

PharmaProjects 提供
数据支持



为何中国成为
全球焦点？

为何辉瑞能够
重登榜首？

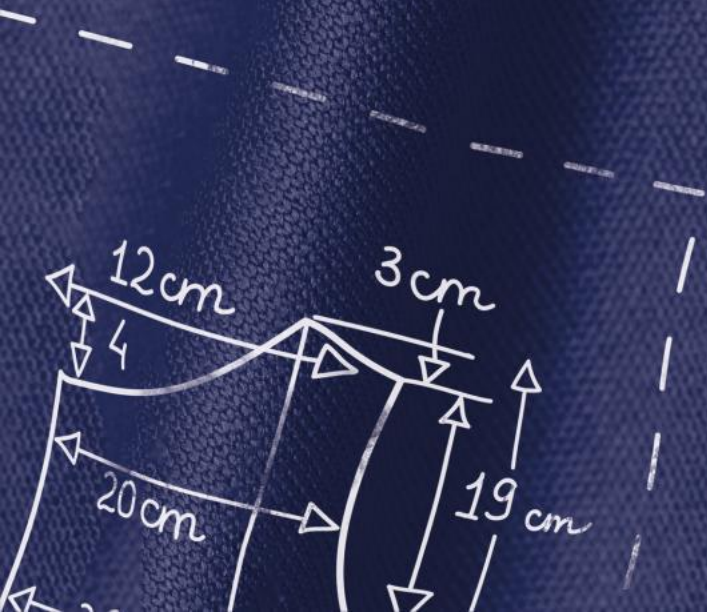
白皮书

2025 年 医药研发年度回顾

深度解析年度关键研发管线趋势，洞悉药物开发
领域发展动态。

目录

开篇语	03
引言：研发管线总规模 医药行业资源储备迎来历史性扩容	05
遵循模式：2025年研发管线各阶段分布 行业能否通过精准资源调配实现临床成本优化？	07
领先企业 传统知名药企地位稳固，中小规模药企蓬勃发展	10
治疗领域与疾病 癌症研发是否已触及增长瓶颈？	18
区域差异 主要市场中的领军企业及其多元化药物研发风格	28
作用机制与靶点 免疫肿瘤学仍是研究热点	47
在研管线类型 生物科技在医药领域大放异彩	52
医药行业前景展望 医药行业能否保持优势，还是会面临非凡挑战？	61
关于作者	66



欢迎阅读Pharmaprojects《2025年医药研发年度回顾》

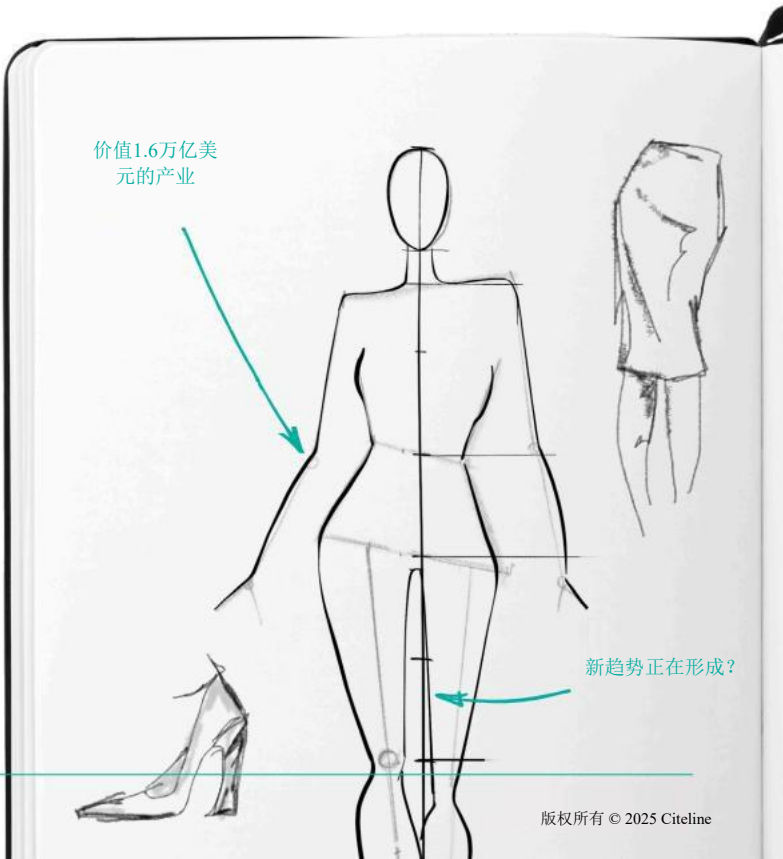
欢迎阅读Pharmaprojects《2025年医药研发年度回顾》。三十多年来，我每年都会回顾医药研发领域过去一年的发展动态。2025年伊始，我在本文中深入剖析了医药行业的最新发展趋势。我们将通过企业研发管线、治疗领域分布、疾病、靶点和药物类型等多个关键维度，全面解析行业趋势。分析数据来自Citeline旗下的Pharmaprojects数据库。这是一个自1980年起便持续追踪全球药物研发进展的权威平台。我们后续还会发布2024年获批上市的新活性物质（NAS）回顾增刊。在本报告中，我们将深度解析医药研发领域的变革动向，研判哪些创新正引领时代潮流，哪些技术已显陈旧落伍；同时，也将尝试洞察行业在哪些领域已蓄势待发、准备充分，哪些方面虽勉力维持却难掩颓势。希望本报告能帮助您准确把握全球药物研发的最新趋势。

长期关注本报告的读者（自1993年创刊以来，今年已是第33期）会发现，近年来我们都会为每期报告设定一个主题。这些主题既是为了突出重点、引发思考，也是为了让这本可能充满枯燥数据的报告增添一些趣味性——毕竟没有人愿意阅读如同慈善二手商店里积灰旧物一样的乏味内容。过往我们曾选用过天文、电影、自然、音乐、美食、科幻、旅行、文学等主题，去年则以天气为主题。今年，正如各位敏锐的观察者所料，我们选择了“时尚”作为贯穿全篇的主题。时尚和医药都是深刻影响每个人生活的领域。在这两个领域，潮流不断更迭，有些经久不衰，有些则转瞬即逝。

人类开始穿着衣物的历史可追溯至约10万年前。有趣的是，正是现代分子生物学技术帮助我们精确确定了这一时间节点。

2010年《分子生物学与进化》期刊的一项研究通过分析体虱与头虱的基因差异，将人类开始穿衣的时间锁定在8.3万至17万年前。这意味着，在我们这个物种存在的大部分时间里，人类都处于赤身裸体状态。学术界对此仍有争议：到底是衣物的发明让人类能够迁移到气候更为寒冷的地区，还是迁徙本身促使人类发明了衣物。目前发现的最古老服饰证据是约1.1万年前描绘织物的小雕像。从某种意义上说，服饰的发展始终与人类健康息息相关——保持温暖和舒适能有效降低患病风险。

即使在原始社会，服饰就与社会地位密不可分，部落首领往往穿着最华丽的兽皮。到了罗马帝国时期，服饰更是成为阶级的标志，只有元老院议员才有权穿着泰尔紫染制的长袍。因此，与制药业一样，时装产业可以说也有着数千年的历史。



与制药业类似，能够享受最新时尚成果的往往也是富裕阶层，无论是文艺复兴时期的拉夫领、摄政时期的花花公子装束，还是好莱坞黄金时代的高级定制，遗憾的是，这种情况至今仍未改变。现代时尚产业大约形成于一个世纪前。可可·香奈儿（Coco Chanel）和艾尔莎·夏帕瑞丽（Elsa Schiaparelli）等设计大师在第一次世界大战后的“咆哮的二十年代”崭露头角。那个以Flapper连衣裙为标志的年代，恰好也是许多现代制药巨头创立的时期。

为了避免偏离主题，我们要强调的是，本报告的核心是分析医药研发趋势。但“趋势”这个概念本身，恰恰是时尚界最关注的话题。事实上，“趋势”这个词已经演变为“非常时尚”之意。正如本报告的长期读者所知，制药行业的趋势形成和演变相对缓慢，这正是Pharmaprojects持续45年积累的数据如此宝贵的原因。尽管时尚产业的发展日新月异，但实际上，除了只占极小份额的高级定制时装外，潮流的变化往往需要很长时间。就像我们习惯性将某种服装风格与整个年代联系起来（比如60年代的迷你裙和热裤，80年代的拉拉队裙和垫肩外套），而不是仅仅与某个季节挂钩。最大的区别在于，制药行业的趋势在很大程度上由严谨的科学驱动；而时尚潮流的变迁，比如谁来决定今年裙子的长度是变短还是变长，至今仍是谜。药物注重的是实质而非形式，

但时尚的变化也绝非心血来潮。和医药领域一样，在时尚业中，技术进步同样发挥着关键作用。自20世纪30年代人造纤维问世以来，尼龙、涤纶等新材料不仅通常比天然材料更具有经济性，还赋予了织物前所未有的特性。化学工业还为我们带来了新的色彩，让传统天然染料焕发出更为绚丽的光彩。因此，今天生产的许多服装在50年前根本无法制造，在技术创新速度不断加快的药物领域情况也是如此。

从某种意义上说，疾病也像时尚一样有起有落。正如本报告后续内容所示，癌症治疗领域长期占据研发热点。当文化关注点的变化遇到治疗药物和方法的突破，整个行业就会迅速转向尚未开发的市场（当前减肥药的热潮就是明证）。有时，世界也会出人意料地抛出一个曲线球，就像2020年COVID-19疫情那样，在短时间内塑造出全新的市场格局。值得庆幸的是，当时行业以惊人的速度做出了反应。正因如此，COVID-19的消退速度才会比喇叭裤过时还要快。

制药业和服装业的另一个相似之处在于，两者都是价值庞大的产业。最新评估显示，全球医药市场规模已达1.79万亿美元，约占全球GDP的1.6%。相比之下，高级定制时装（或称“高端”时尚产业）的估值仅为120亿美元。分析师估计，全球医疗保健市场规模约为8万亿美元，其中制药产业规模达1.6万亿美元。时尚与制药行业还有一个令人遗憾的共同点——不平等。前者无疑更具精英主义色彩；虽然可以说没多少人会想买古驰的裙子，但事实上无论在哪里，能负担得起的人都十分有限。然而，每个人都希望获得救命的药物。但令人遗憾的是，即使到了2025年，这些药物仍然主要流通于富裕国家——即便如此，普通民众也未必能真正受益。创新在这两个行业都备受推崇，同时也代价高昂。但任何患有遗传疾病的患者都渴望获得最新研发的价值百万美元的基因疗法，而我们大多数人没有Lady Gaga在2010年穿的那件肉片礼服也照样能活得很好。

现在，就让我们开始解读2025年医药产业的发展格局。行业是在紧缩投入，还是在全力扩张？在药物研发领域，哪些方向方兴未艾，哪些已经日薄西山？什么才是真正的趋势？什么只是过眼云烟？我们将为您呈现所有的数据和趋势。欢迎来到医药界的时尚秀场，大幕正在拉开。毕竟，正如“人靠衣装”，制药企业靠的是优质药物。

引言：研发管线总规模

医药行业资源储备迎来历史性扩容

在本年趋势分析的前言中，我们将首先审视当前研发管线中的药物总量，为后续分析奠定基础。本报告所有研究均围绕这些药物展开，因此有必要首先明确“研发管线”的具体定义范围。我们对制药企业披露的所有在研药物进行了系统性统计，覆盖从临床前研究、各期临床试验到监管审批及上市的全生命周期。已上市药物仅在其仍进行新适应症开发或市场拓展时纳入统计，已终止研发或完成开发的药物则不予计入。所有数据采集于2025年1月2日至3日期间。

2025年的医药研发“衣橱”是否需要扩容？图1展示了本年度研发管线的总体规模数据。数据显示，全球在研药物数量再创新高，高达23875个。这一数字较2024年增长4.60%，增速较去年（7.20%）明显放缓，略低于2021年（4.76%），创下了近十年来的最低增长率。

图1：2021~2025年期间每年的药物研发管线总规模



需要特别说明的是，今年整体数据可能受到部分内部因素影响。2024年，我们启动了一项重大技术工程，对编辑与数据采集系统进行了全面重构。此次升级不仅使数据更新更为迅捷，还为客户带来了更多创新功能。然而，与所有此类大型技术项目一样，这一变革也给我们的常规编辑流程带来了一些暂时性挑战。这可能导致2024年新增至数据库的药物数量略低于我们通常的预期水平。2024年期间，Pharmaprojects数据库首次收录了4546个药物，较2023年新增的5428个和2022年5082个有所下降。这可能在一定程度上抑制了整体研发管线数量的增长；然而出于同样的原因，我们在将药物从活跃管线移入“无研发进展报告”状态时，也未如往常般及时。我们推测这两个问题在很大程度上相互抵消，因此数据可能并未受到显著影响。不管怎样，我们都希望可以公开说明这两个因素。两者的影响都将是系统性的，因此不会对比较趋势数据产生影响。

然而，单年4546个全新候选药物分子仍是一个相当庞大的数字。新分子开发主要集中在哪些领域？肿瘤学领域独占鳌头，占有所有新研发药物的38.8%，较2023年（38.0%）略有提升，无疑占据主导地位。神经系统药物以13.8%的占比位居第二，较上一年度（12.7%）有所提升。值得注意的是，2024年进入研发管线的药物中，恰好有五分之一针对一种或多种罕见病研发——我们将在后文详细探讨这一主题。

新药上市的格局持续不断发生演变。年内管线扩充数量最多的企业当属Novartis，新增37款药物，取代了2023年的领跑者Pfizer，后者仅新增了32款药物。然而，医药界的风向标早已悄然东移。中国江苏恒瑞医药再次以36个新候选药物（较上一年度的30个有所提升）的研发成果，成为全球管线扩充规模第二大的制药企业。中国也正在持续缩小与美国的差距，已成为报告大多数新药研发项目的来源国。2024年这一数字为1495，较2023年的1627有所下降。但由于美国的报告数量从1856降至1683，目前两国差距已缩小至不足200。

医药研发与时尚产业的对比可以进一步延伸到研发阶段产品与最终商业化产品的差异。虽然新服装产品从设计到上市的周期远短于新药研发，但两者成功上市后的市场生命周期同样面临挑战：创新药物受专利保护期限限制，而时尚产品则因消费者追求新鲜感而快速更替。需要强调的是，对医药行业而言，关键指标并非在研产品的数量规模，而是最终能够成功上市并实现商业价值的产品数量。基于此，我们有必要再次提出年度警示：如果医药行业不能持续推出具有临床价值和商业潜力的优质产品，单纯追求研发管线规模的扩张并不一定会带来实质性进步。关于2024年新药获批情况，我们正在完善新活性物质（NAS）的完整清单，2023年，共有91个新药获批，创下了历史第二高的纪录。从现有数据来看，2024年的表现同样值得期待，具体分析详见即将于3-4月发布的《新活性物质增刊》。最后，我们可以有信心地宣布：本年《医药研发报告》呈现的管线规模数据真实可靠，绝非“皇帝的新衣”。



遵循模式：2025年研发管线各阶段分布

行业能否通过精准资源调配实现临床成本优化？

您所穿戴的每一件服饰，如同服用的每一剂药物，都经历了严谨的研发过程。在服装设计领域，创意构思往往始于一张纸质草图，这与药物研发人员绘制分子结构式的过程可谓异曲同工。在当今数字化时代，计算机技术正以前所未有的方式重塑这两个领域。在原型开发阶段，需要集齐所需原材料。在测试验证阶段，则涵盖服装的试穿评估与药物的临床试验。随后是依据测试反馈不断优化的改进阶段，以及最终将产品推向市场的商业化部署阶段。

值得注意的是，时尚产品从概念到上市可能仅需数月时间，而创新药物的研发可能耗费十年之久和数十亿美元的研发投入。当然，一款药物的成功不仅关乎口感和适配性，它还必须具有治疗价值，并且风险/收益比可接受。验证这一点绝非易事，因此需要开展大规模长期临床试验。在报告的这一部分，我们将分析处于研发流程各阶段的药物数量，并尝试评估行业是否在每个阶段都输送了适宜数量的候选药物，从而做到量体裁衣、合理配置资源。



图2展示了2025年全球医药研发管线按开发阶段的详细分布情况。全球研发状态统计标准是指某款药物在任何国家、针对任何适应症、由任何企业所达到的最高研发阶段，因此每款药物在此仅进行统计一次。2025年，全球医药研发管线规模持续扩张，但各阶段的增长速度差异显著。今年临床前药物数量仅增长1.8%，而去年的增长率为5.5%。各临床阶段药物的增长率如下：I期临床试验增长6.8%（去年同期为13.5%）；II期增长6.3%（去年同期7.8%）；III期增长8.8%（去年同期1.6%）。

值得注意的是，虽然I期临床试验的数值高于II期这一现象初看有违常理，但这实为研发管线的动态特性所致。事实上，处于II期阶段的药物数量与I期阶段大致相当，但这绝不意味着几乎所有完成I期试验的药物都能顺利进入II期。两个阶段间存在显著的自然损耗，但由于II期研发通常耗时更久，药物会在II期形成积压。因此在任一统计时点，处于I期的药物数量总是多于II期。

图2：2024年与2025年管线各开发阶段推出的药物数量

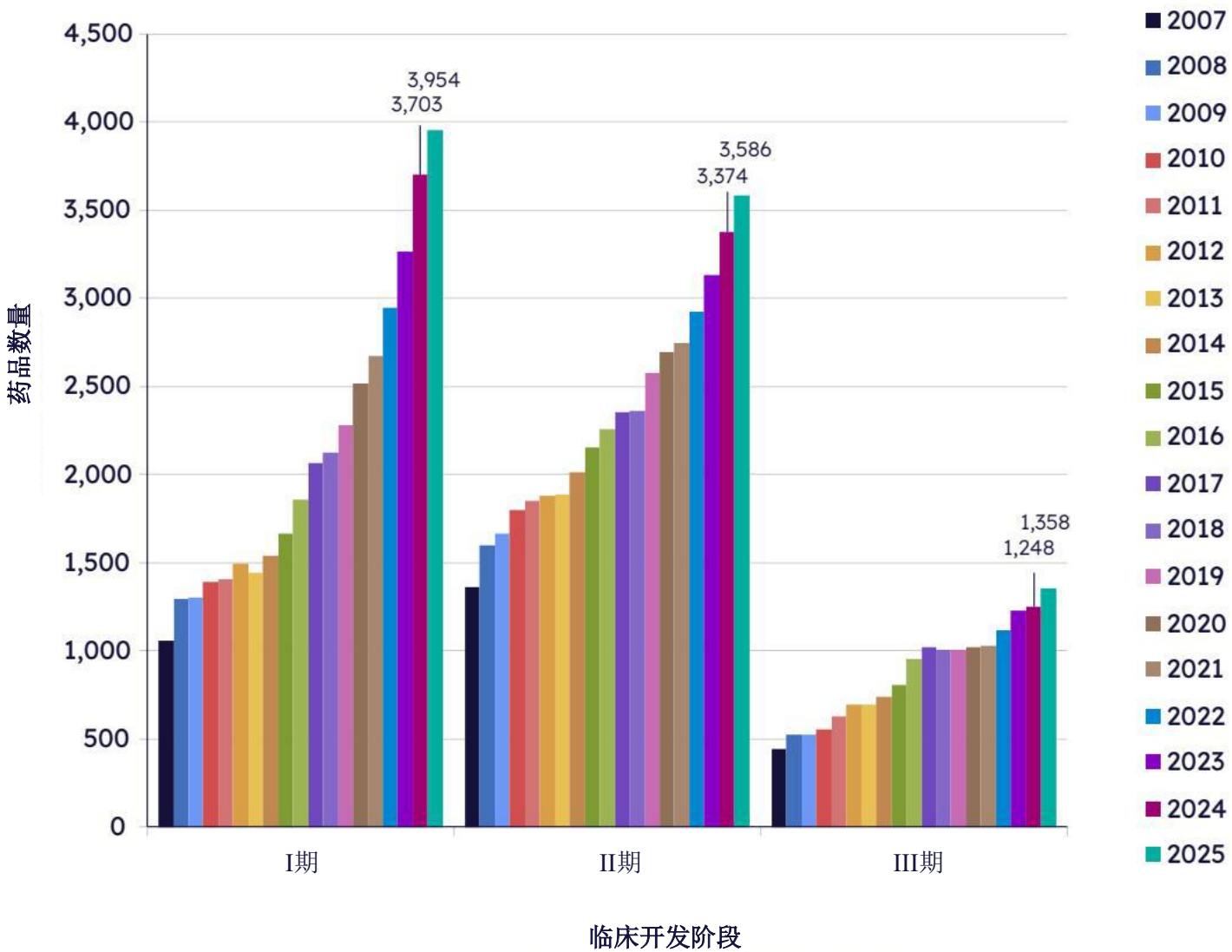


[N/A = 适用于伴随诊断产品上市前阶段]
数据来源：Pharmaprojects, 2025年1月刊

这些数据背后蕴含着令人振奋的行业信号。如图3所示（该图展示了近二十年临床阶段药物数量的演变趋势），虽然处于I期和II期研发阶段的药物数量总体保持上升态势，但在最为关键且投入巨大的III期临床阶段却并非始终如此。III期临床试验作为药物研发的关键里程碑，主要目标是确证药物的疗效优势、治疗价值、安全性特征以及市场潜力，这些数据直接决定了药物能否获得监管机构的上市批准。

因此，推动更多候选药物成功跨越II期阶段、顺利进入III期临床阶段，对整个医药创新生态具有决定性意义。然而，这一领域的进展并非坦途。在经历2017-2021年的持续低迷，以及去年的阶段性回调后，今年我们终于迎来了令人鼓舞的转折——III期临床管线总量显著回升，新增项目达110个。

图3：2007-2025年临床试验阶段趋势



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

若能有更多候选药物成功进入III期临床试验阶段，进而延续近十年来新药上市数量的增长态势，这无疑是令人振奋的行业喜讯。然而必须清醒认识到，药物研发是一个高风险和高回报领域，最终成果往往如同时尚教母Anna Wintour墨镜后的眼神般难以预判。今年，所有人都将希望这些系列能够大获成功。



领先企业：

传统知名药企地位稳固，中小规模药企蓬勃发展



许多制药企业的知名度堪比顶级奢侈品牌。辉瑞、葛兰素史克和强生的公众认知度，确实能与拉夫·劳伦、古驰和阿玛尼等时尚大牌相提并论。但品牌知名度并不等同于实际市场渗透率，正如很少有人能真正拥有这些品牌的高级定制系列。或许更准确的类比应该是：那些专注于细分领域技术与产品的中小型药企，更像是时尚界的高级定制工作室。从这个角度来看，大型制药企业反而更接近沃尔玛、H&M或海澜之家这类大众零售商，虽然少了些许光鲜亮丽，却更贴近普通消费者的实际需求。这些制药巨头同样需要持续进行创新，尽管它们的名字可能不如小众创新药企那样引人注目。接下来我们来分析下2025年医药行业的巨头与新兴企业的竞争情况。



首先，我们来看下表1中按研发管线规模排名的前25家制药企业。在本次分析中，我们对数据采集方法进行了重要调整：首次将各制药集团旗下所有活跃子公司的在研管线药物统一纳入统计范围。这一调整虽然会在一定程度上放大头部企业的绝对数值，特别是对那些拥有庞大子公司网络的大型制药集团而言，但却能更真实地反映行业领军企业在研发规模上的实际差距。右栏的趋势图已对统计口径变化进行调整，真实反映了各企业相对于去年的实际变化情况。值得注意的是，行业整体管线规模仅增长约4%，榜单中大多数企业的增长率都围绕这一均值波动。

特别值得关注的是辉瑞取代去年的领跑者罗氏，重新夺回了行业第一的宝座。

表1：全球制药企业研发管线规模25强

2025（2024） 年排名	企业名称	2025（2024）年药物研发 管线数量	2025（2024）年原创药物 数量	趋势
1 (2)	辉瑞	271 (205)	166	↑
2 (1)	罗氏	261 (218)	139	↑
3 (6)	诺华	254 (154)	149	↑
4 (3)	阿斯利康	241 (166)	153	↑
5 (10)	赛诺菲	233 (142)	124	↑↑
6 (5)	百时美施贵宝	227 (158)	126	↑
7 (4)	礼来	224 (159)	124	↑
8 (9)	默沙东	216 (145)	108	↑
9 (7)	强生	200 (150)	110	↑
10 (11)	葛兰素史克	194 (138)	95	↑↑
11 (13)	艾伯维	190 (111)	76	↑↑
12 (12)	武田制药	187 (130)	73	↑
13 (8)	江苏恒瑞医药	173 (147)	163	↑
14 (14)	勃林格殷格翰	133 (111)	90	↔
15 (15)	中国生物制药	125 (103)	104	↔
16 (19)	大冢控股	114 (85)	60	↑
17 (18)	吉利德科学	106 (86)	62	↔
18 (16)	拜耳	104 (91)	67	↑
19 (24)	石药集团	102 (73)	84	↑
20 (21)	安进	100 (79)	61	↑
21 (22)	安斯泰来制药	100 (78)	52	↑
22 (23)	诺和诺德	97 (76)	70	↔
23 (27)	第一三共	88 (59)	45	↑
24 (20)	卫材	86 (81)	48	↔
25 (28)	百济神州	77 (-)	39	↑

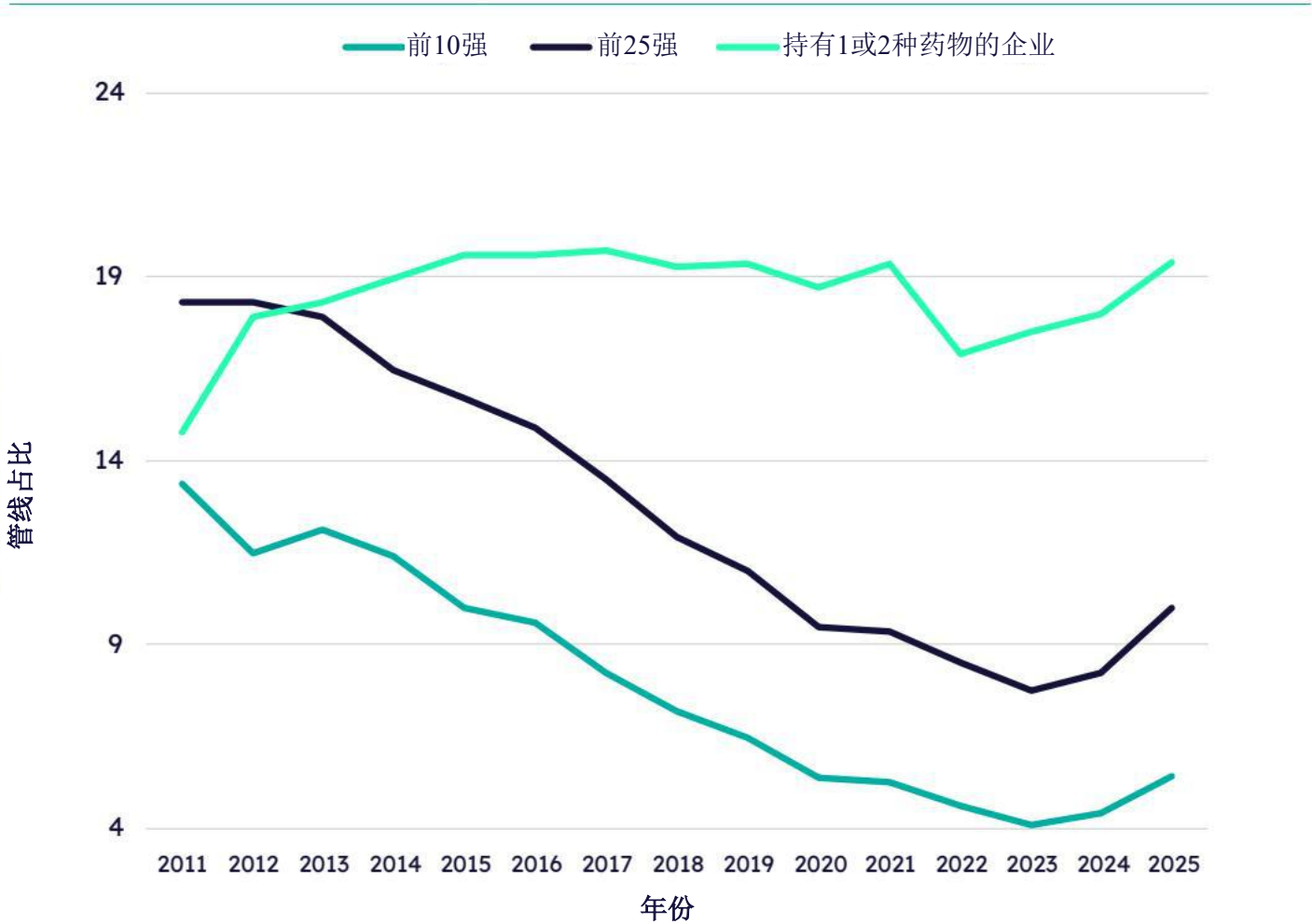
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

罗氏面临来自诺华的强劲挑战，后者大幅缩小差距，跃居第三位。赛诺菲是前十名中上升幅度最大的企业，排名攀升至第5位。作为去年首家跻身全球前十强的中国制药企业，江苏恒瑞医药今年排名小幅调整至第13位，但仍以业内领先的自研产品占比，彰显出作为本土创新龙头的核心竞争力。

除前十强外，中国药企整体影响力仍在持续提升。石药集团排名显著提升，而新晋企业百济神州首次上榜即位列第25位。日本制药企业同样表现抢眼，武田制药、大冢控股、安斯泰来、第一三共与卫材等企业均稳居11-25名区间，展现出强劲的研发实力。

之前我曾提到那些管线规模较小但独具特色的小型制药公司，它们要么像时尚界那些光鲜亮丽的高定品牌，要么因初创不久而规模尚小。就像《天桥骄子》（美国版《Project Runway》）和《英国缝纫达人秀》等时尚节目中崭露头角的新锐设计师一样，众多小型制药企业正为全球研发管线注入创新活力。2025年数据显示，目前拥有两款在研药物的企业数量已从去年的931家增至997家；而仅持有一款在研分子的公司更是从去年的2249家激增至2638家。

图4：2011-2025年全球研发管线企业分布格局（按企业规模统计：前10强/前25强/仅持有1-2款在研药物的企业）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

如图4所示，这些小型企业在全全球医药研发生态系统中正扮演着日益重要的角色，贡献的在研药物数量已达到总量的19.4%。

与此同时，行业巨头（包括前10强和前25强企业）的市场份额占比也呈现上升趋势，不过这一现象很可能是由于前文提及的统计口径调整所致。

现在，我们深入分析下十大领先药企研发管线的治疗领域布局特点。与“大型药企趋向专业化发展”的普遍认知不同，2025年数据显示这些企业正在突破传统的“全面布局”模式（尽管肿瘤领域始终是重点投入方向），呈现出明显的差异化发展趋势。前十强中有三家企业展现出显著的专业化倾向：赛诺菲和葛兰素史克将抗感染药物作为首要研发方向，礼来则重点聚焦消化/代谢疾病领域。葛兰素史克的研究倾向性尤为突出：抗感染药物管线数量高达90个，而抗肿瘤药物仅为37个。与之形成鲜明对比的是，以肿瘤为核心业务的百时美施贵宝拥有14种抗感染药物和144种抗肿瘤药物，其63.4%的药品管线均涉及肿瘤领域。因此，这些企业的研发管线构成呈现出显著差异。尽管如此，前十强药企中仍有五家保持着全治疗领域的布局，仅未涉足市场规模较小的激素类和抗寄生虫类药物领域。在这个变革缓慢的行业里，这一发展趋势值得持续关注。

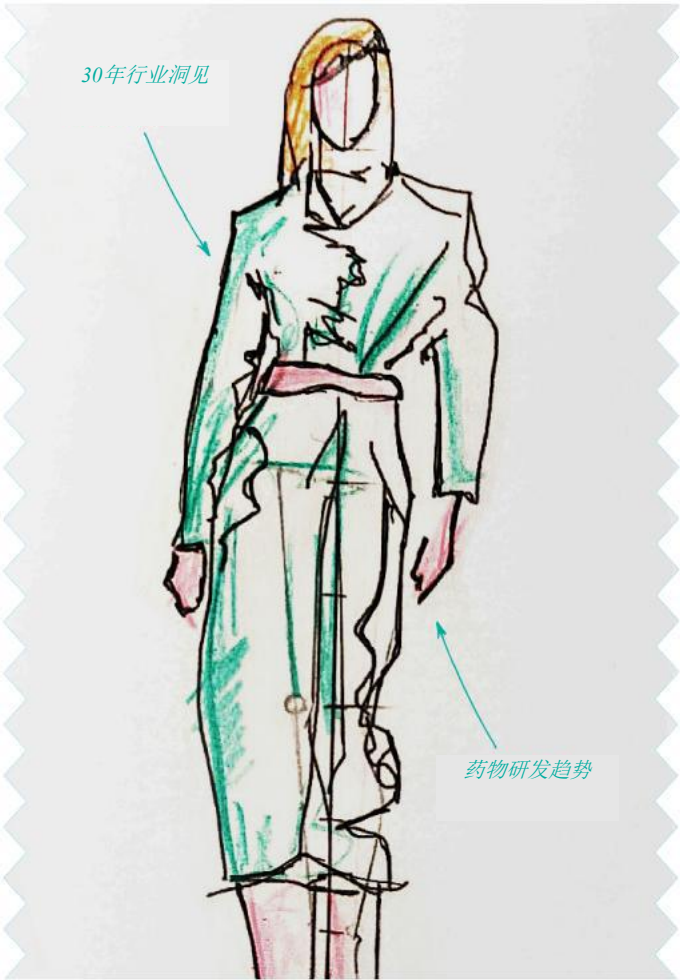
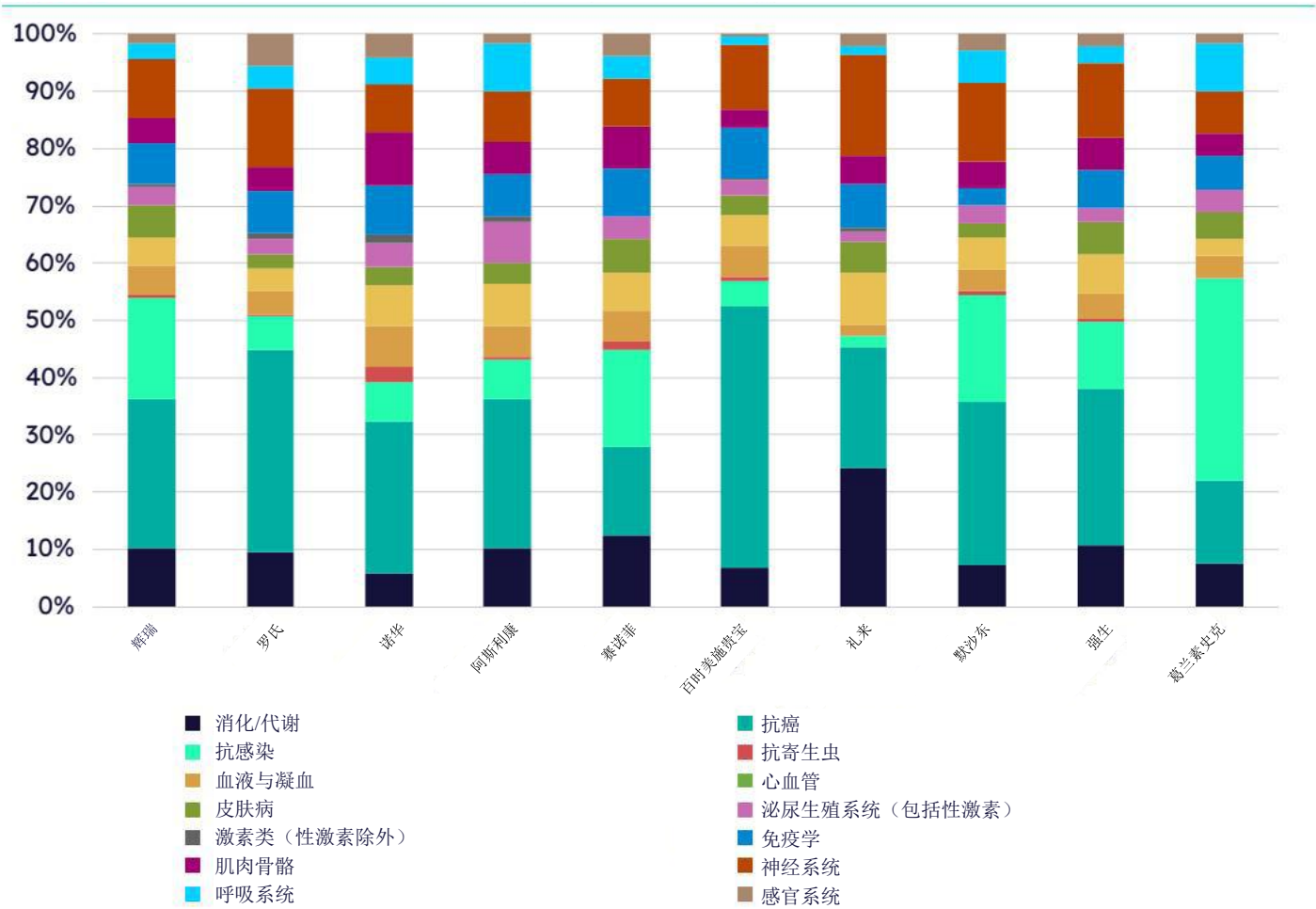


图5：全球十大药企重点关注的疾病领域



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

在时尚行业，众多知名品牌在推出高级定制、独家限量款等高端时装的同时，也经营着面向大众市场的成衣生产线。以CK为例，我们大多数人或许都拥有一些价格相对亲民的CK品牌内衣，但几乎没有人拥有那些在T台秀场上标价高昂的展示款。同样，在医药行业，大型制药公司在聚焦于面向广大患者群体的药物（如Ozempic）的同时，也对患者数量稀少但定价高昂的罕见病领域保持密切关注。在此领域，药品定价可能高得惊人，部分治愈性基因疗法的售价已超过每位患者100万美元。因此，近年来罕见病研发领域日益受到关注。

表2列出了在研罕见病药物数量最多的20家企业。诺华在该领域表现尤为突出，研发管线中有52%的药物至少针对一种罕见病，与安进并列成为罕见病研发活动占比最高的前20强企业。而在另一端，礼来的比例最低，仅有略超四分之一的药物属于这一类别。值得一提的是，中国药企江苏恒瑞也已加入这一领域的竞争，今年市场份额已超越礼来。罕见疾病研发虽常伴随高风险，但若研发成功，回报亦极为丰厚客观。

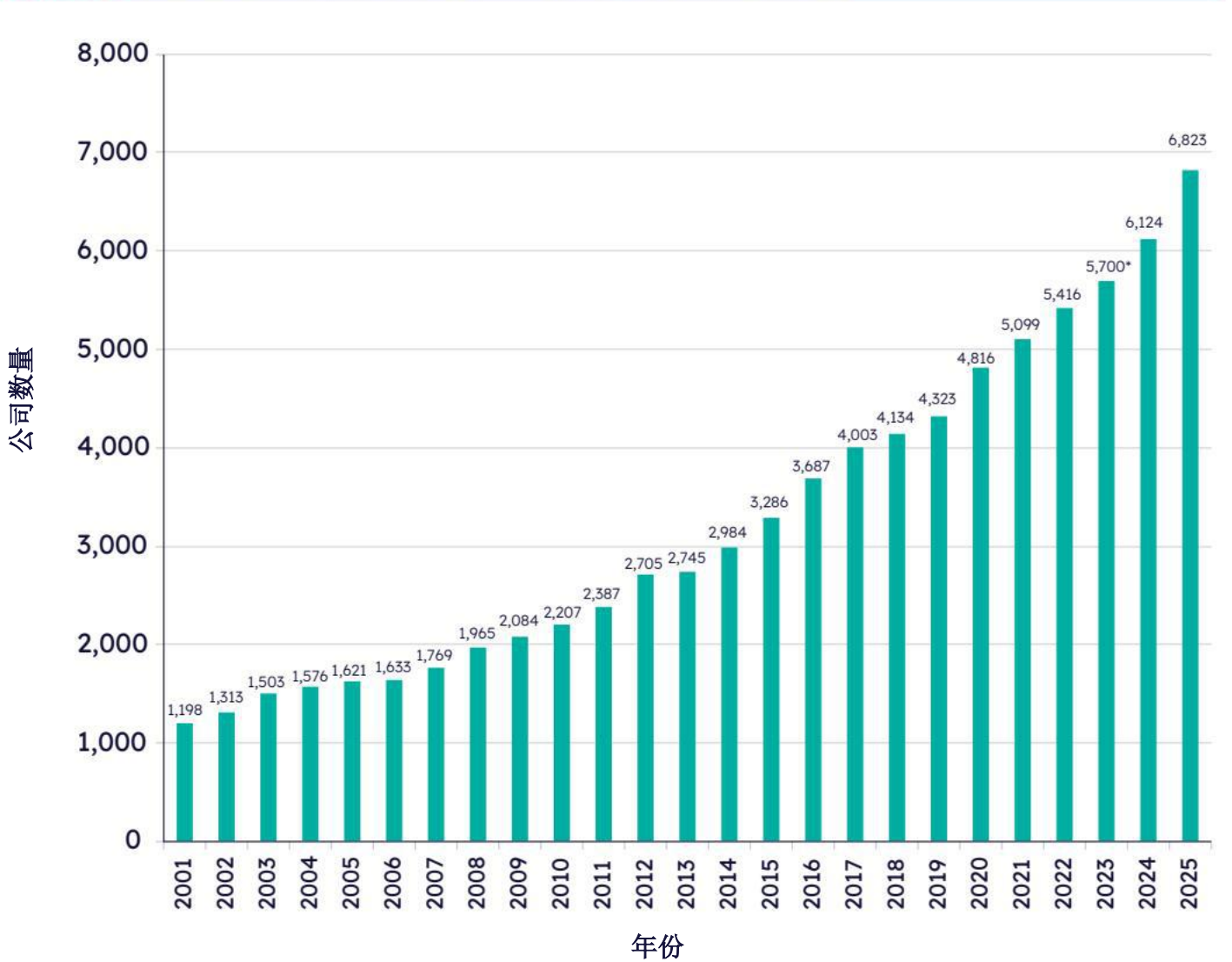
表2：专注罕见病领域的全球20强药企

2025	企业名称	罕见病药物数量	管线占比
1	诺华	132	52.0
2	百时美施贵宝	115	50.7
3	辉瑞	110	40.6
4	阿斯利康	98	40.7
5	罗氏	97	37.2
6	赛诺菲	94	40.3
7	武田制药	87	46.5
8	强生	75	37.5
9	艾伯维	70	36.8
10	葛兰素史克	68	35.1
11	默沙东	68	31.5
12	礼来	59	26.3
13	安进	52	52.0
14	中国生物制药	50	40.0
15	江苏恒瑞医药	49	28.3
16	卫材	41	47.7
17	安斯泰来制药	39	39.0
18	百济神州	39	50.6
19	石药集团	39	38.2
20	再生元	39	51.3

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

活跃医药研发管线的企业总数情况如何？活跃医药研发管线的企业总数增长速度，已然超越了整体药物数量的增速。今年该数字已攀升至6823家，同比增长率高达11.4%，而去年的增幅仅为7.4%。企业数量的增速超过药品数量，这一现象背后有其合理逻辑。深入剖析可见，新增企业多为初创公司，它们往往仅拥有一两款处于研发阶段的药物。然而，这类企业的增长势头却异常迅猛。需要特别指出的是，因去年转入“无研发进展报告”这一非活跃状态的药物数量有所减少，与之关联的处于非活跃状态的企业数量亦随之降低。这两个因素的共同作用，推动了今年活跃企业总数的增长。当然，在这个快速变化的行业中，企业更迭亦是常态。每年都会有数百家公司满怀激情地加入研发赛道，同时，也有数百家公司因各种原因而不得不黯然退场。

图6：2001 - 2025年具有活跃研发管线的企业总数

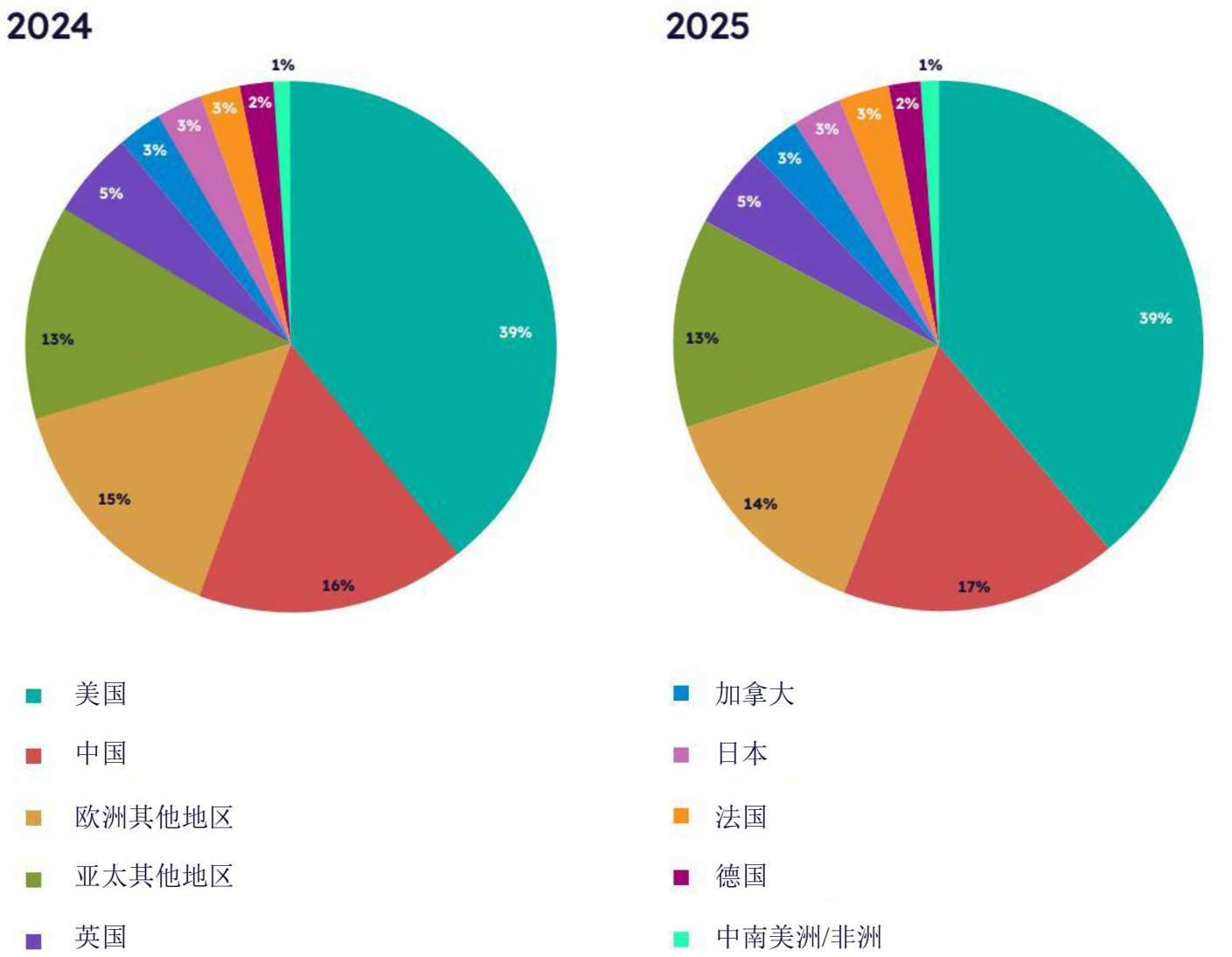


*预估数值
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

医药行业与服装产业相似，都具有高度国际化的特征。随着全球化进程的深入发展，这一特点在当时代愈发凸显。服装制造业已从英国兰开夏郡、美国北卡罗来纳州等传统生产基地大规模转移至亚洲及其他发展中国家，这一因生产成本差异引发的产业转移现象已引发广泛讨论。医药行业也在经历类似的全球化进程，尽管近年来对药品质量的担忧在一定程度上减缓了这一趋势。然而在医药创新领域，一场真正的变革正在上演。中国创新药研发从几乎零基础起步，在短短数年间已迅速崛起为全球研发版图中不可忽视的重要力量。

二十年前，中国医药产业仍以仿制药和传统中药为主，几乎没有企业涉足创新药研发领域。2025年，如图7所示，全球新药研发企业的总部分布已发生翻天覆地的变化。

图7：2024年与2025年按总部所在国家/地区划分的研发公司分布图



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

饼状图显示，中国在全球医药研发版图中的重要性持续提升。全球医药研发企业中，17%将总部设在中国，较2024年（16%）进一步提升。虽然与美国39%的占比仍存在差距，但中国（1181家）已稳居全球第二，并明显领先于其他国家（韩国以413家企业排名第三，英国保持第四位）。



若从另一视角审视医药业地域布局，其发展趋势与整体态势相呼应，且前四大核心区域地位稳固。表3统计了各地区药物研发的实际分布，按药物在各国研发即计入一次的标准，美国研发活动占比仍居首位（48.0%药物在美国研发），但较2024年1月的49.1%有所下滑。

同时，中国在研药物占比从26.7%升至29.5%，反映出越来越多的西方国家药企重视在中国开展研发活动以获得市场准入继去年超越英国后，韩国再次位列第三，英国依然保持第四位。注：本统计仅包含研发占比达5%及以上的国家/地区。目前，我们的数据库覆盖全球162个国家和地区的活跃研发项目，与去年持平。

表3：研发活动究竟发生在何处？

医药研发所在国	药物数量	管线占比
美国	11,455	48.0
中国	7,032	29.5
韩国	3,386	14.2
英国	3,214	13.5
澳大利亚	2,615	11.0
德国	2,545	10.7
法国	2,485	10.4
加拿大	2,446	10.2
西班牙	2,381	10.0
日本	2,160	9.0
意大利	1,925	8.1
荷兰	1,893	7.9
比利时	1,887	7.9
波兰	1,834	7.7
丹麦	1,624	6.8
瑞典	1,611	6.7
瑞士	1,578	6.6
匈牙利	1,447	6.1
捷克共和国	1,446	6.1
奥地利	1,416	5.9
中国台湾	1,381	5.8
保加利亚	1,293	5.4
芬兰	1,252	5.2
葡萄牙	1,246	5.2
罗马尼亚	1,236	5.2
希腊	1,229	5.1
爱尔兰	1,215	5.1
以色列	1,214	5.1
挪威	1,185	5.0

数据来源：Pharmaprojects，2025 年 1 月刊

2025年医药行业趋势印证了我们多年来的观察。行业格局保持相对稳定，传统医药巨头依然占据主导地位，而新兴药物研发企业的数量持续激增。与此同时，医药行业的目光正日益投向东方。

治疗领域与疾病：

癌症依然是热门领域，但抗癌领域的药物研发是否已经饱和？

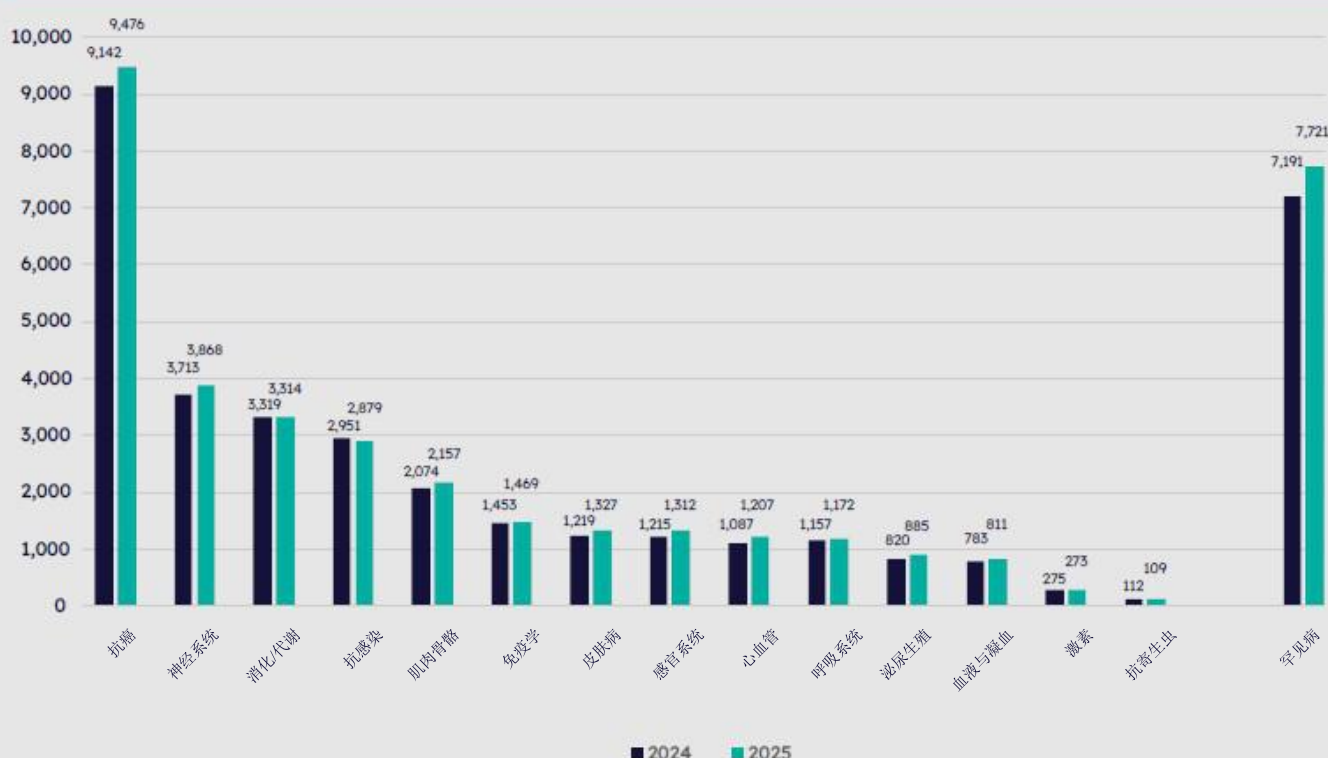


药物研发的热点领域是科学、社会以及资本等多方面因素共同作用的结果。技术进步与科学突破持续拓展着药物发现的边界，然而，它们仅仅是影响因素之一。社会舆论对未满足医疗需求的关注，以及药企对商业回报的考量，共同塑造了当下药物研发格局。正如时尚造型需服饰的每一处细节相得益彰，药物研发的趋势亦由多种要素共同塑造。

本节首先概述主要治疗领域的研发趋势，继而分析具体疾病的研发进展。我们采用EPHRA标准分类体系，包含14大治疗领域，该体系与国际通用的ATC代码分类法高度一致。经过多年的持续扩充，目前分类已覆盖200余个细分治疗类别，能更准确地反映当代药物研发态势。需要说明的是，去年部分类别已调整至新建立的药物类型本体系统。

图8展现了癌症领域成为当今最主要治疗领域的三大关键因素：科学进步的持续推动、作为重大疾病群体的典型代表，以及蕴含显著商业价值的开发机遇。本年度抗癌药物研发管线规模达9476种，尽管3.7%的增速略低于平均水平，但仍创历史新高。神经系统药物以4.2%的增幅位居第二，与行业平均增速基本持平。排名第三的消化/代谢系统药物则出现小幅回落，这可能是在2023-2024年显著增长后的正常调整。抗感染药物领域表现最为疲弱，研发规模缩减2.4%，呈现明显收缩态势。该治疗领域因新冠疫情带来的增长周期已正式结束。

图8：2024年与2025年各治疗领域的研发管线规模对比

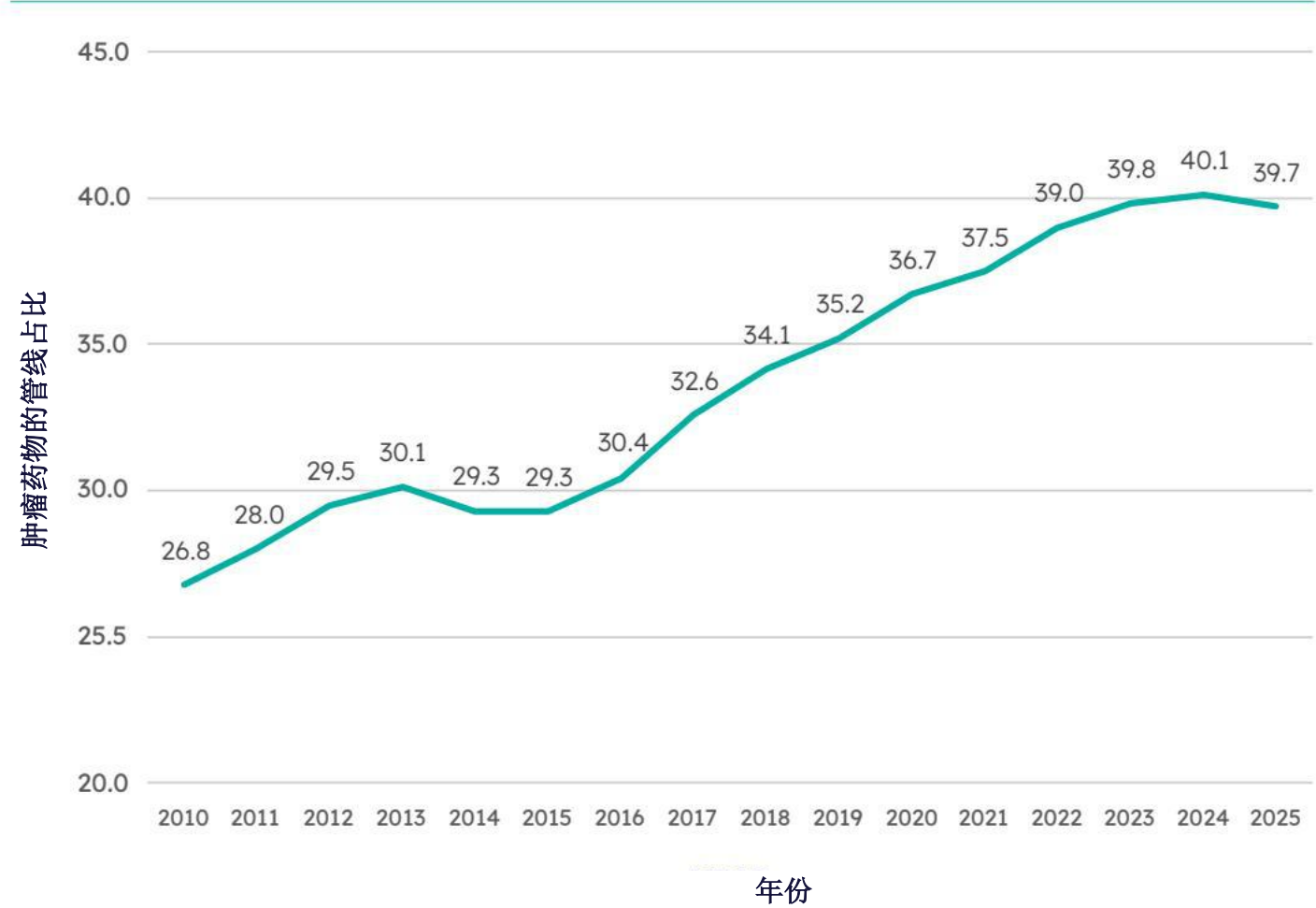


数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

值得关注的是，今年肿瘤领域在整体研发管线中的占比出现了小幅下滑。图9显示，截至2025年1月，肿瘤适应症药物占比为39.7%，较去年（40.1%）小幅下降。这是否意味着我们已迎来了一个转折点？

虽然近40%的占比仍然是一个很高的水平，但这一数据似乎已接近饱和阈值。那么，肿瘤领域的研发管线是否已触及天花板？未来该指标的变化趋势将成为一个重要观察点。

图9：2010 - 2025年肿瘤领域研发管线占比



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



表4依据药物分类对治疗领域的数据进行了细致的划分。免疫抗肿瘤药物仍保持领先地位，但增速放缓至2.1%。相比之下，排名第二的广谱抗肿瘤药物展现出更强的增长势头，增幅达5.7%。

从表中可以看出，多个治疗领域的排名出现明显提升。需要说明的是，这一变化部分源于分类体系的调整——我们将基因治疗、细胞治疗等生物技术相关类别整体迁移至新建的药物类型分类体系。具体的调整方案将在后续部分详细说明。这一调整导致去年排名前25位的治疗类别中有5项被重新归类，从而使得其他类别的排名相应提升。

表4：主要治疗领域

2025（2024）年排名	治疗领域	2025（2024）年活性化合物数量	趋势
1 (1)	抗癌免疫药物	4,960 (4,860)	↔
2 (2)	抗癌及其他药物	4,159 (3,935)	↑
3 (6)	预防性疫苗，抗感染药物	1,153 (1,115)	↔
4 (5)	神经系统	1,149 (1,125)	↔
5 (7)	眼科及其他药物	1,131 (1,054)	↑
6 (9)	免疫抑制剂	972 (899)	↑
7 (8)	抗病毒及其他药物	853 (935)	↓
8 (11)	抗糖尿病药物	818 (772)	↔
9 (12)	肌肉骨骼	817 (767)	↑
10 (13)	抗炎药物	770 (747)	↔
11 (14)	胃肠道炎症/肠道疾病药物	755 (740)	↔
12 (15)	认知增强剂	737 (702)	↔
13 (18)	心血管	717(645)	↑
14 (19)	神经保护药物	676 (632)	↑
15 (21)	皮肤病	659 (589)	↑
16 (17)	呼吸系统	652 (654)	↔
17 (20)	保肝护肝药物	622 (618)	↔
18 (22)	泌尿药物	620 (578)	↑
19 (23)	抗帕金森病药物	618 (570)	↑
20 (25)	镇痛剂，其他	547 (547)	↔
21 (43)	抗肥胖药物	450 (331)	↑↑
22 (31)	代谢与酶相关疾病	448 (468)	↔
23 (39)	抗糖尿病药物	419 (391)	↔
24 (35)	其他抗关节炎药物	407 (414)	↔
25 (36)	治疗性疫苗，抗感染药物	400 (414)	↔

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

有一个新兴趋势值得特别关注。抗肥胖药物以36.0%的惊人增速首次进入TOP25榜单。这一现象主要得益于GLP-1受体激动剂的突破性进展，包括诺和诺德的司美格鲁肽（Ozempic/Wegovy）和礼来的替尔泊肽（Mounjaro）等产品的市场成功。健康和时尚行业在这一方面同样有很多共同之处。

表5：排名前25位的疾病/适应症

2025（2024） 年排名	治疗领域	2025（2024）年活性化合物 数量	趋势
1 (1)	乳腺癌	1,129 (1,031)	↑
2 (2)	非小细胞肺癌	1,111 (1,010)	↑
3 (3)	结直肠癌	882 (825)	↑
4 (4)	胰腺癌	804 (740)	↑
5 (5)	卵巢癌	654 (625)	↔
6 (8)	前列腺癌	609 (576)	↔
7 (9)	阿尔茨海默病	606 (563)	↑
8 (6)	脑癌	586 (580)	↔
9 (10)	肝癌	541 (501)	↑
10 (11)	2型糖尿病	537 (498)	↑
11 (12)	急性髓系白血病	530 (497)	↑
12 (14)	胃癌、胃肠道癌	508 (473)	↑
13 (13)	黑色素瘤	499 (496)	↔
14 (7)	感染、冠状病毒、新型冠状病毒	491 (580)	↓
15 (16)	帕金森病	486 (457)	↔
16 (18)	头颈部肿瘤	480 (432)	↑
17 (15)	骨髓瘤	462 (459)	↔
18 (17)	类风湿性关节炎	450 (449)	↔
19 (23)	肥胖	430 (300)	↑↑
20 (20)	癌症，淋巴瘤、非霍奇金淋巴瘤	421 (419)	↔
21 (21)	非酒精性脂肪性肝炎	391 (383)	↔
22 (19)	感染、冠状病毒、新型冠状病毒预防	388 (425)	↓
23 (22)	银屑病	360 (348)	↔
24 (24)	肾癌	318 (299)	↔
25 (28)	溃疡性结肠炎	307 (271)	↑

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

肥胖无疑是一个重大的医学问题，会显著增加从中风到癌症等一系列疾病的发病风险，制药企业显然已敏锐地察觉到——这些药物在私人处方领域催生出了一个全新的二级市场，专门服务于那些单纯追求减重塑形的人群。这类人群或许并无临床上的用药需求，但为了能塞进那件心仪的小黑裙，其非常乐意尝试。

迄今为止，服用这些药物似乎鲜有明显的弊端。然而，这些疗法仍属于相对新兴的范畴，若仅为追求容貌提升而长期服用是否明智，恐怕唯有时间能给出最终答案。

这一趋势在后续分析中得以印证——我们统计了今年医药研发最受关注的25种疾病。如表5所示，肥胖症领域排名虽仅上升4位，但管线药物数量增幅达43.3%，堪称“飞跃式”增长。乳腺癌仍居研发数量榜首，非小细胞肺癌和结直肠癌紧随其后，与胰腺癌、卵巢癌和前列腺癌共同占据前六，肿瘤领域在前十榜单中独占八席。需要说明的是，本表仅统计特定疾病，排除了非特异性适应症（如“未指明的癌症”）。



另一个印证“成功孕育成功”这一格言的疾病领域是阿尔茨海默病。2023年底，由BioArctic Neuroscience、渤健和卫材联合开发的 β 淀粉样蛋白拮抗剂Leqembi (lecanemab-irmb) 成功上市，推动该领域研发管线规模实现7.6%的增长。虽然Leqembi并非患者期待的理想治疗方案——它仅能适度延缓认知功能衰退，而不能逆转疾病进程，但已成功打开市场。

其前身Aduhelm (aducanumab) 虽曾获得附条件批准，但最终因临床获益证据不足而撤市——直接原因是医保机构和医疗机构普遍拒绝为疗效存疑的药物支付费用。虽然阿尔茨海默病的 β 淀粉样蛋白假说尚未获得确证，但Leqembi的商业成功确实带动了该领域的研发投入，尽管要实现疾病根治的目标仍然道阻且长。

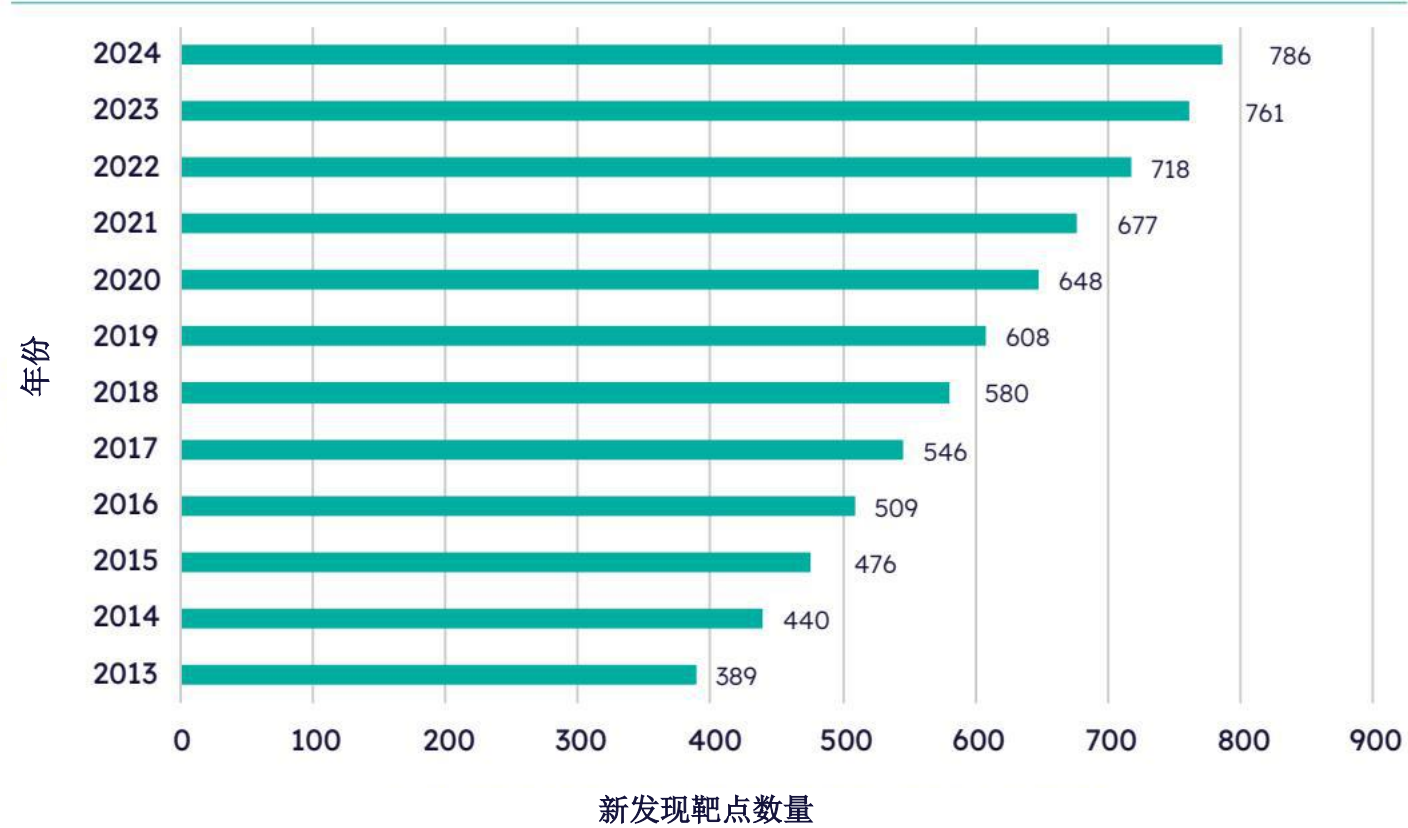
今年，尽管针对新型冠状病毒（COVID-19）的治疗药物未能跻身前十，但行业仍保持高度关注。虽然病毒尚未完全消除，但随着全球人群通过自然感染或疫苗接种获得免疫保护，该病的公共卫生威胁已显著降低。



在排名前25位的疾病中，大多数仍属于常见病范畴，庞大的市场规模使其成为药物研发的热门靶点。然而，正如我们在图8中所见，罕见病等定制化研发同样引发了极大的关注。这类疾病的治疗药物，如同顶级设计师专属的秀场高定，往往价格不菲。根据Pharmaprojects的定义，罕见病是指在欧盟地区患病率低于1/2000，或在美国影响人数少于20万（约合1/1600人口比例）的疾病。今年针对罕见病的在研药物数量达到7721个，同比增长7.4%，占整体研发管线的32.3%——接近三分之一，较去年31.5%的占比有所提升。与此同时，如图10所示，制药行业针对不同罕见病的研发项目数量也在持续增长。



图10：制药行业目前重点攻关的罕见病数量



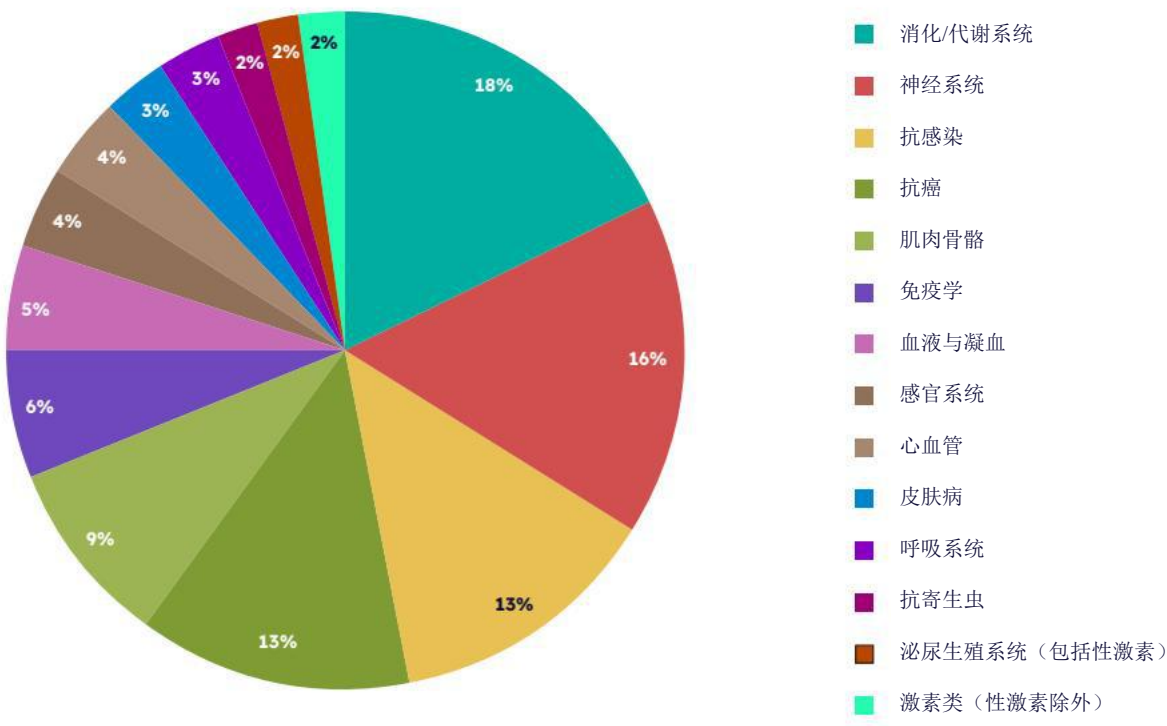
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



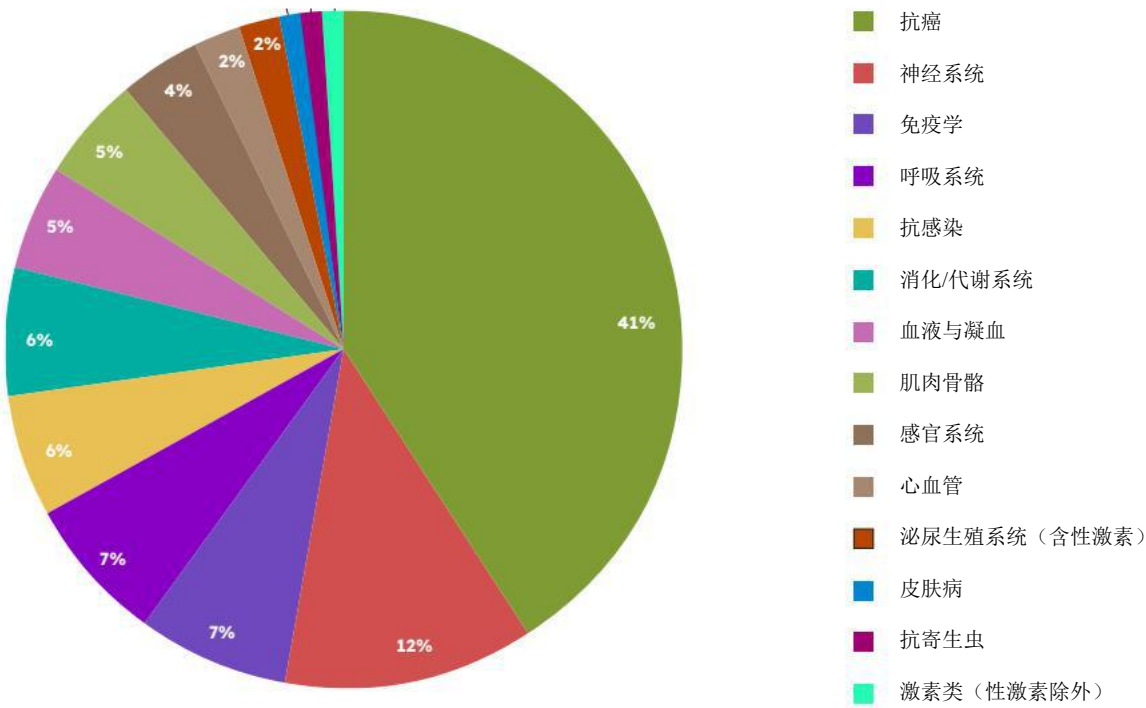
在各类疾病中，占比最大的当属消化/代谢治疗领域，这一结果并不出人意料，毕竟许多罕见的遗传性基因缺陷都会导致代谢紊乱。虽然癌症相关罕见病在数量上仅排名第三，但在研药物数量却占据罕见病研发管线的41%，成为该领域第一大研究方向。相比之下，消化/代谢系统用药按此标准仅位列第六。

图11：按治疗领域、疾病数量与药物数量排名的罕见病

按治疗领域排名的罕见病



按治疗领域排名的罕见病药物



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

近年来针对罕见病的临床试验数据也有力印证了罕见病药物研发的快速发展态势。去年启动的罕见病相关临床试验数量达到2577项，创下历史新高，与2010年代初期的基线数据相比，已实现逾两倍的增长。

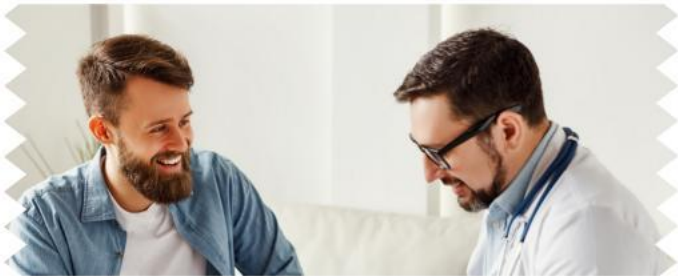
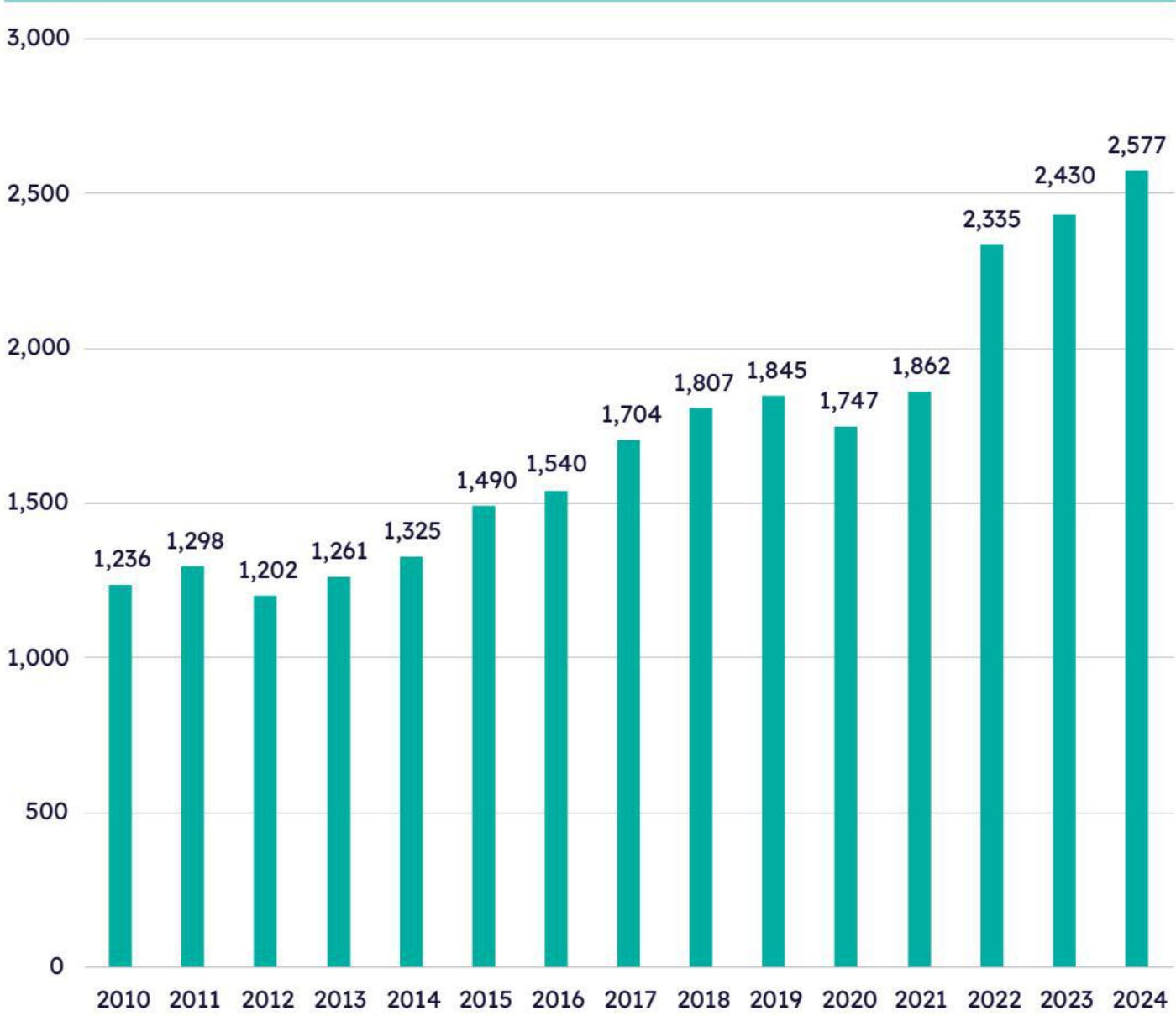


图12：按启动日期划分的企业申办罕见病临床试验（2010年至今）



数据来源：Trialtrove，2025年1月

全球主要市场为鼓励罕见病药物研发制定了多项激励政策。企业可在不同市场获得孤儿药资格认定，例如美国提供七年独占期等权益。很多地区还设有不同类型的加速审评通道，包括美国的快速通道和优先审评、日本的前驱认定（Sakigake）以及欧盟的优先药物资格（PRIME）。

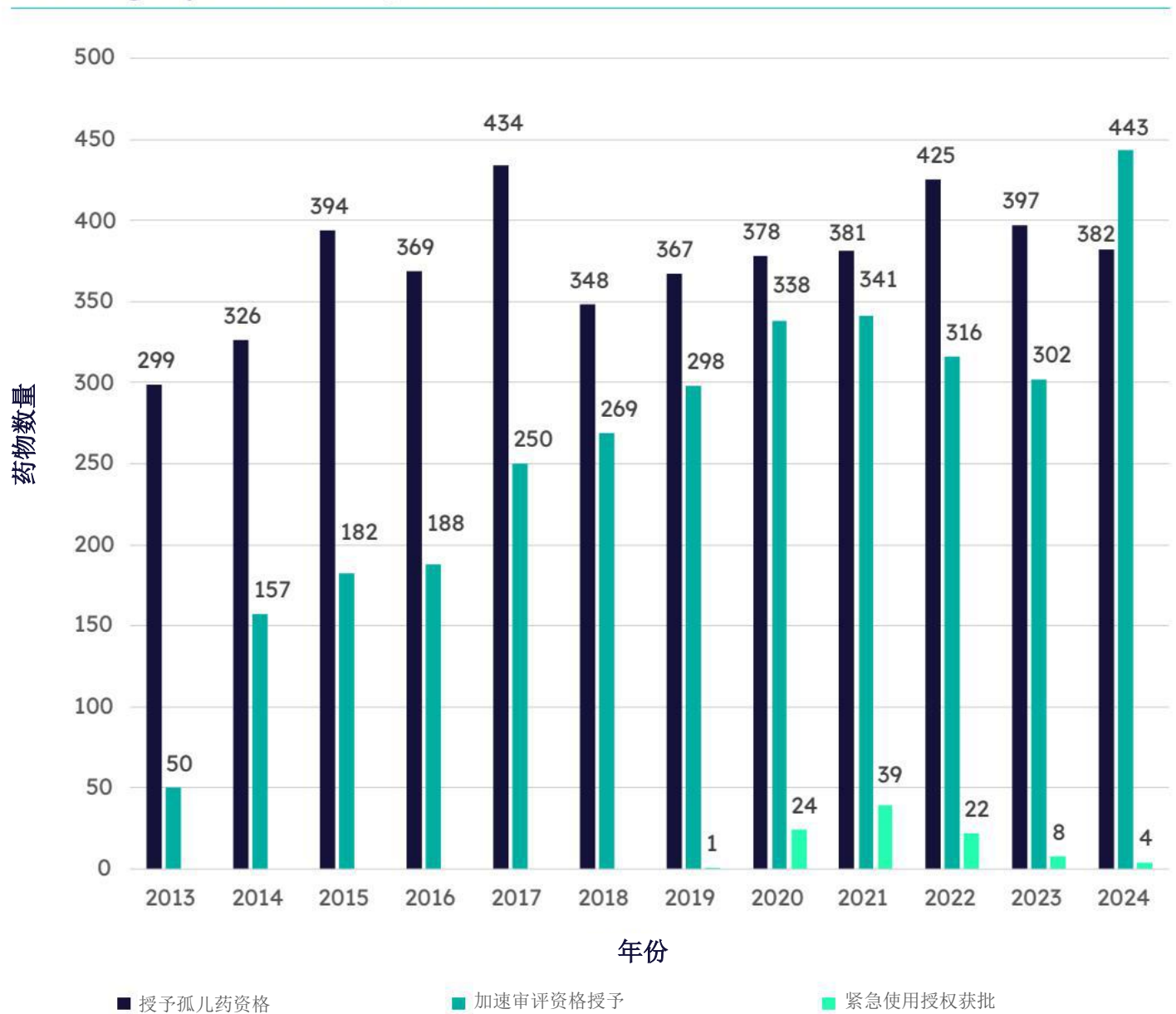


去年获得加速审评资格的数量达到443项，创下历史新高，较2023年（302项）显著增加。

相比之下，孤儿药资格认定数量出现小幅下降（见图13）。

图中同时展示了紧急使用授权的历史数据。该机制曾在新冠疫情期间加速药物和疫苗审批，但随着疫情常态化，相关授权数量已回落至常规水平。

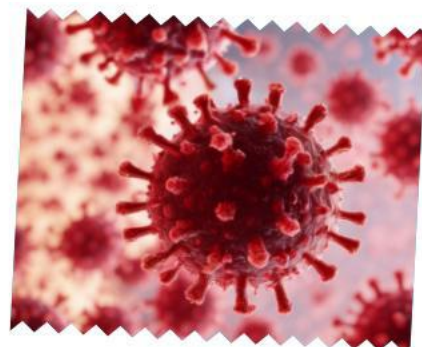
图13：2013-2024年间获得孤儿药资格认定、加速审评资格*和紧急使用授权**的药物数量



*2013年数据不完整，因我们自年中才开始系统记录这些事件的日期。

**仅追踪自2019年起的紧急使用授权情况。

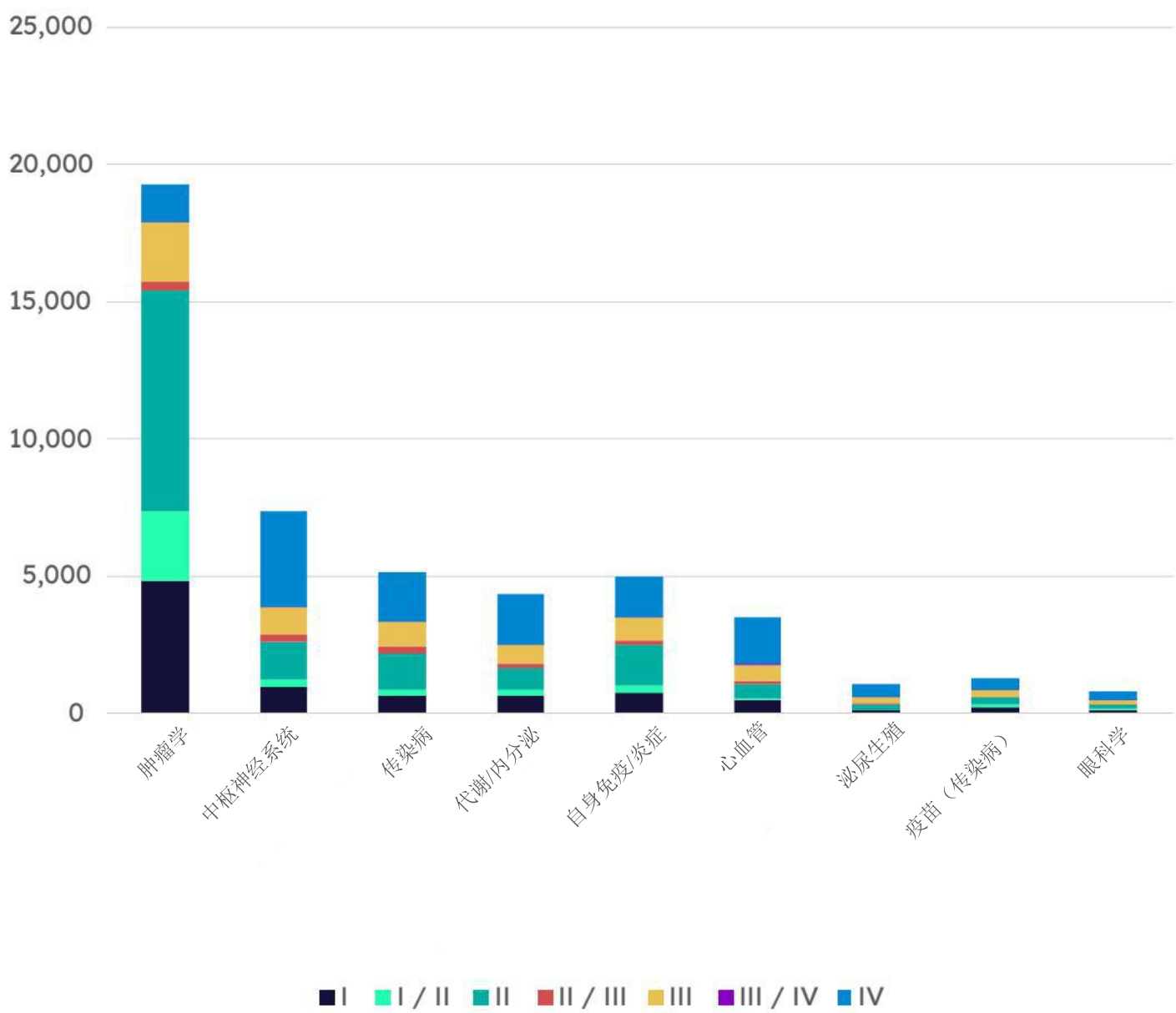
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



尽管本报告主要聚焦药物研发领域（临床试验专题报告将于今年晚些时候发布），但在结束行业治疗领域讨论前需要指出：药物与临床试验的关系，犹如西装两件套般密不可分。图14呈现了Pharmaprojects的姊妹出版物Trialtrove于2025年初统计的正在进行（含开放、关闭或暂时关闭状态）的临床试验数量（需注意，Trialtrove采用的治疗领域分类与Pharmaprojects略有差异）。

在临床试验领域，癌症研究占据着更为突出的主导地位。截至2025年初，全球共有19261项肿瘤学临床试验正在开展，同比增长1.6%。而中枢神经系统（CNS）临床试验数量为7369项，位居第二，与肿瘤学领域存在明显差距。各治疗领域的增长态势参差不齐：中枢神经系统、代谢/内分泌、自身免疫/炎症以及眼科领域均实现了增长，而感染性疾病、心血管、泌尿生殖系统以及疫苗领域则呈现出下滑趋势。

图14：按治疗领域划分的进行中临床试验



数据来源：Trialtrove，2025年1月

医药研发领域中，治疗重点与疾病关注趋势的变迁常呈渐进之态。若将行业研发方向发生根本性转变比作时尚潮流中的重大事件，它的概率堪比喇叭裤在当代时尚界的全面复兴。时尚潮流向来变幻莫测，就如当下抗肥胖药物的研发热潮，究竟是昙花一现的时尚风潮，还是预示着行业变革的先声，这一疑问本身便引人深思。

然而，从整体格局来看，医药研发领域依旧保持着较为显著的稳定性。当前，全球范围内共有1530种疾病正处于药物研发阶段，其中众多疾病仍缺乏有效的治疗手段，就此而言，医药创新之路依旧漫长。

地区差异:

主要市场中的领军企业及其多元化药物研发风格

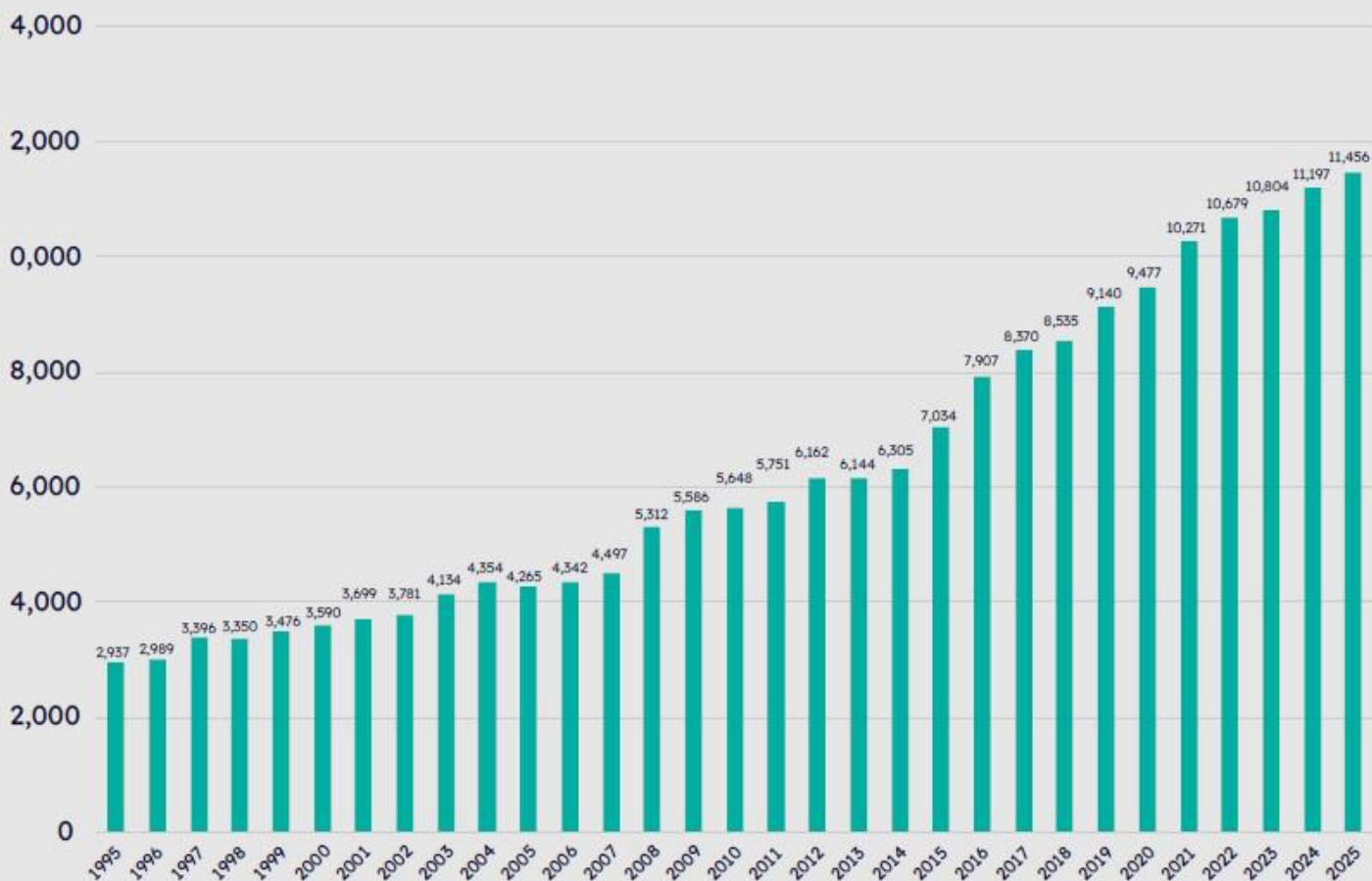


在全球化浪潮下，服装市场仍呈现出显著的地域差异性。虽然跨国零售品牌如Zara已实现全球布局（几乎在每个国际都市都能见到其门店），但许多本土知名品牌在国际市场的认知度仍然有限。同样地，尽管牛仔裤、T恤与运动鞋的搭配组合看似风靡全球，但各地的时尚风格依旧存在差异。许多国家仍以本土传统服饰为主导，服装风格也无可避免地受到当地气候条件的影响（我敢断言，撒哈拉以南非洲地区的皮草大衣市场应该相当有限）。在系统分析了全球医药研发管线的整体规模、主要参与企业和重点疾病领域后，本节将聚焦11个主要国家市场，深入比较这些关键指标在不同地区的分布特征和区域差异。

美国

尽管面临其他国家日益激烈的竞争，但美国在全球医药研发领域持续保持领先地位。不过，美国市场的动态趋势与全球整体状况相比，存在一定程度的差异。今年，美国在研药物总量增长了2.3%，这一增速低于全球平均水平。与去年3.6%的增长率相比，今年更是出现进一步下滑，延续了自本世纪第二个十年中期医药研发黄金时代以来整体增速逐渐放缓的趋势。

图15：1995-2025年美国研发管线总规模



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

截至2025年1月的最新统计数据显示，美国境内的药物研发企业数量达到2803家，较上一年度的2609家实现显著增长表6列出了研发管线规模排名前十位的制药企业。[注：本节内容数据提取时间较表1所用数据稍晚，相关数值可能出现细微差异。]在本年度美国制药企业十强榜单中，Bristol Myers Squibb表现最为突出，排名跃升四位，成功跻身亚军位置。

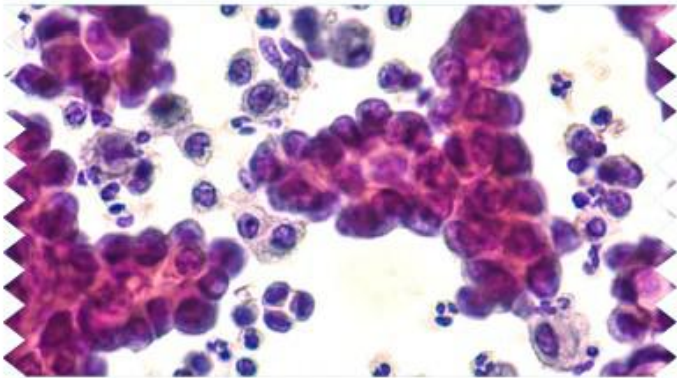


表6：美国本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	辉瑞	271
2 (6)	百时美施贵宝	227
3 (3)	礼来	224
4 (4)	默沙东	216
5 (2)	强生	200
6 (5)	艾伯维	190
7 (7)	吉利德科学	106
8 (8)	安进	100
9 (9)	再生元	76
10 (-)	渤健	66

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表7：美国在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	632
2 (2)	乳腺癌	573
3 (3)	结直肠癌	433
4 (4)	胰腺癌	421
5 (5)	卵巢癌	384
6 (8)	前列腺癌	356
7 (7)	脑癌	334
8 (10)	急性髓系白血病	325
9 (6)	阿尔茨海默病	322
10 (-)	黑色素瘤	306

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

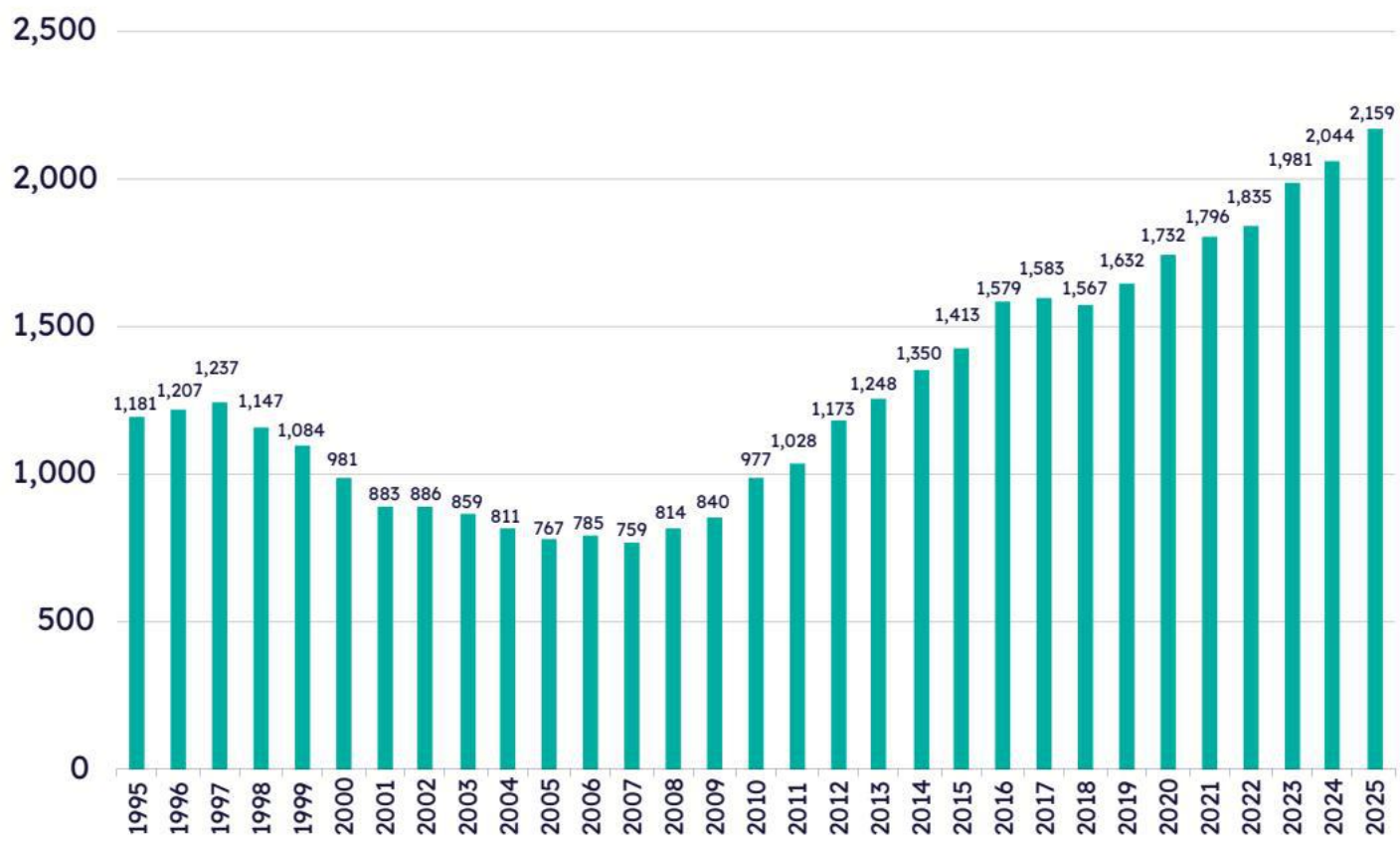
美国十大在研药物适应症榜单显示，非小细胞肺癌超越全球排名第一的乳腺癌，成为美国在研药物最多的适应症。前十大疾病中肿瘤相关适应症占据九席。阿尔茨海默病在美国的排名较全球榜单有所下降。



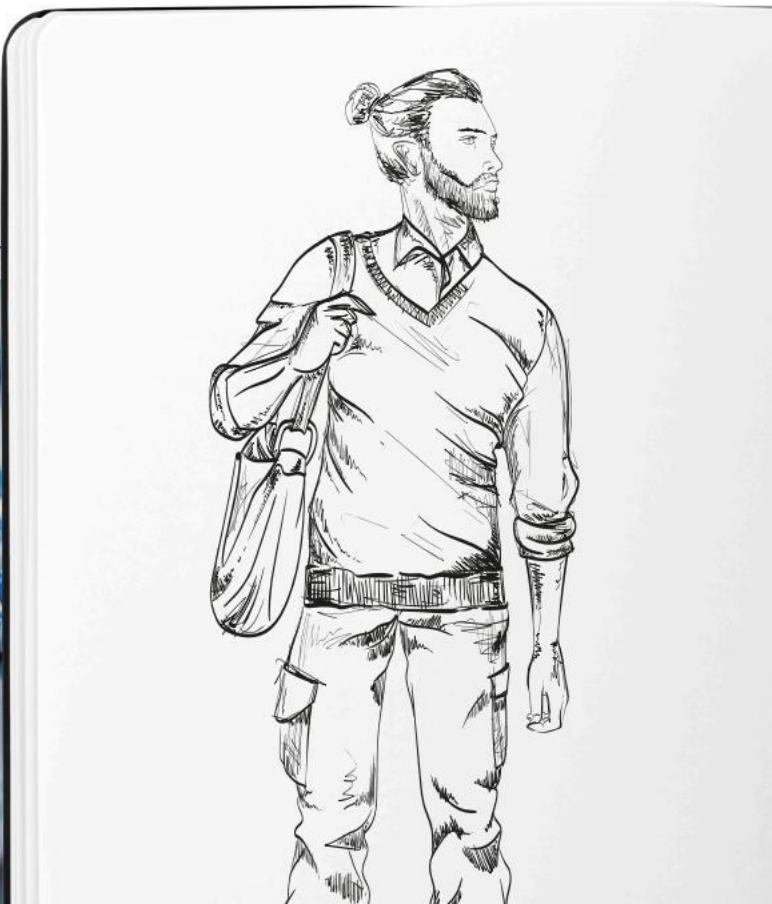
日本

近年来，日本在研药物管线的规模呈现出持续扩大的态势。今年，其增长率达到了5.6%，已超越全球平均水平。这一增速在经历去年仅3.2%的相对低谷后，今年再次回升。日本医药市场在本十年的增长趋势已显著上扬。

图16：1995-2025年日本研发管线总规模



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



截至2025年1月，总部位于日本的在研药物开发企业数量已达205家，相较于去年的184家，实现了显著增长。表8列出了日本十大制药企业及其研发管线的规模大冢控股（Otsuka Holdings）在本年度的表现最为突出，排名大幅跃升五位，跻身至第二位。日本十大活跃研发疾病榜单中，癌症适应症占据绝对主导地位，本次共有九大癌种入选。非小细胞肺癌因发病率显著高于全球平均水平，长期稳居该榜单首位。与此同时，卵巢癌和前列腺癌领域均有药物入选今年全球十大榜单。出人意料的是，作为全球知名老龄化社会的日本，其阿尔茨海默病竟未进入十大疾病之列。



表8：日本本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	武田制药	187
2 (7)	大冢控股	114
3 (2)	安斯泰来制药	100
4 (4)	第一三共	88
5 (3)	卫材	86
6 (5)	小野制药	74
7 (6)	盐野义	60
8 (-)	住友制药	57
9 (-)	协和麒麟	50
10 (10)	田边三菱	45

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



表9：日本在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	152
2 (2)	乳腺癌	98
3 (3)	结直肠癌	82
4 (4)	胃癌、胃肠道癌	70
5 (7)	胰腺癌	63
6 (-)	卵巢癌	59
7 (6)	非霍奇金淋巴瘤	57
8 (5)	2 型糖尿病	54
9 (10)	骨髓瘤	52
10 (-)	前列腺癌	51

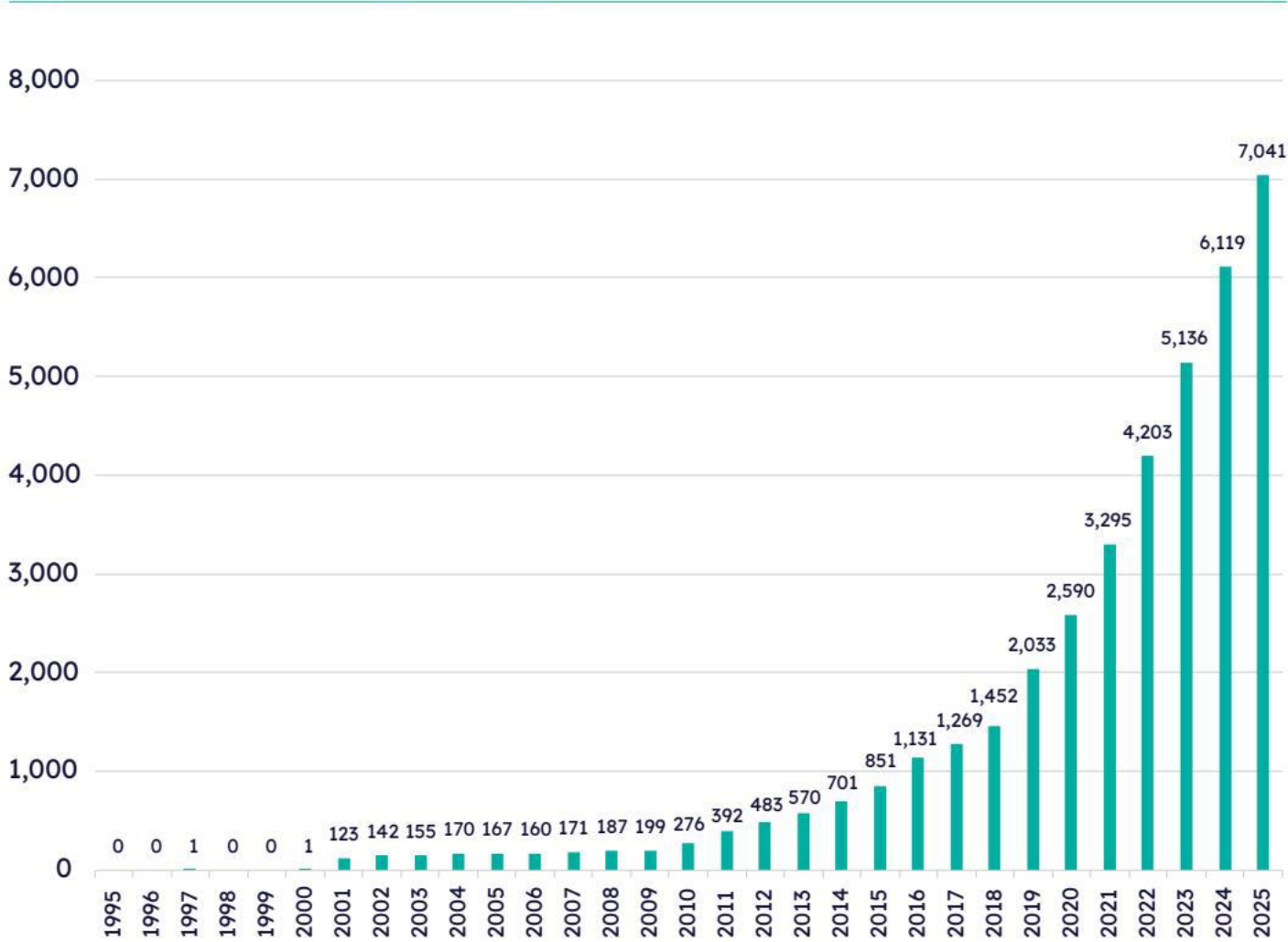
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



中国

中国在研药物管线增长最为引人注目。从20世纪90年代近乎空白的基础起步，中国已成功实现跨越式发展，跃居全球第二大医药研发市场。当前中国研发管线保持15.1%的高速增长，虽较2023-2024年19.1%的峰值有所回落，但仍远高于全球平均水平。即便增速略有放缓，中国创新药物研发的热度并未降低。

图17：中国研发管线总规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



中国（含香港地区）共有1218家制药企业总部，仅次于美国。本年度，三生制药进入中国制药企业十强榜单。中国在研药物前十大疾病相对稳定，并与日本高度相似。

表10：中国本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	江苏恒瑞医药	173
2 (2)	中国生物制药	125
3 (4)	石药集团	102
4 (5)	百济神州	77
5 (10)	华东医药	61
6 (3)	上海复星医药	59
7 (8)	信达生物	56
8 (9)	齐鲁制药	56
9 (6)	上海君实生物	55
10 (-)	三生制药	50

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表11：中国在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	447
2 (2)	乳腺癌	371
3 (4)	结直肠癌	252
4 (3)	胃癌、胃肠道癌	250
5 (5)	肝癌	224
6 (6)	2 型糖尿病	216
7 (7)	胰腺癌	203
8 (8)	非霍奇金淋巴瘤	183
9 (9)	骨髓瘤	175
10 (10)	急性髓系白血病	149

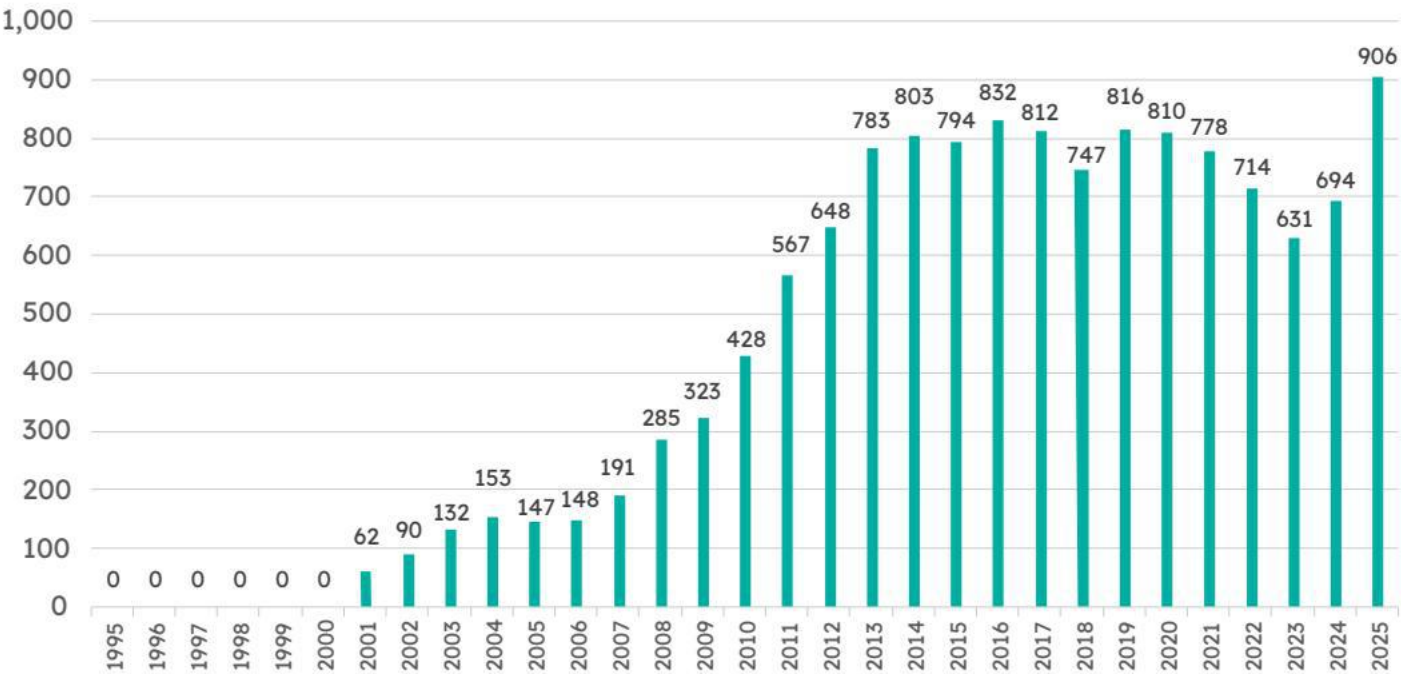
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



印度

20世纪90年代，印度在创新药研发领域几乎处于空白状态，此后的发展历程也颇为曲折。经过2007-2013年的高速发展期后，增长势头明显放缓，到2020年代初期研发数量甚至出现了负增长今年印度创新药研发数量突破历史记录，在研项目达到906个。

图18：印度研发管线总规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



印度医药研发投入与中国相比仍存在明显差距，本土制药企业总部数量仅为67家，相当于中国同类企业数量的5%。与中国类似，印度制药业最初也以仿制药生产为主，因此前十强企业多来自于仿制药行业。在新药创新方面，印度发展相对滞后，目前最大研发管线仅包含36个在研药物。2025年十强名单迎来一位新成员：Glenmark Pharmaceuticals。

表12：印度本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	瑞迪博士实验室	36
2 (2)	鲁宾	34
3 (3)	太阳制药	25
4 (4)	印度血清研究所	20
5 (6)	百康	19
6 (7)	西普拉	16
7 (-)	格伦马克	15
8 (8)	英塔斯制药	14
9 (10)	巴拉特生物技术公司	13
10 (9)	Suven Life Sciences	13

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表13：印度在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (2)	乳腺癌	68
2 (3)	非小细胞肺癌	59
3 (1)	2 型糖尿病	56
4 (8)	感染、冠状病毒、新型冠状病毒	34
5 (4)	类风湿性关节炎	31
6 (5)	结直肠癌	24
7 (-)	前列腺癌	24
8 (-)	溃疡性结肠炎	21
9 (-)	克罗恩病	20
10 (8)	感染、冠状病毒、新型冠状病毒预防	20

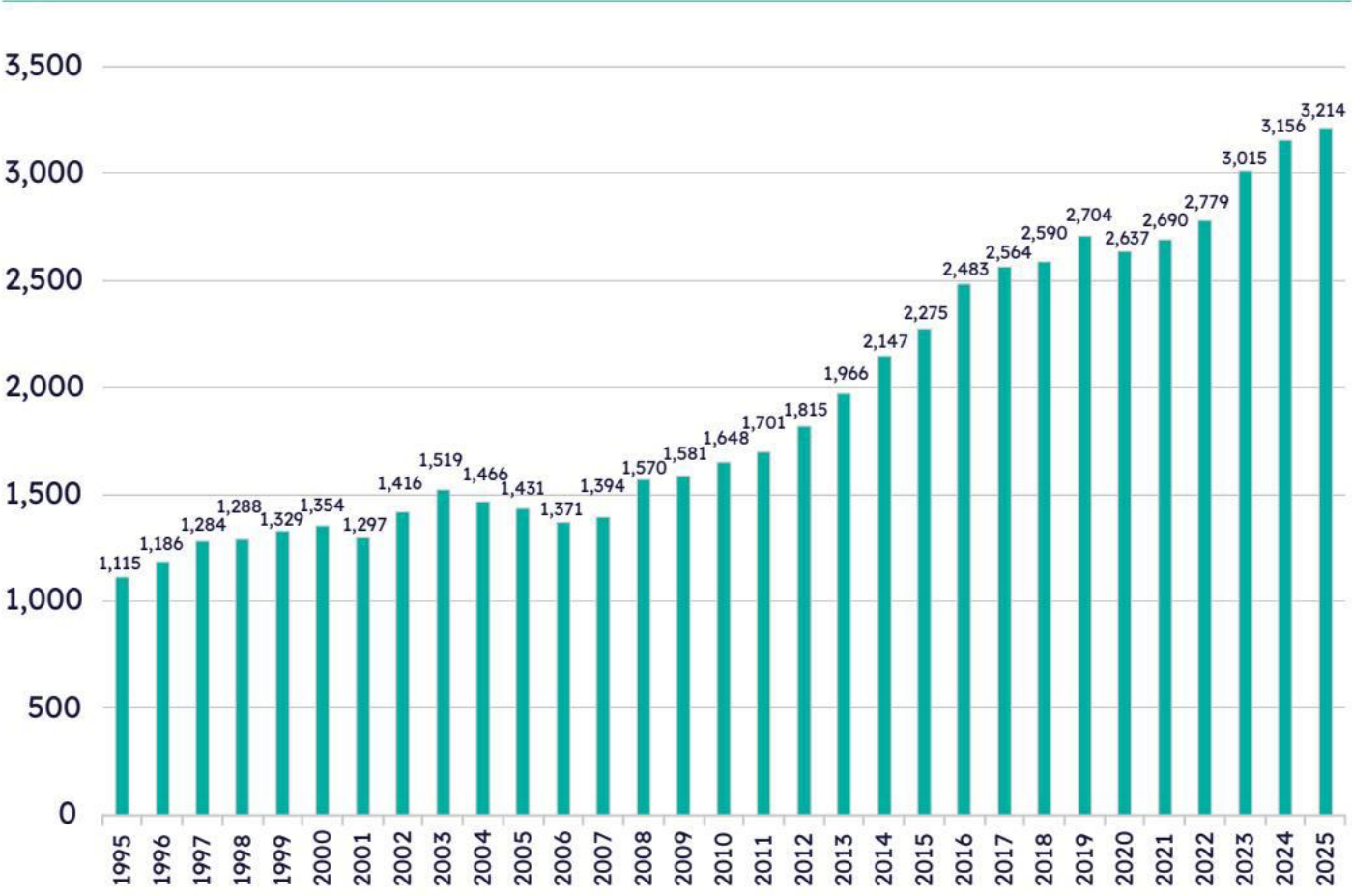
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

印度医药研发热点疾病领域分布与全球趋势一致，前两位分别是乳腺癌和非小细胞肺癌。2型糖尿病虽从首位滑落，仍稳居第三位，受重视程度远超全球水平（全球仅列第十位）。印度对COVID-19药物的需求逆势增长，与全球趋势形成鲜明对比。新冠疫苗虽保持前十地位，但排名有所下滑。癌症病例占比低于其他主要地区。

英国

将目光转向欧洲，英国作为欧洲最大医药研发中心的地位依然稳固，但研发管线增速从2024年的4.5%放缓至2025年的1.8%，增长势头明显减弱。

图19：英国研发管线总规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



英国的医药研发领域几乎由两大制药巨头——阿斯利康和葛兰素史克完全主导，其研发管线规模约为其他企业的十倍，宛如高级定制婚纱那逶迤曳地的裙摆般引人注目。在这些小型企业中，牛津生物治疗公司排名有所上升，而Cancer Research Horizons、Scancell和Adaptimmune则为首次跻身榜单。

表14：英国本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	阿斯利康	241
2 (2)	葛兰素史克	194
3 (3)	萌蒂制药	25
4 (4)	希克玛制药	24
5 (10)	牛津生物治疗公司	18
6 (5)	Albumedix	15
7 (-)	Cancer Research Horizons	15
8 (8)	Bicycle Therapeutics	13
9 (-)	Scancell	13
10 (-)	Adaptimmune	12

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

在英国，非小细胞肺癌的关注度同样超越乳腺癌，位居榜首，且榜单前八位均为癌症类型。与全球榜单相比，该榜单的差异在于，前10名中包含了两种自身免疫性疾病——类风湿性关节炎和溃疡性结肠炎，这两种疾病在全球榜单中分别位列第18位和第25位。

表15：英国在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	178
2 (2)	乳腺癌	154
3 (3)	结直肠癌	126
4 (4)	前列腺癌	99
5 (6)	黑色素瘤	94
6 (5)	卵巢癌	88
7 (-)	头颈部肿瘤	81
8 (-)	胰腺癌	76
9 (-)	类风湿性关节炎	75
10 (-)	溃疡性结肠炎	71

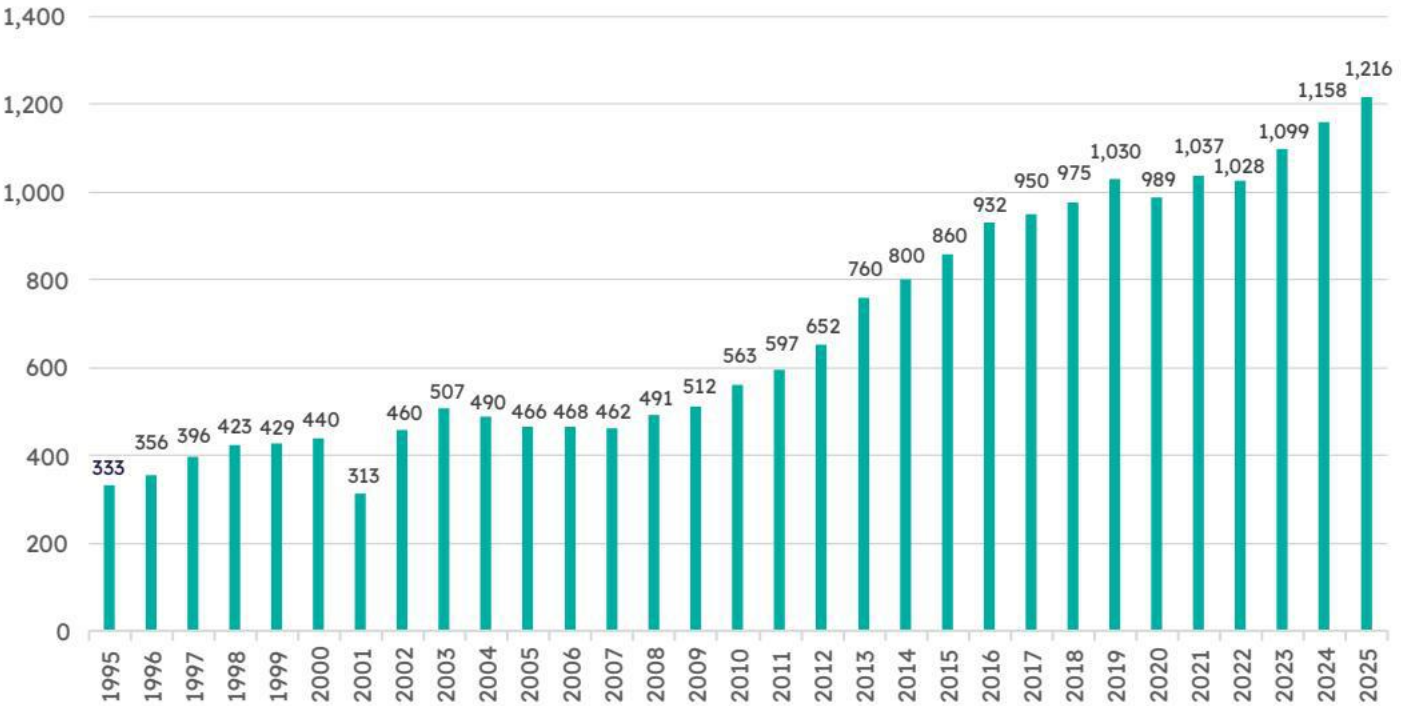
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



爱尔兰

相比之下，毗邻的爱尔兰今年管线增长率略高于平均水平，达到5.0%，与去年报告的5.4%基本持平。这个欧盟国家的整体研发规模略超英国的三分之一，而其人口仅为英国的十三分之一左右，表明该国在科研领域的表现远超其体量所应有的预期。

图20：爱尔兰研发管线总规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



尽管如此，爱尔兰本土制药企业数量相对较少，仅有3家公司的产品组合达到两位数规模。如表16所示，专注于大麻素与抗癌药物研发的爵士制药（JAZZ）在该领域处于领先地位。

表16：爱尔兰本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	爵士制药	26
2 (5)	百利高	12
3 (3)	马林克罗制药	10
4 (2)	阿尔凯默斯	9
5 (4)	Prothena	9
6 (-)	OmniSpirant	6
7 (6)	ONK Therapeutics	5
8 (-)	ATXA Therapeutics	4
9 (8)	GH Research	3
10 (9)	Inflection Biosciences	3

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

爱尔兰在自身免疫性疾病药物研发方面的投入程度甚至高于英国，其中类风湿性关节炎的研发位列第三。此外，银屑病、溃疡性结肠炎、克罗恩病以及少年期关节炎的研发也位列前十。爱尔兰的前十大适应症中仅有三种癌症，是主要市场中癌症适应症数量最少的一个。

表17：爱尔兰在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	67
2 (2)	乳腺癌	63
3 (3)	类风湿性关节炎	43
4 (6)	银屑病	39
5 (5)	银屑病关节炎	38
6 (8)	溃疡性结肠炎	36
7 (-)	克罗恩病	34
8 (4)	2 型糖尿病	34
9 (9)	少年期关节炎	29
10 (7)	结直肠癌	27

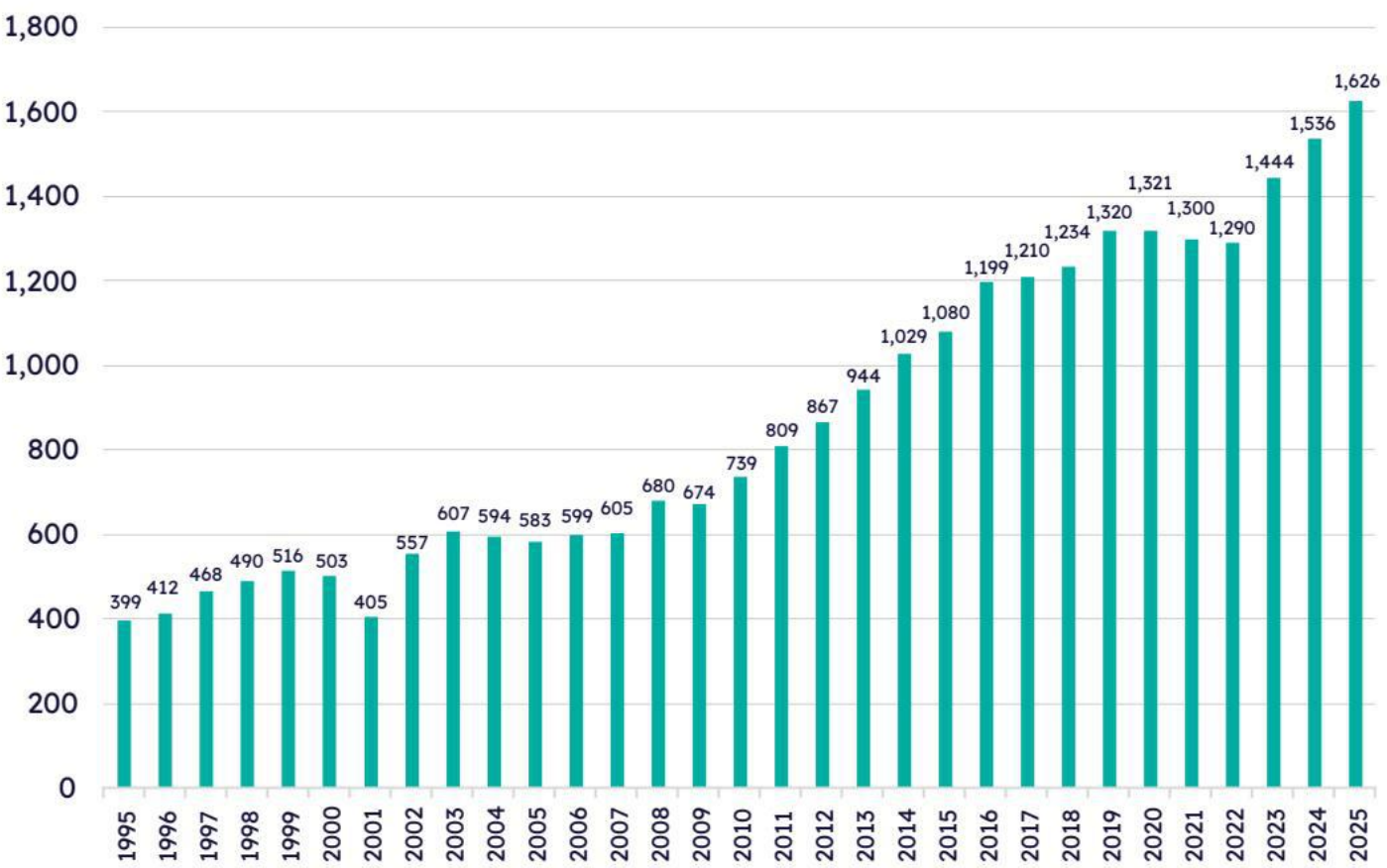
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



丹麦

丹麦与爱尔兰人口规模相近，研发管线规模也相当。今年丹麦研发管线增长率为5.9%，虽略低于2024年的6.4%，但仍高于行业平均水平。

图21： 丹麦研发管线总规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



表18： 丹麦本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	诺和诺德	97
2 (2)	Genmab	38
3 (3)	灵北制药	26
4 (6)	利奥制药	13
5 (5)	巴伐利亚北欧	12
6 (-)	Tetra Pharm Technologies	12
7 (7)	Zealand Pharma	12
8 (-)	Allarity Therapeutics	10
9 (9)	ALKAbello	9
10 (4)	Gubra	9

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表19： 丹麦在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	80
2 (2)	乳腺癌	69
3 (6)	银屑病	48
4 (5)	类风湿性关节炎	46
5 (3)	结直肠癌	46
6 (4)	2 型糖尿病	44
7 (-)	前列腺癌	43
8 (10)	克罗恩病	42
9 (8)	骨髓瘤	38
10 (-)	卵巢癌	38

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

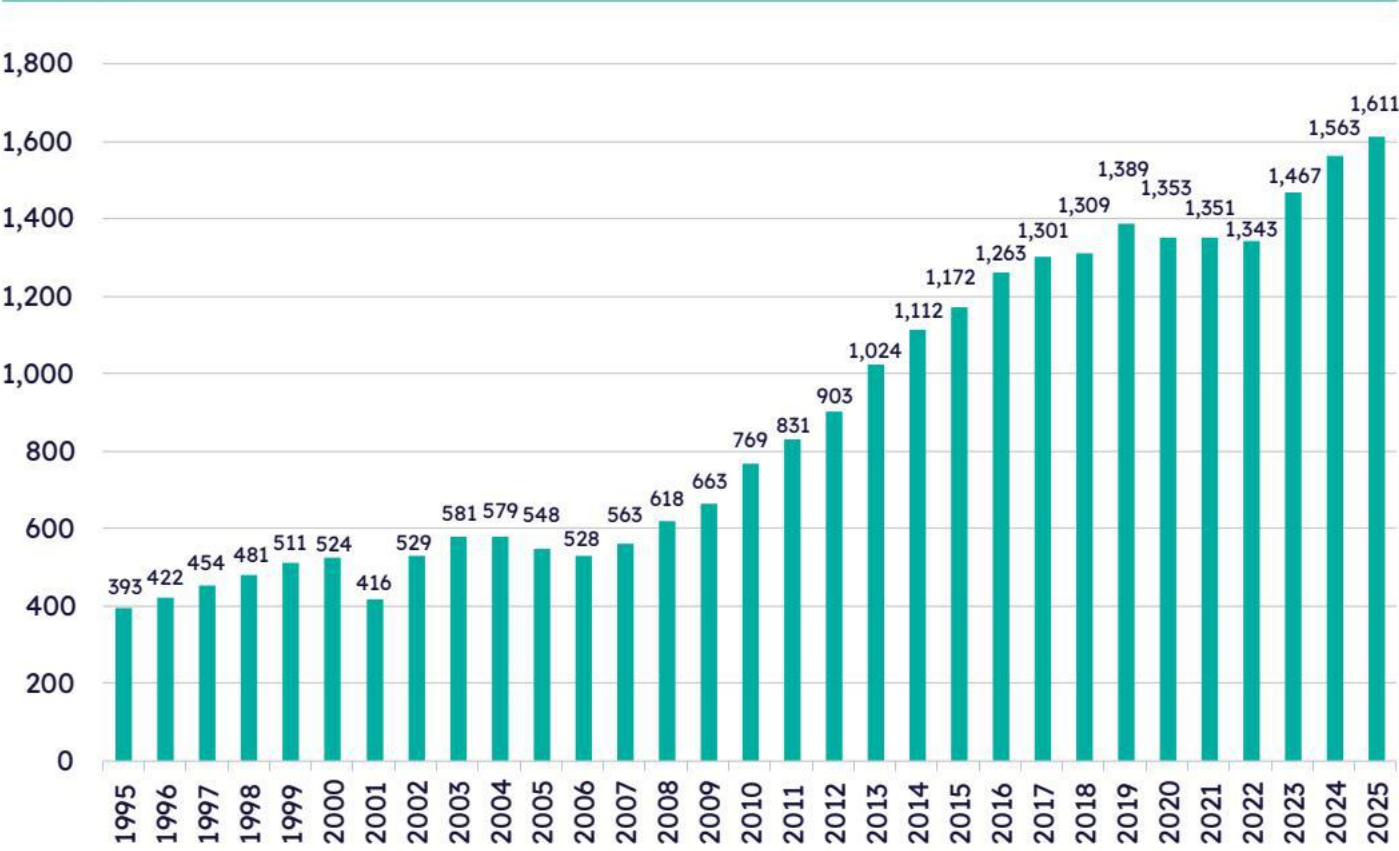
丹麦拥有数家大型制药企业，其中诺和诺德在糖尿病和肥胖症领域处于领先地位。Genmab与灵北制药分列第二、三位，均入围全球研发管线百强企业榜单。在重点疾病领域方面，丹麦企业主要聚焦于非小细胞肺癌的研发，十大疾病中六种为癌症。银屑病、类风湿性关节炎和克罗恩病等疾病同样是重点研发领域。



瑞典

在北欧国家中，瑞典的研发管线规模与丹麦相近，但今年增长率放缓至3.1%，较去年（6.5%）明显下降。不过，在经历2017至2022年的停滞期后，近三年已恢复增长态势。

图22：瑞典研发管线总规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

与丹麦不同，瑞典本土缺乏大型制药企业。该国规模最大的制药公司Sobi，目前仅拥有22款在研药物。瑞典前十大适应症中，2型糖尿病的排名高于丹麦。整体而言，两国的主要疾病特征具有高度相似性。

表20：瑞典本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (3)	Sobi	22
2 (4)	BioArctic Neuroscience	13
3 (6)	Alligator Bioscience	9
4 (5)	Medivir	9
5 (9)	BioInvent	8
6 (10)	Camurus	7
7 (7)	Salipro Biotech	7
8 (8)	AlzeCure Pharma	6
9 (2)	Anocca	6
10 (-)	Hamlet Biopharma	6

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表21：瑞典在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	78
2 (2)	乳腺癌	62
3 (4)	2 型糖尿病	48
4 (5)	类风湿性关节炎	47
5 (3)	结直肠癌	45
6 (10)	前列腺癌	42
7 (7)	银屑病	42
8 (6)	骨髓瘤	41
9 (8)	银屑病关节炎	40
10 (-)	克罗恩病	39

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

法国

法国在研药物数量约为上述斯堪的纳维亚国家的1.5倍。与瑞典情况相似，法国2017—2022年间药物研发管线规模增长近乎停滞，但之后已恢复增长态势。今年法国的管线扩张速度有所放缓，增长率为5.1%，低于去年的8.1%。

图23：法国研发管线规模（1995 - 2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

赛诺菲作为法国本土最大的制药企业，继续保持显著领先优势。今年施维雅排名上升至第二位，益普生则降至第三位。法国制药企业前十名榜单中，Collectis与Apteus两家企业新晋入围，分别位列第七和第十位。在法国重点研发的十大疾病领域，癌症适应症占据绝对主导地位，包揽前九位。类风湿性关节炎是唯一上榜的非肿瘤性疾病。

表22：法国本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	赛诺菲	233
2 (3)	施维雅	48
3 (2)	益普生	39
4 (4)	TheraVectys	22
5 (5)	皮尔法伯	21
6 (7)	Innate Pharma	13
7 (-)	Collectis	12
8 (6)	Valneva	12
9 (8)	OSE	10
10 (-)	Immunotherapeutics	9

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表23：法国在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	187
2 (2)	乳腺癌	149
3 (3)	结直肠癌	105
4 (4)	黑色素瘤	87
5 (7)	骨髓瘤	75
6 (6)	急性髓系白血病	73
7 (5)	非霍奇金淋巴瘤	71
8 (8)	前列腺癌	71
9 (-)	卵巢癌	65
10 (-)	类风湿性关节炎	62

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

德国

德国在研管线规模变化趋势与其他欧洲国家类似：历经上一个十年之交的停滞阶段后，于2020年代开始增长。今年，全国在研管线总量仅增长2.7%，与其它很多国家的情况类似，增速较2024年的5.0%有所减缓。

图24：德国研发管线规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

五家总部位于德国的企业拥有超30种在研药物管线，其中勃林格殷格翰与拜耳的在研药物管线数量更是突破100种。德国老牌企业默克集团今年的排名升至第三位。疾病领域方面，非小细胞肺癌位居榜首，远超排名第二的乳腺癌。今年，类风湿性关节炎和黑色素瘤在十大疾病排行榜中的排名均大幅提升。

表24：德国本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	勃林格殷格翰	133
2 (2)	拜耳	104
3 (5)	默克集团	65
4 (3)	BioNTech	50
5 (4)	Evotec	37
6 (6)	CureVac	16
7 (10)	Medigene	15
8 (8)	史达德	15
9 (-)	费森尤斯卡比	14
10 (7)	格兰泰	14

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

表25：德国在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	165
2 (2)	乳腺癌	111
3 (3)	结直肠癌	97
4 (8)	类风湿性关节炎	77
5 (4)	2 型糖尿病	76
6 (10)	黑色素瘤	69
7 (5)	银屑病	69
8 (-)	溃疡性结肠炎	67
9 (6)	骨髓瘤	65
10 (7)	急性髓系白血病	62

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

瑞士

我们医药世界巡展的最后一站来到瑞士。该国研发管线总规模的趋势，呈现出当前欧洲国家常见的态势。2025年的增长率略高于平均水平，为4.9%，但仍低于2024年6.1%的增长率。

图25： 瑞士研发管线规模（1995-2025年）



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



表26：瑞士本土药企研发管线规模十强

排名	企业名称	药物数量
1 (1)	罗氏	261
2 (2)	诺华	254
3 (3)	抗疟药品事业会	34
4 (4)	DNDi	27
5 (8)	山德士	22
6 (5)	CRISPR Therapeutics	21
7 (6)	德彪制药	20
8 (-)	辉凌	19
9 (7)	AC Immune	15
10 (9)	Light Chain Bioscience	15

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

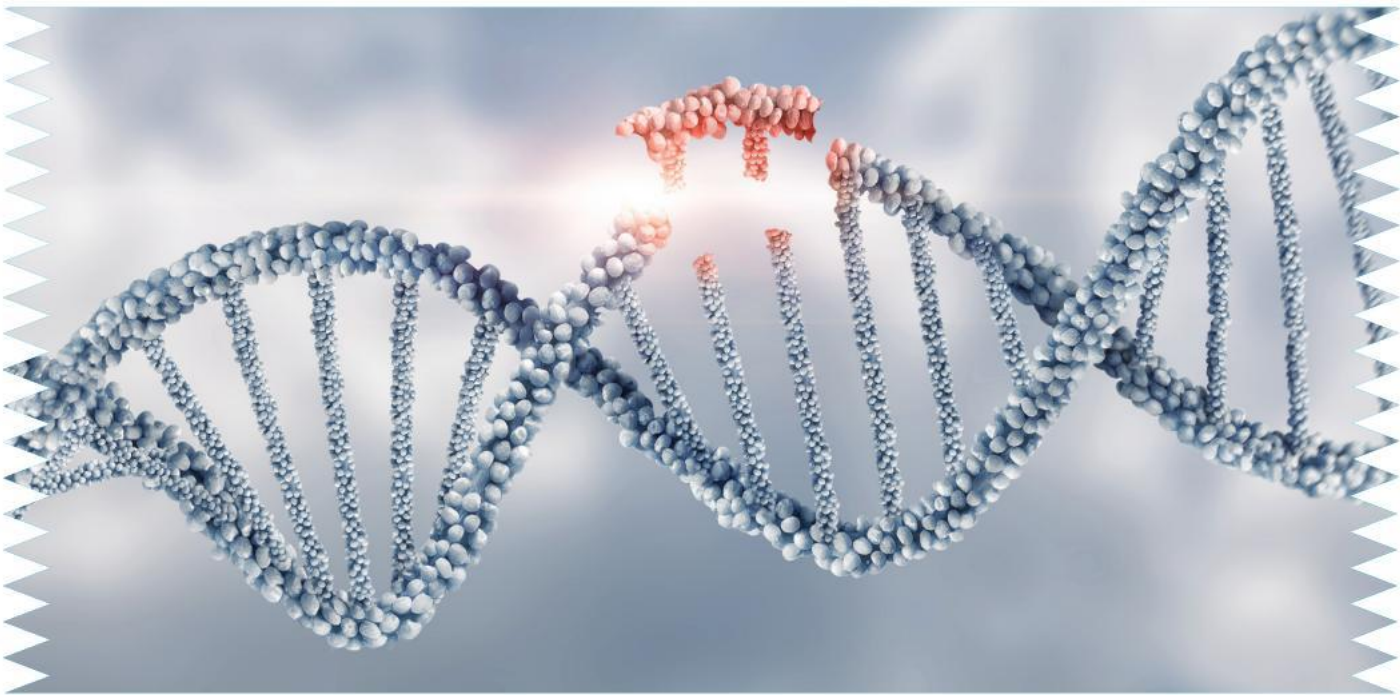
瑞士医药研发领域由总部位于巴塞尔的罗氏和诺华主导，两家企业的在研药物数量均超过250种。排名第三和第四的是两家非营利组织——Medicines for Malaria Venture和Drugs for Neglected Diseases Initiative，DNDi，两者的研发规模约为前两大企业的十分之一。排名第五位的是Sandoz，专注于仿制药开发。前五大疾病与去年一致，均为五种癌症。胰腺癌和卵巢癌新进入前十榜单，使得前十名中癌症种类达到八种。

表27：瑞士在研药物管线十大适应症

排名	疾病	药物数量
1 (1)	非小细胞肺癌	78
2 (2)	乳腺癌	69
3 (3)	结直肠癌	58
4 (4)	黑色素瘤	52
5 (5)	脑癌	41
6 (-)	胰腺癌	39
7 (8)	2型糖尿病	38
8 (-)	类风湿性关节炎	35
9 (7)	骨髓瘤	35
10 (-)	卵巢癌	35

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

我们这场如国际超模巡演的环球之旅至此即将结束。全球医药研发机构虽在形态与风格上存在细微差异，但在这个高度全球化的行业中，整体趋势并未发生明显变化。



作用机制与靶点：

免疫肿瘤学仍是研究热点



服装设计的关键不仅在于款式，更在于材质特性与功能的匹配。您不会用顶级丝绸来擦拭洒出的茶水，这不仅因丝绸价格高昂，更因其吸水性远不如亚麻抹布或毛圈毛巾；同理，您同样不会用亚麻和毛圈来制作高级鸡尾酒礼服。需求决定策略。这一原理同样适用于药物研发：分子结构的选择必须与其作用机制和靶点特性相匹配。2025年药物研发管线深度解析：与您共探创新疗法作用机制

表28展示了2025年初排名前25位的药物作用机制。Pharmaprojects开发的机制或药理活性分类系统采用层级架构。换言之，该系统如树状图般运作，顶端为宽泛的总类术语，逐级向下细分，最多可延伸至五到六个层级。这种结构下，层级顶部的总类术语出现频率最高。主要原因在于，当前超过半数的研发管线仍处于临床前阶段，通常尚未获取或披露完整的作用机制信息，导致大量药物仅能归入宽泛的机制类别。随着药物研发阶段的推进，这些宽泛的分类往往会被更为精确的表述所替代。此外，我们创建了一系列“总括性”术语，支持特定更广泛类别中的跨机制检索。这些术语通常根据客户需求纳入分类体系。

近年来，免疫肿瘤治疗频繁出现于行业榜单之上。今年，该品类规模同比增长4.9%，与排名第二的免疫刺激剂（同样属于广谱品类）的差距进一步拉大。免疫肿瘤药物的发展轨迹引人注目。此类药物的抗癌机制并非直接攻击肿瘤细胞，而是通过激活人体自身免疫系统，识别并清除癌细胞。这仍是一项相对新颖的策略，自该技术首次获得广泛关注至今不足20年。表格最右侧栏的数据进一步印证了该领域的不成熟性，该栏统计了药物进入后期开发阶段（包括已上市、获批或等待批准）的比例。目前仅有3%的免疫肿瘤药物能够达到这一阶段，充分说明该治疗策略仍需进一步验证。然而，超过六分之一的在研药物均采用这一方法，充分体现了业界对该新型治疗途径的信心。



免疫肿瘤药物的多个亚类同样进入前十榜单。免疫检查点抑制剂和免疫刺激剂都占据重要地位，但前者在经历2024年近60%的高速增长后，今年数量出现小幅回落。此外，部分T细胞刺激剂、自然杀伤细胞刺激剂以及作为细胞衔接器疗法关键靶点的CD3激动剂均位列其中，其中CD3激动剂更是首次进入十大热门靶点榜单。在其他排名靠前的领域中，基因表达抑制剂和蛋白质降解剂分别位居第五和第六位，并保持显著增长态势。

表28：全球前25大作用机制（药理学）

2025（2024） 年排名	作用机制	2025（2024）年药品数量	PR、R或L 百分比	趋势
1 (1)	肿瘤免疫疗法	4,125 (3,932)	3.0	↑
2 (2)	免疫刺激剂	1,847 (1,812)	10.7	↔
3 (3)	T细胞刺激剂	1,236 (1,148)	1.7	↑
4 (4)	免疫检查点抑制剂	978 (986)	4.0	↔
5 (5)	基因表达抑制剂	410 (354)	2.7	↑
6 (7)	蛋白质降解剂	348 (292)	0.9	↑
7 (6)	免疫检查点激动剂	300 (303)	1.3	↔
8 (8)	基因组编辑	287 (290)	0.3	↔
9 (10)	自然杀伤细胞刺激剂	225 (223)	0.4	↔
10 (12)	CD3激动剂	209 (190)	5.3	↔
11 (17)	GLP-1受体激动剂	208 (156)	6.7	↑↑
12 (11)	血管生成抑制剂	192 (192)	28.6	↔
13 (13)	PD-1拮抗剂	190 (178)	12.6	↔
14 (14)	免疫抑制剂	182 (174)	37.4	↔
15 (16)	PD-L1拮抗剂	179 (165)	7.3	↔
16 (18)	血管内皮生长因子受体拮抗剂	177 (152)	24.3	↑
17 (15)	微生物组调节剂，活体微生物 β射线放射源	172 (167)	1.2	↔
18 (-)	泛素连接酶E3激动剂	167 (-)	9.0	↑
19 (19)	DNA拓扑异构酶I抑制剂	157 (125)	0	↑
20 (21)	K-Ras抑制剂	152 (98)	5.3	↑↑
21 (20)	放射性发射体	130 (108)	3.8	↑
22 (9)	ErbB-2拮抗剂	128 (-)	1.6	↑
23 (25)	微管蛋白抑制剂	114 (87)	26.3	↑
24 (23)	DNA抑制剂	111 (89)	8.1	↑
25 (24)		100 (87)	27.0	↑

表中使用的缩写：PR=预注册；R=已注册；L=已上市
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

GLP-1受体激动剂以33.3%的管线增长率位列第十一位，这正是当前备受关注的新一代抗肥胖药物的核心作用机制。该品类的快速增长表明，医药研发领域并非所有趋势都进展缓慢，这一特定方向正在发生显著变革。另外，我们将“放射性药物”类别更名为“放射性发射体”，其数量变化源于新增三个子类划分： α 、 β 和 γ 射线发射体。值得注意的是，仅 β 放射体这一子类就足以进入前25名榜单。针对此类药物的分类改进，是我们开发新型免疫偶联物载荷本体工作的一部分。我们将在本报告后续关于药物类型的章节中对此展开更详尽的论述。

要深入理解药物的协同作用机制，关键在于分析其靶向的特定蛋白质（详见表29）。该表呈现的趋势与前文高度一致。CD3蛋白稳居榜首，而排名第二、三位的表皮生长因子（EGF）受体和Her2受体均来自非免疫肿瘤领域，其中EGF受体增幅尤为显著。肥胖领域依然是焦点领域，GLP-1受体跃升至全球药物研发第四大热门靶点，相关在研药物数量激增32.0%，呈现显著增长态势。在前十大靶点榜单中，免疫疗法靶点表现突出：PD-1排名上升，而PD-L1和CD19有所下滑。此外，榜单还包括两个癌症相关靶点（VEGF-A和K-Ras）和一个神经系统靶点（5-HT2A受体）。

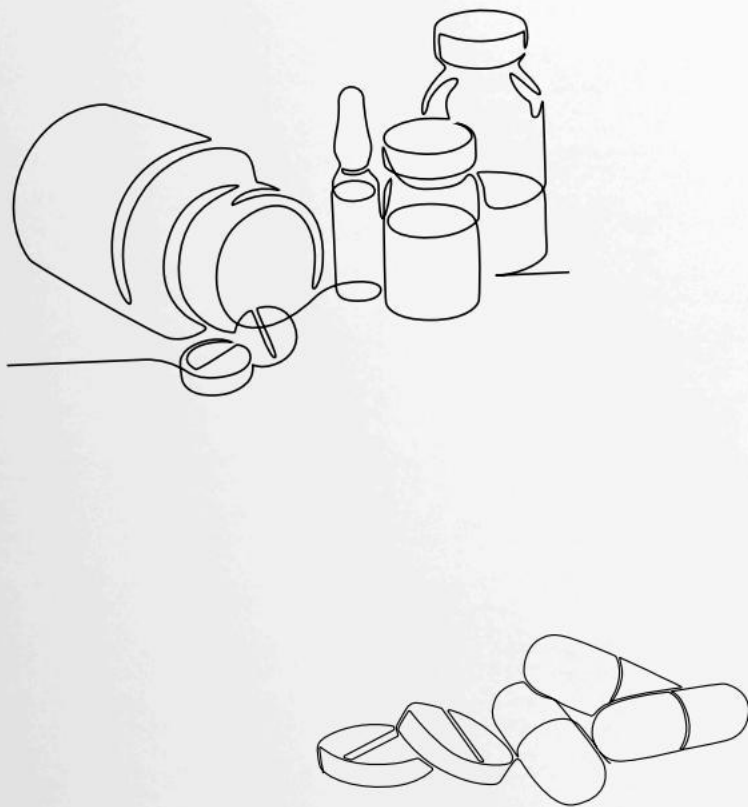


表29：全球前25大药物蛋白靶点

2025（2024） 年排名	靶点	2025（2024）年药品 数量	趋势
1 (1)	T细胞受体复合体CD3ε亚基	254 (223)	↑
2 (5)	表皮生长因子受体（EGFR）	248 (205)	↑
3 (2)	erb-b2受体酪氨酸激酶2[<i>Her2</i>]	230 (217)	↔
4 (8)	GLP-1受体	223 (169)	↑↑
5 (6)	程序性细胞死亡蛋白1[<i>PD-1</i>]	222 (194)	↑
6 (3)	CD274分子[<i>PD-L1</i>]	203 (211)	↔
7 (5)	CD19分子	201 (199)	↔
8 (8)	血管内皮生长因子A	182 (168)	↔
9 (9)	KRAS原癌基因GTP酶	169 (133)	↑
10 (10)	5-羟色胺受体2A	114 (127)	↑
11 (16)	跨膜4结构域A1[<i>CD20</i>]	104 (90)	↑
12 (14)	肿瘤坏死因子受体超家族成员17[<i>BCMA</i>]	104 (94)	↔
13 (13)	大麻素受体1	98 (94)	↔
14 (12)	胰岛素受体	97 (97)	↔
15 (11)	μ1型阿片受体	97 (104)	↔
16 (15)	核受体亚家族3组C成员1[糖皮质激素受体]	96 (91)	↔
17 (30)	MET原癌基因，受体酪氨酸激酶[<i>c-Met</i>]	88 (66)	↑
18 (17)	TNF受体超家族成员9 [CD137]	86 (88)	↔
19 (27)	叶酸水解酶1	83 (70)	↑
20 (19)	肿瘤坏死因子	83 (87)	↔
21 (18)	claudin 18	78 (87)	↓
22 (24)	激酶插入结构域受体	75 (73)	↔
23 (20)	雄激素受体	71 (76)	↔
24 (23)	CD47分子	71 (73)	↔
25 (22)	κ1型阿片受体	71 (75)	↔

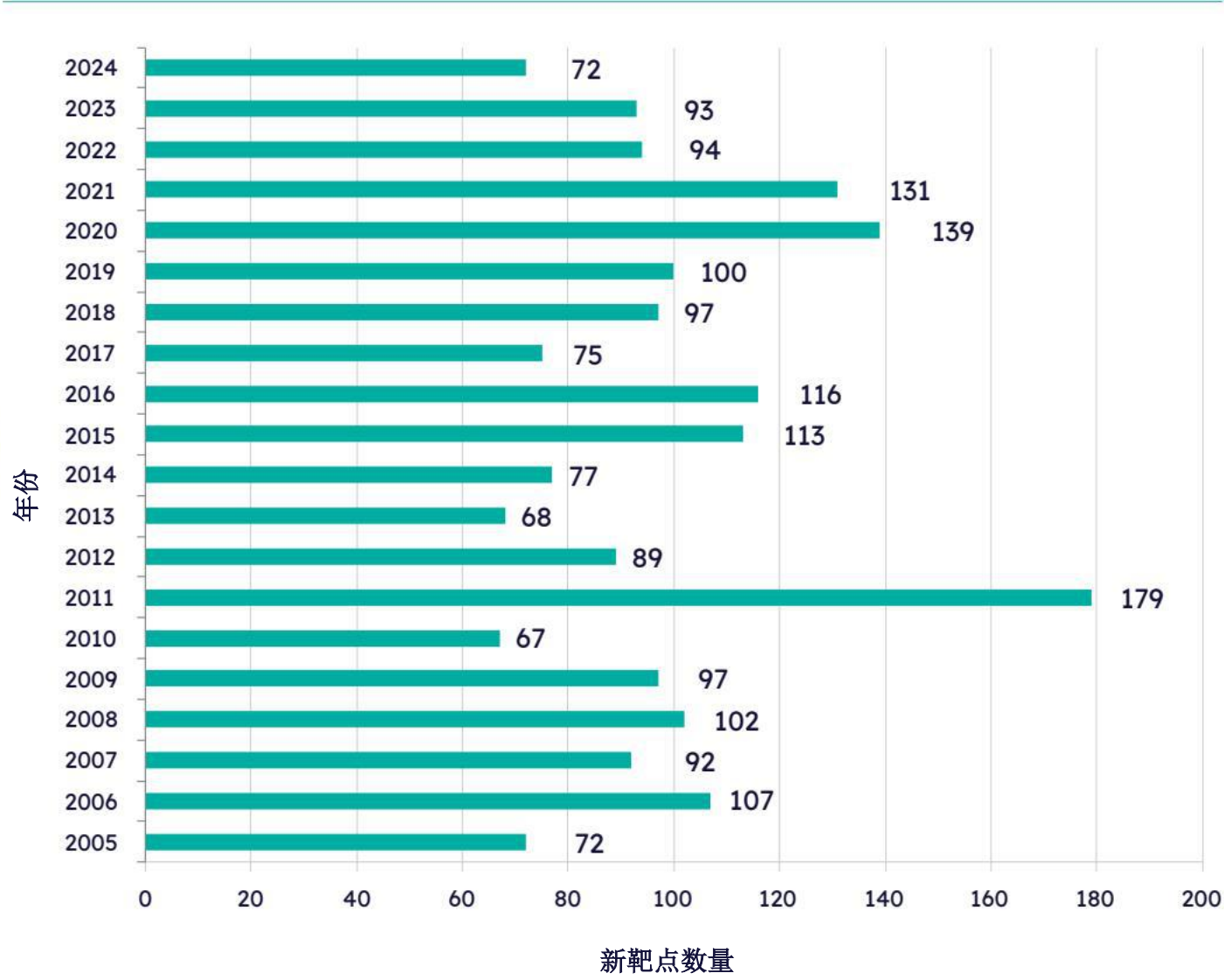
注：NCBI名称，斜体部分为编者加注
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

在前25大靶点榜单中，肿瘤学靶点仍占据主导地位，其中CD20、BCMA表现尤为突出，c-Met以第17位的排名尤为引人注目。与往期报告相比，该榜单出现显著变化：曾经的榜首μ1受体已下滑至第15位。

医药行业与时尚产业相似，创新是发展的核心动力。时尚权威《Vogue》预测，2024年时尚创新将聚焦透视裙、超短热裤与金属质感手袋。虽然不知道这些趋势由谁决定，但医药创新始终以科学严谨性为根本。

衡量行业创新水平的方式之一，是统计企业首次针对新靶点开发药物的数量。图26按年份展示了该数据。从新靶点开发数量来看，2024年表现相对平淡，仅发现72个新靶点，较2023年的93个有所下降，并同时低于近年平均水平。不过，当前处于活跃研发阶段的靶点总数达到2093个，较去年的2035个再创新高。根据相关研究估算，人类可成药蛋白质组中潜在靶点约10000个，表明新靶点发现仍具广阔空间。从这个意义上说，制药行业或许尚处发展前期。

图26：Pharmaprojects按年份统计的新药蛋白靶点数量



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

在研管线类型:

生物科技在医药领域大放异彩



各行业的创新均与技术飞跃紧密相连。18世纪60年代，James Hargreaves发明了用于梳理棉花的珍妮纺纱机（该发明通常更多与Richard Arkwright爵士相关联，因其后续进行了重要改进）。这一发明不仅彻底改变了服装制造业，更标志着现代工厂制度的诞生，成为工业革命的重要开端。时至今日，多数服装仍为批量生产，但传统手工缝制与古老裁剪工艺仍占有一席之地。

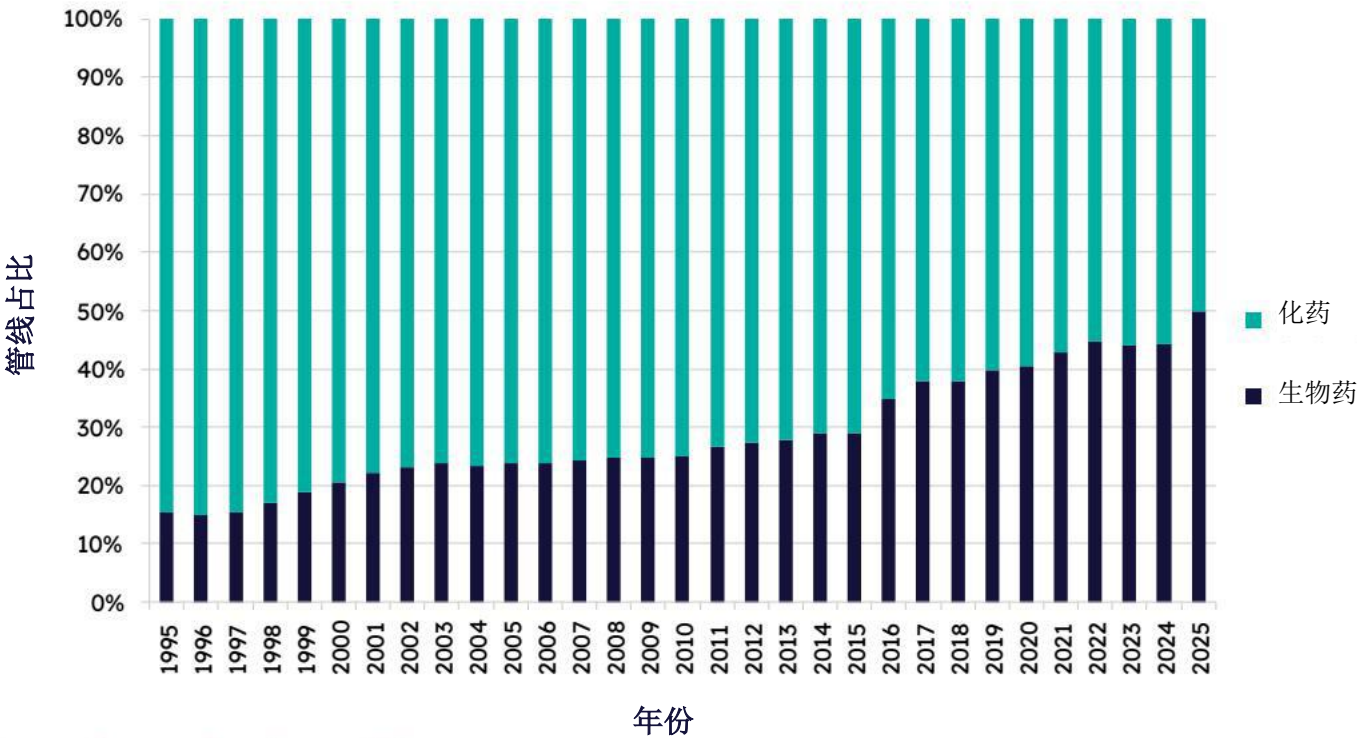
在医药领域，生物技术药物设计的兴起犹如工业革命时期的珍妮纺纱机，彻底改变了新疗法的研发模式。这一技术能否成为主流？在本章节中，我们将深入剖析这一问题，并详尽探讨各类前沿生物技术药物的最新发展态势。



去年数据显示生物技术的发展有所放缓，但今年情况截然不同。如图27所示，生物技术药物在研发管线中的占比大幅提升至49.8%，距离超越传统小分子药物仅一步之遥。如今看来，去年的短暂停滞不过是发展历程中的一个小波折，生物技术产业或许将在明年迎来主导地位。（注：今年我们对免疫偶联物的分类方式进行了调整，同时标记为化学和生物制品，这可能影响了相关数据。）



图27：1995-2025年生物药与化药在研管线占比对比



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



2024年，Pharmaprojects将其原有的药物“原料来源”（OOM）分类体系全面升级为全新的整合型药物类型本体学系统。该分类体系在保留原有OOM分类要素的基础上，新增了生物技术相关术语及原本属于治疗类别分类法的改良制剂等药物类型，并通过引入更细致的分级结构，涵盖细胞与基因治疗领域，最终整合为一个全新的层级化简化本体系统。

新系统的首批25个独立术语列表如表30所示。

术语以粗体显示，左侧标注层级位置。根据该体系，医药研发领域现分为五大分支：小分子药物、生物制剂、天然产物、改良型制剂及诊断试剂。与旧系统相比，新系统支持为药物添加多个标签术语，实现更为全面的描述。

表30：在研药物管线前25大药物类型

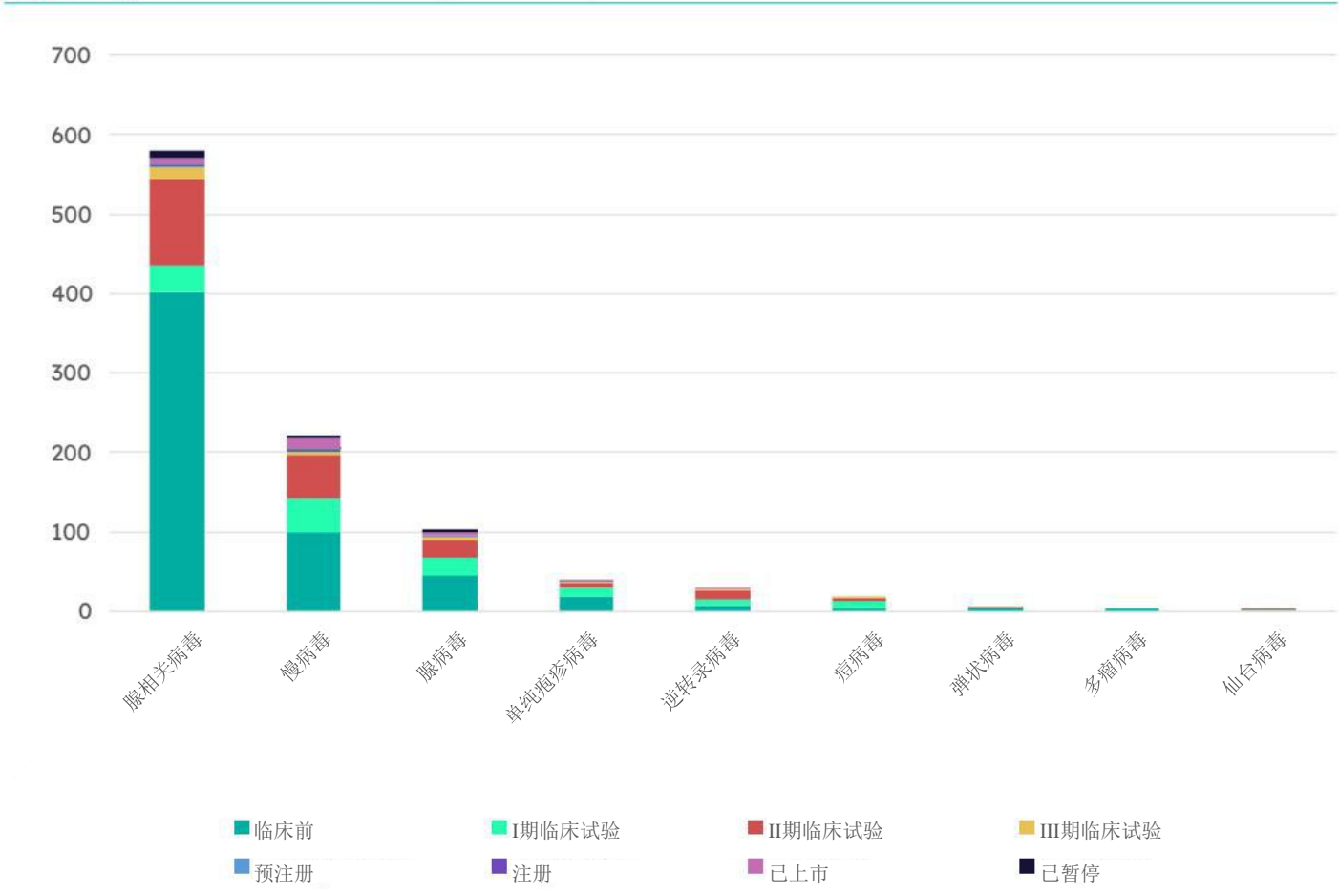
排名	药物类别	药物数量
1	小分子 > 合成小分子	10,581
2	生物制剂 > 蛋白质 > 抗体 > 单克隆抗体，其他	2,229
3	生物制剂 > 基因治疗	2,178
4	小分子	1,499
5	生物制剂 > 疫苗 > 预防性疫苗，抗感染类	1,148
6	生物制剂 > 核酸类 > 核酸，载体类型（未指定类型）	1,107
7	生物 > 细胞 > 细胞类型 > 血细胞 > 白细胞 > 淋巴细胞 > T 细胞	844
8	生物制剂 > 蛋白质 > 抗体 > 人源化单克隆抗体	731
9	生物制剂 > 细胞治疗 > 细胞来源 > 同种异体	730
10	生物制剂 > 细胞治疗 > 细胞来源 > 自体来源	704
11	生物制剂 > 蛋白质	684
12	生物制剂 > 蛋白质 > 抗体 > 抗体偶联药物	678
13	生物制剂 > 细胞疗法 > 细胞技术类型 > 嵌合抗原受体 > CAR-T 细胞	594
14	生物制剂 > 核酸 > 核酸载体类型 > 病毒载体 > 腺相关病毒	579
15	生物制剂 > 蛋白质 > 抗体 > 人源单克隆抗体	559
16	生物制剂 > 蛋白质 > 抗体 > 双特异性抗体	535
17	剂型改良 > 其他剂型改良	508
18	生物制剂 > 生物制品，其他 > 生物类似药	504
19	小分子 > 合成小分子 > 合成肽	483
20	生物制剂 > 蛋白质 > 重组蛋白	481
21	生物制剂 > 核酸 > 核酸技术类型 > RNA > 信使 RNA	466
22	生物类 > 细胞类 > 细胞来源（类型未指定）	436
23	剂型改良 > 固定剂量复方制剂	427
24	生物制剂 > 蛋白质 > 重组蛋白 > 融合蛋白	407
25	生物制剂 > 疫苗 > 治疗性疫苗，抗感染	405

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

尽管合成小分子药物在规模上仍是最大的单一药物类别，但观察表格可以发现，其中绝大多数条目都与生物/生物技术药物类型相关。我们将详细探讨当前生物技术药物研发中最具代表性的几大类别：基因疗法、细胞疗法、单克隆抗体以及抗体偶联药物。

目前，处于研发阶段的基因疗法总数达到2178项，较去年仅小幅增长1.3%。在这些基因疗法中，有1210种被归类为细胞疗法。这类疗法需要先将患者体内的细胞取出，在体外进行基因改造后再回输至患者，例如CAR-T疗法。其余的968种不包含细胞成分的基因疗法，主要集中在体内基因治疗领域，通过载体将基因递送至体内细胞，或利用最新技术直接进行基因编辑。在这两类基因疗法中，病毒载体是最常用的基因修饰递送手段。新的药物分类标准进一步细化了所使用的病毒载体类型（详见图28）。

图28：基因疗法中使用的病毒载体



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

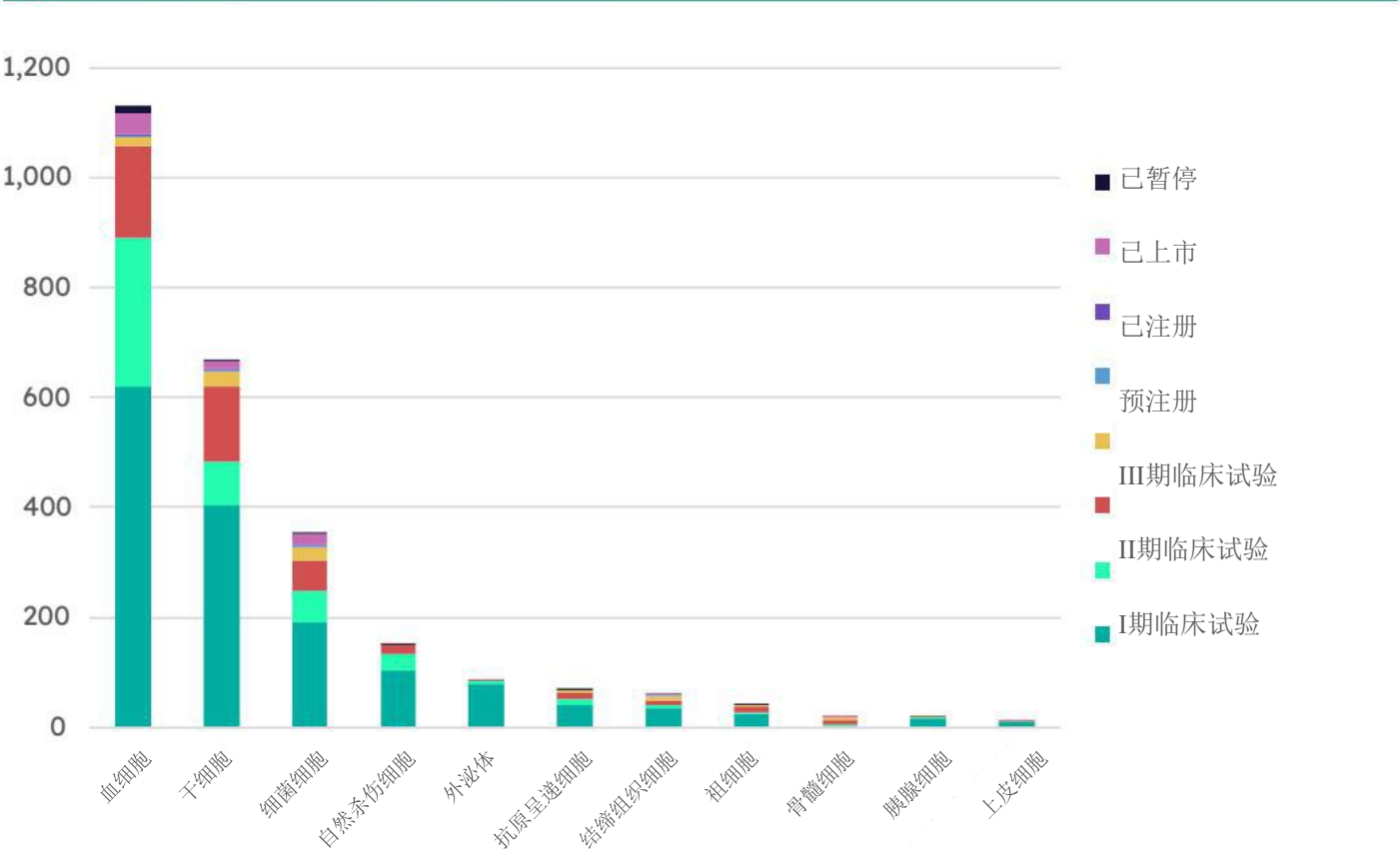
截至2025年1月，腺相关病毒仍是基因疗法中最常用的载体，共有579种采用该技术的基因疗法处于研发阶段，同比增长15.6%。不过，腺病毒载体虽排名第三，增速却远超其他，管线规模激增10倍。

排名第二的慢病毒（常用于体外基因治疗）也快速增长，增幅达19.5%。此外，单纯疱疹病毒、痘病毒和弹状病毒也有所增加，但逆转录病毒呈现下降趋势。

在细胞疗法领域，该药物类型的总体研发管线规模显著扩大，今年已高达2719个项目。随着新型药物本体分类体系的实施，细胞类型分类标准已进行相应调整。由于新体系采用独立的层级结构，其数据与去年不可直接比较。各类细胞的具体分布情况详见图29。血细胞是当前最主要的细胞类型，包含各类白细胞，其中T细胞因广泛应用于CAR-T疗法而尤为重要。

新分类体系对T细胞进行了精细划分，共设10个亚类，为这一快速发展的技术领域提供了更细致的分析视角。同样，排名第二的干细胞也根据体内来源部位细分为15种亚型。图29全面展示了细胞治疗领域的整体格局，而扩展后的本体分类体系已涵盖90种细胞类型，充分体现了该领域的多样性和复杂性。

图29：细胞疗法中使用的细胞类型



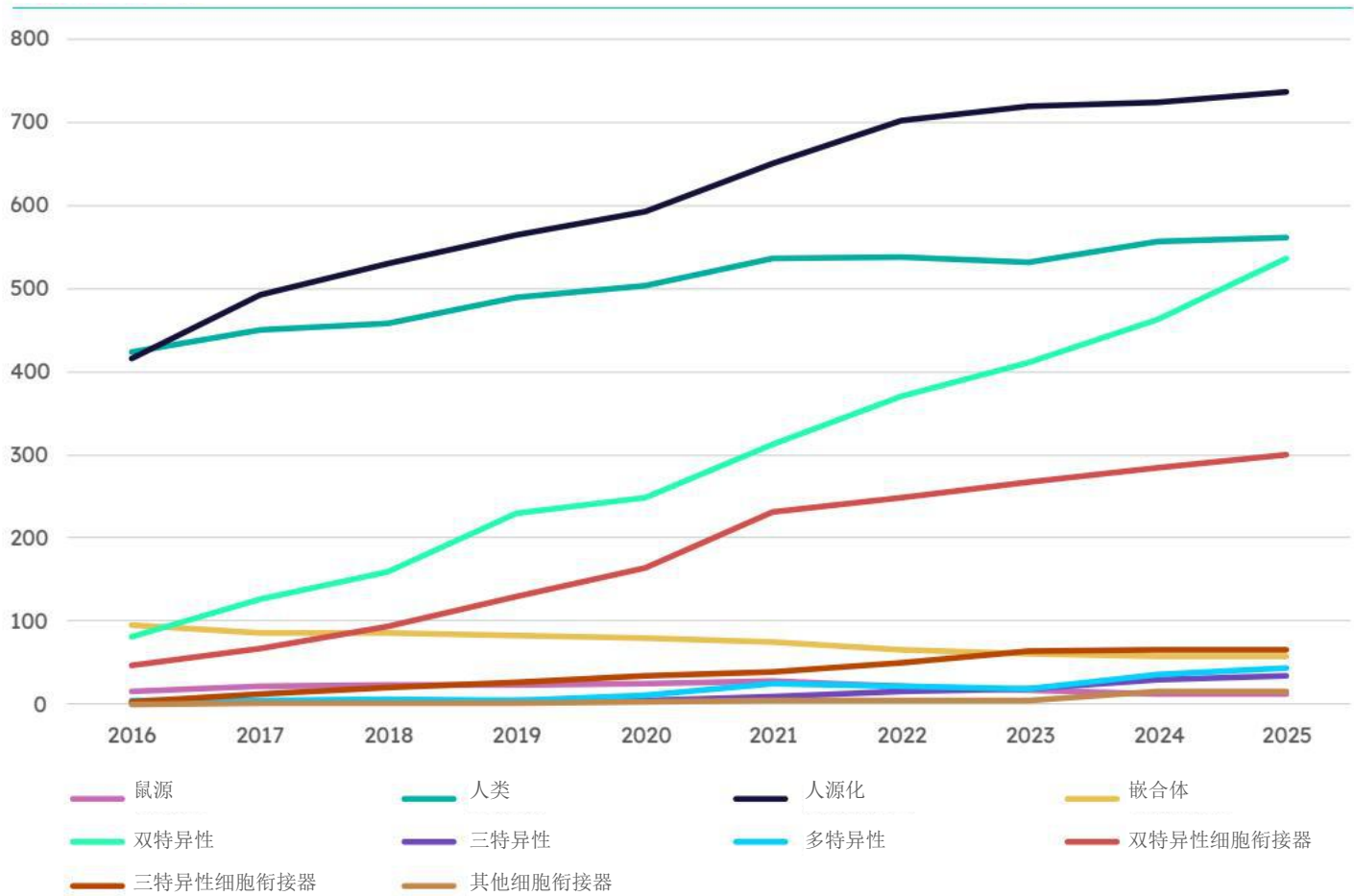
数据来源：Pharmaprojects, 2025年1月刊



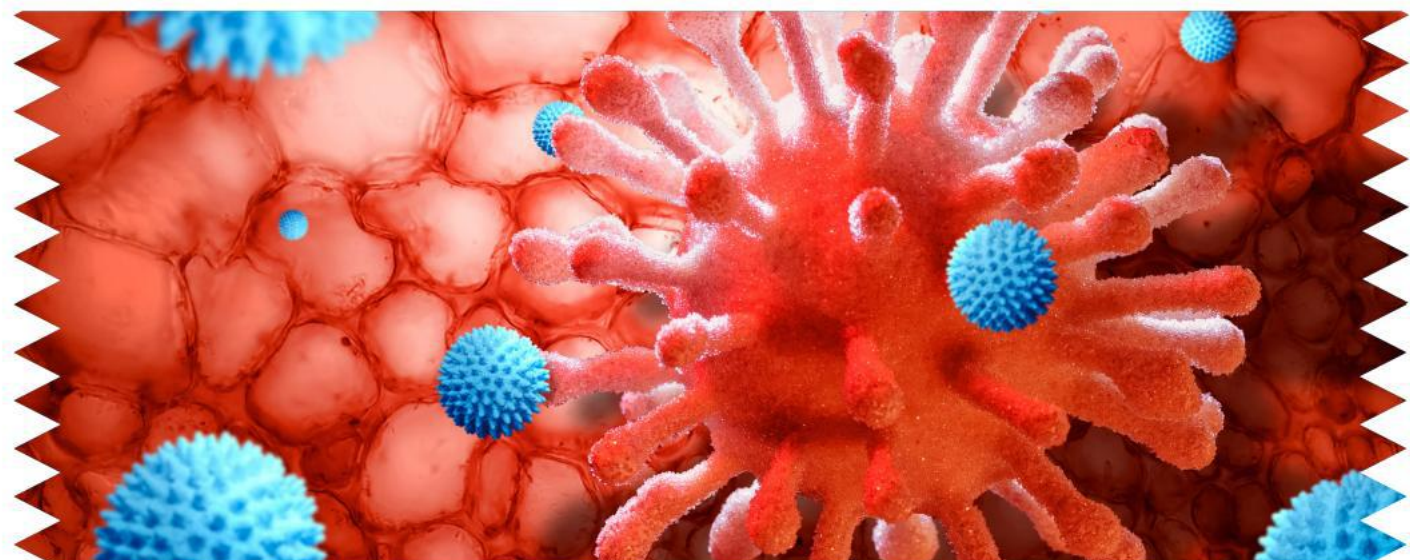
过去三十年中，抗体药物尤其是单克隆抗体已成为生物医药领域的革命性突破。这一领域的技术演进轨迹十分清晰：从早期的鼠源抗体，逐步过渡到人源抗体，再到更先进的人源化抗体。近年来，抗体药物的研发重心已明显转向多特异性抗体方向。研发路径从双特异性抗体开始，逐步扩展到三特异性抗体，如今更向多靶点抗体（MAb）纵深发展。

图30展示了近十年来单克隆抗体的发展历程，其中双特异性抗体的快速崛起尤为显著，相关双特异性细胞衔接抗体的增长态势也十分明显。请注意，本图表未包含抗体类型尚未公开披露的单克隆抗体项目。这类未公开项目数量庞大，在临床前研究阶段的项目中尤为常见。

图30：单克隆抗体类型



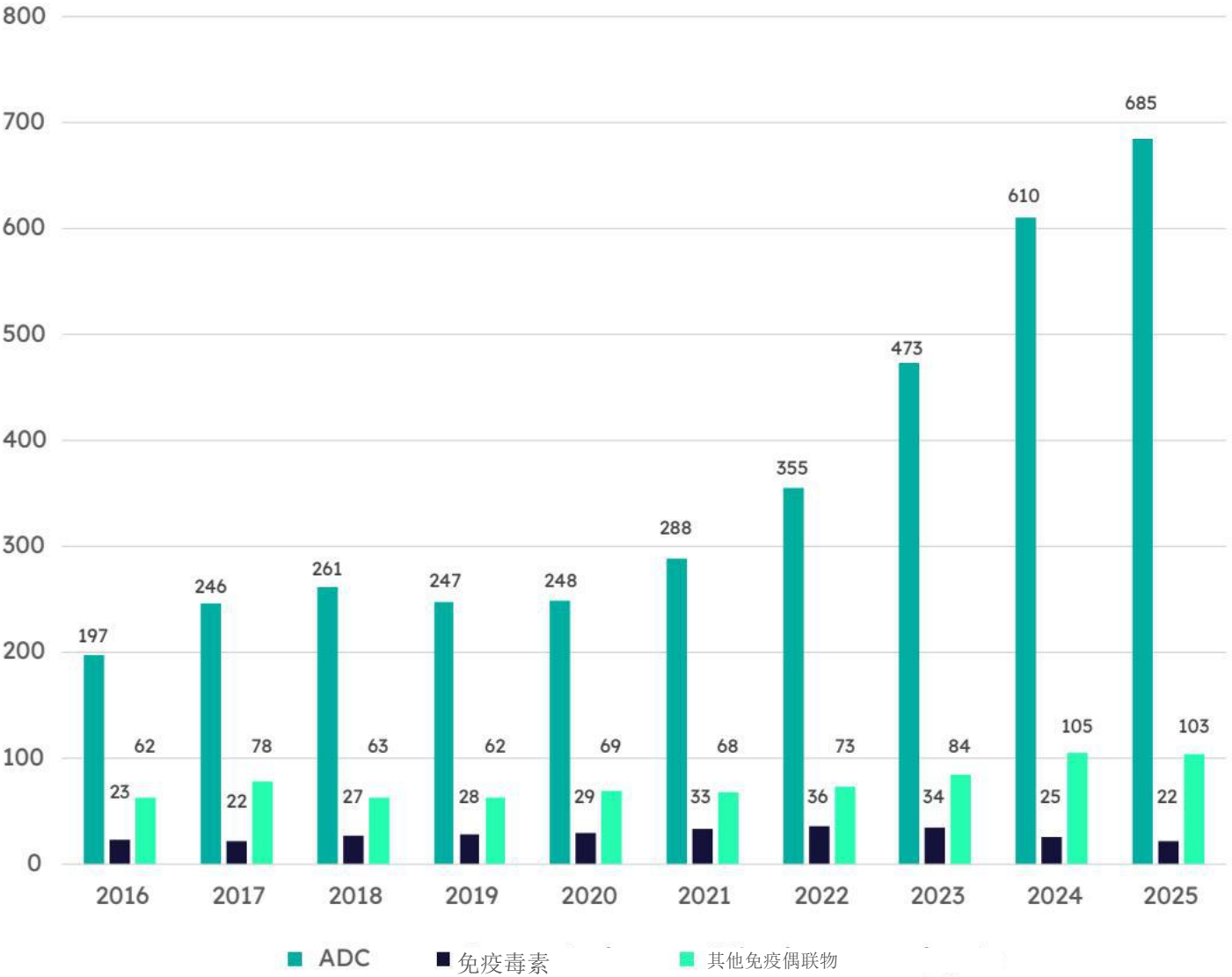
数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



生物药研发的另两大重点领域是免疫偶联药物。这类创新药物采用“导航-效应”的双功能设计：导航分子负责精准识别靶细胞，效应载荷则发挥治疗作用，二者通过共价键形成完整的靶向治疗系统。目前免疫偶联药物主要分为三类：抗体药物偶联物（ADC）、免疫毒素以及其他类型免疫偶联物。这三类药物的研发趋势如图31所示。虽然免疫毒素的研发热度有所下降，但ADC药物却呈现出爆发式增长。过去四年间，全球ADC研发管线数量增长超过100%。过去12个月ADC领域研发管线数量增长了12.3%。尽管这一增速较2023-2024年29.0%的峰值有所回落，但仍保持较高的活跃度。



图31：免疫偶联物种类



数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊

如前文所述，免疫偶联物的治疗作用主要依赖于其有效载荷的传递，这些载荷可以是毒素、化疗药物或放射性配体等。2024年，我们对Pharmaprojects数据库进行了重要升级，新增了免疫偶联物有效载荷的专项筛选功能。如表31所示，用户现可精准检索当前应用最广的20类有效载荷。从某种程度上讲，目前最受青睐且在业界应用最为广泛的当属单甲基奥瑞斯他汀E（MMAE）——这是一种基于海兔毒素衍生合成的抗癌药物。由于其毒性过强，无法直接进行全身给药，因此仅能作为肿瘤靶向免疫偶联物的组成部分使用。许多有效载荷分子通常都存在这种“温和载体包裹致命杀伤力”的特性，在靶向递送后释放强大的治疗/杀伤效果。众所周知，蓖麻毒素堪称毒素类别中的典型代表，它源于从蓖麻籽中提取的高效毒性成分，其未偶联形态（游离状态）因极强的毒性曾被用作生物武器制剂。放射免疫偶联物通过特异性靶向递送机制，能够将治疗性放射性同位素精准定位至肿瘤病灶，实现局部放射治疗。在当前最常用的20种有效载荷中，钇-90（yttrium-90）最受青睐，紧随其后的是碘-131（iodine-131）和镥-177（lutetium-177）。免疫偶联物是生物技术推动疗法进步的典范例证，它能够将强效药物精准递送至肿瘤部位，同时最大程度减少对周围健康组织的影响。

如需了解更多关于抗体偶联药物的详细信息，请查阅我的同事Jon Stephens和Arbesa Bela撰写的相关白皮书，该资源免费下载链接<https://www.citeline.com/en/resources/antibody-drug-conjugates-magic-bullets-become-reality>。

表31：免疫偶联药物前20大有效载荷

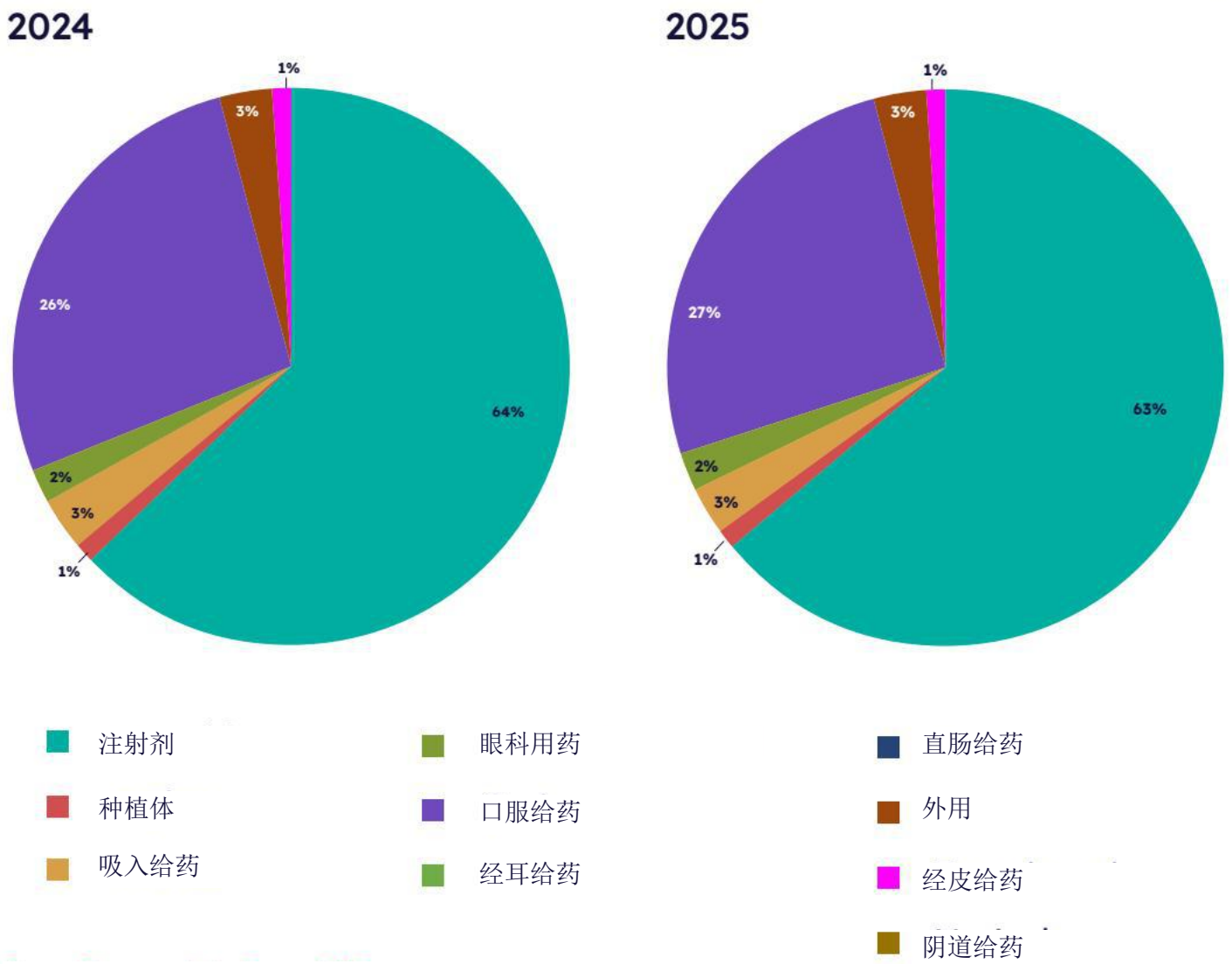
免疫偶联物有效载荷	药物数量
单甲基奥瑞他汀 E	104
吡咯并苯二氮草	48
钇-90	33
美登素（DM1）	26
依沙替康	25
碘-131	25
镥-177	24
蓖麻毒素	22
铜-225	22
锆-99	21
铜绿假单胞菌外毒素	19
单甲基奥瑞他汀 F	17
耳抑素	17
多柔比星	16
喜树碱	16
ravtansine（DM4）	15
白喉毒素	14
鹅膏蕈碱	13
铟-111	13
PE38	13

数据来源：Pharmaprojects，2025年1月刊



生物技术显著提升了医疗水平——它推动开发出靶向性更强的药物，开创了疾病治疗新方法，甚至能够精准编辑人类基因组。然而，这类技术也存在一个明显局限：生物技术药物多为复杂大分子结构，通常需要注射给药，而无法采用更为便捷的口服给药方式。最后，我们需要探讨的是：生物技术领域的持续创新是否正在改变传统的药物给药途径。

图32：按给药途径划分的研发管线（2024年与2025年）



数据来源：Pharmaprojects, 2025年1月刊

事实上，这一转变似乎并未对给药选择产生不利影响。今年注射剂型药品的占比小幅下降1%，而口服制剂的占比则相应提升1%。整体而言，各类给药途径的占比格局保持稳定态势，似乎未受药物研发趋势变化的影响。

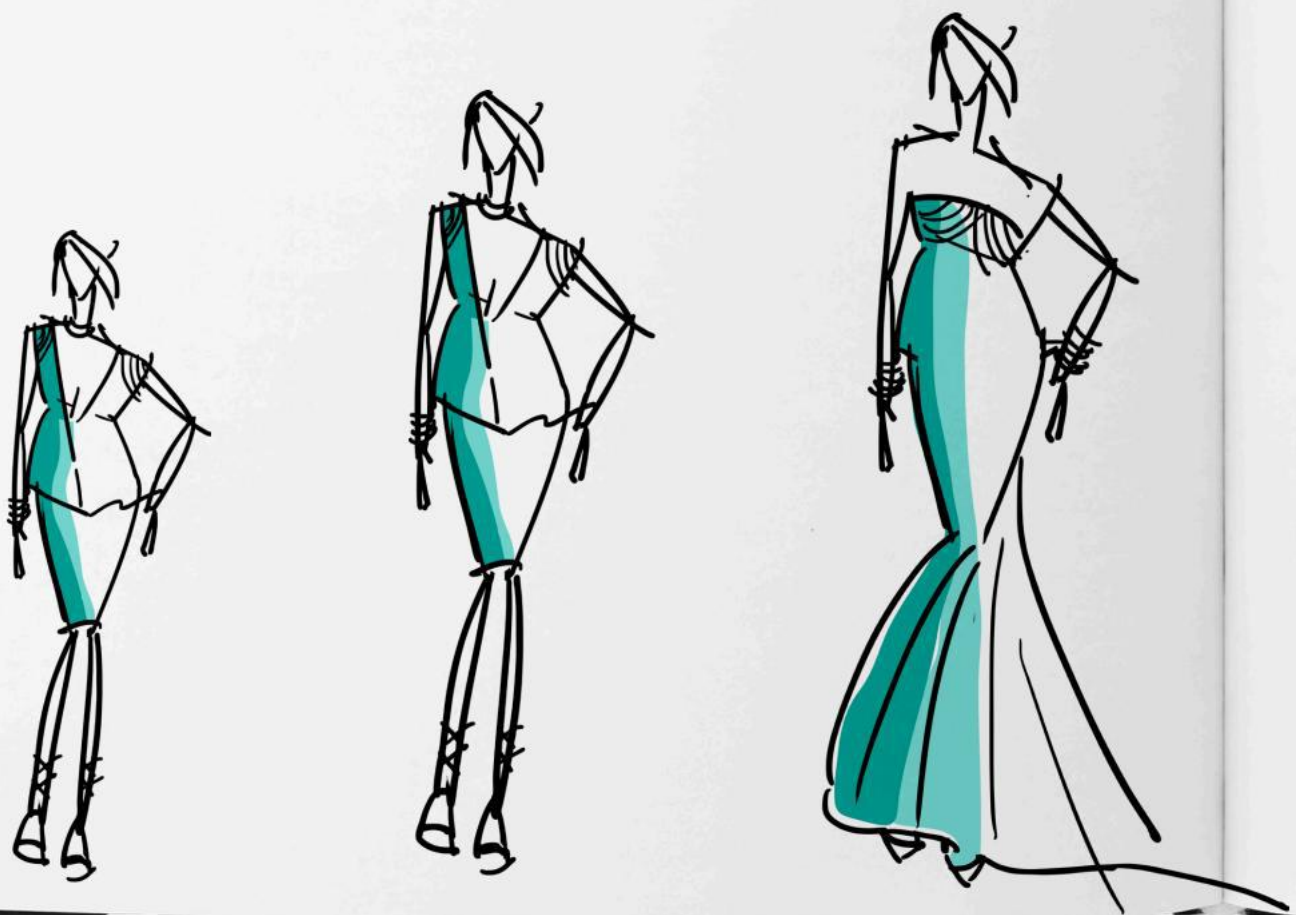
医药行业前景展望

医药行业能否保持优势，还是会面临非凡挑战？

本年度的《医药研发年度报告》即将收尾，在经过细致入微的数据剖析后，2025年初的医药行业将呈现何种景象？未来，它将迎来怎样的发展？是持续保持辉煌，还是面临挑战？是依然光鲜亮丽、引领潮流，还是需要奋力追赶、突破自我？

今年行业整体表现稳健，未出现重大失误。这一年整体态势平稳，各项业务均稳步增长。虽未出现戏剧性转折，也无需大幅调整，但实际情况的收缩程度远不及超模腰围那般夸张。医药行业平稳度过了一年，相应数据表明该行业正持续保持温和增长。这种稳定性无疑得益于近年来众多新药首次进入市场的良好表现。

2024年获批的新活性物质（NAS）完整分析将收录于报告增刊，初步迹象显示，这又是硕果累累的一年，新药获批数量继续维持在近年高位。随着创新成果从研发向生产环节的顺利转化，整个产业链运转有序。今年更出现一个积极信号：更多药物成功跨越了从II期到III期临床试验这一关键阶段。



预测医药行业未来发展的复杂程度，丝毫不亚于预测时尚潮流的变化。毕竟，就像谁都没能预见COVID-19疫情一样，行业面临着诸多不确定性。然而，还有许多其他潜在的变革性因素值得我们持续关注。其中，最引人关注的是那位自诩为“头号变革者”的人物刚刚重返白宫。就在笔者撰写本文时，正值其第二任期开始的第二周，他已扬言要在全球范围内挑起关税战争。根据我们的姊妹刊物《Scrip》报道，在Jefferies最新一期《医疗健康行业调研》中，受访投资者与医疗企业高管普遍认为，地缘政治风险已然成为制药行业面临的首要威胁。将此项列为首要担忧的受访者比例，已从一年前的26%显著升至40%。然而，在《Scrip》年度行业调研“Scrip Asks”中受访的业界代表普遍认为，面对政治不确定性，医药行业仍将保持其韧性，持续进行创新。

许多受访者表示，他们对行业能够经受住美国新政府可能带来的任何不可预测挑战充满信心。英国生物产业协会（BIA）新任理事、药物研发公司Curve Therapeutics首席执行官Simon Kerry评论道：“我们正身处政治动荡与不确定性的时代。”“然而，我预计世界不会在未来四五年内走向终结，”他接着说道，“生物技术行业的基本面依然强劲，我相信，面对任何偶发性逆风，行业都将保持韧性。”Coeptis Therapeutics公司的Dan Yerace表示，一些人认为即将上任的新政府可能会对企业更加友好，这“总体上应会促进行业融资活动增加，并提升整体乐观情绪”。

其他人则持保留态度：Scrip常驻股票观察专栏作家Andy Smith表示：“11月美国大选后，一系列将影响2024年生物制药行业的职位提名已尘埃落定，可以说2025年生物制药行业的命运已初现端倪，前景不容乐观。”罗伯特·F·肯尼迪被提名为美国卫生与公众服务部（HHS）部长一事，无疑引发了广泛争议。这位以反疫苗立场著称、甚至公开质疑HIV与艾滋病关联性的人士若执掌卫生部，势必引发公共卫生界的强烈担忧。与此同时，欧洲观察家们正密切关注事态发展。部分专业分析人士认为，美国市场的动荡或许能为欧洲本土医药产业创造发展机遇。然而，资深分析师Smith警告称，真正的风险在于潜在的全球贸易冲突。2025年生物制药行业面临的核心挑战，或将来自贸易与货币领域的博弈。美国政府拟对所有进口商品加征10%的基准关税，其中对中国商品更将课以60%的高额特别关税。需要指出的是，若非深入了解全球药品供应链运作，人们往往难以意识到美国市场对中国、印度等地区原料药和辅料的高度依赖——这些关键生产物料通过复杂的跨国采购网络源源不断地输入美国市场。“而这些额外关税最终将转化为美国本土药品价格的上涨，”他表示。



尽管中国成为贸易政策的主要目标，但其在医药研发领域日益提升的影响力确实引发了行业忧虑。有观点认为，中国在新药研发领域的快速进展，可能对传统西方制药巨头构成实质性挑战。中国医药研发产业的崛起堪称本世纪最引人瞩目的行业变革之一。从最初的跟随模仿到如今稳居全球新药研发第二梯队，这一跨越式发展令人惊叹。最新年度报告证实，这一增长势头依然强劲——即将发布的NAS增刊将详细呈现中国原研药在国际舞台上的亮眼表现。值得注意的是，中国在活性药物成分（API）全球供应链中已占据关键位置。但当前经济形势暗藏隐忧，贸易摩擦可能加剧行业挑战。

Smith再次强调：中国为应对美国关税采取的人民币贬值策略，很可能适得其反。新任美国总统一直公开抨击“汇率操纵”行为，若中国为对冲西方利率下行压力继续引导货币贬值，不仅会推高对美医药出口的美元计价成本，还可能引发全面的汇率争端。特朗普对中国进军全球市场的态度或将引发一场没有赢家的贸易战，但这不太可能阻止中国医药研发的崛起势头。近期深度求索（DeepSeek）在AI医疗领域引发的争议，恰恰折射出西方对中国技术进步的焦虑。

国际局势方面，乌克兰与俄罗斯的冲突已渐近尾声；而以色列与加沙地带在经历激烈对抗后达成的停火协议，有望为这片饱经战火的地区带来暂时的平静。随着全球逾半数国家在2024年完成大选，业界期待2025年世界经济能步入更稳定的轨道。这一态势对制药行业的商业模式，特别是融资与交易活动将产生何种影响？



从资金层面来看，受访业内人士普遍持乐观态度。Verve Therapeutics首席财务官Allison Dorval表示：“2024年行业已成功募集大量资金，这为未来创新项目的融资奠定了良好基础。我尤其看好资本市场对早期临床研发项目的持续支持。”

Ariceum Therapeutics首席执行官Manfred Rudiger补充道：“过去一年，生物制药企业通过私募、并购及战略合作等多种渠道的融资状况均明显改善。特别值得注意的是，多家生物科技公司成功实现IPO，这充分表明市场在经历疫情低迷期后正逐步回暖。”

在并购领域，我们的姊妹刊物《生物医药追踪者》（Biomedtracker）报告显示，2024年医药行业共完成2341笔交易，其中包括1381笔融资交易和199起并购案例。2024年交易规模虽较2023年有所回升，但仍未恢复至2022年的峰值水平。不过，接受Scrip采访的业内人士普遍对2025年持乐观预期。Azitra公司高管Travis Whitfill分析指出：“多重利好因素将推动2025年交易回暖：利率与通胀持续下行、大型药企面临专利悬崖亟需补充管线、临床阶段资产估值颇具吸引力，以及预期监管环境将更有利于交易达成。”

TVM Capital Life Science风险投资合伙人Stefan Fischer进一步强调：“2025年并购市场有望迎来爆发式增长，主要受三大趋势驱动：医疗技术平台日趋成熟、AI药物研发加速普及，以及制药业亟需突破传统研发瓶颈。”



人工智能无疑是当前最受关注的技术焦点。它能否助力药企赚得盆满钵满，抑或会让整个行业如坐针毡？Scrip采访的多位业内人士一致认为，AI技术将成为推动行业发展的强大引擎。爵士制药数据科学、证据与价值生成及全球科学医疗事务副总裁Mat Davis指出，该领域已展现出极为广泛的应用范围和深远的影响力。“2025年，AI将继续深刻改变生物制药行业，从精准医疗到全流程研发都将迎来变革。尽管这看似规模宏大、影响广泛，但从另一个角度看，人工智能实际上正助力医药企业以前所未有的专注力聚焦于患者需求。”他说道。“可审阅的数据量越大、细节越丰富，通过新型先进药物为患者带来的疗效就越好。”



IPA Therapeutics首席执行官Jennifer Bath进一步指出：“人工智能在药物发现领域的未来，取决于其整合与分析多模态数据的能力——从基因组学、蛋白质组学数据，到结构生物学与临床数据集的全方位融合。”

创新，始终是决定医药行业成败的核心命脉。本年度报告清晰地揭示：生物技术药物正在重塑疾病治疗格局——基因疗法、细胞疗法、单克隆抗体及抗体偶联药物等精准医疗手段，正在开启靶向治疗的新篇章。我们还发现，虽然2024年全新药物靶点发现数量略低于历史均值，但研发管线中涉及的蛋白质靶点总数却创下新高。要确保医药行业持续为患者提供突破性的“高级定制”新药，而非简单重复的“成衣复刻”，创新引擎就必须保持强劲运转。关于过去一年新药研发的精彩表现，敬请期待将于4/5月发布的《2024年度新活性物质（NAS）上市报告》权威补编，该报告将详细呈现行业领跑者们推动创新药物上市的卓越成就。

2025年医药行业正迎来前所未有的繁荣景象。在这个创新药物“百花齐放”的时代，有些疗法将成为改变游戏规则의“高定精品”，而另一些则可能沦为市场中的“过季单品”。面对瞬息万变的市场环境，制药企业必须保持敏锐洞察与持续创新能力。在这场永不停歇的研发竞赛中，《Citeline医药研发观察》将继续为您把脉行业动向，捕捉前沿趋势。拒绝随波逐流——即刻典藏臻品！



关于作者

Ian Lloyd

Pharmaprojects及数据整合部门高级总监

Ian Lloyd为现任Pharmaprojects及数据整合部门高级总监，全面负责药物研发解决方案的内容架构与深度分析。他致力于为客户提供全方位的药品研发数据支持与咨询服务。凭借专业的行业洞察力，他帮助客户优化药物研发策略，解决关键商业问题，并持续追踪医药研发领域的最新趋势。33年来，他始终亲自主持编撰《医药研发年度回顾》报告及新活性物质（NAS）上市增刊。这份权威报告已成为全球医药研发人员洞悉行业动态、把握发展先机的必备工具书。他于1987年加入当时隶属于PJB Publications的Pharmaprojects，历经2003年Informa收购、2022年Citeline分拆成立，现服务于Norstella集团。在投身医药情报领域前，他曾在布里斯托大学从事分子生物学研究。

关于Citeline

作为**Norstella**旗下企业，Citeline致力于为生命科学领域专业人士提供全方位的商业智能解决方案。我们通过创新性的数据服务，有效连接治疗方案与患者需求，加速医疗价值的实现。这些患者导向型解决方案通过精准数据分析和专业洞见，有效支持企业在临床开发、商业决策和法规事务等关键环节的科学决策，为业务拓展创造切实价值。

Citeline汇聚了全球顶尖的行业分析师、资深媒体人及战略咨询专家，持续追踪医药、生物医学及医疗科技领域的最新动态，全方位覆盖关键疾病领域、临床试验、药物研发与审批、市场预测等核心议题。

欢迎访问**Citeline**官方网站，或通过**领英**及**X**平台关注我们的最新动态，获取全球医疗健康领域最值得信赖的商业洞见。