

政策支持叠加技术创新，小分子药物获批数量创新高 词条报告系列



何婉怡 · 头豹分析师

2024-03-29 未经平台授权，禁止转载

版权有问题? [点此投诉](#)

行业: [制造业/医药制造业/化学药品制造](#) [消费品制造/医疗保健](#)

词目录

<h3>行业定义</h3> <p>小分子药物是指具有单一明确有效成分、分子量在...</p> AI访谈	<h3>行业分类</h3> <p>按照作用机制的分类方式，小分子药物行业可以分为...</p> AI访谈	<h3>行业特征</h3> <p>小分子药物行业的特征包括：小分子药物广泛应用...</p> AI访谈	<h3>发展历程</h3> <p>小分子药物行业目前已达到 4个阶段</p> AI访谈
<h3>产业链分析</h3> <p>上游分析 中游分析 下游分析</p> AI访谈	<h3>行业规模</h3> <p>小分子药物行业规模暂无评级报告</p> AI访谈 SIZE数据	<h3>政策梳理</h3> <p>小分子药物行业相关政策 5篇</p> AI访谈	<h3>竞争格局</h3> <p>AI访谈 数据图表</p>

摘要 小分子药物是指分子量在1,000道尔顿以下的有机化合物分子，具有易于被机体吸收、不涉及免疫原性、稳定、可口服、易吸收、工艺成熟、易于储存和运输等优点。随着肿瘤发病率居高不下，小分子药物广泛应用于肿瘤治疗，治疗需求持续增长。近年来，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计时代，技术更新迭代，推动小分子药物市场创新发展。AI技术渗透制药行业，助力小分子药物企业创新研发。政策支持下，小分子药物获批数量稳定增长，创新疗法占比不断攀升，推动市场快速扩容。

小分子药物行业定义^[1]

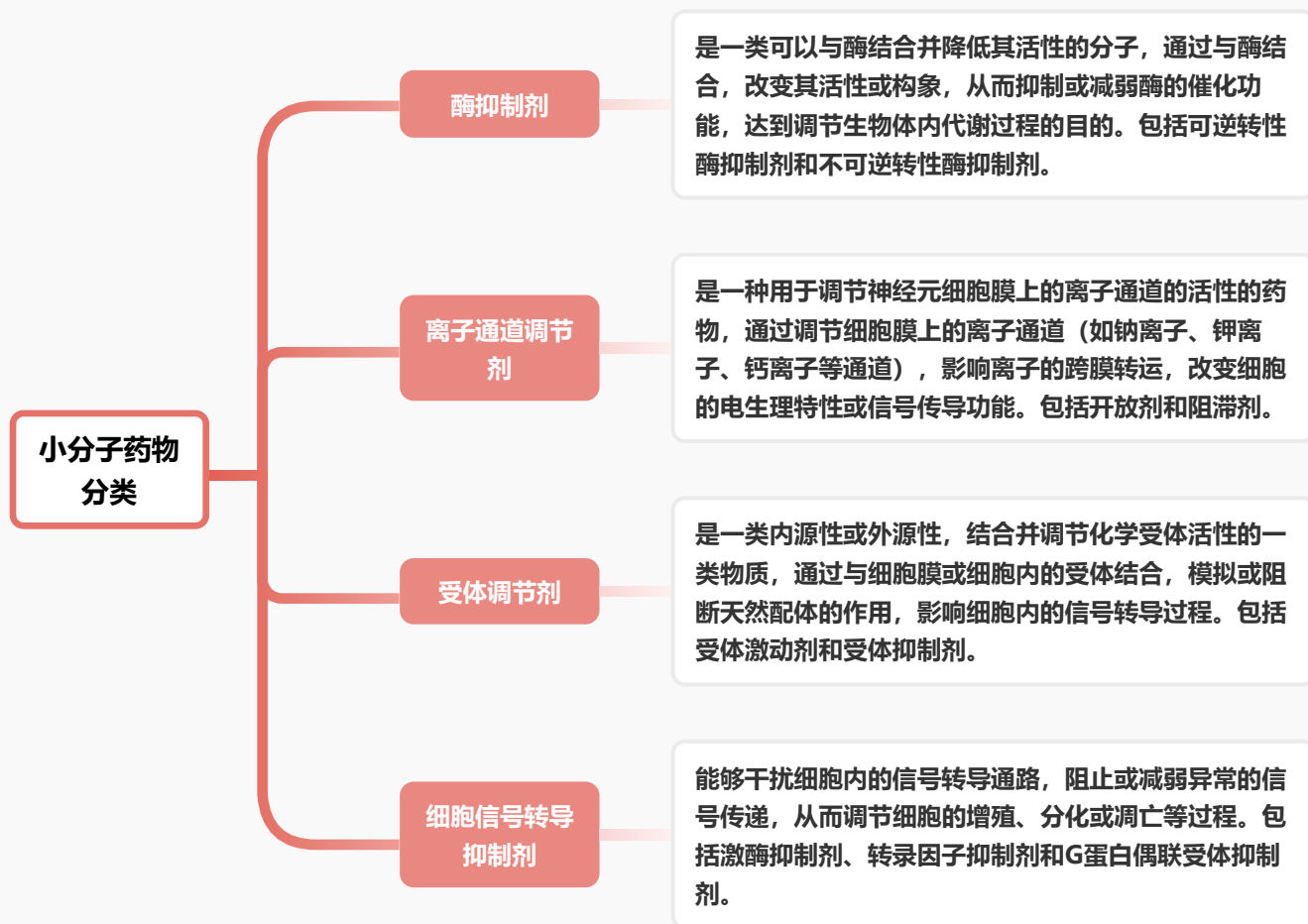
小分子药物是指具有单一明确有效成分、分子量在1,000道尔顿以下的有机化合物分子。广义而言，目前临床上使用的大部分化学药品都是小分子药物。小分子成分可制成易于被机体吸收的片剂或胶囊，活性物质相对易溶解，被机体吸收经肠壁进入血液。与大分子生物药相比，小分子药物具有分子量小、可穿透细胞膜（部分可穿透脑屏障）、不涉及免疫原性、稳定、可口服、易吸收、工艺成熟、易于储存和运输等优点。

[1] 1: CNKI

小分子药物行业分类^[2]

按照作用机制的分类方式，小分子药物行业可以分为如下类别：

小分子药物行业基于作用机制的分类



[2] 1: [https://www.ncbi...](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6111111/)

2: NIH, CNKI

小分子药物行业特征^[3]

小分子药物行业的特征包括：小分子药物广泛应用于肿瘤治疗，治疗需求持续增长；小分子药物发现已进入基于靶点的药物设计的时代及新药获批创新高，小分子药物占比超一半。

1 小分子药物广泛应用于肿瘤治疗，治疗需求持续增长

肿瘤发病率居高不下，老龄化进程延续趋势，癌症诊断、治疗需求不断扩大确立庞大肿瘤医疗服务市场。全球癌症发病数从2016年的17.2百万例增长到2022年的20.2百万例，年复合增长率达2.7%。中国癌症发

病数已从2016年的4.1百万例增长到2022年的4.8百万例，年复合增长率达2.7%。随着分子生物学、结构生物学等现代科学的快速发展，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计时代，发展迅速。

2 小分子药物发现已进入基于靶点的药物设计的时代

随着分子生物学、结构生物学的快速发展，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计的时代，在计算机的辅助下，高通量筛选、虚拟筛选、基于结构的药物设计以及基于片段的药物设计逐渐成为小分子药物研发的常见技术，因而，药物研发变得更为精准高效。此外，近几年小分子领域也在出现诸多新的思路，例如PROTAC技术、分子胶、变构调节等，有望实现新的突破。

3 新药获批创新高，小分子药物占比超一半

2023年FDA共批准了69款新药，数量创5年新高。其中，FDA旗下的药物评估和研究中心（CDER）批准了55款创新药，仅次于2018年的59款。新分子实体达37种，小分子居多共30款，占比约达55%。从疾病领域来看，小分子新药多集中在肿瘤和罕见病领域，占比分别为44%与25%，其次为免疫炎症、感染、神经系统、心血管及代谢类疾病。

[3] 1: <https://mp.weixin...> 2: 药明康德, 美中嘉和, ...

小分子药物发展历程^[4]

随着分子生物学、结构生物学的快速发展，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计的时代，在计算机的辅助下，高通量筛选、虚拟筛选、基于结构的药物设计以及基于片段的药物设计逐渐成为小分子药物研发的常见技术，因而，药物研发变得更为精准高效。此外，近几年小分子领域也在出现诸多新的思路，例如PROTAC技术、分子胶、变构调节等，有望实现新的突破。

萌芽期 · 1940~1979

1941年，青霉素成功应用于第一位患者，并于第二次世界大战期间广泛用于治疗细菌伤口感染，青霉素的引入标志着抗生素时代的开始；

20世纪50年代，磺胺类药物得到广泛应用，成为当时主要的抗生素之一，对感染性疾病的治疗起到了重要作用；

1957年，氮芥作为首个抗肿瘤药物被引入临床，开启了化疗的新篇章，为后来的癌症治疗奠定了基础；

20世纪60年代，一系列重要的心脏药物被研发出来，如利多卡因用于心律失常的治疗，地高辛用于心力衰竭的治疗等，这些药物的出现极大地改善了心血管疾病的治疗效果；

20世纪70年代，抗生素的种类不断增加，如头孢菌素类和氟喹诺酮类等，这些药物具有更广泛的抗菌谱和更强的抗菌活性，对感染性疾病的治疗起到了重要作用。

该阶段小分子药物仍处发展初期，**以化学合成为主要手段**，生产出如青霉素、磺胺等重要药物；70年代随着生物技术的发展，**基因工程技术开始应用于研发阶段**。

启动期 · 1980~1999

1980年，小分子代表药物之一HIV蛋白酶抑制剂的发现为艾滋病的治疗开辟了新的道路；

1986年，洛伐他汀作为第一个他汀类药物上市，用于降低胆固醇水平，对心血管疾病的预防和治疗起到了重要作用；

1987年，氟西汀、作为首个选择性5-羟色胺再摄取抑制剂（SSRI）上市，成为治疗抑郁症的重要药物之一；

20世纪90年代，非核苷类逆转录酶抑制剂（NNRTI）的出现为艾滋病治疗提供了更多的选择，这类药物能够抑制HIV病毒的复制过程，提高治疗效果；

1992年，卡托普利作为血管紧张素转化酶（ACE）抑制剂的代表药物，在心血管疾病的治疗中得到了广泛应用，尤其对于高血压和心力衰竭的治疗效果显著；

1996年，基质金属蛋白酶抑制剂开始应用于临床试验，这类药物在抑制肿瘤侵袭和转移方面显示出潜力，为癌症治疗提供了新的思路。

小分子药物处于发展启动期，这个阶段的特点为**靶点特异性增强、结构生物学与药物设计的结合、代谢性疾病与心血管疾病药物的突破、抗癌药物的多样化、抗病毒药物的进步以及国际合作与知识共享的增加**

高速发展期 · 2000~2015

2001年，EGFR酪氨酸激酶抑制剂吉非替尼和厄洛替尼的批准，这些药物通过抑制肿瘤细胞的生长和扩散，为患者提供了新的治疗选择；

2003年，伊马替尼作为一种口服多激酶抑制剂，能够特异性地抑制慢性髓性白血病（CML）细胞中的异常蛋白质，成为CML治疗的重要里程碑；

2006年，首个哺乳动物雷帕霉素靶蛋白（mTOR）抑制剂依维莫司的上市，为多种肿瘤的治疗提供了新的途径；

2009年，BTK抑制剂伊布替尼被批准用于治疗某些类型的白血病和淋巴瘤，通过抑制 β 细胞的信号传导，有效地控制疾病的进展；

2013年，奥拉帕利作为聚腺苷二磷酸核糖聚合酶（PARP）抑制剂，被批准用于治疗某些类型的卵巢癌，通过抑制DNA修复机制，增强肿瘤细胞对化疗的敏感性；

2014年，程序性死亡受体1（PD-1）抑制剂，如尼伏单抗和派姆单抗，在癌症免疫治疗领域取得了重大突破；这些药物通过激活患者自身的免疫系统来攻击肿瘤细胞，为多种肿瘤的治疗提供了新的希望。

随着第一个小分子靶向抑制剂伊布替尼（格列卫）的诞生，小分子药物开发真正进入了靶向时代，药物的研发开始更加精确地针对疾病人群所携带的基因突变（靶点），从而实现了更加精准和有效的治疗。

成熟期 · 2016~至今

2017年，奥希替尼作为第三代BCR-ABL酪氨酸激酶抑制剂，用于治疗特定类型的非小细胞肺癌，特别是那些对先前治疗产生耐药性的患者；

2018年，FDA批准首款TRK抑制剂拉罗替尼；

2019年，达可替尼作为第二代EGFR抑制剂，用于一线治疗EGFR突变阳性的非小细胞肺癌患者，显示出较高的疗效；

2020年，全球公共卫生危机下，小分子抗病毒药物成为研发的重点，多款候选药物进入临床试验；

2021年，口服选择性免疫抑制剂为器官移植患者提供了新的治疗选择，减少了传统免疫抑制剂的副作用；

2023年，抗体偶联药物（ADCs）结合了抗体和小分子药物的优点，成为癌症治疗的新热点。

随着生物技术的不断发展和医疗需求的不断增加，小分子药物行业将继续向更加精准和个性化的方向发展。同时，行业竞争也将更加激烈，需要企业不断创新和提高研发能力，以保持竞争优势。

[4] 1: <https://mp.weixin...>

2: 化学创新药与改良型新...

[13]

小分子药物产业链分析

小分子药物行业产业链上游为技术、材料及服务供应商，包括原材料、制药设备仪器、实验耗材、知识产权供应商及CXO服务供应商；产业链中游为小分子药物生产研发企业，负责药物研发、生产、销售；产业链下游为应用终端，各级医疗机构及DTP药房等终端机构。^[7]

小分子药物行业产业链主要有以下核心研究观点：^[7]

上游端原料药市场供应充足，价格较为稳定。据国家统计局，2022年中国化学原料药产量为362.6万吨，同比增长17.5%。截至2023年11月，中国化学原料药产量达290.2万吨，整体呈上升趋势。整体原料药行业竞争激烈，头部原料药制造企业如普洛药业、华海药业等具备较大竞争优势。国内供应商较多，原料药市场竞争充分，价格较为稳定。以伏美替尼的原料药甲磺酸艾氟替尼为例，其市场价格在250-450元/mg。

在新技术引领下，小分子药物发展迅速，获批数量持续增长。通过文献统计，基于HTS、SBDD、FBSS、DEL和PROTAC的应用占比分别为17.4%、51.2%、19.5%、4.0%和6.3%，一定程度上反映SBDD、FBDD等新策略在新药研发领域发挥重要作用。小分子药物作为最传统的药物形式，凭借其难以替代的优势，仍是药物研发领域的重要组成部分。2023年FDA共批准了69款新药，数量创5年新高。其中，FDA旗下的药物评估和研究中心（CDER）批准了55款创新药。具有创新机制的疗法占比近年来不断攀升，**其中小分子药物占比接近三分之二，反映出小分子药物的市场前景良好。**

下游多种创新型药物已纳入医保目录，患者疾病负担逐步减轻。小分子药物结构具有良好的空间分散性、成本较低，容易运输存储、质控相对容易，且可以口服，较其他药物领域具有明显优势。**部分创新型小分子药物已纳入医保，减缓患者负担。**以三代EGFR-TKI药物为例，2018年10月，国家医保局正式宣布三代EGFR-TKI奥希替尼正式纳入国家乙类医保目录，报销比例约为70%。2020年后，国产三代EGFR-TKI阿美替尼、伏美替尼相继纳入国家乙类医保目录，中标最新数据显示，阿美替尼价格为3520元/盒，伏美替尼3304元/盒。^[7]

上 产业链上游

生产制造端

技术、材料及服务供应商，包括原材料、制药设备仪器、实验耗材、知识产权供应商及CXO服务供应商

上游厂商

[辉瑞制药有限公司 >](#)

[上海罗氏制药有限公司 >](#)

[默克投资（中国）有限公司 >](#)

[查看全部 >](#)

产业链上游说明

小分子药物原材料包括原料药、中间体、研发用试剂、耗材、包装材料等，其中原料药、中间体为核心原材料。中国化学原料药市场供应充足，产量呈稳步上涨态势。作为全球主要的化学原料药生产地之一，2015-2017年中国原料药市场稳步发展，总体产量和收入稳步增长。2018年起受环保政策、产能过剩等多方面因素，原料药行业产量有所下滑，目前已恢复增长态势。**据国家统计局，2022年中国化学原料药产量为362.6万吨，同比增长17.5%。截至2023年11月，中国化学原料药产量达290.2万吨，整体呈上升趋势。**整体原料药行业竞争激烈，头部原料药制造企业如普洛药业、华海药业等具备较大竞争优势。国内供应商较多，原料药市场竞争充分，价格较为稳定。**以伏美替尼的原料药甲磺酸艾氟替尼为例，其市场价格在250-450元/mg。**

小分子化学药的研发和生产过程中，许多制药公司会选择与CXO企业合作，以降低成本、提高效率并加速药物上市。CXO企业可提供从药物发现、临床前研究、临床试验到生产制造的全方位服务，**对小分子药物而言，CXO企业可帮助设计并优化药物分子结构，提高药物的疗效和降低副作用。**中国CXO供应保障型完整，竞争力较强，存在较明显的价格优势和交付效率优势。其中，CRO最为关键，为服务药物研发环节，从安全性、有效性和成药性出发，实现几千到一万个潜在化合物到一款合格药品的

开发和筛选过程。在试验机构认证、选择及实验方案启动的时间上，CRO能为企业节约近20%的时间成本；在I到III期的临床试验阶段，整体用时可节省34%，在时间上极大的帮助小分子药物研发企业提高效率并加速药物上市。中国临床CRO企业数量众多，但大多数的临床试验外包服务类型单一，本土头部公司包括：药明康德、泰格医药、康龙化成。

中 产业链中游

品牌端

小分子药物生产研发企业

中游厂商

[百济神州（北京）生物科技有限公司 >](#)

[北海康成（北京）医药科技有限公司 >](#)

[拨康视云生物医药科技（苏州）有限公司 >](#)

[查看全部 v](#)

产业链中游说明

新技术引领下，小分子药物发展迅速。随着分子生物学、结构生物学等现代科学的快速发展，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计时代，发展迅速。传统的药物筛选方法如基于Known的药物发现由于效率低、较难研发出原创性成果、容易陷入专利陷阱等缺点，难以满足新药研发的需求，因此药物筛选技术不断更新迭代。HTS极大缩短先导化合物开发所需时间，SBDD、FBDD等也逐渐成为共小分子药物研发的常见手段。**通过文献统计，基于HTS、SBDD、FBSS、DEL和PROTAC的应用占比分别为17.4%、51.2%、19.5%、4.0%和6.3%，一定程度上反映SBDD、FBDD等新策略在新药研发领域发挥重要作用。**小分子药物作为最传统的药物形式，凭借其难以替代的优势，仍是药物研发领域的重要组成部分。

2023年FDA共批准了69款新药，其中小分子药物占比超一半。2023年FDA共批准了69款新药，数量创5年新高。其中，FDA旗下的药物评估和研究中心（CDER）批准了55款创新药，仅次于2018年的59款。新分子实体达37种，小分子居多共30款，占比约达55%。从疾病领域来看，小分子新药多集中在肿瘤和罕见病领域，占比分别为44%与25%，其次为免疫炎症、感染、神经系统、心血管及代谢类疾病。从疗法来看，**具有创新机制的疗法占比近年来不断攀升，其中小分子药物占比接近三分之二，**反映出小分子药物的市场前景良好。

下 产业链下游

渠道端及终端客户

各级医疗机构及DTP药房等终端机构

渠道端

复旦大学附属肿瘤医院 >

广州医科大学附属肿瘤医院（广州市癌症防治中心） >

湖南省肿瘤医院 >

查看全部 ▾

产业链下游说明

肿瘤发病率居高不下，推动广泛用于肿瘤治疗的小分子药物市场快速发展。随着分子生物学、结构生物学的快速发展，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计的时代，有利于肿瘤患者的诊疗。肿瘤发病率居高不下，老龄化进程延续趋势，癌症诊断、治疗需求不断扩大确立庞大肿瘤医疗服务市场。全球癌症发病数从2016年的17.2百万例增长到2022年的20.2百万例，年复合增长率达2.7%。**中国癌症发病数亦从2016年的4.1百万例增长到2022年的4.8百万例，年复合增长率达2.7%。在中国，肺癌、胃癌、结直肠癌、甲状腺癌、肝癌、乳腺癌、食管癌、宫颈癌、脑癌和胰腺癌是2022年发病率排名前十的癌症，其中前五名占癌症新发病率的50%以上。**

小分子药物较其他药物领域具有明显优势，多种创新型药物已纳入医保目录，患者疾病负担逐步减轻。小分子药物结构具有良好的空间分散性、成本较低，容易运输存储、质控相对容易，且可以口服，较其他药物领域具有明显优势。部分创新型小分子药物已纳入医保，减缓患者负担。以三代EGFR-TKI药物为例，2018年10月，国家医保局正式宣布三代EGFR-TKI奥希替尼正式纳入国家乙类医保目录，报销比例约为70%，中标数据显示，2019-2020年，奥希替尼价格为15,300元/盒，目前药品价格下降至5580元/盒；2020年后，国产三代EGFR-TKI阿美替尼、伏美替尼相继纳入国家乙类医保目录，中标最新数据显示，阿美替尼价格为3520元/盒，伏美替尼3304元/盒。**相较于一、二代产品，第三代EGFR药物克服耐药性的优势明显，医生及患者的用药倾向也将趋于第三代EGFR药物。**

[5] 1: 中国化学制药工业协会

[6] 1: <https://mp.weixin...> 2: CNKI, 药明康德

[7] 1: 艾力斯

[8] 1: 科迪集团, 长城国瑞证券

[9] 1: 中国化学制药工业协会

[10] 1: 科伦博泰, 美中嘉和

[11] 1: 艾力斯

[12] 1: <https://mp.weixin...> 2: <https://mp.weixin...> 3: 泰格医药, 药明康德

小分子药物行业规模

2019年—2023年，小分子药物行业市场规模由8,189.98亿人民币元回落至7,397.99亿人民币元，期间年复合增长率-2.51%。预计2024年—2028年，小分子药物行业市场规模由7,660.97亿人民币元增长至8,483.05亿人民币元，期间年复合增长率2.58%。^[17]

小分子药物行业市场规模历史变化的原因如下：^[17]

政策支持下，创新药企蓄力迸发，小分子药物研发创新成果初显。2021年12月，国家药监局等8部门联合印发《“十四五”国家药品安全及促进高质量发展规划》，明确提出“十四五”期末支持产业高质量发展的监管环境更加优化，审评审批制度改革持续深化，批准一批临床急需的创新药，加快有临床价值的创新药上市，在中国申请的全球创新药、创新疗法、器械尽快在境内上市。2022年，为科学规划和系统推进我国生物经济高质量发展，国家发展改革委印发了《“十四五”生物经济发展规划》，多地政府出台了支持和加快生物医药产业高质量发展的具体政策措施，鼓励生物医药发展，小分子药物也呈政策红利，市场快速扩容。

小分子药物获批数量稳定增长，创新疗法占比不断攀升，推动市场快速扩容。随着分子生物学、结构生物学等现代科学的快速发展，小分子药物发现进入基于靶点的药物设计时代，发展迅速。2023年FDA共批准了69款新药，数量创5年新高。其中，FDA旗下的药物评估和研究中心（CDER）批准了55款创新药，仅次于2018年的59款。新分子实体达37种，小分子居多共30款，占比约达55%。从疗法来看，具有创新机制的疗法占比近年来不断攀升，其中小分子药物占比接近三分之二，反映出小分子药物的市场前景良好，市场快速扩容。^[17]

小分子药物行业市场规模未来变化的原因主要包括：^[17]

技术更新迭代，推动小分子药物市场创新发展。小分子药物凭借其具有分子量小、给药途径多、免疫原性低、可穿透细胞膜、研发成本低、生产工艺成熟、易于储存和运输等优势，仍旧是创新药物研发的主力市场。传统的药物筛选方法如基于Known的药物发现由于效率低、较难研发出原创性成果、容易陷入专利陷阱等缺点，难以满足新药研发的需求，新型药物筛选技术的出现，推动了市场的进步。如HTS极大缩短先导化合物开发所需时间，SBDD、FBDD等也逐渐成为共小分子药物研发的常见手段。通过文献统计，基于HTS、SBDD、FBSS、DEL和PROTAC的应用占比分别为17.4%、51.2%、19.5%、4.0%和6.3%，一定程度上反映SBDD、FBDD等新策略在新药研发领域发挥重要作用。

AI技术渗透制药行业，助力小分子药物企业创新研发。人工智能与机器学习科技的进展与对大数据库的分析，促进小分子药物的靶标识别、药物组合、病患筛选与疗效预测上能更进一步的改善。据统计，在所有使用或开发专门人工智能工具的药物发现初创企业中，约高度45%专注于小分子药物。例如，Zavoronkov等人设计了一种基于生成性强化学习的小分子从头设计工具GENTRL，并利用它发现了一种新的酶抑制剂，DDR1激酶。且《“十四五”医药工业发展规划》提出，将积极探索人工智能、云计算、大数据等技术在研发领域的应用，通

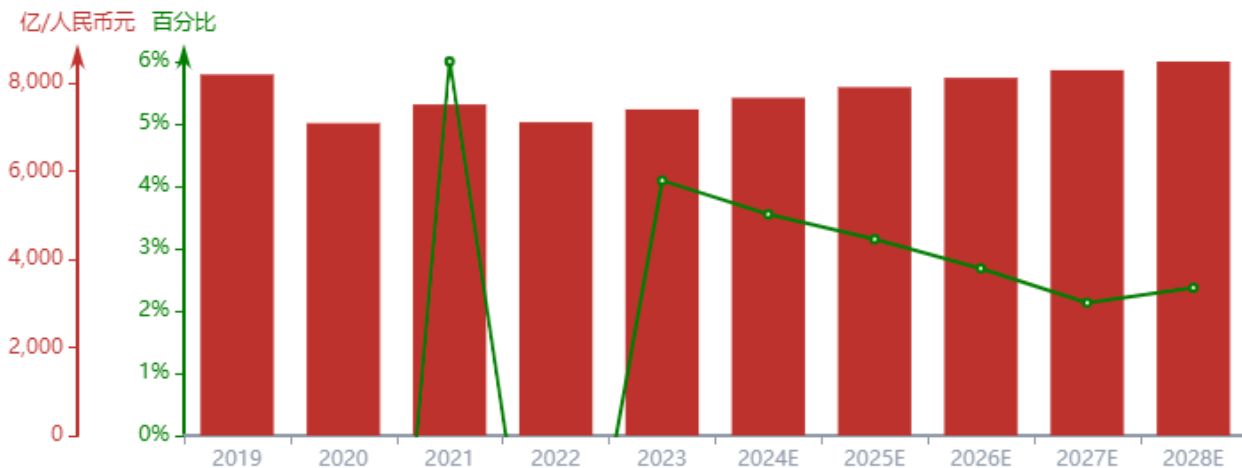
通过对生物学数据挖掘分析、模拟计算，提升新靶点和新药物的发现效率。**政策支持下，AI制药领域快速发展，有望带动小分子药物研发创新，推动市场增长。**^[17]

小分子药物行业规模

小分子药物行业规模



小分子药物行业规模



数据来源：国家统计局

[14] 1: <https://www.ndrc...> | 2: <https://www.gov.c...> | 3: 国家政府网、国家发改委

[15] 1: <https://mp.weixin...> | 2: <https://mp.weixin...> | 3: 泰格医药, 药明康德

[16] 1: CNKI

[17] 1: <https://www.gov.c...> | 2: <https://mp.weixin...> | 3: 国家政府网、Molecular...

小分子药物政策梳理^[18]

	政策名称	颁布主体	生效日期	影响
	《关于建立新上市化学药品首发价格形成机制鼓励高质量创新的通知（征求意见稿）》	国家医保局	2024-02	7
政策内容				

	新上市的化学药品首次在全省药品采购平台申报挂网时，企业可以选择按医保部门公布的评价量表，从药学、临床价值和循证证据三方面对号入座、自我测评，按分值进入高、中、低三个组别。
政策解读	政策的颁布为进一步落实企业自主制定药品价格政策要求，鼓励以临床价值为导向的药物研发创新，支持高质量创新药品的多元供给和公平可及，充分发挥市场决定性作用，更好发挥政府作用，健全药品价格形成机制。
政策性质	鼓励性政策

	政策名称	颁布主体	生效日期	影响
	《药物临床试验机构监督检查办法（试行）》	国家药监局	2023-11	4
政策内容	该政策的主要内容是围绕药物临床试验机构监督检查展开的，涵盖了目的、原则、对象、方式、程序、结果处理等多个方面，为规范药物临床试验机构的行为、保障受试者权益、提高药物临床试验的质量和安全性提供了有力的制度保障。			
政策解读	政策的实施将有助于规范药物临床试验机构的行为，减少违规行为的发生，提高试验数据的真实性和可靠性；强调了受试者权益保护的重要性，通过加强监督检查，确保受试者在试验过程中的安全和权益得到充分保障；规范的药物临床试验是医药行业健康发展的重要保障。			
政策性质	规范类政策			

	政策名称	颁布主体	生效日期	影响
	《药品附条件批准上市申请审评审批工作程序（试行）（修订稿征求意见稿）》	国家药监局	2023-08	6
政策内容	政策主要内容涵盖了附条件批准上市的适用条件、工作程序、申请材料要求、审评审批标准以及后续监管等方面，为加快创新药物或急需药物的上市速度，满足患者需求提供了有力的政策支持。			
政策解读	该政策的颁布有利于加快药品上市速度、满足患者需求、推动药品研发和创新以及提升审评审批工作的透明度和公正性；且这将有助于推动中国医药产业的健康发展，提升中国在全球医药领域的竞争力。			
政策性质	指导性政策			

	政策名称	颁布主体	生效日期	影响
	《药审中心加快创新药上市许可申请审评工作规范（试行）》	国家药监局药审中心	2023-03	4
政策内容	该政策提出明确加快审评适用范围、优化审评流程和强化质量控制，旨在通过优化审评流程、提高审评效率，为创新药物的研发和上市提供更为高效、便捷的服务。			
政策解读	政策的实施将有助于激发企业和科研机构在创新药物研发方面的积极性，推动更多高质量的创新药物问世；且通过优化审评流程、缩短审评时限等措施，政策将显著提升审评效率，使创新药物能够更快地进入市场，满足患者需求。			
政策性质	规范类政策			

	政策名称	颁布主体	生效日期	影响
	《以临床价值为导向的抗肿瘤药物临床研发指导原则》	国家药监局药审中心	2021-11	5
政策内容	本指导原则强调落实以临床价值为导向，以患者为核心的研发理念的重要性，为促进抗肿瘤药物科学有序地研发指明了方向。			
政策解读	这一政策的发布将引导企业和科研机构更加注重药物的临床价值，推动药物研发向更加实用、有效的方向发展；且将有助于提高抗肿瘤药物的研发效率和质量，减少无效或低效的研发项目，为患者带来更多更好的治疗选择。			
政策性质	指导性政策			

[18] 1: <https://www.cde.o...> 2: <https://www.nmpa...> 3: <https://mp.weixin...> 4: <https://www.cde.o...>
5: <https://www.gov.c...> 6: CDE, 国家药监局, 各...

小分子药物竞争格局

小分子药物行业呈现以下梯队情况：第一梯队公司有加科思、百济神州等；第二梯队公司为和誉医药、亚盛医药等；第三梯队有德琪医药、北海康成等。[22]

小分子药物行业竞争格局的形成主要包括以下原因：[22]

企业着力于创新疗法的发现、开发和商业化，在多领域创新疗法布局，凭借创新制剂抢占市场先机。随着国家政策鼓励创新药发展，多家企业与多领域布局创新疗法，凭借创新制剂抢占市场份额。如君实生物以创新为驱动，致力于创新疗法的发现、开发和商业化，凭借小分子药物、多肽类药物、抗体药物偶联物、双特异性或多特异性抗体药物、核酸类药物等更多类型的创新药物研发，以及针对癌症、自身免疫性疾病等下一代创新疗法的探索，抢占市场先机，其市场地位雄厚。

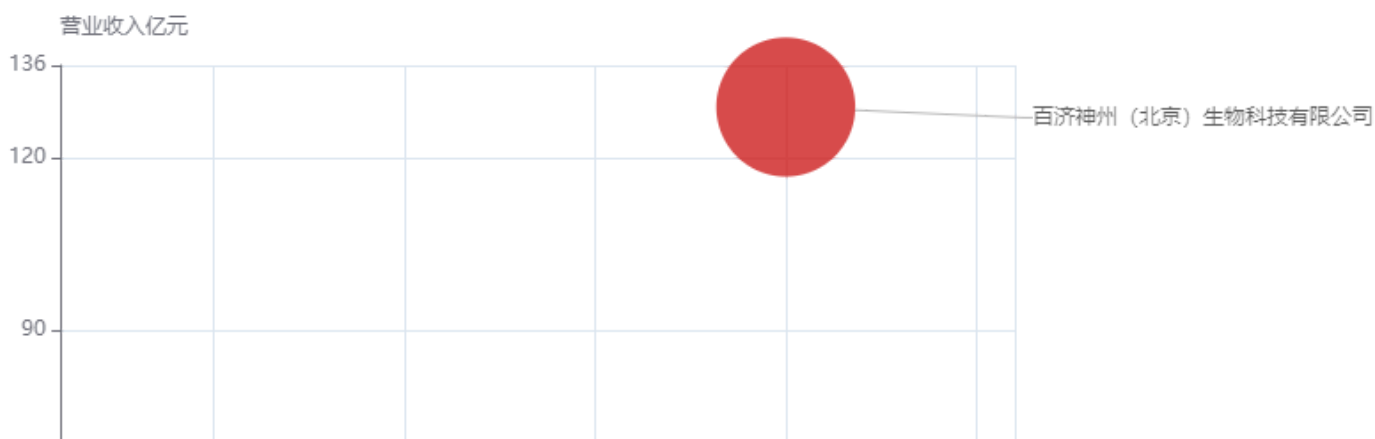
小分子药物虽然研发技术难度大，但凭借分子量小和可口服递送等优点，需求稳定，推动企业入局小分子药物市场。小分子药物需要通过设计筛选特定结构发挥作用，研发难度较大，近年来随着抗体的发现和蛋白质工程的发展，针对明确的胞外分泌蛋白或膜上受体靶点，生物制剂在研发进展上具有显著优势，已诞生多款重磅药物。但小分子药物具有分子量小、可穿透细胞膜、更易通过口服方式递送等优点，相比传统生物制剂多采用静脉或皮下注射的方式递送，口服类小分子药物具有便利性，有利于推动药物渗透率。目前多家企业如百济神州、和誉医药、加科思、歌礼制药等已有多款小分子在研药物在自身免疫、代谢类疾病中取得积极的临床数据，市场竞争激烈。^[22]

小分子药物行业竞争格局的变化主要有以下几方面原因：^[22]

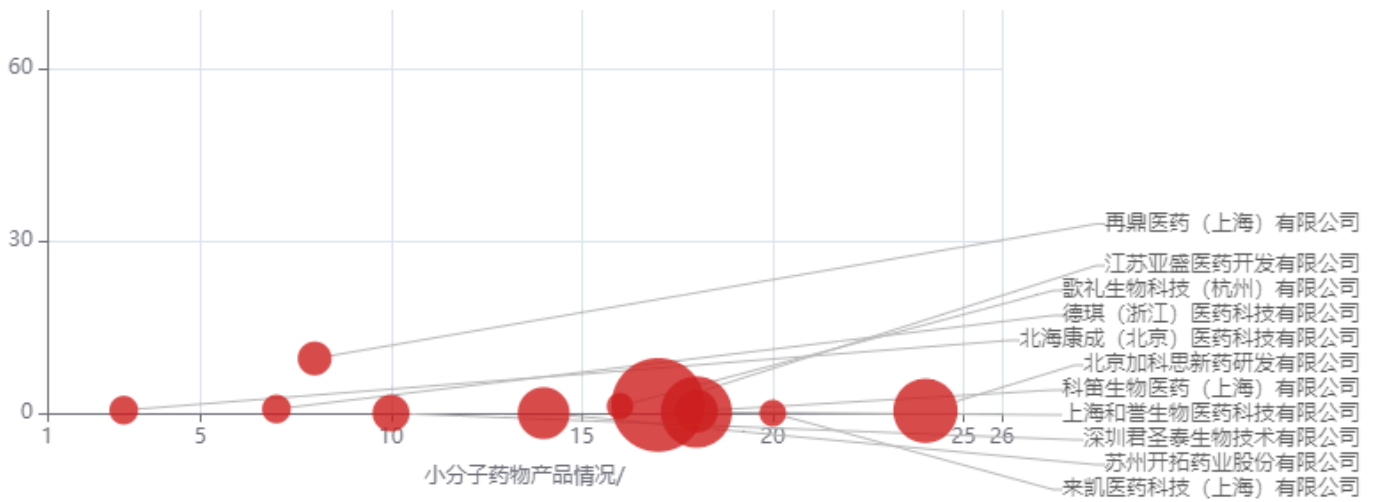
本土企业研发管线增加，国产替代加速，企业竞争力显著提升。本土企业研发管线增强，国产替代加速，本土药物商业化放量潜力显著，未来企业竞争愈加激烈。如百济神州拥有9条小分子药物在研管线、和誉医药拥有9条小分子药物在研管线、加科思拥有12条小分子药物在研管线、来凯医药拥有10条小分子药物在研管线等。PROTAC技术凭借其不需与治病靶点结合及能长时间结合等优点，有望促进小分子药物市场广阔增长，吸引众多生物医药企业入局。如海思科是中国首个开启PROTAC临床试验的药企，开拓药业的AR PROTAC、冰洲石生物的ER PROTAC及百济神州BTK靶向降解剂BGB-16673临床进展优势明显。

企业专注研发创新，伴随新型生物技术的持续突破，企业或凭新产品上市提高市场份额。随着信息技术与生物技术的融合发展，以靶点为导向的药物设计，如利用高通量筛选方法获取小分子与靶蛋白的复合晶体结构并借助计算机辅助对其进行结构优化已成为新药研发的主要方向。针对小分子药物领域，抗体小分子偶联药物已逐渐成熟，PROTAC、变构调节剂、氘代药物、AI药物、分子胶等新技术推动小分子药物研发进一步发展，市场机遇广阔。如加科思着力于研发人类最常见致癌基因之一又难以成药的靶点KRAS，成功获批突破性疗法。企业通过研发创新，随着新型制剂的获批上市，将大力促进企业的市场竞争力。^[22]

气泡大小表示：专利数量(个)



[25]



上市公司速览

BeiGene, Ltd. (06160)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
828.5亿	24.6亿	73.6500	-

北海康成制药有限公司 (01228)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
51.7亿	4305.1万	23.9700	-

德琪医药有限公司 (06996)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
120.8亿	7201.6万	33.4700	-

歌礼制药有限公司 (01672)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
156.9亿	4650.6万	21.6900	-

和誉开曼有限责任公司 (02256)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
87.5亿	1906.0万	--	-

加科思药业集团有限公司 (01167)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
106.3亿	4033.5万	-26.2400	-

君圣泰医药 (02511)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
59.2亿	2058.1万	48.9100	-

开拓药业有限公司 (09939)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
74.4亿	-	--	-

科笛集团 (02487)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
66.4亿	3434.3万	--	-

来凯医药有限公司 (02105)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
48.4亿	-	--	-

亚盛医药集团 (06855)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
70.8亿	1.4亿	49.0100	-

再鼎医药有限公司 (09688)

总市值	营收规模	同比增长(%)	毛利率(%)
483.0亿	2.7亿	24.0300	-

- [19] 1: <https://www.kintor...> | 2: <https://www.beige...> | 3: 企业官网
- [20] 1: <https://www.jacobi...> | 2: 加科思
- [21] 1: <https://www.junshi...> | 2: 君实生物
- [22] 1: CNKI
- [23] 1: Wind
- [24] 1: <https://www.paten...> | 2: <https://www.paten...> | 3: <https://www.paten...> | 4: <https://www.paten...> | 5: <https://www.paten...> | 6: <https://www.paten...> | 7: <https://www.paten...> | 8: <https://www.paten...> | 9: <https://www.paten...> | 10: <https://www.pate...> | 11: <https://www.pate...> | 12: <https://www.pate...> | 13: 专利顾如
- [25] 1: <https://www.beige...> | 2: <https://www.canbr...> | 3: <https://www.anten...> | 4: <https://www.asclt...> | 5: <https://www.jacobi...> | 6: <https://hightidetx...> | 7: <https://www.kintor...> | 8: <https://www.laekn...> | 9: <https://www.ascen...> | 10: <https://cn.zailabo...> | 11: 各企业官网

小分子药物代表企业分析^[26]

1 百济神州（北京）生物科技有限公司

· 公司信息

企业状态	存续	注册资本	272278.7023万人民币
企业总部	市辖区	行业	研究和试验发展
法人	吴晓滨	统一社会信用代码	91110114567400208U
企业类型	有限责任公司(台港澳法人独资)	成立时间	2011-01-24
品牌名称	百济神州（北京）生物科技有限公司		
经营范围	许可项目：药物临床试验服务；药品委托生产。（依法须经批准的项目，经相关部门批准后... 查看更多		

· 融资信息

披露时间	投资企业	金额	轮次
2021-12-15	公开发行	221.6亿人民币	IPO上市
2020-07-13	高瓴资本, Baker Brothers Advisors LLC, 安进	20.8亿美元	战略融资
2019-11-01	Amgen Ventures	27亿美元	战略融资

· 融资信息



2018-08-08	公开发行	70.85亿港元	IPO上市
2018-07-30	BakerBros, GIC, 高瓴资本, 汇桥资本	未披露	战略融资
2018-01-23	公开发行	8亿美元	战略融资
2016-02-03	公开发行	1.47亿美元	IPO上市
2015-05-12	CPE源峰, 高瓴资本, T. Rowe Price, Rock Springs Capital	9660万美元	B轮
2014-11-15	高瓴资本, CPE源峰	7500万美元	A轮



· 竞争优势

百济神州聚焦肿瘤免疫、血液肿瘤、实体瘤等领域，以自研和强大BD搭建起多元化的技术平台和产品管线，60+潜在FIC临床前候选项目积极推进，40+临床阶段药物正在超过45个国家和地区开展临床试验，目前已有16款产品组合正在全球商业化，其中核心产品泽布替尼（BTK）、替雷利珠（PD-1）具备重磅产品潜质。

· 竞争优势2

百济神州是首个在纳斯达克、港交所和上交所科创板三地上市的生物科技公司，未来有望步入Big Pharma阵列。

2 苏州开拓药业股份有限公司【839419】



· 公司信息

企业状态	存续	注册资本	3441.9442万人民币
企业总部	苏州市	行业	医药制造业
法人	TONG YOUZHI	统一社会信用代码	91320594687160018R
企业类型	股份有限公司（外商投资、未上市）	成立时间	2009-03-24

品牌名称	苏州开拓药业股份有限公司	股票类型	新三板
经营范围	药品及试剂的技术研发、技术服务、技术转让、技术咨询。(依法须经批准的项目, 经相关... 查看更多)		

▪ 财务数据分析

财务指标	2014	2015	2016	2017
销售现金流/营业收入	-	-	0.54	0.21
资产负债率(%)	2.9528	0.9693	0.5923	92.6106
归属净利润同比增长(%)	-	-37.0909	-373.9561	14.7702
应收账款周转天数(天)	-	-	70.118	339.9433
流动比率	31.5017	98.441	130.0336	2.2419
每股经营现金流(元)	-0.54	-0.77	-0.7724	-2.2874
毛利率(%)	-	-	75.1842	31.1594
流动负债/总负债(%)	100	100	100	34.0735
速动比率	5.5328	67.3387	101.6554	0.9063
摊薄总资产收益率(%)	-62.0706	-42.7231	-190.0543	-139.8688
加权净资产收益率(%)	-214.66	-67.87	-429.95	-293.63
基本每股收益(元)	-0.57	-0.68	-2.89	-2.39
净利率(%)	-	-	-3718.2617	-9433.4795
总资产周转率(次)	-	-	0.0511	0.0148
每股公积金(元)	-	-	2.9785	4.4803
营业总收入(元)	-	-	145.84万	48.99万
每股未分配利润(元)	-	-	-3.0813	-5.2956
稀释每股收益(元)	-0.57	-0.68	-2.89	-2.39

归属净利润(元)	-8345651.6	-11441126.25	-54225921.05	-46216640.42
扣非每股收益 (元)	-0.6682	-0.7776	-1.4231	-2.67
经营现金流/营 业收入	-0.54	-0.77	-0.7724	-2.2874

竞争优势

开拓药业成立于2009年，专注发展潜在“best-in-class”和“first-in-class”创新药物的研发及产业化，致力成为创新疗法研究、开发及商业化的领军企业。

竞争优势2

公司经过多年的发展，以皮肤科和肿瘤等相关疾病为核心，尤其是雄激素受体相关，研发多通道产品组合，产品覆盖全球高发率癌症及其它未满足临床需求的疾病领域，包括脱发、痤疮、新冠、前列腺癌、肝癌和乳腺癌等。

竞争优势3

开拓药业前瞻性布局了包含小分子创新药、生物创新药及联合疗法的多元化产品管线，拥有7款正在开展临床研究的产品，包括两款雄激素受体(AR)拮抗剂、AR-PROTAC化合物、ALK-1单抗、Hedgehog抑制剂、mTOR激酶靶向抑制剂和PD-L1/TGFβ双靶点抗体，以及正在进行临床前研究的ALK-1/VEGF双抗和c-Myc抑制剂等。

3 江苏亚盛医药开发有限公司

公司信息

企业状态	存续	注册资本	1250.577万美元
企业总部	泰州市	行业	研究和试验发展
法人	Dajun Yang	统一社会信用代码	9132129155582963XN
企业类型	有限责任公司(台港澳合资)	成立时间	2010-06-01
品牌名称	江苏亚盛医药开发有限公司		
经营范围	新药研发及技术咨询（不含生产，不涉及限制类、禁止类项目）。（依法须经批准的项目... 查看更多		

融资信息

披露时间	投资企业	金额	轮次
2019-10-28	未披露	未披露	IPO上市

融资信息



2018-07-18	元明方圆基金, 元禾原点, 腾跃基金, HDY International Investment, ArrowMark Partners, 青松资本, 建银国际	10亿人民币	C轮
2018-03-29	盈科资本, 金龙集团	未披露	股权融资
2016-12-26	国投创新, 泰格医药, 倚锋资本, 元明资本, 拾玉资本, 潜龙投资, 方正和生投资, 元禾原点	5亿人民币	B轮
2015-08-12	元禾原点, 元明资本, 倚锋资本, 元生创投, 磐谷创投	9600万人民币	A轮
2014-01-01	三生制药	2000万人民币	天使轮

天使轮

2000万人民币
2014-01-01

B轮

5亿人民币
2016-12-26

C轮

10亿人民币
2018-07-18

A轮

9600万人民币
2015-08-12

股权融资

未披露
2018-03-29

IPO上市

未披露
2019-10-28

竞争优势

亚盛医药是一家立足中国、面向全球的生物医药企业，致力于在肿瘤、乙肝及与衰老相关的疾病等治疗领域开发创新药物。

竞争优势2

亚盛医药拥有自主构建的蛋白-蛋白相互作用靶向药物设计平台，处于细胞凋亡通路新药研发的全球前沿。公司已建立拥有9个已进入临床开发阶段的1类小分子新药产品管线，包括抑制Bcl-2、IAP 或 MDM2-p53 等细胞凋亡通路关键蛋白的抑制剂；新一代针对癌症治疗中出现的激酶突变体的抑制剂等，为全球唯一在细胞凋亡通路关键蛋白领域均有临床开发品种的创新公司。目前公司正在中国、美国、澳大利亚及欧洲开展40多项I/II期临床试验。

竞争优势3

用于治疗慢性髓细胞白血病的核心品种奥雷巴替尼（商品名：耐立克®）曾获中国国家药品监督管理局新药审评中心（CDE）纳入优先审评和突破性治疗品种，并已在中国获批，是公司的首个上市品种。目前，耐立克®已被成功纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录(2022年)》。该品种还获得了美国FDA快速通道资格、孤儿药资格认定、以及欧盟孤儿药资格认定。

[26] 1: <https://www.beige...>

2: <https://www.kintor...>

3: <https://www.ascen...>

4: 各企业官网

法律声明

权利归属：头豹上关于页面内容的补充说明、描述，以及其中包含的头豹标识、版面设计、排版方式、文本、图片、图形等，相关知识产权归头豹所有，均受著作权法、商标法及其它法律保护。

尊重原创：头豹上发布的内容（包括但不限于页面中呈现的数据、文字、图表、图像等），著作权均归发布者所有。头豹有权但无义务对用户发布的内容进行审核，有权根据相关证据结合法律法规对侵权信息进行处理。头豹不对发布者发布内容的知识产权权属进行保证，并且尊重权利人的知识产权及其他合法权益。如果权利人认为头豹平台上发布者发布的内容侵犯自身的知识产权及其他合法权益，可依法向头豹（联系邮箱：support@leadleo.com）发出书面说明，并提供具有证明效力的证据材料。头豹在书面审核相关材料后，有权根据《中华人民共和国侵权责任法》等法律法规删除相关内容，并依法保留相关数据。

内容使用：未经发布方及头豹事先书面许可，任何人不得以任何方式直接或间接地复制、再造、传播、出版、引用、改编、汇编上述内容，或用于任何商业目的。任何第三方如需转载、引用或基于任何商业目的使用本页面上的任何内容（包括但不限于数据、文字、图表、图像等），可根据页面相关的指引进行授权操作；或联系头豹取得相应授权，联系邮箱：support@leadleo.com。

合作维权：头豹已获得发布方的授权，如果任何第三方侵犯了发布方相关的权利，发布方或将授权头豹或其指定的代理人代表头豹自身或发布方对该第三方提出警告、投诉、发起诉讼、进行上诉，或谈判和解，或在认为必要的情况下参与共同维权。

完整性：以上声明和本页内容以及本平台所有内容（包括但不限于文字、图片、图表、视频、数据）构成不可分割的部分，在未仔细阅读并认可本声明所有条款的前提下，请勿对本页面以及头豹所有内容做任何形式的浏览、点击、引用或下载。