

中国获得性血友病药物治疗行业概览： 近6万人患病，国产药品发展空间如何？

China Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry Overview

中国後天性血友病藥物療法産業の概要

报告标签：获得性血友病、凝血因子、糖皮质激素、替代疗法、基因治疗

主笔人：荆婧

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。

摘要

获得性血友病是一种由于妊娠、衰老或恶性肿瘤等基础疾病导致的血液系统疾病，抗凝血因子自身抗体异常产生，导致患者体内凝血因子活性降低，出现无原因出血症状。根据受抑制的凝血因子类型可将患者分为获得性血友病A和获得性血友病B，另外根据患者临床诊疗时出血症状的严重程度，可对症进行止血治疗或免疫抑制治疗。止血治疗一线用药多为凝血因子或凝血酶原复合物，免疫抑制治疗则多选用糖皮质激素联合环磷酰胺进行长期药物调整。当前中国市场已有本土自研的重组凝血因子产品面世，免疫抑制药物方面也有多种仿制药上市过评，本土临床治疗对于进口产品的依赖逐渐降低。面对药物价格过高导致的用药渗透率不足，近年国家医保局重点关注获得性血友病用药的医保支付比例，最大限度为患者减轻药物治疗负担。另外，由于居民对获得性血友病的防控意识不足，部分患者首次并未正确选择就诊科室，导致超三成患者经历延迟确诊。中国获得性血友病诊疗指南提出，对于存在不明原因出血的送诊患者应进行凝血五项检查，根据各项检查结果进一步采取对应的凝血功能测试以尽早实现确诊。本报告将从获得性血友病药物治疗行业的起病原因、用药分类、产业链各环节重点事项分析、市场规模预测及市场竞争格局分析等维度对获得性血友病药物治疗行业进行深度剖析。

■ 半数患者受基础疾病影响，生理特殊性导致孕期女性和老龄人口成高发人群

根据诊疗指南数据，中国AHA患者中约50%在确诊前存在自身免疫疾病、恶性肿瘤或病原体感染等基础疾病。孕期女性易受胎儿相关的自身免疫抗体攻击，因此成为高发群体。围产期女性中约19.0%在产前检测出自身免疫抗体抑制物，产后确诊中位时间为89天。老龄人口也是高发群体之一，欧洲血友病登记处数据显示，患者中位年龄为73.9岁，11.8%和11.6%的发病情况与恶性肿瘤或自身免疫性疾病相关。

■ 中国用药市场已有自研重组血液制品上市，用药端进口依赖情况得到逐步缓解

21世纪前，血液传输存在病原体交叉感染的风险一度成为凝血障碍疾病临床治疗中难以避免的阻碍。而后随着基因重组技术在全球范围的逐步成熟，其应用领域拓展至凝血因子产品的研发生产中，海外多种重组凝血因子产品相继上市并引进本土市场。近年来，患者对于药物治疗安全性的需求显现，催生本土企业制药工艺与重组技术加速融合，2021年神州细胞自研的首个国产重组凝血因子VIII获批上市，中国药企独立研发生产的实力稳步提升，加之晟斯生物在研全球首个超长效凝血因子产品，中国制药已做足出海准备。

■ 已上市免疫抑制药物多需经肾脏代谢，本土厂商研发新剂型以覆盖儿童患者

截至2022年底，环磷酰胺片剂和注射剂是上市的两剂型，而儿童由于肝肾功能和脑部神经发育不完全，用药产生不良反应风险较高。2023年恒瑞医药推出首个环磷酰胺胶囊仿制药，通过消化系统吸收可减少对儿童代谢系统的损伤，国家药监局批准其适用范围扩展至6岁及以上儿童。环磷酰胺胶囊的上市促使市场竞争加剧，片剂和注射剂型销量在2021年首次下滑至0.1亿元以下，而胶囊剂型在公立医院的销量则在2023年突破2亿元。

目录

- ◆ 中国获得性血友病药物治疗行业综述
 - 获得性血友病临床表现及用药分型
 - 获得性血友病药物治疗行业发展历程
 - 中国获得性血友病药物治疗行业政策概览
- ◆ 中国获得性血友病药物治疗行业产业链
 - 产业链全局概览
 - 上游—生产工艺优化与采购价格
 - 中游—原料药供给与儿童用药覆盖
 - 下游—患病人群与医疗资源分配
- ◆ 中国获得性血友病药物治疗行业市场规模
 - 市场规模走势
 - 历史驱动因素—医保政策与早诊早治方案
 - 预测驱动因素—产品优化与疾病综合管理
- ◆ 中国获得性血友病药物治疗行业竞争格局
 - 竞争格局总览
 - 当前制约因素—血浆供给与治疗负担缓解
 - 长期制约因素—海外新药与本土创新研发
- ◆ 中国获得性血友病药物治疗行业代表企业介绍
 - 华兰生物
 - 科伦药业
- ◆ 方法论
- ◆ 法律声明

Contents

◆ Overview of China Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry

- Acquired Hemophilia Clinical Presentation and Medication Staging
- Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry History
- Policy Overview of Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry in China

◆ China Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry Chain Analysis

- Industry Chain Overview
- Upstream-Production Process Optimization and Purchase Price
- Midstream-API Supply and Pediatric Drug Coverage
- Downstream-Disease Population and Healthcare Resource Allocation

◆ China Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry Market Size

- Market Size Trend
- Historical Drivers – Health Insurance Policies and Early Diagnosis and Treatment Programs
- Forecast Drivers – Product Optimization and Integrated Disease Management

◆ Competitive Landscape of Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry in China

- Competitive Landscape Overview
- Current Constraints – Plasma Supply and Treatment Burden Relief
- Long-term Constraints – Overseas New Drugs and Local Innovative R&D

◆ China Acquired Hemophilia Drug Therapy Industry Company Profiles

- Hualan Bio
- Kelun Pharmaceutical

◆ Methodology

◆ Legal Statement

Chapter 1

中国获得性血友病药物治疗行业综述

- 获得性血友病临床表现及用药分型
- 获得性血友病药物治疗行业发展历程
- 中国获得性血友病药物治疗行业政策概览

获得性血友病临床表现及用药分型

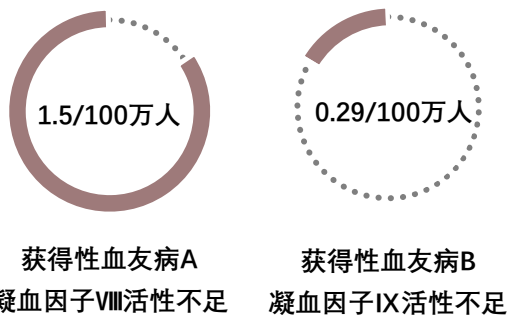
获得性血友病是一种由于妊娠、衰老或恶性肿瘤等基础疾病引发的血液系统疾病，根据受抑制的凝血因子类型可将患者分为AHA和AHB，另外根据患者出血的严重程度，可选择止血治疗或免疫抑制治疗方案

获得性血友病高发人群



- 获得性血友病 (Acquired Hemophilia, AH) 是一种由于血液循环系统中出现抗凝血因子自身抗体而导致凝血活性降低的获得性出血性疾病，同为凝血因子活性不足引发的异常出血症状，但区别于家族遗传性血友病 (统称为血友病)，获得性血友病患者并非起病于基因遗传。
- 获得性血友病的临床表现为，无既往出血史和阳性家族史的患者在日常生活中出现自发性出血，或患者在手术、外伤及侵入性临床检查过程中发生异常出血。衰老、肿瘤患病或妊娠均可提升自身抗体产生几率，因此老龄人口、癌症患者及围产期妇女成为获得性血友病的重点发病人群。

获得性血友病类型及用药方案



严重出血

- 一线治疗: 重组凝血因子 | 凝血酶原复合物
- 二线治疗: 去氨加压素 | 氨甲环酸 | 艾美赛珠单抗

无严重出血

- 一线治疗: 糖皮质激素 | 丙种球蛋白 | 环磷酰胺
- 二线治疗: 利妥昔单抗 | 硫唑嘌呤 | 长春新碱

- 获得性血友病根据体内缺乏的凝血因子类型可分为获得性血友病A (Acquired Hemophilia A, AHA) 和获得性血友病B (Acquired Hemophilia B, AHB)，AHA指患者凝血因子VIII (FVIII) 活性显著低于正常值，是获得性血友病患者的主要患病类型，而由凝血因子IX (FIX) 活性减弱导致的凝血功能异常称为AHB，由于FIX分子量较FVIII更小且免疫原性低，因此AHB在获得性血友病病例中占比较低。
- 根据患者病程进展，获得性血友病临床治疗用药可分为止血治疗用药和抑制物清除用药2种类型，面对就诊时即存在严重出血症状的患者，临床治疗多采取紧急止血方案，通过补充活化凝血因子及凝血酶原达到恢复患者凝血功能的治疗效果，而对于就诊时出血程度较轻或无出血症状的患者，诊疗指南则推荐首选免疫抑制药物进行治疗，通过抑制浆细胞样树突细胞成熟实现对效应T细胞功能的抑制，从而减少凝血因子自身抗体的产生，恢复机体凝血功能。

来源: 中华血液学杂志, Blood Reviews, MedSCI, 头豹研究院

获得性血友病药物治疗行业发展历程

20世纪中末期，凝血因子替代治疗为此期间的主要治疗方案，20世纪末期，重组凝血因子产品应运而生，行业进入启动期，近年本土企业由进口引入和药品仿制转为自主研发生产，行业开启成熟化发展

获得性血友病药物治疗行业发展历程

萌芽期

1953年，科学家阐述了血液活化部分凝血活酶时间（aPTT）的测试原理，发现其在临床中可用于区分血友病患者血浆和正常血浆，成为凝血功能检测的科学基础；

20世纪60年代末，科学家首次从血浆中分离提取出血源性FVIII和FIX，证实人凝血因子可用于治疗获得性血友病的严重出血和术中出血情况；

19世纪80年代初期，由于通过血液直接传输凝血因子的治疗方法易传播病原体，科学学者及药品生产企业开始重点关注对于献血者的筛选，并对人源凝血因子产品进行病毒灭活及纯化改进。

启动期

1985年，科研人员首次通过基因工程技术实现对FVIII和FIX的成功克隆，解决人源凝血因子药品的疾病传染风险和因血液制品原料不足导致的供给短缺，是重组凝血因子药品规模化生产的开端；

1992年，Genetics研究所和百特医疗联合研发生产的重组VIII因子药品进入海外市场，是全球范围内首个重组凝血因子产品，该药品的制备不以血液为原料，有效规避了血源污染和疾病的传播风险；

1997年，辉瑞公司旗下的重组FIX产品在海外上市，这也是全球首个使用重组技术实现大规模商业化的FIX因子产品，成为此阶段获得性血友病患者治疗可用的唯一药品。

高速发展期

2002年，地塞米松磷酸钠注射液获批进口；

2015年，辉瑞制药生产的重组人凝血因子IX在国内获批上市；

2019年，国家药监局发布《重组人凝血因子VIII临床试验技术指导原则》，鼓励企业对于重组FVIII进行研发并加快上市进程，为本土重组凝血因子产品大规模供给起到重要推动作用，同年，上海交通大学医学院瑞金医院的研究人员经实验证实，单独使用糖皮质激素对AHA患者进行免疫抑制的疗效显著，中国临床治疗由此开始大规模使用糖皮质激素对出血症状较轻的获得性血友病患者进行治疗。

成熟期

2020年，泰邦生物生产的人凝血因子上市，是中国首批上市的人凝血因子产品之一，后被纳入2021年国家医保药品目录，同年中华血液学杂志发布2020版血友病治疗中国指南；

2021年，神州细胞创新研发生产的“安佳因”获批上市，是在中国市场面世的首个国产重组人凝血因子VIII；

2022年3月，正大天晴在研新药注射用重组人凝血因子VIIa进入临床三期，进度快于同期在研的厂商诺和诺德；

2023年，国产品牌晟斯生物原研的超长效重组FVIII产品获FDA批准进入海外市场，海外患者治疗背书将助力其早日惠及本土用药市场。

来源：Bioengineered, 天山医学院, 头豹研究院

中国获得性血友病药物治疗行业政策概览

政策从血液制品生产原料供给、药品上市审评和居民及儿童医疗需求等维度全面推动获得性血友病用药市场发展，保障患者用药需求的充分满足和诊疗质量的稳步提升

中国获得性血友病药物治疗行业相关政策内容与解读

政策名称	日期	主体	内容分析
《关于推进儿童医疗卫生服务高质量发展的意见》	2023	国家医政司	首先，定点医院和诊疗协作组的完善将优化医疗资源配置，提升诊疗效率，使患者更便捷地获得专业治疗和用药服务。其次，加强病种诊疗指南和临床路径的制定以及病例登记管理和质控评价，有助于规范化救治服务，提高治疗效果和用药安全性，进一步保障患者的健康。加强儿童重大疾病救治设施建设和医疗设备配置，将为获得性血友病患者提供更全面、更优质的医疗服务，为用药行业的发展创造更加有利的环境。
《“十四五”国民健康规划》	2022	国务院办公厅	该规划旨在提升血液供应保障能力，通过完善采供血网络布局和巩固血液核酸检测全覆盖成果，确保患者获得稳定的血液供应，为获得性血友病患者提供了更可靠的治疗保障。建立血液应急保障指挥平台、健全常态化血液库存监测制度和血液联动保障机制，有效应对突发事件和供应短缺情况的能力提升。这些举措将促进获得性血友病用药行业的稳定发展，保障患者获得质量可靠的治疗药物，提高患者生活质量和治疗效果。
《单采血浆站实验室质量管理规范（2022年版）》	2022	国家医政医管局	该规范要求实验室人员加强培训考核，提高专业素养和技术水平，从而保障血液制品的生产质量。要求质量管理流程文件覆盖血液检测全过程，确保每个环节符合规范，提升血液产品的安全性和有效性。同时，规范要求实验室用房满足血液检测工作需求，保障检测环境的稳定性和准确性。此外，规范要求采血所用试剂和耗材使用前进行性能检验，确保产品质量和安全性。通过规范实验室管理和血液检测流程，可有效减少用药过程中的风险，提升治疗效果，为获得性血友病患者提供更好的医疗保障。
《关于优化药品注册审评审批有关事宜的公告》	2018	国家卫健委	针对严重危及生命的罕见病药品，此政策放宽了进口药品注册要求，允许直接提交境外取得的临床试验数据进行注册申请，无需重复进行临床试验。这将大大加速罕见病药品的注册审批流程，为获得性血友病等罕见病的治疗药物提供了更快速的上市路径。同时，对已提出减免临床试验的进口药品，可直接批准进口，加快了药品的进口和供应速度。这些措施将极大地促进获得性血友病用药行业的发展，为患者提供更快捷、更有效的治疗选择，改善患者生活质量，促进了罕见病用药市场的健康发展。

来源：国家医政司，国家卫健委，国务院办公厅，国家医政医管局，头豹研究院

Chapter 2

中国获得性血友病药物治疗行业产业链

- 产业链全局概览
- 上游—生产工艺优化与采购价格
- 中游—原料药供给与儿童用药覆盖
- 下游—患病人群与医疗资源分配

中国获得性血友病药物治疗行业产业链全局概览

行业上游环节为血液制品生产原料及化学药品原料药，中游为药品研发生产环节，下游为销售渠道及使用场景

中国获得性血友病药物治疗行业产业链全局概览

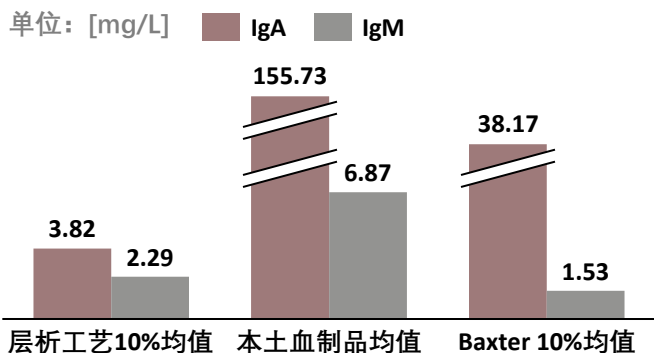
<p>上游环节</p> <p>血源及化学药品原料药</p>	<ul style="list-style-type: none"> 当前静丙制备工艺回收率待优化，厂商应改进工艺以提高血浆综合利用率。中国静丙制备工艺在回收率和杂质控制方面存在诸多挑战，中国企业借鉴海外经验并结合本土制备条件，通过引入层析工艺和增加病毒灭活和透析过滤环节，对制备流程实现成功优化。 抗炎药原料价格在用药需求影响下不断上涨，挤占中游制药环节利润空间。地塞米松磷酸钠受到临床用药需求影响，其原料药价格在集中采购后急剧上涨，由12,500元/kg上涨至45,000元/kg，为中游制药企业带来生存压力。 	
<p>中游环节</p> <p>药品研发生产环节</p>	<ul style="list-style-type: none"> 药监部门重点关注患者凝血治疗需求，血制品首次纳入集采获政策针对性调整，降价压力减轻促使生产厂商长期供给韧性增强。血液制品于2022年进入集采范畴，药监局针对其生产供给的特殊性进行采购规则调整，降低竞标门槛为生产企业留足利润空间，保障血液制品的长期供给稳定。 环磷酰胺治疗需求广泛，新剂型注重儿童用药安全性，上市后拓展市场空间。截至2022年底，环磷酰胺市场仅有片剂与注射剂两种剂型上市，2023年1月，恒瑞医药推出的环磷酰胺胶囊剂型可降低对儿童肝脏和神经中枢的损伤，药品在此细分领域的市场份额得以增长。 	
<p>下游环节</p> <p>销售渠道及使用场景</p>	<ul style="list-style-type: none"> 根据AHA诊疗指南数据，约半数AHA患者在确诊前存在基础疾病或部分药物禁忌症，高发群体覆盖围产期女性与老龄人口。 为提高诊疗质量，国家医政司提出建立区域医疗中心和医学中心标准，全面覆盖血液科室。意在特别关注血液系统免疫疾病患者的医疗需求，以提供更精准的诊疗服务。 	

来源：安必奇生物，中国科学院成都生物研究所，真迈生物，赛默飞，盖德化工，头豹研究院

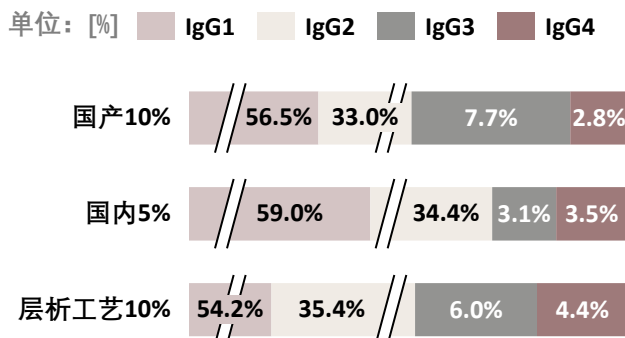
产业链上游——生产工艺优化与采购价格

当前静丙制备工艺回收率待优化，厂商应改进工艺以提高血浆综合利用率；抗炎药原料价格在用药需求影响下不断上涨，挤占中游制药环节利润空间

静丙不同制备工艺下产生杂质对比



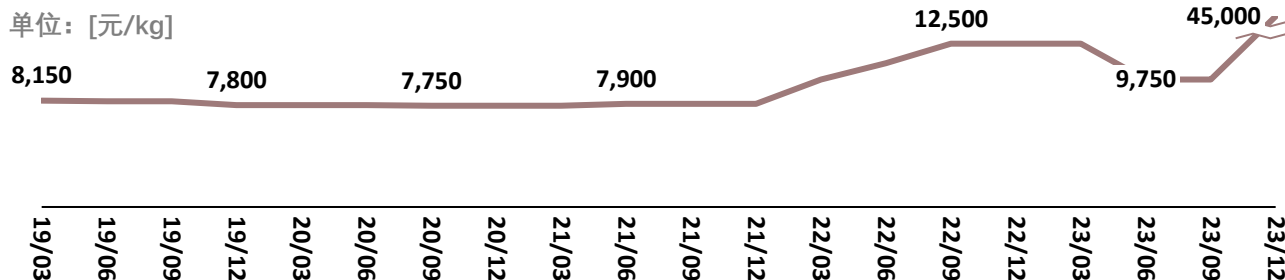
不同静丙工艺IgG亚类组成



■ 当前静丙制备回收率存在优化空间，生产厂商进行工艺改进以突破瓶颈，血浆综合利用率有望进一步提升

目前本土静丙的工业制备多采用“低温乙醇法”，每千克血浆经此方法可产生155.73克IgA杂质，静丙综合回收率不足50%，在中国血浆资源紧缺的情形下，静丙生产效能瓶颈成为急需优化的重点问题。海外血制品供应企业长期以来在静丙规模化生产中采用“全层析法”，此方法包含分离纯化流程，因此可有效减少杂质产生，优化静丙收率。以Baxter公司为例，其通过层析工艺制得10%浓度的IgG，同时可将产出杂质含量降至38.17克。国药集团借鉴海外厂商通用的层析工艺，在此基础上增加多个病毒灭活和透析过滤环节形成本土首创，经此工艺优化，静丙制备流程产出IgA杂质仅3.82克，IgG蛋白回收率均值升至60.86%。中国静丙制备工艺优化带动血液及血浆资源利用率提升，为本土血液制品市场充足供应提供基础。

地塞米松磷酸钠原料药采购价格，2019-2023



■ 抗炎药品原料药受用药需求影响，近期价格涨幅较大，中游制药环节利润空间受到挤占

地塞米松磷酸钠作为大规模应用于临床的激素药物类型，可在免疫系统疾病中发挥广谱抗炎作用，因此其原料药价格受药品供需关系影响较大。2023年11月，上海阳光采购网公布第九批药品集中采购中选结果，地塞米松磷酸钠注射液首次进入集采药品目录，面对临床急救与诊疗场景的高度用药需求，其首年约定采购金额超20亿元。润弘制药、西南药业、倍特药业等多家生产企业成功中选，其中润弘制药中标价格较集采前挂网价格下调约83.2%。药品大幅降价带动患者购药能力提升，加之约定采购额共同带来的药品需求上涨，地塞米松磷酸钠原料药在此影响下价格出现明显上浮趋势，由2023年初的12,500元/kg速增至集采结果公示后的45,000元/kg，采购成本加压成为中游制药企业利润空间压缩的主要诱因。

来源：国际生物制品学杂志，中国输血杂志，Wind，头豹研究院

产业链中游——原料药供给与儿童用药覆盖

药监部门重点关注凝血治疗需求，血制品首次纳入集采获政策针对性调整，降价压力减轻促使生产厂商长期供给韧性增强。环磷酰胺治疗需求广泛，新剂型注重儿童用药安全性，上市后拓展市场空间

凝血因子集采中标情况

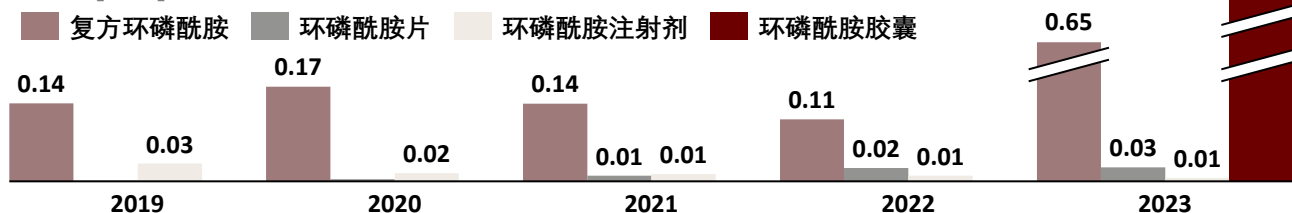
中标药品	中标剂型	中标企业
静丙	大容量注射液、小容量注射液	卫光生物、莱士血液、丹霞生物、同路生物等
人免疫球蛋白	注射剂、冻干粉针剂	微光生物、同路生物、华兰生物、卫伦生物等
凝血因子Ⅷ	冻干粉针剂	双林生物、华兰生物、康宝生物、泰邦生物等
人纤维蛋白原	冻干粉针剂	博雅生物、华兰生物、绿十字、远大蜀阳等
人血白蛋白	大容量注射剂	Baxter、丹霞生物、双林生物、卫伦生物等

- 患者凝血治疗需求引起药品监管部门高度重视，血液制品首次纳入集采范畴，政策调整导致药品降价幅度较为温和，引导中游企业可持续性供给

长期以来，由于血液资源难以充分获取，血液制品难以仿照化学药品和生物制剂的模式，通过“以价换量”策略进入集采。面对诊疗端急救与治疗场景的供血需求缺口，国家药监局于2022年将静注人免疫球蛋白、人血白蛋白、人凝血因子Ⅷ等5个品种纳入集采范畴，并对采购规则进行调整，参与竞标企业只需将报价定为集采前市场最低价或最高有效申报价，其首年预采购量即可达100%，无需通过竞价获得中标资格。此举一方面可通过集采制度调整，满足血液制品的院端供给，另外，温和降价也为中游企业留足生存空间，保障血液制品的长期稳定供给。

不同剂型环磷酰胺销量，2019-2023

单位：[亿元]



- 环磷酰胺可广泛用于血液系统免疫疾病的治疗，已上市剂型选择范围较窄，生产企业从儿童用药安全性角度进行新剂型仿制，获批上市后打开市场增量空间

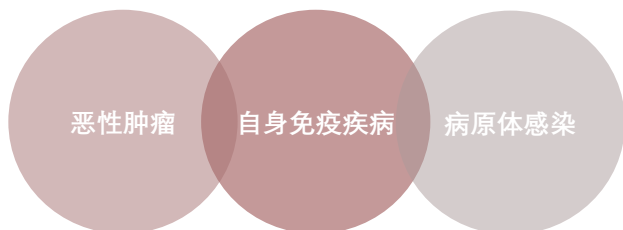
截至2022年末，环磷酰胺仅片剂与注射剂2种剂型获批上市，根据环磷酰胺药代动力学信息，其片剂服用后需经肝肾进行代谢，而低龄患者肾功能发育不完善，对药物的代谢及解毒功能较差，另外儿童血-脑脊液屏障难以完全阻止药物进入中枢神经系统，诱发脑部神经功能障碍风险较高，因此环磷酰胺长期以来未能完全覆盖儿童用药市场。2023年1月，恒瑞医药生产的环磷酰胺胶囊作为首仿药品获批上市，胶囊剂型可将药品有效成分送至胃部进行吸收，降低对儿童肝脏和神经中枢的损伤。2019至2020年，用药需求带动环磷酰胺片剂及注射剂型总销量由0.18亿元涨至0.19亿元，2021年环磷酰胺胶囊被国家药监局纳入优先审评药品名录，上市进程加速导致已有药品总销量连年下滑，2023年片剂与注射剂型药品总销量首次降至不足0.1亿元，同年胶囊剂型面世，其在公立医院的销量约为2亿元，恒瑞医药也由此实现在环磷酰胺细分领域的市场挤占。

来源：广东省药品交易中心，中国医学科学院医学实验动物研究所，美迪西生物，头豹研究院

产业链下游——患病人群与医疗资源分配

半数患者起病于基础疾病，患病群体主要集中在育龄女性和老龄人口，为解决治疗安全性问题，国家医政司提出建立区域医疗中心和医学中心标准，以保障血液科室全面覆盖，提升诊疗质量

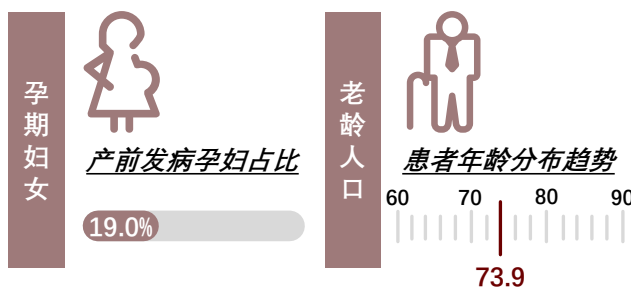
引发获得性血友病的基础疾病



■ 半数AHA患者起病于基础疾病，患病群体集中于特殊人群，发病峰值落入育龄女性和老龄群体

中国AHA患者群体中，约50%患病人群在确诊前存在自身免疫疾病、恶性肿瘤和病原体感染等基础疾病，或存在部分药物禁忌症。由于胎盘不属于母体自有组织，因此其作为潜在靶标易受母体的自身免疫抗体攻击，孕期女性由此成为获得性血友病高发群体。一项针对围产期女性患病情况的EACH2研究表明，约19.0%的受试女性在产前即可检测出自身免疫抗体抑制物的产生，全部受试者产后确诊AHA的中位时间为89天。另外老龄人口也是AHA高发的重点群体之一，一项基于欧洲血友病登记处数据的研究调查显示，确诊患者年龄中位数为73.9岁，其中11.8%和11.6%的病例与恶性肿瘤或自身免疫性疾病相关。

疾病高发人群流行病学数据



区域医疗中心和医学中心设置标准

医疗服务能力
骨髓移植舱、舱外病房住院服务
造血干细胞移植、出凝血疾病等门诊服务
分子生物学实验室、骨髓形态室及病理实验室
教学能力
血液内科具有副高级及以上职称的人员数量≥30人
承担血液学科继续医学教育任务
科研能力
开展国际多中心新药临床试验项目≥10项
建设有生物样本库数据信息化管理系统

■ 针对血液系统疾病病因的复杂性和诊疗的安全性问题，国家医政司提出区域医疗中心和医学中心的建立标准，引导临床优质医疗资源充分覆盖血液病科室，诊疗体系升级保障获得性血友病患者就医质量

由于血液系统贯穿全身多脏器组织且与内循环密切相关，因此血液疾病成因及临床确诊常存在误诊几率，同时多种血液疾病的治疗涉及血液传输，因此存在一定的病原体感染风险。为保障血液疾病诊疗的精准性和安全性，2023年国家医政司提出各省市应建立区域医疗中心和医学中心，并从多维度对诊疗科室和机构提出具体标准，要求医疗与医学中心全面覆盖血液内科、外科、妇产科、儿科等血液疾病集中就诊的重要科室，其科研平台需由国家认证背书且科研工作者需拥有在国家级学术机构从事科研工作的丰富经验。通过以上多方面的医疗资源优化，中国有望加速建成更为完善的血液疾病诊疗体系，使获得性血友病等血液系统免疫疾病患者就医质量得到充足保障。

来源：中国血液学杂志，Obstetrics and Gynaecology，中国医政司，丁香园，Journal of Thrombosis and Haemostasis，头豹研究院

Chapter 3

中国获得性血友病药物治疗行业 市场规模

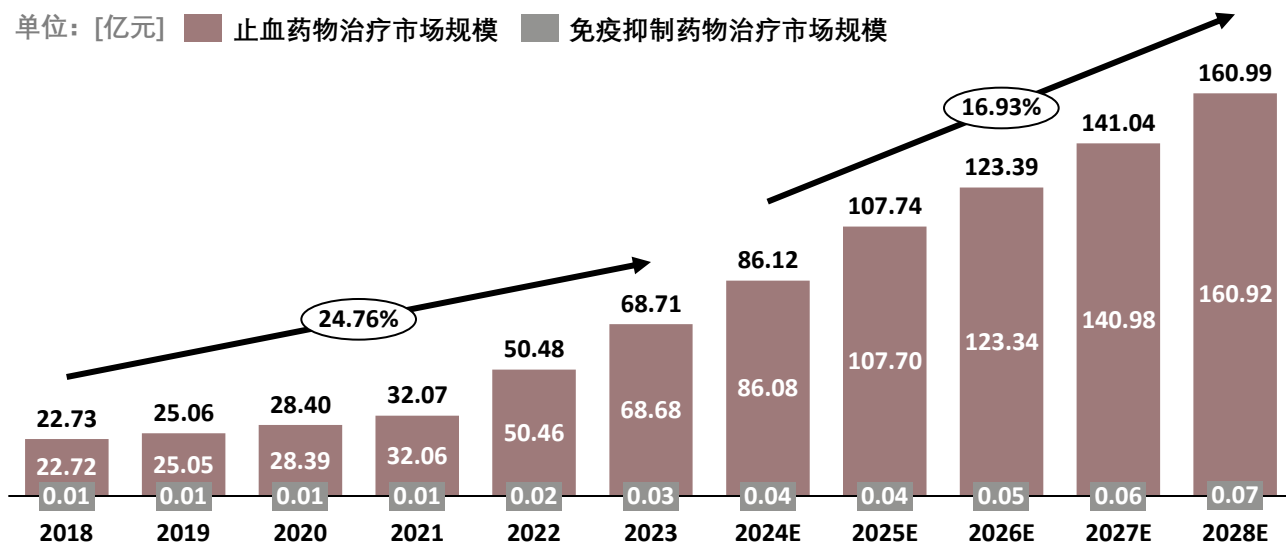
- 市场规模走势
- 历史驱动因素—医保政策与早诊早治方案
- 预测驱动因素—产品优化与疾病综合管理

中国获得性血友病药物治疗行业市场规模测算

近七成患者有长期止血治疗需求，带动血液制品市场规模大幅上涨，有免疫抑制治疗需求的患者群体较小，同时糖皮质激素等对症药物可及性较高，细分市场增速平稳

中国获得性血友病药物治疗行业市场规模，2018-2028E

单位：[亿元] ■ 止血药物治疗市场规模 ■ 免疫抑制药物治疗市场规模

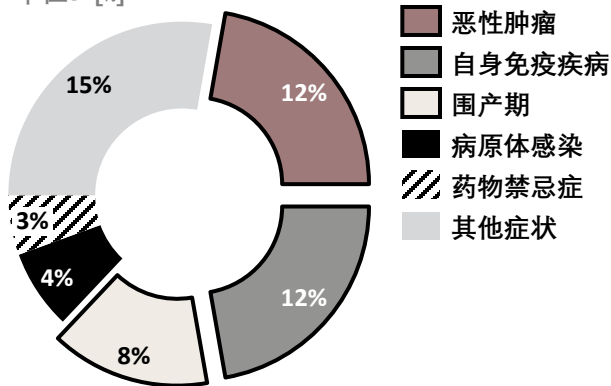


■ 血液资源供给不足导致凝血因子产品价格居高不下，止血治疗药物成为市场规模增速的主要推手

获得性血友病根据临床出血症状严重程度，对应进行止血治疗或免疫抑制治疗，其中止血治疗主要涉及凝血因子产品，而免疫抑制治疗药物则多选用糖皮质激素，当前糖皮质激素已上市药品类型充足，患者购药负担相对较轻，因此测算期间市场规模增速平稳。获得性血友病免疫抑制药物治疗市场规模由2018年的0.01亿元稳步增至2023年的0.03亿元，预测期市场规模将进一步增至2028年的0.07亿元。而对于出血症状严重患者，中国已有自研凝血因子产品面世，加之近年国家集采政策基本覆盖临床常用血液制品，患者治疗负担得到显著减轻，治疗依从性由此提升，测算期间市场规模涨幅显著。止血治疗药物市场规模在2018至2023年间由22.73亿元以24.8%的平均增速扩张至68.71亿元，规模预测期间预计将由2024年的86.12亿元继续增至2028年的160.99亿元，期间年均增速达16.9%。

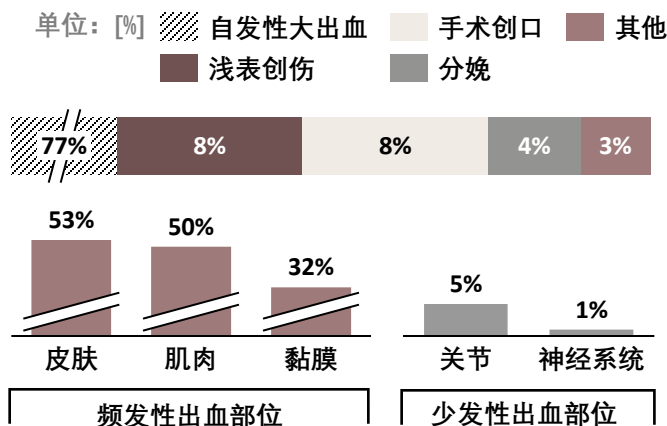
引发获得性血友病的疾病及生理状态类别

单位：[%]



患者出血症状产生场景及出血部位分布

单位：[%]



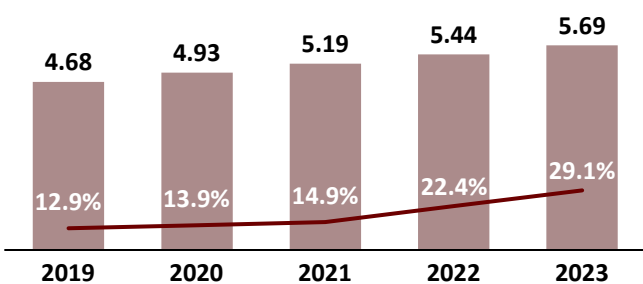
来源：中华血液学杂志，Haemophilia, Wiley, 中华血液学杂志，Blood, 头豹研究院

市场规模历史驱动因素—医保政策与早诊早治方案

存在严重出血症状的患者群体显著扩张，血液制品供给不足成为用药充分覆盖阻碍，医保政策发力为患者购药减负。早期综合诊断方案利于患者早诊早治，药物治疗空间扩大推动行业规模再涨

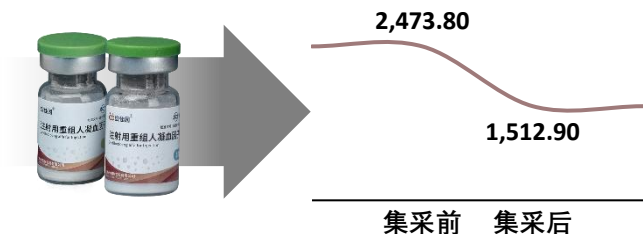
中国获得性血友病患者人数及用药渗透率，2019-2023

单位：[万人，%] ■ 患病人数 — 用药渗透率



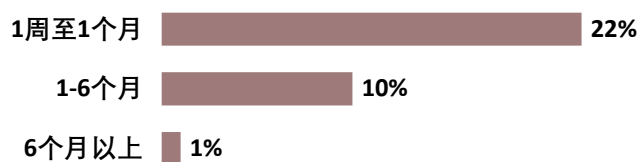
安佳因集采降价，2023

单位：[元]

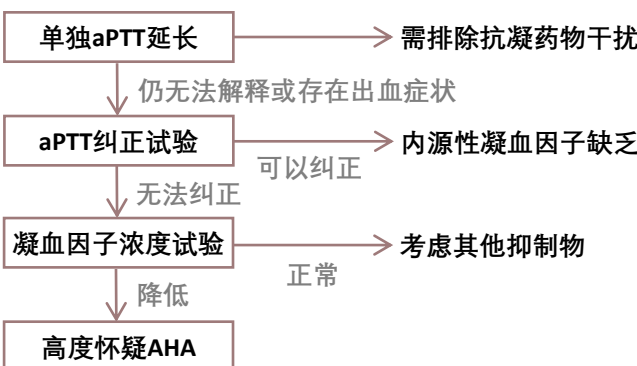


全球获得性血友病患者诊断延误时间

单位：[%]



中国院端获得性血友病诊疗路径



来源：中华血液学杂志，Haemophilia，Wiley，头豹研究院

■ 获得性血友病患者人群基数呈现上升趋势，而止血治疗用药价格较高导致用药渗透率不足，医保报销比例提升将为患者减轻治疗负担

2019年获得性血友病患者人数为4.68万人，而后以5.18%的年复合增速逐渐上升至2023年的5.69万人，规模预测期间预计将进一步平稳增至2028年的6.96万人。用药价格来看，人凝血因子是获得性血友病患者进行临床止血治疗的一线用药类型之一，以神州细胞生产的“安佳因”为例，其1000IU品规的注射剂型集采价格为1,512.92元/支，根据诊疗指南及药品说明书规定用量，存在中重度出血症状的患者需以每周1-2次的频次进行凝血因子输入，结合单次给药量进行计算，需进行止血治疗的患者年购药费用约在31.9至63.7万元。高额购药费用成为患者抗拒治疗或中途放弃治疗的关键影响因素，面对有药可医但患者可及性不足的卡点问题，多地医保部门提升对于血液制品的报销比例，需接受药物治疗的患者群体初见曙光。

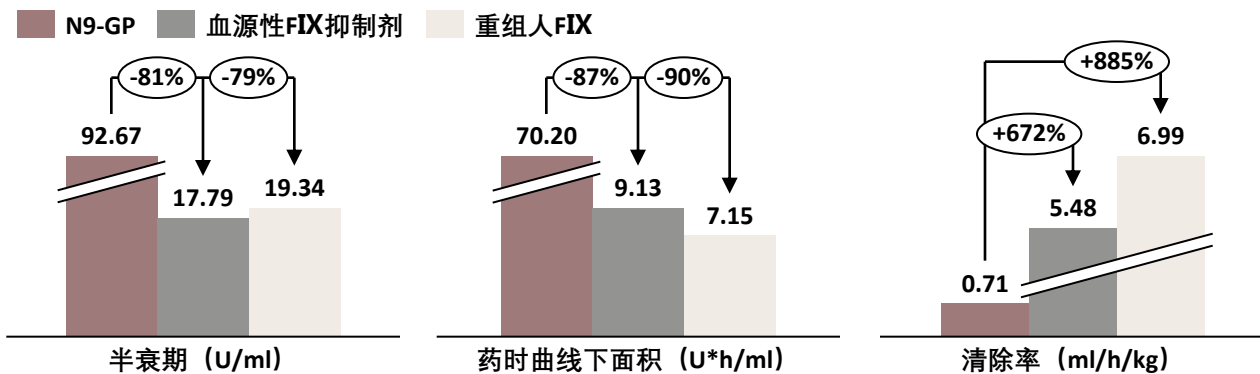
■ 三成病例面临延迟诊断，中国诊疗指南提出早期综合诊断路径，患者药物治疗空白期缩短，推动用药市场规模再涨

基于EACH2数据，全球获得性血友病患者在首次出血症状发生后的一天和一周内得到确诊的概率分别为37%和26%，但由于多数获得性血友病患者无家族发病史，患者及其家属对疾病的防控意识不足，加之部分患者首次未选择血液科室就诊，因此仍有33%的潜在患者首次确诊的延误时间在一周及以上，其中延误时长超6个月的患者占比为1%。针对延迟确诊导致的药物治疗疗效欠佳，中国血液学杂志发布诊疗指南，提出对于存在不明原因出血的送诊患者应进行凝血五项检查，针对APTT试验结果单独延长患者进一步采取混合血浆纠正，对于凝血功能无法纠正且凝血因子VIII活性降低的患者，即可初步确诊获得性血友病。节点化诊断路径的完善，有助于凝血功能异常患者尽早明确病因，缩短患者获得对症治疗的等待时间，药物治疗市场获得扩展空间。

市场规模预测驱动因素—产品优化与疾病综合管理

聚乙二醇修饰的长效凝血因子产品在半衰期、血药浓度和用药安全等维度均优于已有凝血因子产品，落地本土市场有望带来加速放量。针对患者诊治的多维度评估报告出炉，为精准治疗方案的发展指明方向

糖基聚乙二醇化长效凝血因子与已有凝血因子产品临床对比试验结果



■ 与市场中已有凝血因子产品相比，聚乙二醇修饰重组FIX产品多维度疗效更优，以此带动院端处方覆盖度和患者用药依从性提升

获得性血友病因患者无家族出血病史而区别于血友病病例，但致病因素均为凝血功能异常导致的无法解释性出血，一线止血治疗药物也均以凝血因子产品输入为主，因此血友病治疗领域的研发进展有望对获得性血友病市场产生影响。面对经人凝血因子药物治疗后，患者体内凝血因子活性仍低的情况，中国医学科学院血液病医院专家针对新型药品——糖基聚乙二醇化长效凝血因子（N9-GP）开展多期临床试验，I期开放标签的试验结果表明，N9-GP在市场中已有的重组FIX和血源性FIX产品基础上，半衰期延长约4.8倍，血药浓度分别提升10.1倍和7.7倍，另外针对术中出血场景的III期单盲试验结果显示，N9-GP用药的受试者均未出现明显不良反应。临床试验从半衰期、药代动力学和不良反应率等多维度展现出N9-GP作用持久且安全性佳的良好疗效，患者凝血功能恢复同等活性所需注射给药频次降低，患者依从性有望提升。当前N9-GP仍处于临床试验验证阶段，暂未落地中国市场，未来期间如获批，将成为家族性和获得性血友病患者药物治疗市场的放量重点。

■ 中国多机构首次联合发布血友病诊治报告，对血友病综合管理阶段性成果进行多维度评估，为本土获得性血友病精准治疗药物研发指明方向

2023年9月，中国医学科学院血液病医院教授杨仁池与上海交通大学医学院附属瑞金医院教授王学锋牵头，中国医学科学院北京协和医院、首都医科大学附属北京儿童医院等机构联合发布首个《中国血友病诊治报告》，报告主要从患病现状、诊疗资源和防治方案等方面对中国血友病综合管理的阶段性进展进行回顾。患病现状方面，经流行病学调查，中国家族遗传性血友病及获得性血友病的患病率与国际数据报道体量一致，尚未发现需重点关注的特殊突变位点；诊疗资源方面，已获批血友病综合管理中心和诊疗中心的机构均可独立开展血友病早筛和确诊试验，截至2023年6月，中国261家血友病诊疗与管理中心实现与病例登记系统的数据共享，覆盖患者超4万例；防治方案方面，中国已由21世纪初期的不充分按需治疗和小剂量预防治疗逐步转向高疗效高剂量的综合防治，同时随着居民用于医疗服务的可支配收入提升和对于罕见病科学认知的深入，中国血友病药物治疗逐步转向个体化精细管理。此报告的发布通过展现中国在不同病因血友病治疗方面的多维度进展，增强诊疗机构与患者的治疗信心，同时为科研机构 and 制药企业指明药品研发的发展方向，长期来看，获得性血友病诊疗实现精准化发展将进一步激发用药市场深度增量。

来源：中华血液学杂志，Blood，诊断学理论与实践，头豹研究院

Chapter 4

中国获得性血友病药物治疗行业 竞争格局

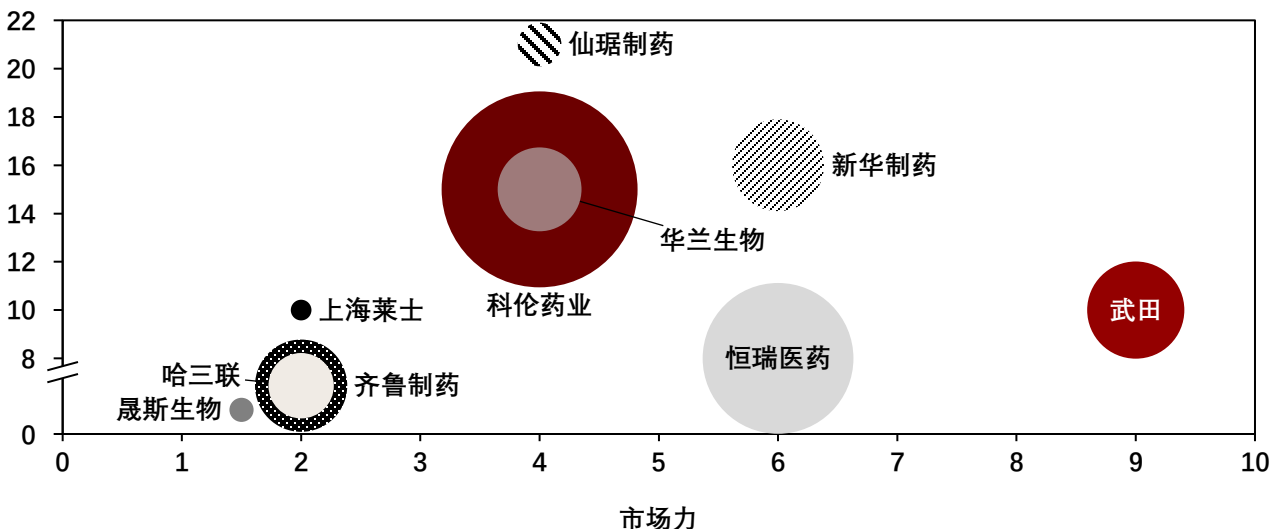
- 竞争格局总览
- 当前制约因素—血浆供给与治疗负担缓解
- 长期制约因素—海外新药与本土创新研发

中国获得性血友病药物治疗行业竞争格局总览

从已上市治疗药物数量、自主研发专利取得和企业产品市场力3个维度对行业内玩家竞争格局进行量化分析，血液制品已基本摆脱进口依赖，广谱抗免疫反应药物实现用药场景基本覆盖

中国获得性血友病药物治疗行业竞争格局气泡图

已上市治疗药物数量 *气泡大小为各企业自主研发专利数量

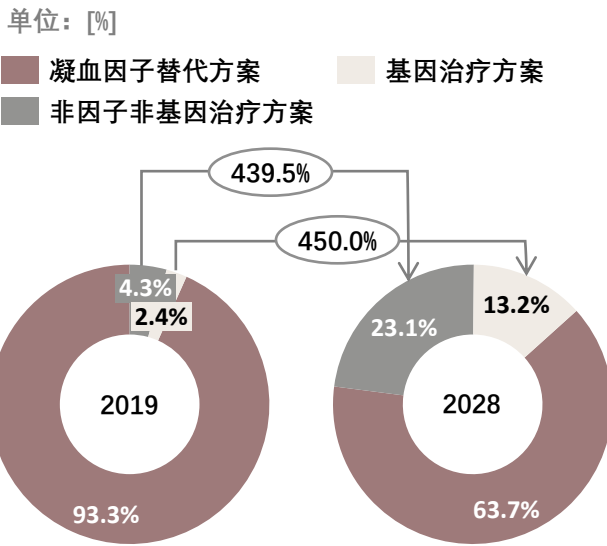


■ 止血治疗药品方面，本土自研与创新药品带动中国制药的市场竞争实力逐步提升，血液制品的供给长期依赖海外品牌的局面得到扭转。海外厂商布局中国市场较早且研发创新能力经长期沉淀，因此已形成差异化竞争优势，部分本土厂商通过产业链向上整合，加强原料供给以满足自身生产需求，以血液制品质量与产出双保障赢得市场中第一梯队席位；免疫抑制治疗方面，糖皮质激素凭借广谱抗免疫反应疗效，受多版本诊疗指南推荐用于自身免疫疾病的一线治疗，相关生产厂商由此占据市场主导地位。

获得性血友病药物线上搜索热度排名，2022&2023

2022年		2023年	
药品名称	提及率	药品名称	提及率
凝血因子	51%	凝血因子	3%
维生素K	6%	维生素K	5%
阿司匹林	5%	阿司匹林	4%
糖皮质激素	3%	肝素	3%
肝素	3%	糖皮质激素	3%
胰岛素	2%	胰岛素	3%
维生素C	2%	布洛芬	3%
维生素D	2%	维生素C	2%
免疫球蛋白	1%	艾美赛珠单抗	2%
青霉素	1%	青霉素	2%

全球获得性血友病治疗方案演化，2019-2028

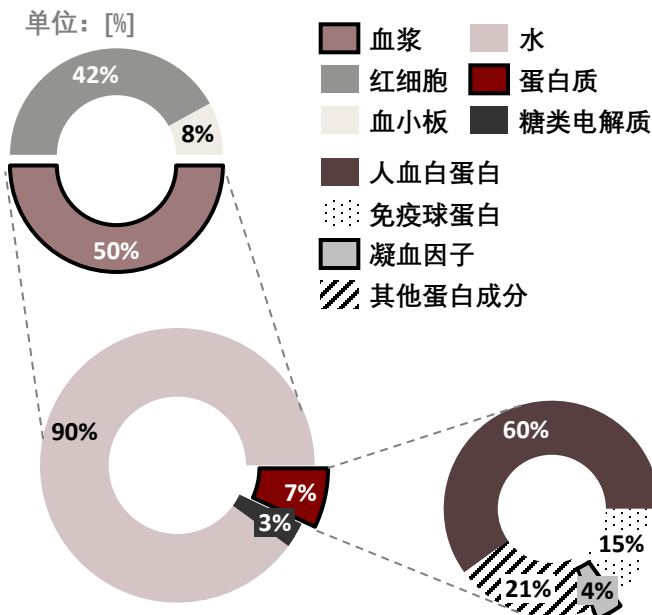


来源: Global Data, 晟斯生物, 中检所, 百度大数据, 头豹研究院

当前竞争格局影响因素—血浆供给与治疗负担缓解

血液制品的生产为血液采集提出较高要求，本土龙头企业加速建立采血浆站以保障源头供给。临床数据证实糖皮质激素单药使用疗效更佳，为院端处方提供背书，生产厂商市场地位稳固

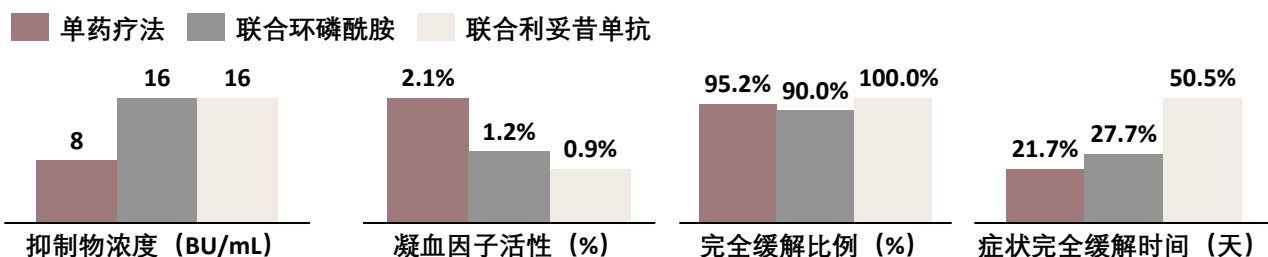
血液中各成分占比



■ 血液制品的生产对血浆站采集能力要求较高，国产品牌凭借血浆原料充足供应占据市场领先地位

在血液的各构成成分中，血浆蛋白占比不足5%，其中免疫球蛋白、凝血因子和凝血酶原复合物等血浆蛋白类型总计占比约为40%，可见血浆蛋白制品的制备对全血采集量需求较大，因此为保障各类血液制品的充足供应，生产厂商需确保下设采浆站具有较强的血浆采集能力。天坛生物和上海莱士较早开始布局内源性血浆原料供给，截至2023年上半年分别建成单采血浆站76家和42家，华兰生物近年重点关注单采血浆许可证的申请和采浆站的筹建工作，同期已建立建成采浆站28家，各采浆站平均产出约为44.0吨/家，已超过超越天坛生物和上海莱士实现供给领先。产品供给情况来看，2023年华兰生物的免疫球蛋白、人凝血因子VIII和人凝血酶原复合物批签发量占比分别为61.6%、28.4%和52.3%，在血液制品供给市场占据首位。

糖皮质激素单药疗法与联合用药临床数据对比



■ 糖皮质激素单药使用较联合用药方案疗效更佳，结合集采中降价带来的成本负担减轻，需求提升助力相关生产厂商稳固市场地位

研究人员就AHA患者接受不同治疗方案的预后进行回顾性分析，免疫抑制效果方面，使用糖皮质激素单药进行治疗的受试组患者，血液中凝血因子抑制物以8BU/ml的浓度显著低于联合环磷酰胺用药方案受试组的16BU/ml，作用时间来看，联合方案受试组患者抑制物达到完全缓解的中位时间为51天，而糖皮质激素单药给药组到达相同试验终点的中位时间仅为40天，同时患者接受免疫抑制治疗后实现完全缓解的比例高达97.4%，可见糖皮质激素在免疫抑制治疗方面较联合用药疗效更为显著。2023年，临床常用药地塞米松磷酸钠注射剂进入国采目录，多厂商参与竞标推动中标价格较集采前挂网价格下滑幅度近90%，以免疫抑制治疗患者治疗周期为6周进行计算，患者使用糖皮质激素进行免疫抑制治疗的单次成本缩水367.92元。疗效背书结合治疗负担的大幅缓解，患者对于糖皮质激素药品的支付意愿与支付能力实现双提升，用药需求上涨带动生产厂商市场地位稳中有升。

来源：Hematology，国家药监局，头豹研究院

长期竞争格局影响因素—海外新药与本土创新研发

武田制药新药突破人源凝血因子疗效瓶颈，已得到海外市场认可，远期如引进中国市场或将引发市场格局重塑。本土企业创新研发长效凝血因子，药品率降低将拉动患者治疗意愿提升

中国获得性血友病诊疗延迟

单位：[%]

患者延迟接受诊疗比例



患者确诊后延迟接受免疫抑制治疗比例



Obizur大规模商业化历程

2005年 | 美国 | A型血友病

武田首次公示临床试验数据

2014年 | 美国 | 获得性A型血友病

Obizur获FDA批准进入美国市场

2015年 | 欧洲 | 获得性A型血友病

Obizur获EMA批准进入欧洲市场

2022年 | 中国 | 获得性A型血友病

武田向国家药监局提交Obizur上市申请

■ 跨国制药企业非人源性凝血因子海外上市，本土治疗需求或将为新药进口助力，市场竞争格局远期面临洗牌

中国市场中一线治疗首选的凝血因子药品由于均来自人类血浆，因此存在被自身抗体灭活的风险，疗效难以得到准确预估，2022年武田公司自研创新药品——重组抗血友病因子Obizur在中国市场的上市申请获国家药监局受理，此新药为重组猪序列凝血VIII因子（rpFVIII）产品，不易受到抗凝血因子自身抗体的灭活影响，因此可替代人凝血因子产品发挥有效止血作用。关于Obizur的多中心前瞻性临床试验数据显示，100%患者服药后出血症状减少或停止，其中94%患者接受将Obizur作为AHA的一线治疗用药。另外作为重组蛋白，Obizur可有效避免因血液传输造成的病原体感染，用药安全性得到保障。临床试验入组患者对于药品疗效的认可以及中国AHA患者对于药品安全性的需求催化药品进口加速，未来Obizur成功进入中国市场后，用药群体的购买意愿将成为市场竞争格局重塑的关键因素。

不同凝血因子产品半衰期对比

单位：[小时]

药品名称	生产公司	半衰期（小时）
Recombinate	百克莎塔	14.6
Kogenate	拜耳	12.0
ReFacto	辉瑞	14.8
Advate	百特	13.0
Zonovate	诺和诺德	11.5
Obizur	武田	10.0
Eloctate	赛诺菲	19.0
Adynovate	百特	19.6
Kovaitry	拜耳	14.0
Jivia	拜耳	19.0
安佳因	神州细胞	11.5
SS109	晟斯生物	21.0

■ 晟斯生物的长效凝血因子通过降低用药频次提升患者治疗依从性，产品上市后可填补国产药品空白，生产厂商市场竞争力由此提升

内源性凝血因子VIII半衰期在8至12小时，频繁静脉穿刺为患者带来较大痛苦，因此导致患者积极配合药物治疗的意愿不足。面对此现状，晟斯生物近年着手进行长效凝血因子VIII、和超长效凝血因子的临床研发试验。实验结果显示，其长效重组因子VIII半衰期长达20-22小时，可满足1周2次预防治疗，公司预计12岁以上儿童及成年患者群体和12岁以下低龄群体用药有望分别于2024年和2026年获批上市。根据以上临床试验数据和上市计划，晟斯生物有望填补本土长效凝血因子市场暂无国产品牌的用药空白，原研新药未来有望凭借疗效优势实现出海，国产品牌在中国市场的竞争力和在全球市场的影响力由此得到共同提升。

来源：健康界，武田，晟斯生物，医药魔方，MedSCI，头豹研究院

Chapter 5

中国获得性血友病药物治疗行业代表 企业介绍

- 华兰生物
- 科伦药业

代表企业介绍—华兰生物 (1/2)

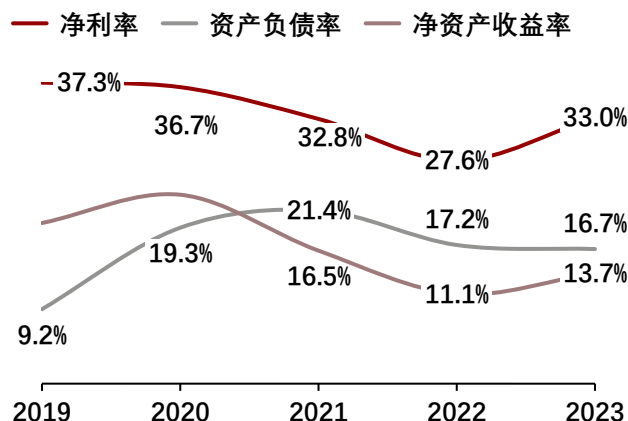
华兰生物主营业务广泛覆盖血液制品、疫苗制品、创新药和生物类似药等前沿用药领域，细分领域内面世产品类型丰富，公司以此主导中国生物制剂和血液制品市场

企业基本信息

- 企业名称 华兰生物工程股份有限公司
- 成立时间 2005年
- 企业总部 中国河南
- 主营业务 华兰生物是一家从事血液制品、疫苗、基因工程产品研发、生产和销售的国家高新技术企业。公司业务包括血液制品、疫苗制品、创新药和生物类似药研发、生产三类业务，其中血液制品有人血白蛋白、静注人免疫球蛋白、人免疫球蛋白、人凝血酶原复合物、人凝血因子VIII、人纤维蛋白原、狂犬病人免疫球蛋白、乙型肝炎人免疫球蛋白、破伤风人免疫球蛋白等11个品种，是中国血液制品行业中血浆综合利用率较高、品种较多、规格较全的企业之一。

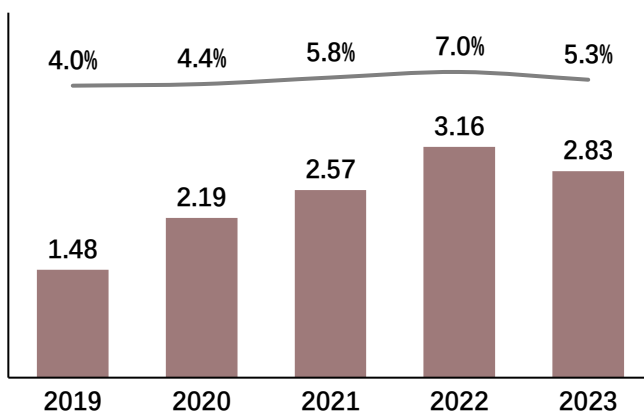
华兰生物财务指标走势，2019-2023E

单位：[%]



华兰生物研发投入及营收占比，2019-2023E

单位：[亿元，%]



- 中国血液从2001年起不再批准新的血液制品生产企业，政府对血液制品生产企业实行总量控制，对血液制品行业严格监管，中国血液制品行业长期处于供不应求的状态，2022年中国年采浆量仅占全球采浆量约16%，产品种类最多的企业仅14种，对比欧美成熟市场，中国血液制品行业具备成长潜力。
- 血制品行业具备高度管制的行业准入壁垒、原料血浆稀缺且不可替代、国家强监管、血制品长期供不应求、行业集中度不断提高等特点。近年来中国血液制品企业通过兼并收购等方式，使我国血液制品行业集中度不断提升，目前已形成天坛生物、上海莱士、华兰生物、泰邦生物、派林生物为行业第一梯队千吨级大型血液制品企业的竞争格局。华兰生物2017年至2021年浆站新获批数量较少，2022年新增7家浆站获批进入筹建状态，2022年华兰生物平均单体浆站产出略超44.0吨/家，高于天坛生物和上海莱士。

来源：华兰生物，头豹研究院

代表企业介绍—华兰生物（2/2）

华兰生物采血浆站的建立建成启动较晚，单血浆站采浆量与天坛生物和上海莱士存在较大差距，近年公司重点加强采血浆站建立和血浆质量安全管控，保障血液制品生产供给并由此跻身市场前三

血液制品龙头企业下设采浆站数量与采浆量对比，2019-2023H1

		已建成采浆站（家）	在筹建采浆站（家）	采浆量（吨）
2019	天坛生物	52	6	1,706
	上海莱士	41		1,230
	华兰生物	5		
2020	天坛生物	55		1,714
	上海莱士	41		1,200
	华兰生物	25		1,000
2021	天坛生物	58	24	1,809
	上海莱士	41		1,280
	华兰生物	25		1,000
2022	天坛生物	60	32	2,035
	上海莱士	41	1	1,400
	华兰生物	25	7	1,100
2023H1	天坛生物	76	26	2,415
	上海莱士	42	1	1,400
	华兰生物	28	4	1,342

- 中国血制品行业监管政策严格，且准入难度大。中国的血浆采集政策相比于美国、欧洲更加严格，血浆采集间隔期更长，单次采集量也较少，血浆不易获得。近年来，大型血液制品公司通过兼并、收购的方式，使中国血液制品行业集中度得到大幅提升，目前已形成以天坛生物、泰邦生物、华兰生物和上海莱士等大型血液制品公司为行业龙头的局面。2023年，前四家公司采集血浆均在千吨以上，合计采浆原料血浆超7,100吨，约占中国血浆采集总量的60%。
- 华兰生物2023年血制品板块实现营业收入29.26亿元，同比增长9.22%，全年血制品利润的快速增长得益于采浆量的提升以及肺炎和流感病毒感染患者数量增加带动下，白蛋白和静丙的市场需求提升。华兰生物目前共有单采血浆站32家，其中广西4家、贵州1家、重庆15家、河南12家，2023年采浆量为1,342.32吨，公司未来还将积极推进浆站扩张，2023年11月披露的调研活动信息显示，公司将继续申请新建单采血浆站，旗下重庆公司未来拟在巫山、丰都申请新建单采血浆站。同时，公司将继续通过工艺优化、新产品开发、技术升级、产品结构调整提高血综合利用率，实现血液制品稳定增长。目前公司产品结构合理、产品种类齐全、血浆综合利用率居于行业前列，血液制品的产品结构不断优化，多个产品的市场占有率处于行业前列。

来源：天坛生物，华兰生物，头豹研究院

代表企业介绍—科伦药业（1/2）

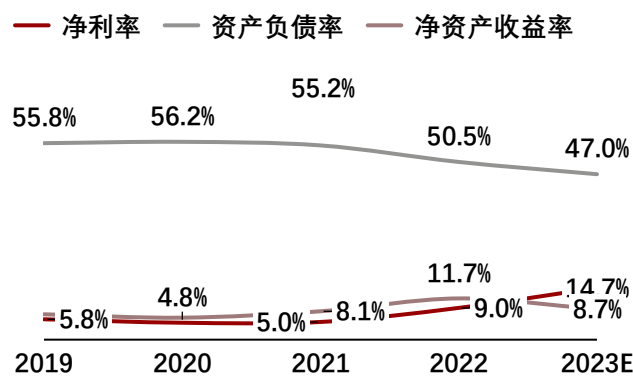
科伦药业产品全面覆盖细菌感染、肿瘤和免疫系统调节等治疗领域，旗下多药品进入“国家重点新产品”和“重大新药创制”项目，以国家集采头部供应商的地位引领获得性血友病治疗药品市场

企业基本信息

- 企业名称 四川科伦药业股份有限公司
- 成立时间 1996年
- 企业总部 中国四川
- 主营业务 科伦药业属医药制造业，秉承“科学求真，伦理求善”的经营理念，坚持“三发驱动，创新增长”的发展战略，多年专注于多技术类别、全功能平台高技术内涵医药产品的研发能力和体系建设，已建成国家级企业技术中心、新型给药系统药物工程研究中心等多个国家和省市创新平台。主要从事大容量注射剂、小容量注射剂、注射用无菌粉针、片剂、胶囊剂、颗粒剂、口服液、腹膜透析液等23种剂型药品及抗生素中间体、原料药、医药包材等产品的研发、生产和销售。

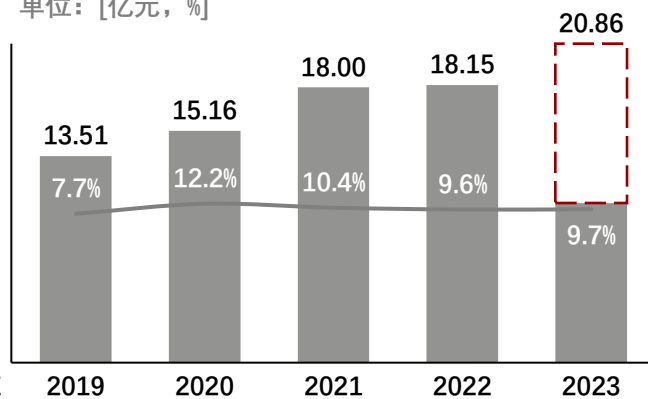
科伦药业财务指标走势，2019-2023E

单位：[%]



科伦药业研发投入及营收占比，2019-2023E

单位：[亿元，%]



*2023年财务指标采用2023年半年报数据

*虚线部分数据根据2023年上半年研发投入进行年化

- 科伦药业是国内产业生态体系最为完备的大型医药企业集团之一，横跨医药研发、药品制造和商业流通等领域，业务范围涵盖医药产品的市场化选题、高质量研发、国内外申报注册、规模化精益生产、市场推广和销售等，完整覆盖医药产品全生命周期。
- 在研发创新领域，公司自2013年以来已累计将超过114亿元资金投入研发创新，同时下属12家企业被评定为国家高新技术企业，拥有国家级六大创新平台。公司已累计获得13项“国家重点新产品”称号、先后承担15项“重大新药创制”科技重大项目、1项国家科技支撑计划、1项国家重点研发计划和1项国家科技援外项目。公司在肿瘤、细菌感染、肠外营养、生殖健康、体液平衡等多个疾病领域相继启动了400余项重大药物的研制，2017年至今已实现152项产品的获批，并积极参与集采和国家医保谈判，已成为集采头部供应商。

来源：科伦药业年报，头豹研究院

代表企业介绍—科伦药业 (2/2)

科伦药业通过下属子公司的建立，加速覆盖各生物药领域，同时与默沙东开启合作模式，针对前沿ADC药物开展共同研发，跨国领导企业助力科伦药业商业化加速，同时公司拓展全球市场动能可期

科伦药业创新药物管线

药物类型	靶点	药物名称	适应症	研发阶段
单抗	PD-L1	A167	鼻咽炎	鼻咽癌Ⅲ期注册性研究/鼻咽癌关键Ⅱ期
	EGFR	A140	抗肿瘤	临床Ⅲ期
	LAG3	A289	抗肿瘤	临床Ⅰ期
	FIX/FX Ia	SKB336	抗血栓	临床Ⅰ期
	TSLP	SKB378	中重度哮喘	临床Ⅰ期
双抗	PD-L1/CTLA4	SKB337	抗肿瘤	临床Ⅰ期
ADC	HER2	A166	乳腺癌	临床Ⅱ期
	TROP2	SKB264	三阴性乳腺癌	临床Ⅲ期
	CLDN18.2	SKB315	实体瘤	临床Ⅰ期
	/	A140	实体瘤	临床前
小分子	外周K阿片受体	A277	术后镇痛	临床Ⅱ期
	JAK1/2抑制剂	A233	类风关/重度斑秃	临床Ⅱ期
	RET抑制剂	A400	抗肿瘤	临床Ⅶ期
	STING激动剂	A296	抗肿瘤	临床Ⅰ期

- 2016年科伦药业成立博泰以进军生物药领域，截至2023年3月，科伦共有创新管线在研项目33项，其中小分子药物9项，生物药物24项，另外广泛布局自免、炎症、代谢等疾病领域。公司于2022年与默沙东达成SKB264、SKB315和临床前ADC的产品授权合作，总付款可达118亿美元。根据弗若斯特沙利文，科伦博泰是首家将内部发现及开发的ADC候选药物向外授权给前十大生物制药跨国公司的中国公司。
- 2020年，首款Trop-2靶点ADC药物戈沙妥珠单抗获FDA批准上市，截至2022年10月，仍未有第二款该靶点药物上市。目前，处于临床研究的该靶点ADC药物共计11款，2款临床Ⅲ期，9款临床Ⅰ期，临床前研究药物9款。SKB264的细胞毒素药物为拓扑异构酶抑制剂贝洛替康衍生物，当前推进最快的适应症为三阴性乳腺癌和非小细胞肺癌。SKB264非小细胞肺癌适应症目前处于临床Ⅱ期，进度低于Dato-DXd，近期获得EGFR 突变非小细胞肺癌的突破性疗法认定，有望加快该适应证的研发进度。2022年5月，科伦博泰授权默沙东SKB264在大中华区外研究、开发、生产制造和商业化的权益，科伦博泰将收到4,700万美元的先期付款及超过13亿美元里程碑付款，并获得中个位数到低双位数的净销售额提成。在默沙东的全球商业化运作及与肿瘤药王Keytruda的联合用药开发下，将极大拓展其商业化价值。

来源：科伦药业年报，头豹研究院

头豹业务合作

数据库/会员账号

- 官网原创报告畅读
- 百万行业数据权限
- 数据库API接口服务

定制报告

- 多模态搜索引擎
- 行企研究数据库
- 募投可研、尽调、IRPR等研究咨询

定制白皮书

- 细分行业现状梳理
- 行业未来趋势洞察
- 深度研究报告产出

市场地位声明

- 评估及调研确认客户竞争优势
- 助力企业品牌影响力广泛传播

招股书引用

- 覆盖国民经济19+核心产业
- 内容可授权引用至上市文件以及企业年报中

行研训练营

- 依托完整行业研究体系
- 助力学生掌握行业研究能力，丰富简历履历

联系方式

客服电话：400-072-5588

官方网站：www.leadleo.com

合作邮箱：service@leadleo.com

办公地址：深圳市华润置地大厦E座4105室

方法论

- ◆ 头豹研究院布局中国市场，深入研究19大行业，持续跟踪532个垂直行业的市场变化，已沉淀超过100万行业研究价值数据元素，完成超过1万个独立的研究咨询项目。
- ◆ 头豹研究院依托中国活跃的经济环境，研究内容覆盖整个行业发展周期，伴随着行业内企业的创立，发展，扩张，到企业上市及上市后的成熟期，头豹各行业研究员积极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，以专业视野解读行业的沿革。
- ◆ 头豹研究院融合传统与新型的研究方法论，采用自主研发算法，结合行业交叉大数据，通过多元化调研方法，挖掘定量数据背后根因，剖析定性内容背后的逻辑，客观真实地阐述行业现状，前瞻性地预测行业未来发展趋势，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。
- ◆ 头豹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。
- ◆ 头豹研究院秉承匠心研究，砥砺前行的宗旨，以战略发展的视角分析行业，从执行落地的层面阐述观点，为每一位读者提供有深度有价值的研究报告。

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，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。