

药审趋势为据，洞察未来研发趋势及新药上市策略

——2023 年度新药审评趋势和审评通道分析

2024 年 3 月 22 日
丁香园 Insight 赵仲

Contents

1

新药审评概览

临床申请 / 获批、临床试验登记、上市申请 / 获批

2

特殊审评通道趋势

优先审评审批、突破性治疗、附条件批准

3

新药上市策略分析

审评通道占比、附条件策略、临床试验路径

4

总结

1 新药审评概览

临床申请/获批

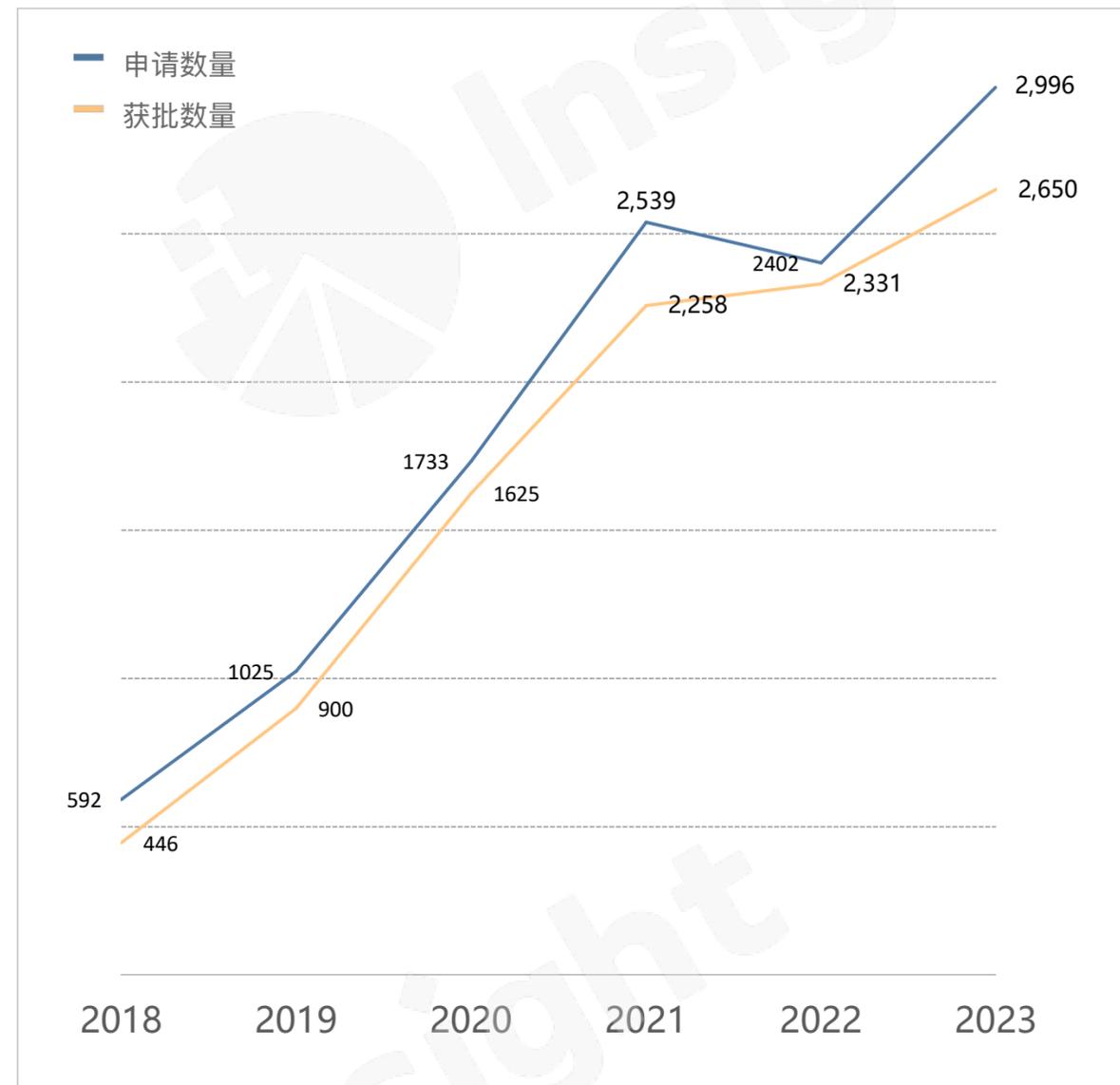
临床试验登记

上市申请/获批

近 6 年，新药 IND 申报数量增长迅猛，只在 2022 年有所回落；新兴技术领域势头强劲，2023 年申报数量均达到历史新高

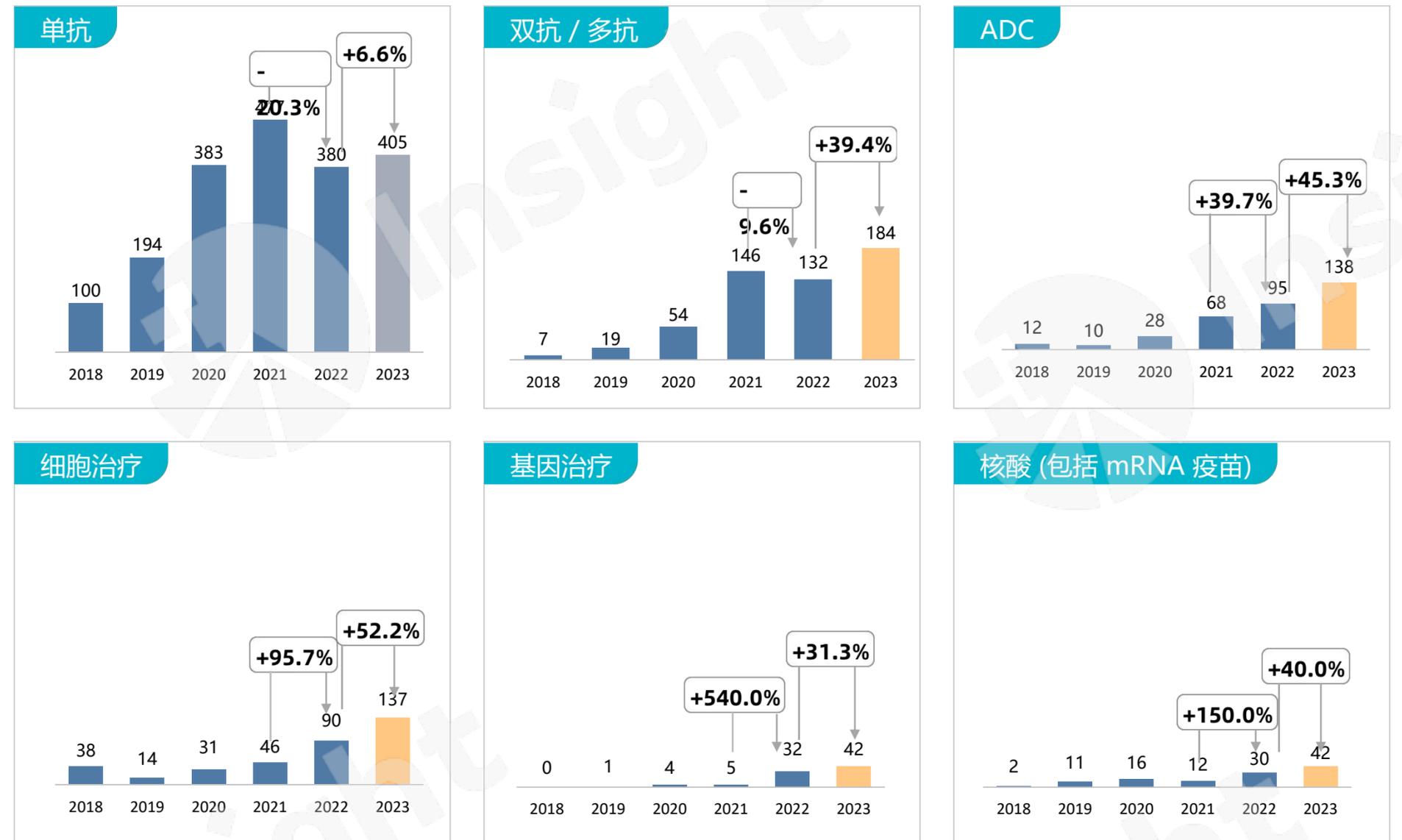


2018 年至今国内新药历年 IND 申报/获批数量



各技术类别历年 IND 申报数量

黄色表示 2023 年 IND 申报数量达到新高 灰色表示未达到新高



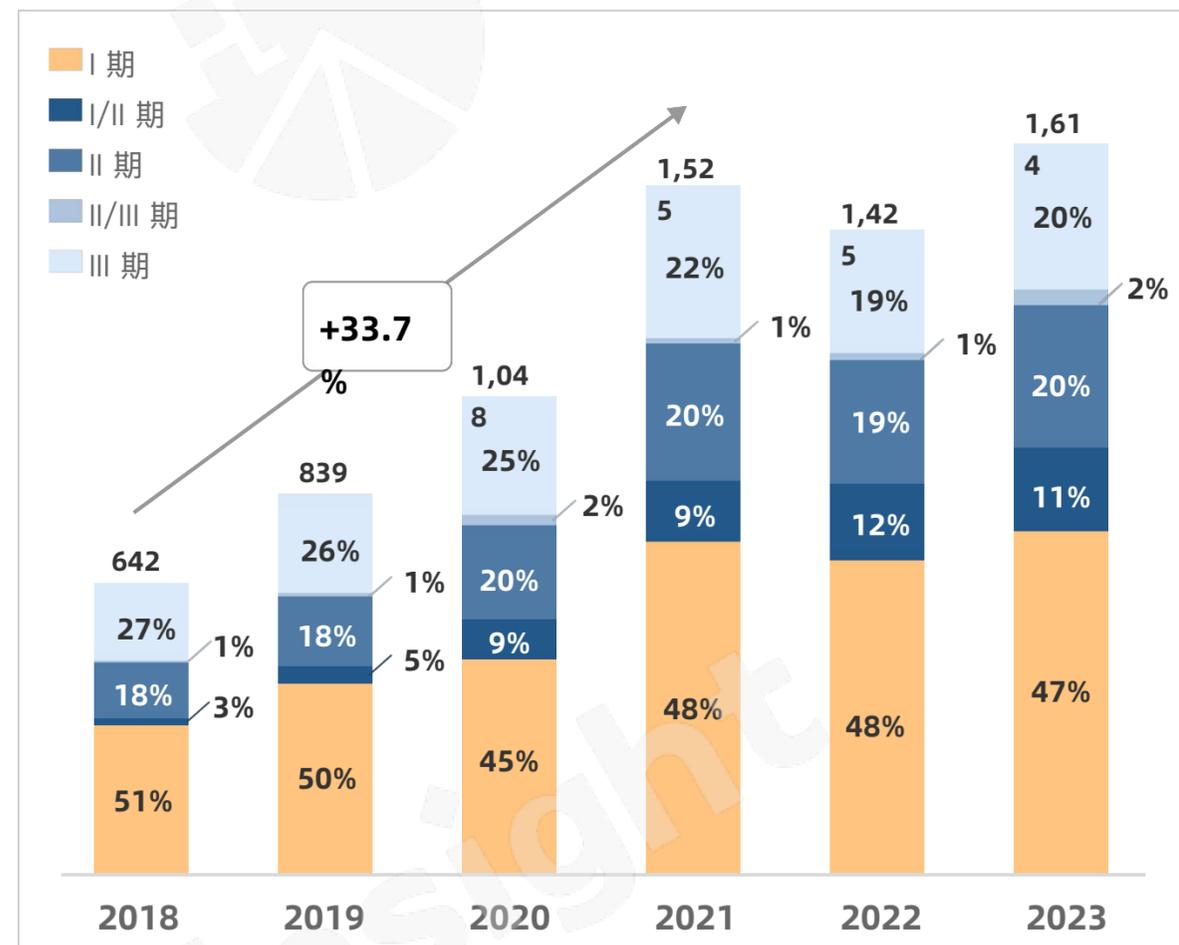
注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为受理号数量，统计范围为化药、生物制品。
统计数字截止 2023.12.31

近 6 年，国内新药临床试验整体呈现增长趋势，双抗、ADC、CGT 领域保持快速增长



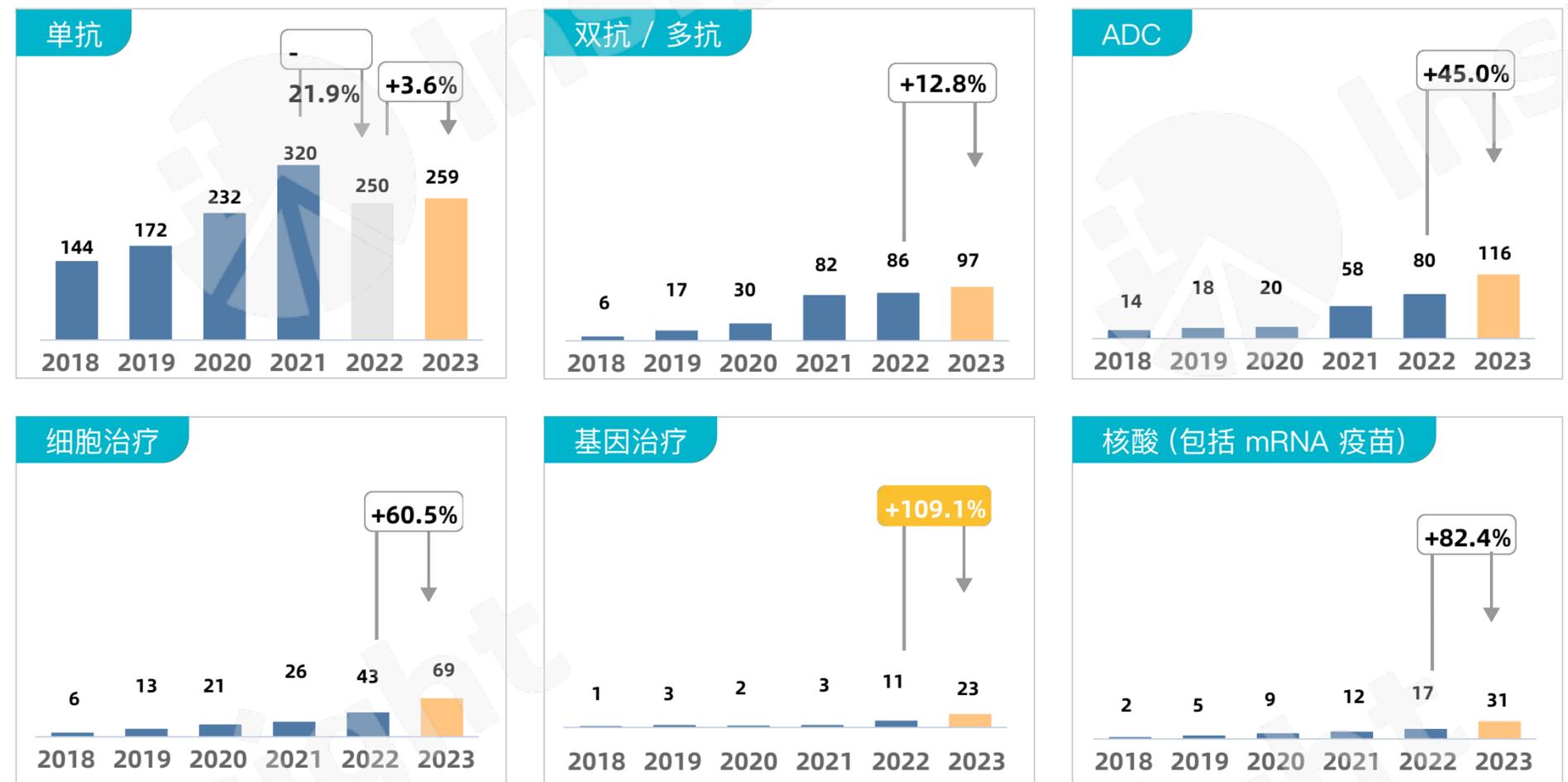
- 2018 – 2021 年新药临床试验的平均增幅为 **33.7%**。2022 年虽有回落，但 2023 年恢复增长，并创历史新高
- 历年各期临床试验中，I 期临床试验占比最高，平均占比为 **48%**
- ADC、CGT 领域的新药保持快速增长，2023 年同比增幅均达到 **45%** 及以上，**基因治疗临床试验数量实现翻倍**

近 6 年国内新药临床试验登记数量



近 6 年新药各技术类别临床试验数量

黄色表示 2022、2023 年依旧呈现增长的趋势 ■ 灰色表示呈现下降的趋势



注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为登记号数量，统计范围为化药新药、生物制品新药。

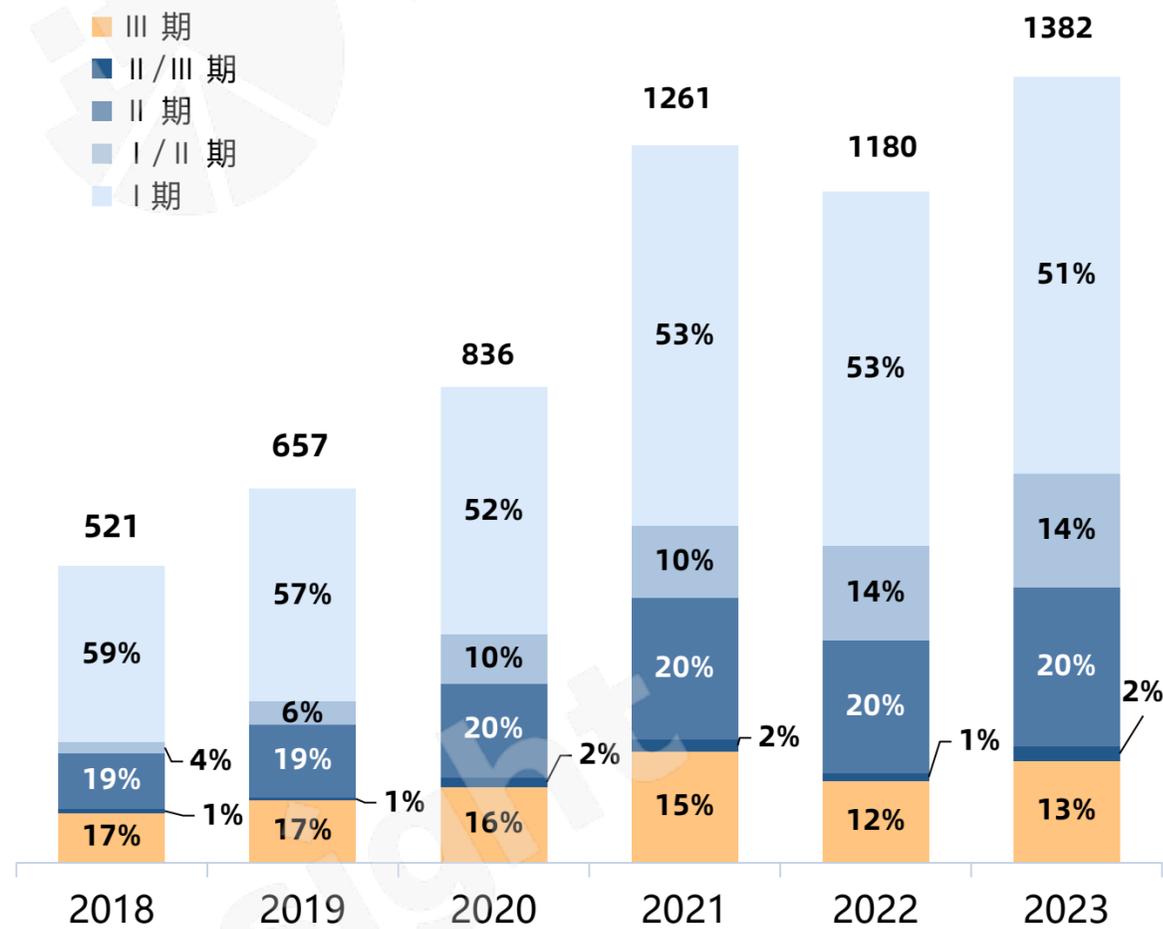
统计数字截止 2023.12.31

近 6 年，中国企业登记的新药临床试验整体呈增长趋势，2022 年虽有回落，但 2023 年创历史新高；海外企业登记的新药临床试验先增加后减少

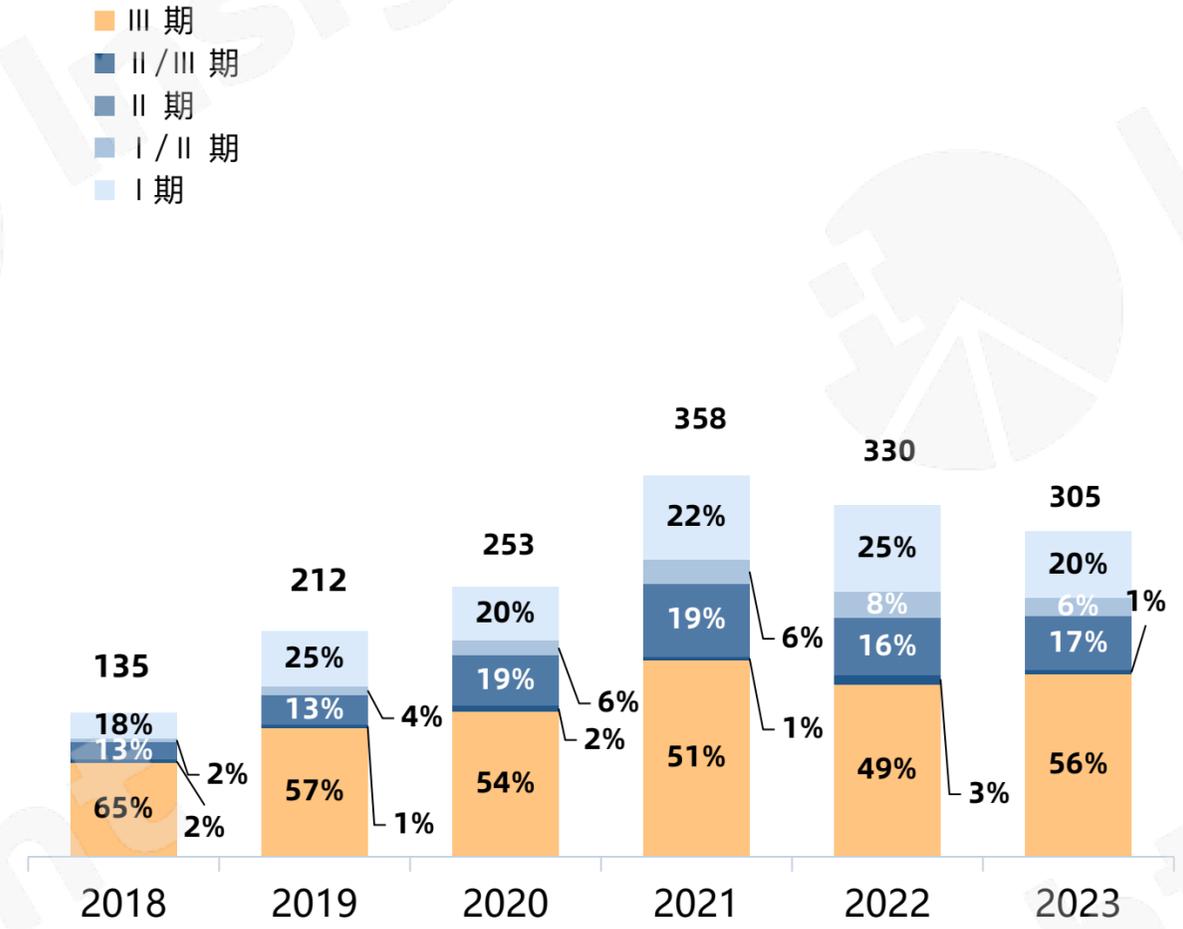


- 中国企业登记的新药临床试验 I 期临床平均占比为 54%，而 III 期临床平均占比为 15%，国内企业不断有早期管线持续推进到临床；
- 海外企业登记的新药临床试验 III 期临床平均占比为 55%，近 3 年占比有下降趋势，而 I - II 期占比有上升趋势，更多海外管线开始在国内同步进行早期临床研发；

近 6 年中国企业登记的新药临床试验数量



近 6 年海外企业登记的新药临床试验数量



注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为登记号数量，统计范围为化药新药、生物制品新药。
统计数字截止 2023.12.31

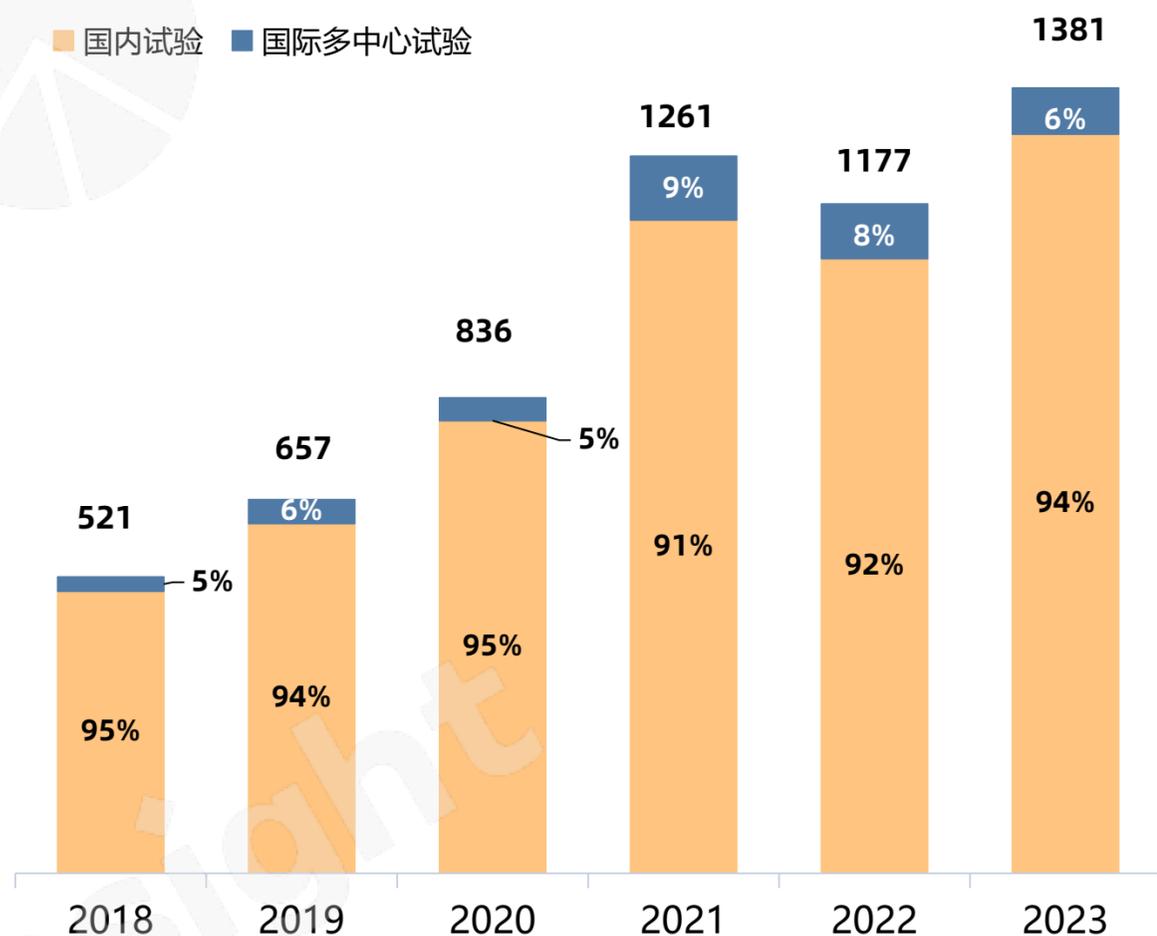
近 3 年，中国企业登记的新药 MRCT 有尝试但有回落 而海外企业登记的新药 MRCT 占比稳定



- 近 6 年，中国企业登记的新药 MRCT 的平均占比为 6%；21-22 明显增加但 23 年有所回落，新药首发地在国内以及严控研发成本情况下，国内企业更倾向于开展国内临床试验而非 MRCT；
- 而海外企业登记的新药 MRCT 的平均占比为 64%，虽然海外企业新药在 CDE 登记临床有下落趋势，但减少主要以独立的国内试验为主，MRCT 数量相对稳定

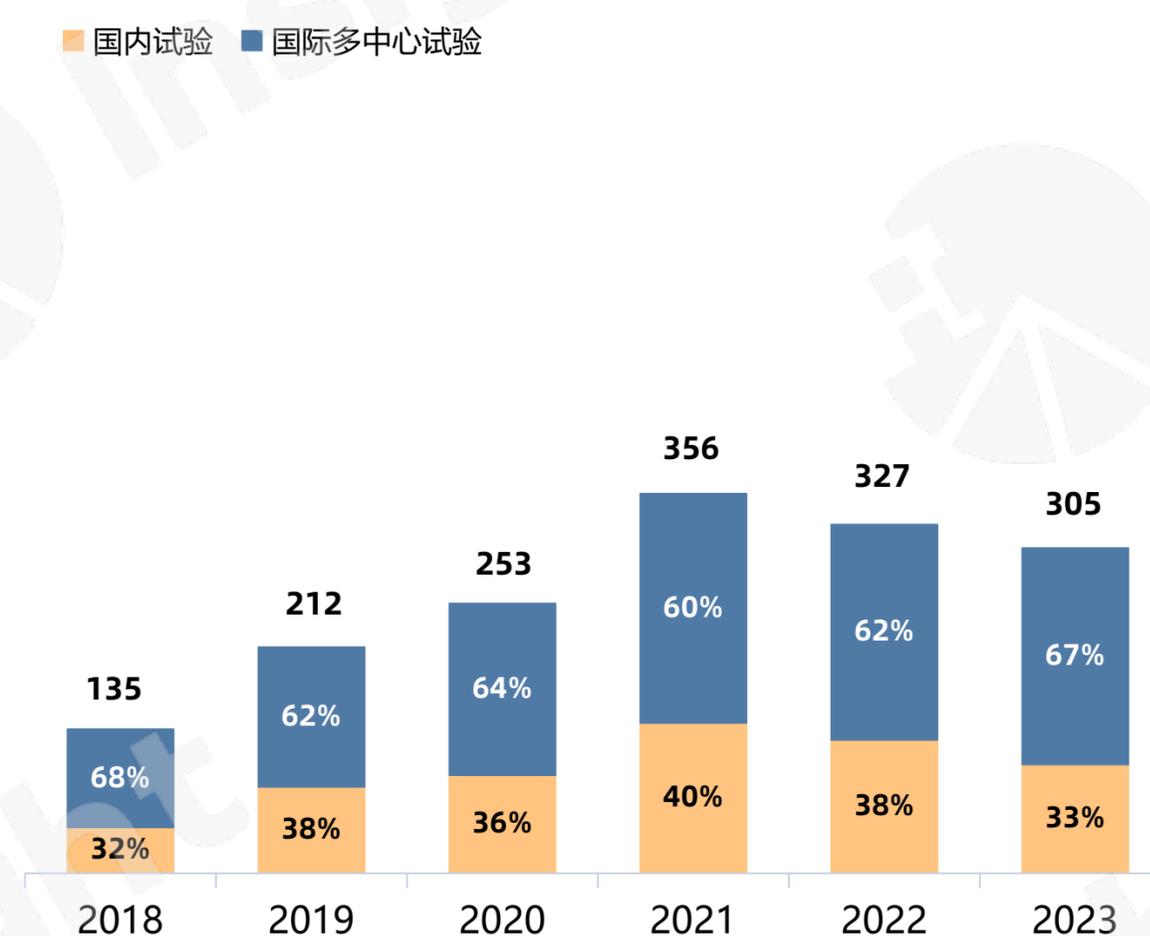
近 6 年中国企业开展的新药 MRCT 分布情况

国内试验 国际多中心试验



近 6 年海外企业开展的新药 MRCT 分布情况

国内试验 国际多中心试验



注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为登记号数量，统计范围为化药新药、生物制品新药。

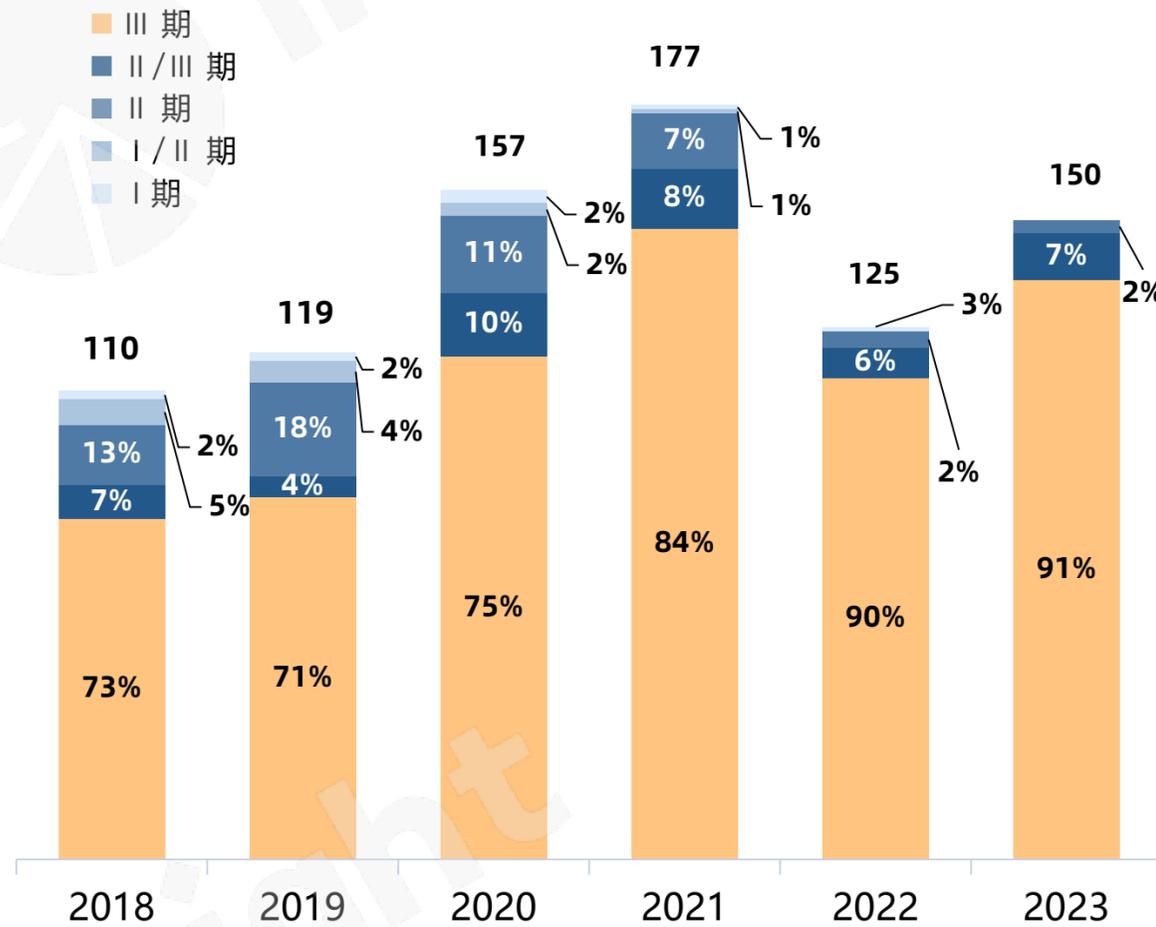
统计数字截止 2023.12.31

近 6 年，中国企业登记的新药关键临床试验整体呈增长趋势，2022 年虽有回落，但 2023 年恢复增长；海外企业登记的新药关键临床试验先增加后减少

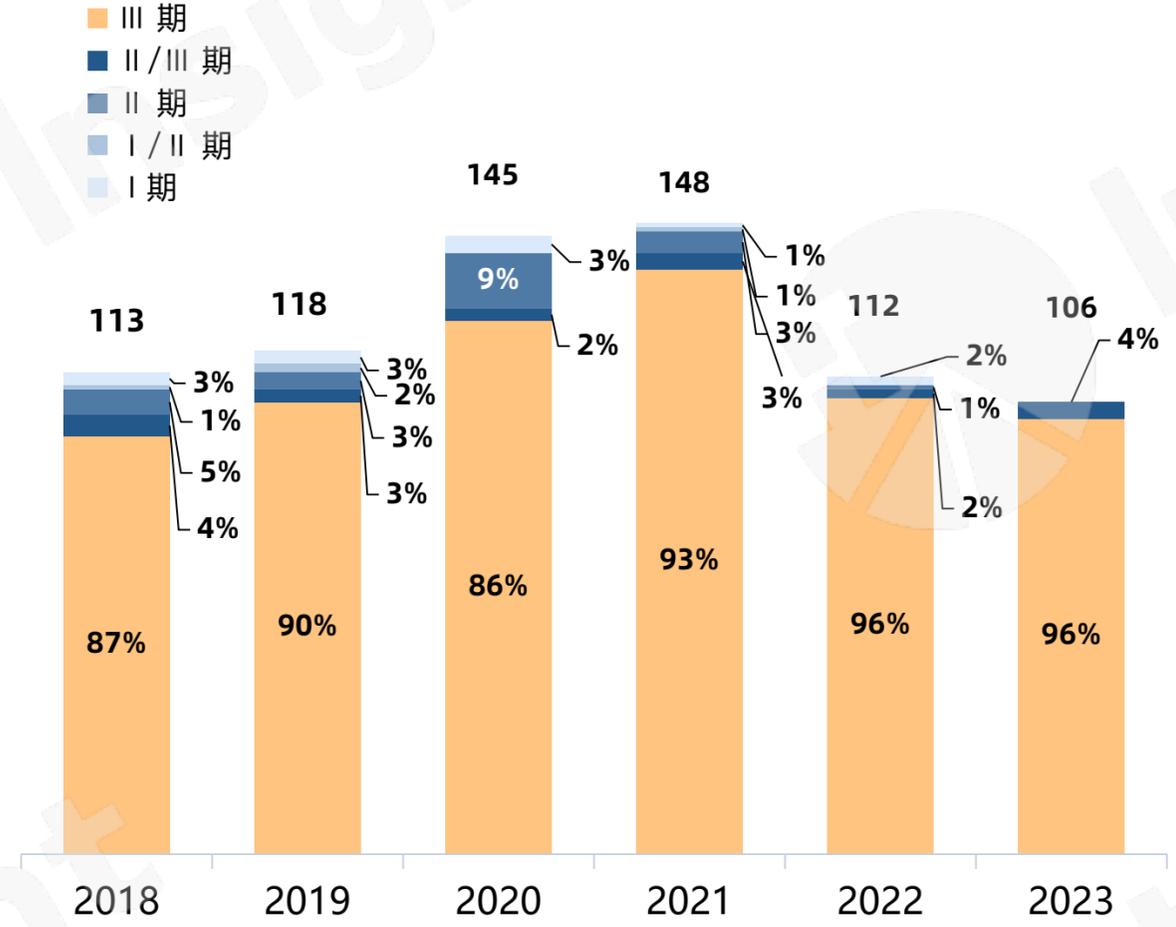


- 近 6 年，中外企业用于注册的关键临床试验中，III 期占比最高
- 中国企业 III 期关键临床平均占比为 81%，而海外企业 III 期关键临床平均占比高达 91%

近 6 年中国企业登记的新药关键临床试验数量



近 6 年海外企业登记的新药关键临床试验数量

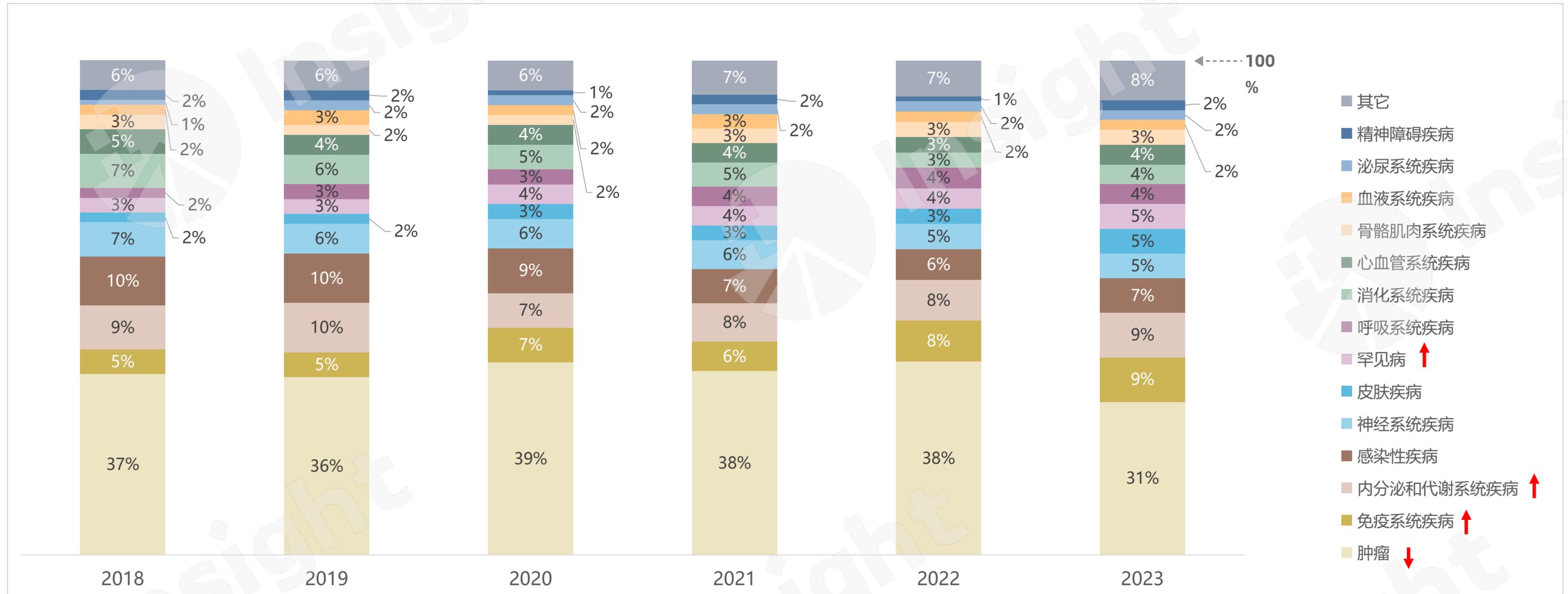


注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为登记号数量，统计范围为化药新药、生物制品新药。统计数字截止 2023.12.31

近 6 年，国内新药肿瘤领域临床试验占比呈下降趋势，免疫系统疾病、内分泌/代谢系统疾病及罕见病的临床试验占比呈上升趋势



2018-2023 年创新药临床试验各疾病领域分布

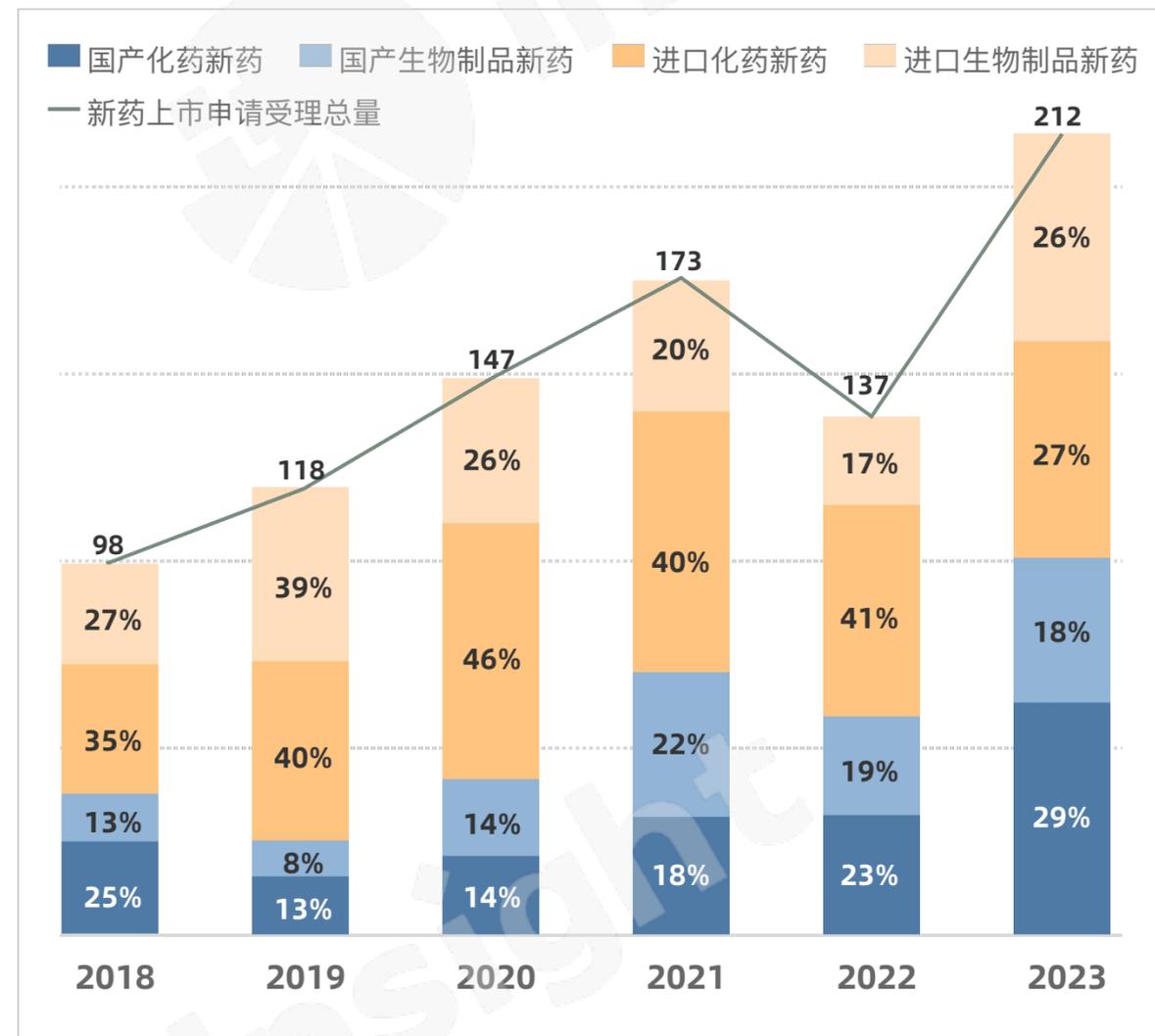


注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，截止 2024.01.05，统计的均为登记号数量，统计范围为化药新药、生物制品新药。

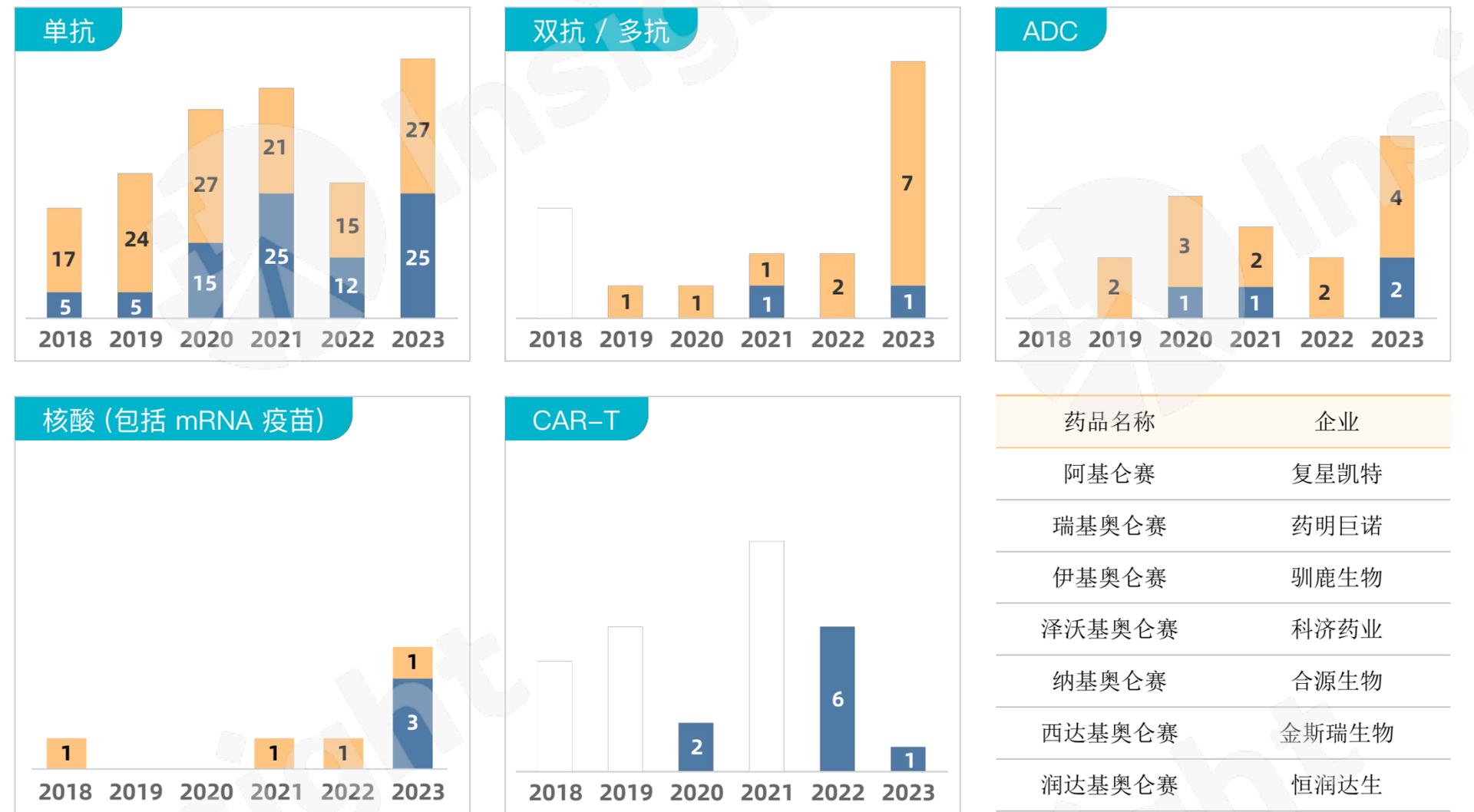
近 6 年，新药上市申请品种数量整体呈现增长趋势，2023 年创历史新高

- 国产新药上市申请品种数量波动增长
- 进口核酸为 3 款针对罕见病的 ASO 和 1 款针对高脂血症的 siRNA，而国产核酸均为针对新冠的 mRNA 疫苗
- 上市申请的双抗/多抗以及 ADC 以进口为主
- 国产 CAR-T 上市申请经历 2022 年扎堆后，2023 年仍有一款申请上市

近 6 年新药的上市申请受理数量 (按品种适应症计)



近 6 年新药各技术类别上市申请数量 (按品种适应症计)



药品名称	企业
阿基仑赛	复星凯特
瑞基奥仑赛	药明巨诺
伊基奥仑赛	驯鹿生物
泽沃基奥仑赛	科济药业
纳基奥仑赛	合源生物
西达基奥仑赛	金斯瑞生物
润达基奥仑赛	恒润达生

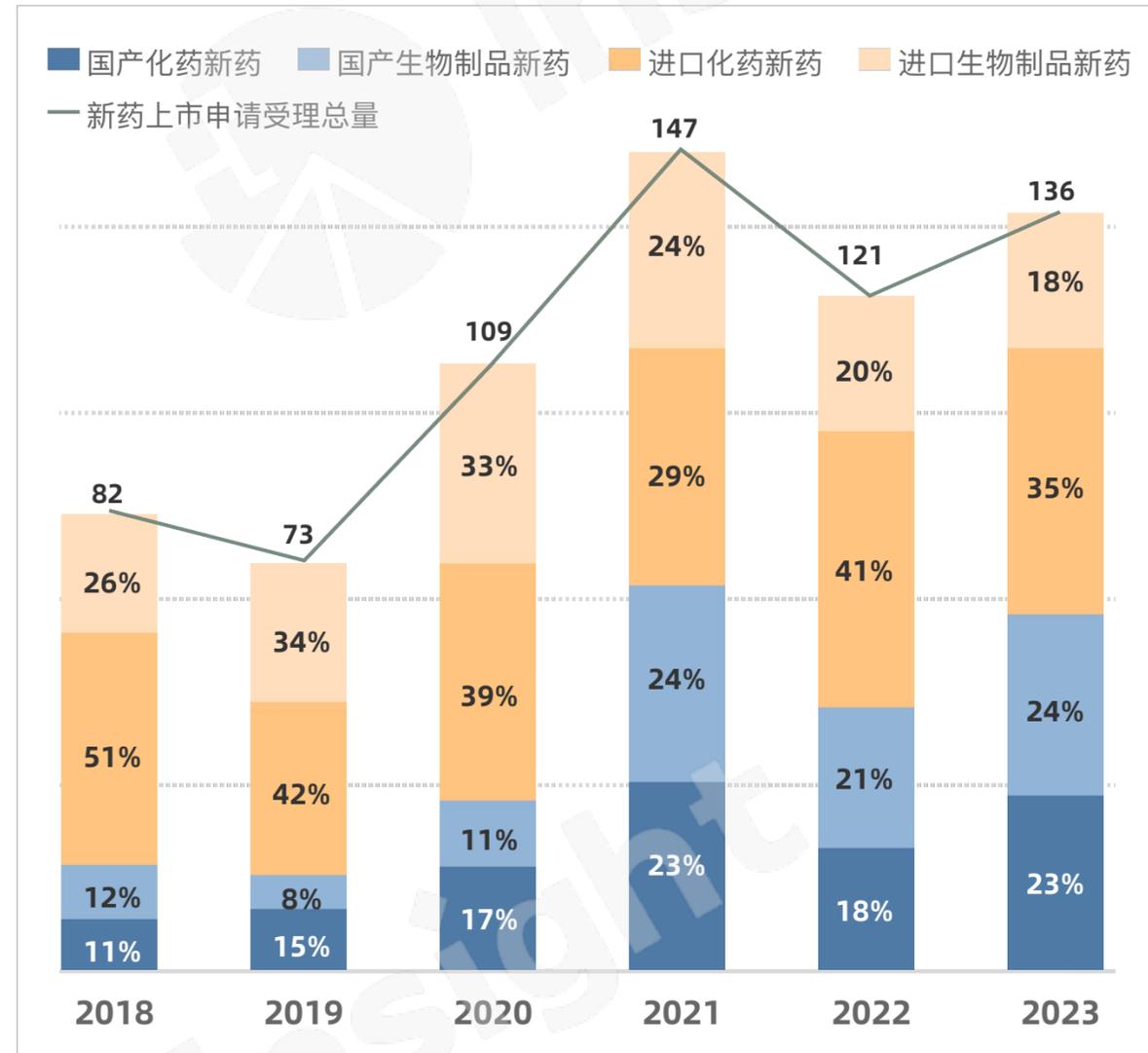
注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为受理号数量，统计范围为化药、生物制品。
统计截止 2023.12.31

近 6 年，新药上市获批品种数量整体呈现平稳增长趋势

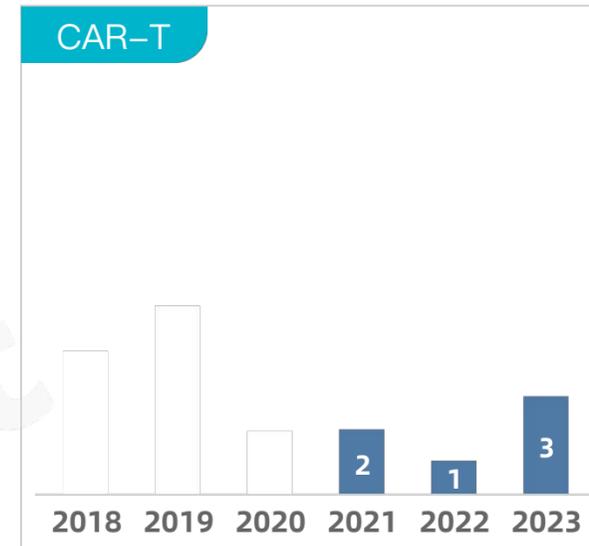
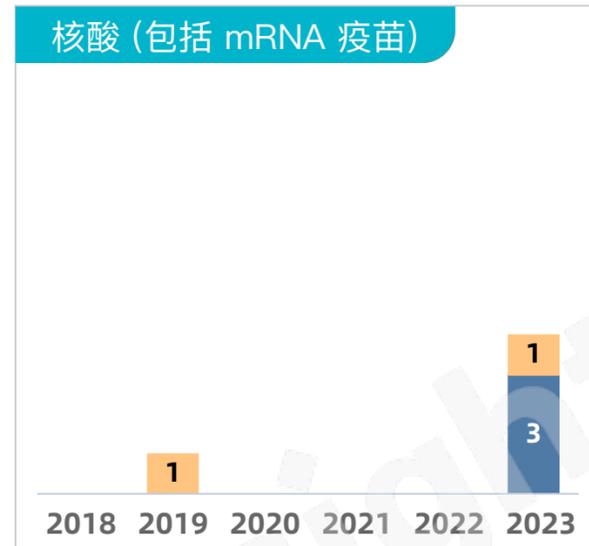
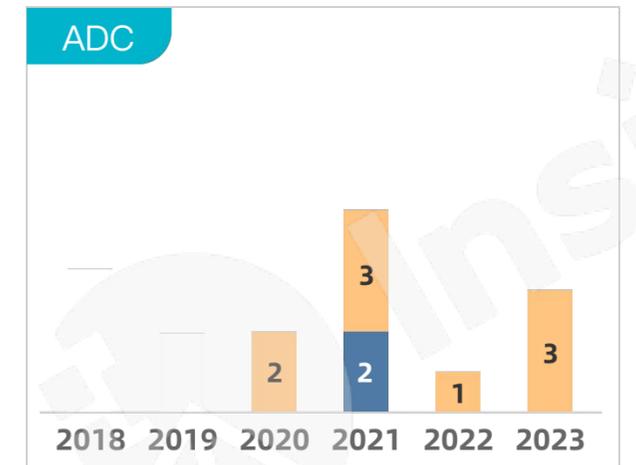
- 国产新药上市获批品种数量波动增长
- 获批的国产核酸均为纳入紧急使用的新型冠状病毒 mRNA 疫苗

- 获批上市的双抗/多抗以及 ADC 以进口为主
- 国产 CAR-T 差异化布局，已有 4 个品种的 7 个适应症获批上市

近 6 年新药上市获批数量 (按品种适应症计)



近 6 年新药各技术类别上市获批数量 (按品种适应症计)



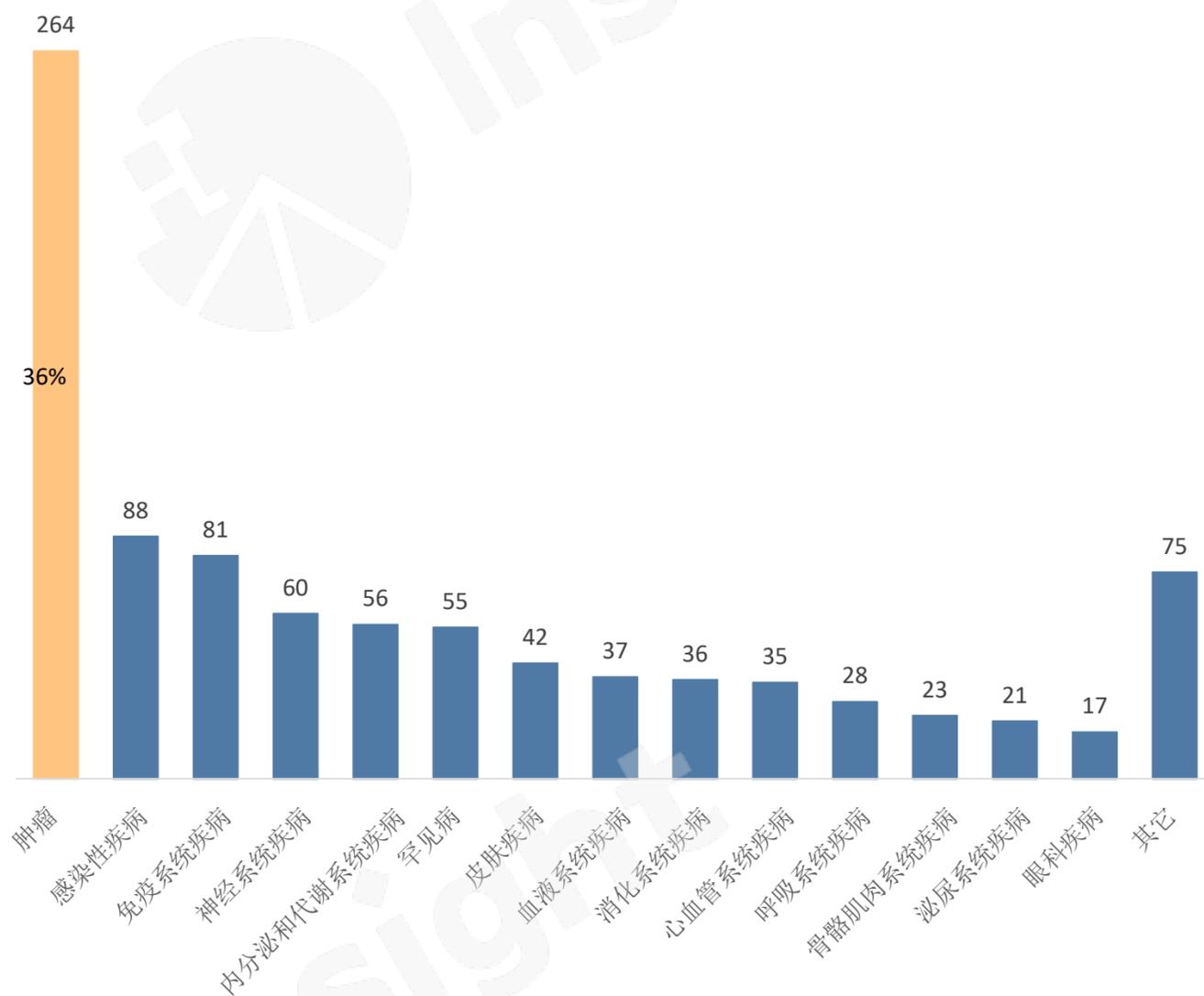
药品名称	获批适应症
阿基仑赛	大B细胞淋巴瘤 (二/三线) 纵膈大B细胞淋巴瘤 (三线) 弥漫性大B细胞淋巴瘤 (三线)
瑞基奥仑赛	大B细胞淋巴瘤 (三/末线) 滤泡性淋巴瘤 (三线)
伊基奥仑赛	多发性骨髓瘤 (末线)
纳基奥仑赛	B细胞急性淋巴细胞白血病

注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，统计的均为受理号数量，统计范围为化药、生物制品。
统计截止 2023.12.31

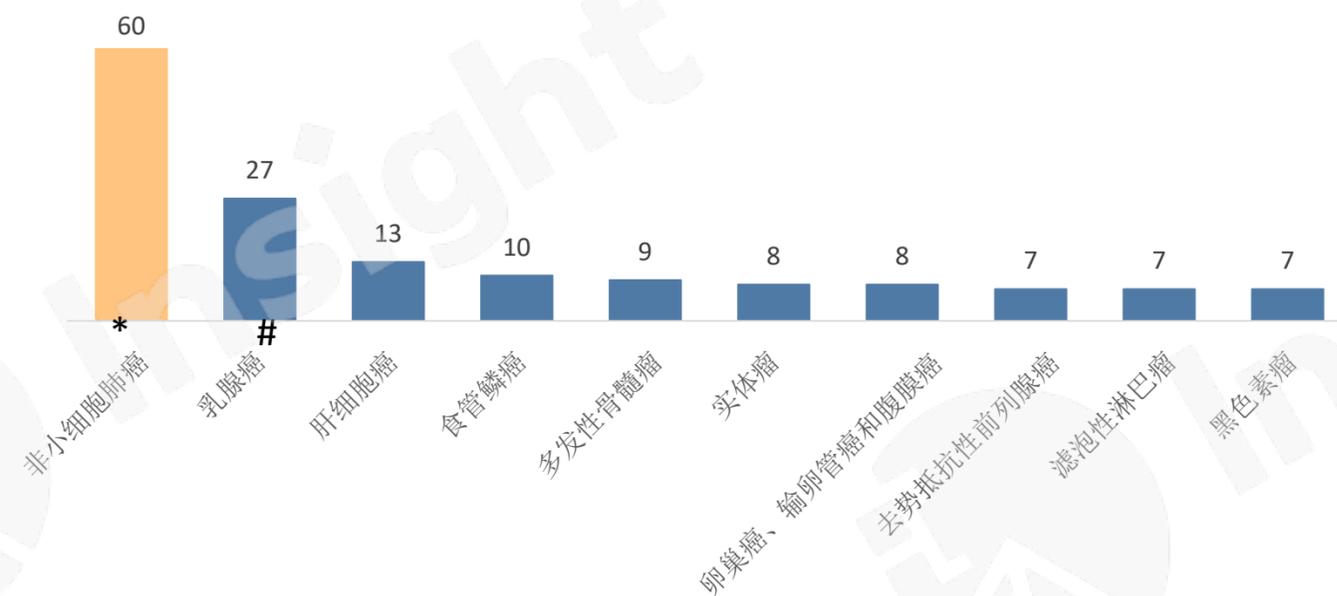
近 6 年，新药上市获批肿瘤领域占比 36%，其次为感染性疾病和免疫系统疾病，罕见病排名第 6；肿瘤适应症中以非小细胞肺癌居多，非肿瘤适应症中 2 型糖尿病居多



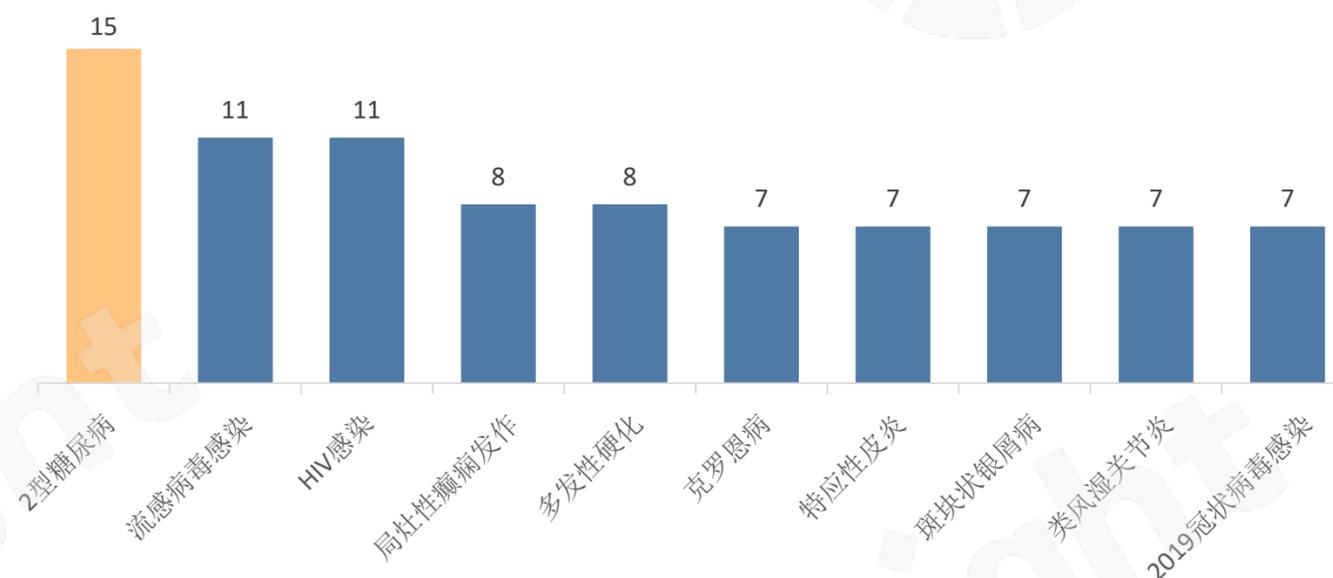
2018-2023 年新药上市获批品种的疾病领域分布



2018-2023 年新药上市获批品种的 TOP10 肿瘤适应症



2018-2023 年新药上市获批品种的 TOP10 非肿瘤适应症

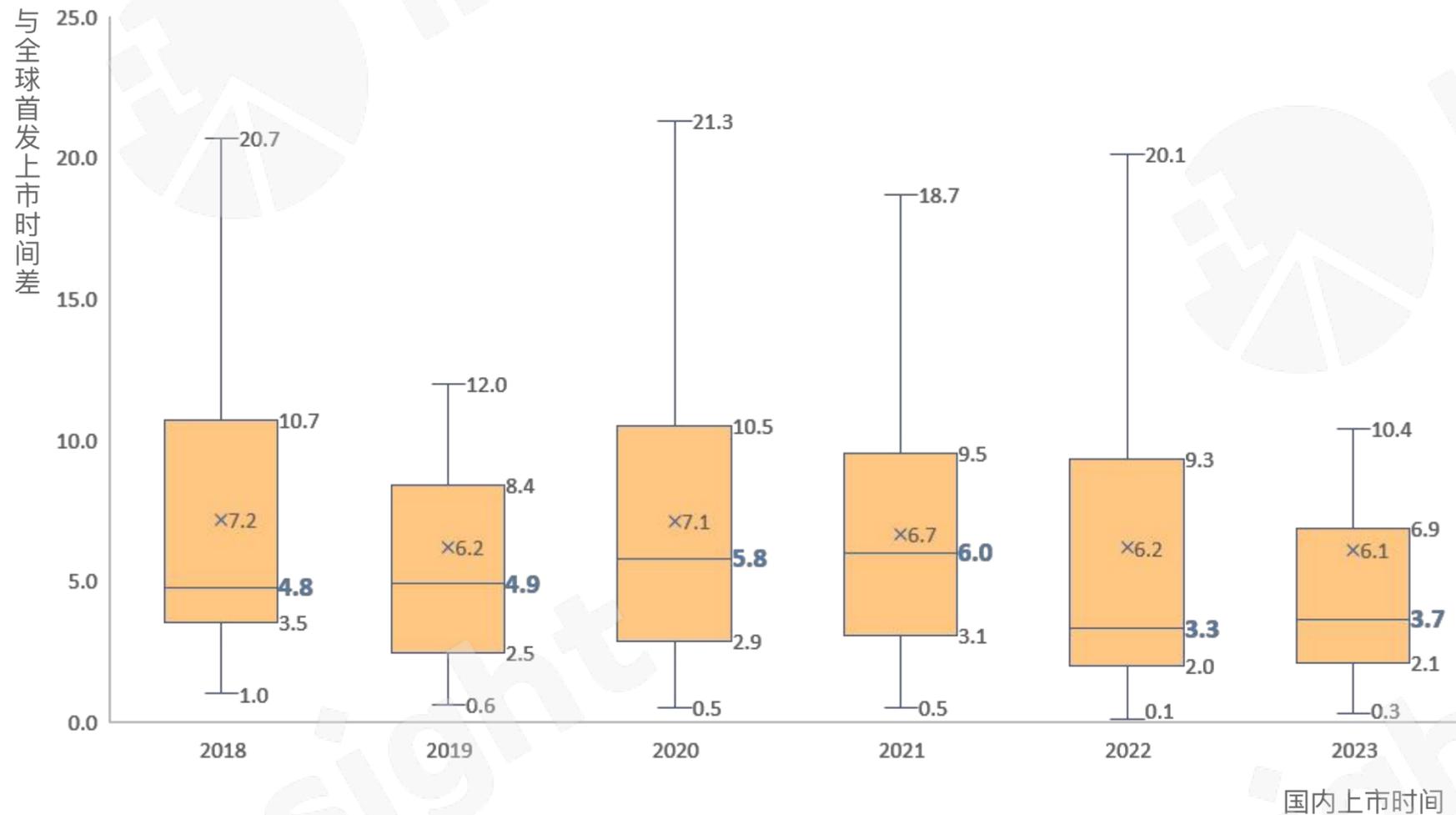


注：数据来源于 Insight 数据库、CDE；统计范围为化药新药、生物制品新药批准上市的品种适应症对应的疾病领域；多领域重复统计；数据截止 2024.01.05；*含非鳞状非小细胞肺癌，鳞状非小细胞肺癌等亚型；#含 HER2 阳性乳腺癌、HR 阳性、HER2 阴性乳腺癌等亚型

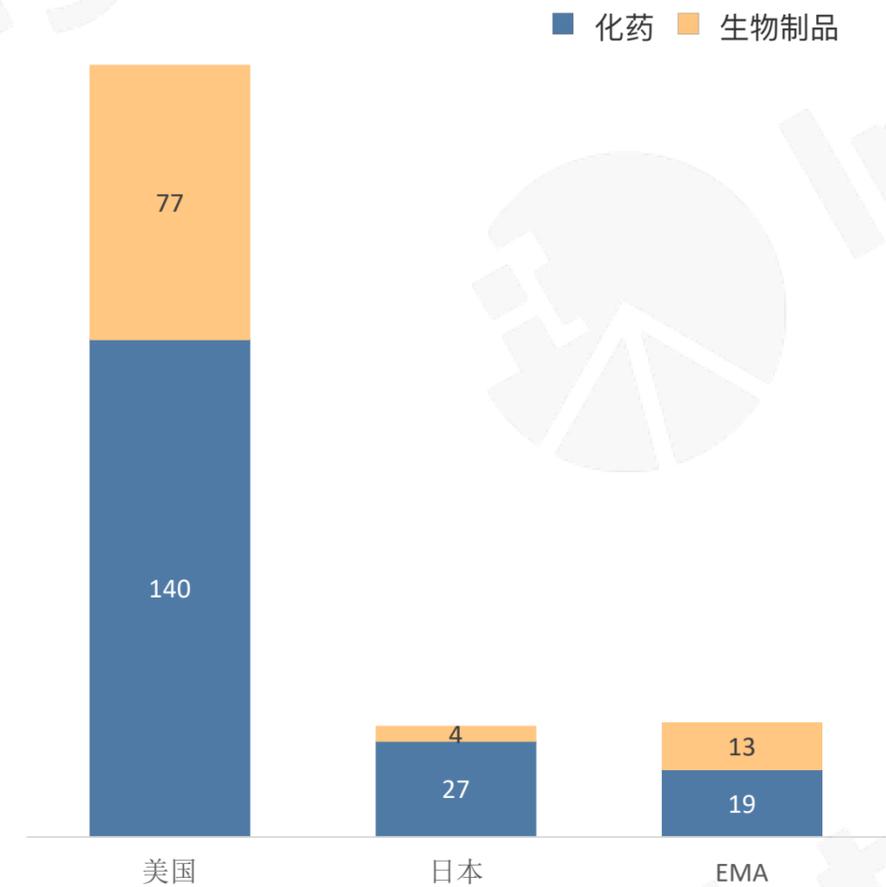
进口新药国内上市时间和全球首发上市时间差明显缩短，国内同步研发是大趋势

- 国内上市时间与全球首发上市中位时间差整体呈变小趋势，由 2018 年的 4.8 年，缩短为 2023 年的 3.7 年
- 境外首发上市地以美国为主，占比约 71%；药品类型以化药为主，占比约为 65%

国内上市时间和全球首发上市时间差 (年)



境外首发上市地区分布

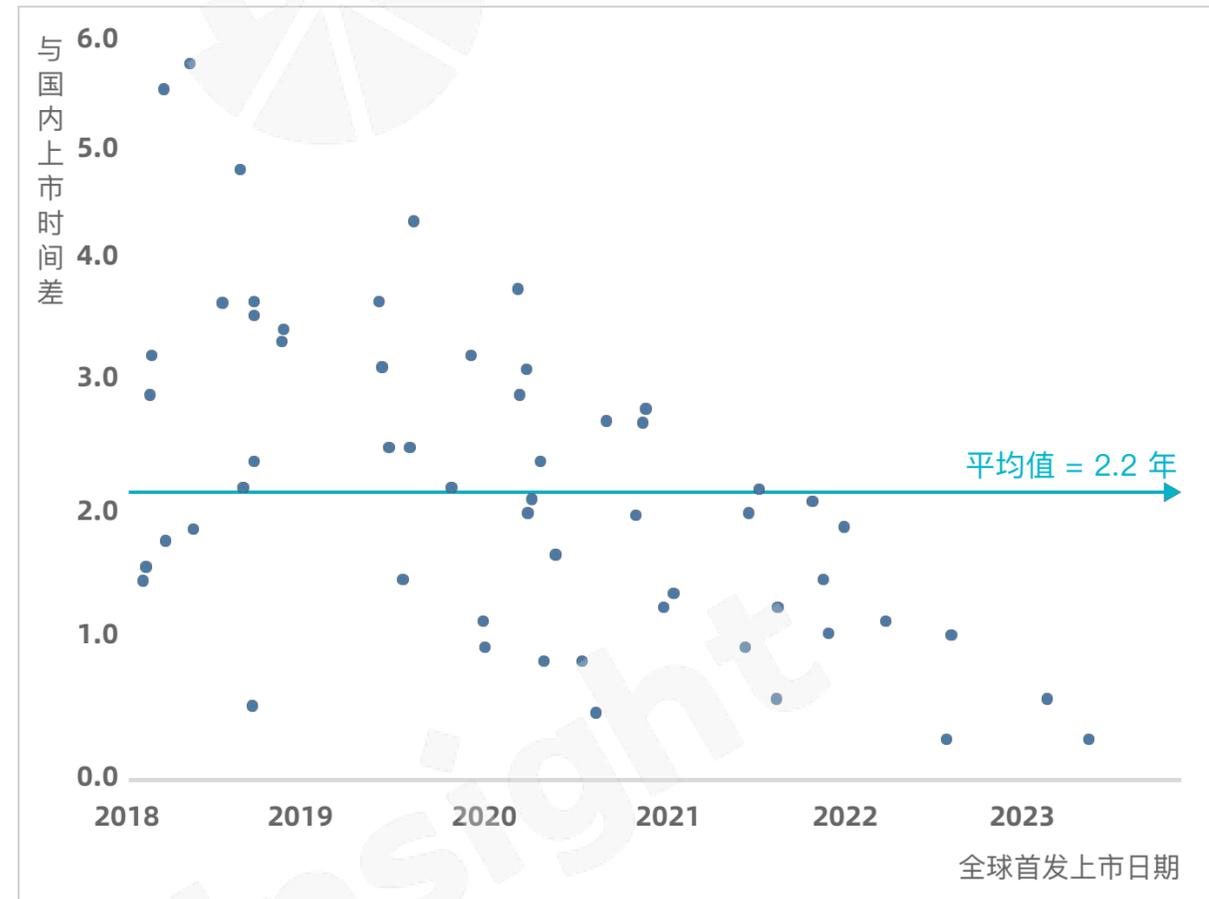


注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，截止 2024.01.05，统计的均为登记号数量，统计范围为进口化药新药和生物制品新药。

进口新药国内上市时间和全球首发上市时间差明显缩短，国内同步研发是大趋势

- 近 6 年全球首发新药的首发上市时间和国内获批时间的平均时间差为 **2.2 年**
- 2023 年全球首发新药中，已经有 2 款新药在国内获批，全球首发时间和国内获批时间差**仅为半年**
- 罗氏制药的格罗菲妥单抗凭借 I 期 GLOSHINE 研究，通过突破性疗法、优先审评和附条件批准通道在**国内获批上市**
- 辉瑞制药的利特昔替尼凭借 II / III 期 ALLEGRO 国际多中心研究，通过突破性疗法、优先审评通道在**国内获批上市**

国内上市时间和全球首发上市时间差 (年)



注：数据来源于 Insight 数据库、CDE，截止 2024.01.05，统计的均为登记号数量，统计范围为进口化药新药和生物制品新药。

2

特殊审评通道趋势

优先审评审批

突破性治疗

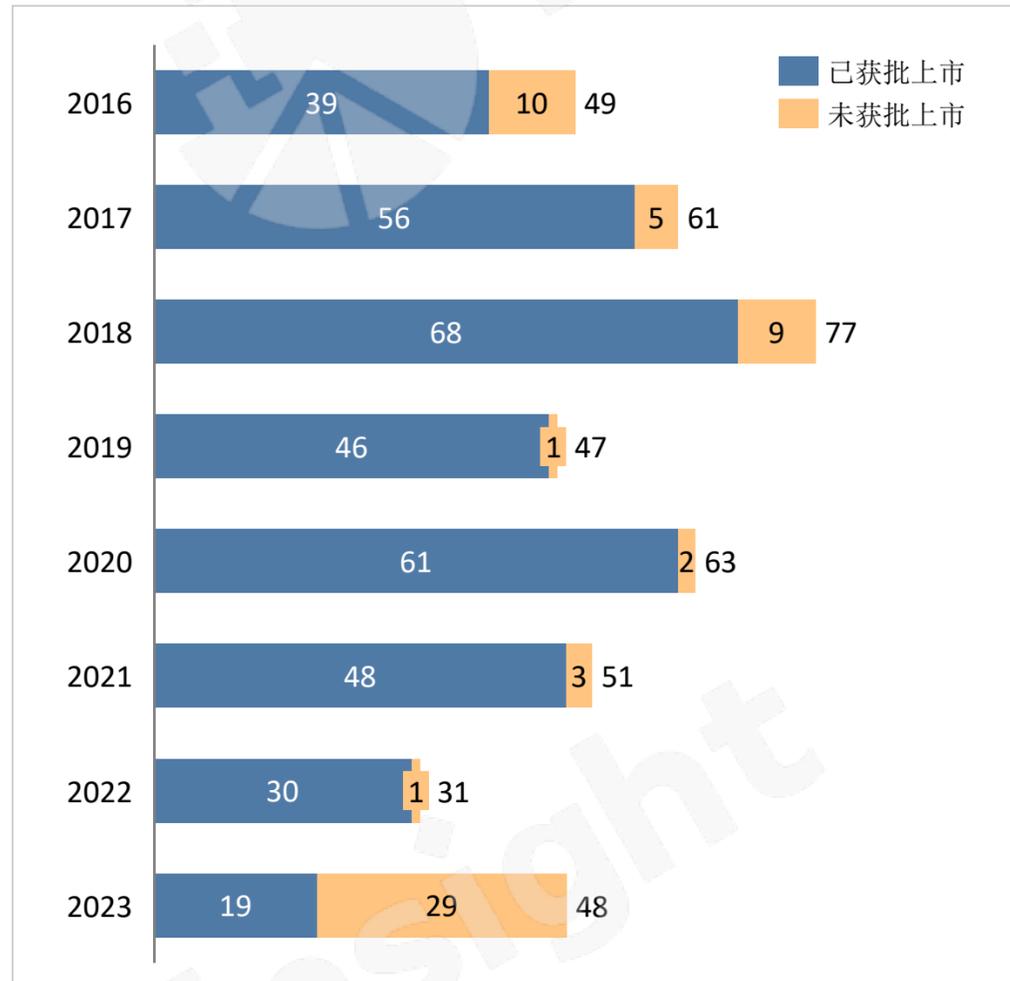
附条件批准

2023 年 48 个新药纳入优先审评审批，46 个新药纳入突破性治疗，21 个新药被附条件批准，其中纳入突破性治疗的新药数量创历史新高



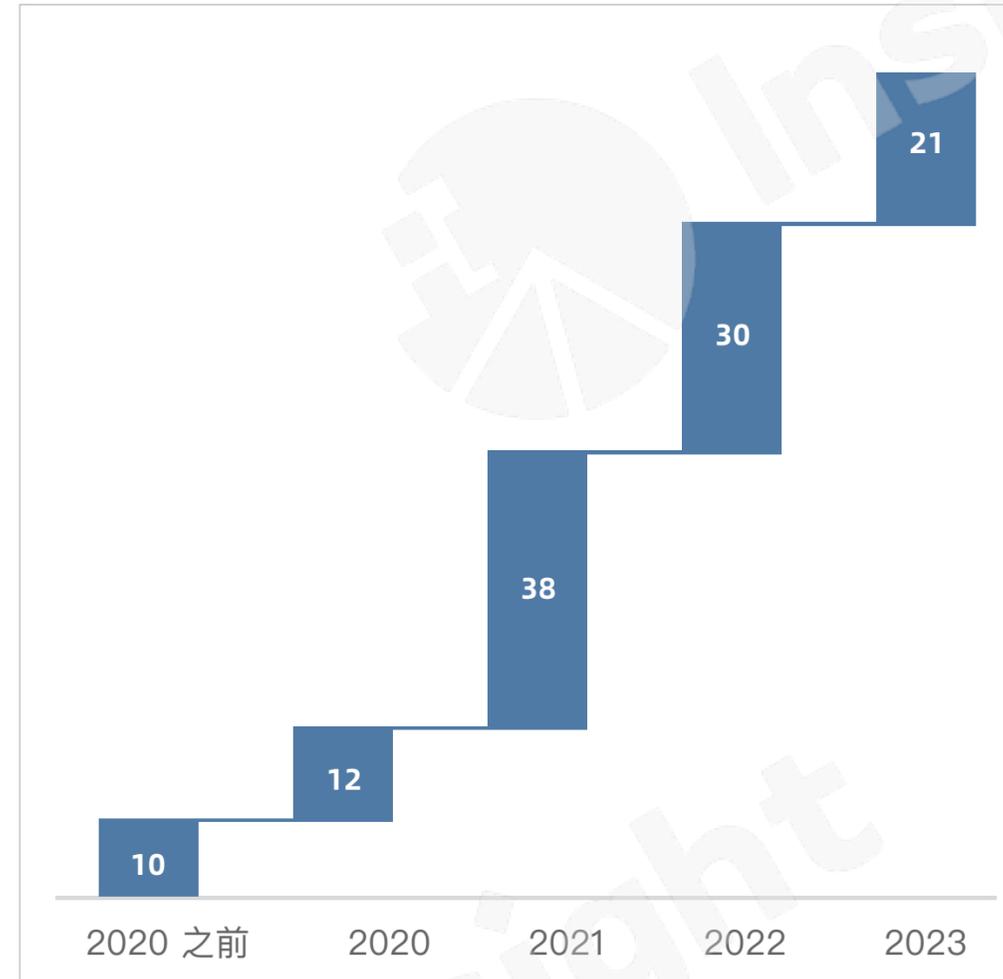
321 个新药纳入优先审评审批

历年纳入优先审评审批新药数量



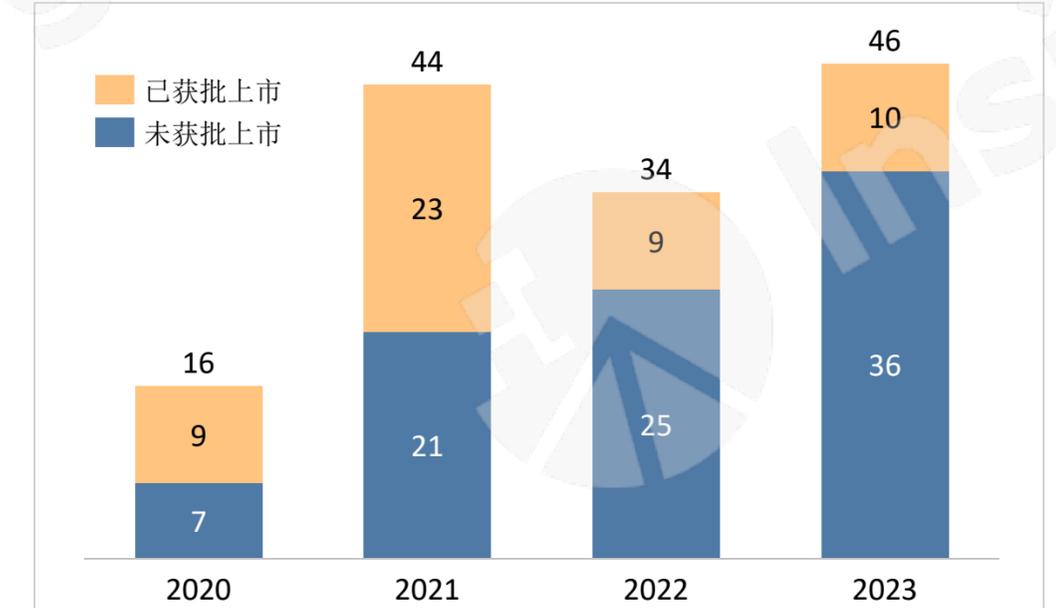
100+ 个新药被附条件批准

历年附条件批准品种数



129 个新药纳入突破性治疗

历年纳入突破性治疗品种数



纳入品种数 ≥2 的国内企业

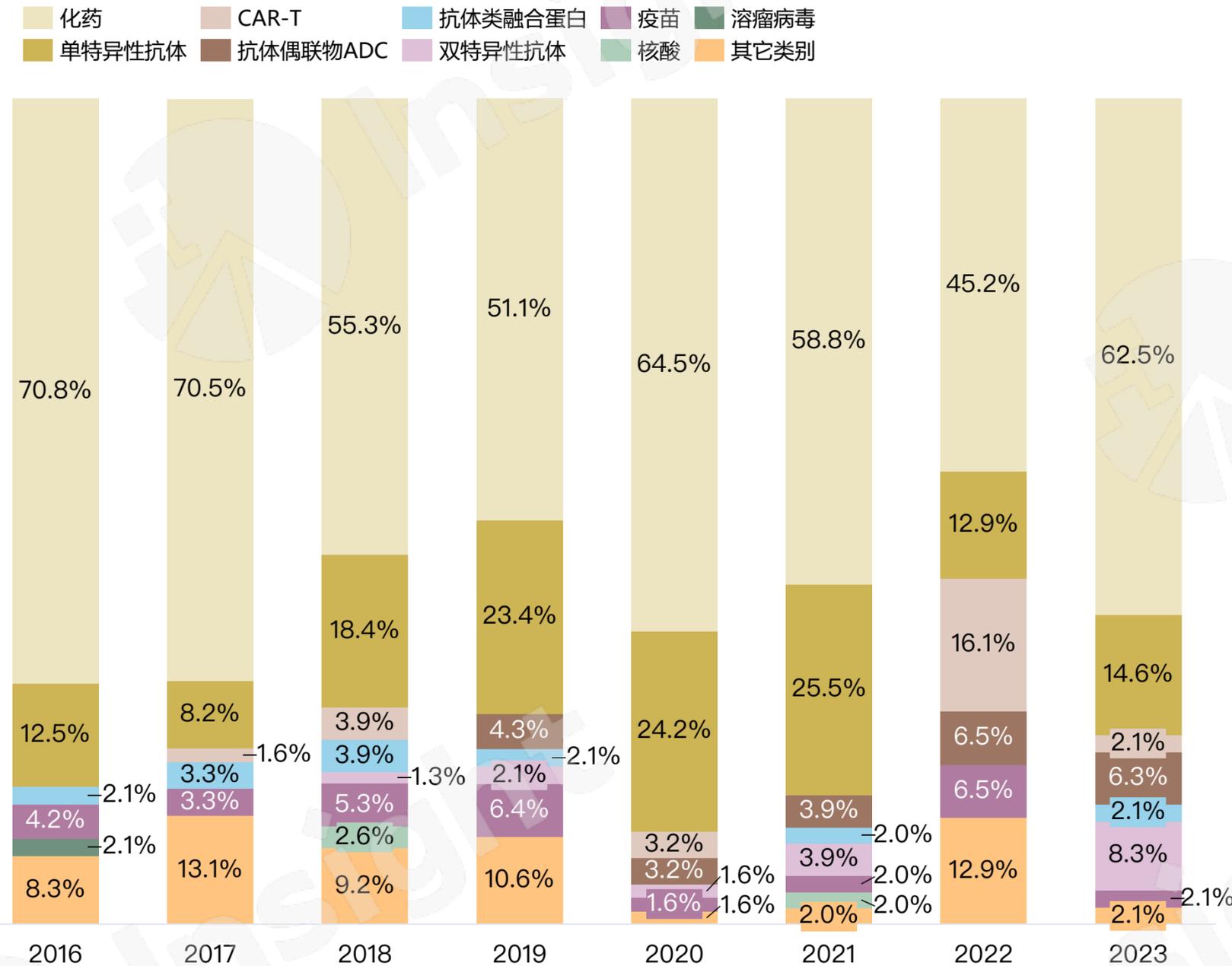


注：数据来源于 Insight 数据库、NMPA、CDE 以及公开新闻等。
统计截止 2023.12.31

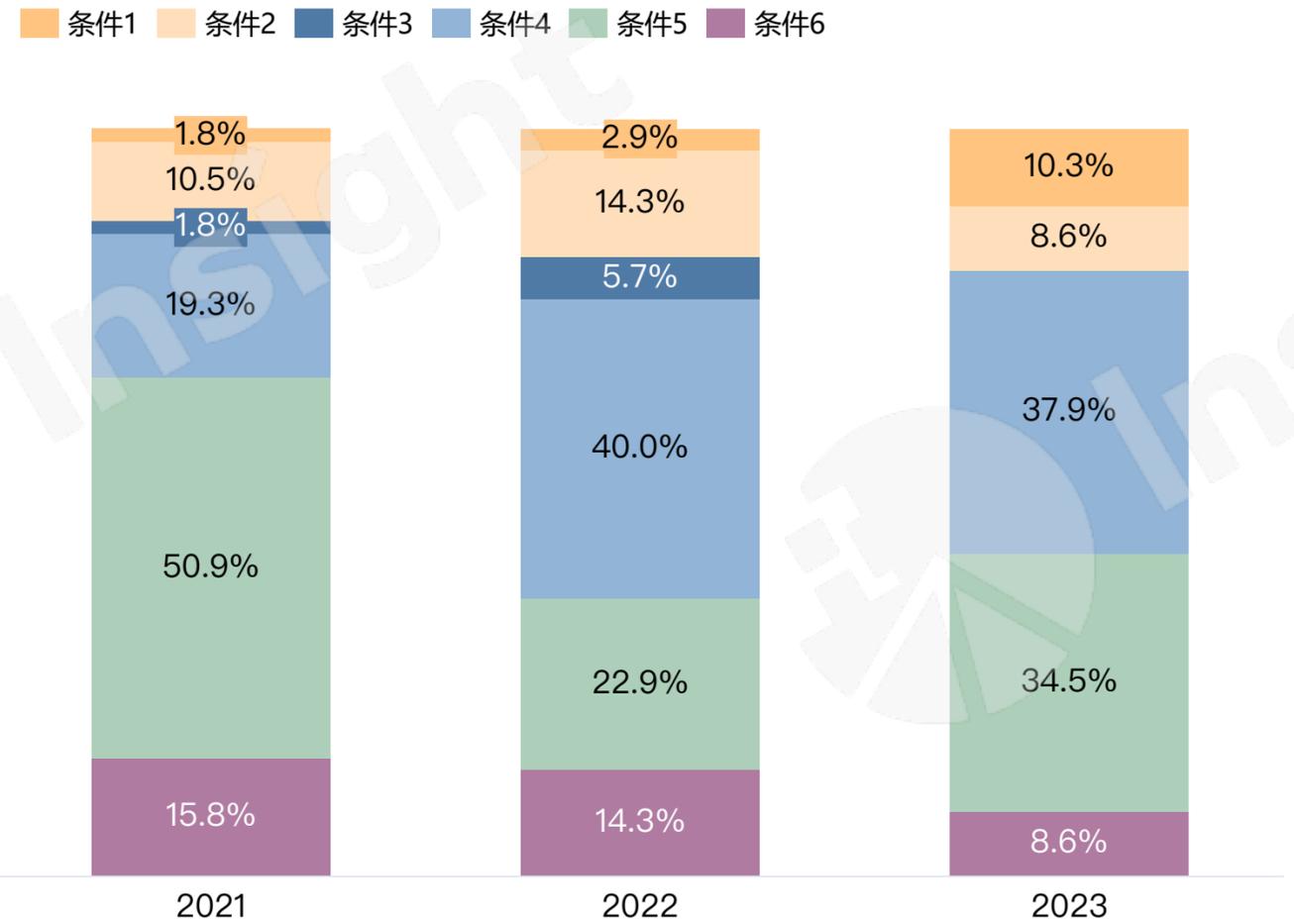
纳入优先审评审批新药以化药和单抗为主，近四年新技术类别的新药占比呈上升趋势； 从纳入条件看，突破性治疗与符合附条件批准的药品占比最高



历年纳入优先审评审批的新药成分类别分布情况



2021-2023 年纳入优先审评审批新药纳入条件分布情况



注：分类条件参考新版药品注册管理办法，符合多个条件的重复计数
 (一) 临床急需的短缺药品、防治重大传染病和罕见病等疾病的创新药和改良型新药；
 (二) 符合儿童生理特征的儿童用药品新品种、剂型和规格；
 (三) 疾病预防、控制急需的疫苗和创新疫苗；
 (四) 纳入突破性治疗药物程序的药品；
 (五) 符合附条件批准的药品；
 (六) 国家药品监督管理局规定其他优先审评审批的情形。

获附条件批准上市药品中，79% 适应症集中在肿瘤领域，其次为以新冠疫苗/药物为主的抗感染领域；附条件批准转常规批准需加快节奏



50% 以上为化药、国产药

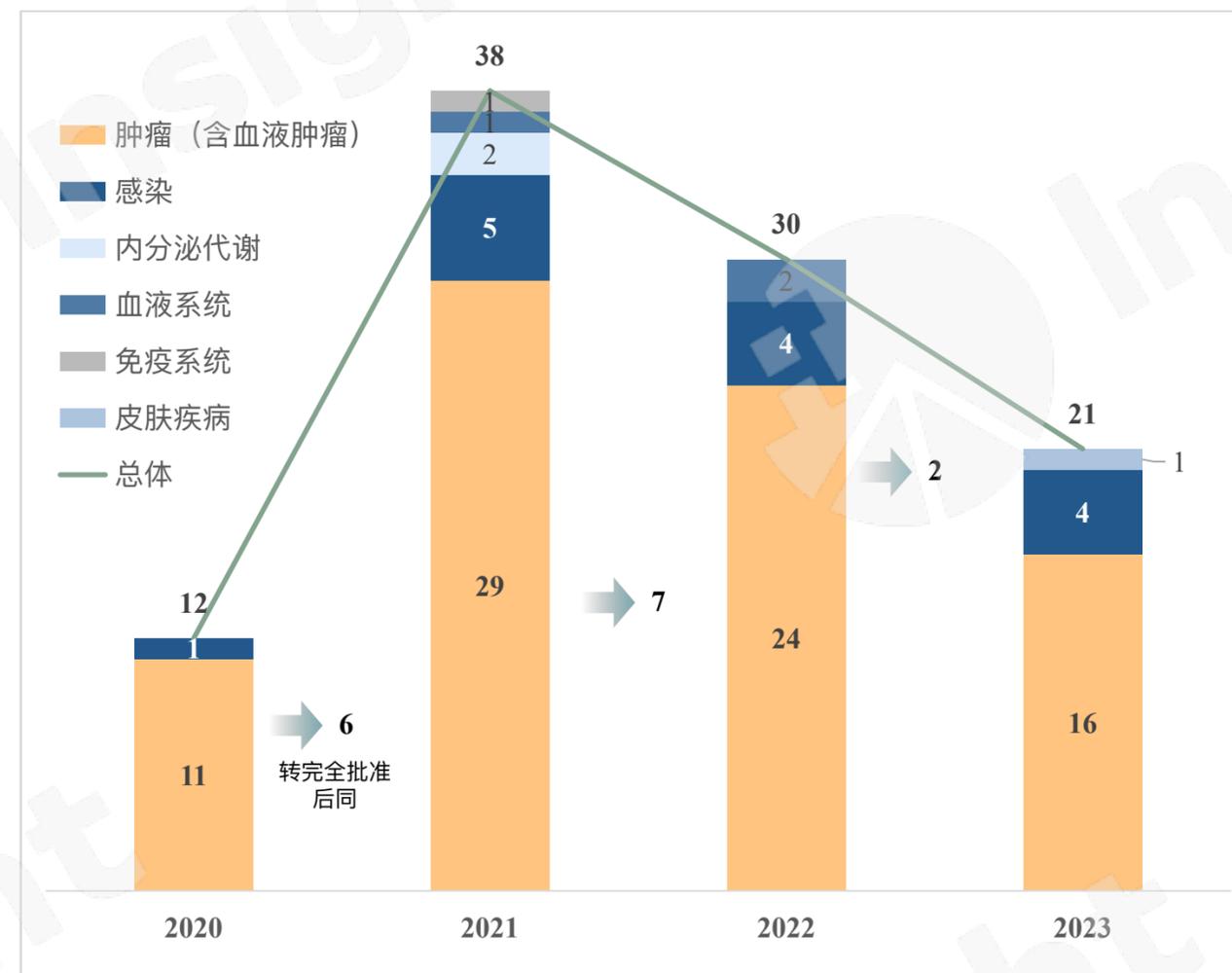
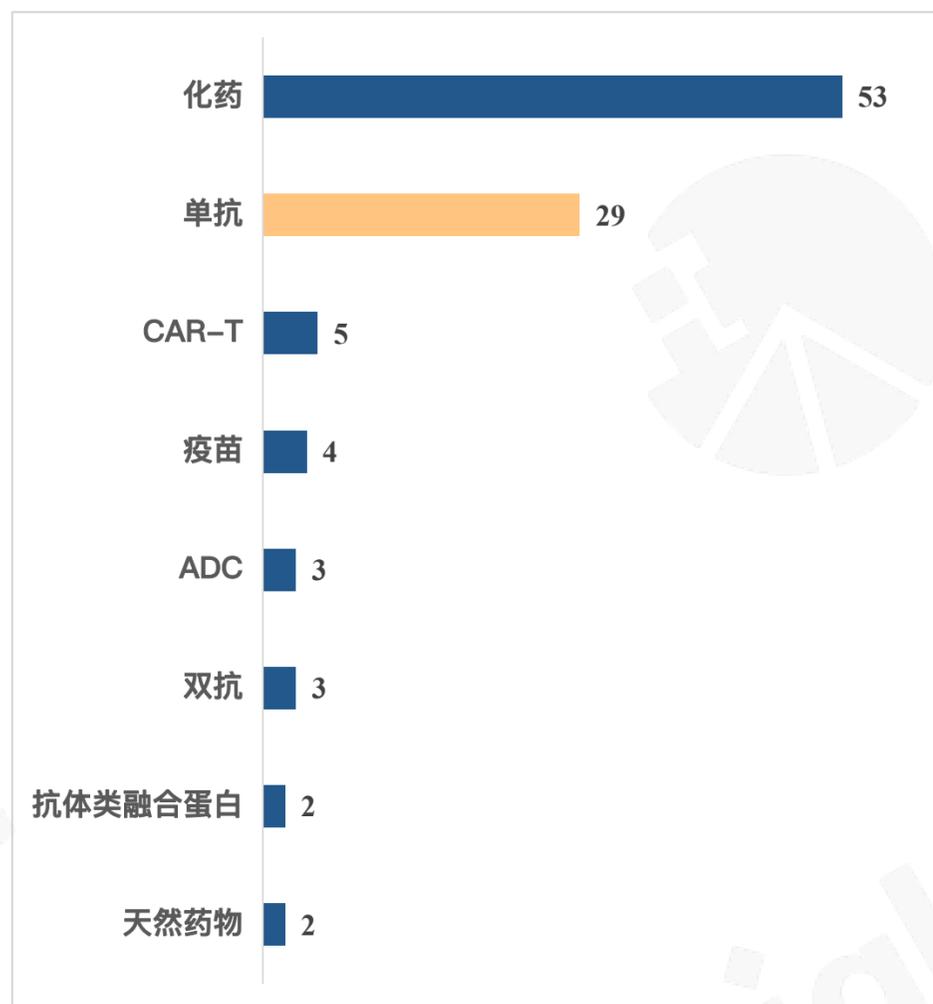
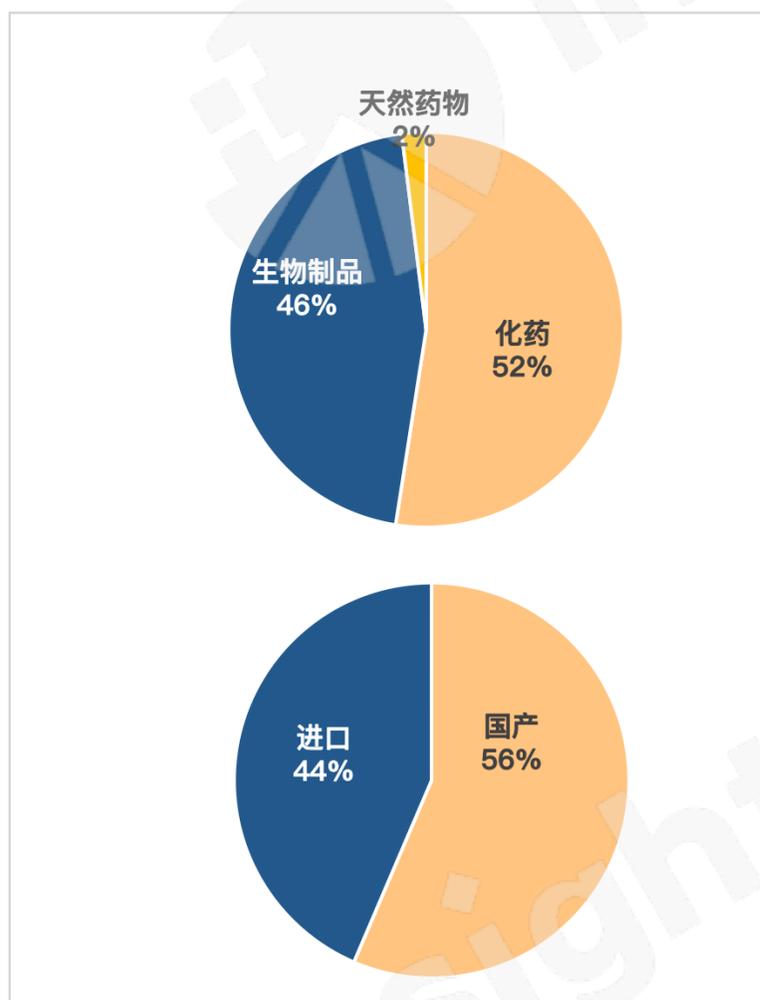
29% 单抗类药物占比 29%

79% 适应症集中在抗肿瘤领域

2020~2023 附条件批准药品类型分布

2020~2023 附条件批准药品中各成分类别数量

2020~2023 历年附条件批准药品治疗领域分布



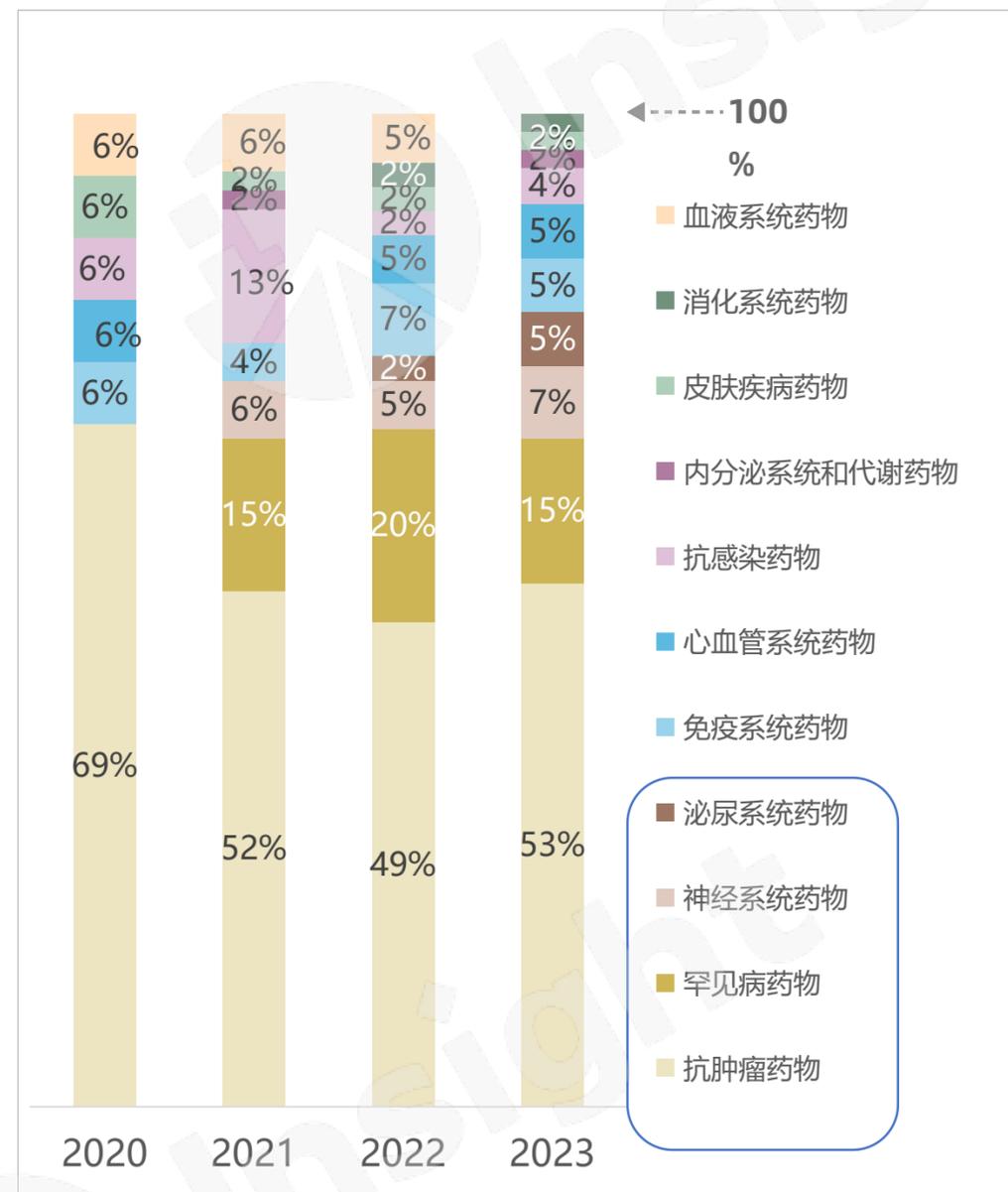
注：数据来源于 Insight 数据库，仅纳入 2020 年后数据统计截止 2023.12.31

近三年纳入突破性治疗的罕见病药物占比显著升高，化药与单抗占比低于优先审评和附条件，更倾向于激励新兴技术；纳入突破性治疗药物从开始关键临床到批准上市平均比普通路径的药物平均快

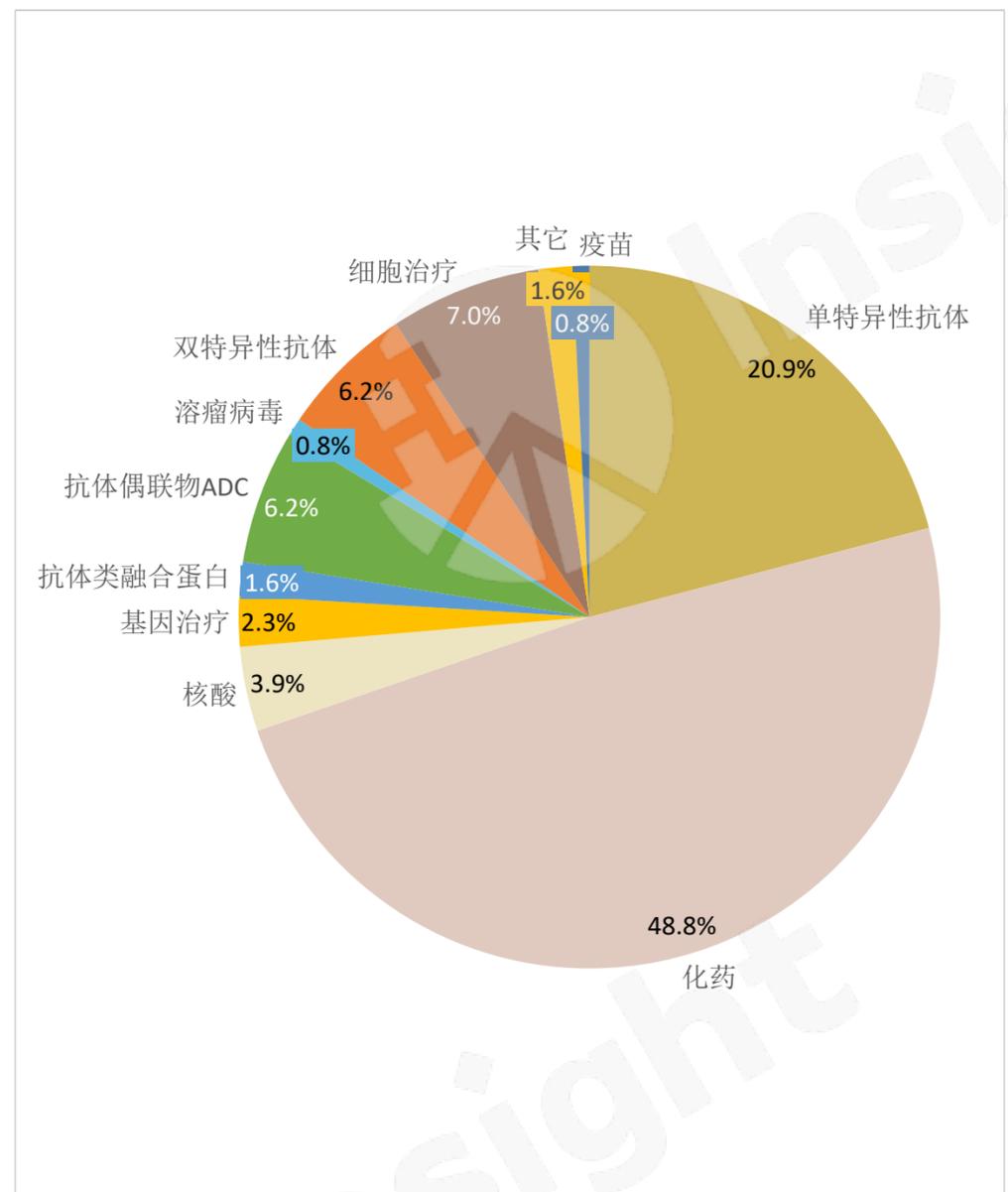


8.7 月

■ 疾病治疗领域历年分布情况



■ 成分类别整体分布情况



■ 纳入突破性治疗情况及研发审评时长对比



注：数据来源于 Insight 数据库、NMPA、CDE 以及公开新闻等统计截止 2023.12.31

3

新药上市策略和时限分析

审评通道占比

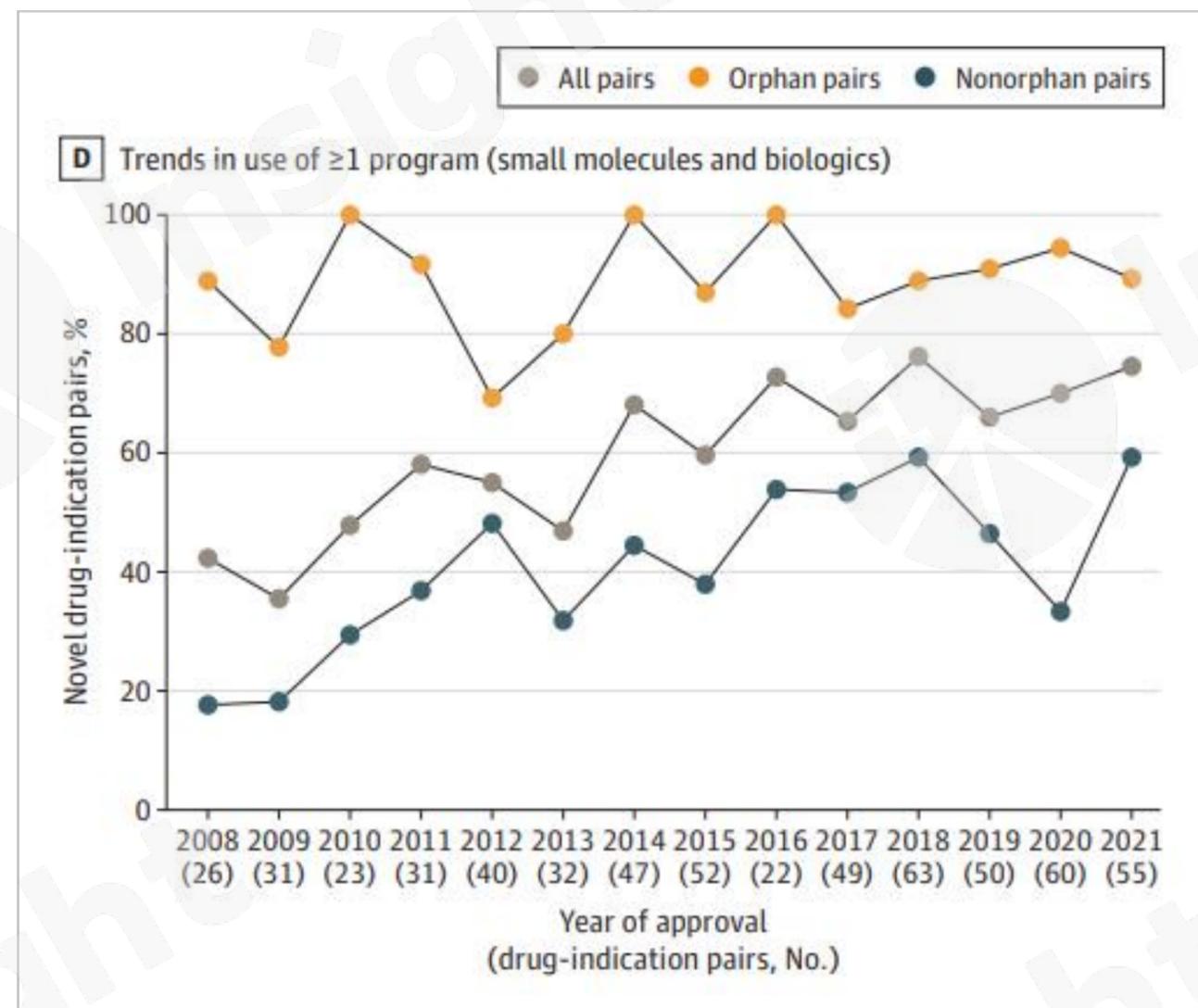
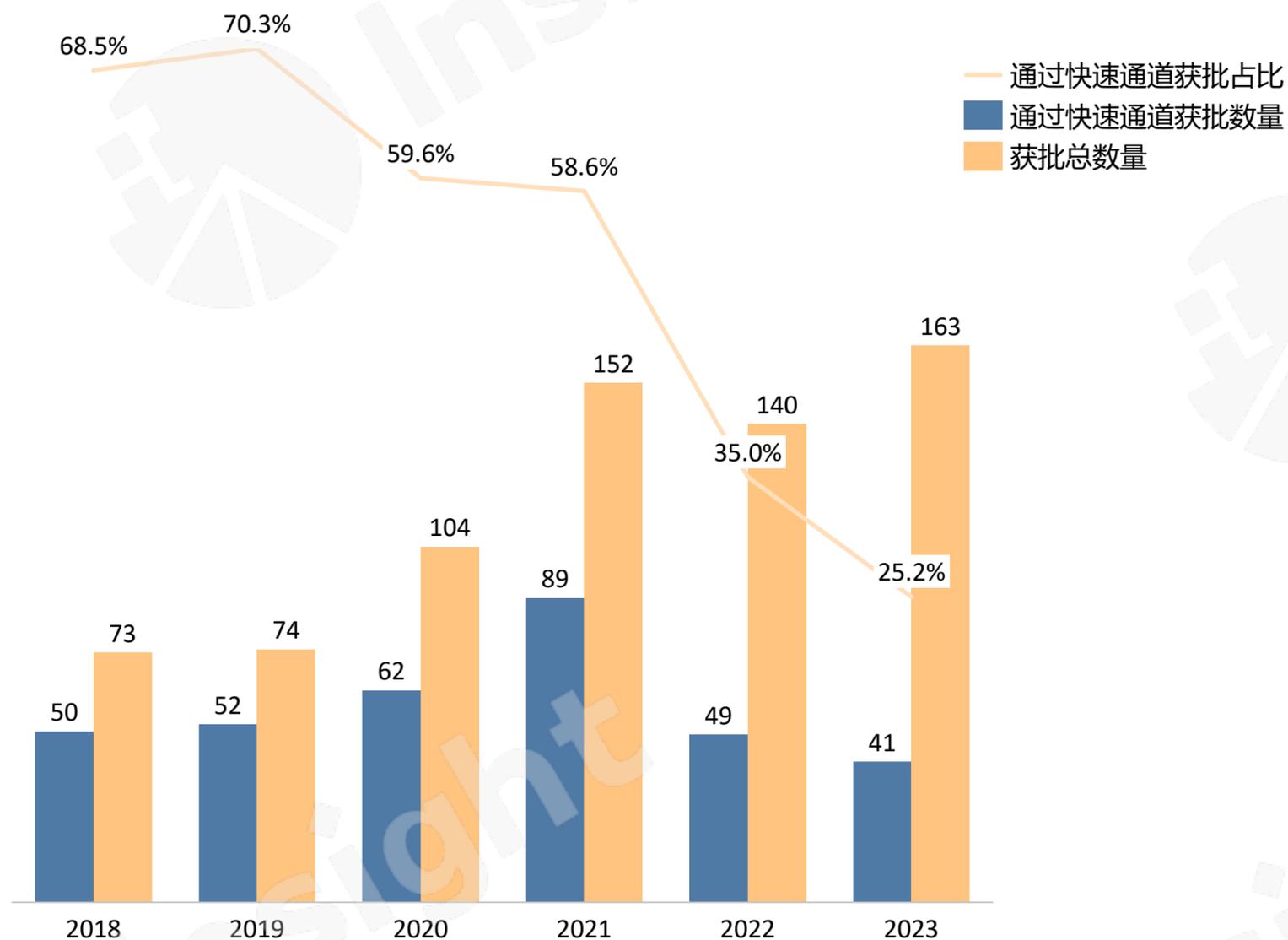
附条件策略

临床试验路径

2018 年至今，国内获批新药快速通道占比呈现快速下降的趋势，与 FDA 审评的趋势相反，值得思考 and 关注



- 国内，至少纳入一种快速通道获批的新药占总体获批新药的比例从 **2019 年的高点 70.3%** 快速下降至 **2023 年的 25.2%**；作为对比，在 2008~2021 年期间，FDA 批准的 581 项创新适应症中，使用至少一种加速通道获批的适应症申请的比例从 **2008 年的 42.3%** 提升到 **2021 年的 74.5%**



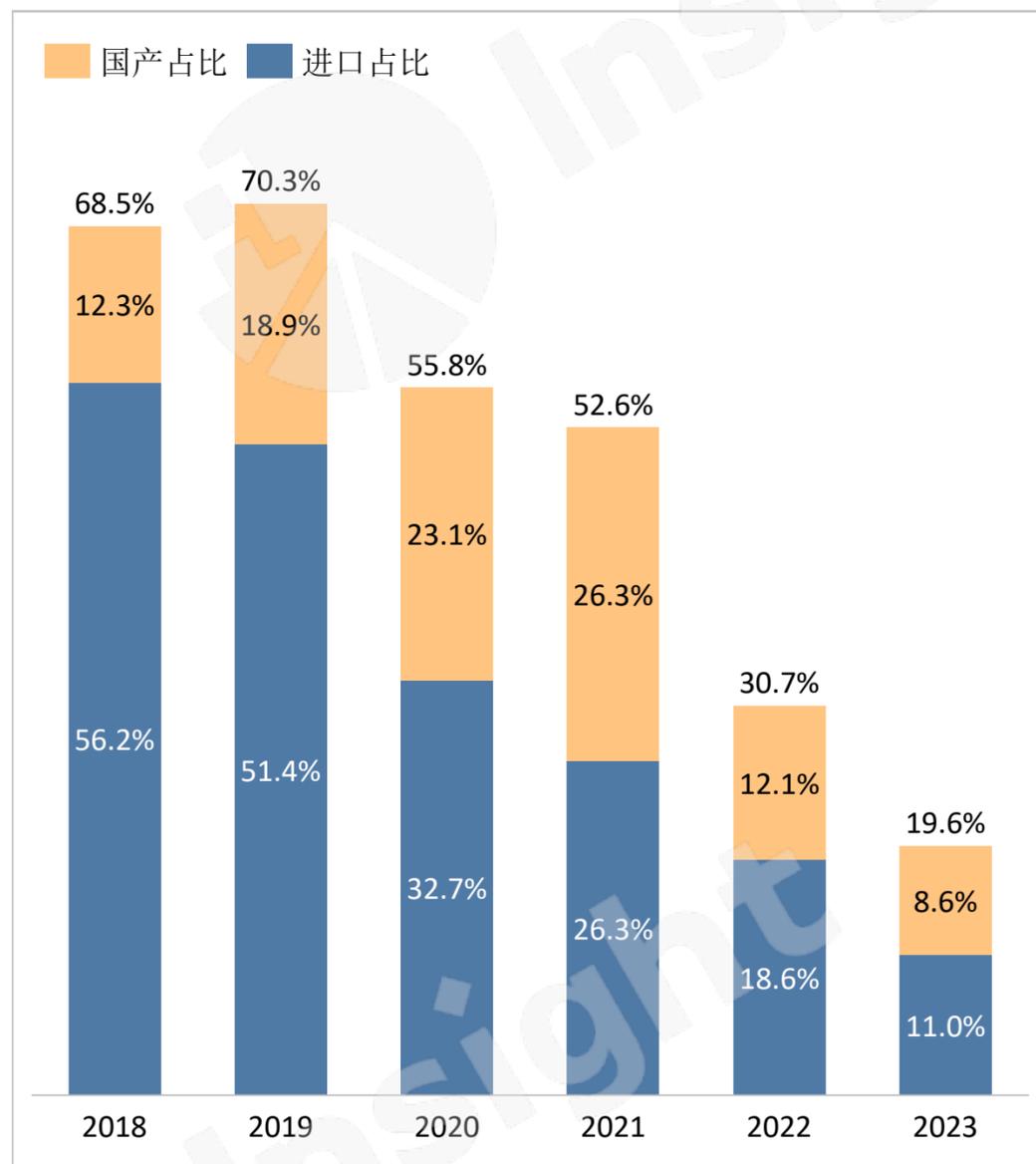
注：通过快速通道获批数量包含优先审评审批、附条件批准、突破性治疗；以成分-适应症维度统计
统计截止 2023.12.31

来源：JAMA Netw Open.2022;5(11):e2239336.doi:10.1001/jamanetworkopen.2022.39336

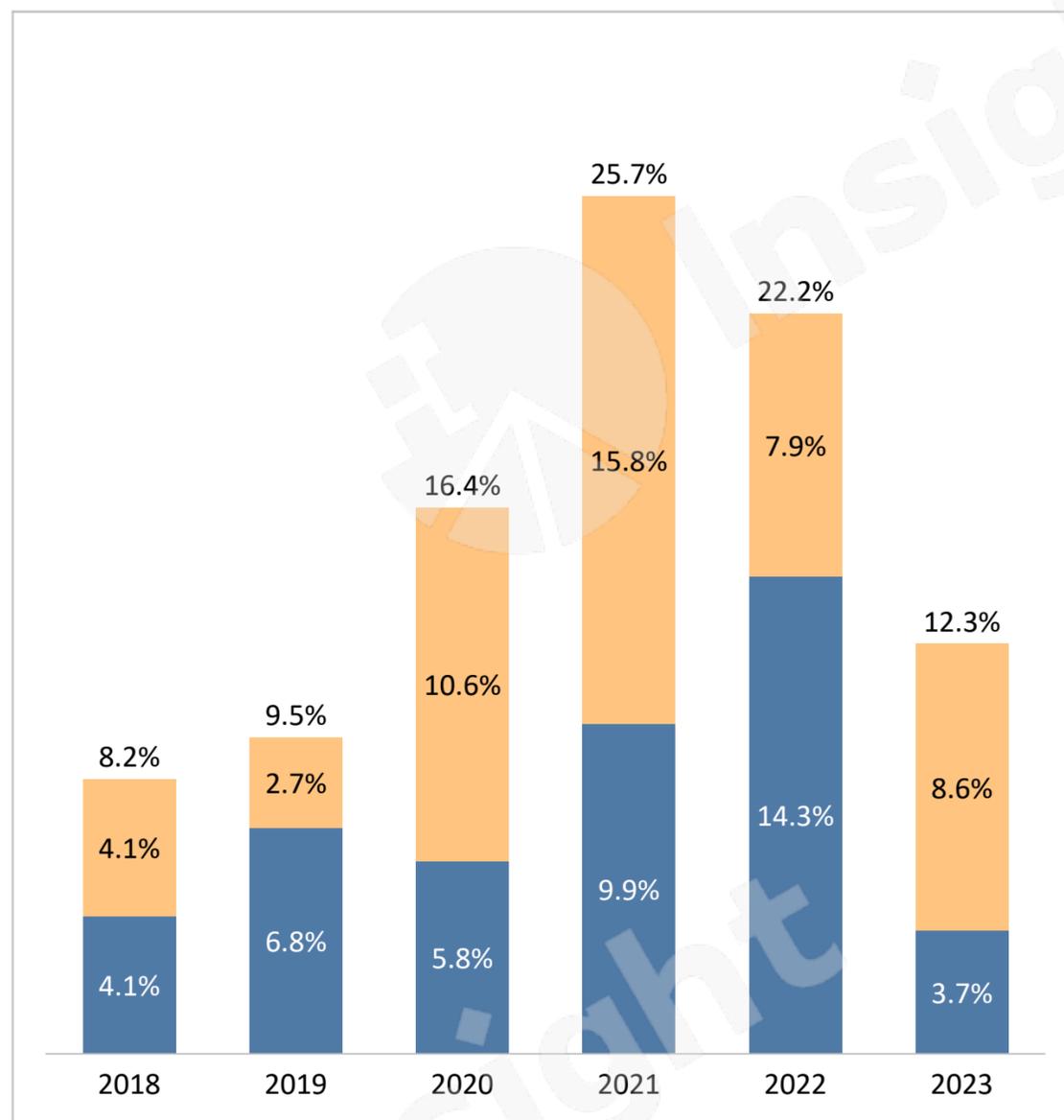
区分来看，主要是由于通过优先审评审批通道获批的新药占比的下降导致；从原因看，可能和快速通道政策历史较短，低垂果实已被采摘，同质化布局，官方鼓励关注临床未满足的需求等有关



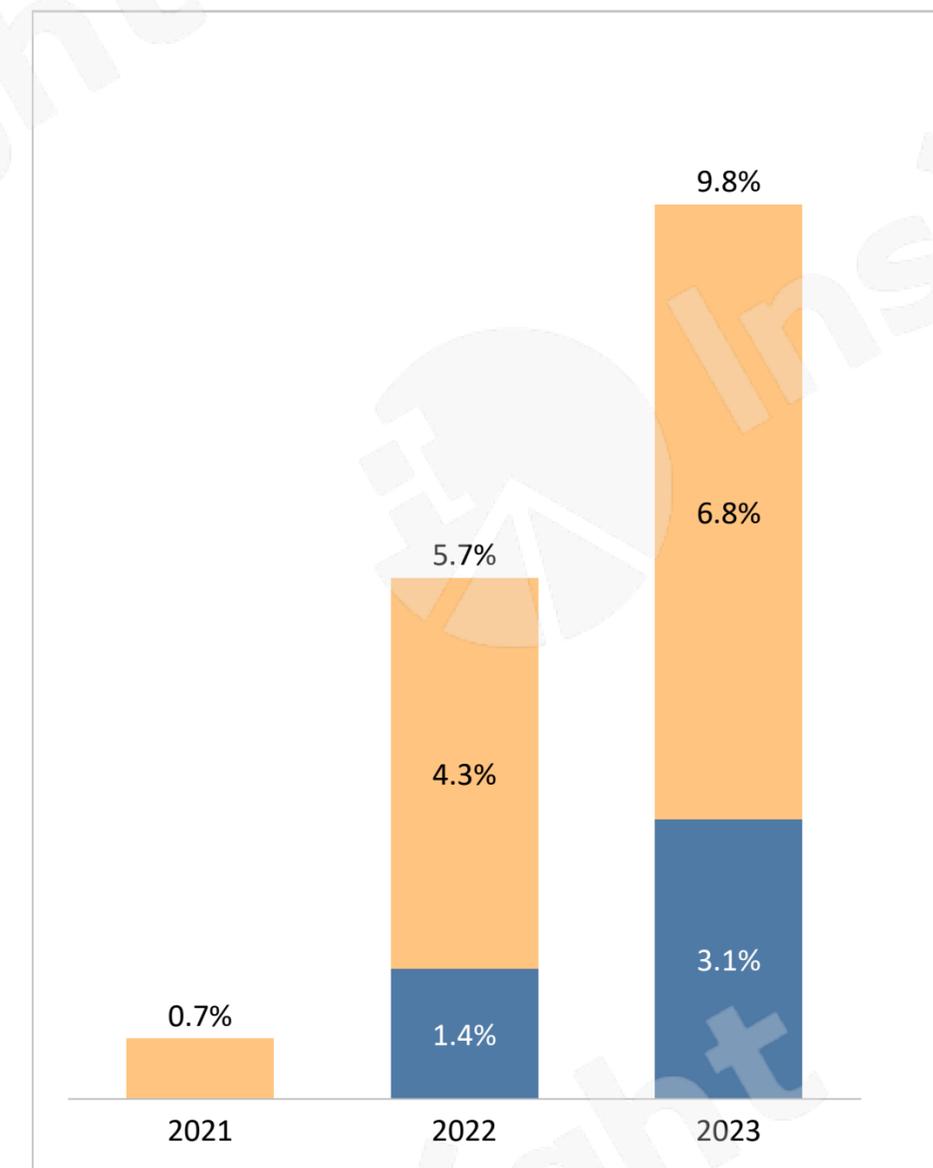
通过优先审评审批通道获批的新药占总体获批新药的比例



通过附条件批准通道获批的新药占总体获批新药的比例



通过突破性治疗通道获批的新药占总体获批新药的比例



注：数据来源于 Insight 数据库、NMPA、CDE 以及公开新闻等；以成分-适应症维度统计
统计截止 2023.12.31

绝大多数附条件批准肿瘤药品基于单臂设计的关键注册研究

相比普通路径，附条件路径获批药品的临床研究及审评时限明显缩短 13 月



附条件批准肿瘤药品中关键研究设计思路

■ 单臂研究

绝大多数附条件批准的药品在无治疗手段的末线肿瘤患者中开展单臂设计的关键性注册研究，最常用的替代终点是客观缓解率(ORR)相比历史数据的突出改善。
~85% 注册研究为单臂研究

■ 小样本量 II 期随机对照研究

相比单臂研究，以替代终点作为主要研究终点开展小样本量的随机对照研究可以更直接地反映药品的治疗获益

吡咯替尼



■ 确证性研究早期数据

采用适应性设计，以替代终点或期中分析结果提出附条件批准申请，再以临床终点主要分析结果支持常规批准，是一种更为稳妥和高效的注册策略

维奈克拉片



吡咯替尼时光轴 (从注册研究开始)



维奈克拉时光轴 (从注册研究开始)



附条件批准到完全批准 (从 2020 年起, n=15)

● 附条件批准转完全批准时间差, 中位数 665 天



● 附条件注册研究到确证性研究启动时间差, 中位数 230 天



附条件批准 VS 普通批准



附条件批准肿瘤药品关键注册临床研究中，多数研究样本量大于 50 例

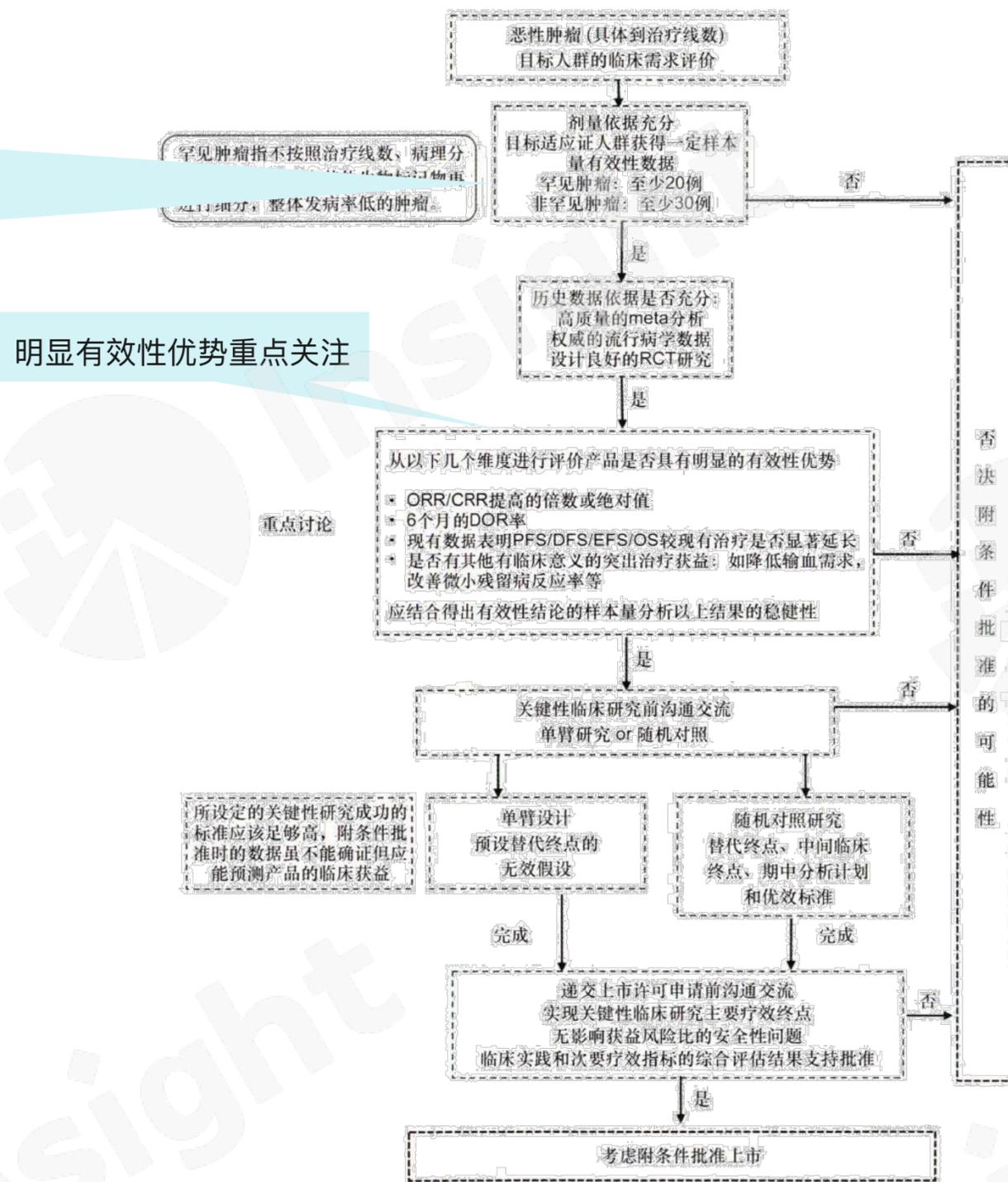
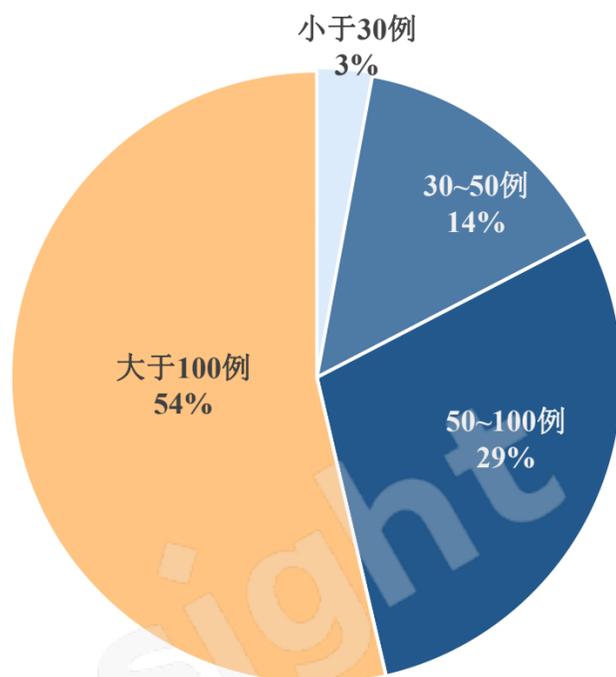
抗肿瘤创新药附条件批准工作程序适用性决策树

一般而言，至少需要在目标适应证人群中获得 20~30 例受试者(因瘤种而异)的有效性数据后，审评部门才会启动附条件批准的沟通交流。

样本量要求

- 罕见肿瘤：至少 20 例
- 非罕见肿瘤：至少 30 例

2020~2023 附条件批准肿瘤药品临床试验样本数占比



近 6 年获批新药中，非桥接/非免临床路径占半数以上；桥接支持上市申请有增加趋势，集中在肿瘤领域，免临床路径集中在罕见病、感染领域；



非桥接/非免临床

这个项目在本区域做了对应的临床研究

桥接

全球数据缺乏种族因素影响相关研究和数据的，应开展必要的 PK，和/或 PD，有效性和安全性研究，以支持该药品上市申请。

免临床

经评估，该药品安全有效且无种族敏感性的，可考虑豁免境内临床试验。适用于两类情形：

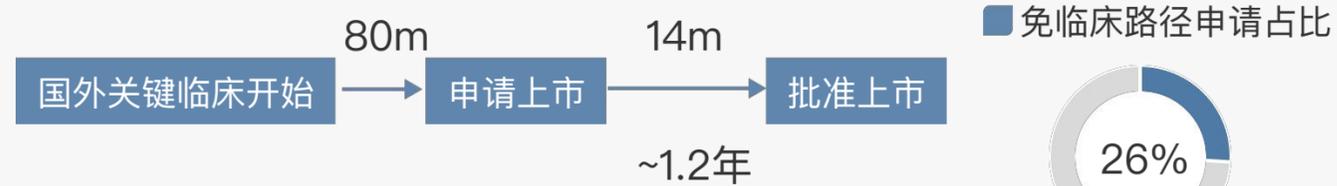
- 境外已上市的原研化学药品和治疗用生物制品或者重大疾控风险的临床急需药品；
- 境内外化学药品仿制药或者使用历程比较久的安全性药物。



2018~2023 桥接首次上市新药领域分布



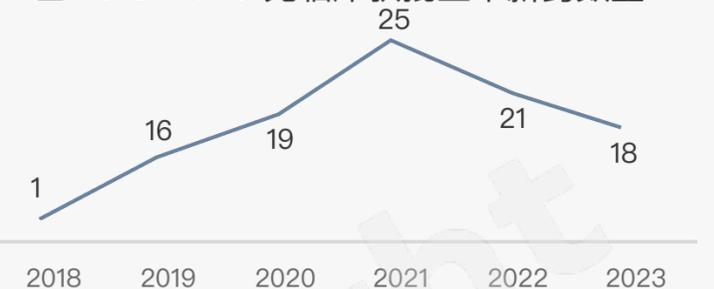
2018~2023 桥接获批上市新药数量



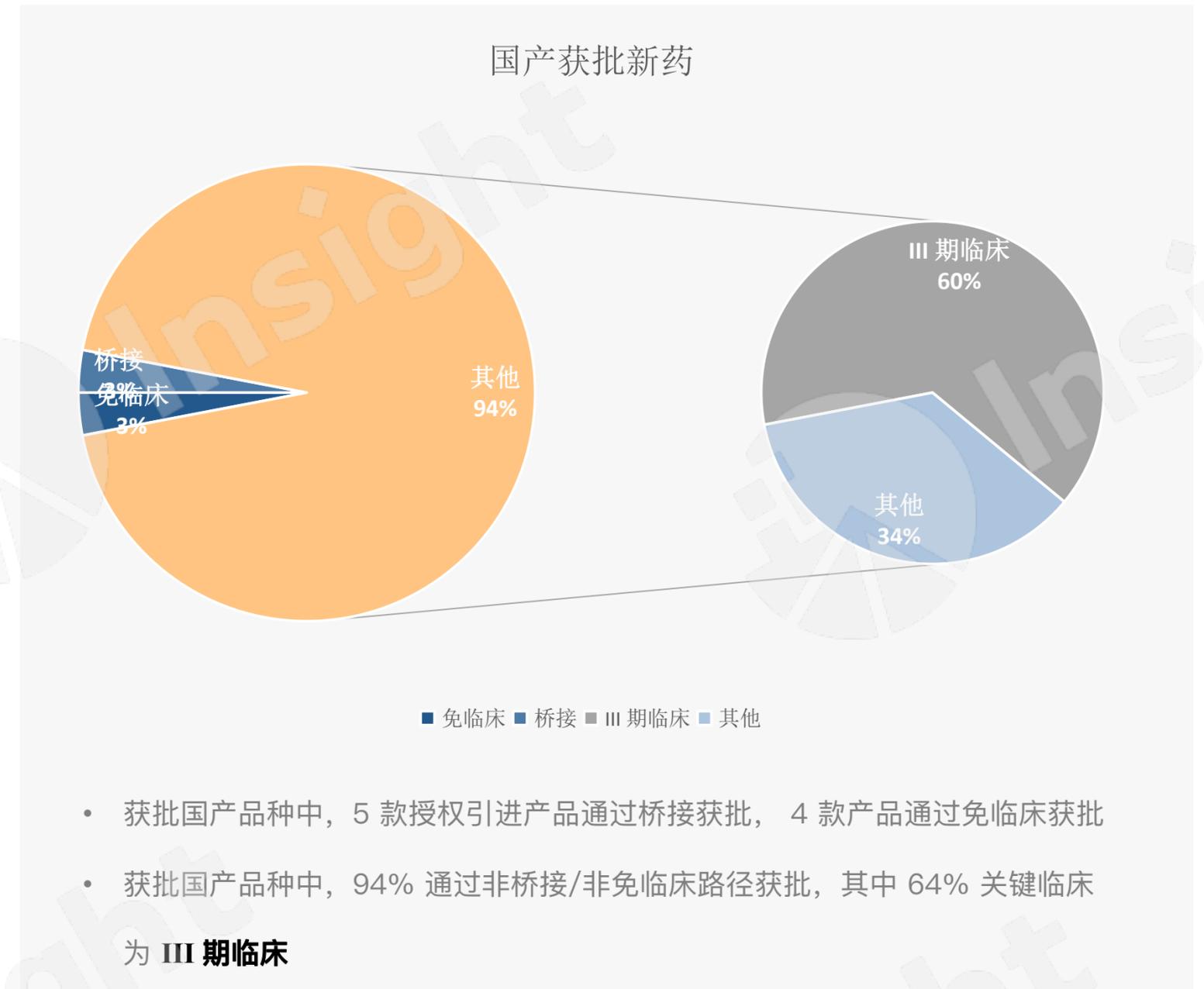
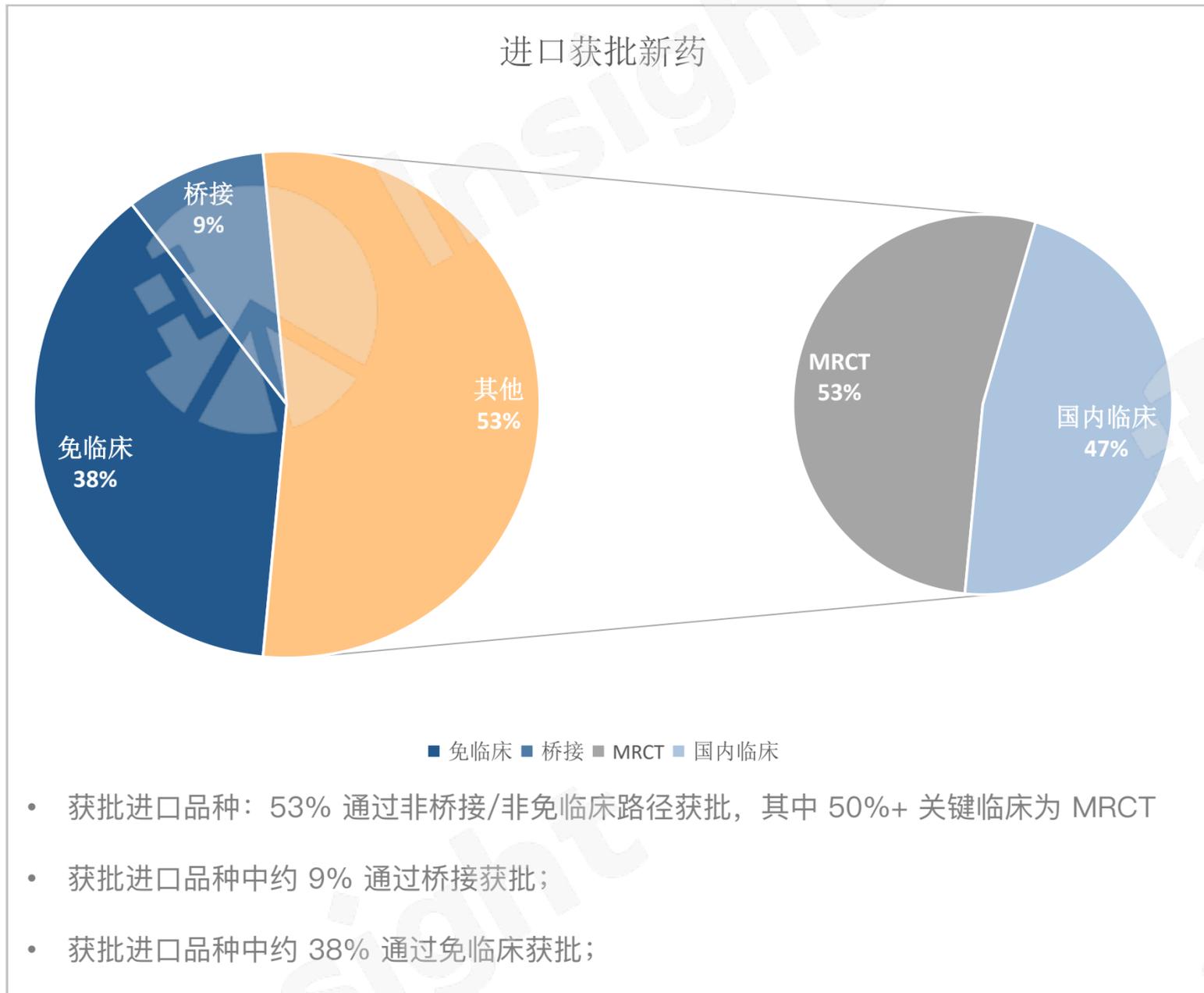
2018~2023 免临床首次获批新药领域分布



2018~2023 免临床获批上市新药数量



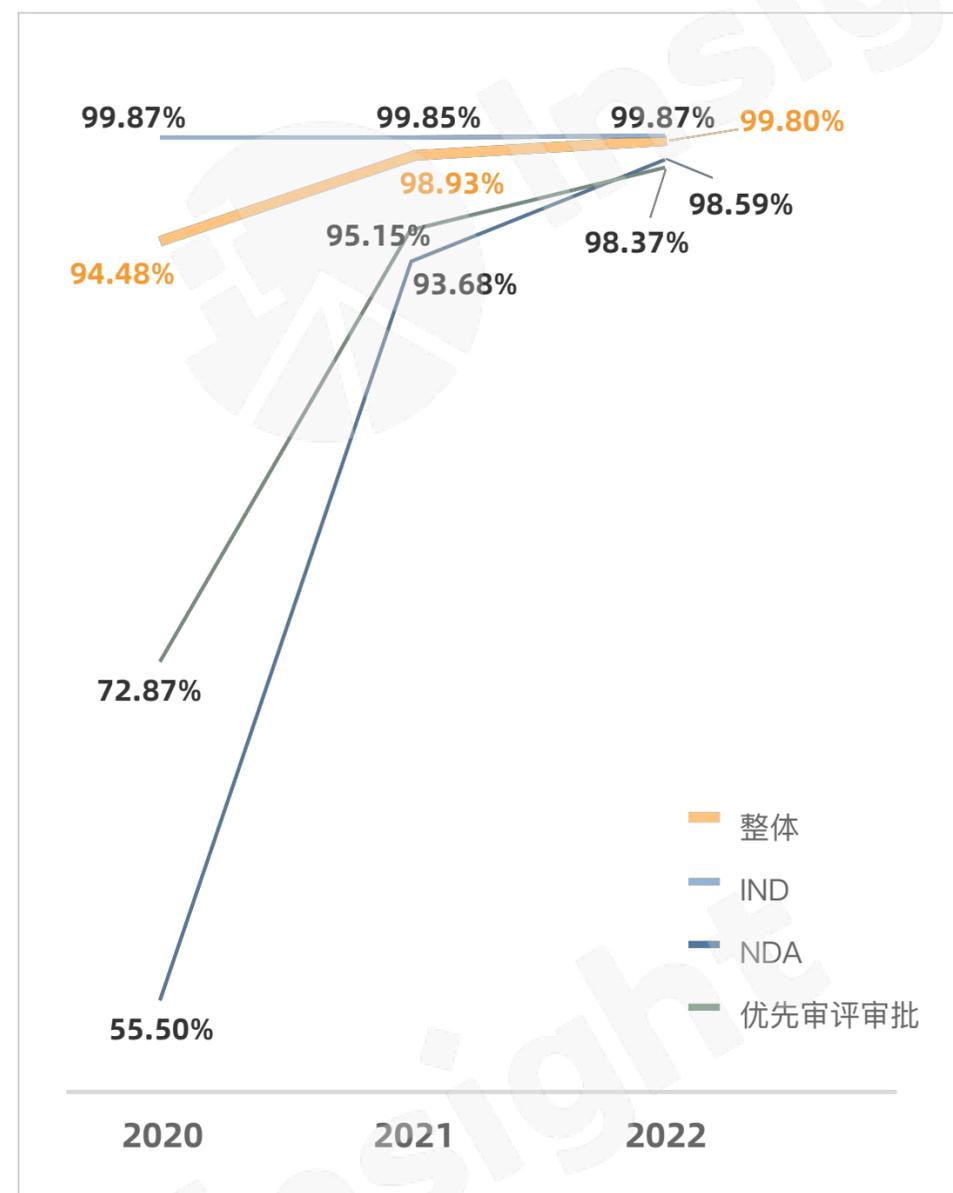
近 6 年，国产/进口新药获批临床路径差异显著；进口免临床获批占比 38%；MRCT 临床在常规路径中占比超过 50%；国产获批新药中占半数以上



各类别审评审批按时审结率超 99%，官方审评时间不再成为限速环节；上市申请中发补明显影响审评时长，优先审评时长比普通时长提速明显



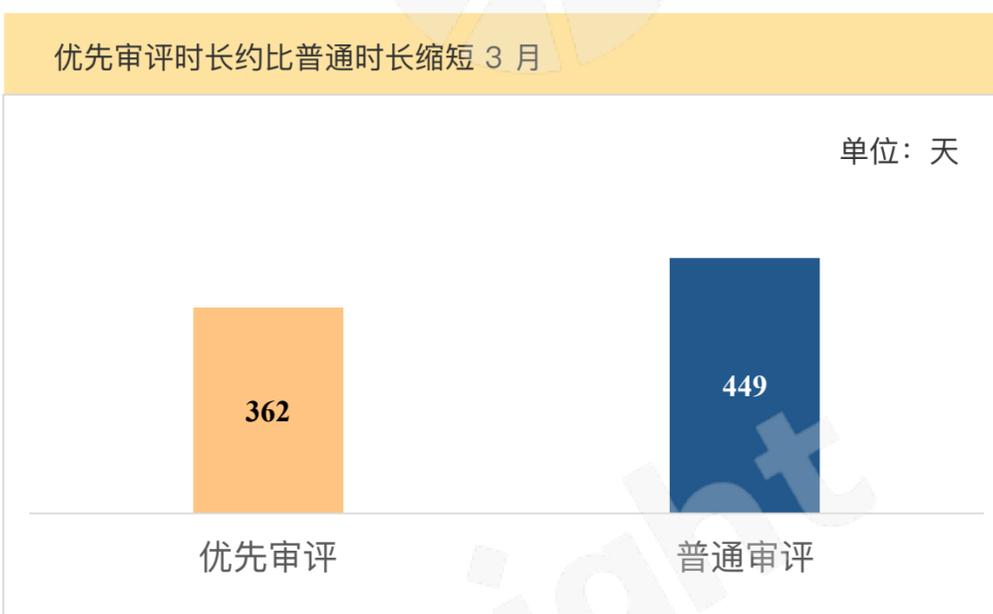
2020~2023 按时限审结情况



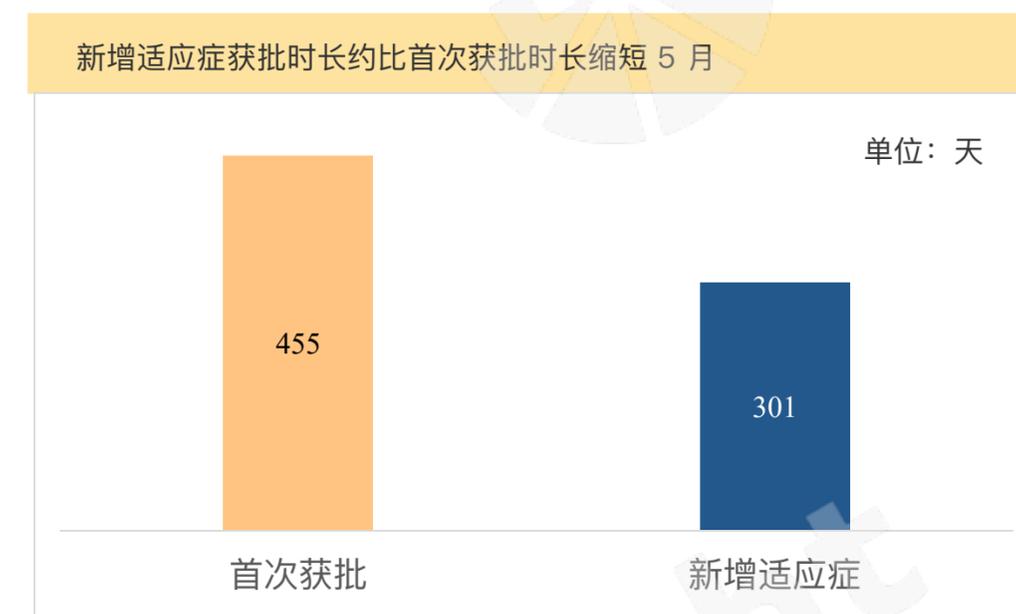
新药上市申请中无发布路径 VS 发补路径对总评审时长情况影响



新药上市申请中优先审评 VS 普通审评时长



新药上市申请中首次申请 VS 新增适应症审评时长



审评环节中「不发补」将对上市获批时限带来极大提速

- 2023 年获批的新药中约 **10%** 无需发补即获得审评上市结论。
- 约 **90%** 的品种需进入补充资料及任务环节，意味着官方审评时间**自动延长 1/3 或 1/4**，此外企业还需准备补充任务资料耗时数月不等。
- 从 2020 年 12 月 1 日起，药审中心**原则上提出一次补充资料要求**，除创新药及指导原则未规定的新的安全性指标等有可能二次发补外，其他情况最多只发补一次，答补不充分或未在规定时间内完成答补的将不予批准。



2024 年预计首次获批上次品种 (1类新药) -H1



罗氏派圣凯® (可伐利单抗) 中国首发, 罗氏首次在中国市场实现一款创新物的全球首发



Source: Insight 数据库中国上市策略 & 时长预测模块, 数据根据历史数据估算而来, 仅供参考

2024 年预计首次获批上次品种 (1类新药) -H2



Source: Insight 数据库中国上市策略 & 时长预测模块, 数据根据历史数据估算而来, 仅供参考

- 2023 年新药临床申请 / 获批、临床试验登记、上市申请 / 获批均呈现增长趋势，一扫 2022 年阴霾
- 新兴技术领域势头强劲，CAR-T、双抗、ADC 等 2023 年申报和临床开展数量均达到历史新高
- 进口新药的国内上市时间和全球首发上市的时间差明显缩短，未来有望实现全球同步上市
- 国内快速通道获批新药占比呈现下降趋势，低垂果实摘完后，纳入快速通道门槛变高
- 各类别审评审批按时审结率超 99%，官方审评时间不再成为限速环节；上市申请中发补明显影响审评时长；特殊通道比常规路径时长提速明显
- 多数新药首次获批以常规临床路径为主；桥接研究支持上市申请呈增加趋势，集中在肿瘤领域；免临床路径在罕见病和感染领域相对集中
- 2024 年国产创新药将迎来收获期；除肿瘤领域外，将有更多的糖尿病、心血管系统疾、免疫系统疾病领域创新药获批

谢谢
THANK YOU