

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

新兴生物制药公司对研发管线的贡献

2021年全球药物研发管线中，65%的产品为新兴生物制药公司自主研发，7%由新兴生物制药公司与大型制药公司合作研发。总部位于中国的EBP占全球EBP管线的比例升至17%，高于五年前的6%。就国家或地区而言，EBP开发的产品在总管线的占比从日本的22%到欧洲的47%、美国的62%和中国的83%不等，反映了生物医药创新生态系统的不同特点和成熟度。

新兴生物制药公司均不同程度地聚焦于关键治疗领域，重点关注的是肿瘤、传染病和疫苗，神经和免疫次之。新兴生物制药公司是肿瘤新药的主要贡献者之一，超过1500种肿瘤产品处于开发中，占新兴生物制药管线总数的39%。然而相当数量的EBP肿瘤管线仅有一个分子在开发中。

EBP的融资和战略交易

疫情期间，新兴生物制药公司的资金流大幅增加，在2022年初恢复到疫情前的水平，非COVID-19研究的目标也基本达成。过去两年，随着人们对生物制药公司的关注增强，风险投资交易活动和投资流量也在增加。2021年下半年，生物制药领域融资速度开始放缓，因为新的研究资金重心转移到非COVID-19项目上，2022年初融资金额恢复到疫情前的水平。

涉及EBP的交易及其产品一直在发生变化。新兴生物制药公司之间的交易占总交易的62%，高于五年前的49%，这表明许多交易在创新者和服务商之间发生，此类交易不涉及大型公司。

EBP的临床试验活动

过去五年，新兴生物制药公司的试验数量翻了一番，综合成功率高于大型公司。2021年，新兴生物制药公司申办了3300多项临床试验，是2016年的近两倍，新兴生物制药公司申办的试验推动了整体增长，而大型制药公司申办的试验在过去十年中下降了33%。过去两年，在COVID-19试验受试者数量大幅增加的推动下，受试者数量剧增（增加了一倍多），导致新兴生物制药公司申办的临床试验变得更加复杂。

新兴生物制药公司的产品在早期研发阶段和过去十年中的平均成功率高于其他制药公司，而大型公司的产品后期研发阶段成功率更高。

加速EBP创新的“利器”

总的来说，EBP研发和/或商业化药物更有可能获得某种形式的加速审查，而这是快速上市的关键。新兴生物制药公司的平均临床试验时间比其他公司短一年，肿瘤和罕见病领域差距更大。但如果将“空白期”考虑在内，EBP上述优势将消失，因为决策或资金到位延迟会导致后续研究阶段的启动延迟。

自2018年以来，远程、虚拟或去中心化（RVD）试验大幅上升，EBP在RVD试验的占比已经上升到略低于大型公司份额的水平。得益于RVD试验，各公司可在疫情期间与患者和研究者保持接触，如果患者报告结局是研究终点，RVD试验优势更为突出。创新的试验设计（包括灵活的队列、篮式或伞式试验）以及监管的灵活性一直在上升，2021年EBP启动相关试验数量是非EBP的两倍多。

EBP开发/商业化的新活性物质

全球上市NAS中，由EBP研发的产品占56%，这一比例低于其占研发管线的份额，但对全球新药物的贡献依然很大。全球上市的NAS，就地区而言，在美国上市的NAS数量最多，而37%的美国NAS未在欧洲上市，其他地区上市的NAS数量更少。2021年，美国上市的NAS中，由EBP研发的产品占76%，而在欧洲，这一比例不到一半。这是因为在欧洲，即便EBP保留产品在美国的权益，这些产品多数也会授权或出售给大公司。EBP研发的NAS聚焦于孤儿药和新作用机制，2021年美国上市的NAS中超过60%为首创新药，超过一半为孤儿药。

EBP的商业化表现

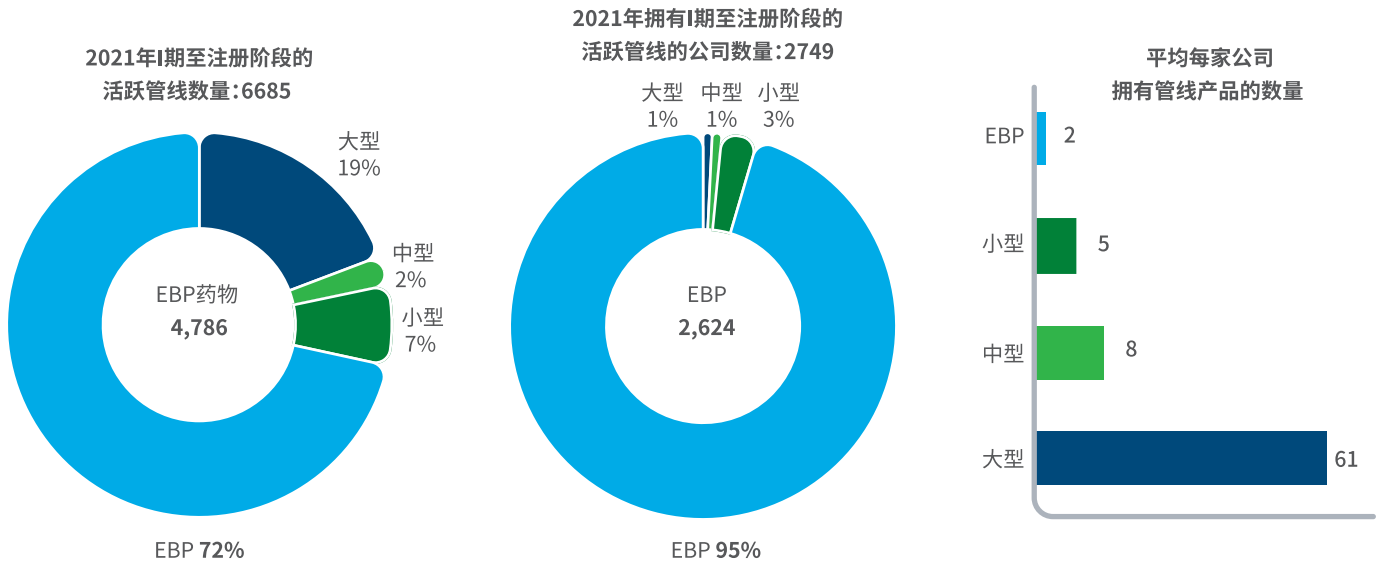
产品商业化表现受到产品临床获益和公司规模的影响，但小公司也不乏成功案例。新兴生物制药公司持续输出创造销售佳绩的新产品，但其中多数要归功于大型公司参与了商业化。与大型公司相比，由EBP自主商业化的新产品销售往往表现不佳。从2016-2020年的五年上市情况来看，上市第二年年底，由大公司商业化的EBP产品的销售额中位数是EBP自主商业化产品的七倍。商业化成功得益于产品满足了患者的差异化需求，最常见的是与标准疗法相比获益有所改善。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

新兴生物制药公司对研发管线的贡献

2600多家新兴生物制药公司占据72%的临床研发管线

图1：2021年按公司类型划分的管线、公司占比以及每家公司在研药物的平均数量



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

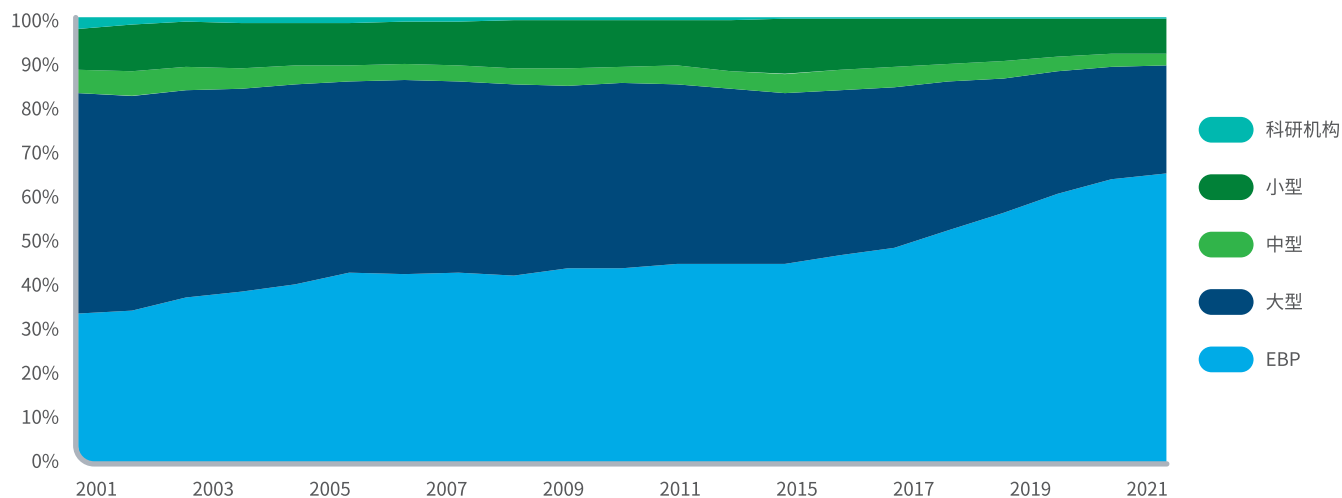
- 新兴生物制药公司拥有超过4500个处于开发中的产品，占目前在研管线总数的72%，65%的产品为EBP自主研发，7%是由EBP与大公司合作研发。
- 2021年底，有2624家新兴生物制药公司参与了新产品的临床开发。
- 大型制药公司目前占据19%的研发管线，但公司数量在所有参与研发公司中的占比不到1%。
- 平均每家公司新兴生物制药公司正在开发2种产品，体现了EBP聚焦少数研究项目，尤其是个别治疗领域。
- 平均每家公司大型制药公司拥有在研产品61种，中型公司平均8种，小型公司平均5种。
- 某些EBP在研产品超过10种，接近中小型公司。
- 大型制药公司进行中的研究项目数量较大，这反映了他们的“广撒网”战略，即从EBP和各种组合疗法中获得有前途的研究项目和技术。

注：阶段由药物所处的最高阶段决定，与适应症无关。参与药物开发的每家公司都是单独计算的，因此涉及多家公司的产品会纳入计算不止一次，并且可能包含在多个分类中。

新兴生物制药公司对研发管线的贡献

新兴生物制药公司开发的产品占研发管线的份额持续走高

图2：2001-2021年按公司类型划分的产品管线构成



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

- 新兴生物制药公司开发的产品占据研发管线的份额不断上升，而大型制药公司的份额却在不断下降。
- 新兴生物制药公司开发的产品占临床管线的65%，高于五年前的48%和十年前的44%，越发凸显其对新疗法开发的重要性。
- 尽管大型制药公司的在研产品数量在过去十年中增长了11%，但其在研发管线中的占比已从40%下降到24%。
- 过去十年，研发管线总数增长了85%，其中89%的增长归因于新兴生物制药公司在研产品数量的增长。
- 由于新兴生物制药公司在开发后期经常与大型公司合作，新兴生物制药公司对管线的贡献可能被低估。
- 尽管科研机构对临床管线的贡献很小，但在研发管线中却发挥着重要作用，尤其是在发现期和临床前阶段。

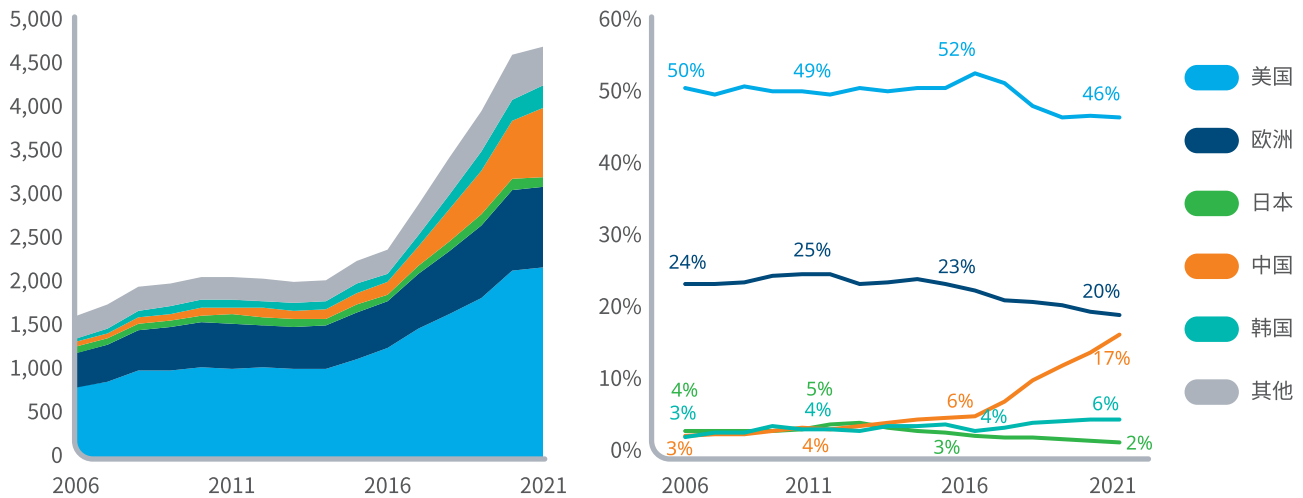
注：阶段由药物所处的最高阶段决定，与适应症无关。当涉及的公司数量 ≥ 2 时，以销售额更大的公司类型决定。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

新兴生物制药公司对研发管线的贡献

新兴生物制药公司开发的产品占研发管线的份额持续走高

图3：2006-2021年EBP在研产品数量和国家所占份额（按公司总部位置划分）



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

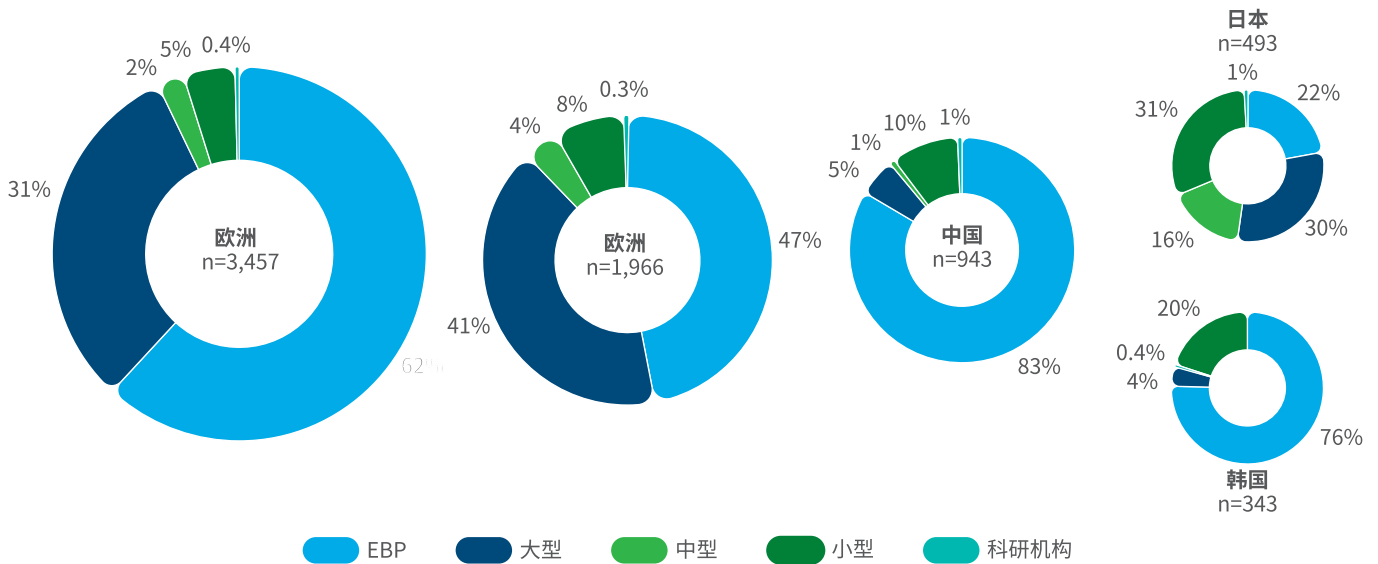
- 尽管2021年增长放缓，但新兴生物制药公司在研产品数量相比2016年翻了一番，90%的新兴生物制药研发活动集中在五个主要地区。
- 总部位于美国的EBP研发的产品占管线的近五成，尽管份额近年来略有下降：从2016年的峰值52%下降到2021年的46%。
- 近年来，总部位于中国的EBP的产品管线增长明显，自2016年增长了456%。中国EBP管线现占全球EBP产品管线的17%，高于五年前的6%，凸显中国公司对药物开发创新的贡献越来越大。
- 总部位于欧洲的EBP的产品管线比例在过去十年中一直在下降，2021年份额为20%，低于2011年的25%。
- 日本和韩国在EBP管线中的份额较小。近年来，日本的占比一直在下降，目前为2%，而韩国的占比则略有增长，2021年为6%。

注：阶段由药物所处的最高阶段决定，与适应症无关。当涉及的公司数量≥2时，以销售额更大的公司类型决定。参与药物开发的每家公司都是单独计算的，因此涉及多家公司的产品会纳入计算不止一次，并且可能包含在多个地区中。

新兴生物制药公司对研发管线的贡献

新兴生物制药公司开发的产品在美国、中国和韩国产品管线中所占份额较高

图4：I期至监管提交的在研产品按公司总部地理位置分类的细分



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

- 新兴生物制药公司参与的研发管线占比因地区不同而差异巨大，这反映了生命科学行业的主要贡献者的地区性差异。
- 总部在美国的EBP开发的产品有2000多种，占美国研发管线总数的近三分之二。
- 在欧洲，新兴生物制药公司和大型制药公司平分秋色，新兴生物制药公司参与了47%的研发活动，大型制药公司占41%，中小型公司的贡献则较小，占12%。
- 中国和韩国的研发活动主要由新兴生物制药公司主导，EBP产品占研发管线的份额分别为83%和76%。这表明近年来生命科学行业在上述两国的高投资和增长。
- 在日本，不同规模的公司“百花齐放”，与其他地区相比，中小型公司的贡献较大，而新兴生物制药公司的贡献相对较低，仅占管线的22%。

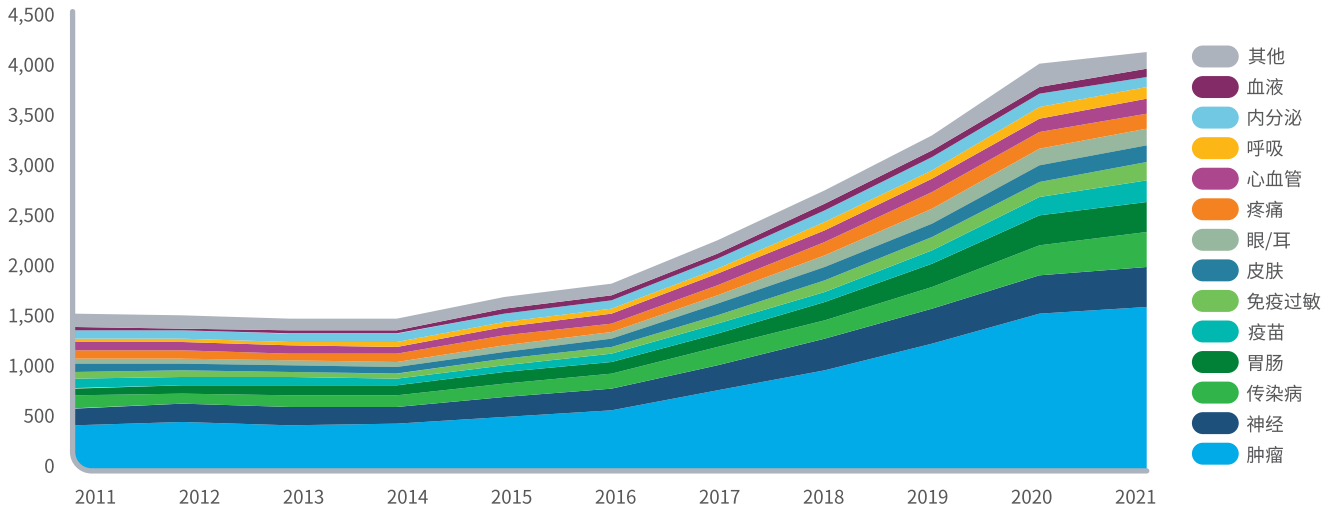
注：阶段由药物所处的最高阶段决定，不考虑适应症。参与开发的每家公司都单独计算，因此多家公司合作研发的产品会被多次或纳入多个地区计算。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

新兴生物制药公司对研发管线的贡献

新兴生物制药公司开发的肿瘤药有1500多种，占研发管线的39%

图5：2011-2021年按治疗领域划分的I期至监管提交阶段EBP研发管线数量



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

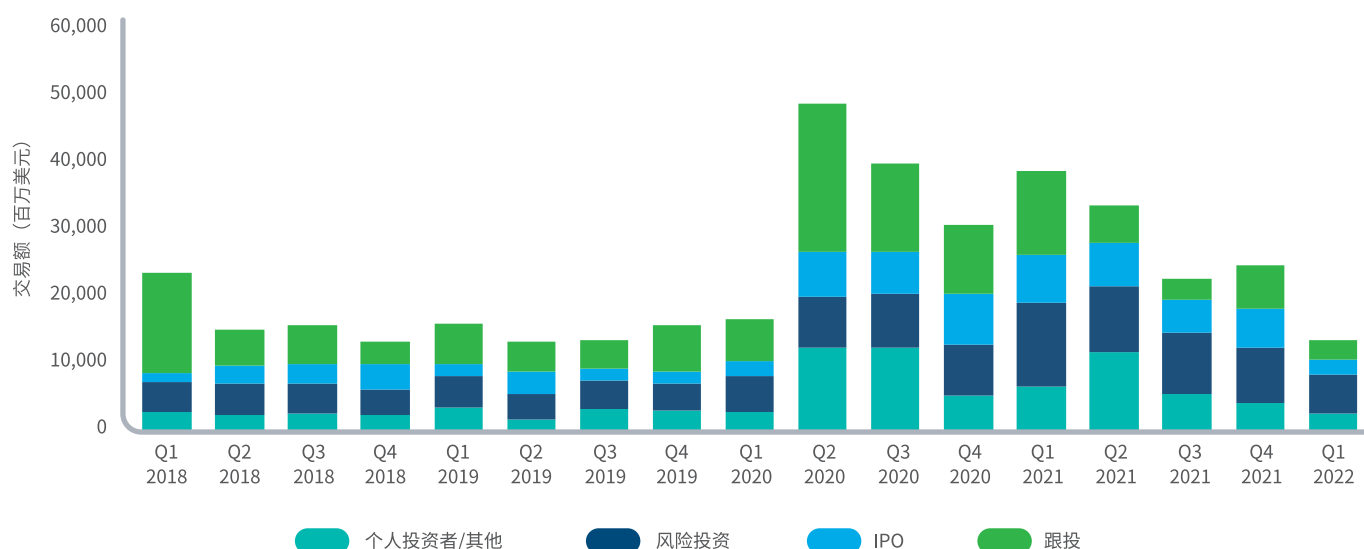
- 新兴生物制药临床研发关注的主要治疗领域与总体情况相似，其中肿瘤、神经、传染病、胃肠和疫苗占EBP研发管线的69%。
- EBP肿瘤管线总数在过去五年中增加了一倍多，目前占EBP管线的三分之一以上，这不仅反映了整个行业在研发抗肿瘤新疗法方面所做的努力，也表明了EBP在开发新疗法上的重要作用。
- 与EBP的其他重点治疗领域相比，尽管神经领域产品管线在持续增长，但其增长率较低，过去五年的CAGR为12%。
- 新兴生物制药公司在传染病和疫苗领域的产品管线数量显著增长，其中大部分增长发生在过去两年，凸显了新兴生物制药公司在疫情期间的重大贡献。
- 新兴生物制药公司胃肠疾病领域产品管线的增长最高，过去五年的CAGR为23%。

注：阶段由药物所处的最高阶段决定，与适应症无关。当涉及的公司数量≥2时，以销售额更大的公司类型决定。肿瘤包括支持性护理。

融资和战略交易

过去两年，随着人们对生物制药公司的关注增强，风险投资交易活动和投资流量也在加速

图6：生物医药领域的投资情况（单位：百万美元）



数据来源：Clarivate BioWorld，2022年5月

- 过去两年，由于疫情生命科学领域备受关注，生命科学领域的投资加速增长，2021年融资1180亿美元。
- 生物制药公司的融资在疫情爆发时大幅增加，有力地支撑了探索现有药物应用于COVID-19的研究，因此在短时间内开展了1000多项试验，并发现了现有药物的新适应症以及新型疫苗和疗法。
- 2021年下半年，融资速度开始放缓，新的研究资金完全流入到非COVID项目上，总体融资情况在2022年初已恢复到疫情前的水平。
- 2021年，风险投资交易占融资的相当大一部分，其中初创公司和新兴公司的融资交易占到三分之一，比2020年增长了41%。
- IPO和跟投在2020年第二季度也大幅上升，与2019年的水平相比，2021年二者分别增长了173%和28%。

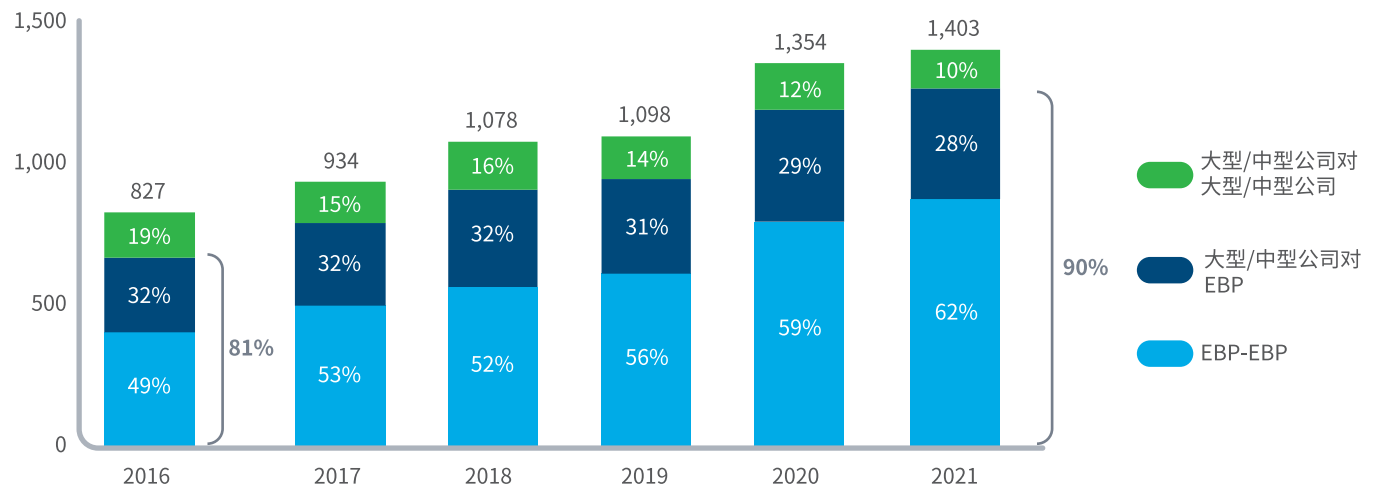
注：II期包括I/II期、II期、IIa期、IIb期。III期包括II/III期、III期。纳入已终止的试验，以追踪统计启动、部分实施和终止的试验情况。企业申请的试验不包括干预性试验和器械试验。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

融资和战略交易

新兴生物制药公司之间的交易占总交易的62%，高于5年前的49%

图7：2016-2021年按公司类型划分的交易量和占比



数据来源：IQVIA Pharma Deals，2021年12月

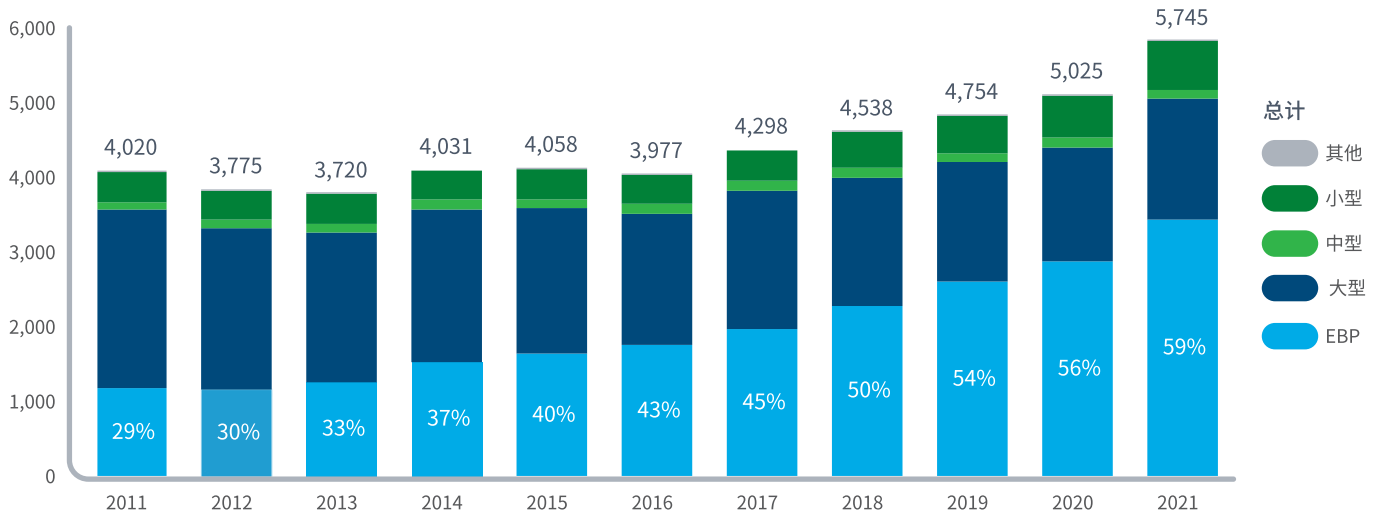
- 过去五年，随着新兴生物制药公司参与交易增多，交易量一直在上升。
- 2021年，新兴生物制药公司参与了90%的交易活动，高于五年前的81%。
- 相当一部分（62%）的交易是新兴生物制药公司之间的交易，不涉及大型公司，表明新兴生物制药公司之间的合作愈加紧密。
- 这些交易涉及创新者、平台公司、服务商，以及成功收购其他公司的新兴生物制药公司。
- 近年来，新兴生物制药公司的独立性不断提高，这一点在EBP开发新药的商业化上尤为明显，其中EBP自主商业化的新药超过四分之三。
- 上图未体现交易金额，通常一些大额交易的金额超过所有小型合作的交易金额之和。

注：两家生物制药公司之间所有类型的交易都计算在内，并按参与者的公司占比进行划分。生物制药公司与非行业内公司之间的交易不包括在内。

EBP临床试验活动

2021年启动的临床试验中，新兴生物制药公司申办的超过3300项，是2016年的近两倍

图8：2011-2021年按公司类型划分的临床试验的启动情况



数据来源：Citeline Trialtrove，2022年4月；IQVIA Institute，2022年5月

- 2021年启动的临床试验中，新兴生物制药公司申办的有3386项，是十年前的近三倍，而且这一数字可能被低估，因为这可能不包括EBP与大型制药公司合作的试验。
- 过去十年，新兴生物制药公司申办的试验驱动了试验启动总量的增长；相比2011年，2021年启动的试验数量增长了43%，其中由EBP申办的试验增长了193%，但此增长部分被大型制药公司申办的试验启动量下降了33%所抵消。
- 2021年启动的试验中，新兴生物制药公司申办试验占比为59%，高于十年前的29%，而大型制药公司申办的试验则呈现相反的情况，从2011年的59%下降到2021年的28%。
- 研发仍然是一项高风险和复杂的活动，因为这些试验中平均有12%会被终止，而且许多试验研究的产品最终未能获批。

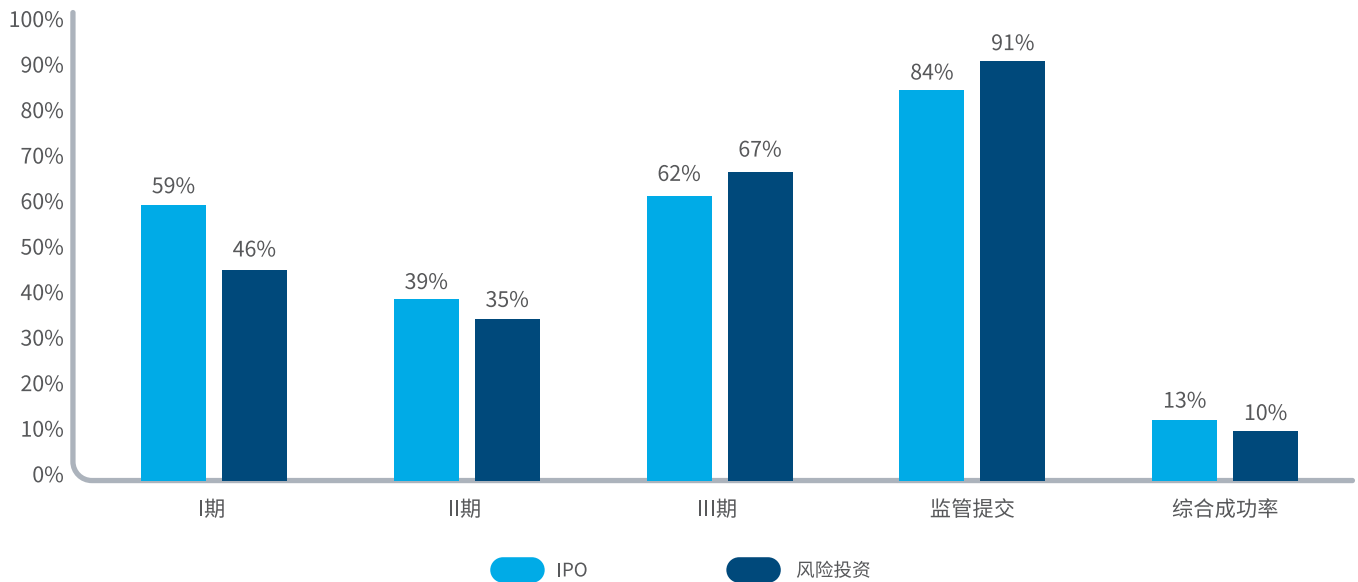
注：包括I期、II期（I/II期、II期、IIa期、IIb期）和III期（II/III期和III期）。纳入终止试验是为了追踪仍涉及其启动、部分执行和终止的活动。试验指业内申办的干预性试验。当涉及的公司数量≥2时，以销售额更大的公司类型决定。其他指非制药公司（如临床研究组织和联盟）。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

EBP临床试验活动

自2010年以来新兴生物制药公司有着较高的综合成功率，这一优势在早期阶段更为明显

图9：2010-2021年按公司类型划分的I期至申请阶段的综合成功率和各阶段成功率



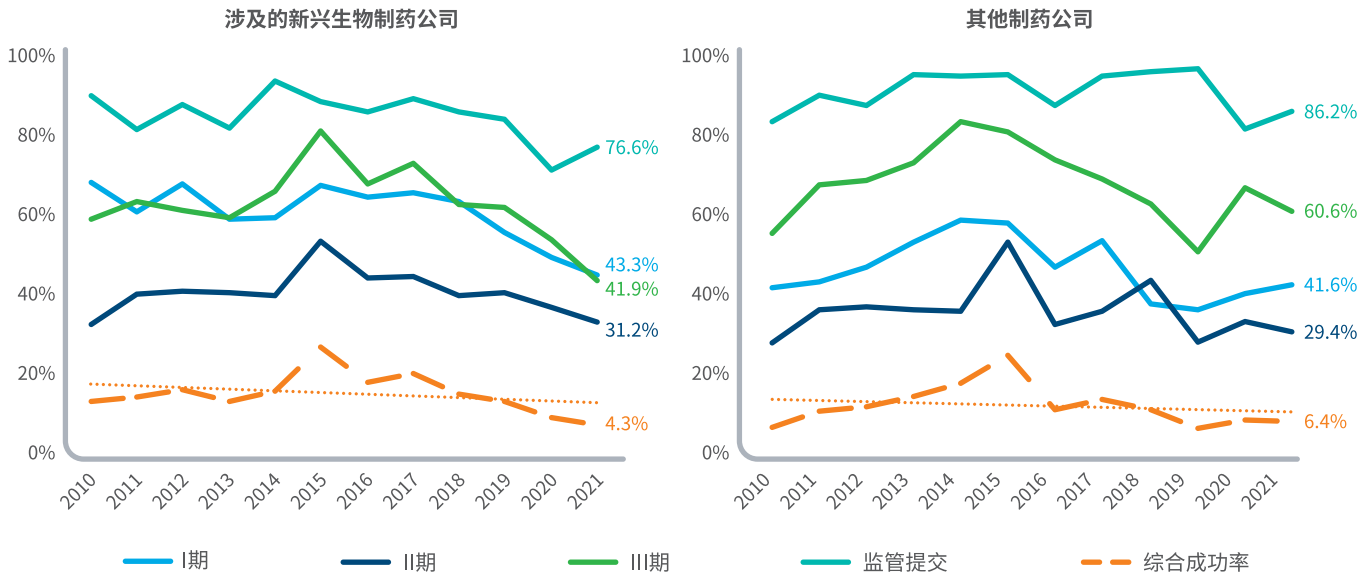
数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

- 自从2010年开始，EBP参与研发的产品成功率较之大公司略高。尤其是在第一阶段，成功率高出13%。而到了第二阶段，成功率优势略有下降，较之大公司仅高出4%。
- 然而，在EBP开发至第三阶段的产品中，有2/3都能够成功走向市场。从综合成功率来看，EBP较之大公司仍高出3%。
- 到临床试验第三阶段和提交评审阶段，大公司的成功率则高出EBP，这也许是因为大公司更有能力选择在后期仅继续开发更有希望成功并获批的产品，而EBP同时研发的产品管线较少，相比之下没有那么多的选择余地。

EBPI临床试验活动

然而自2020年起EBP的总体研发成功率略有下滑，这是由于一些初创的EBP公司在追求“高风险高回报”的项目

图10：2011-2021年按公司类型划分的临床试验的启动情况



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；IQVIA Institute, 2022年5月

- 尽管自2010年以来，新兴生物制药公司的平均综合成功率相对较高，但2017年之后却有所下降。综合成功率从2015年25%的高点下降到2021年4.3%的低点。
- 与此同时，近年来，大型制药公司开发产品的综合成功率已趋于稳定，2021年的综合成功率为6.4%，但仍远低于2015年的23%。
- 新兴生物制药公司研发产品成功率于近年走低，主要是由于一些初创公司的研究追求“高风险高回报”，如致力于研究新作用机制或下一代生物疗法。

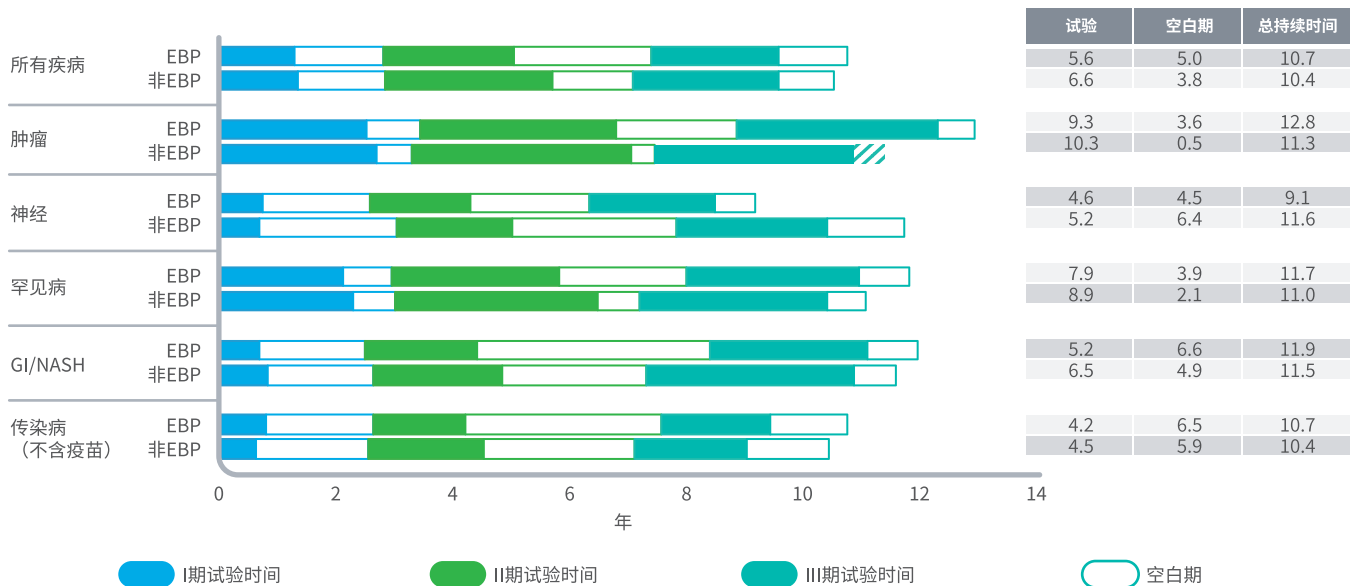
注：阶段成功率是指当年达到下一阶段的产品在产品总数中所占的百分比，包括停产、暂停或撤回的产品以及已退出研究三年的产品。最后一次更新后三年的日期即为该药物退出研究并纳入成功率分母的年份，除非案头研究得出该药物仍在进行研究的结论。当涉及的公司数量 ≥ 2 时，以销售额更大的公司类型决定。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

加速EBP创新的“利器”

新兴生物制药公司的试验时间较短，但在不同阶段试验之间的“空白期”较长

图11：2010-2021年各类公司在关键疾病领域的试验持续时间与各阶段持续时间的比较（年）



数据来源：IQVIA Pipeline Intelligence, 2021年12月；Citeline Trialtrove, 2022年4月；IQVIA Institute, 2022年5月

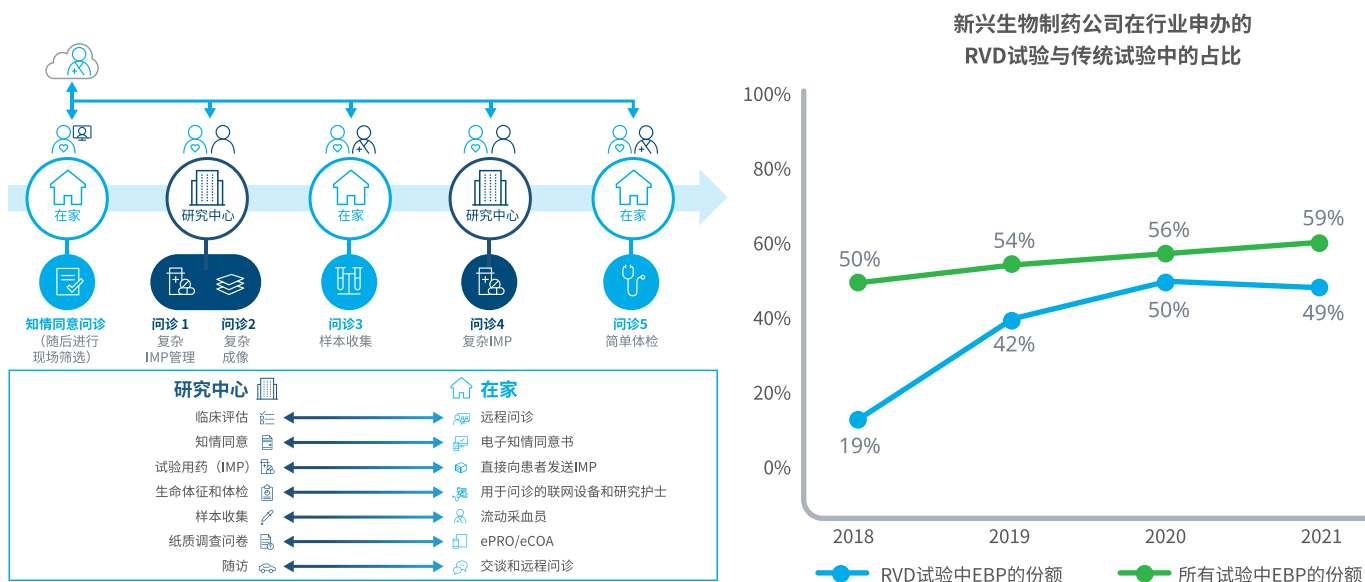
- 对创新者而言，率先进入市场极为重要。缩短开发周期的总体时间可以通过提高试验效率以及减少“空白期”来实现。
- 新兴生物制药公司在试验时间上优势明显，III期临床试验的时间通常比大型公司少一年。
- 类似的优势也存在于肿瘤和罕见病领域，但在这两种情况下，EBP试验的“空白期”更长，因而在传统试验项目中，其省时优势不及大公司。
- 通过加速审批或基于I期或II期试验获批的药物，可能不需要传统的III期临床试验。
- EBP多数产品是基于加速审批或压缩试验时间获批，因此仍可能比竞品更早进入市场。
- EBP正在大力投资技术以提升关键步骤的速度，人工智能和机器学习有助于优化试验运营、招募以及药物发现早期的应用。
- 远程、虚拟和去中心化的试验数量相比疫情前一直在增长，这有助于减轻疫情影响，否则将无法获取重要的患者临床数据，或无法招募到患者。

注：试验持续时间指从启动日期到初步完成日期。阶段持续时间指任何地区的任何适应症从一个阶段的启动日期到下一阶段启动日期。空白期指阶段持续时间中位数与试验持续时间中位数之差。未完成特定阶段的药物不纳入计算范围内。当涉及的公司数量≥ 2时，以销售额更大的公司类型决定。

加速EBP创新的“利器”

疫情期间，远程、虚拟或去中心化试验一直在增加，但EBP却较少使用

图12：按公司类型划分的所有试验和远程、虚拟或去中心化试验（RVD）的启动情况及RVD试验的占比情况



数据来源：Citeline Trialtrove, 2022年4月；IQVIA Institute, 2022年5月

- 由于研究中心可能受到疫情的影响，或研究中心患者招募率较低，采用传统亲临现场的临床试验越来越受到挑战。
- 远程、虚拟和去中心化（RVD）试验逐渐成为申办方和研究者用来克服在现实世界中开展研究时所遇到障碍的方式。
- 大多数试验包括RVD试验的某些组成部分，RVD元素也不断被纳入试验操作标准，尤其是在疫情期间。
- 在某些情况下，RVD试验会影响部分试验操作，从而使一些流程更为便利。
- 对于某些疾病领域来说，完全远程是可行的，尤其是那些更关注患者报告结局的试验。
- 2018年，EBP在RVD试验中的占比较小，当时行业中RVD的整体数量急剧上升，但过去三年中，该占比已经上升并趋近其在所有试验中的占比。
- EBP仍然没有充分利用RVD技术，并有可能错失改善和加速试验的机会。

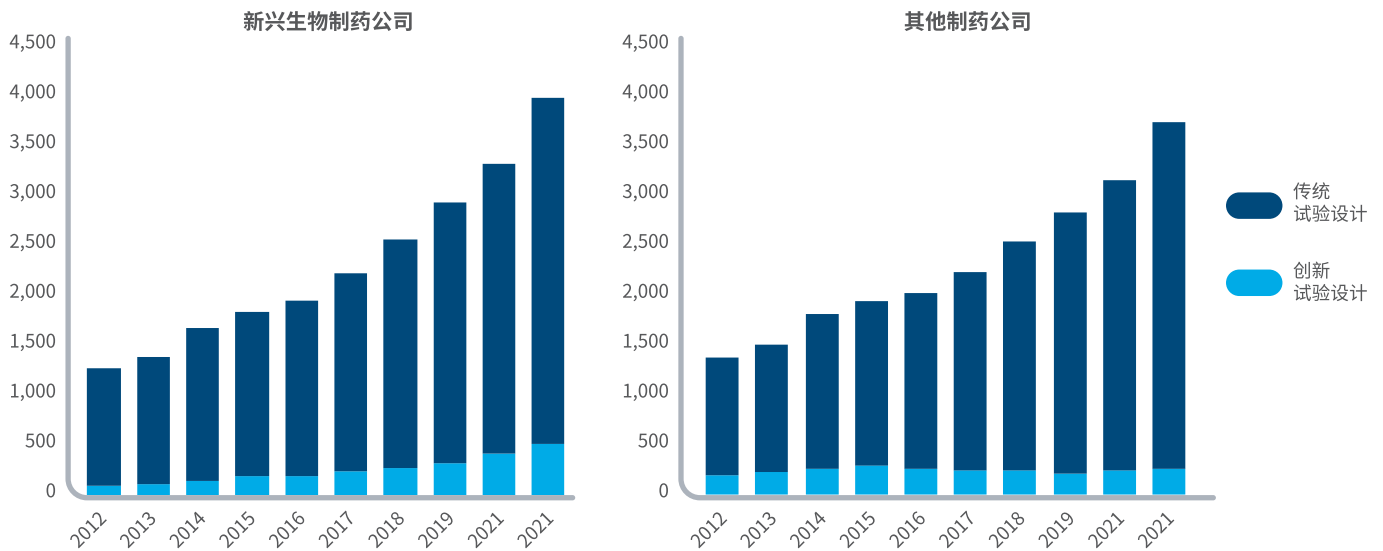
注：具有许多去中心化特征的试验通常不会在试验注册信息中披露这些特征信息，而根据试验描述、设计或注释中包含的词语和短语，可将试验判断为远程、虚拟或去中心化的试验，这反映了对这些试验趋势的指导并不完善。一般来说，使用与远程医疗、远程随访、远程传感器接近的术语，或者是指该试验是远程、去中心化、无试验地点、虚拟的，或者指使用越来越普遍的电子知情同意书，可能是RVD试验。但在某些情况下，中心化、远程或分散式是常见医学术语的一部分，与疾病相关，但与试验设计无关，因此可不纳入考虑范围之内。关于RVD的总体趋势，见IQVIA Institute报告，全球研发趋势，2022年2月。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

加速EBP创新的“利器”

新兴生物制药公司更倾向使用创新试验设计，2021年使用创新设计的试验数量是大型制药公司的2倍

图13：2012-2021年启动的临床试验和创新临床试验数量



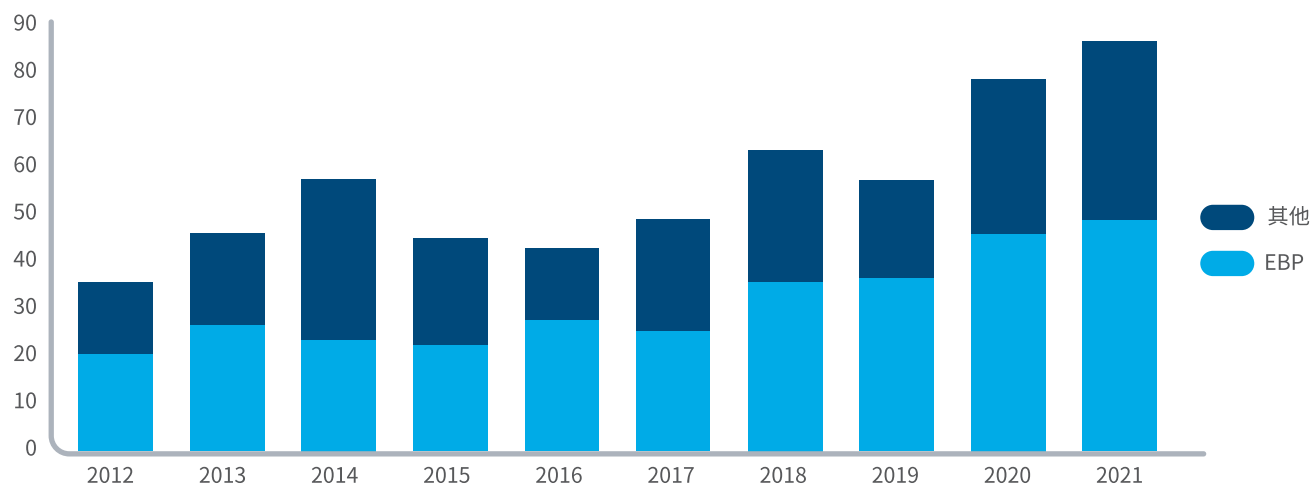
数据来源：Citeline Trialtrove, 2022年4月；IQVIA Institute, 2022年5月

- 采用篮式或伞式设计的创新性临床试验可产生更多样的关于适应症和/或药物的临床结果，有助加速候选药物成功上市。
- 得益于灵活的监管，创新设计日益得到应用，尤其是在罕见病或有重大未满足需求的疾病中。
- 创新性临床试验在早期阶段可能需要更长的时间来设计和实施，但积极的临床数据可跳过后期阶段，极大加速监管审查和批准。
- 相比大型制药公司，新兴生物制药公司启动的创新性临床试验更多，而且这一趋势还在上升。
- 这些趋势也使部分成功的试验最终被交易和并购带来了可能性。

注：试验指行业申办的试验，不含干预性试验和器械试验。创新性试验设计包括使用伞式、篮式、适应性、主方案、剂量递增+剂量扩展研究。当涉及的公司数量≥2时，以销售额更大的公司类型决定。

过去十年全球上市NAS中，新兴生物制药公司研发的产品占56%

图14：2012-2021年按公司类型划分的全球NAS上市数量



数据来源：IQVIA Institute，2022年5月

- 2021年，全球上市的新活性物质（NAS）数量创历史新高，达到85种；其中48种由新兴生物制药公司研发，同样创下历史新高。
- 虽然大多数NAS以美国为目标市场，但新兴生物制药公司对非发达地区的关注与日俱增，一些EBP只针对中国、俄罗斯或韩国等市场开发药物。
- 上市的NAS中，EBP研发产品所占比重一直保持相对稳定，十年来平均为56%，从2014年的41%到2016年和2019年的64%不等，反映了这些公司持续不断地创新。
- 有些公司会将自主商业化作为增长战略的一部分，而另一些公司则与较大的公司合作，以便克服商业化或市场准入方面的挑战。

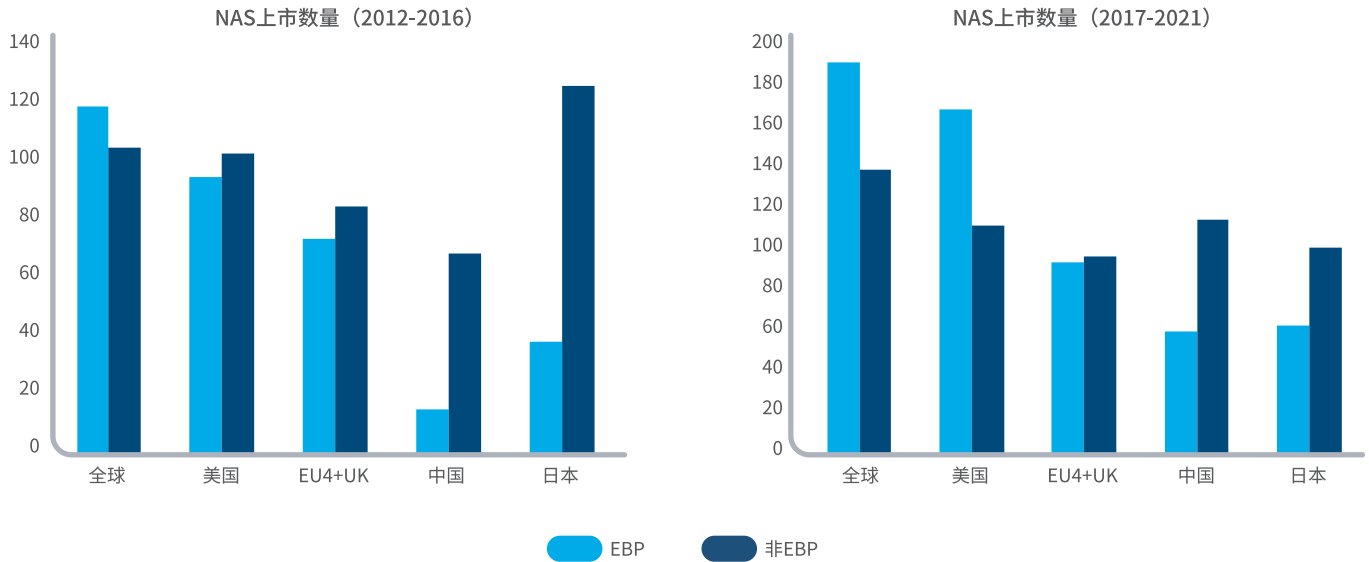
注：NAS的全球上市是指在任何国家/地区的首次全球上市，而不考虑批准的年份。开发者指基于产品申请第一项专利的实体，并依据申请专利时开发公司收入或研发费用进行公司分型。

新兴生物制药公司（EBP）对创新的贡献

EBP开发/商业化的新活性物质

全球上市的NAS中，由EBP开发的超过半数；但大型制药公司在部分国家占据主导

图15：按开发公司规模划分，2012-2021年全球和部分国家上市的新活性物质（NAS）数量



数据来源：IQVIA Institute，2022年5月

- 过去五年，全球和美国超过一半的NAS由EBP研发，但這些产品在欧洲、中国或日本上市的很少。
- 2012-2016年，大型公司贡献的NAS数量多于EBP；由大型公司开发的NAS的绝对数量在2012-2016年间和在2017-2021年间相近，但日本除外。
- 2012-2016年期间，日本的定价政策明显缩短了在全球和在日本上市的时滞，并且首次出现药品在日本上市时间早于全球。
- 中国上市NAS数量显著增加，从83个增加到173个，其中来自EBP的NAS从15个增加到59个，几乎翻了两番。
- 值得注意的是，迄今为止，中国EBP只有一种药物在领先的发达市场获批/上市，即由传奇生物和杨森公司联合开发并于2022年在美国获批的西达基奥仑赛（Carvykti）（未纳入本次分析）。

注：新活性物质（NAS）是一种新的分子或生物实体或至少包含一种新分子的组合，首次上市的年份和地区应予以说明。每个地区的药物按时间进行归类，并受公司的上市策略以及监管批准的影响。