

未来50年展望： 肿瘤及罕见病治疗的发展策略

The next 50 years series:
Development strategies for tumors treatment and rare diseases

次の50年シリーズ：
腫瘍および希少疾患の治療のための開発戦略

报告标签：中国医药健康行业，肿瘤治疗，罕见病

主笔人：邓云婷

报告提供的任何内容（包括但不限于数据、文字、图表、图像等）均系头豹研究院独有的高度机密性文件（在报告中另行标明出处者除外）。未经头豹研究院事先书面许可，任何人不得以任何方式擅自复制、再造、传播、出版、引用、改编、汇编本报告内容，若有违反上述约定的行为发生，头豹研究院保留采取法律措施、追究相关人员责任的权利。头豹研究院开展的所有商业活动均使用“头豹研究院”或“头豹”的商号、商标，头豹研究院无任何前述名称之外的其他分支机构，也未授权或聘用其他任何第三方代表头豹研究院开展商业活动。

报告摘要

回顾2020年，中国“十四五”编制规划启动，医药生物跑赢沪深300指数，在产业升级、结构优化的宏观政策逻辑下，医疗健康行业将受持续引导。医药细分领域营收及净利润增速分化明显，高景气细分领域表现强势，在疫情影响下实现加速成长。随着2030健康中国目标渐进，医药产业结构革新重塑，构建增长型生态圈势在必行，医药板块因具备内需驱动的刚需属性和长期成长的稳定性具有核心投资价值

一方面，全球癌症持续高发，乳腺癌已成为全球第一大癌。中国新发癌症人数和癌症死亡人数位居全球第一，癌症患者承受沉重的疾病负担，存在着巨大的未满足需求。本文将从中国肿瘤行业的流行病学，肿瘤治疗，研发审批，支付负担和企业发展角度探讨五大趋势

另一方面，《中国罕见病定义研究报告2021》报告首次定义罕见病，即“新生儿发病率小于1/万、患病率小于1/万、患病人数小于14万的疾病”。在提升药品可及性目标前提下，罕见病将得到社会各界的更多关注，本文将从罕见病药物可及性的药物研发、用药保障和医保政策三方面进行阐述

01 中国医药行业持续增长

中国医药市场在过去十余年迅速崛起，成为新兴医药产业发展最迅速的国家之一。2018年中国以1,323亿美元规模成为全球第二大药品市场及原料药生产国家和出口国，预计2030年中国医药市场容量将接近1,770亿美元。随着2030健康中国目标渐进，医药产业结构革新重塑，构建增长型生态圈势在必行，医药板块因具备内需驱动的刚需属性和长期成长的稳定性具有核心投资价值

02 中国肿瘤行业五大趋势

肿瘤流行病学方面，癌症将持续高发，癌症负担不断加重，由此肿瘤早筛价值逐渐凸显；

肿瘤治疗方面，肿瘤免疫治疗已革命性改变癌症治疗效果，未来产业前景广阔；精准医疗成为肿瘤医学领域新一代测序的未来；中医正改变现代医学，中西医结合演绎肿瘤治疗新策略；

研发审批方面，肿瘤药开发者将逐渐转变为“以上市为目标，不以上市为终点”，关注长期用药安全性，建立药品全生命周期管理；

支付负担方面，政策将持续推进医保支付方式改革，推行以按病种付费为主的多元复合式医保支付方式，并逐渐向按价值付费方向转变；

企业发展方面，中国肿瘤药企将以产品差异化，业务商业化和全球国际化的三大方向发展

03 中国罕见病治疗关注提升

中国首次明确罕见病定义，即“新生儿发病率小于1/万、患病率小于1/万、患病人数小于14万的疾病”。为攻克罕见病，监管部门近年来高度重视罕见病药物的研发，出台一系列法规文件，加速罕见病药物的审评审批。随着药企积极参与罕见病药物研发，第二批罕见病目录更新在即，“1+N”多方共同支付罕见病用药保障机制逐渐完善，中国罕见病治疗将得到更多重视

■ 目录

◆ 中国医药健康行业综述	-----	08
• 中国医药健康行业总况	-----	09
• 中国医药健康行业发展历程	-----	10
• 中国医药健康行业产业链	-----	11
• 中国医药健康行业注册审批	-----	12
• 中国医药健康行业供给端	-----	13
• 中国医药健康行业需求端	-----	14
◆ 中国肿瘤治疗五大趋势	-----	15
• 流行病学趋势	-----	16
• 肿瘤治疗趋势	-----	18
• 研发审批趋势	-----	22
• 治疗支付趋势	-----	24
• 企业发展趋势	-----	26
◆ 中国罕见病治疗展望	-----	30
• 罕见病定义	-----	31
• 罕见病政策	-----	32
• 罕见病药物可及性	-----	33
◆ 名词解释	-----	36
◆ 方法论	-----	37
◆ 法律声明	-----	38

东方财富
www.leadleo.com

CONTENTS

◆ Overview of China's Pharmaceutical and Health Industry	---	08
• Overview	---	09
• Development path	---	10
• Industry Chain	---	11
• Registration and approval	---	12
• Supply	---	13
• Demand	---	14
◆ Five trends in cancer treatment in China	---	15
• Epidemiology	---	16
• Tumor treatment	---	18
• R&D approval	---	22
• Medical Burden	---	24
• Enterprise Development	---	26
◆ Rare Disease Treatment in China	---	30
• Definition	---	31
• Policy	---	32
• Drug accessibility	---	33
◆ Terms	---	36
◆ Methodology	---	37
◆ Legal Statement	---	38

东方财富
www.leadleo.com

图表目录

■ 图表1：美中日药品支出规模，2013-2023E	09
■ 图表2：中国药品支出及年复合增长，2008-2023E	09
■ 图表3：中国医药行业主导政策	09
■ 图表4：中国人口年龄结构分布，2010-2030E	09
■ 图表5：中国居民主要疾病构成，2005-2020	09
■ 图表6：中国医药板块走势，2005-2020	10
• 图表7：中外医疗健康行业发展阶段	10
• 图表8：中国医药行业产业链	11
■ 图表9：中国药品注册审评流程图	12
■ 图表10：中国历年药品注册申请审评情况，2011-2020	12
■ 图表11：药品各类注册申请审评情况，2016-2020	12
■ 图表12：优先审评通过的品种,2020	12
■ 图表13：中国医药工业增加值增速，2015-2020	13
■ 图表14：中国医药工业营收和利润增速，2016-2020	13
■ 图表15：中国医药工业代表企业区域分布	13
■ 图表16：中国医药市场国际需求端	14
■ 图表17：中国医药市场本土需求端	14
■ 图表18：全球发病率前十癌症，2020	16
■ 图表19：全球死亡率前十癌症，2020	16
■ 图表20：死亡率前五癌症（按性别）	16
■ 图表21：中国主要癌症新发和死亡数量，2015-2020	16
■ 图表22：全球癌症病发预测，2018-2070	17
■ 图表23：中国肿瘤医院收入，2010-2019	17
■ 图表24：癌症治疗费用	17

图表目录

■ 图表25: 中国肿瘤早筛市场规模, 2020-2030E	-----	17
■ 图表26: 主要肿瘤治疗方式	-----	18
■ 图表27: 主要肿瘤治疗药物分类	-----	18
■ 图表28: 细胞治疗类别及研究适应症	-----	19
■ 图表29: 医学治疗肿瘤的认识进展	-----	19
■ 图表30: 程序性细胞死亡的分类	-----	19
• 图表31: CSCO年会精准医疗热点趋势, 2021	-----	20
■ 图表32: 中医学结合治疗肿瘤案例	-----	21
■ 图表33: 具有增强抗肿瘤药物敏感性或逆转耐药的中药活性成分	-----	21
■ 图表34: 中国肿瘤药物临床试验项目, 2016-2020	-----	22
■ 图表35: 中国肿瘤药物临床试验项目药物类型, 2016-2020	-----	22
■ 图表36: 中国肿瘤药物临床试验分期分布, 2019-2020	-----	22
■ 图表37: 中国肿瘤药物临床试验适应症分布, 2019-2020	-----	22
■ 图表38: 中国备案临床试验机构分布及数量, 2020	-----	22
■ 图表39: 中国肿瘤药物研发现存痛点	-----	23
■ 图表40: 中国肿瘤药物研发审批趋势展望	-----	23
■ 图表41: 抗肿瘤药物进入国家医保谈判药品总览	-----	24
■ 图表42: 肿瘤治疗方式费用	-----	24
■ 图表43: 肿瘤治疗费用支出比例, 2018	-----	24
■ 图表44: 疾病负担定义和肿瘤疾病负担案例	-----	25
■ 图表45: 中国药物研发阶段趋势	-----	26
■ 图表46: 中国肿瘤药物企业发展驱动因素与趋势	-----	26

图表目录

■ 图表47: 首创式新药与跟进式新药特点对比	-----	27
■ 图表48: 中国First-in-class产品Top10靶标	-----	27
■ 图表49: 中国Me-too产品Top10靶标	-----	27
■ 图表50: 中国创新药领域投资与退出案例, 2010-2019	-----	28
■ 图表51: 中国生物医药License in项目数量, 2010-2020	-----	28
■ 图表52: 中国药企License in交易额前十, 2020	-----	28
■ 图表53: 中国医药License out项目数量, 2010-2020	-----	29
• 图表54: 中国医药License out项目类型, 2020	-----	29
■ 图表55: 获FDA突破性疗法认定或快速通道资格的中国创新药 www.leadleo.com	-----	29
■ 图表56: 中国创新药企License out获得过亿美金首付款一览	-----	29
■ 图表57: 各国罕见病定义标准	-----	31
■ 图表58: 中国部分罕见病	-----	31
■ 图表59: 中国20804名罕见病患者画像	-----	31
■ 图表60: 罕见疾病药物研发相关政策, 2015-2021	-----	32
■ 图表61: 经FDA孤儿药资格认定的中国药企研发药物	-----	33
■ 图表62: 在研的罕见病药物管线	-----	33
■ 图表63: “境外有药, 境内无药”困境的21种罕见病	-----	34
■ 图表64: 部分罕见病的“超适应症”使用治疗药物	-----	34
■ 图表65: 《第一批罕见病目录》疾病相关治疗药物上市注册及医保纳入情况, 2020	-----	34
■ 图表66: “1+N”多方共同支付罕见病用药保障机制	-----	35
■ 图表67: 中国罕见病用药保障地方探索模式	-----	35

Chap 1

中国医药健康行业综述

- 中国医药健康行业总况
- 中国医药健康行业发展历程
- 中国医药健康行业产业链
- 中国医药健康行业注册审批
- 中国医药健康行业供给端
- 中国医药健康行业需求端

东方财富
www.leadleo.com

中国医药健康行业总况

- 中国医药市场成为全球第二大市场，随着2030健康中国目标渐进，医药产业结构革新重塑，构建增长型生态圈势在必行

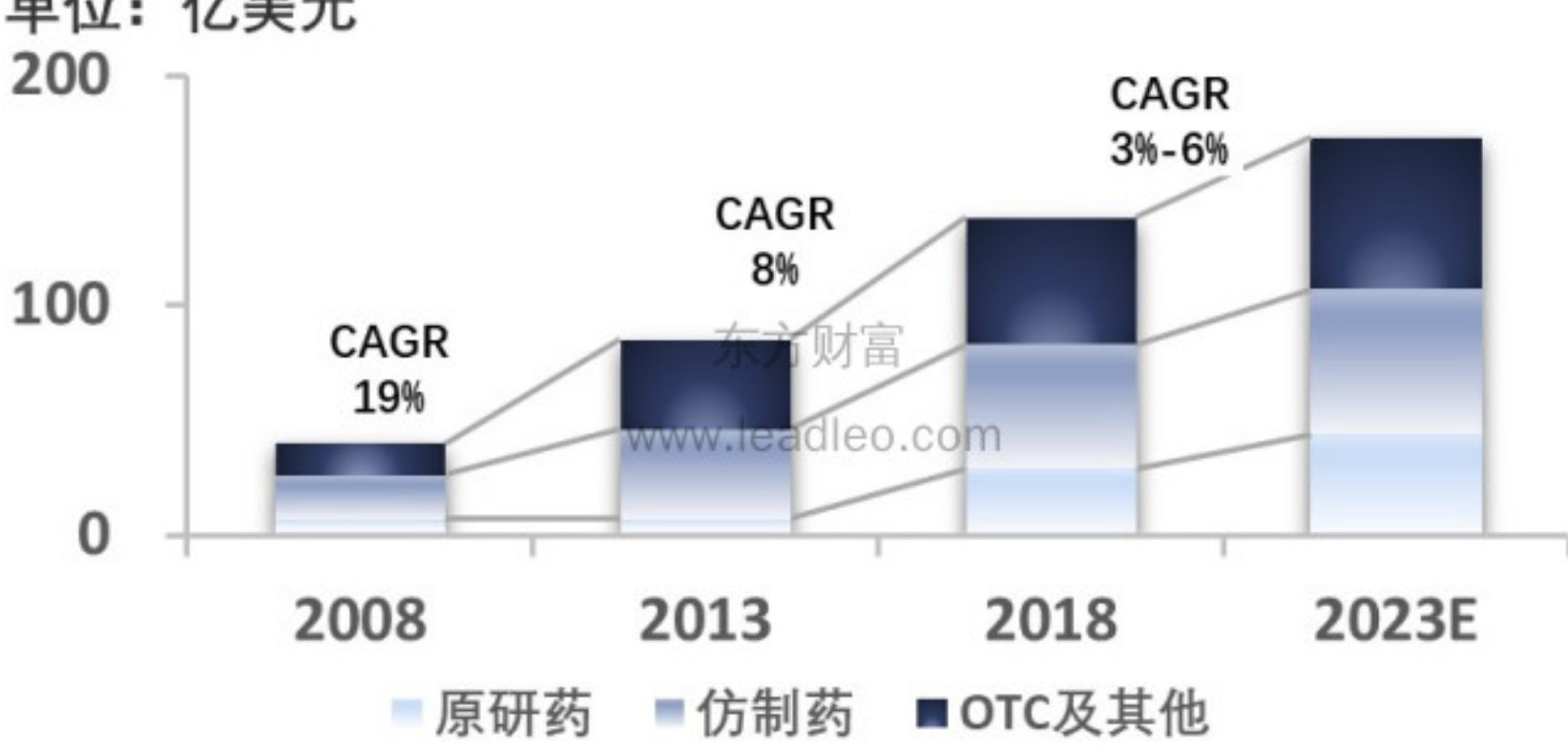
中国成为全球医药健康行业第二大市场

中国医药市场在过去十年迅速崛起，成为新兴医药产业发展最迅速国家之一。2018年中国以1,323亿美元规模成为全球第二大药品市场及原料药生产国家和出口国，预计2030年中国医药市场容量将接近1,770亿美元

图表1：美中日药品支出规模，2013-2023E
单位：亿美元



图表2：中国药品支出及年复合增长，2008-2023E
单位：亿美元



政策红利

以生物医药为首的生物产业被确立为中国七大战略性新兴产业，目前生物产业已达到10万亿元级规模。在“健康中国2030”目标下，医药体制改革和政策红利保障中国医药产业规模持续增长和创新能力升级

图表3：中国医药行业主导政策



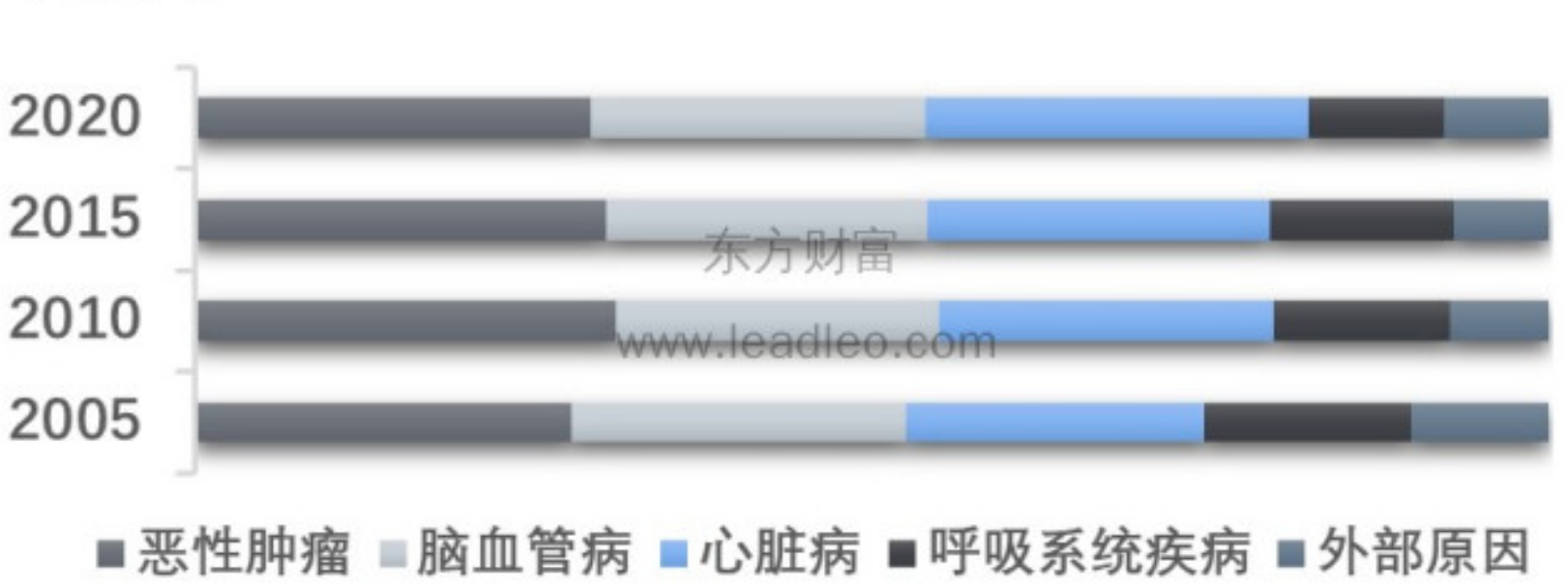
人口结构

中国60岁以上老龄人口占比逐年攀升，千禧和Z世代逐渐成为20-40岁人群消费主力。在生存环境演变下，中国居民疾病谱逐渐发生改变，肿瘤和心脏病等疾病占比逐年攀升，带来巨大未被满足的医疗健康需求

图表4：中国人口年龄结构分布，2010-2030E
单位：%



图表5：中国居民主要疾病构成，2005-2020
单位：%



来源：IQVIA，头豹研究院

中国医药健康行业发展历程

- 2020年医药生物跑赢沪深300指数，中国新兴医药行业逐渐成为全球第一梯队，医药板块因具备内需驱动的刚需属性和长期成长的稳定性具有核心投资价值

内需驱动的刚需属性和长期成长的稳定性是医药板块的核心投资价值

2020年中国“十四五”编制规划启动，医药生物跑赢沪深300指数，在产业升级、结构优化的宏观政策逻辑下，医疗健康行业将受持续引导

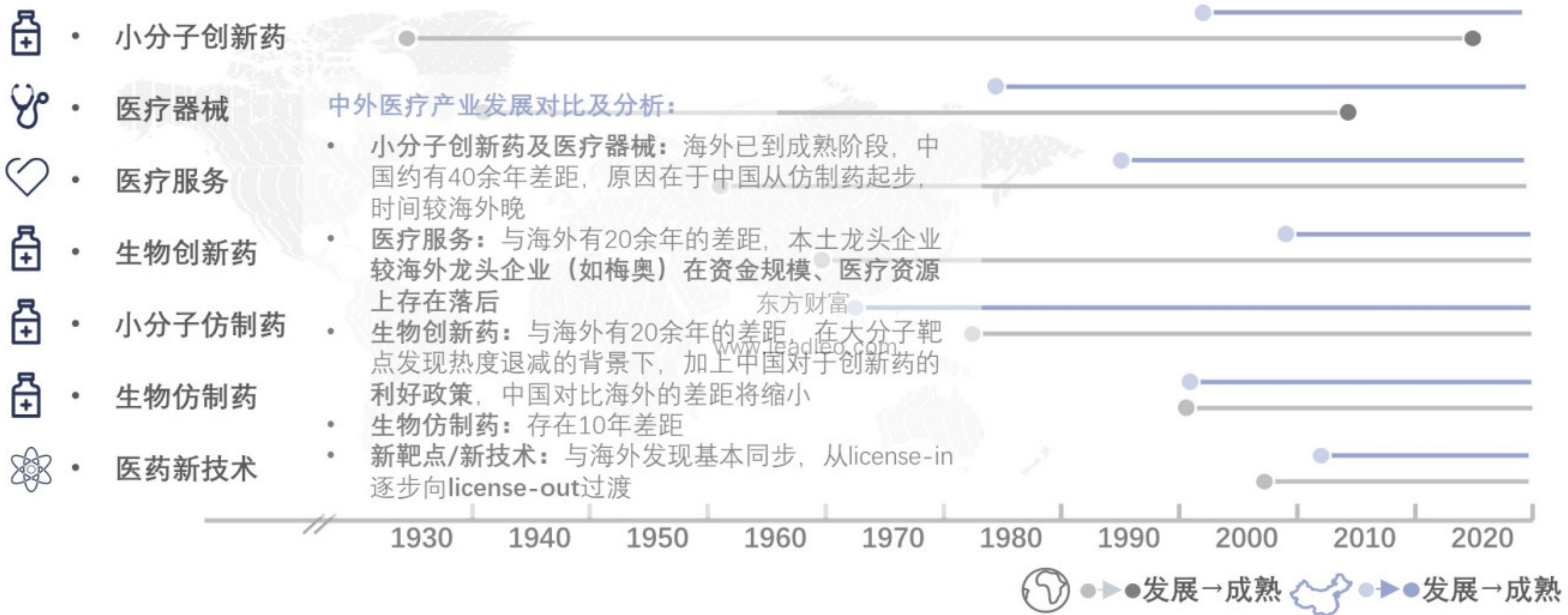
图表6：中国医药板块走势，2006-2020



中国新兴医药领域发展追赶全球“第一梯队”

相较于海外，中国医疗健康行业在传统医药行业落后海外，但新兴医药行业与海外基本已无时间差

图表7：中外医疗健康行业发展阶段

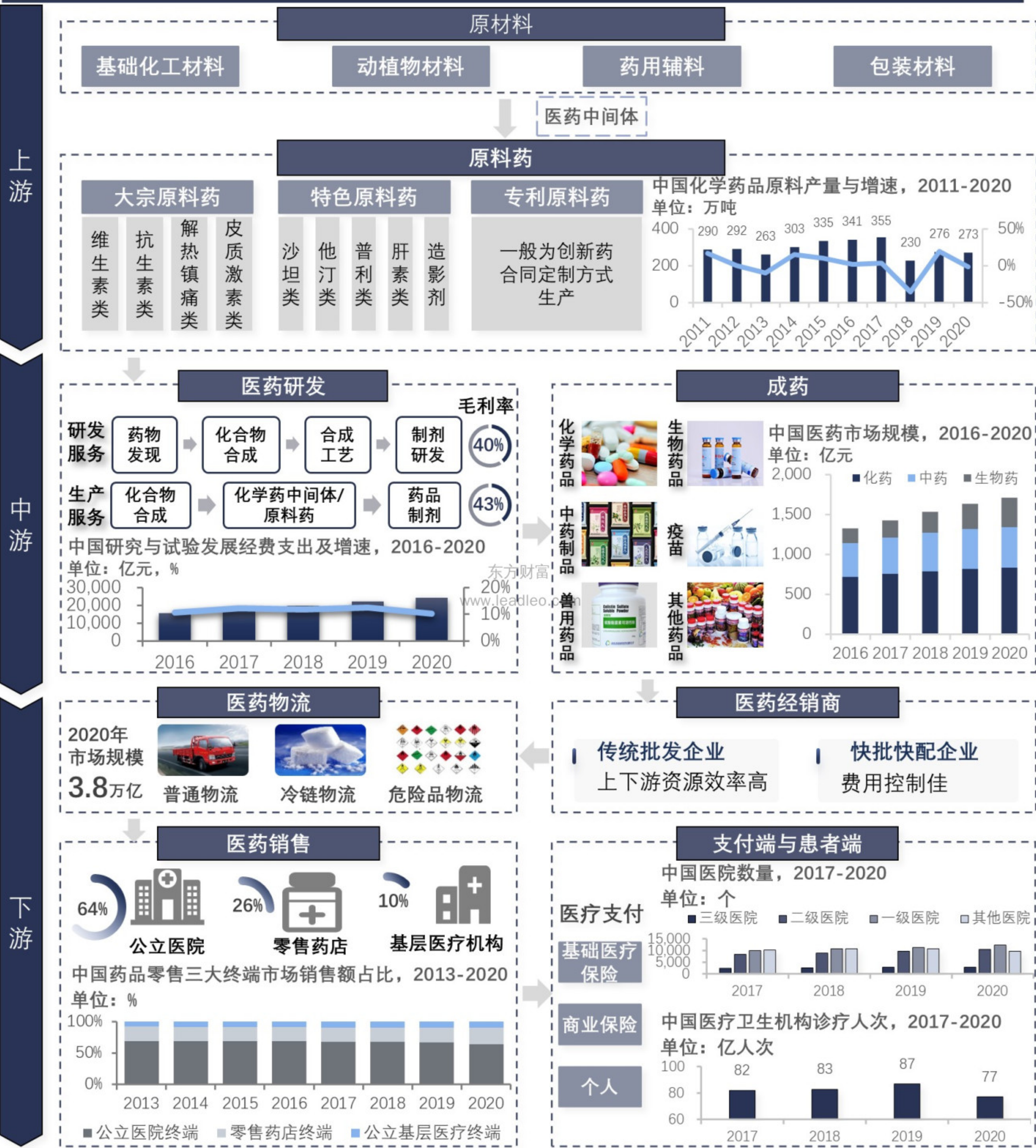


来源：Wind，CNKI，头豹研究院

中国医药健康行业产业链

- 中国医药行业产业链包括上游制药基础（原材料与原料药）、中游医药研发和制造（医药研发及成药）及下游医药流通（医药经销商，医药物流，医药销售和支付端及患者端）

图表8：中国医药行业产业链

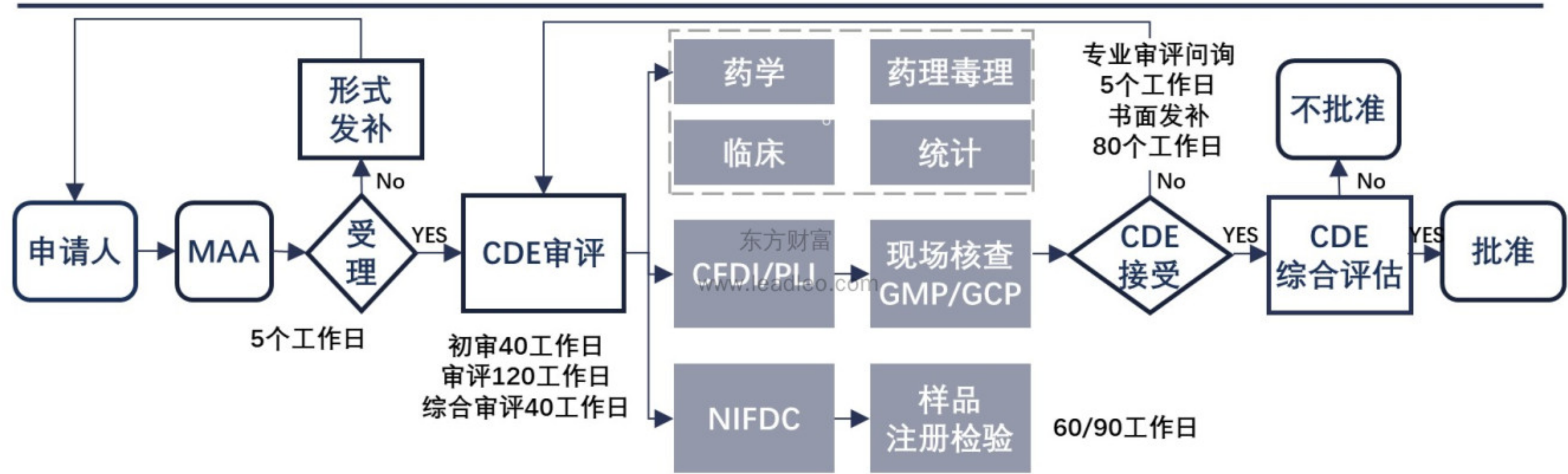


来源：国家统计局，卫健委，米内网，头豹研究院

中国医药健康行业注册审批

- 中国医药行业创新环境持续优化，不断推进审评审批制度改革，提高审评效率和质量，对临床急需药品医疗器械、新药和创新医疗器械给予优先审评审批

图表9：中国药品注册审评流程图



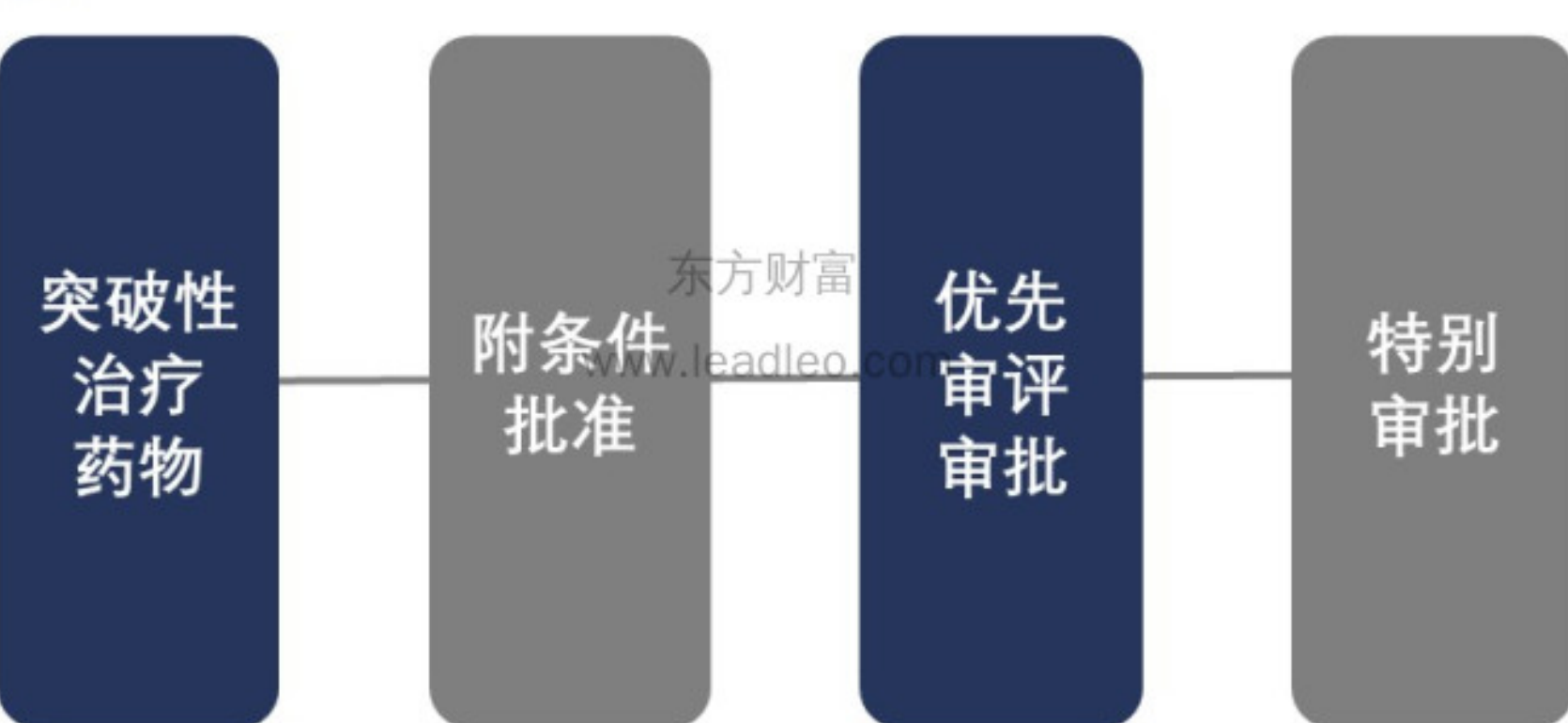
中国药品注册审评数量持续增长，临床急需药品研发上市进程加快

随着国务院颁布《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》及《关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》，提出对临床急需药品医疗器械、新药和创新医疗器械给予优先审评审批，不断推进审评审批制度改革，提高审评效率和质量，2016年以来各类药品注册申请受理量均有较大幅度增长，特别是一批具有明显临床价值且临床急需的新药好药加速通过审评，为中国患者带来更多用药选择

图表10：中国历年药品注册申请审评情况，2016-2020



四个快速通道

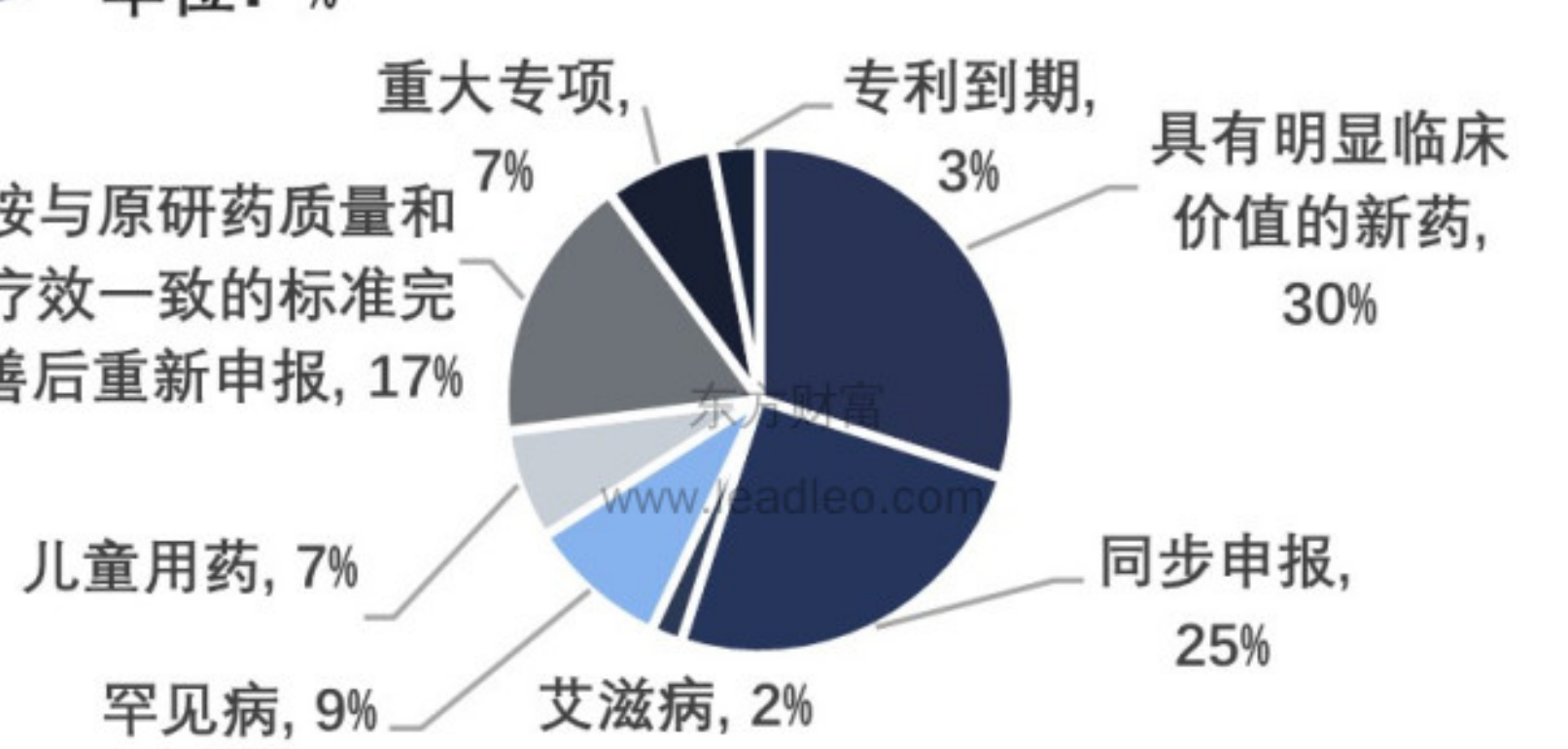


来源：CDE，头豹研究院

图表11：药品各类注册申请审评情况，2016-2020



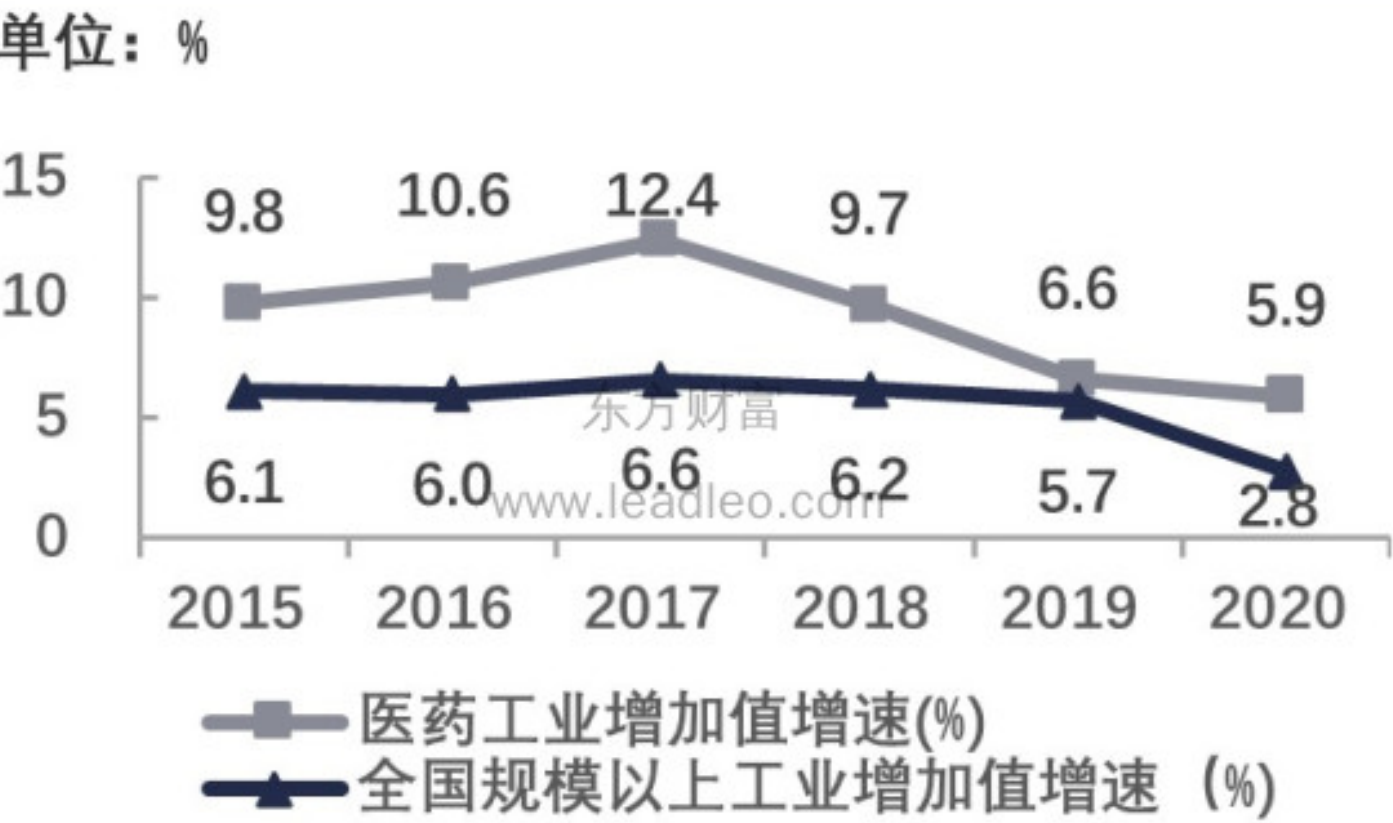
图表12：优先审评通过的品种，2020



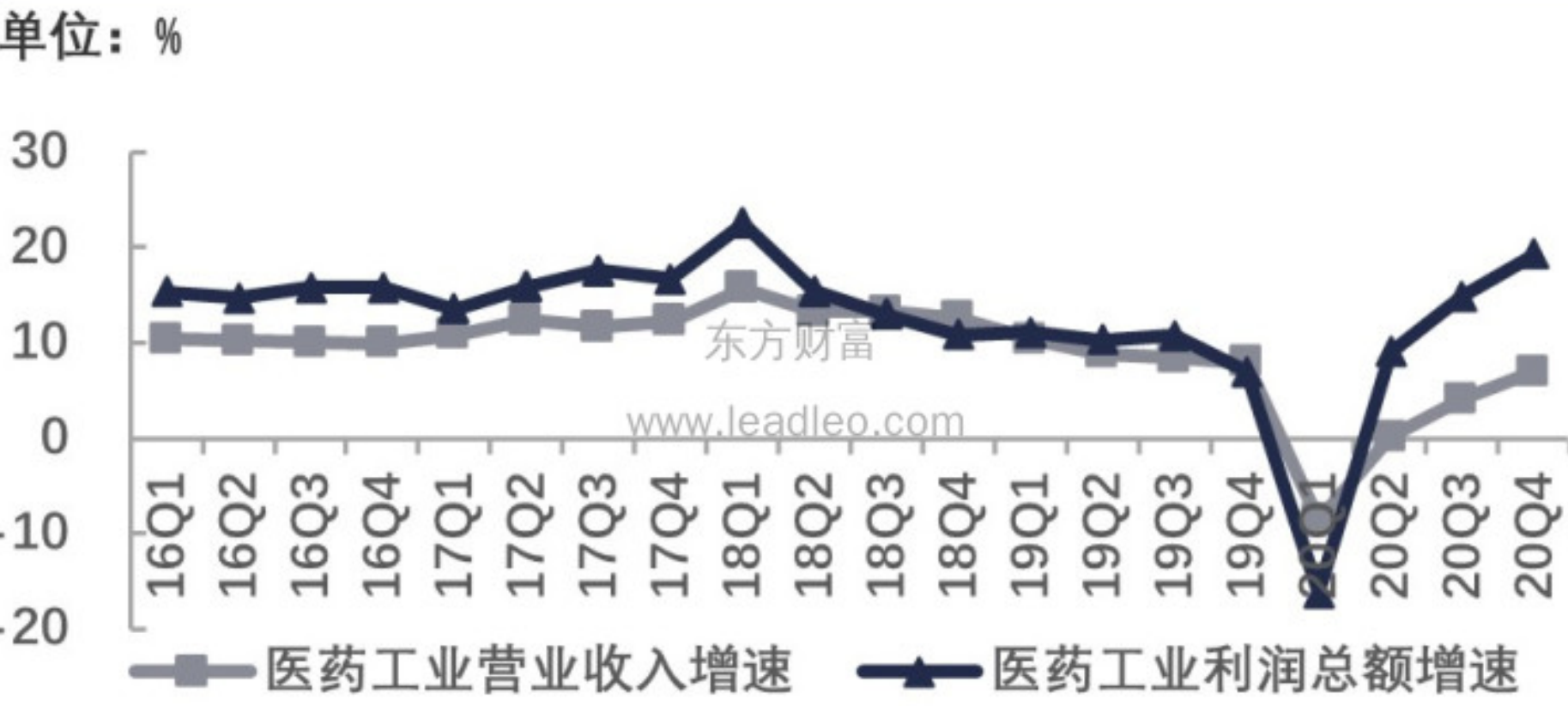
中国医药健康行业供给端

- 中国医药行业竞争者众多，代表性企业分布在浙江、广东、江苏、北京、山东、上海等地区。整体行业供应平稳，2020年医药制造业增加值增速位居工业全行业前位

图表13：中国医药工业增加值增速，2015-2020



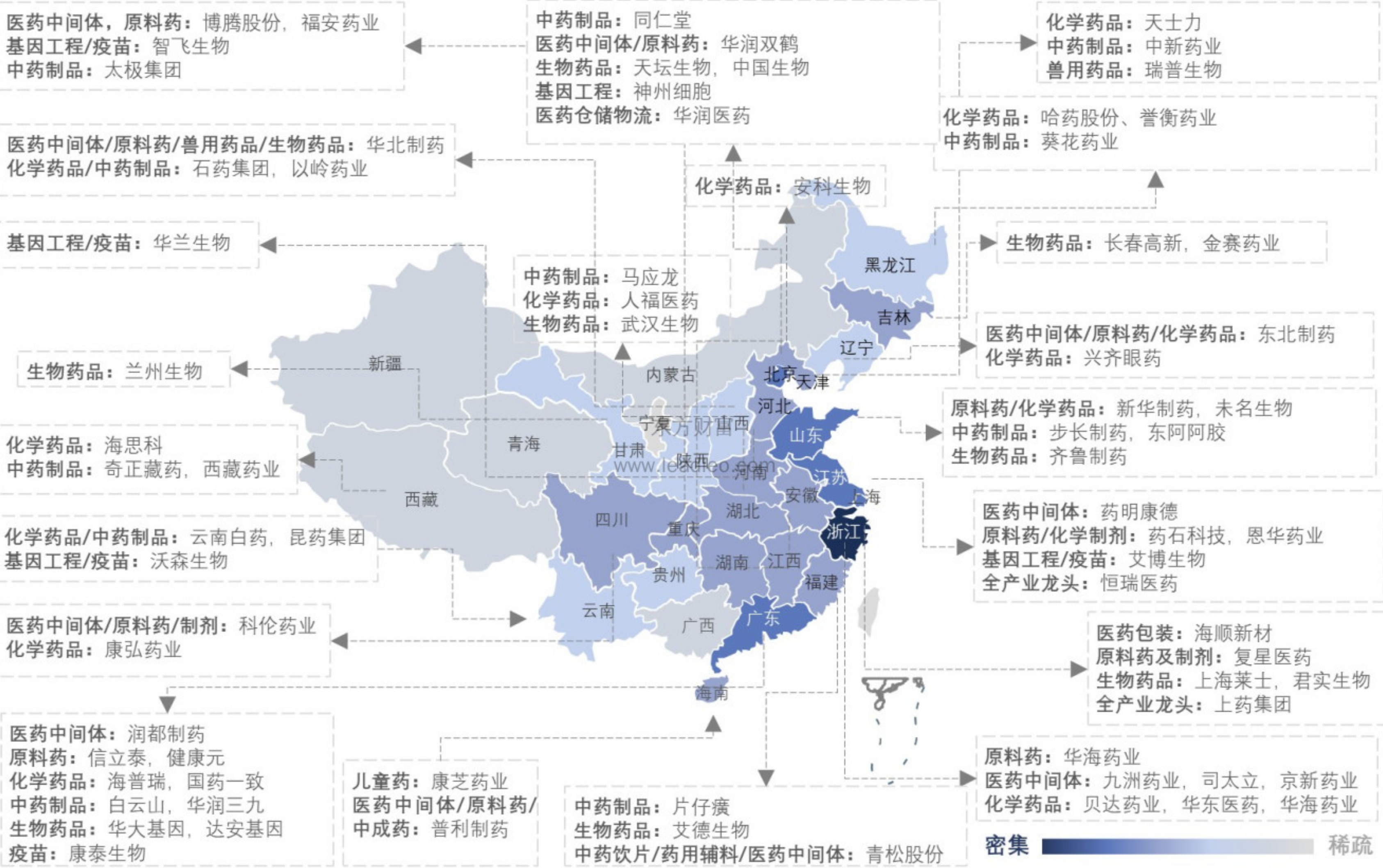
图表14：中国医药工业营收和利润增速，2016-2020



2020年医药制造业增加值增速位居工业全行业前位

2020年，规模以上医药制造业增加值累积同比增长5.9%，增速较上年同期下降0.7%，但高于工业整体增速3.1%。实现营业收入27,960.3亿元，同比增长7.0%。中国医药行业竞争者众多，医药行业产业链代表性企业分布在浙江、广东、江苏、北京、山东、上海等地区

图表15：中国医药工业代表企业区域分布

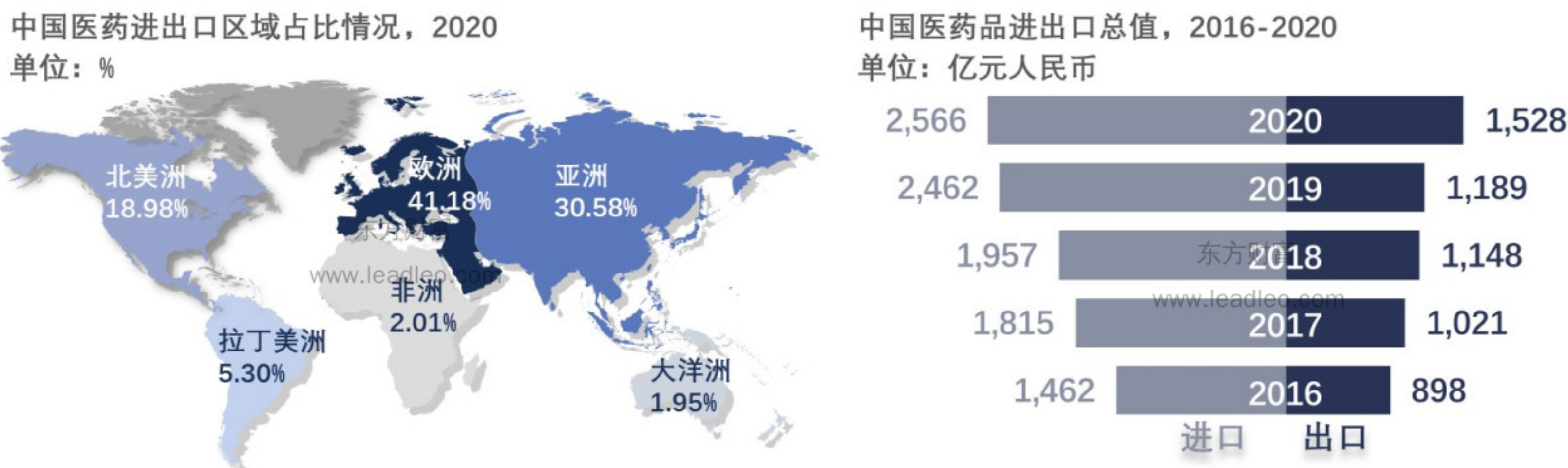


来源：工信部，前瞻经济学人，头豹研究院

中国医药健康行业需求端

- 中国医药国际需求端和本土需求端强劲。2020年中国医药进出口额创新高，随着医药卫生体制改革规划深化，分级诊疗模式形成，健康消费意识提升，居民医药消费需求持续强劲

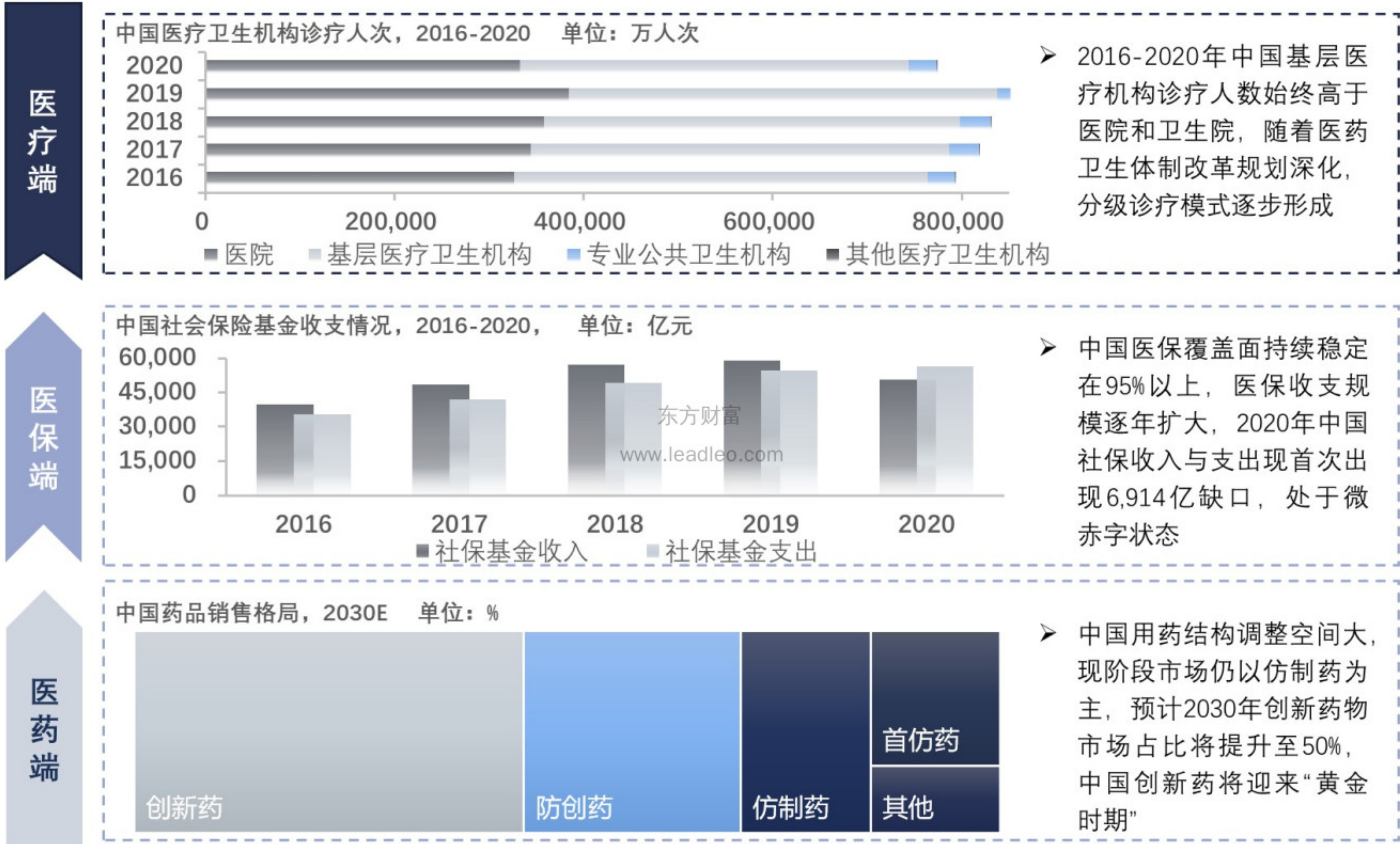
图表16：中国医药市场国际需求端



中国医药国际需求端和本土需求端强劲

在新冠疫情蔓延，全球经济增长乏力，经贸格局深度调整和各国政策不确定性因素增加等环境下，中国医药外贸强势反弹，进出口额均创历史新高。2020年中国医药品进出口总额4,094亿人民币，同比增长12.13%。另随着医药卫生体制改革规划深化，分级诊疗模式逐步形成，健康消费意识提升，居民医药消费内需持续强劲

图表17：中国医药市场本土需求端



来源：国务院，海关总署，医保局，卫健委，头豹研究院

Chap 2

中国肿瘤治疗五大趋势

- 流行病学趋势
- 肿瘤治疗趋势
- 研发审批趋势
- 治疗支付趋势
- 企业发展趋势

东方财富
www.leadleo.com

■ 流行病学—肿瘤发病现状

- 全球癌症持续高发，乳腺癌成为全球第一大癌。中国新发癌症人数和癌症死亡人数位居全球第一，癌症患者承受沉重的疾病负担，存在着巨大的未满足需求

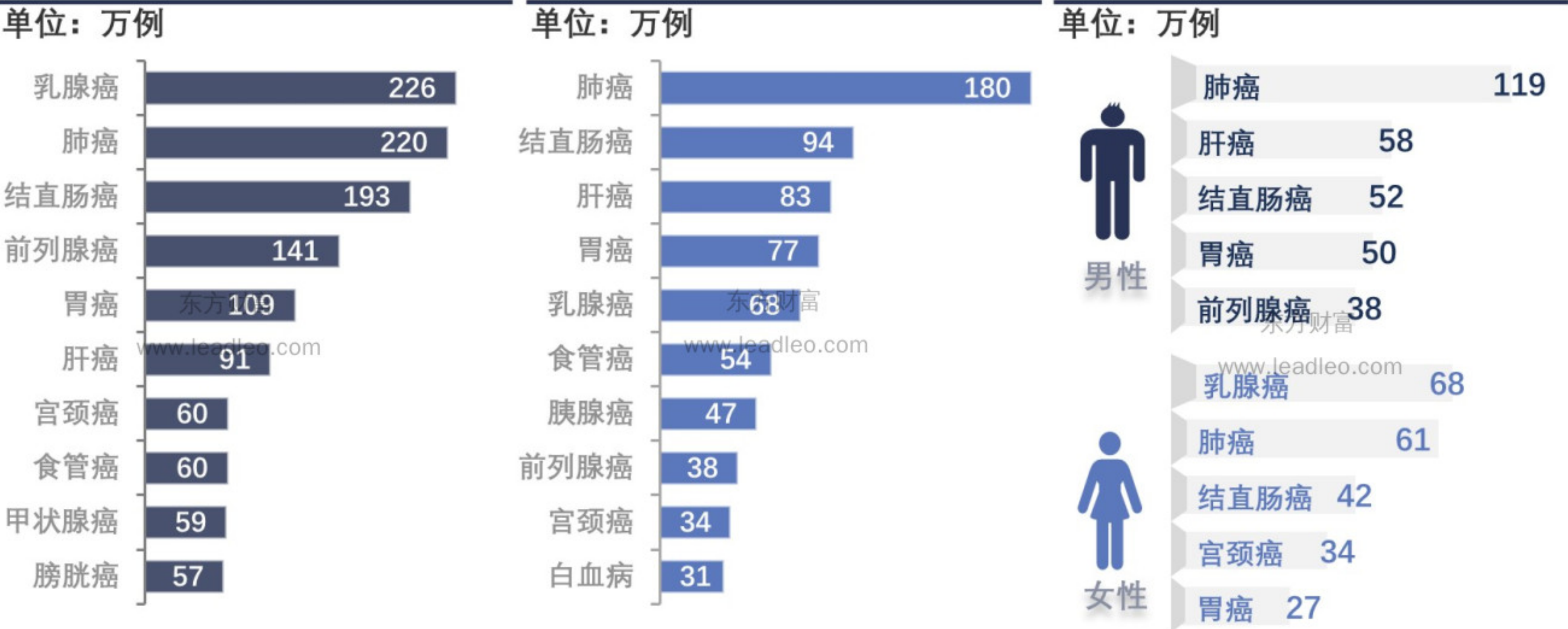
□ 全球癌症持续高发，乳腺癌成为全球第一大癌

根据世界卫生组织国际癌症研究机构（IARC）统计，2020年全球新发癌症病例1,929万例，全球乳腺癌新发病例高达226万例，成为全球第一大癌。2020年全球癌症死亡病例996万例，其中肺癌死亡180万例，远超其他癌症类型，位居癌症死亡人数第一

图表18：全球发病率前十癌症，2020

图表19：全球死亡率前十癌症，2020

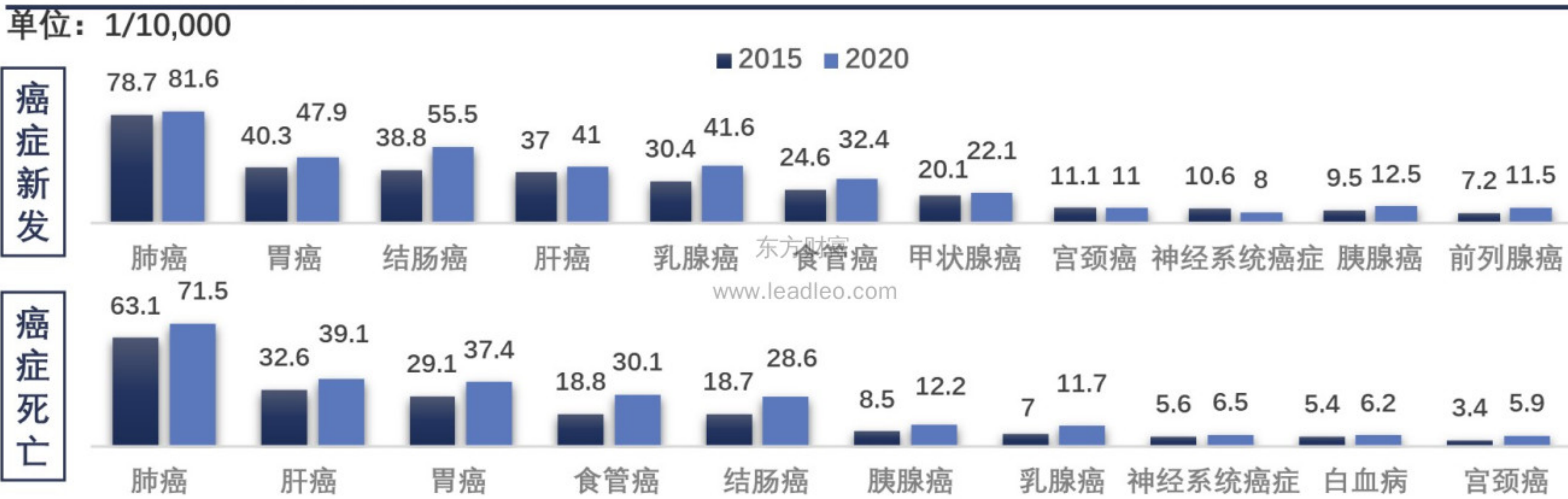
图表20：死亡率前五癌症（按性别）



□ 中国新发癌症人数和癌症死亡人数位居全球第一

2020年中国新发癌症457万人，占全球23.7%，癌症新发病例数前十的癌症分别是肺癌82万，结直肠癌56万，胃癌48万，乳腺癌42万，肝癌41万，食管癌32万，甲状腺癌22万，胰腺癌12万，前列腺癌12万，宫颈癌11万，十种癌症占新发癌症数78%。2020年中国癌症死亡人数300万，占全球癌症死亡总人数30%。

图表21：中国主要癌症新发和死亡数量，2015-2020

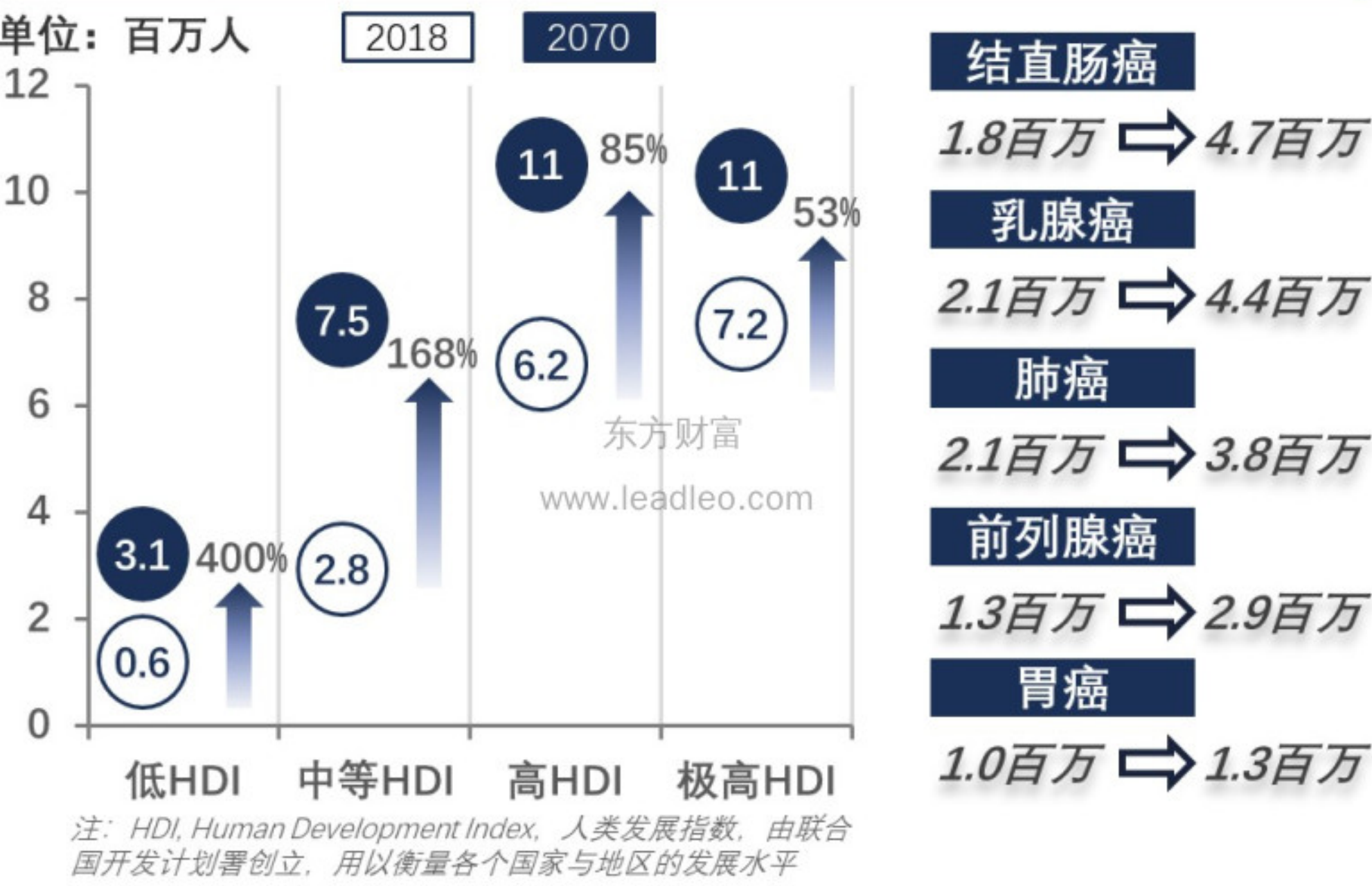


来源：IARC，头豹研究院

流行病学—肿瘤发病趋势

- 国际癌症研究机构预测到2070年全球每年将新增3,400万癌症病例，推测结直肠癌，乳腺癌，肺癌前列腺癌，胃癌和宫颈癌增幅最大。癌症负担不断加重，肿瘤早筛价值凸显

图表22：全球癌症病发预测，2018-2070

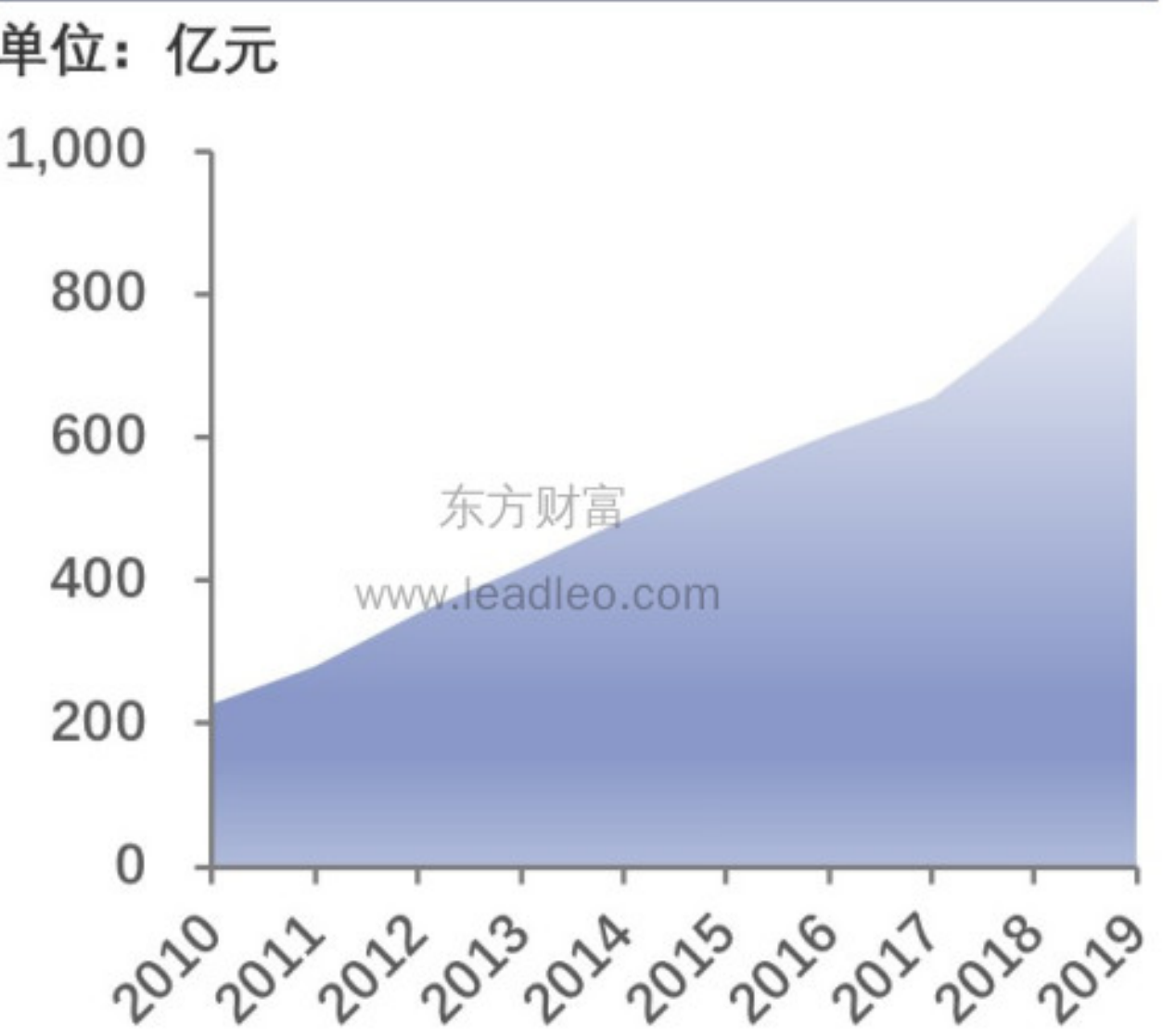


趋势一：癌症持续高发

国际癌症研究机构（IARC）就未来50年的全球癌症负担进行预测：如无其他有效措施遏制癌症，2070年全球每年将新增3,400万癌症病例，相比2020年数据翻一倍。通过推测6种癌症2018年至2070年发病率的演变发现，预计增幅最大依次为结直肠癌，乳腺癌，肺癌，前列腺癌，胃癌和宫颈癌

结直肠癌	1.8百万	4.7百万
乳腺癌	2.1百万	4.4百万
肺癌	2.1百万	3.8百万
前列腺癌	1.3百万	2.9百万
胃癌	1.0百万	1.3百万

图表23：中国肿瘤医院收入，2010-2019



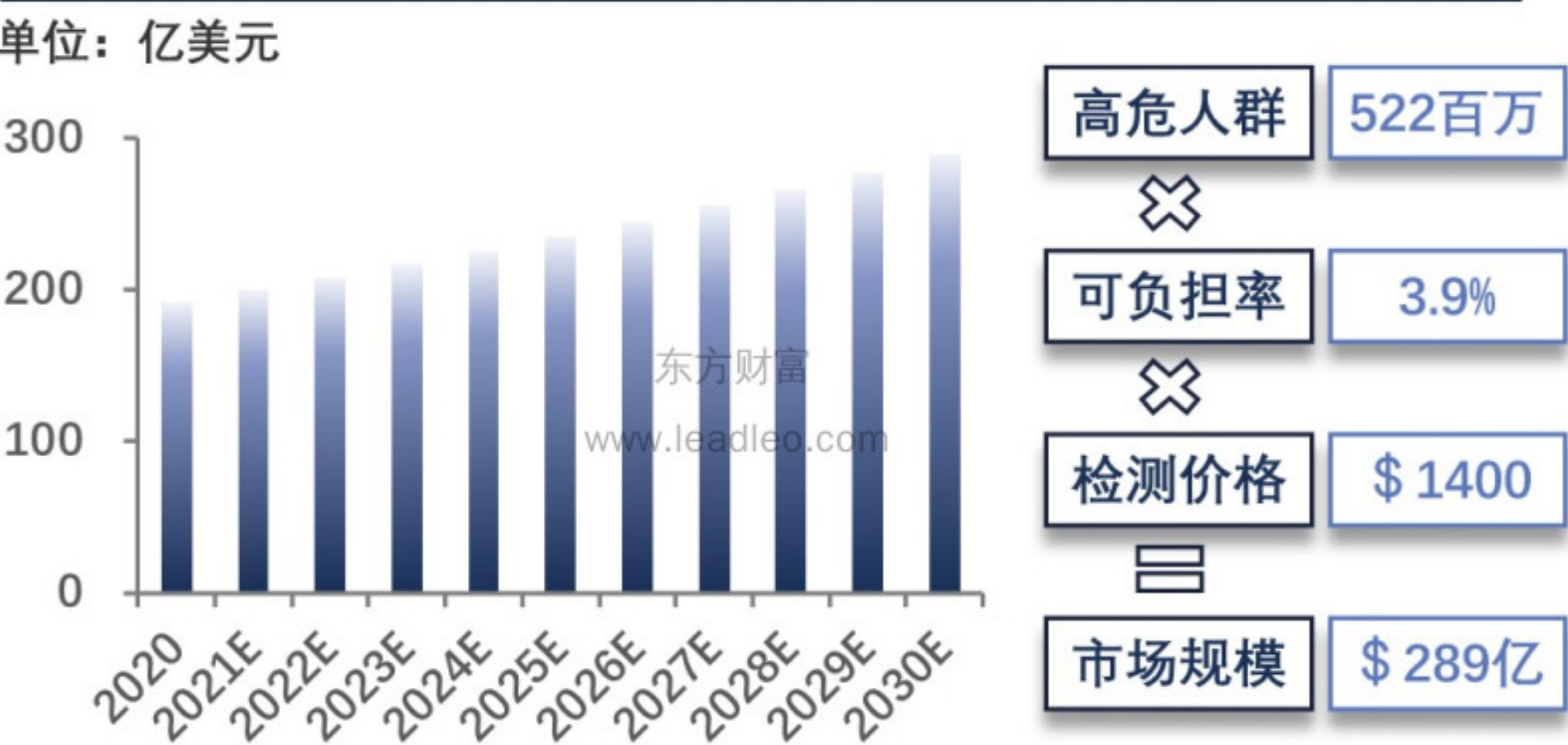
图表24：癌症治疗费用



趋势二：癌症负担不断加重

2019年中国肿瘤医院总收入达到912.6亿元，较上年增长19.3%；利润总额为81.4亿元，同比上升79.4%。部分治疗癌症的靶向药在进入中国早期，价格高昂，给患者带来沉重的经济负担。2021年医保报销后价格随较之前有大幅下降，但整体价格水平仍然较贵，癌症患者经济负担仍然较大

图表25：中国肿瘤早筛市场规模，2020-2030E



趋势三：肿瘤早筛方兴未艾

肿瘤早期筛查是早期发现癌症和癌前病变的重要途径，对癌症预防发挥重要作用。中国肿瘤早筛市场目标人群是能够负担得起早筛费用的高风险人群，群体年龄通常处于50-75岁之间。中国肿瘤早筛市场潜在规模有望从2020年191亿美元增长至2030年289亿美元，年复合增长率为4.23%

来源：Nature Reviews, 卫建委, 国际肺癌研究协会, 头豹研究院

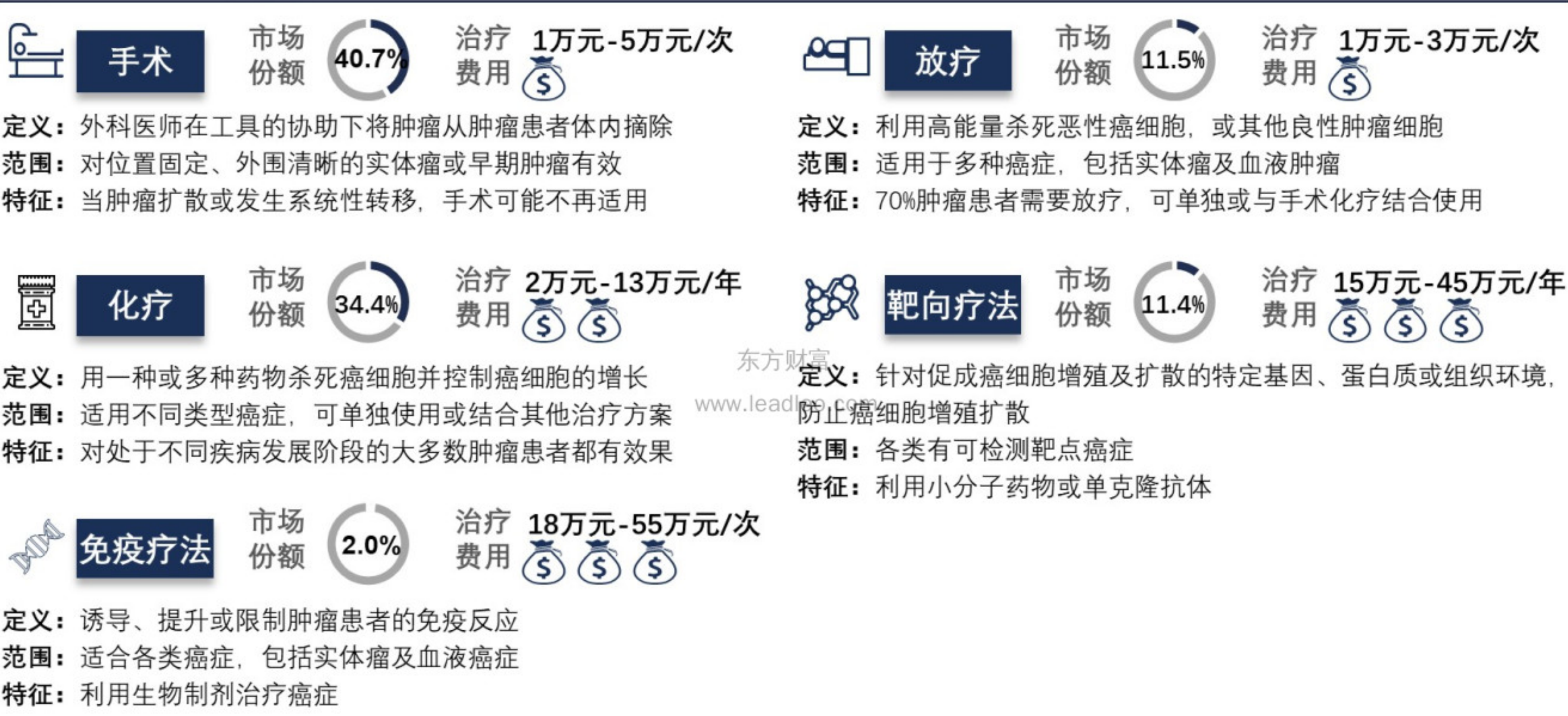
■ 肿瘤治疗

- 肿瘤治疗方式包括手术，放疗，化疗，靶向疗法和免疫疗法，治疗药物分为化学药和生物药，生物药以单克隆抗体，双特异性抗体，ADC药物，细胞治疗，基因治疗和溶瘤病毒为主

□ 肿瘤治疗方式和治疗药物

肿瘤治疗方式主要包括手术，放疗，化疗，靶向疗法和免疫疗法，治疗药物分为化学药和生物药，其中生物药以单克隆抗体，双特异性抗体，ADC药物，细胞治疗，基因治疗和溶瘤病毒为主

图表26：主要肿瘤治疗方式



图表27：主要肿瘤治疗药物分类

药物分类	形式	技术平台	靶向治疗	抗肿瘤机制	常见靶点
化学药	小分子	化疗药物	否	抑制细胞增殖过程	无
		靶向小分子	是	针对肿瘤细胞生长、增殖、转移和凋亡的关键路径	EGFR, ALK, CDK4/6等
生物药	蛋白	单抗	是	既可以针对肿瘤细胞生长、增殖、转移和凋亡的关键路径，又可以利用激活免疫系统杀伤肿瘤细胞	VEGF, HER2, PD-1, PD-L1, CTLA4, CD20等
		双特异性抗体		单抗特异性识别肿瘤细胞，化疗药物定向杀伤肿瘤细胞	HER2, Trop2, CD30等
	蛋白+小分子	ADC药物		人工改造激活免疫细胞，并增加定位导航装置以定向高效杀伤肿瘤	CD19, BCMA
	细胞	细胞治疗		直接从基因层面改造，从根本改变肿瘤形成机制	p53基因等
	核酸	基因治疗		特异性识别并感染肿瘤细胞，通过复制产生大量病毒导致肿瘤细胞破裂	ICAM-1, 整合素等
	微生物	溶瘤病毒			

来源：海吉亚招股说明书，头豹研究院

■ 肿瘤治疗趋势1—细胞治疗蓄势待发

- 肿瘤免疫治疗已革命性地改变癌症治疗的效果，同时改变治疗癌症的理念。近年来细胞医学热度上升，研究从细胞异质性和进化的角度认识肿瘤的免疫逃逸、转移和耐药

□ 趋势一：肿瘤免疫治疗革命性改变癌症治疗效果，未来产业前景广阔

细胞治疗是利用来自患者或供体的活细胞来替代受损或患病的细胞或刺激身体的免疫反应或再生的治疗。主要包括嵌合抗原受体T细胞疗法（CAR-T）、肿瘤浸润淋巴细胞（TIL）疗法、工程T细胞受体（TCR）疗法、NK细胞（自然杀伤细胞）免疫疗法、NKT细胞（自然杀伤T细胞）免疫疗法等，目前CAR-T疗法研究最热门

图表28：细胞治疗类别及研究适应症

细胞治疗	干细胞治疗	帮助受到高剂量化疗或放疗损伤的患者恢复自身造血干细胞的方式	干细胞移植	• 白血病 • 淋巴瘤
	过继细胞转移疗法	收集并使用患者自身的免疫细胞来治疗癌症的方式	CAR-T	• 儿童急性淋巴细胞白血病 • 成人晚期淋巴瘤
			TILs	• 黑色素瘤 • 宫颈癌
			TCR	• 黑色素瘤 • 肉瘤
			NK/NKT	• 复发性或难治性非霍奇金淋巴瘤 • 慢性淋巴细胞性白血病
	其它			

□ 细胞医学热度提升，从细胞医学的角度认识肿瘤

中国科学院院士、军事科学院张学敏院士表示，细胞医学是在细胞水平认识疾病发生机制的基础上，通过细胞修复、细胞改造、细胞调控等手段实现疾病治疗的医学科学。近年关于程序性细胞死亡的相关研究不断，不同细胞死亡途径的调节器和效应器是非常有吸引力的治疗靶点，可构成转化医学的基础并改善疾病治疗

图表29：医学治疗肿瘤的认识进展



图表30：程序性细胞死亡的分类



来源：Cell Death & Differentiation, CSCO, 头豹研究院

■ 肿瘤治疗趋势2—精准医疗正当时

- 精准医学是未来肿瘤治疗的发展方向，肿瘤精准医疗热点包括MRD（分子/微小残留病灶），HRD（同源重组缺陷），ctDNA（循环肿瘤DNA），肿瘤早筛及NGS应用（或入院）

□ 趋势二：精准医疗，肿瘤医学领域新一代测序的未来

精准医疗是在循证医学的基础上，结合蛋白组学、转录组学和代谢组学等前沿技术，对于大样本人群进行基因水平的分析和研究，寻找疾病的病因和治疗靶点，对疾病的分类有更深刻的认识以对疾病状态进行精确分类，最终实现个体化治疗的目的

2021年CSCO年会肿瘤精准医疗热点涉及MRD（分子/微小残留病灶），HRD（同源重组缺陷），ctDNA（循环肿瘤DNA），肿瘤早筛及NGS应用（或入院）。于金明教授指出，精准医学是未来肿瘤治疗的发展方向，在临床实践中要充分评估患者的一般状况和肿瘤特征，包括肿瘤生物学特征、细胞特征、分子特征、靶基因、生物标志物等，以帮助临床医生制定个体化、精准化治疗方案，为患者“量体裁衣”。中国恶性肿瘤患者数量多、增长快、病情重，在后基因组时代，精准医学的发展不能仅限于追求治疗药物及治疗手段的精准，更应追求防控人群选择、医疗资源配给上的精准，才能有效提升肿瘤患者的生存期和生活质量

图表31：CSCO年会精准医疗热点趋势，2021



来源：CSCO，头豹研究院

■ 肿瘤治疗趋势3—中医正在改变现代医学

- 中西医结合治疗肿瘤发挥着重要作用，特别是在维持治疗期和姑息治疗期已得到专家共识。中药新药治疗恶性肿瘤可分为治疗用药、辅助用药、改善症状用药

□ 趋势三：中西并重，共创未来，中西医结合演绎肿瘤治疗新策略

中医药治疗肿瘤发挥着重要的作用，特别是在维持治疗期和姑息治疗期在专家共识中得到充分肯定。在用药方面，中药新药治疗恶性肿瘤可分为治疗用药、辅助用药和改善症状用药。肿瘤治疗用药是指单独应用可使肿瘤缩小、疗效持续稳定或延长生存期及配合常规西医治疗可提高疗效。辅助用药目的是在不影响放疗、化疗等西医治疗方法疗效前提下，减轻常规治疗方法所致的不良反应，同时提高生活质量。改善症状用药则是为了提高肿瘤稳定率、改善疼痛等症状、提高体力状况

图表32：中医学结合治疗肿瘤案例

不良 反应	北京大学肿瘤医院 薛冬教授 乳腺癌治疗常见不良反应的 中西医结合处理	并发症	北京中医药大学东方医院 李泉旺教授 肿瘤及并发症的中西结合治疗	联合 用药	上海长海医院 翟笑枫教授 肝癌治疗进展与中西医结合 研究切入点
	对于乳腺癌的潮热症状、上肢水肿、骨髓抑制、恶心呕吐、口腔溃疡、皮疹等一系列乳腺癌不良反应，中医药都可以有效改善症状		华蟾素腔内灌注具有改善胸腹水、膀胱癌血尿、血性心包积液临床效果，中药围敷、穴位贴敷等外治技术在缓解癌性溃疡、术后胃瘫等并发症具有临床疗效		小肝癌切除术后联合传统中药用药一年，较常规术后TACE治疗可减少30.5%的复发风险，同时RFS达到85.83个月vs常规TACE组RFS26个月，不良反应低于常规化疗

□ 分子配伍在中西医结合治疗中凸显优势

增效减毒是中西医结合治疗肿瘤的特色和优势，中药配伍是中医辩证论治的精髓。近年来分子配伍在临床应用上已获成功，尤其在抗癌方面独具优势。中医学与现代医学有机整合，克服了中药物质基础不明和西药靶点单一的缺点，同时兼取了中药多分子、多靶点、多通道的优势和现代医学靶向性强的优点，为克服肿瘤治疗抵抗提供新的途径和策略



图表33：具有增强抗肿瘤药物敏感性或逆转耐药的中药活性成分

中药名称	主要来源	作用肿瘤
榄香烯	温郁金	肺癌，乳腺癌，大肠癌，神经胶质瘤
姜黄素	姜黄	肺癌，大肠癌，前列腺癌，胃癌，宫颈癌，卵巢癌
白藜芦醇	虎杖，桑葚，花生，葡萄等	乳腺癌，大肠癌，口腔鳞癌，肾癌，卵巢癌，神经胶质瘤
PHY906	黄芪，甘草，芍药，大枣	大肠癌，肝癌
雷公藤甲素	雷公藤	口腔鳞癌
水飞蓟素	水飞蓟	前列腺癌，肝癌
黄芩素	黄芩	肺癌，胰腺癌

来源：CNKI，头豹研究院

■ 肿瘤治疗研发审批

- 肿瘤药物研发蓬勃发展，注册药物试验数量持续增长，试验分期以 I 期试验为主，注册药物临床试验适应症覆盖多个病种，研发能力数量和质量呈现双增长趋势

□ 中国药企研发积极活跃，研发能力数量和质量呈现双增长趋势

十三五期间，中国临床试验机构能力稳步提高，全国备案临床试验机构总数达1,021家。肿瘤药物研发蓬勃发展，注册药物试验数量持续增长，从2016年的222项增加到2020年的722项，增幅达225%，试验分期以 I 期试验占据主体地位。2020年肿瘤药物临床试验涉及27种适应症，病种广泛，覆盖多瘤种药物研发有望。中国制药企业成为肿瘤药物研发的中坚力量，尤其是近三年平均贡献率达84.3%。原研药物、靶向药物和免疫药物临床研究数量增长较为明显，尤其是免疫药物研究，从2016年的25项增加到2020年的229项

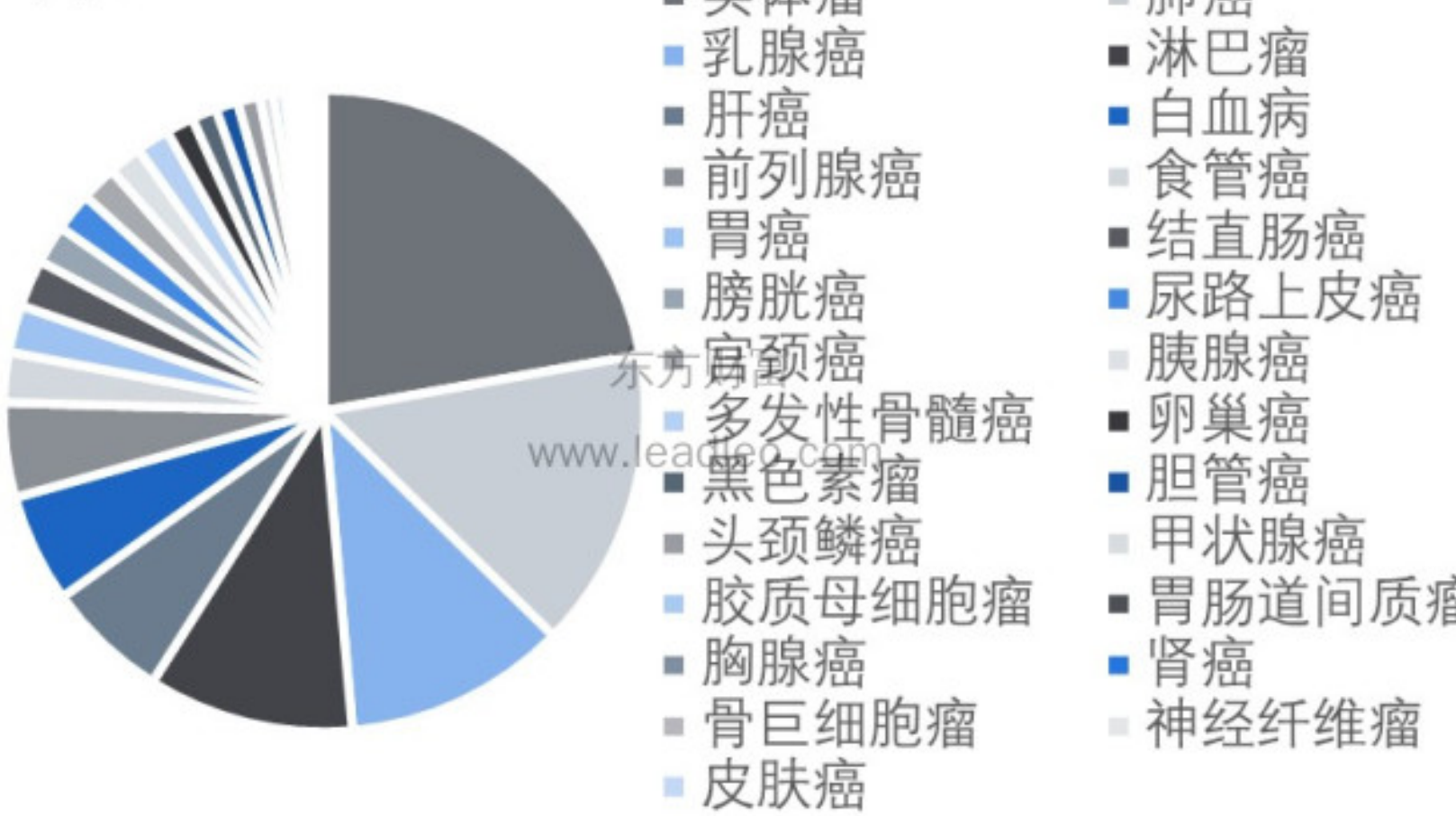
图表34：中国肿瘤药物临床试验项目，2016-2020



图表36：中国肿瘤药物临床试验分期分布，2019-2020
单位：%



图表37：中国肿瘤药物临床试验适应症分布，2020
单位：%

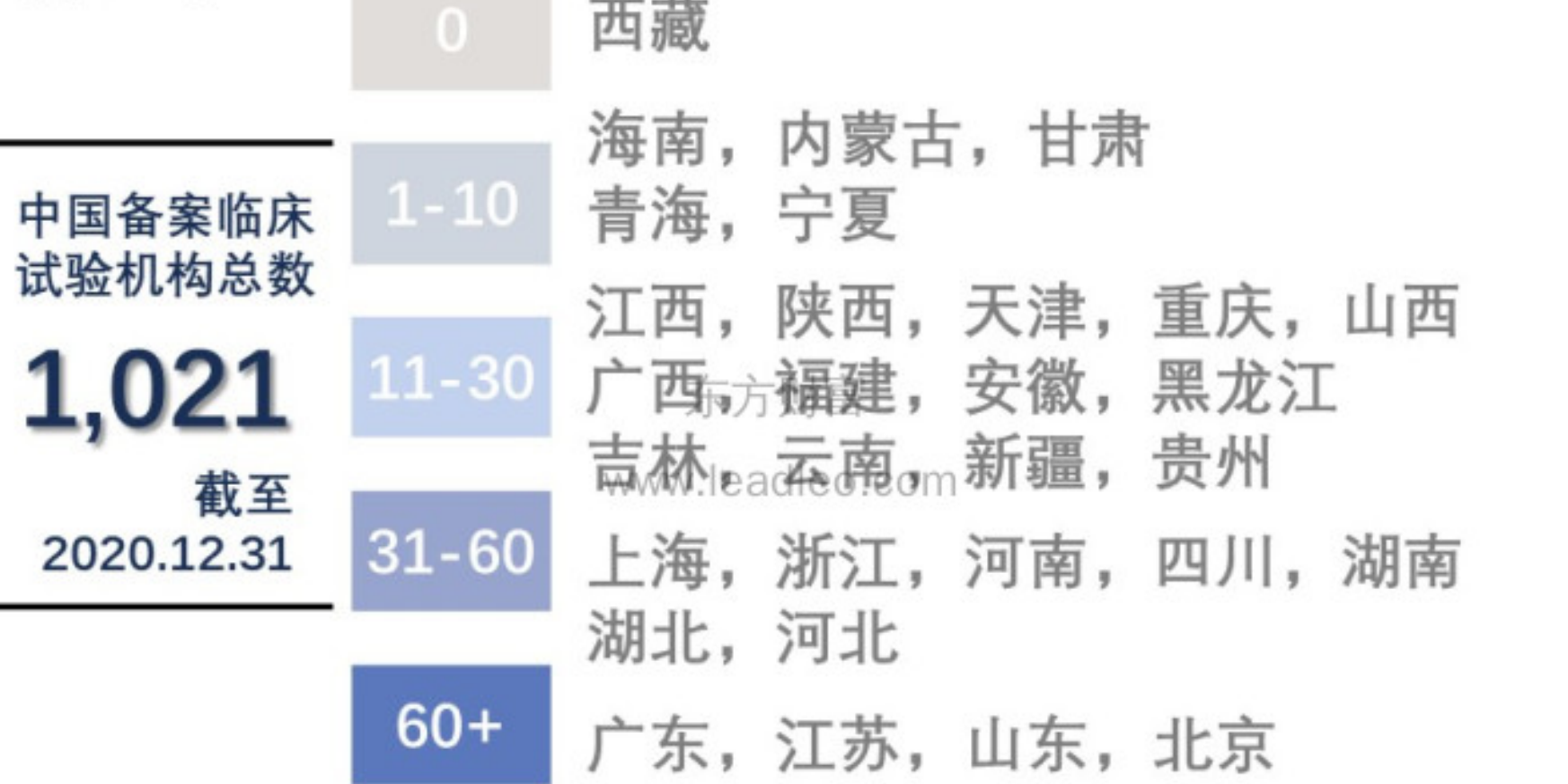


来源：中国医学科学院，NMPA，国家癌症中心，CDE，头豹研究院

图表35：中国肿瘤药物临床试验项目药物类型，2016-2020



图表38：中国备案临床试验机构分布及数量，2020
单位：个



■ 肿瘤治疗研发审批趋势

- “以患者为中心，以临床价值为导向”是肿瘤药研发的根本；肿瘤药开发应“以上市为目标，不以上市为终点”，关注长期用药安全性，建立药品全生命周期管理

图表39：中国肿瘤药物研发现存痛点



图表40：中国肿瘤药物研发审批趋势展望

制定研发整体策略

- 研究人群：大瘤种or罕见瘤种；全人群or生物标志物细分人群；后线or一线；晚期or早期
- 对照组选择：阳性照药or最佳支持治疗(BSC)
- 给药方案：单药or联合
- 研究终点：Os or替代终点/中间终点；单终点or双终点
- 相关研究的齐头并进/ADC VS化疗/双抗VS单抗……

剂量选择更佳精准与科学

- 单药：R2PD的选择
不是所有的抗肿瘤药剂量都应采用MTD
固定剂量还是按公斤体重拟定剂量需要有数据支持
基于受体结合情况、药代、药效、安全性综合考虑
- 联合用药：采用各自单药剂量是否增加安全性风险
- 给药方案： BID vs QD/同步vs序贯/每周一次vs每三周一次

更具临床价值的联合用药

- 联合用药要合理，需根据肿瘤符合情况选择不同的药物组合，根据不同人群的生物学特征选择不同组合
- 不同时期可以采用不同的联合模式
- 根据肿瘤负荷情况选择不同的药物组合
- 根据不同的转移模式选择不同的药物组合
- 根据不同人群的生物学特征选择不同组合

明确进入关键研究的标准

- 研究人群是否确定？如有伴随诊断方法学是否确证？后续是否同步研发伴随诊断？
- 剂量是否合理？依据充分？
- 目标剂量下数据积累是否可以初步评价有效性
- 目标剂量下的安全性情况
- 联合用药的析因

关注长期安全性

- 在肿瘤慢病化时代，需要关注长期用药安全性
- 随着患者暴露量的增加，安全性信息不断完善，关注数据采集过程、数据质量(安全性数据的规范化)
- 说明书设计应科学合理，内容全面准确；
- 做好上市后的风险管理计划，需要更加细化警示语、不良反应、禁忌以及注意事项等用药后导致显著的临床不良反应和风险，

以患者为中心

- 回归患者群体，倾听患者声音
- 以患者需求为导向，确定研发立题
- 体现患者需求的临床试验设计
- 患者报告结局(patient reported outcome, PRO);
- 减少受试者负担；随访时间合理以及进行随访方式优化比如开展去中心化临床试验

来源：CDE，CSCO，头豹研究院

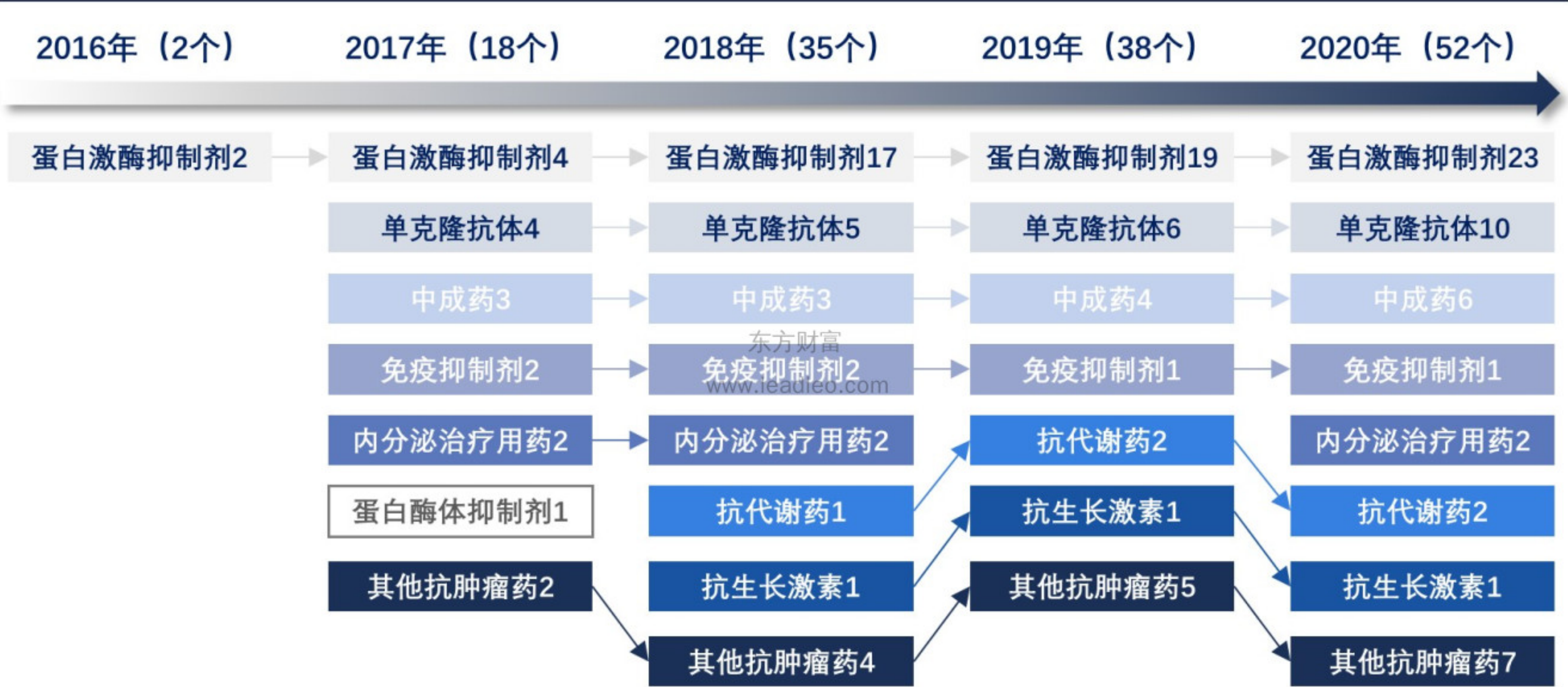
■ 肿瘤治疗负担与支付

- 国家医保谈判目录抗肿瘤药品总数从2016年的2个增至2020年的52个，国谈抗肿瘤药品品种逐渐丰富，但仍未能满足肿瘤患者治疗需要，肿瘤患者治疗经济负担仍然较重

□ 2020国家医保谈判目录抗肿瘤药品增至52个

国家医保谈判是近年医保药品目录准入的重大创新与重要政策举措，协议期内抗肿瘤药品总数从2016年的2个增至2020年的52个。小分子靶向药物和大分子单克隆抗体类药物为代表的新型抗肿瘤药物需求迫切，国谈抗肿瘤药品品种逐渐丰富，但仍未能满足肿瘤患者治疗需要，肿瘤患者治疗经济负担较重

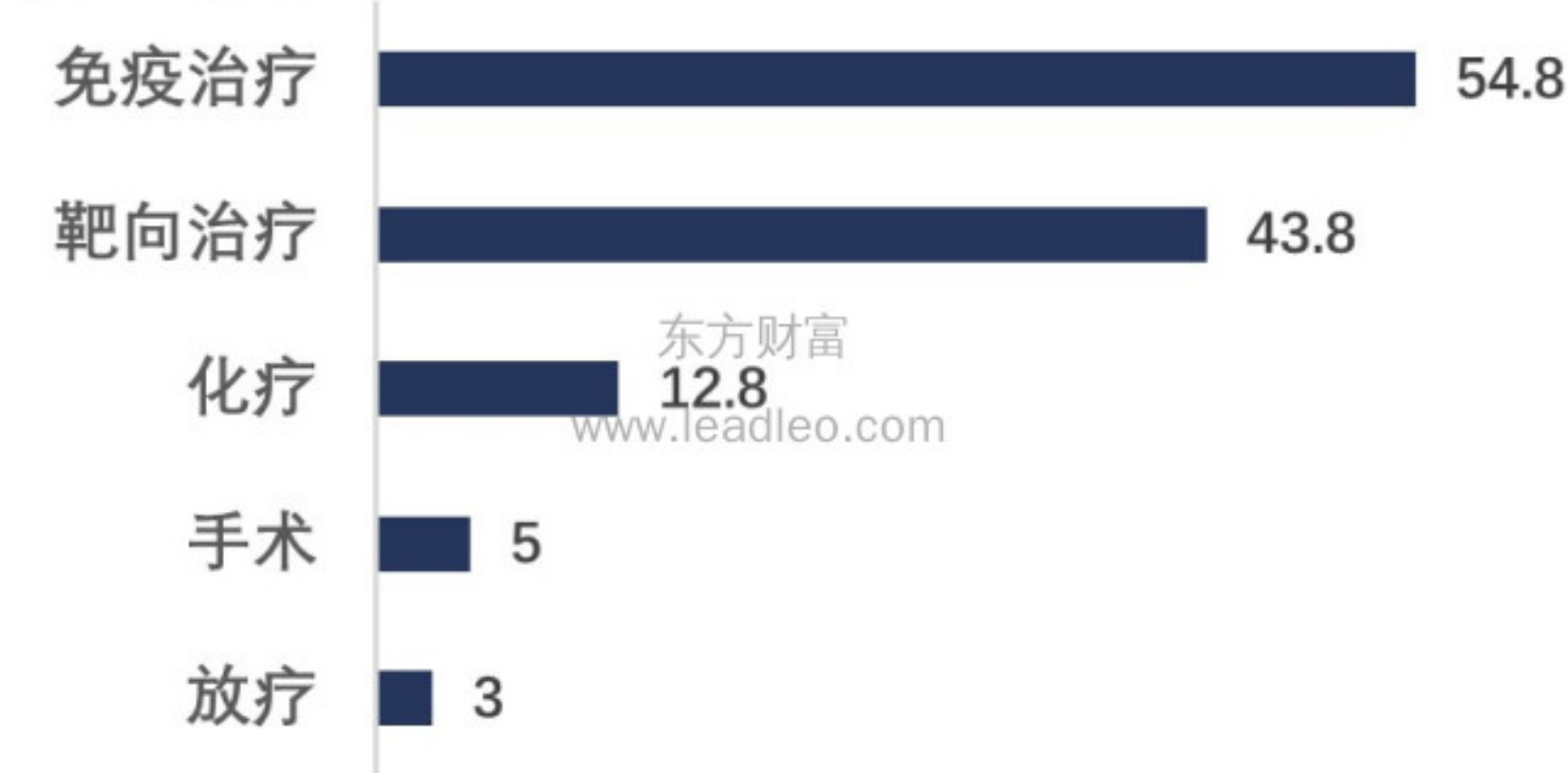
图表41：抗肿瘤药物进入国家医保谈判药品总览



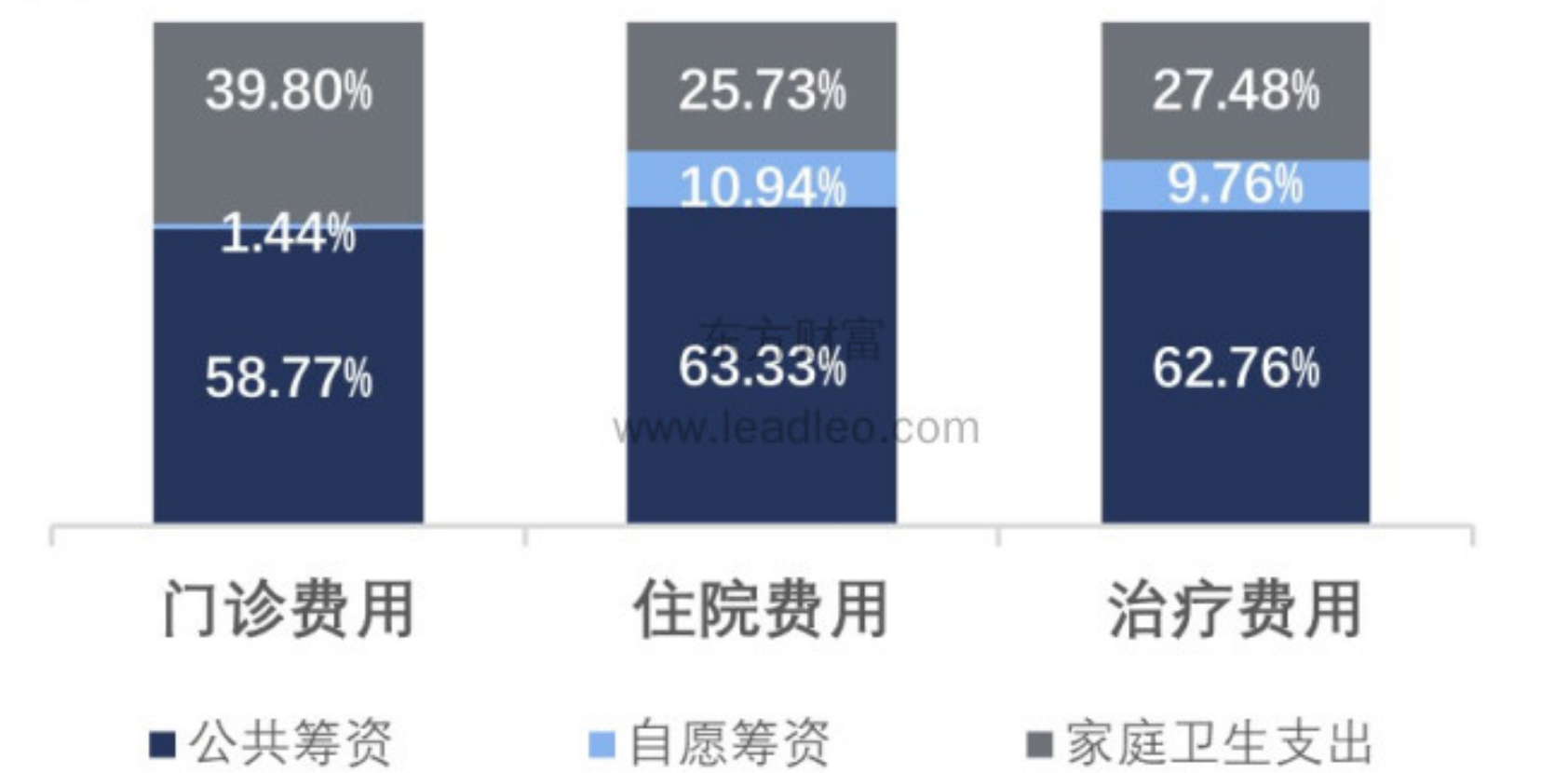
□ 肿瘤发病趋势带来治疗费用持续增长，治疗负担加重

据国家卫生健康委卫生发展研究中心统计，肿瘤治疗费用来源于公共筹资方案，自愿筹资方案和家庭卫生支出。据中国医疗保险研究会统计，肿瘤患者人均医保基金支付比例高出于总参保患者平均水平9%，人均个人负担高达4万元，恶性肿瘤住院患者药品费用是30种疾病中最高的一个病种

图表42：肿瘤治疗方式费用
单位：万元



图表43：肿瘤治疗费用支出比例，2018
单位：%



来源：Nature Reviews，卫建委，国际肺癌研究协会，中国医疗保险研究会，头豹研究院

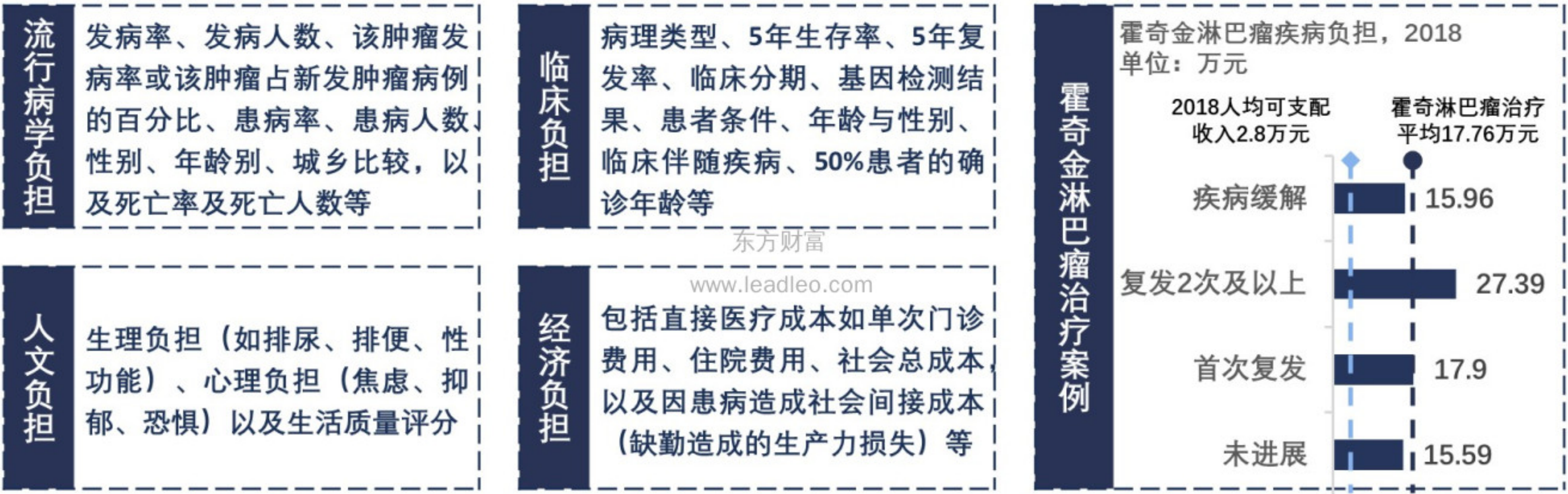
■ 肿瘤治疗支付趋势

- 肿瘤治疗负担重，政策将持续推进医保支付方式改革，推行以按病种付费为主的多元复合式医保支付方式，并逐渐向按价值付费方向转变

□ 肿瘤疾病成本是灾难性医疗支出

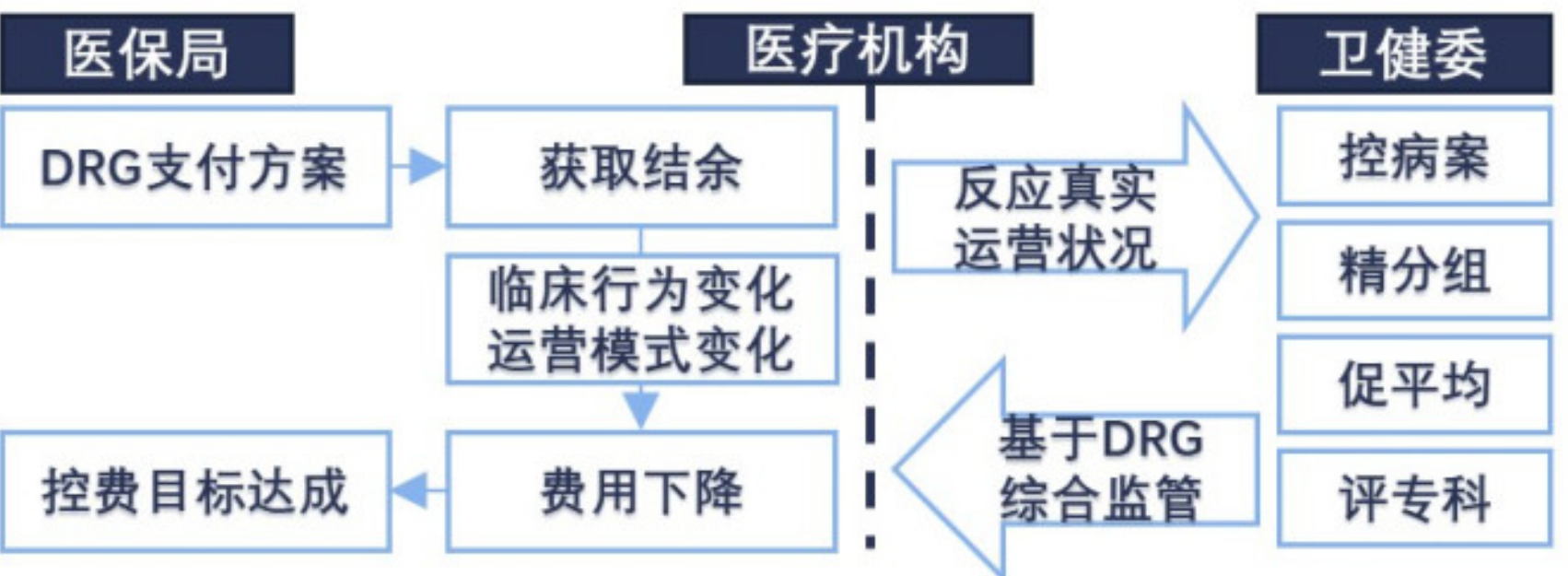
广义的疾病负担包括流行病学负担，临床负担，人文负担和经济负担。以霍奇金淋巴瘤为例，2018年中国霍奇金淋巴瘤的经济负担平均为17.76万元，远高于中国人均可支配收入2.8万元，为家庭年收入中位数的2.53倍，可视为灾难性医疗支出

图表44：疾病负担定义和肿瘤疾病负担案例



□ 趋势一：医保支付迈入DRG时代

政策将持续推进医保支付方式改革，推行以按病种付费为主的多元复合式医保支付方式，推广按疾病诊断相关分组付费，医疗康复、慢性精神疾病等长期住院按床日付费，门诊特殊慢性病按人头付费



□ 趋势二：未来逐渐由DRGs付费进化为按价值付费

“价值医疗”指的是医疗体系应以“价值”为核心，关注每单位医疗开支所获取的医疗效果，而非医疗服务量。支付体系应结合质量指标，考虑连续整合的服务，且考虑疾病风险差异，向按价值付费方向转变

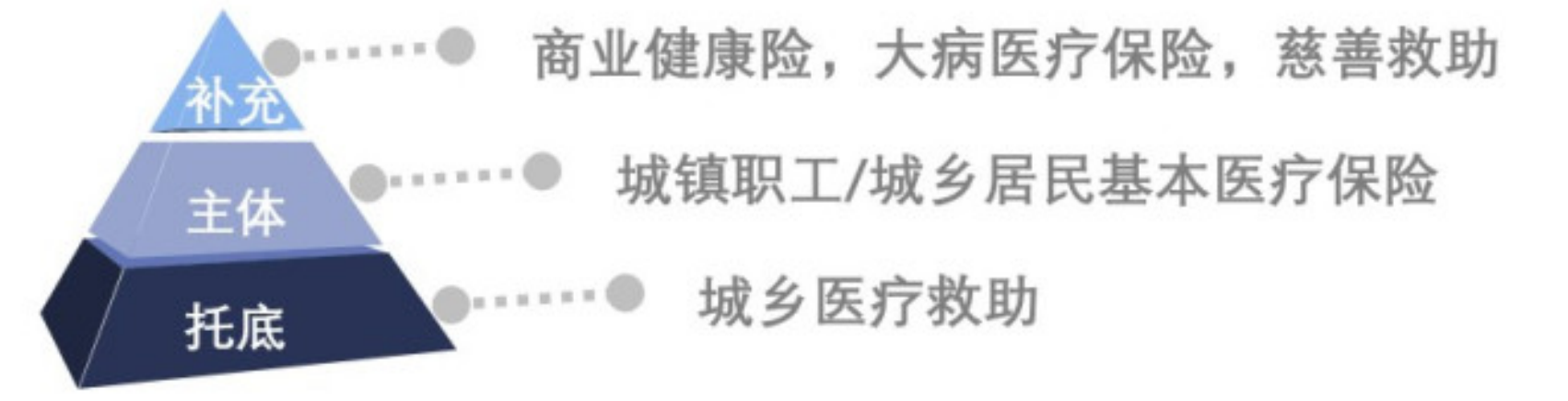
$$\text{价值} = \frac{\text{医疗质量}}{\text{成本}} = \frac{\text{可及性} \times \text{结果} \times \text{满意度}}{\text{总体成本/服务量}}$$

医疗质量是价值医疗的核心

- 可及性：医疗可获得性，等待时间，服务能力
- 健康结果：临床结果，活动能力，生产能力
- 满意度：患者，医护人员，支付方

□ 趋势三：商业保险补充作用逐渐凸显

政策持续引导建成以基本医疗保险为主体，医疗救助为托底，补充医疗保险、商业健康保险、慈善捐赠、医疗互助共同发展的多层次医疗保障制度体系



来源：医药经济报，国家卫健委医院管理研究所，望海康信，头豹研究院

中国肿瘤药企业现状

- 中国药物研发阶段将进阶发展为3.0模式开放创新，该模式通过并购整合方式，引进研发技术、创新项目及研发团队，进而快速切入国际市场，实现研发创新与国际化并举

图表45：中国药物研发阶段趋势



中国药物研发阶段进阶发展为3.0模式开放创新

中国药物研发阶段由1.0模式由仿到创，进阶为2.0模式生而创新，最后发展为3.0模式开放创新，该模式通过并购整合方式，引进研发技术、创新项目及研发团队，进而快速切入国际市场，实现研发创新与国际化并举。中国肿瘤药企发展迅猛，依据欧美成熟医药市场发展规律，未来大型肿瘤药企将通过并购和购买专利等方式，提升自身研发水平能力。而小型Biotech公司将通过药物或将公司卖给大型药企的方式，减少公司在生产和市场等支出，保持公司对药物研发持续投入

图表46：中国肿瘤药物企业发展驱动因素与趋势



来源：药明康德，头豹研究院

中国肿瘤药企业趋势1—产品差异化

- 产品差异化是本土创新公司的生存基础，由Me-too/Me-better向Best-in-class过渡，最终开发First-in-class的药物，是中国从医药大国转变为医药强国的重要途径

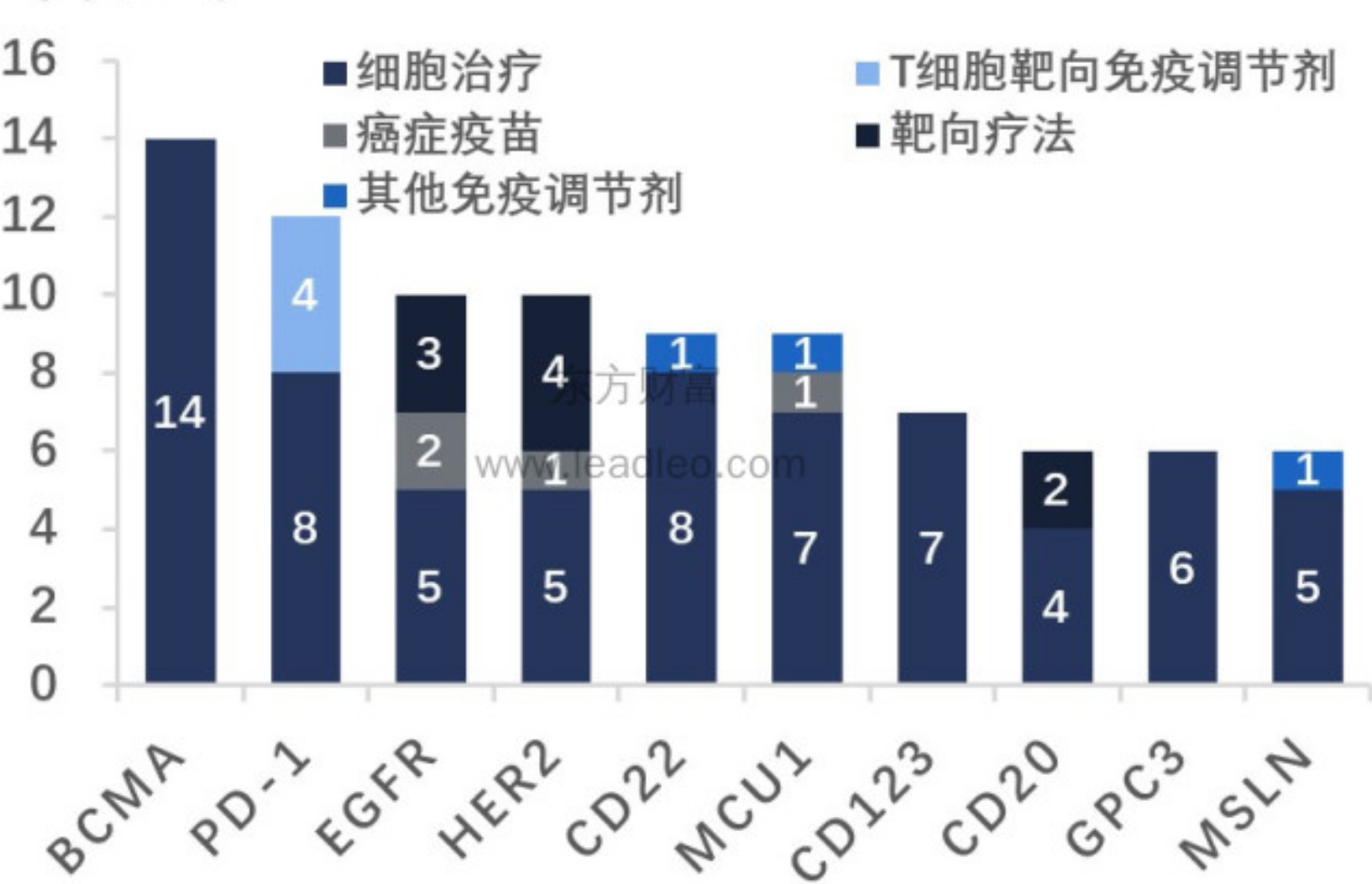
趋势一：产品差异化是本土创新药公司的生存基础

2021年7月2日，CDE发布《以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研发指导原则（征求意见稿）》，要求新药研发应以为患者提供更优的治疗选择为最高目标，应尽可能为受试者提供临床实践中最佳治疗方式/药物。应对挑战，产品差异化是本土创新公司的生存基础。产品差异化的基本特点是以患者需求为中心，设计患者需求的药品，比如：合成显著有别于现有疗法的全新机制的分子；研发疗效和/或安全性有显著性优势的产品；与现有疗法互补；更优异的患者顺应性或者规模性生产成本显著下降、药费下降等

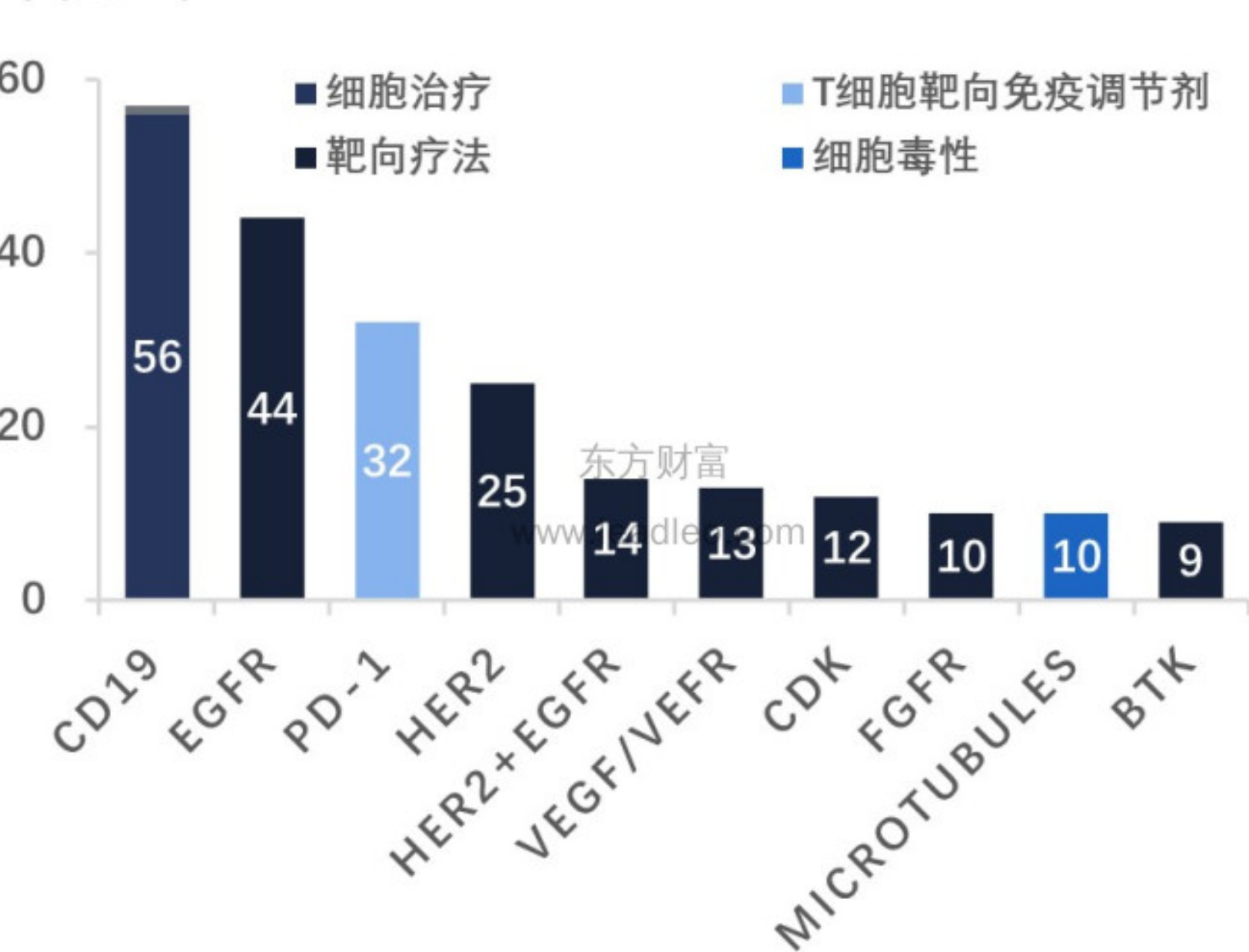
图表47：首创式新药与跟进式新药特点对比



图表48：中国First-in-class产品Top10靶标
单位：个



图表49：中国Me-too产品Top10靶标
单位：个



来源：药明康德，Pharm Projects，头豹研究院

中国肿瘤药企业趋势2—业务商业化

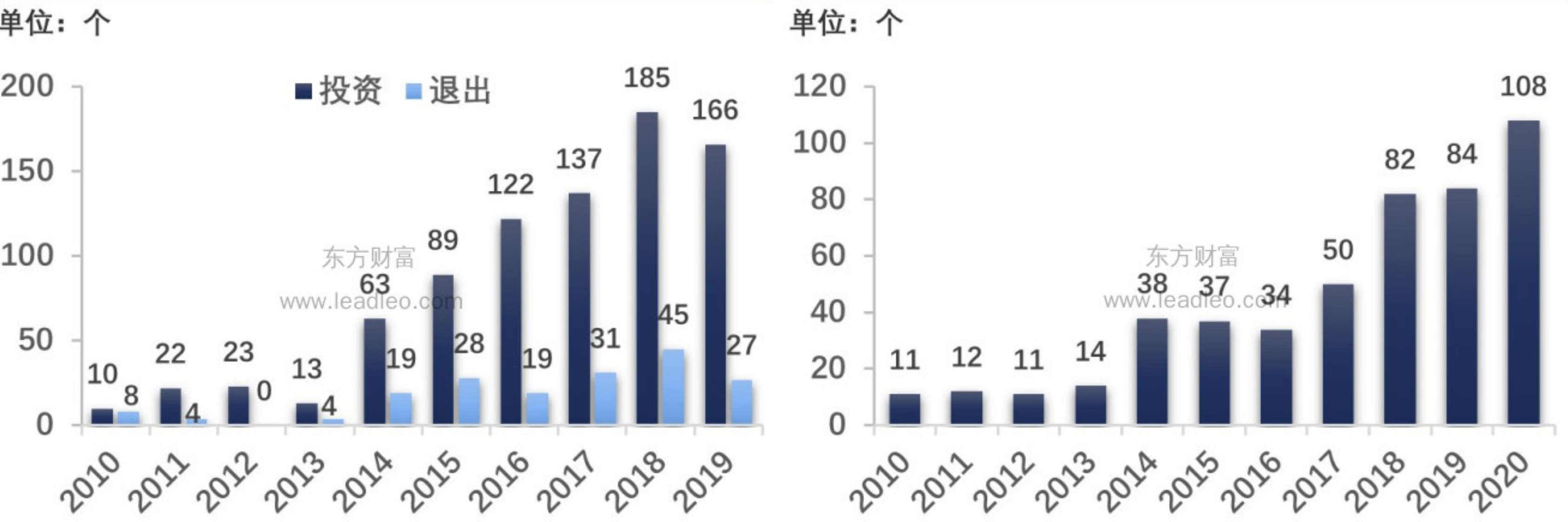
- 中国药企License in研发模式加速，跳过早期内部开发的漫长过程，快速整合外部协同或者互补资源，为公司尽快带来符合整体战略规划的产品线，弥补企业产品线短板

趋势二：商业化弥补企业产品线的短板

项目授权许可模式是新药研发产业链中非常重要的环节。一方面越来越多中国新药研发企业通过license in的模式丰富研发管线，弥补企业产品线的短板。另一方面跨国药企凭借在研项目授权的方式，将产品顺利推进中国市场或整合现有业务。中国生物医药License in项目逐年增长，2020年License in项目数量高达108个，其中交易金额最高的license-in为信达生物和罗氏的CAR-T和TCB双抗的项目，总交易额高达20亿美元，再次突显出细胞与基因疗法产品的高价值

图表50：中国创新药领域投资与退出案例，2010-2019

图表51：中国生物医药License in项目数量，2010-2020



图表52：中国药企License in交易额前十，2020

项目	引进方	合作方	交易产品	治疗领域	交易总额
1	信达生物	Roche	开发通用CAR-T疗法和TCB双抗	肿瘤	20亿美元
2	上海君实	Revitope Oncology	以双抗为靶点的T细胞嵌合活化癌症疗法	肿瘤	8.1亿美元
3	百济神州	Assembly Biosciences	Vebicorvir,ABI-H2158,ABI-H3733	乙肝病毒	5.4亿美元
4	联拓生物	BridgeBio Pharma	Infigratinib,BBP-398	肿瘤	5.3亿美元
5	基石药业	LegoChem Biosciences	ABL202	肿瘤	3.6亿美元
6	中美华东	ImmunoGen	Mirvetuximab Soravtansine	肿瘤	3.1亿美元
7	复星医药	BioNTech	BNT162	新冠病毒	3亿美元
8	远大医药	Telix Pharmaceutical	TLX591;TLX250;TLX101;TLX591-CDx;TLX250-CDx;TLX599-CDx	肿瘤	2.8亿美元
9	再鼎医药	Cullinan Oncology	CLN-081	肿瘤	2.3亿美元
10	创响生物	Affibody	ABY-035	自身免疫	2.3亿美元

来源：药明康德，头豹研究院

中国肿瘤药企业趋势3—全球国际化

- 中国创新药license out案例快速攀升。随着本土药企创新研发水平的不断提升，外资企业对国内药企创新实力逐步认可，授权合作成为中国创新药“走出去”常见方式之一

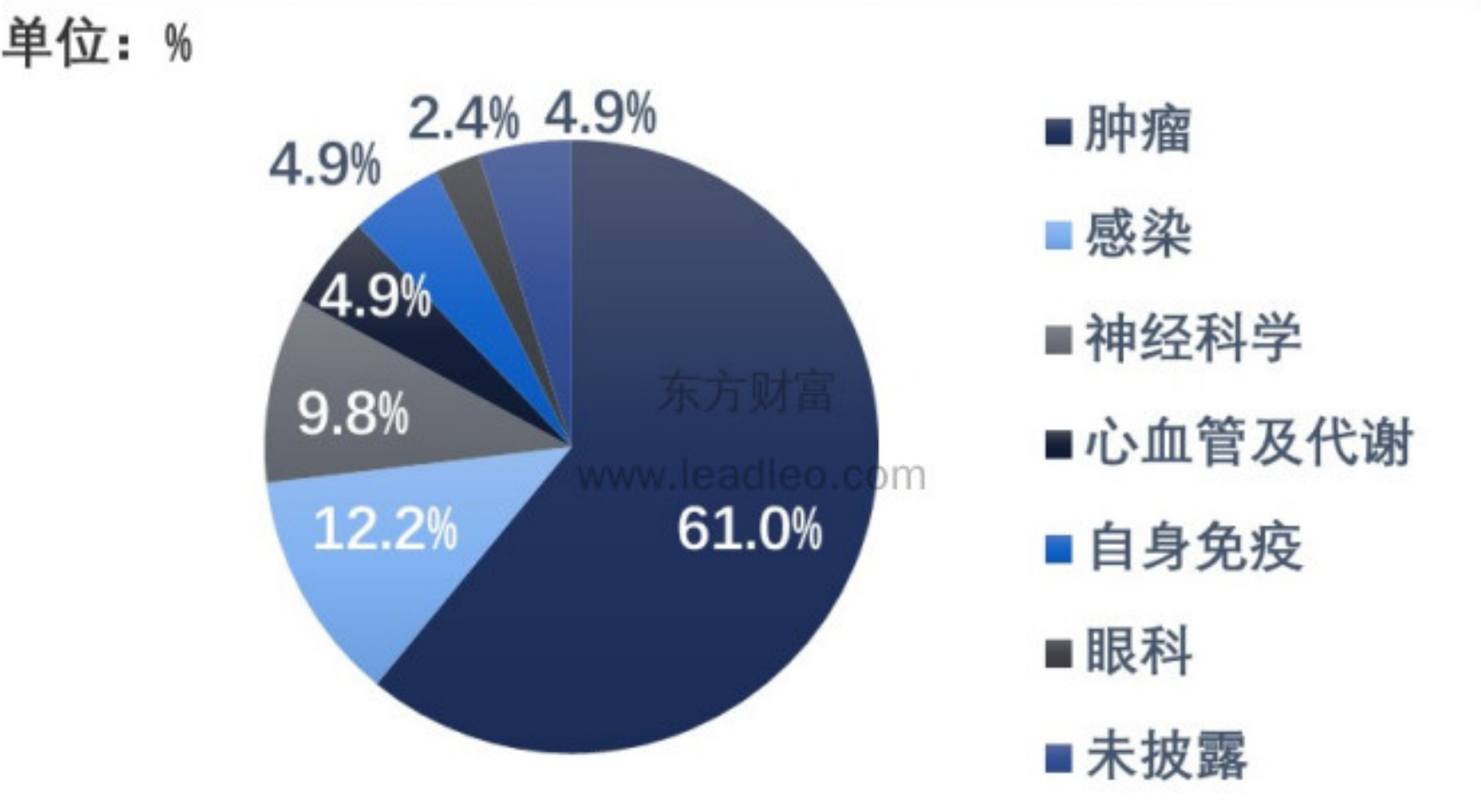
趋势三：国际化加速，从License in到License out，出海成新趋势

随着实力的积累以及海外人才的回归，中国本土以自主研发创新产品为核心的生物医药企业逐渐增多，并积极开发能优化其自身产品管线的创新产品。外资企业对国内药企创新实力逐步认可，授权合作成为国内创新药“走出去”常见方式之一。2020年，license-out项目依然以肿瘤领域的产品交易最多。2020年9月，知名跨国药企艾伯维与天境生物就TJC4的开发和商业化建立全球战略合作，这项近30亿美元（首付款1.8亿美元）的合作成为中国生物科技公司史上最大跨国对外授权战略合作

图表53：中国医药License out项目数量，2015-2020



图表54：中国医药License out项目类型，2020



图表55：获FDA突破性疗法认定或快速通道资格的中国创新药



图表56：中国创新药企License out获得过亿美金首付款一览



来源：医药魔方，头豹研究院

Chap 3

中国罕见病治疗展望

- 罕见病定义
- 罕见病政策
- 罕见病药物可及性

东方财富
www.leadleo.com

罕见病定义

- 中国首次明确罕见病定义，即“新生儿发病率小于1/万、患病率小于1/万、患病人数小于14万的疾病”。罕见病的症状复杂但病例稀少，诊断难度较大，平均确诊时长为1-3年

中国首次明确罕见病定义

《中国罕见病定义研究报告2021》报告首次提出“中国罕见病2021年版定义”，即应将“新生儿发病率小于1/万、患病率小于1/万、患病人数小于14万的疾病”列入罕见病。2018年5月，国家卫健委等五部委联合发布《第一批罕见病目录》，共收录121种(类)罕见病。目前中国已知的罕见病大约有1,400余种，由于确诊困难，大量罕见病被当作普通疾病治疗，或未被发现，因此实际数量可能更多

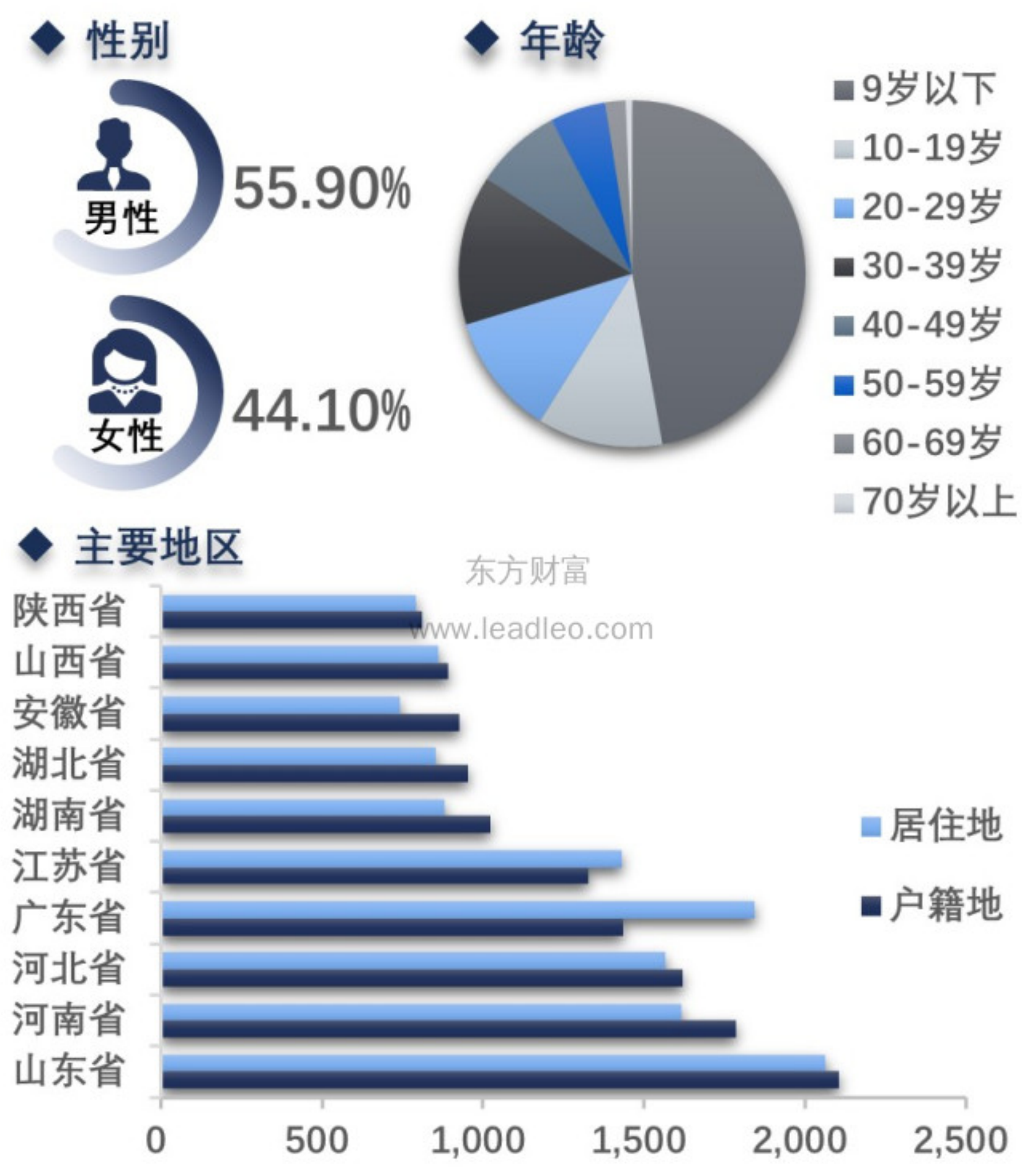
图表57：各国罕见病定义标准



图表58：中国部分罕见病

罕见病	国外患病率	中国患病率
肌萎缩侧索硬化	(3-5)/10万	3.1/10万（香港）
原发性肉碱缺乏症	0.8-2.5/10万	2.4-3.1/10万
血友病	1/5,000（A型） 1/25,000（B型）	2.73/10万
白化病	5/10万-10/10万	1/1.8万
半乳糖血症	1/4.8万	1/19万（浙江）
丙酸血症	1/10万-100/10万	0.6-0.7/10万
异戊酸血症	1/6.7万	1/16万
多发性硬化	300/10万-1/10万	5/10万（亚洲）
苯丙酮尿症	1/14.3万-1/4500	1/1.18万
高同型半胱氨酸血症	5%-7%	27.5%
戊二酸血症 I 型	1/10万	1/6万
亨廷顿病	2.7/10万	0.4/10万（亚洲）
枫糖尿症	1/25万-1/18万	1/13.9万
21-羟化酶缺乏症	1/2万-1/1万	1/2万-1/1万

图表59：中国20,804名罕见病患者画像



来源：国家卫生健康委员会，中国罕见病联盟，北京协和医院，头豹研究院

罕见病政策

- 为攻克罕见病，监管部门近年来高度重视罕见病药物的研发，出台一系列法规文件，加速罕见病药物的审评审批

中国政策红利助力罕见病药物研发

为了攻克罕见病，监管部门近年来高度重视罕见病药物的研发，出台了以下一系列法规文件，加速罕见病药物的审评审批

图表60：罕见疾病药物研发相关政策，2015-2021

时间	发布机构	发布文件	法规要点
2015年8月	国务院	《关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》	首次提出对罕见病药物加快审评审批
2016年2月	CFDA	《关于解决药品注册申请积压实行优先审评审批的意见》	明确对治疗罕见病的药品注册申请予以优先审评
2017年10月	中共中央办公厅，国务院办公厅	《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》	提出加快罕见病药品医疗器械的上市审评审批程序。提出罕见病治疗药品医疗器械注册申请人可提出减免临床试验申请，对境外已批准上市的罕见病治疗药品，也可附条件批准上市
2017年12月	CFDA	《关于鼓励药品创新实行优先审评的意见》	对罕见病的药品注册申请予以有限审评审批
2018年5月	卫健委 科技部 工信部 药监局	国家版《第一批罕见病目录》	中国首次官方定义罕见病，将帕金森病、肌萎缩侧索硬化等121种罕见病纳入罕见病目录
2019年2月	国务院总理李克强主持召开国务院常务会议		会议决定对首批21个罕见病药品和4个原料药，参照抗癌药对进口环节减按3%征收增值税，国内环节可选择按3%简易办法计征增值税
2019年2月	国家卫健委	《关于建立全国罕见病诊疗协作网的通知》	卫健委遴选罕见病诊疗能力强，诊疗病例较多的324家医院作为协作网医院，组建罕见病诊疗协作网
2019年2月	财政部	《关于罕见病药品增值税政策的通知》	明确第一批罕见病药品清单，涉及波生坦等21个罕见病药品制剂，以及波生坦等4个罕见病药品原料药
2019年2月	国家卫健委	《罕见病诊疗指南（2019年版）》	指南对121中罕见病阐述定义、病因和流行病学、临床表现、辅助检测、诊断、鉴别诊断和治疗
2021年9月		《中国罕见病定义研究报告（2021）》	发布最新中国罕见病定义
2021年10月	CDE	《罕见疾病药物临床研发技术指导原则（征求意见稿）》	旨在进一步提高罕见疾病临床研发效率，满足罕见疾病患者的治疗需求，结合罕见疾病特征，对罕见疾病药物研发及科学试验设计提供建议和参考

来源：国务院，CDFA，卫健委，财政部，CDE，头豹研究院

罕见病药物可及性—药物研发

- 罕见病正逐渐成为医药发展新热点，美国FDA授予的孤儿药资格数量和批准的孤儿药适应症数量正逐年递增，国内外药企纷纷加入孤儿药研发行列

罕见病药物研发加速

罕见病正逐渐成为医药发展的新热点，美国FDA授予的孤儿药资格数量和批准的孤儿药适应症数量正逐年递增。过去由于孤儿药研发难度大、成本高、目标市场小和获利能力低，很多药企不愿涉足该领域。但在市场利好及一系列支持政策下，孤儿药已成为医药行业较为盈利的板块之一。目前众多国内外药企都已纷纷加入孤儿药研发行列，二十多种罕见疾病药研发正在进行中

图表61：经FDA孤儿药资格认定的中国药企研发药物



图表62：在研的罕见病药物

药物	治疗疾病	研发企业
APG-2575	华氏巨球蛋白血症（WM），慢性淋巴细胞白血病（CLL） 多发性骨髓瘤（MM）	亚盛医药
APG-115	胃癌，AML，软组织肉瘤（STS）	亚盛药业
泽布替尼	淋巴结边缘区淋巴瘤（MZL），脾边缘区淋巴瘤， 黏膜相关淋巴组织结外边缘区淋巴瘤	百济神州
特瑞普利单抗	软组织肉瘤，鼻咽癌，黏膜黑色素瘤	君实生物
KN046	胸腺上皮肿瘤， HER2阳性或HER2低表达胃癌及胃食管连接部癌	康宁杰瑞
信迪利单抗	T细胞淋巴瘤，食管癌	信达生物
CLDN18.2 CAR-T(CT041)	胃腺癌和食管胃结合部腺癌	科济生物
替雷利珠单抗	胃癌（包括胃食管结合部癌）	百济神州
CS1003	肝细胞癌（HCC）	基石药业
舒格利单抗（CS1001）	T细胞淋巴瘤	基石药业
HBM9167	鼻咽癌	和铂医药
APG-1252（palcitoclax）	小细胞肺癌（SCLC）	亚盛医药
HQP1351（奥瑞巴替尼）	慢性髓系白血病（CML）	亚盛医药
KN035（恩沃利单抗）	晚期胆道癌	康宁杰瑞
杰克替尼	骨髓纤维化（MF）	泽璟制药
SYSA1801	胃癌（包括胃食管结合部癌）	石药集团
NBL-015	胰腺癌	石药集团

来源：IRDiRC，头豹研究院

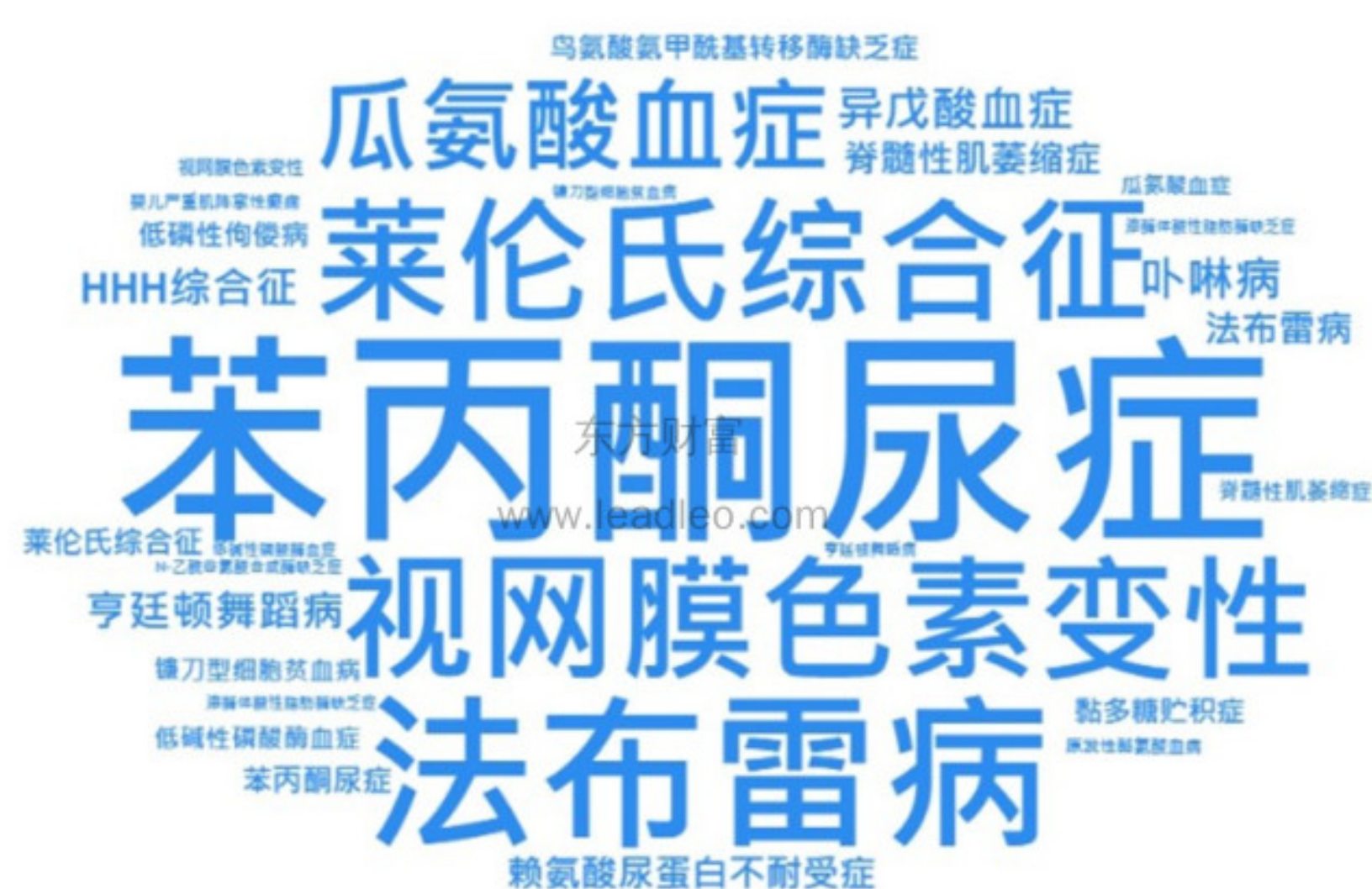
罕见病药物可及性—用药保障

- 全球范围已上市的罕见病治疗药物可分为“境外有药境内无药”和“超适应症用药”，在罕见病药品可及性有限的情况下，医生患者只能尝试“超适应证使用”，“老药新用”和“试验性疗法”

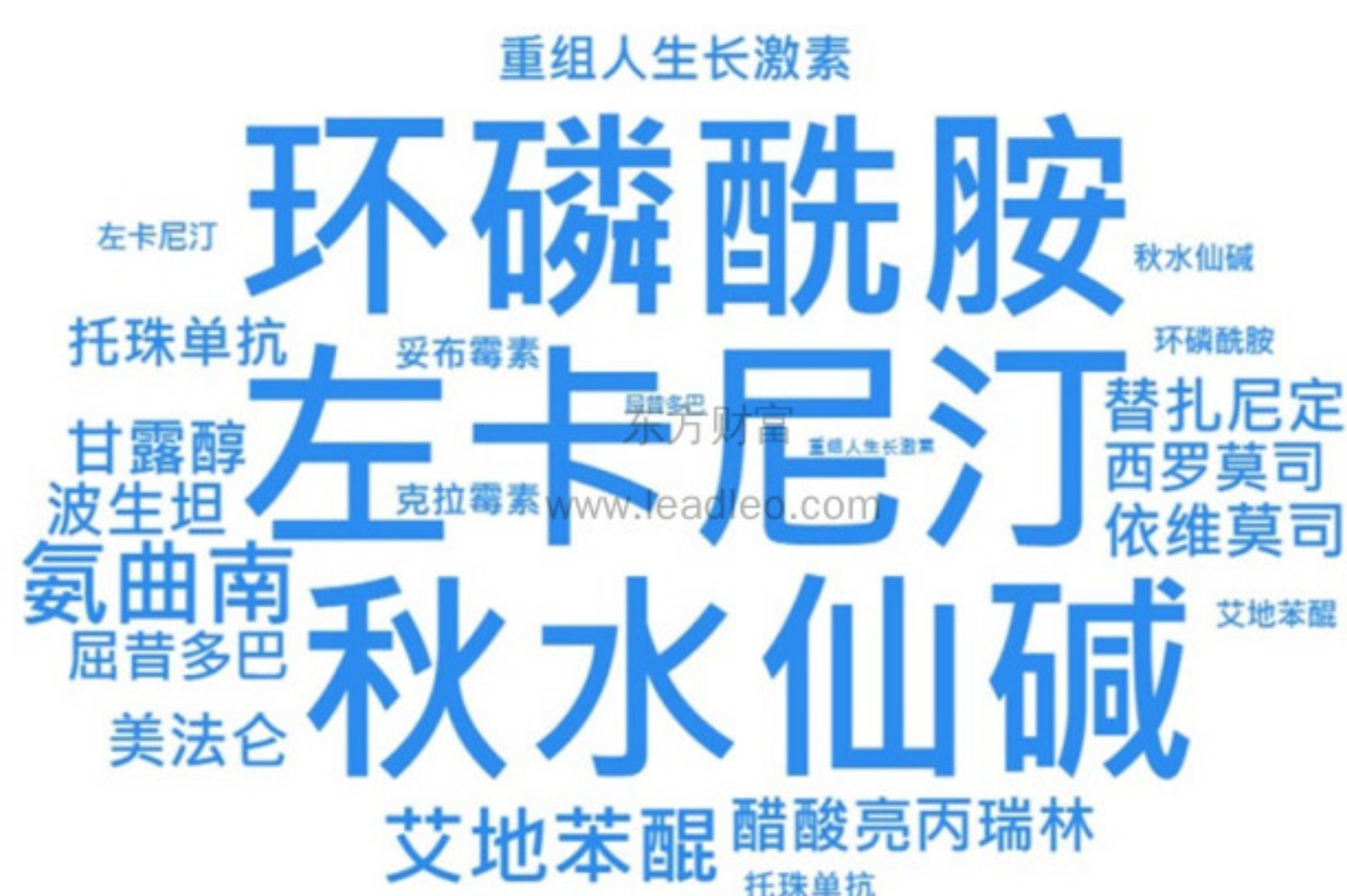
□ “境外有药境内无药”和“超适应症用药”情况亟待改善

全球范围已上市的罕见病治疗药物可分为“境外有药境内无药”和“超适应症用药”。《第一批罕见病目录》中22种罕见病涉及的20种药品虽已在中国上市却并没有注册相应罕见病适应证，在罕见病药品可及性有限的情况下，医生患者只能尝试“超适应证使用”“老药新用”“试验性疗法”。因此对于“境外有药境内无药”的情况，应制定政策鼓励快速进口，鼓励国内企业仿制。对于“超适应症用药”情况，应鼓励企业开展相关研究。

图表63：“境外有药，境内无药”困境的21种罕见病



图表64：部分罕见病的“超适应症”使用治疗药物



❑ 第二批罕见病的目录即将更新，推动中国罕见病患者用药保障

在国家《第一批罕见病目录》纳入的121种罕见病中，有74种罕见病在美国、欧盟或日本等地有以之为适应证的治疗产品上市销售。中国罕见病联盟执行理事长李林康教授表示，2018年第一批罕见病目录的发布是中国罕见病诊疗和药物研发创新的开拓性工作，第二批罕见病的目录也即将更新，将进一步推动中国罕见病患者用药保障。

图表65: 《第一批罕见病目录》疾病相关治疗药物上市注册及医保纳入情况, 2020

单位: 个



来源：IOVIA，中国罕见病联盟，头豹研究院

罕见病药物可及性趋势—医保政策

- 完善以政府为主导，通过患者自负、医疗报销、慈善捐助和商业保险等在内的多方参与、共同支付的“1+N”罕见病用药保障机制

完善罕见病用药保障机制

各地区在孤儿药保障的探索中积累丰富经验，主要以政府引导的方式，通过出台相关政策、鼓励多方主体积极参与，多渠道、多样化救助补贴罕见病患者。近年实践表明政策将持续引导建立并完善国家层面政府为主导的“1+N”多方共同支付罕见病用药保障机制，“1”为继续率先发挥国家基本医疗的作用，探索医保基金国家统筹和建立国家罕见病专项基金；“N”为多方参与，如大病保险、医疗救助、政府型商保、慈善帮扶、救助互助、个人一定比例支付等

图表66：“1+N”多方共同支付罕见病用药保障机制



图表67：中国罕见病用药保障地方探索模式

财政资金补助模式	该模式资金来源于财政投入，主要用于医保目录范围外药品的救助	专项基金模式	该模式源于大病保险基金，具有基金种类多、资金来源广、覆盖患者范围大、孤儿药专项保障待遇水平高等特点
自主申报模式	结合现有医疗保障制度，不限定罕见病具体病种，实现多层次、多类别的孤儿药保障	大病谈判模式	将罕见病作为重大疾病或特殊疾病纳入地方大病保险支付范围

山东省青岛市

自2005年开始对孤儿药保障进行探索，逐渐形成了以门诊大病、大病保险为基础，大病救助制度为主体的财政出资保障模式，实现了特病救助、特药救助、特材救助、大额救助和超限救助等多种救助方式

浙江省

建立罕见病医疗保障专项基金，各统筹区每年根据上年基本医保参保人数，按每年2元/人的标准一次性从本统筹区大病保险基金中直接划转至浙江省罕见病医疗保障基金，由省医保局集中管理，实行财政专户专账管理、独立核算

安徽省铜陵市

患者个人或监护人提出罕见病认定申请，填写表格并递交相关证明材料，经相关单位鉴定并予以公示后，可按医保规定实施报销。其中罕见病患者门诊发生医疗费用比照住院费用处理；患者必须使用的不属于基本医保药品报销目录范围的药品，比照乙类药品使用规定执行

浙江/山东/山西/陕西/湖南

各地通过医保谈判的方式将孤儿药或罕见病特殊治疗食品纳入报销范围，并结合当地情况设置了不同的报销比例。包括浙江省、山东省、山西省、陕西省、湖南省在内的多个省份均实施罕见病大病谈判模式

来源：CNKI，全国罕见病学术团体，头豹研究院

名词解释

- ◆ **创新药：** 境内外均未上市的新药，含有新的结构明确的、具有药理作用的化合物，且具有临床价值的原料药及其制剂。
- ◆ **两票制：** 中国药品政策，规定药品从药厂至公立医院批发环节中，仅开具两次发票（一次为药厂到一级经销商，另一次为末级经销商到医院），避免各级经销商层层加价，以降低药品虚高价格。
- ◆ **带量采购：** 化学药品新注册分类批准的仿制药品目录，经联采办会议通过以及咨询专家，确定采购品种（指定规格）及约定采购量，其基本思路是提升医保对药品采购使用的影响，取消质量分层，加剧竞争，以量换价，最终达到医保基金降低总体用药花费的效果
- ◆ **药物一致性评价：** 药物质量要求，主体为仿制药，要求其与原研药质量及疗效一致，具体体现在药物稳定性、杂质谱图及溶出性一致。
- ◆ **MAH：** Marketing Authorization Holder，药品上市许可持有人制度，药品上市许可与生产许可分离的制度。
- ◆ **原研药：** 原创性、自主研发的新药，在中国指过了专利期的进口药品。
- ◆ **仿制药：** 在结构、剂型、规格、疗效及质量等方面与原研药一致的药品。
- ◆ **肿瘤：** 肿瘤是机体在各种致癌因素作用下，局部组织的细胞在基因水平上失掉了对其生长的正常调控，导致异常增生而形成的新生物。
- ◆ **靶向药：** 指被赋予了靶向能力的药物或其制剂。其目的是使药物或其载体能瞄准特定的病变部位，并在目标部位蓄积或释放有效成分。
- ◆ **免疫治疗：** 是指针对机体低下或亢进的免疫状态，人为地增强或抑制机体的免疫功能以达到治疗疾病目的的治疗方法。
- ◆ **License-in：** 许可引进，许可引入人向许可授权人支付费用引进产品许可，并获得该产品在本地区的知识产权及商业化权利。
- ◆ **License-out：** 授权方收费向引入方授予许可。
- ◆ **药品注册：** 药品注册申请人（医药企业）向国家药品监督管理局申请并注册药品的过程。
- ◆ **IND:** Investigational New Drug，新药研究申请。
- ◆ **NDA:** New Drug Application，药品申请上市完整路径。
- ◆ **DRG：** Diagnosis-Related Groups，疾病诊断相关分组，根据病情状况等因素对疾病分组后，整体进行医保支付，利用医疗资源优化配置。
- ◆ **罕见病：** 新生儿发病率小于1/万、患病率小于1/万、患病人数小于14万的疾病。
- ◆ **孤儿药：** 又称为罕见药，用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。
- ◆ **CSCO：** Chinese Society of Clinical Oncology，中国临床肿瘤学会。

■ 方法论

- ◆ 头豹研究院布局中国市场，深入研究10大行业，54个垂直行业的市场变化，已经积累了近50万行业研究样本，完成近10,000多个独立的研究咨询项目。
- ◆ 研究院依托中国活跃的经济环境，从社会保险、人工智能、大数据等领域着手，研究内容覆盖整个行业的发展周期，伴随着行业中企业的创立，发展，扩张，到企业走向上市及上市后的成熟期，研究院的各行业研究员探索和评估行业中多变的产业模式，企业的商业模式和运营模式，以专业的视野解读行业的沿革。
- ◆ 研究院融合传统与新型的研究方法，采用自主研发的算法，结合行业交叉的大数据，以多元化的调研方法，挖掘定量数据背后的逻辑，分析定性内容背后的观点，客观和真实地阐述行业的现状，前瞻性地预测行业未来的发展趋势，在研究院的每一份研究报告中，完整地呈现行业的过去，现在和未来。
东方财富
www.leadleo.com
- ◆ 研究院密切关注行业发展最新动向，报告内容及数据会随着行业发展、技术革新、竞争格局变化、政策法规颁布、市场调研深入，保持不断更新与优化。
- ◆ 研究院秉承匠心研究，砥砺前行的宗旨，从战略的角度分析行业，从执行的层面阅读行业，为每一个行业的报告阅读者提供值得品鉴的研究报告。

法律声明

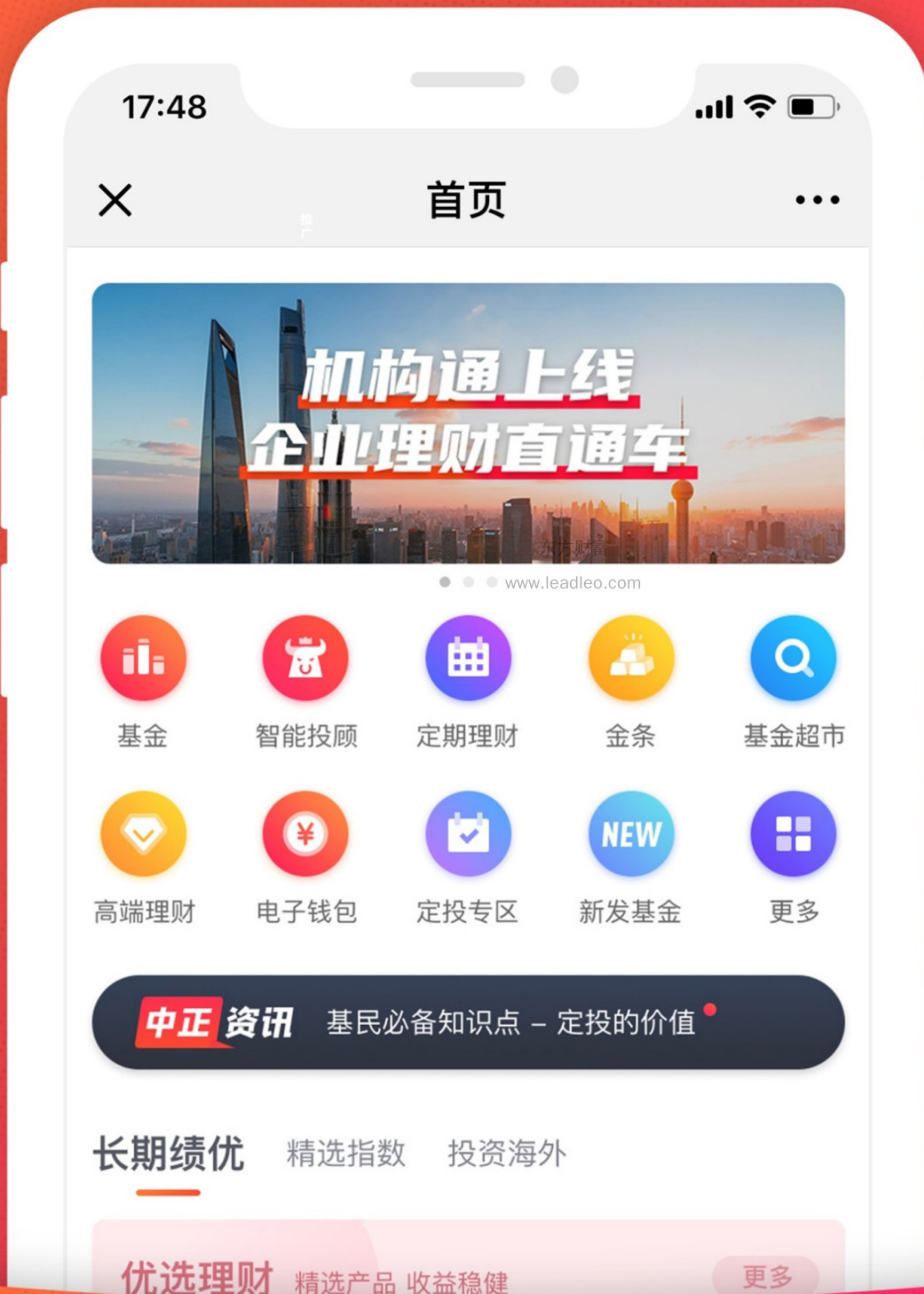
- ◆ 本报告著作权归头豹所有，未经书面许可，任何机构或个人不得以任何形式翻版、复刻、发表或引用。若征得头豹同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“头豹研究院”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节或修改。
- ◆ 本报告分析师具有专业研究能力，保证报告数据均来自合法合规渠道，观点产出及数据分析基于分析师对行业的客观理解，本报告不受任何第三方授意或影响。
- ◆ 本报告所涉及的观点或信息仅供参考，不构成任何证券或基金投资建议。本报告仅在相关法律许可的情况下发放，并仅为提供信息而发放，概不构成任何广告或证券研究报告。在法律许可的情况下，头豹可能会为报告中提及的企业提供或争取提供投融资或咨询等相关服务。
- ◆ 本报告的部分信息来源于公开资料，东方财富网 www.leadleo.com头豹对该等信息的准确性、完整性或可靠性不做任何保证。本报告所载的资料、意见及推测仅反映头豹于发布本报告当日的判断，过往报告中的描述不应作为日后的表现依据。在不同时期，头豹可发出与本报告所载资料、意见及推测不一致的报告或文章。头豹均不保证本报告所含信息保持在最新状态。同时，头豹对本报告所含信息可在不发出通知的情形下做出修改，读者应当自行关注相应的更新或修改。任何机构或个人应对其利用本报告的数据、分析、研究、部分或者全部内容所进行的一切活动负责并承担该等活动所导致的任何损失或伤害。



中正达广基金

充实美好生活

过往业绩不预示未来表现，市场有风险，投资需谨慎



价值 | 平衡 | 快乐 | 爱❤️

证监会核准的独立基金销售机构（沪证监许可[2015]85号）



详情咨询



头豹报告库账户

东方财富

www.leadleo.com

- 全行业覆盖、近5000本报告展现、支持100万+数据搜索、每年持续更新1000+行企研究报告
- 解决细分行业知识空白
- 价值研究体系助力投资决策
- 月卡、季卡、年卡灵活订阅



报告找不到，马上上头豹

让专业 更专业

头豹定制报告

东方财富
www.leadleo.com

- 轻量化咨询：低价（5万起） 高质（深度） 高效（2周起）
- 对口行业资深分析师执笔
- 满足企业及机构：品宣、业务发展、信息获取等诉求

详情咨询



■ 头豹研究院简介

- ◆ 头豹研究院是中国大陆地区首家B2B模式人工智能技术的互联网商业咨询平台，已形成集行业研究、政企咨询、产业规划、会展会议行业服务等业务为一体的一站式行业服务体系，整合多方资源，致力于为用户提供最专业、最完整、最省时的行业和企业数据库服务，帮助用户实现知识共建，产权共享
- ◆ 公司致力于以优质商业资源共享为基础，利用大数据、区块链和人工智能等技术，围绕产业焦点、热点问题，基于丰富案例和海量数据，通过开放合作的研究平台，汇集各界智慧，推动产业健康、有序、可持续发展



四大核心服务

企业服务

为企业提供定制化报告服务、管理咨询、战略调整等服务

行业排名、展会宣传

行业峰会策划、奖项评选、行业白皮书等服务

云研究院服务

提供行业分析师外派驻场服务，平台数据库、报告库及内部研究团队提供技术支持服务

园区规划、产业规划

地方产业规划，园区企业孵化服务

报告阅读渠道

头豹官网 —— www.leadleo.com 阅读更多报告

头豹小程序 —— 微信小程序搜索“头豹”、手机扫上方二维码阅读研报



添加右侧头豹分析师微信，身份认证后邀您进入行研报告分享交流微信群



详情咨询



客服电话

www.leadleo.com
400-072-5588



上海

王先生： 13611634866
李女士： 13061967127



深圳

李先生： 18916233114
李女士： 18049912451



南京

杨先生： 13120628075
唐先生： 18014813521

头豹 Project Navigator 领航者计划介绍



头豹 Project Navigator 领航者计划与商业服务

- 头豹以研报服务为切入点，根据企业不同发展阶段的资本价值需求，以传播服务、FA服务、资源对接、IPO服务、市值管理为基础，提供适合的商业管家服务解决方案

研报服务
共建深度研报
撬动精准流量

传播服务
塑造行业标杆
传递品牌价值

资源对接
www.leadleo.com
助力业务发展
加速企业成长

FA服务
提升企业估值
协助企业融资

IPO服务
建立融资平台
登录资本市场

市值管理
提升市场关注
管理企业市值



扫描上方二维码
联系客服报名加入

备注：活动解释权均归头豹所有，活动细则将根据实际情况作出调整。

读完报告有问题？

快，问头豹！你的智能随身专家



扫描二维码
即刻联系你的智能随身专家

千元预算的
高效率轻咨询服务

东方财富
www.leadleo.com



STEP04 专业高效解答
书面反馈、分析师专访、
专家专访等多元化反馈方式



STEP02 云研究院后援
云研究院7×24待命
随时评估解答方案



STEP03 解答方案生成
大数据×定制调研
迅速生成解答方案



STEP01 智能拆解提问
人工智能NLP技术
精准拆解用户提问

