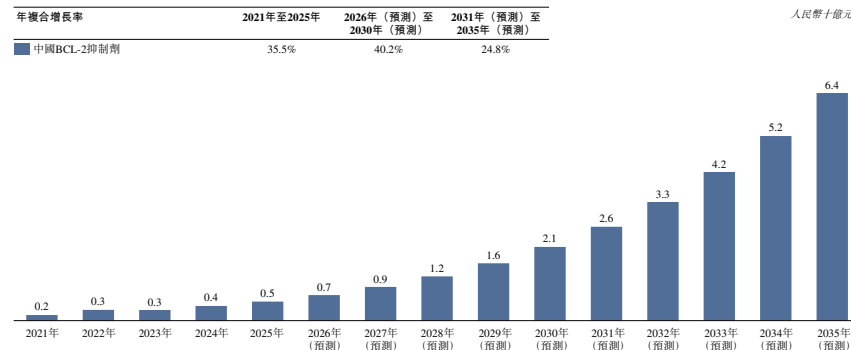
全球BCL-2抑制劑市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：Globocan、NCCN、年報、灼識諮詢

中國Bcl-2抑制劑市場呈現出強勁的增長勢頭，由2021年的人民幣2億元增至2025年的人民幣5億元。展望未來，預計2035年市場規模將達到人民幣64億元，2026年至2030年的年複合增長率為40.2%，而2031年至2035年則為24.8%。下圖列示中國Bcl-2抑制劑藥物市場的增長態勢。

中國BCL-2抑制劑市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：全國腫瘤登記中心、CSCO、國家藥監局、國家醫保藥品目錄、年報、灼識諮詢

競爭格局

截至最後實際可行日期，全球共有三款獲批的Bcl-2抑制劑藥物。艾伯維研發的維奈托克是唯一獲得FDA批准的Bcl-2抑制劑。下表列示全球獲批的Bcl-2抑制劑藥物。

行業概覽

全球獲批的BCL-2抑制劑

商品名	藥品國際非專利名稱	公司	首次獲批日期/地區	適應症	給藥途徑	國家醫保藥品目錄 (NRDL)
VENCLEXTA® 唯可來®	維奈托克	艾伯維	2016年4月 FDA 2020年12月 國家藥監局	CLL/SLL、 新診斷AML	口服	乙類
利生妥®	利沙托克拉	亞盛醫藥	2025年7月 國家藥監局	CLL/SLL (BTKi後)	口服	未納入
百悅達®	索托克拉	百濟神州	2025年12月 國家藥監局	CLL/SLL (BTKi後)、 MCL (BTKi後)	口服	未納入

資料來源：FDA、國家藥監局、灼識諮詢

截至最後實際可行日期，中國共有六款Bcl-2抑制劑藥物已在藥品審評中心登記開展臨床試驗，其中包括我們正在中國進行II期臨床試驗的LP-108。

全球及中國Bcl-2/Bcl-xL抑制劑藥物市場

概述

在Bcl-2家族中，Bcl-xL是關鍵的抗凋亡蛋白之一，其定位於線粒體，通過阻止線粒体外膜通透化及後續細胞凋亡蛋白酶活化來促進細胞存活。

Bcl-2/Bcl-xL雙靶點抑制劑通過同時抑制Bcl-2和Bcl-xL發揮療效，相較單靶點抑制劑具有顯著優勢：可克服癌症治療中的耐藥性，拓寬治療窗口。它們以癌細胞賴以生存的關鍵抗凋亡蛋白為靶標，從而發揮作用。Bcl-2家族蛋白（尤其是Bcl-2和Bcl-xL）定位於線粒體，通過阻斷促凋亡因子釋放防止細胞死亡。該等抑制劑作為BH3模擬物，與Bcl-2/Bcl-xL蛋白的BH3結合槽結合，破壞其隔離BAX和BAK等促凋亡蛋白的能力。這種破壞會釋放促凋亡蛋白，使其在線粒體膜上寡聚形成孔道，釋放細胞色素c和其他因子，最終觸發細胞凋亡蛋白酶級聯反應和程序性細胞死亡。

Bcl-2/Bcl-xL抑制劑藥物的適應症

Bcl-2/Bcl-xL抑制劑藥物旨在同時靶向Bcl-2和Bcl-xL兩種蛋白，與僅抑制Bcl-2的藥物相比，其治療範圍更廣。Bcl-2選擇性抑制劑主要獲批用於治療B細胞惡性腫瘤（如慢性淋巴細胞白血病和某些非霍奇金淋巴瘤），而Bcl-2/Bcl-xL雙靶點抑制劑則將適應症擴展到由Bcl-xL驅動存活或耐藥的腫瘤，例如部分實體瘤、骨髓瘤以及具有高Bcl-xL表達的急性白血病。通過同時阻斷兩個關鍵的抗凋亡保護機制，這類雙靶點抑制劑能夠克服僅靶向Bcl-2的藥物面臨的代償性存活路徑對療效的限制，從而對依賴這兩種蛋白存活的癌症產生更強的凋亡誘導作用。

Bcl-2/Bcl-xL抑制劑藥物的競爭格局

截至最後實際可行日期，全球共有三款Bcl-2/Bcl-xL雙靶點抑制劑候選藥物處於臨床試驗階段，其中包括我們的LP-118。在這些候選藥物中，LP-118是唯一一款採用BeyondX口服藥物化學平台設計的口服Bcl-2/Bcl-xL雙靶點抑制劑。它在強效抗腫瘤作用與降低血小板毒性之間實現精細平衡，解決了Bcl-xL抑制普遍面臨的治療窗口狹窄的難題。這一特性使LP-118成為一款潛在的候選藥物，以治療對現有Bcl-2抑制劑耐藥的癌症，同時能最大限度減少副作用。

行業概覽

下表列示全球處於臨床試驗階段的Bcl-2/Bcl-xL雙靶點抑制劑候選藥物的競爭格局。

全球腫瘤領域Bcl-2/Bcl-xL抑制劑管線

研發代碼	藥品國際 非專利名稱	公司	研發階段	適應症	給藥途徑	首次公示日期	試驗地點
LP-118	-	龍鵬	I期	晚期實體瘤、R/R NHL	口服	2021年7月	中國、美國
ABT-263	納維托克	艾伯維	III期	MF ⁺ 、實體瘤、 淋巴瘤、白血病	口服	2020年7月	美國、其他
APG-1252	佩西托克拉	亞盛醫藥	I/II期	RR NHL ⁺ 、NSCLC	靜脈注射	2022年1月	中國

資料來源：ClinicalTrials.gov、藥品審評中心、灼識諮詢

SCLC藥物市場

概述

小細胞肺癌(SCLC)是一種侵襲性神經內分泌癌，主要影響當前或既往吸煙者，以生長迅速、早期轉移為特徵。該侵襲性惡性腫瘤與煙草暴露密切相關，近98%的病例發生於當前或既往吸煙者。

SCLC發病率

SCLC在全球和中國的發病率不斷上升，主要歸因於不健康的生活方式、煙草消費增加以及空氣污染和氬的暴露等因素。全球SCLC的發病率從2021年的291.3千人增至2025年的332.1千人，年複合增長率為3.3%，預計2035年將達443.2千人，2026年至2030年的年複合增長率為2.7%，而2031年至2035年則為3.0%。中國SCLC的發病率從2021年的152.7千人增長至2025年的177.9千人，年複合增長率為3.9%，預計2035年將達240.6千人，2026年至2030年的年複合增長率為3.0%，而2031年至2035年則為2.9%。美國SCLC的發病率從2021年的39.2千人增長至2025年的41.2千人，年複合增長率為1.3%，預計2035年將增長至49.3千人，2026年至2030年的年複合增長率為2.0%，而2031年至2035年則為1.7%。

SCLC的治療路徑

SCLC的治療因分期及症狀而異。局限期採用全身化療（順鉑／依托泊苷或卡鉑／依托泊苷），還會結合縱隔放療。廣泛期無局部症狀灶／腦轉移則採用聯合治療方案（如卡鉑+依托泊苷±阿替利珠單抗／度伐利尤單抗或±伊立替康；順鉑+伊立替康），並輔以支持性治療。局部症狀灶先接受類固醇治療，之後再進行全身治療和放療；腦轉移則採用全身化療結合放療。二線+治療方案（按無化療間隔時間(CTFI)≥6個月）分層，包括魯比卡丁、拓撲替康、鉑類雙藥、納武利尤單抗／帕博利珠單抗、紫杉醇、替莫唑胺、CAV、多西他賽、吉西他濱或口服依托泊苷等。必要時，可輔以姑息對症處理。

Bcl-2和Bcl-xL在SCLC治療中的作用機制

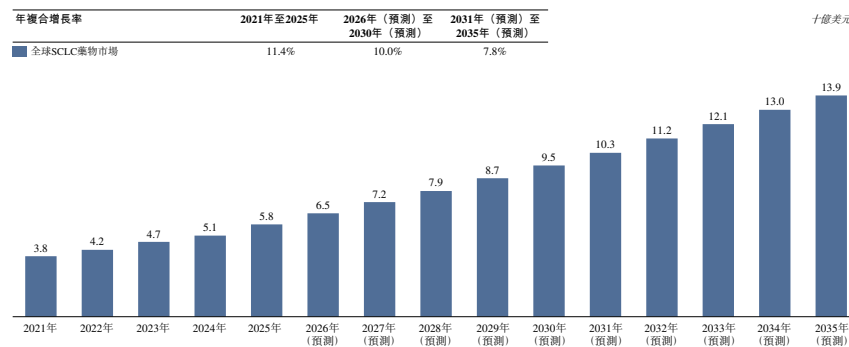
Bcl-2和Bcl-xL作為抗凋亡蛋白，在SCLC的存活和進展中發揮關鍵作用。通過抑制細胞的程序性死亡，該等蛋白使癌細胞能夠逃避凋亡，從而導致腫瘤生長和對常規療法產生抗藥性。Bcl-2和Bcl-xL在SCLC中過度表達的情況很常見，這與預後不良和治療耐藥性相關。通過特異性抑制劑靶向該等蛋白可恢復凋亡信號傳達，從而增強癌細胞死亡。該治療方法有望克服藥物耐藥性，改善SCLC患者的臨床預後。同時靶向Bcl-2和Bcl-xL的新興雙重抑制劑和降解劑技術展現出強效的抗腫瘤功效，為研發針對該侵襲性惡性腫瘤的創新療法提供了有力支持。

行業概覽

市場規模

全球SCLC藥物市場規模從2021年的38億美元增至2025年的58億美元，年複合增長率為11.4%，主要受獲批的SCLC藥物數量增加所推動。未來，預期市場規模將繼續增長，於2035年達到139億美元，2026年至2030年的年複合增長率為10.0%，而2031年至2035年則為7.8%。

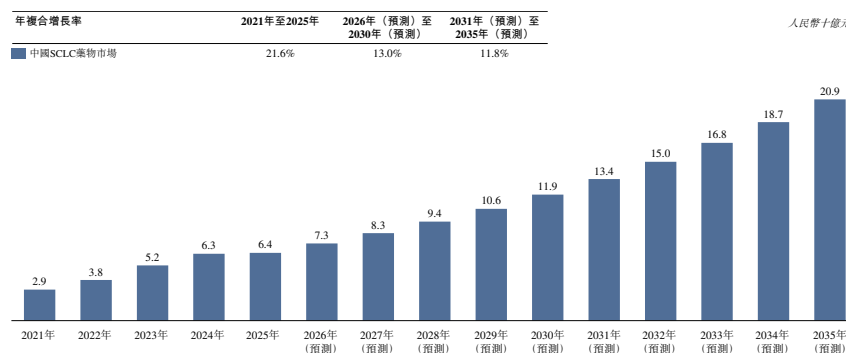
全球SCLC藥物市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：Globocan、NCCN、年報、灼識諮詢

中國SCLC藥物市場規模從2021年的人民幣29億元增至2025年的人民幣64億元，年複合增長率為21.6%，並預期將於2035年增加至人民幣209億元，2026年至2030年的年複合增長率為13.0%，而2031年至2035年則為11.8%。下圖列示中國SCLC藥物市場的增長態勢。

中國SCLC藥物市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：全國腫瘤登記中心、CSCO、國家藥監局、國家醫保藥品目錄、年報、灼識諮詢

行業概覽

全球和中國自身免疫性疾病市場

自身免疫性疾病概述及發病率

自身免疫性疾病是指免疫系統錯誤攻擊人體自身健康組織和器官的病症。該類疾病涵蓋多種影響不同系統的病症，如多發性硬化症(MS)、慢性自發性蕁麻疹、免疫性血小板減少症(ITP)、多發性肌炎(PM)等。該等疾病的症狀和嚴重程度差異顯著，有的僅影響特定器官，有的則波及多個身體系統。以下是自身免疫性疾病的主要分類：

- **MS**是一種慢性自身免疫性疾病，會損害大腦和脊髓中的神經，導致從輕度功能障礙到嚴重殘疾的各種症狀。中國的MS盛行程度從2021年的3.31萬例增加至2025年的3.41萬例，預計2035年將達3.55萬例，2026年至2030年的年複合增長率為0.4%，而2031年至2035年則為0.3%。美國的MS盛行程度從2021年的41.94萬例增加至2025年的44.07萬例，預計2035年將達到49.33萬例，2026年（預測）至2030年（預測）的年複合增長率為1.2%，而2031年（預測）至2035年（預測）則為1.1%。根據MS診斷與治療指南，治療管理包含急性期干預及長期疾病修飾治療。急性復發期治療採用高劑量類固醇、血漿置換或靜脈注射免疫球蛋白以緩解症狀。長期照護則仰賴疾病修飾療法來降低復發頻率並延緩殘疾惡化，並輔以症狀管理、復健及生活方式介入措施。
- **CSU**是慢性蕁麻疹中最常見的類型，會導致反覆發作的蕁麻疹，有時還會引起血管性水腫，持續時間超過6週，對生活質量造成很大影響。中國的CSU盛行程度從2021年的9.6百萬例增至2025年的10.8百萬例，年複合增長率為3.0%。受城市化進程加快、環境污染、生活方式改變以及人們意識提高和診斷能力增強等因素影響，中國的CSU盛行程度預計將增至2035年的13.8百萬人，2026年至2030年的年複合增長率為2.5%，而2031年至2035年則為2.3%。美國的CSU盛行程度從2021年的130萬人增加至2025年的140萬人，年複合增長率為2.5%，預計到2035年將達到170萬人，2026年至2030年的年複合增長率為2.2%，而2031年至2035年則為1.9%。根據《中國蕁麻疹診療指南》，CSU的治療採用逐步漸進式方法，首先使用標準劑量或加量第二代抗組胺藥，隨後使用生物製劑（如抗IgE抗體奧馬珠單抗）。對於無緩解反應的患者，可考慮使用環孢素或杜匹魯單抗等替代療法。隨著臨床證據日益累積，加上專家對難治性CSU的共識，新興的BTK抑制劑可能為不符合奧馬珠單抗治療條件或對其無緩解反應的患者提供另一種治療選擇。
- **ITP**是一種自身免疫性疾病，以血小板計數降低為特徵，可引發出血症狀，輕則皮膚瘀傷，重則大出血危及生命。中國的ITP盛行程度從2021年的89.7千例增至2025年的99.6千例，年複合增長率為2.6%。預計中國的ITP盛行程度將達至2035年的120.8千例，2026年至2030年的年複合增長率為2.2%，而2031年至2035年則為1.7%。美國的ITP盛行程度從2021年的783.5千例增加至2025年的912.5千例，年複合增長率為3.9%。預計到2035年，美國的ITP盛行程度將達到1,167.5千例，2026年至2030年的年複合增長率為2.8%，而2031年至2035年則為2.0%。根據《中國成人ITP治療指南》，治療應依據疾病嚴重程度及治療階段進行分層。針對危及生命的出血或緊急手術需求，急診處置包括靜脈注射免疫球蛋白、高劑量靜脈注射甲潑尼龍及／或重組人血小板生成素，必要時輔以血小板輸注。第一線治療以類固醇或靜脈注射免疫球蛋白為主。第二線治療選項包括血小板生成素受體激動劑、利妥昔單抗或聯合療法。第三線治療則涉及免疫調節劑及細胞毒性藥物，例如地西他濱。

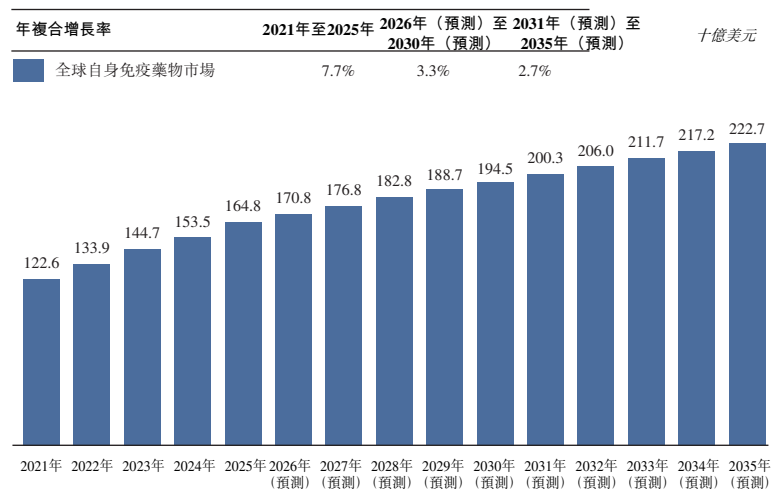
行業概覽

- PMN是一種自身免疫性腎臟疾病，是成人腎病綜合症的主要病因，常伴有抗PLA2R抗體和蛋白尿。中國的PMN盛行程度從2021年的2.1百萬例增至2025年的2.3百萬例，年複合增長率為2.8%。預計中國的PMN盛行程度將增至2035年的3.0百萬人，2026年至2030年的年複合增長率為2.5%，而2031年至2035年則為2.6%。美國的PMN盛行程度從2021年的79.2千例增加至2025年的86.6千例，年複合增長率為2.2%。預計到2035年，美國的PMN盛行程度將達到98.3千例，2026年至2030年的年複合增長率為1.4%，而2031年至2035年則為1.0%。中國對PMN的治療遵循《中國膜性腎病診療指南》，該指南採用風險分層管理策略。低風險患者接受保守治療，包括血壓控制、RAAS抑制劑及定期監測。中風險患者可能需要免疫抑制療法，通常涉及利妥昔單抗。高風險患者則以類固醇搭配傳統免疫抑制劑進行治療，且為提升療效與耐受性，越來越常將利妥昔單抗納入治療方案。

市場規模

鑒於自身免疫性疾病治療的複雜性，預計自身免疫性疾病藥物將呈現顯著增長潛力，新型自身免疫療法尤為突出。全球自身免疫藥物市場規模從2021年的1,226億美元增至2025年的1,648億美元，年複合增長率為7.7%，預計到2035年，市場規模將達到2,227億美元，2026年至2030年的年複合增長率為3.3%，而2031年至2035年則為2.7%。2025年，全球自身免疫藥物市場規模達1,648億美元，其中標靶療法貢獻了1,168億美元，佔總銷售額的70.9%。下圖列示全球自身免疫藥物市場的增長態勢。

全球自身免疫藥物市場規模，2021年至2035年（預測）

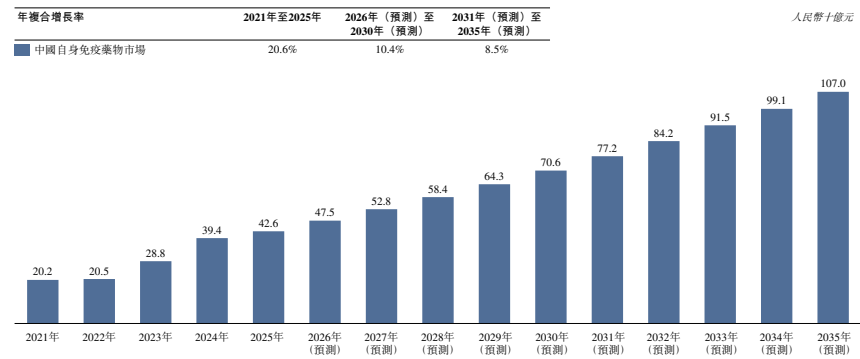


資料來源：《中華皮膚科雜誌》、《中華結核和呼吸雜誌》、國家藥監局、國家醫保藥品目錄、灼識諮詢

自身免疫性疾病藥物市場規模從2021年的人民幣202億元增至2025年的人民幣426億元，年複合增長率為20.6%，預計2035年將達到人民幣1,070億元，2026年至2030年的年複合增長率為10.4%，而2031年至2035年則為8.5%。2025年，中國自身免疫藥物市場規模達人民幣426億元，其中靶向療法產生人民幣154億元，佔銷售額的36.3%。下圖列示中國自身免疫藥物市場的增長態勢。

行業概覽

中國自身免疫藥物市場規模，2021年至2035年（預測）



資料來源：《中華皮膚科雜誌》、《中華結核和呼吸雜誌》、國家藥監局、國家醫保藥品目錄、灼識諮詢

自身免疫性疾病領域BTK抑制劑的競爭格局

下表概述了截至最後實際可行日期獲批用於治療自身免疫性疾病的BTK抑制劑。

全球獲批的自身免疫BTK抑制劑

品牌名	藥品國際非專利名稱	結合方式	公司	首次獲批日期／地區	適應症	給藥途徑	NRDL
WAYRILZ™	瑞紮布魯替尼	共價	賽諾菲	2025/08 FDA	ITP	口服	不適用
RHAPSIDO® 瑞普多®	瑞米布替尼	共價	諾華	2025/09 FDA 2025/11國家藥監局	CSU	口服	未納入

資料來源：國家藥監局、FDA、灼識諮詢

截至最後實際可行日期，用於治療自身免疫性疾病的兩款BTK抑制劑—Wayrilz（瑞紮布魯替尼）與Rhapsido（瑞米布替尼）已在全球獲批上市。同期有13款用於治療自身免疫性疾病的BTK抑制劑候選藥物正處於臨床開發階段。下表列示截至最後實際可行日期，用於治療自身免疫性疾病的BTK抑制劑候選藥物的競爭格局。

行業概覽

用於治療自身免疫性疾病的全球BTK抑制劑管線

開發代碼	藥品國際 非專利名稱	結合方式/ 機制	公司	階段	適應症	試驗地點
LP-168 ¹	洛布替尼	共價+非共價	龍騰／翰森	IIa期	RMS*、CSU、ITP、PMN	中國
SAR442168	托勒布替尼	共價	賽諾菲	III期	MS	中國、美國、其他
–	非尼布替尼	非共價	羅氏	III期	MS	中國、美國、其他
ICP-022	奧布替尼	共價	諾誠健華	III期	ITP*、MS*、 SLE*、NMOSD	中國
BGB-3111	澤布替尼	共價	百濟神州	II/III期	PMN*、LN、ITP、 AIHA、CAD	中國、美國、其他
HW486	–	共價	人福	IIa期	CSU	中國
TQB3702	–	共價	正大天晴	II期	SLE	中國
TM471-1	–	共價	Emicro	II期	CSU、RMS	中國
HZ-A-018	–	共價	和正	II期	ITP、CSU	中國
LOXO-305	匹妥布替尼	非共價	禮來	I/II期	ITP	中國、美國、其他
–	Edralbrutinib	共價	瑞石	I期	AID	中國
BGB-16673	卡他德布替尼	降解劑	百濟神州	I期	CSU	中國
BIB145	–	降解劑	渤健	I期	MS	中國

附註：所示階段、首次公示日期、試驗狀態僅代表最晚期適應症，標示(*)。對於同時處於最高階段的多重適應症，以最早日期為準。

1. LP-168非腫瘤適應症由翰森製藥在中國開發、註冊、生產及商業化。

資料來源：ClinicalTrials.gov、藥品審評中心、灼識諮詢

現代藥物或生物可利用小分子藥物研發概述

利平斯基五規則是口服小分子藥物開發中廣泛應用的經驗準則。事實上，通過合理的藥物設計，即使某些化合物的指標超出了五規則的限制，也仍然有可能發展成為有效的口服藥物。因此，擴大探索的化學空間和制定全新的、顛覆性的口服藥物設計原則是創新藥物發現的關鍵。與嚴格遵循五規則的傳統小分子藥物相比，突破五規則限制的bRo5口服藥物通常採用全新的生物作用機制，或者能夠作用於此前被認為「不可成藥」的靶點。儘管bRo5分子具有很高的治療潛力，但其開發進程卻受到顯著全球行業瓶頸的阻礙。此類典型的物理化學特性包括高分子量、複雜結構及低水溶性，為實現口服吸收帶來了巨大挑戰。因此，儘管業界致力於開發bRo5分子，但要將這些複雜化合物改造成可用的、且可經口服吸收的藥物，仍然是一個巨大的技術障礙。由於「bRo5」類小分子通常分子量較大且結構複雜，因此如何提高CMC一直是行業面臨的挑戰。為了克服這些挑戰，CMC研發團隊需要具備多方面的專業知識。例如，關鍵的專業領域包括：(1)設計複雜的合成路線；(2)優化生產工藝；(3)保持嚴格的質量控制；(4)篩選及優化配方；及(5)應用先進的增溶技術。該等全面的專業知識使他們能夠為bRo5化合物開發有效的CMC策略。一些成熟的增溶技術，例如熔融擠出(HME)及噴霧乾燥 — 在開發bRo5小分子的口服製劑方面亦發揮著至關重要的作用。

行業概覽

灼識諮詢委託報告

為配合[編纂]，我們已委聘CIC對候選藥物定位的主要市場進行深度分析並編製行業報告。CIC為一家於2013年成立，總部設於上海的獨立全球市場研究及諮詢公司。我們已同意就CIC報告的編製向CIC支付總計約人民幣680,000元的費用，並且我們認為該等費用與市價一致。該費用並非以我們是否成功[編纂]或CIC報告出具的結果為條件予以支付。除CIC報告外，我們未委託編製任何其他與[編纂]相關的行業報告。CIC報告中的市場預測乃基於以下關鍵假設：(i)預測期內全球及中國整體社會、經濟和政治環境有望保持穩定；(ii)未來十年全球及中國經濟與產業發展將保持穩定增長態勢；(iii)相關關鍵行業驅動因素在預測期內將繼續推動市場增長；及(iv)不存在可能對市場造成重大或根本性影響的極端不可抗力或行業監管事件。上述關鍵假設的準確性可能會影響CIC報告的可靠性。