

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」。

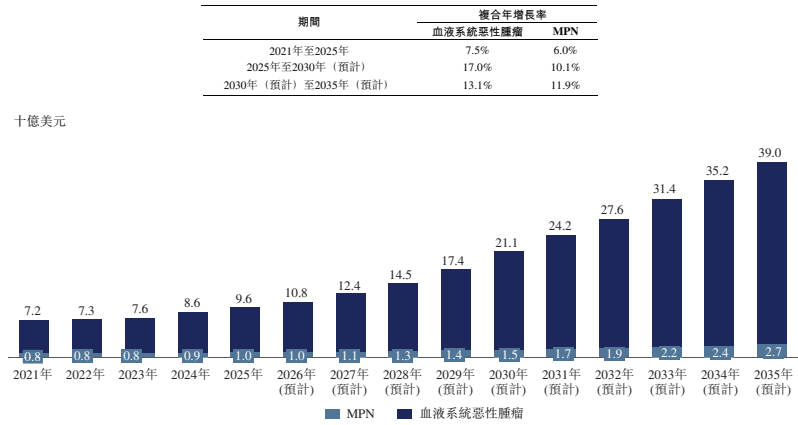
腫瘤藥物市場概覽

癌症治療已從傳統的手術、放、化療等手段，向精準醫療、腫瘤免疫發展，尋求更有效、侵入性更小的治療方法。儘管手術對於早期局限性腫瘤仍具重要地位，癌症生物學的進步已促使全身性治療日益普及。放療和化療拓寬了實體瘤和血液系統惡性腫瘤的治療選擇，惟因對健康組織造成損害而常帶來顯著的副作用。於2025年，中國腫瘤藥物市場規模為388億美元，預計到2035年達至1,363億美元。於2025年，全球腫瘤藥物市場規模為2,782億美元，預計到2035年達到6,830億美元。

骨髓增殖性腫瘤藥物市場

MPN是由造血幹細胞及祖細胞失調導致成熟血細胞異常增生而引起的慢性血液癌症，通常由激活JAK-STAT信號通路的JAK2、CALR或MPL突變驅動。其主要亞型包括：骨髓纖維化（與骨髓纖維化、貧血、脾腫大及白血病風險相關）；真性紅血球增多症（以紅細胞過多及血栓風險增加為特徵）；以及原發性血小板增多症（涉及血小板持續升高，並伴有血栓及出血併發症）。針對這些疾病，治療通常旨在控制症狀、降低血栓風險、使血細胞計數恢復正常、在相關情況下縮小脾臟體積，以及改變潛在的疾病進程。下表列示2021年至2035年中國血液系統惡性腫瘤及MPN藥物市場（按適應症劃分）概況：

2021年至2035年（預計）中國血液系統惡性腫瘤及MPN藥物市場規模

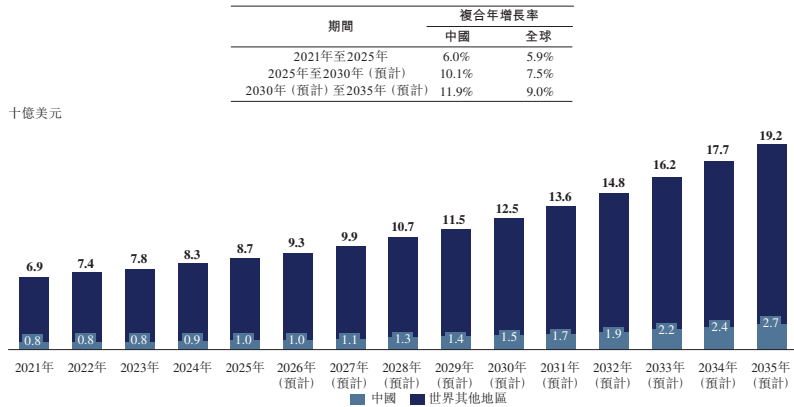


資料來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

下表載列2021年至2035年中國及全球MPN藥物市場的具體情況：

2021年至2035年（預計）全球及中國MPN市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文分析

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：

- **患病人數不斷上升。**全球MPN患病人數由2021年的532.30萬例增至2025年的607.07萬例，複合年增長率為3.3%。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。

行業概覽

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。
- **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。這些趨勢共同擴大合資格患者群體，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家族由四種細胞內酪氨酸激酶——JAK1、JAK2、JAK3及TYK2組成，通過JAK-STAT信號通路傳遞細胞外細胞因子信號。細胞因子結合後，JAK相互激活，磷酸化受體尾部，募集並激活STAT蛋白，從而調控細胞核內的基因轉錄。其中，JAK2在造血過程中尤為重要，因為其介導參與紅細胞、血小板及髓系細胞發育的受體信號傳導，使其成為血細胞生成及免疫成熟的關鍵調控因子。

JAK抑制劑的作用機制

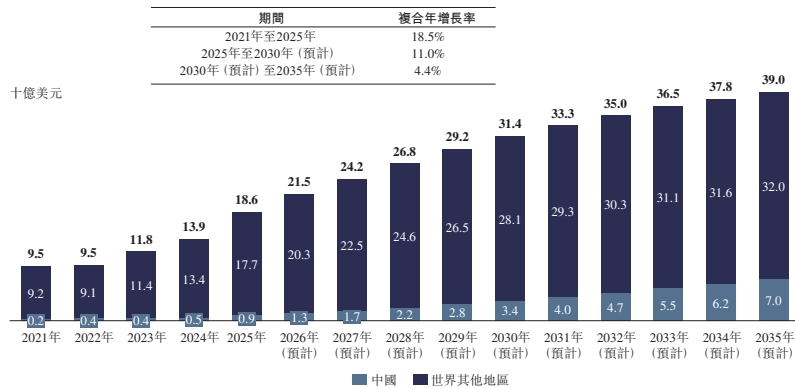
MPN（包括骨髓纖維化、真性紅血球增多症及原發性血小板增多症）主要由JAK-STAT信號過度激活驅動，最常見的原因為JAK2-V617F突變，該突變持續激活細胞增殖及炎症信號通路。靶向JAK2可通過抑制驅動克隆擴增、細胞因子產生及脾腫大的異常信號傳導來針對潛在的疾病生物學機制，而非僅控制症狀。臨床上，JAK抑制劑（如蘆可替尼）已在對羥基脲耐藥或不耐受的患者中顯示出有效的二線疾病控制效果，包括顯著縮小脾臟體積、減輕症狀負擔及潛在的生存獲益。JAK-STAT信號通路的激活發生於細胞因子結合誘導受體二聚化時，從而觸發JAK磷酸化、STAT募集與激活，以及調控細胞生長、存活及炎症的下游基因調控。

行業概覽

JAK抑制劑市場規模

下表載列2021年至2035年中國及全球JAK抑制劑市場的具體情況：

2021年至2035年（預計）全球及中國JAK抑制劑市場規模



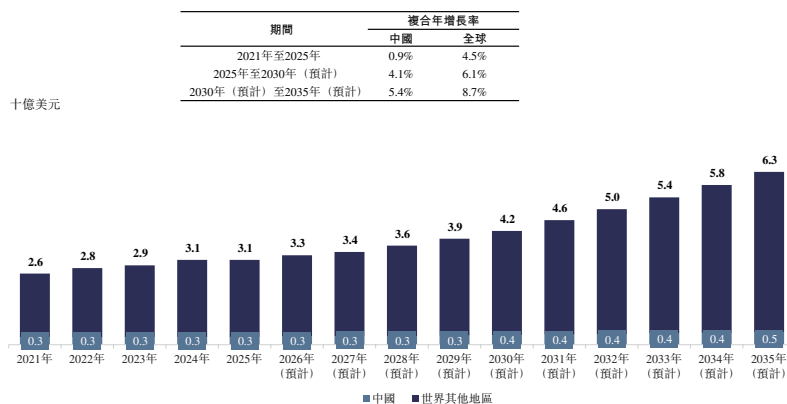
資料來源：弗若斯特沙利文

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)是一種骨髓增殖性腫瘤，其特徵為骨髓纖維化損害正常的血液生成。其可作為原發性MF發生，或由真性紅血球增多症或原發性血小板增多症演變而來，由JAK2、CALR或MPL等維持JAK-STAT信號通路激活的突變驅動。這些異常促進克隆增殖及炎症信號傳導，導致膠原沉積、貧血、脾腫大、疲勞及全身性症狀，疾病進程範圍從惰性到高危，包括可能轉化為急性白血病。下表載列2021年至2035年中國及全球MF藥物市場的具體情況：

2021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患病人數於2025年達到6.24萬例，預計到2030年將達到6.35萬例，到2035年將達到6.46萬例，2021年至2025年、2025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0.3%。全球MF患病人數於2025年達到99.49萬例，預計到2030年將達到113.58萬例，到2035年將達到128.87萬例，2021年至2025年、2025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%。

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干細胞移植，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。

根據動態國際預後評分系統(DIPSS)，約50%-60%的骨髓纖維化患者在診斷時被歸類為中危-2或高危(Int-2/High)，分別對應總分3-4分和5-6分。對於中危-2/高危疾病患者或有症狀的中危-1患者，一線藥物治療率接近100%。貝澤昔替尼作為一款JAK抑制劑，旨在定位為中危-2/高危MF患者的一線治療方案。據此，貝澤昔替尼的適用人群預計將佔所有MF患者總數的50%-60%。

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，中國已有四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	價格 美元/單位
莫洛替尼	OJJAARA	JAK1、JAK2、ALK2	葛蘭素史克	MF	2023年9月15日	966.00 (100mg)
帕克替尼	VONJO	JAK2、FLT3、IRAK1、CSF1R、ALK2	蘇底醫藥	MF	2022年2月28日	210.74 (100mg)
菲卓替尼	INREBIC	FLT3、JAK2	百時美施貴寶	MF	2019年8月16日	234.84 (100mg)
蘆可替尼	JAKAFI	JAK1、JAK2	因塞特醫療	MF、PV、GVHD	2011年11月16日	296.26 (100mg)

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文分析

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	NRDL 納入年份	價格 人民幣元／單位
貝澤昔替尼	邦瑞順	JAK2	杭州邦順	MF	2026年4月29日	不適用	不適用
羅伐昔替尼	安煦	JAK1、JAK2、 ROCK1、ROCK2	CTTQ	MF	2026年2月25日	不適用	不適用
吉卡替尼	澤普平	JAK1、JAK2、 JAK3、TYK2、 ALK2	蘇州澤璟	MF	2025年5月29日	2025年	86.00 (50mg)
蘆可替尼	Jakavi	JAK1、JAK2	諾華	MF	2017年3月10日	2019年	51.85 (5mg)

資料來源：國家藥監局、弗若斯特沙利文分析

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，而中國則有一款用於治療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
氣諾替尼	CDK6、FLT3、JAK2	成都順靈生物	III期	骨髓纖維化	2025年12月24日

資料來源：藥品審評中心、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

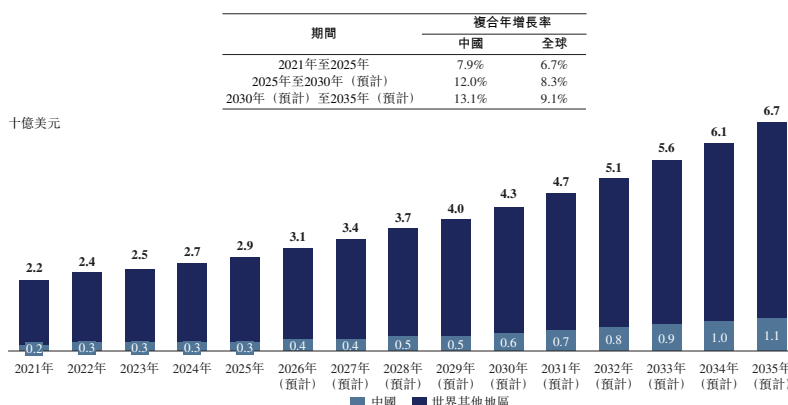
作為一款不經CYP代謝的高選擇性JAK2抑制劑，貝澤昔替尼較於中國獲批的同類藥物吉卡替尼（JAK1/2/3、TYK2、ALK2）及蘆可替尼（JAK1/2）具有更低的脫靶及藥物相互作用風險，且經安慰劑調整後的24週SVR35獲益更大（48.5%，相較於吉卡替尼的38.4%），但其絕對SVR35（62.8%）在數值上低於吉卡替尼（64.9%），且這些比較屬跨試驗比較，而非頭對頭比較。

真性紅細胞增多症

真性紅血球增多症(PV)是一種骨髓增殖性腫瘤，其特徵為持續性紅細胞增多，常伴有白細胞增多及血小板增多，在大多數情況下由JAK2激活突變驅動。診斷基於血紅蛋白或紅細胞壓積升高、紅細胞總量增加、骨髓細胞過度增生伴三系增殖，以及存在JAK2突變，並在排除紅細胞增多的繼發性原因後作出。PV與動脈及靜脈血栓、出血、微血管症狀、瘙癢、疲勞、盜汗及脾腫大相關不適的風險增加有關，並可能因血栓事件或進展為骨髓纖維化，或在較少情況下進展為急性髓性白血病，從而縮短預期壽命。下表載列2021年至2035年中國及全球PV藥物市場的具體情況：

行業概覽

2021年至2035年（預計）全球及中國PV藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文分析

中國PV患病人數於2025年達到20.72萬例，預計到2030年將達到24.70萬例，到2035年將達到29.34萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為3.2%、3.6%及3.5%。全球PV患病人數於2025年達到262.40萬例，預計到2030年將達到328.02萬例，到2035年將達到406.78萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為4.3%、4.6%及4.4%。

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。

對於PV而言，一線細胞減滅治療通常包含羥基脲。約25%的PV患者在羥基脲治療後出現耐藥或不耐受，具體表現為療效喪失、疾病進展或不可接受的毒性反應，從而需要轉為二線治療。貝澤昔替尼作為一款JAK抑制劑，旨在定位為對羥基脲耐藥或不耐受的PV患者的二線治療藥物。據此，貝澤昔替尼的適用人群估計將佔所有PV患者總數的約25%。

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。

行業概覽

海外已上市用於治療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	價格 美元／單位
蘆可替尼	JAKAFI	JAK1、JAK2	因塞特醫療	PV、MF、GVHD	2011年11月16日	296.26 (100mg)

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文分析

截至最後實際可行日期，海外市場及中國市場均有兩款處於臨床開發階段的用於治療PV的JAK抑制劑候選藥物。在該等候選藥物中，貝澤昔替尼已進入III期階段，臨床進展最快。

海外用於治療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
PRT12396	JAK2 V617F	Prelude Therapeutics	I期	真性紅細胞增多症	2026年3月13日
ZE74-0282	JAK2 V617F	Eilean Therapeutics	I期	真性紅細胞增多症	2026年2月20日

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

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	融靈生物	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

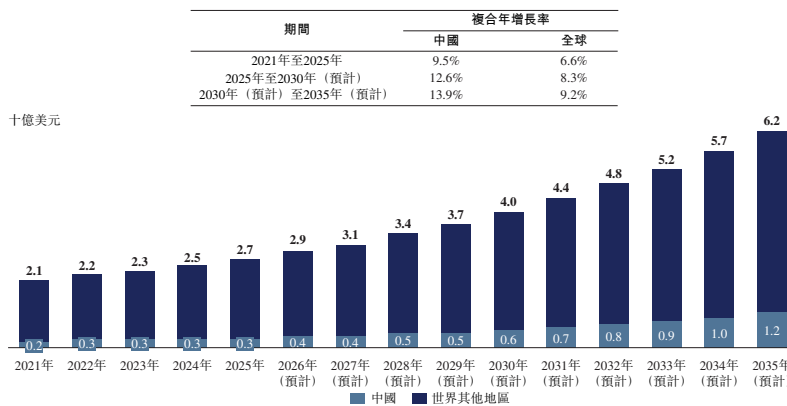
截至最後實際可行日期，尚無JAK抑制劑在中國獲批用於治療PV，而蘆可替尼(JAK1/2)為海外市場唯一獲批用於治療PV的JAK抑制劑。作為一款不經CYP代謝的高選擇性JAK2抑制劑，貝澤昔替尼是中國臨床進展最快的用於治療PV的JAK抑制劑候選藥物，目前處於III期；而氟諾替尼(一款CDK6/FLT3/JAK2抑制劑)則處於II期。在獨立臨床試驗中，貝澤昔替尼報告的第24週SVR35為56.3%，而蘆可替尼報告的第32週SVR35為38%。然而，由於這些結果源自設計、評估時間點及患者群體各異的獨立試驗，而非頭對頭研究，故此類跨試驗比較存在固有的局限性。

原發性血小板增多症

原發性血小板增多症(ET)是一種慢性骨髓增殖性腫瘤，其特徵為持續性血小板增多、BCR-ABL1缺失，以及骨髓中增大的成熟巨核細胞增多。其由過度活躍的JAK-STAT信號傳導驅動，最常見是通過JAK2、CALR或MPL突變，其他遺傳變異亦會影響疾病表型及進展。患者可能無症狀，或出現微血管症狀(如頭痛、頭暈及紅斑性肢痛)，並面臨血栓風險，以及較少見的出血風險。治療主要旨在預防血栓及出血併發症，同時降低進展為骨髓纖維化或極少數情況下進展為急性髓性白血病的風險。下表載列2021年至2035年中國及全球ET藥物市場的具體情況：

行業概覽

2021年至2035年（預計）全球及中國ET藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文分析

中國ET患病人數於2025年達到29.57萬例，預計到2030年將達到32.28萬例，到2035年將達到35.12萬例，2021年至2025年、2025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患病人數於2025年達到245.97萬例，預計到2030年將達到280.80萬例，到2035年達到318.60萬例，2021年至2025年、2025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%。

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。

在ET治療中，通常對中至高危患者採用細胞減滅治療（如羥基脲或干擾素），這類患者約佔ET患者總數的50%至60%。在這些患者中，已發表的研究表明約20%可能出現羥基脲耐藥或不耐受，需要升級治療，而聚乙二醇干擾素 α -2a的臨床研究顯示，約13.9%的患者因不良事件而中斷治療。貝澤昔替尼作為一款JAK抑制劑，擬用於對羥基脲耐藥或不耐受及／或對干擾素不耐受患者的二線及後線(2L+)治療，因此其適用人群估計將佔所有ET患者總數的約10%至20%。

行業概覽

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

用於治療血液系統惡性腫瘤的主要JAK抑制劑概覽

下表列示用於治療血液系統惡性腫瘤主要適應症的已獲批JAK抑制劑及JAK抑制劑候選藥物概覽，並對關鍵產品特性進行比較，包括其各自的優勢及局限性。

	貝澤昔替尼	蘆可替尼	菲卓替尼	帕克替尼	莫洛替尼	吉卡替尼	氟諾替尼	羅伐昔替尼
靶點	高選擇性JAK2	JAK1、JAK2	FLT3、JAK2	CSF1R、IRAK1、JAK2、FLT3	JAK1、JAK2、ACVR1、ALK2	JAK1、JAK2、JAK3、TYK2、ACVR1	JAK2、FLT3、CDK8	JAK1、JAK2、ROCK1、ROCK2
適應症	MF、PV、ET、GvHD	於美國：MF、PV、GvHD 於中國：MF、GvHD	MF	MF	MF	MF	MF、PV	MF、cGvHD、aGvHD
療效	• MF：24周SVR35：62.8% (14.3%) • PV：24周SVR35：56.3%	• MF：24周SVR≥35：41.9% • PV：32周SVR35：38%	• MF：24周SVR35：47%	• MF：24周SVR35：29%	• MF：24周SVR35：31%	• MF：24周SVR35：64.9% (對照組為26.5%)	• MF：24周SVR35：83.3%	• MF：24周SVR35：75%
代謝／DDI (藥物相互作用)	不經CYP代謝，DDI相關風險降低	經CYP3A4代謝	主要經CYP3A4、CYP2C19及FMO3代謝	主要經CYP3A4代謝	經CYP3A4、CYP2C8/9/19及CYP1A2代謝	不適用	CYP抑制 (CYP2C19、CYP2C9、CYP3A4)，DDI風險高	主要經CYP3A4代謝
安全性特徵	常見AE：貧血及血小板減少，無藥物特異性或脫靶毒性	常見AE：貧血、血小板減少症	常見AE：貧血、血小板減少症及脂肪酶升高	常見AE：腹瀉、噁心、貧血、血小板減少症	常見AE：血小板減少症、腹瀉、出血、疲勞、噁心	常見AE：貧血、血小板減少症、白細胞減少症	常見AE：血小板減少症、貧血	常見AE：血小板減少症、貧血
給藥	20mg BID	20mg BID	400mg BID	200mg BID	200mg BID	100mg BID	100mg QD	15mg BID

附註：貝澤昔替尼未與現有JAK抑制劑開展頭對頭臨床試驗；氟諾替尼(6/8)及羅伐昔替尼(25/30)的結果均基於早期階段 (I/Ib/IIa期) 試驗，這些試驗的患者隊列規模較小；對照組與貝澤昔替尼組之間的差異為48.5%，而對照組與吉卡替尼組之間的差異則為38.4%。

資料來源：文獻綜述；弗若斯特沙利文

自身免疫性疾病概覽

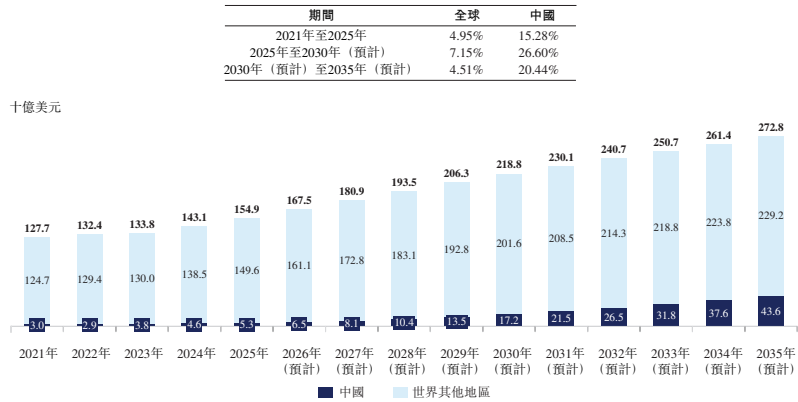
自身免疫性疾病是慢性疾病，其特徵為持續性或錯誤導向的免疫激活損害健康組織，對多個器官系統造成顯著的臨床及經濟負擔。本文件涵蓋的適應症包括免疫介導的血液系統、皮膚科及胃腸道疾病，以及具有明顯炎症特徵的骨髓增殖性腫瘤。例子包括ITP及AIHA、慢性自發性蕁麻疹、類風濕關節炎、炎症性腸病、移植物抗宿主病，以及MPN (如骨髓纖維化、真性紅血球增多症及原發性血小板增多症)。治療已從使用NSAID及糖皮質激素進行廣泛症狀控制，發展為改善疾病療法，包括傳統DMARD、靶向TNF及關鍵白介素的生物製劑，以及近年來的靶向合成療法 (如JAK及BTK抑制劑)。總體而言，該領域已轉向基於機制的治療，旨在實現更有效及持久的疾病控制。

行業概覽

自身免疫性疾病藥物市場規模

下表載列2021年至2035年全球自身免疫性疾病藥物市場的具體情況：

2021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。
- 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、疾病復發及耐藥等問題，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。

行業概覽

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。
- **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抑制劑通過阻斷JAK-STAT信號通路激活，抑制驅動自身免疫及炎症的失調細胞因子信號傳導。這可減少促炎基因轉錄，抑制巨噬細胞、樹突狀細胞及致病性淋巴細胞反應的激活，並減少趨化因子介導的炎症細胞向組織的募集。JAK阻斷還可減輕炎症小體引發、內皮激活及血管炎症。通過這種對匯聚免疫通路的廣泛但可逆的調節，JAK抑制劑可有助於控制全身性及組織特異性的自身免疫炎症。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。

行業概覽

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。

中國aGVHD發病人數於2025年達到9,700例，預計到2030年將達到1.49萬例，到2035年將達到2.49萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為7.4%、8.8%及10.9%。全球aGVHD發病人數於2025年達到5.74萬例，預計到2030年將達到7.83萬例，到2035年將達到10.97萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為9.5%、6.4%及7.0%。中國cGVHD患病人數於2025年達到1.55萬例，預計到2030年將達到3.47萬例，到2035年將達到7.34萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為9.4%、17.5%及16.2%。全球cGVHD患病人數於2025年達到10.42萬例，預計到2030年將達到19.28萬例，到2035年將達到31.55萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為12.8%、13.1%及10.3%。

在aGVHD中，患者依據臨床嚴重程度分級，其中II至IV級定義為中重度疾病。全球約有40%至50%的II至IV級aGVHD患者在接受一線皮質類固醇治療後，會發展為類固醇難治性或類固醇依賴性疾病，需接受二線或後線治療；而中國一項臨床隊列研究指出，約65%的II級及以上患者經臨床醫師評估需接受二線治療。貝澤昔替尼作為一種JAK抑制劑，旨在用於治療類固醇難治性或類固醇依賴性aGVHD，因此其潛在適用人群估計約佔全球aGVHD患者總人數的40%至50%，在中國則約佔65%。

在中重度cGVHD患者中，全身性皮質類固醇通常作為一線治療；然而，全球超過50%的患者在兩年內會出現類固醇耐藥或依賴現象，因療效不佳、復發或無法安全減少類固醇用量而需轉用二線或後續療法。中國約80%的患者需要二線或更後線治療，近半數患者最終接受三線或後線治療。CX1440作為一種BTK抑制劑，旨在用於治療類固醇難治性或類固醇依賴性中重度cGVHD，因此其潛在適用人群估計佔全球cGVHD患者總人數逾50%，在中國則約佔80%。

GVHD的治療范式

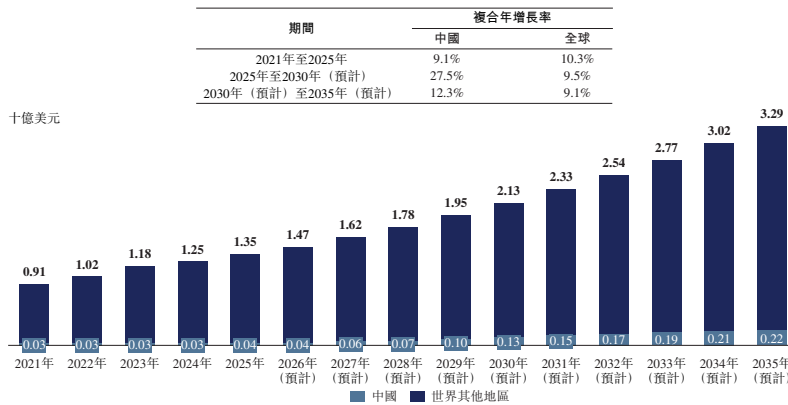
急性GVHD

全身性糖皮質激素仍是II至IV級aGVHD的標準一線療法；然而，其有效率不足50%，且僅約三分之一出現緩解的患者可維持緩解。間質基質細胞(MSC)輸注可作為糖皮質激素難治性aGVHD的二線或三線治療選擇（包括對多種二線藥物耐藥的病例），報告有效率約為57%至73%。此外，在中國進行的多中心、前瞻性、隨機對照研究表明，在糖皮質激素難治性aGVHD中，MSC聯合巴利昔單抗治療的總體有效率顯著高於巴利昔單抗單藥治療。

行業概覽

下表載列2021年至2035年中國及全球aGVHD藥物市場的具體情況：

2021年至2035年（預計）全球aGVHD藥物市場規模



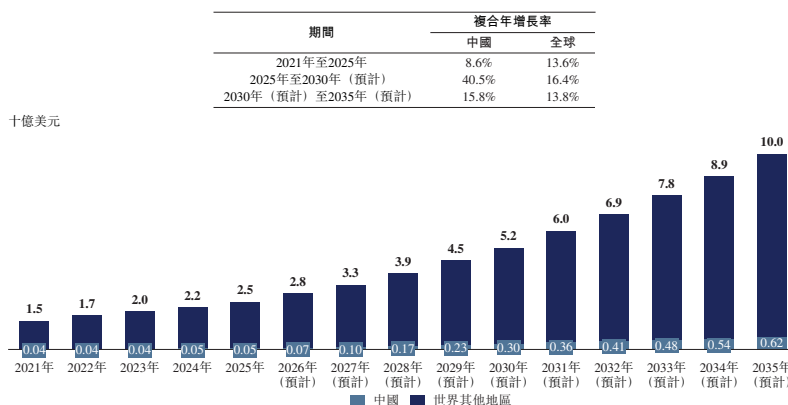
資料來源：弗若斯特沙利文分析

慢性GVHD

並非所有cGVHD患者在確診時均須接受全身性治療。輕度疾病可採取觀察或局部治療處理，而中度至重度疾病則需要接受全身性治療。對於中度至重度cGVHD的一線治療，單用糖皮質激素或聯合鈣調神經磷酸酶抑制劑仍為標準治療方案，有效率約為50%。對於一線治療失敗的患者，目前已有靶向藥物可作為二線治療方案：JAK1/JAK2抑制劑蘆可替尼與ROCK2抑制劑貝舒地爾均已獲國家藥監局批准用於治療cGVHD（其中蘆可替尼獲指南推薦為首選二線治療方案），而BTK抑制劑伊布替尼雖在若干海外市場獲批用於治療cGVHD，惟於最後實際可行日期，尚未獲國家藥監局批准用於該適應症。間質基質細胞療法同樣獲推薦為二線治療方案，報告緩解率約為57.1%至73.7%。

下表載列2021年至2035年中國及全球cGVHD藥物市場的具體情況：

2021年至2035年（預計）全球cGVHD藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文分析

行業概覽

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	價格 美元／單位
蘆可替尼	JAKAFI	JAK1、JAK2	因塞特醫療	GVHD	2011年11月16日	296.26 (100mg)

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文分析

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	NRDL納入年份	價格 人民幣元／單位
蘆可替尼	Jakavi	JAK1、JAK2	諾華	GVHD	2017年3月10日	2019年	51.85 (5mg)

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

截至最後實際可行日期，蘆可替尼是中國唯一一款獲批用於治療GVHD的JAK抑制劑，而貝澤昔替尼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，目前處於I/II期，旨在治療類固醇難治性或類固醇依賴性aGVHD。貝澤昔替尼是一款高選擇性的JAK2抑制劑，不經CYP代謝。

BTK抑制劑

BTK抑制劑為阻斷BTK (B細胞受體信號傳導中的關鍵激酶，可調節B細胞激活、存活及遷移) 的靶向療法。由於異常的BTK信號傳導會引發多種B細胞惡性腫瘤，BTK已成為經驗證的治療靶點。儘管第一代及更新、更具選擇性的BTK抑制劑在毒性和耐藥性方面仍面臨重大挑戰，但其已對慢性淋巴細胞白血病、套細胞淋巴瘤及華氏巨球蛋白血症等疾病發揮出強大療效。目前的開發重點是提高選擇性及克服耐藥性，包括通過對C481突變具有活性的非共價抑制劑。

行業概覽

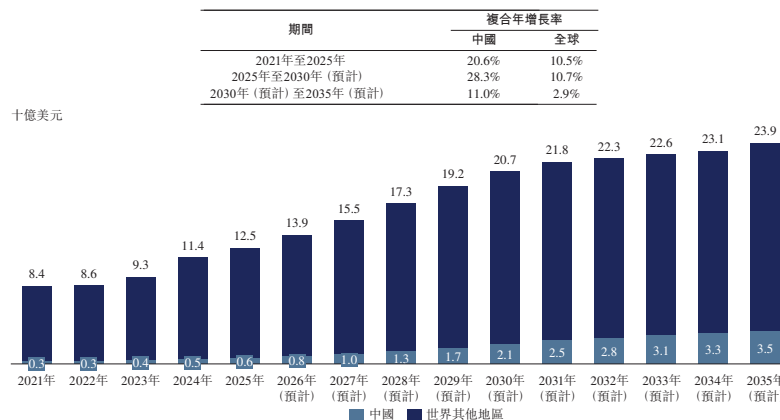
BTK抑制劑的作用機制

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。

BTK抑制劑市場規模

下表說明2021年至2035年中國及全球BTK抑制劑藥物市場的具體情況：

2021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

BTK抑制劑在自身免疫性疾病中的主要適應症

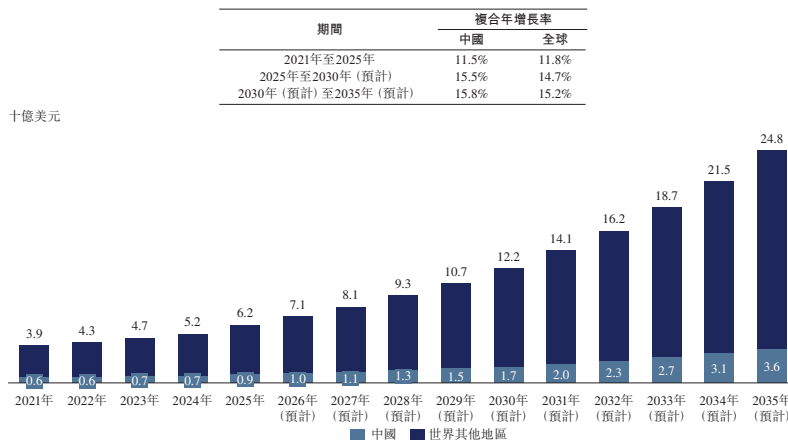
免疫性血小板減少症

免疫性血小板減少症(ITP)是一種自身免疫性疾病，其特徵為血小板破壞增加及血小板生成受損導致的血小板計數低下。診斷主要基於臨床判斷，並需排除感染、藥物、肝病或其他自身免疫性疾病等繼發性原因。患者可能出現瘀點、紫癜及黏膜出血，重症病例有顱內出血的風險。在成人患者中，ITP通常呈慢性病程，且更常見於女性。

行業概覽

下表載列2021年至2035年中國及全球ITP藥物市場的具體情況：

2021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患病人數於2025年達到21.64萬例，預計到2030年將達到22.03萬例，到2035年將達到22.34萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.5%、0.4%及0.3%。全球ITP患病人數於2025年達到110.39萬例，預計到2030年將達到118.32萬例，到2035年將達到126.18萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為1.5%、1.4%及1.3%。

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復發的患者，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。

在ITP治療中，一線療法通常包含皮質類固醇及／或靜脈注射免疫球蛋白（IVIG）；然而，全球約有15%至20%的患者在標準一線治療後產生抗藥性或復發，因而需要二線或後續療法。CX1440作為一種BTK抑制劑，旨在用於治療無法對皮質類固醇及／或IVIG產生持續應答的患者，因此其潛在適用人群估計約佔全球ITP患者總人數的15%至20%。在中國，公開可查的研究尚未明確量化接受二線及更後線治療的ITP患者比例。

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。

行 業 概 覽

海外已上市用於治療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	價格 美元／單位
瑞扎布魯替尼	Wayriz	BTK	健贊	ITP	2025年8月29日	285.03 (400mg)

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文分析

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
瑞扎布魯替尼	BTK	賽諾菲／健贊	NDA	ITP	2024年12月30日
奧布替尼	BTK	諾誠健華	NDA	ITP	2023年7月17日
CX1440	BTK	本公司	III期	ITP	2025年8月22日
DZD8586	BTK/LYN	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、公司網站、文獻研究、弗若斯特沙利文分析

截至最後實際可行日期，瑞扎布魯替尼是海外市場唯一一款獲批用於治療ITP的BTK抑制劑，而在中國尚無BTK抑制劑獲批用於治療ITP。CX1440是國內臨床進展最為領先的用於治療ITP的BTK抑制劑候選藥物之一，目前處於III期。

行業概覽

用於治療ITP的主要BTK抑制劑概覽

下表列示用於治療ITP的已獲批BTK抑制劑及BTK抑制劑候選藥物概覽，並對關鍵產品特性進行比較，包括其各自的優勢及局限性。

	CX1440	瑞扎布魯替尼	奧布替尼
靶點	BTK	BTK	BTK
療效	24周血小板應答率：41.2%	24周耐受性血小板應答率：23.3%	24周血小板應答率：36%
安全性特徵	- 與BTK抑制劑相關的常見不良反應（如腹瀉、噁心和疲勞）發生率極低。 - 迄今為止，尚未報告任何嚴重不良反應或死亡病例。	- 常見AE：腹瀉、噁心、頭痛、腹痛及COVID-19 - 嚴重感染：發病率上升，包括一例致命性肺炎病例	常見AE：中性粒細胞減少症、貧血、血小板減少症、發熱性中性粒細胞減少症及肺部感染。

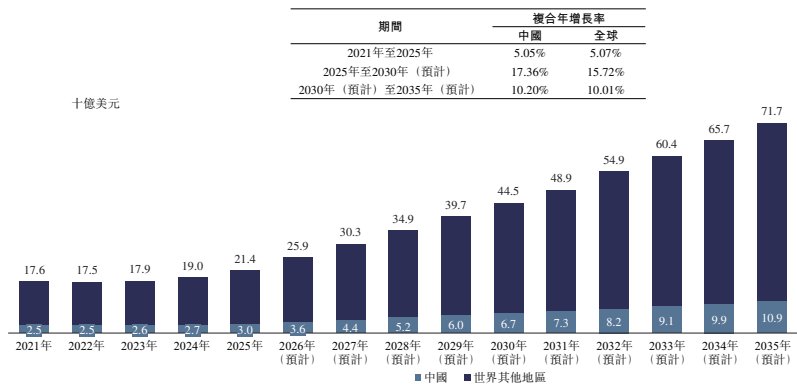
附註：CX1440缺乏長期安全性及療效數據，且未與現有BTK抑制劑開展頭對頭臨床試驗

資料來源：文獻綜述；弗若斯特沙利文分析

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。該病可能自發出現或由特定刺激因素（包括物理因素）引發。下表列示2021年至2035年中國及全球CU藥物市場概況：

2021年至2035年（預計）全球及中國CU藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

中國CU患病人數於2025年達到39.6百萬例，預計到2030年將達到41.3百萬例，到2035年將達到42.2百萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.8%、0.8%及0.4%。全球CU患病人數於2025年達到94.1百萬例，預計到2030年將達到98.8百萬例，到2035年將達到103.3百萬例，2021年至2025年、2025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0.9%。

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。

在CU（包括CSU和CIU）治療中，建議將標準劑量的第二代H1抗組胺藥作為一線治療方案，療程約為一至兩週；然而，全球範圍內，此類治療僅能使約43%的患者症狀得到控制，約50%至60%的患者因療效不佳而需要升級治療。同樣，中國研究表明，標準劑量的H1抗組胺藥僅能使不到半數的CSU患者症狀得到完全控制，超過50%的患者需要二線或後線治療。CX1440作為一款BTK抑制劑，擬用於治療H1抗組胺藥無法充分控制其症狀的CU患者，因此其適用人群估計將佔全球CU患者總數的約50%至60%，而在中國則佔超過50%。

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，海外市場有兩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。

海外已上市用於治療CU／CSU／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	價格 美元／單位
瑞米布替尼	Rhapsido	BTK	諾華	CSU	2025年9月30日	73.73 (25mg)

資料來源：FDA、弗若斯特沙利文分析

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	NRDL納入年份	價格 人民幣元／單位
瑞米布替尼	Rhapsido	BTK	諾華	CSU	2025年11月25日	不適用	不適用

資料來源：國家藥監局、弗若斯特沙利文

行業概覽

海外用於治療CU/CSU/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
TAS5315	BTK	大鵬藥品	II期	CSU	2022年4月19日
瑞扎布魯替尼	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（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
HW1486	BTK	人福醫藥	II期	CSU	2023年11月20日
CX1440	BTK	本公司	I/II期	CU(CSU/CIU)	2025年8月22日
HS-10561	BTK	恆森製藥	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

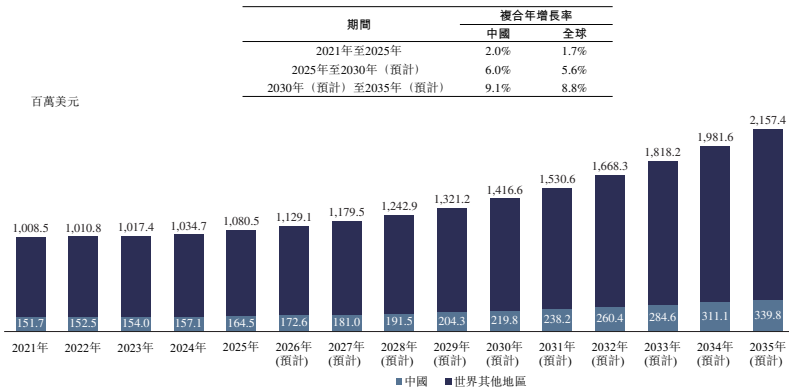
資料來源：國家藥監局、弗若斯特沙利文

截至最後實際可行日期，瑞米布替尼是海外市場及中國唯一一款獲批用於治療CU（CSU）的BTK抑制劑，而CX1440是中國多款處於臨床開發階段的用於治療CU（CSU及CIU）的BTK抑制劑候選藥物之一，目前處於I/II期。CX1440正被開發用於治療H1抗組胺藥控制不佳的CU患者。

自身免疫性溶血性貧血

自身免疫性溶血性貧血(AIHA)是一種後天性自身免疫性疾病，其中自身抗體靶向紅細胞，導致溶血及貧血。診斷基於貧血及溶血的證據，以及紅細胞自身抗體的檢測，患者通常出現疲勞、蒼白、黃疸、深色尿液或脾腫大。AIHA包括溫抗體型及冷抗體型亞型，以及混合型，可能為原發性或繼發於狼瘡、淋巴瘤或其他惡性腫瘤。目前藥物開發主要集中於溫抗體型AIHA，該類型更為常見，且由於類固醇依賴及頻繁複發，仍存在顯著未滿足的醫療需求。下表列示2021年至2035年中國及全球AIHA藥物市場概況：

2021年至2035年（預計）全球及中國AIHA藥物市場規模



資料來源：弗若斯特沙利文

行業概覽

中國AIHA患病人數於2025年達到13.86萬例，預計到2030年將達到14.09萬例，到2035年將達到14.15萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為0.4%、0.3%及0.1%。全球AIHA患病人數於2025年達到80.69萬例，預計到2030年將達到86.54萬例，到2035年將達到92.42萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為1.5%、1.4%及1.3%。

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。

在AIHA治療中，全身性皮質類固醇常作為一線療法；然而，全球約70%至80%的患者最終因治療失敗、復發或治療限制性毒性而升級至二線及以上治療。在中國，研究表明約65%的AIHA患者已接受二線或後線治療。CX1440作為一款BTK抑制劑，擬用於治療皮質類固醇療法無法充分控制其病症的AIHA患者，因此其適用人群估計將佔全球AIHA患者總數的約70%至80%，而在中國則約佔65%。

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
瑞扎布魯替尼	BTK	賽諾菲	III期	AIHA	2025年7月25日

資料來源：弗若斯特沙利文

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
瑞扎布魯替尼	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

行業概覽

截至最後實際可行日期，海外市場或中國目前均無獲批用於治療AIHA的BTK抑制劑。在處於臨床階段的候選藥物中，瑞扎布魯替尼的臨床進展最為領先(III期)，而CX1440已於2025年取得啟動I期臨床試驗的IND批准。作為一款BTK抑制劑，CX1440正被開發成基於機制的BTK抑制劑，用於治療皮質類固醇療法控制不佳的AIHA患者，其有望為該患者群體提供靶向治療選擇，並使彼等減少對長期使用皮質類固醇的依賴。與瑞扎布魯替尼相比，CX1440仍處於早期臨床開發階段，尚未產生臨床療效或安全性數據。因此，其臨床特徵及任何相較於瑞扎布魯替尼或其他療法的潛在比較優勢，均有待於臨床試驗中確立。

分子膠概覽

分子膠是一類小分子，通過將疾病相關蛋白與E3泛素連接酶拉近，誘導其選擇性降解，從而導致泛素化及蛋白酶體破壞。與PROTAC不同，分子膠是單價的、無連接子，且分子量通常較低，這可能有助於提升口服生物利用度及確保良好的藥代動力學特性。其作用機制可實現高選擇性，並將可成藥空間擴展至缺乏催化活性或明確結合口袋的靶點。沙利度胺類似物已確立臨床概念驗證，正在進行的研究正在將此方法擴展至新的連接酶、多靶點降解策略及人工智能輔助設計。

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。**分子膠是一類小分子，通過招募E3連接酶以誘導靶蛋白的選擇性降解，而非僅是抑制靶蛋白。與PROTAC相比，分子膠通常具有更好的藥物特性、口服生物利用度以及更簡單的合成及生產工藝。這些優勢可降低生產複雜程度和成本，同時提高可開發性和可擴展性，支持其在腫瘤學及自身免疫性疾病中的更廣泛應用，並加速市場增長。
- **分子膠降解劑管線擴展與治療領域拓寬。**隨著越來越多的候選藥物進入臨床開發階段(尤其是在腫瘤學領域)，預期分子膠研發管線將會擴展，在此情況下，其可能會攻克先前不可成藥的轉錄因子和耐藥相關的靶點。研發亦延伸至神經病學及免疫學領域。新興方法包括利用KEAP1-CUL3等替代性E3連接酶系統重定向泛素連接酶活性，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。**中國類風濕性關節炎患者常面臨診斷延遲、治療不規範及就醫機會不均等的問題，導致疾病緩解率低且致殘率高。傳統合成改善病情抗風濕藥可能控制效果不佳，而有效的生物製劑需注射給藥，並會降低依從性。分子膠通過重新編程蛋白質之間相互作用選擇性調控疾病相關的蛋白質，從而提供一種差異化的治療手段，有望擴展可治療的炎症通路的範圍。作為潛在口服劑型小分子藥物，其可通過提升整個治療場景的依從性、可及性和治療可持續性更好地支持長期疾病管理。

行業概覽

- **炎症性腸病**。IBD的全球疾病負擔日益加重，在歷來低患病率的東亞等地區，IBD發病率有所上升，而西方國家發病率仍居高不下，這反映出工業化與城市化的影響更為廣泛。老齡人群IBD病發亦日益常見，由於合併症較多和多種用藥，帶來更多診斷及治療挑戰。隨著人口老齡化及醫療需求擴大，預期IBD的臨床與經濟負擔將持續加重。
- **多發性硬化症**。由於異質表現、生物標誌物有限，以及療法雖可減少復發但對神經退行性病變和功能恢復的療效有限，多發性硬化症的治療仍然具有挑戰性，其治療覆蓋率亦參差不齊。新多元機制策略（包括分子膠等小分子策略）旨在更精細地調節免疫失衡，擴展治療選項，並提升長期疾病管理的持久性、可及性和整體質量。

分子膠在自身免疫性疾病中的主要適應症

類風濕關節炎(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。中國RA患病人數於2025年達到6.2百萬例，預計到2030年將達到6.4百萬例，到2035年將達到6.7百萬例，2021年至2025年及2025年至2035年期間的複合年增長率分別為0.71%及0.84%。全球RA患病人數於2025年達到41.8百萬例，預計到2030年將達到43.7百萬例，到2035年將達到45.4百萬例，2021年至2025年及2025年至2035年期間的複合年增長率分別為0.97%及0.84%。

炎症性腸病(IBD)是一類慢性免疫介導性疾病，因遺傳易感性與環境因素相互作用而導致腸道免疫應答失調。中國IBD患病人數從2021年的0.6百萬例增至2025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，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為7.6%、7.1%及5.2%。全球IBD患病人數已從2021年的6.5百萬例增至2025年的7.9百萬例，預計到2030年將達到9.3百萬例，到2035年將達到10.3百萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年期間的複合年增長率分別為5.0%、3.2%及2.1%。

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。中國MS患病人數於2025年達到5.47萬例，預計到2030年將達到6.08萬例，2035年將達到6.90萬例，2021年至2025年、2025年至2030年及2030年至2035年的複合年增長率分別為2.4%、2.1%及2.6%。全球MS患病人數於2025年達到324.32萬例，預計到2030年將達到371.69萬例，2035年將達到425.61萬例，2021年至2025年、2025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%。

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。