

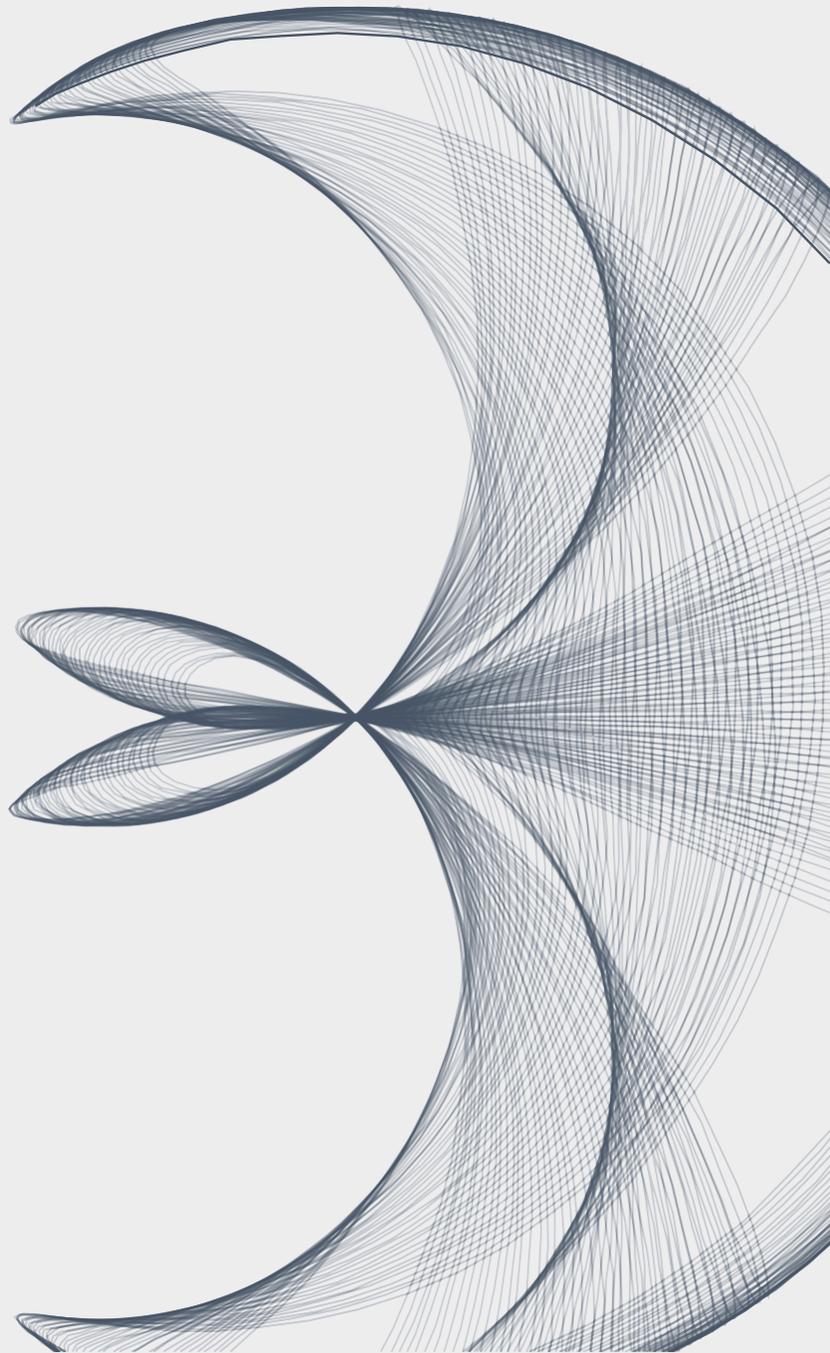


# 2023年研发全球趋势

活动,生产力和推动者



2月  
2023



# 介绍

随着全球医疗保健系统在大流行后重新平衡，生物制药行业在 2020 年和 2021 年分别创下历史新高后，已恢复了 COVID-19 之前的投资、管道活动和新药上市水平。在大流行期间因极端情况而加速的流程和技术创新正在整合到全球管道中，并作为运营和组织变革实施，从而实现持续的生产力提高。

本报告评估了新药批准和上市的趋势、积极研究药物的整体管线活动以及启动的临床试验数量。它还概述了研发资金的状况和不同类型的公司的活动，以及将研究结果与临床开发生产力指数中的投入工作进行比较。这组分析揭示了治疗和地理投资的重要转变，以及新作用机制、创新开发方法和加速监管途径的持续优先级，以优化新疗法的开发和向患者交付。这项工作还研究了由不断变化的管道复杂性和成功概率驱动的生产力指数。

本报告中包含的研究由艾昆纬人类数据科学研究所作为公共服务独立进行，没有行业或政府资助。此报告中的分析是

基于IQVIA专有数据库和/或第三方信息，并非源自专有申办者试验信息。

Mohit Agarwal, Chris Bamford, David Cameron, Lucy Haggerty 对本报告的贡献，

Julia Kern、Bhagyashree Nawar、Urvashi Porwal、Abhinandan Sarmah、Priya Srivastava、Tanushree Thakur、Terri Wallace 和 IQVIA 的数十名其他人士对此表示感谢。

## 了解更多

如果您希望收到艾昆纬人类数据科学研究所的未来报告或加入我们的邮件列表，请访问 [iqviainstitute.org](http://iqviainstitute.org)。

## 莫里艾特肯

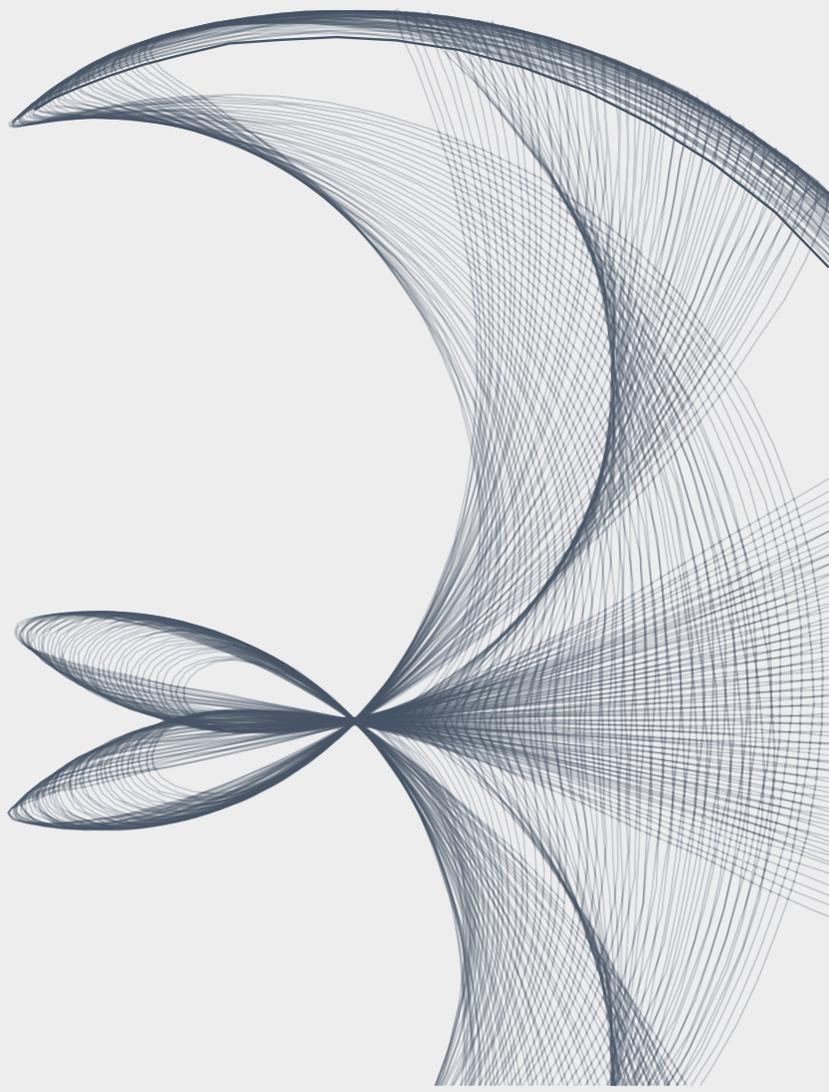
执行董事

*IQVIA 人类数据科学研究所*

©2023 艾昆纬及其关联公司。保留所有复制权、引用、广播、出版物。未经艾昆纬和艾昆纬研究院的明确书面同意，不得以任何形式或任何手段（电子或机械）复制或传播本出版物的任何部分，包括影印、录音或任何信息存储和检索系统。

2023年全球研发趋势：活动、生产力和推动因素

# 表的内容



# 概述

## 研发资金

过去一年，美国生命科学公司的投资流量在疫情期间持续了两年，恢复了疫情前的流向美国生命科学公司。

以美国为重点的生物制药投资较 2021 年的高点下降了 39%，但 2022 年的投资仍比 2019 年的 273 亿美元高出 25%，为 421 亿美元。在过去五年中，交易活动在地理上发生了变化，包括更多总部位于中国和韩国的公司，而更少的欧洲公司。虽然北美公司继续执行最多的交易，但这些交易在五年期间略有下降。

大型制药行业的研发资金仍然很高，2022 年 15 家最大的制药公司的研发投入达到创纪录的 1380 亿美元。这意味着自 2017 年以来增长了 43%。数字

从 2021 年到 2022 年，制药公司之间的交易下降了 25%，涉及新兴生物制药公司与大公司的交易份额有所增加。

## 研发管道

2022 年的研发管道保持平稳，有 6, 147 种产品正在积极开发中，来自

第一阶段到监管提交，过去两年增长放缓至 2%，但从 2017 年到 2022 年保持 8.3% 的复合年增长率。

肿瘤学仍然是该管道的重点，包括 38% 或 2, 331 种产品，在过去五年中以 10.5% 的复合年增长率增长，最近转向大群体实体瘤发展有助于增长。

神经病学继续占管道的 11%，研究重点是阿尔茨海默氏症和帕金森氏症，以及越来越多的抑郁症和其他心理健康状况。

罕见病的重点仍在继续，超过 1, 800 种分子靶向越来越多的罕见疾病之一，这些疾病通常没有或非常有限的治疗方法。其中一半专注于肿瘤学，下一代生物治疗药物至少占稀有肿瘤学产品的四分之一，在 CAR T 和 NK 细胞疗法以及基因编辑和核酸疫苗方面的活性增加。

行业科学创新的源泉不断发展，目前有 2, 800 多家公司或组织为研发管道做出贡献。总部位于中国的公司目前占管道的 15%，高于十年前的 4%，而欧洲和日本的份额分别降至 23% 和 6%。

新兴生物制药公司（EBP）负责研发管道中三分之二的分子，高于 2017 年的 51% 和 2002 年的三分之一。总部位于美国和中国公司分别占 EBP 管道的最大份额，分别为 46% 和 20%。

## 临床试验活动

即使大流行持续到 2022 年，临床试验活动也非常有弹性，下降了 2%

在非 COVID-19 试验中，试验于 2021 年开始，比 2019 年的活动增加了 8%。COVID-19 试验在 2020 年急剧激增，随着大流行严重程度的消退，已降至 2020 年水平的不到一半。2022 年，mRNA 疫苗试验活动持续加速，主要关注 COVID-19，但扩展到其他多个疾病领域的有意义发展。

肿瘤学仍然是 2022 年临床试验活动最多的治疗领域，占试验启动量的 40%。在肿瘤学中，罕见病的发病在过去四年中起伏不定，而

非罕见肿瘤学一直在增长——肿瘤学非罕见占 2022 年开始的肿瘤学试验的 44%，这是过去 10 年来的最高相对水平。

与 2021 年相比，许多其他治疗领域的临床试验开始量在 2022 年略有下降，但在大多数情况下，仍接近 2019 年的水平，表明与大流行前的增长模式重新平衡。

例外情况包括眼科、妇女健康和传染病，其试验开始时间达到或略高于 2021 年的水平。值得注意的是，尽管神经病学略有下降，但抑郁症试验的开始时间比大流行前高出 68%，包括迷幻药在内的新机制在 2022 年的试验中至少进行了 35% 的测试。

在已完成的临床试验中，黑人/非裔美国人和西班牙裔美国人的患者代表性在过去十年中有所下降 - 黑人/非裔美国人在过去两年中下降了 42% - 并且在许多治疗领域（包括心血管，内分泌学，神经病学和肿瘤学）仍低于美国的人口水平，即使在只有美国站点的试验中也是如此。

### 新药审批和发布

2022 年全球共推出 64 种新型活性物质（NAS），比前两年每年推出的 80 多种有所下降，但代表回到 COVID-19 之前的水平。下降的原因是 COVID-19 疫苗和治疗方法减少，美国加速批准减少，以及仅在中国推出的 NAS 减少。

2022 年推出的新项目中，越来越多的是一流的，这反映了为患者提供的新型科学越来越多。2022 年，专业药物的推出数量也在持续增长。随着新药越来越多地针对高度未满足需求的领域，临床试验设计使用了单臂和开放标签设计，并在过去 5 年中用于 43% 的上市批准试验。

在过去 5 年中，全球共有 353 种新型活性物质上市，使 20 年的总数达到 903 种，主要地区的上市时间和获得这些药物的时间各不相同。新兴生物制药公司在 2022 年创造了所有新药的 67%，并推出了其中 69%，这表明这些公司在将产品从创新推向市场方面更加独立。

### 临床开发生产力

基于艾昆纬研究院临床开发生产力指数，该指数提供了成功率、临床试验复杂性和试验持续时间的综合指标

— 2022 年，随着管道从以 COVID-19 为重点的大型试验转移，复杂性降低，临床开发效率大幅提高。

具体而言，复杂性指标在显着增加后恢复到大流行前的趋势，这主要是由于 COVID-19 期间非常高的受试者入学率

2021 年试验。2022 年罕见疾病和肿瘤学试验的站点数量下降是整体管道复杂性下降的另一个关键驱动因素。

2022 年，所有治疗领域的综合成功率降至 6.3%，而 II 期和 III 期成功率上升了 2-6%。与此同时，试验持续时间在过去十年中略有增加，尽管近年来肿瘤学和罕见病的试验持续时间一直在下降，总体试验持续时间的增加有所减弱。

### 生产力的推动者

随着技术和数据创新在整个药物开发管道中扎根，生产力正受到复杂性、时机和成功概率的一系列权衡效应的影响。

科学复杂性继续增加，2022 年，62% 的发射机制遍布几乎所有主要治疗领域。同样，持续的监管变化正在导致创新者的格局迅速发展。

包括新颖试验设计和远程、虚拟或分散试验在内的推动因素在最近的管道中发挥着越来越大的作用。审判执行方面的两个进步与更多的受试者、研究中心、国家和终点相关，表明执行更复杂，但与传统试验相比，两者都有望缩短临床项目持续时间。

2022 年大多数新药都获得了快速审查，优先级和突破性指定有所增加，平均而言，包括相对较少的患者因此降低了试验的复杂性。此外，美国 NAS 从首次专利申请到推出的中位数时间仍接近 2022 年十年来的最低水平在 11.2 年，符合有助于缩短行业发展时间表的生产力推动因素。

展望未来，不太“成熟”的推动因素显示出对临床开发生产力影响的潜力越来越大，创新人工智能/机器学习候选药物进入临床开发管道就是证明。

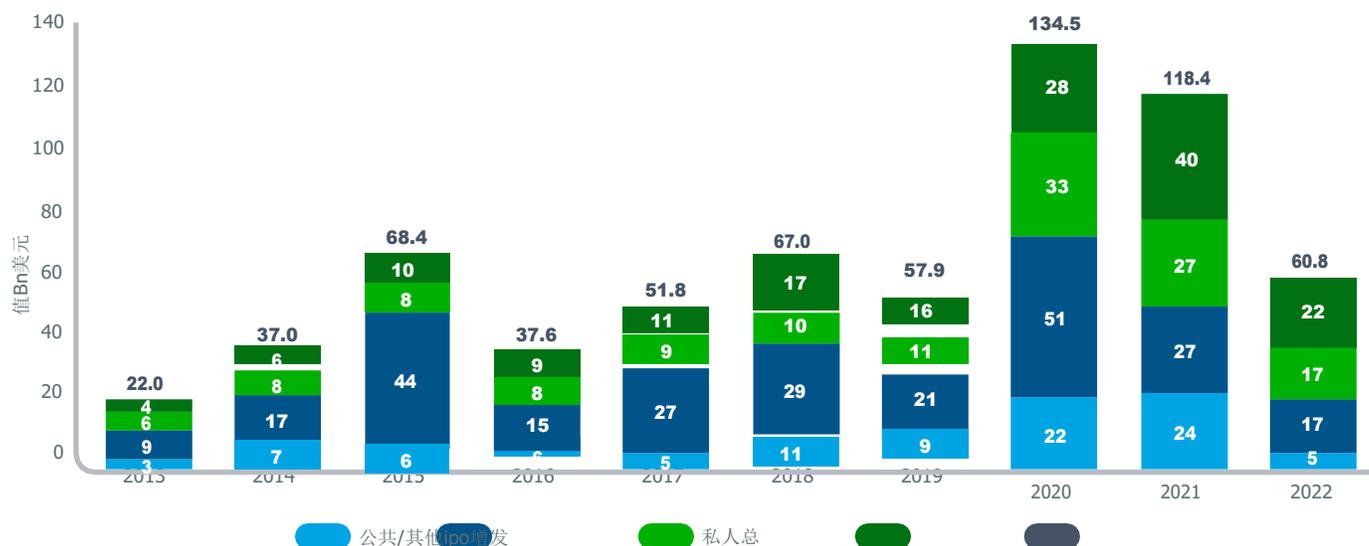
## 研发资金

- 美国生命科学公司的生物制药投资流和交易活动恢复到大流行期间两年活动增加后，大流行前的水平。
- 2022 年对美国公司的风险资本投资下降了 39%，但仍比 2019 年的水平高出 25%，而对欧洲公司的投资在 2022 年下降了 74%，比 2019 年的水平低 47%。
- 美国的风险投资交易活动和投资流量仍高达421亿美元，低于2021年的548亿美元，但高于2019年的273亿美元。
- 在过去五年中，交易活动在地理上发生了变化，包括更多总部位于中国和韩国的公司，而更少的欧洲公司。虽然北美公司仍然是交易数量最多的公司，但在五年期间略有下降。
- 2022 年的交易活动恢复到大流行前的水平，与 2019 年相比，研发合作减少了 25%。
- 15家最大的制药公司在2022年的研发支出投资创纪录地达到1380亿美元，自2017年以来增长了43%，占其记录销售额的18.8%。
- 从 2021 年到 2022 年，制药公司之间的交易数量下降了 25%，涉及新兴生物制药公司与大公司的交易比例有所增加。

过去一年，美国生命科学公司的投资流量在疫情期间持续了两年，恢复了疫情前的流向美国生命科学公司。

## 生物制药资金水平在 2022 年放缓，但仍超过 2019 年的水平

图表1：2013-2022年生物制药资金水平



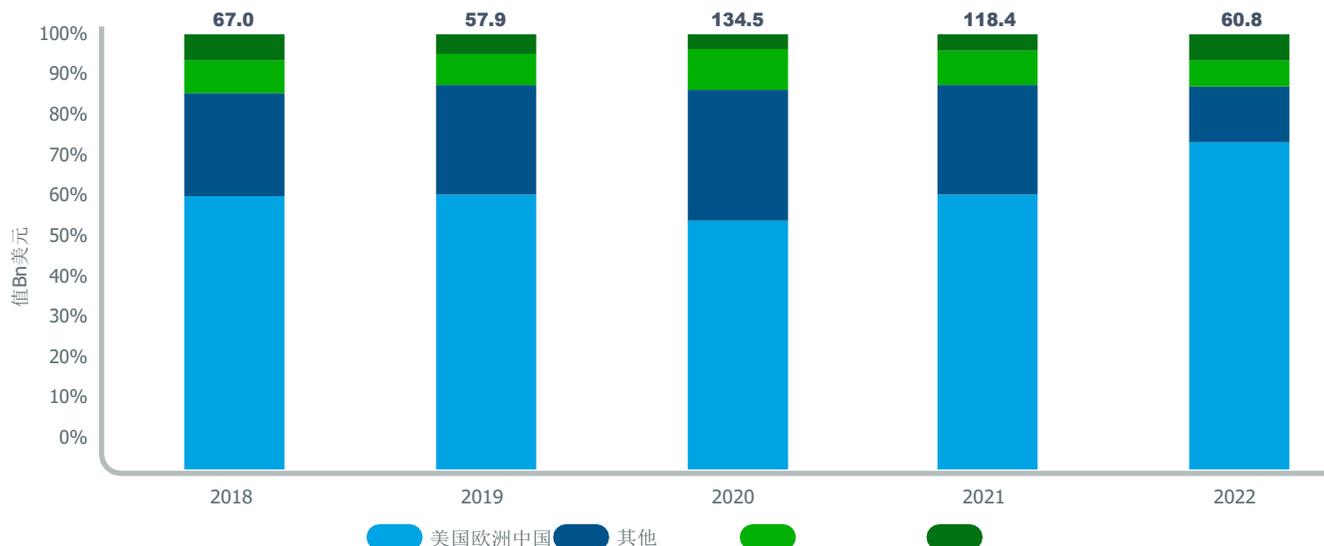
资料来源:BioWorld,于2023年1月18日通过。

- 包括 IPO、后续资金和风险资本投资在内的生物制药资金在大流行期间两年上升后，于 2022 年放缓。
- 活动水平仍超过2019年的水平，尽管融资类型的组合已经改变，IPO活动明显减少。
- 交易活动的变化反映了所投资公司类型、治疗重点和所在地的变化。
- 专注于 COVID-19 的初创企业在 2020 年和 2021 年期间资金有所增加，但最近几个月有所放缓。
- 总部设在中国和欧洲的公司交易速度比美国公司要慢得多。

注：生物制药资金与生物世界在全球范围内定义的一组接收公司有关。首次公开募股是指首次公开募股；后续是指非第一次公开发行股票；公共/其他融资是指上市公司以其他方式获得融资；私人意味着风险资本投资。

## 2022年，生物制药资金已从中国和欧洲转移

图表2：2018-2022年按公司所在地划分的生物制药资金水平



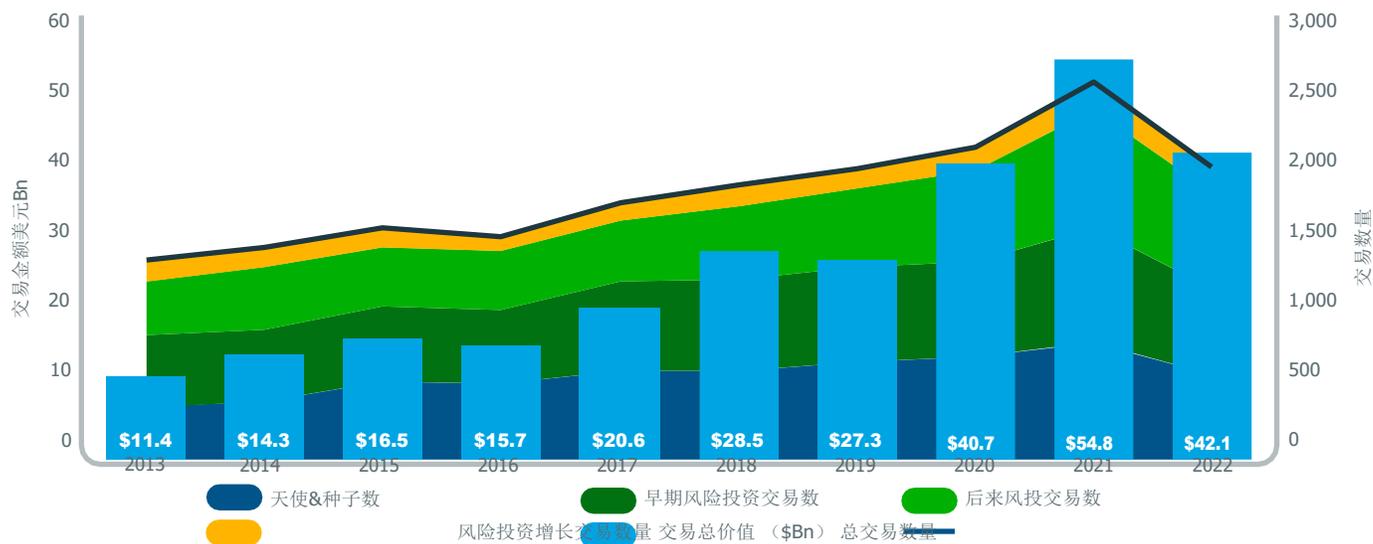
资料来源:BioWorld,于2023年1月18日通过。

- 对于接受资金的公司，位于美国在 2020 年和 2021 年大幅上升，但由于欧洲、中国和其他国家的资金水平上升，美国在整体交易中的份额下降。
- 与上一年相比，2022 年美国公司的融资水平下降了 39%，但仍比 2019 年高出 25%。
- 欧洲公司在 2020 年的资金比 2019 年的水平增加了一倍多，但此后两年出现了下降。在 2018 年和 2019 年，欧洲公司平均获得 152 亿美元的总资金，而 2022 年的水平约为 78 亿美元的一半。2020-2022年的三年平均值现已超过260亿美元。
- 总部位于中国的公司在 2020 年和 2021 年的交易份额和绝对价值有所上升，然后在 2022 年下降了 59%，比 2019 年的水平低 11%。
- 按地域划分的 2022 年交易份额是对大流行期间异常趋势的修正，还是这些关键创新中心的更持续转变，还有待观察。

注：生物制药资金与生物世界在全球范围内定义的一组接收公司有关。公司位置基于收件人总部。

## 美国风险投资交易活动和投资流量居高不下随着生命科学的兴趣

图表3: 2013-2022年美国生命科学风险投资交易价值(以十亿美元为单位)和按类型划分的交易完成数量



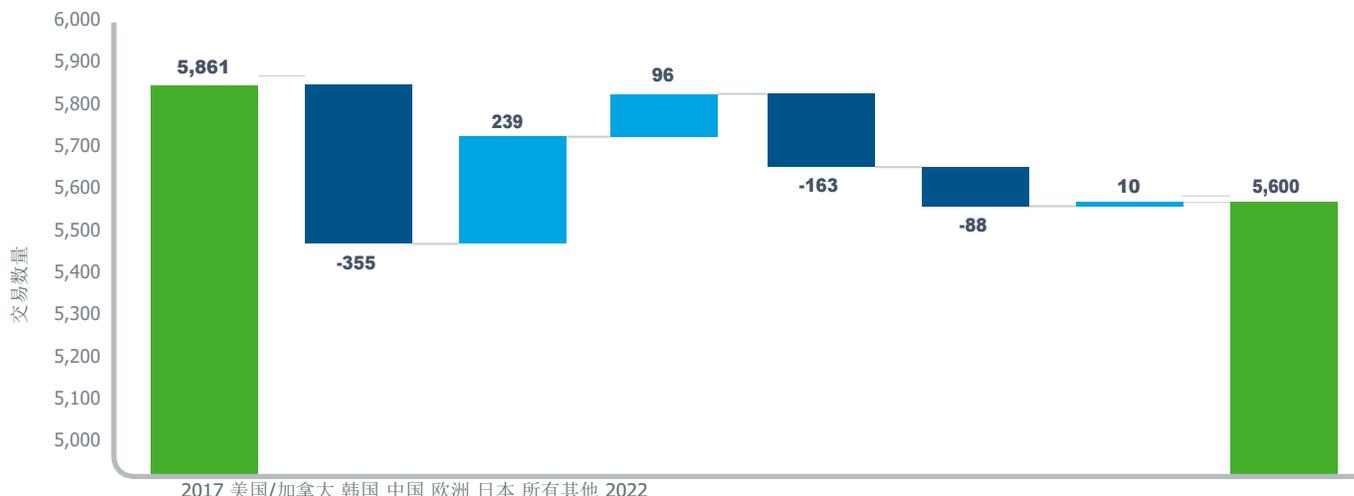
资料来源: PitchBook-NVCA 风险监测 2022 年第 4 季度, 2023 年 1 月访问。可从: <https://pitchbook.com/news/reports/q4-2021-pitchbook-nvca-venture-monitor>.

- 随着对生命科学的兴趣增强, 美国的风险资本交易活动和投资流动在过去三年中加速, 2022 年发生了 2, 000 多笔交易和 420 亿美元的交易价值, 低于 2021 年的水平, 但仍远高于大流行前的水平。
- 生命科学风险投资交易持续增长, 后期交易的投资有所增加, 这些交易通常会吸引更多美元, 自2017年以来复合年增长率为10%, 而截至2019年的五年复合年增长率仅为5%。
- 交易总数在 2021 年达到 2, 588 笔的峰值——比 2020 年高出 21%——但在 2022 年下降了 22%, 至 2, 009 笔交易, 仅略高于 2019 年的 1, 994 笔。
- 交易价值在 2020 年跃升, 此后一直保持高位, 2022 年为 421 亿美元, 比 2019 年水平高出 54%。
- 2020 年和 2021 年交易价值的上升代表了轨迹的重大转变, 并扭转了 2018 年至 2019 年持平至下降的轨迹。
- 天使和种子交易的数量在前两年分别为710笔和799笔之后, 在 2022 年急剧下降至586笔, 远高于之前的趋势。

注: 美国生命科学风险投资融资交易比早期展览中的全球生物制药分析更具包容性, 仅包括美国公司以及相邻行业的生命科学公司, 包括相关公司的服务提供商、药物分销、护理交付和保险公司。VC = 风险投资。交易涉及被定义为生命科学的公司, 其中包括一系列生物制药、医疗保健交付和分销以及其他类型的公司。

## 在过去五年中，韩国和中国的交易活动显著增加，而美国、欧洲和日本的交易活动有所下降

图表4：2017-2022年涉及总部位于不同地区的公司的交易变化



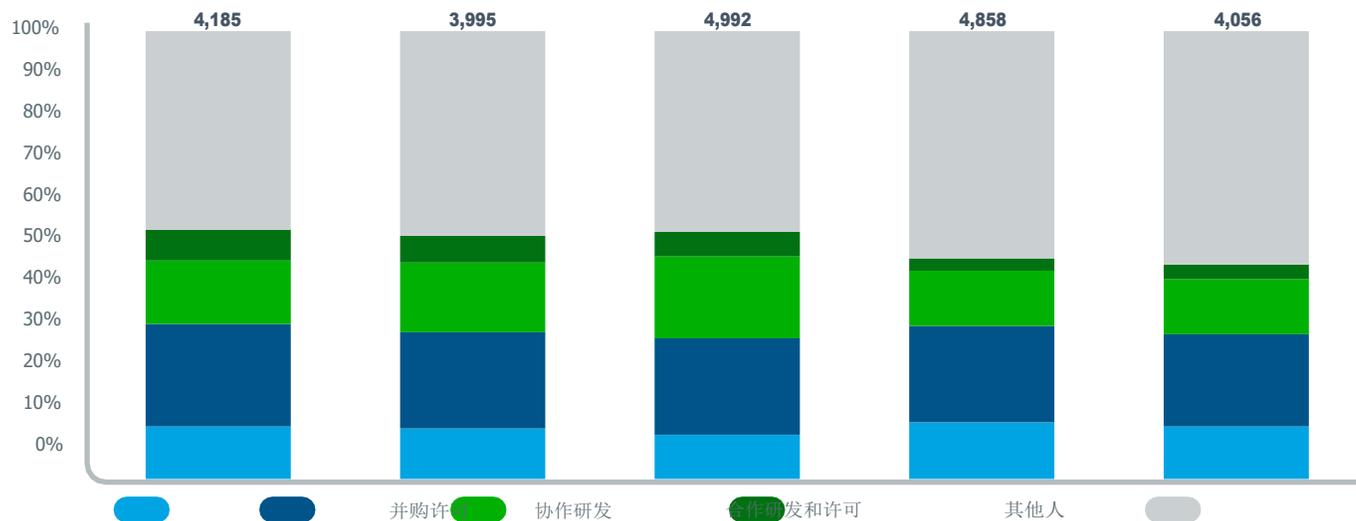
来源:IQVIA Pharmadeals, 2022年12月。

- 北美是全球最大的生命科学创业集群，因此在 2022 年占交易的 57%，低于 2017 年的 62%。在五年期间，涉及该地区的公司之间的交易总额下降了355笔或13%。
- 自2017年以来，交易活动水平发生了很大变化，总部位于韩国和中国的公司的活动有所增加。
- 2022 年，中国共有 387 笔交易，比五年前增长了 33%，反映出对这些公司创新的兴趣水平显著提高，其中许多包括介绍大型制药合作或许可协议，以及近期预期其中一些药物将在美国和其他主要发达市场获得批准。
- 与韩国公司的交易量增长大于与中国公司的交易量，从五年前的 251笔增长到2022年的490笔，但涉及更大份额的许可和合作研发交易建立在关键公司既定的生物和生物标志物能力以及包括生物仿制药在内的良好区域生产能力的基础上。
- 涉及欧洲公司的交易下降了163%或9%，而活动份额从41%下降到39%，因为活动速度未能跟上更活跃的亚洲公司的增长速度。

注：制药公司之间按公司总部所在地进行的交易并不相互排斥。交易总数包括参与者位于不同地区的交易重复计数。不包括风险投资和融资交易。资助交易被定义为包括政府赠款和奖励等的交易。

## 2022 年交易活动恢复到大流行前的水平，研发合作比 2019 年收缩 25%

图表5：按类型划分的生命科学交易数量和份额（2018-2022）



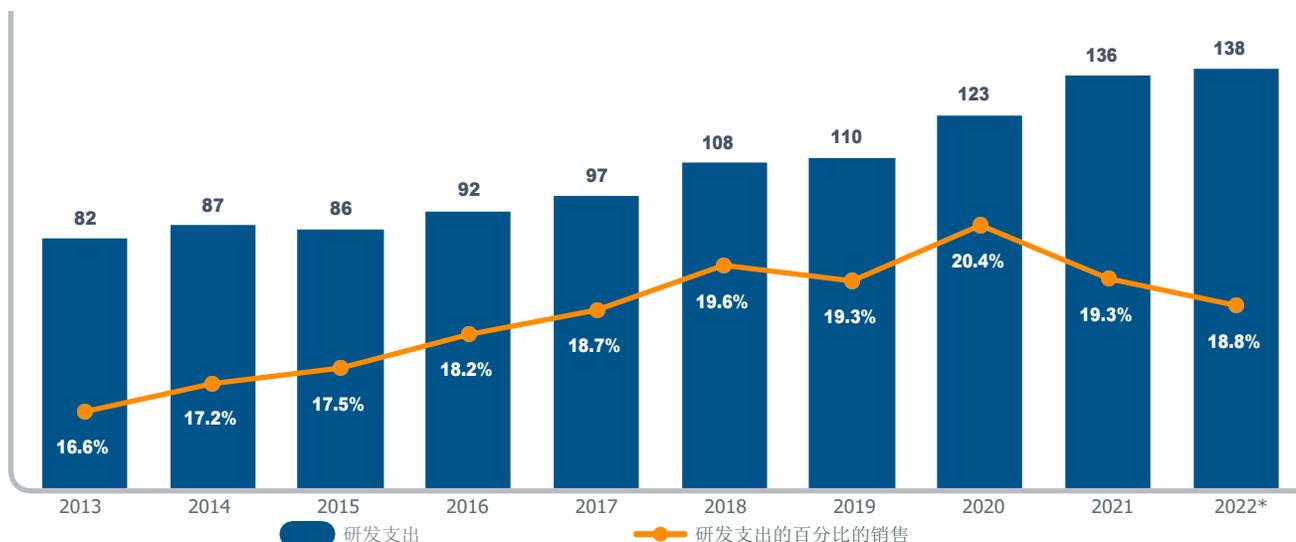
来源:IQVIA Pharmadeals, 2022年12月。

- 总体而言，2022 年所有交易类型的活动均有所减少，原因是与地缘政治紧张局势、药品定价和宏观经济问题（估值波动、通胀）相关的交易犹豫不决。
- 公开披露的生命科学交易活动显示，2022 年签署的协议数量（不包括独立研究资助）比 2019 年水平高出约 1.5%，比 2021 年低 16.5%。
- 2021 年，有 519 笔与 COVID-19 相关的交易，到 2022 年降至 286 笔，因为疫苗或治疗方法的新机会较少。
- 虽然 2020 年至 2022 年 COVID-19 推动了交易数量的增加，但 4,339 笔 2021 年非 COVID-19 交易比 2019 年高出 9%，2022 年的 3,770 笔非 COVID-19 交易比 2019 年减少了 6%，反映了对先前趋势的回归。
- 总体市场波动和监管审查加强的前景导致对并购交易的兴趣显著降温。
- 据报道，并购过程最初因缺乏面对面的接触而受到阻碍，特别是对于较大的交易，这导致了延误，但确实如此。不要停止签署新协议。许多行业在 2022 年的许多会议上都恢复了面对面的会议。
- 2022 年宣布了 483 笔并购交易，低于 2021 年的 615 笔（此处定义为合并、业务收购和撤资，已签署但不一定完成），但与 2018 年的数字持平。

注：生命科学交易已披露并按类型分类，不包括融资交易。

## 大型制药公司的研发支出总额创历史新高 1380亿美元的2022年,自2017年以来增长了43%

图表6: 2013-2022年大型制药研发支出和支出占销售额的百分比\*, 十亿美元



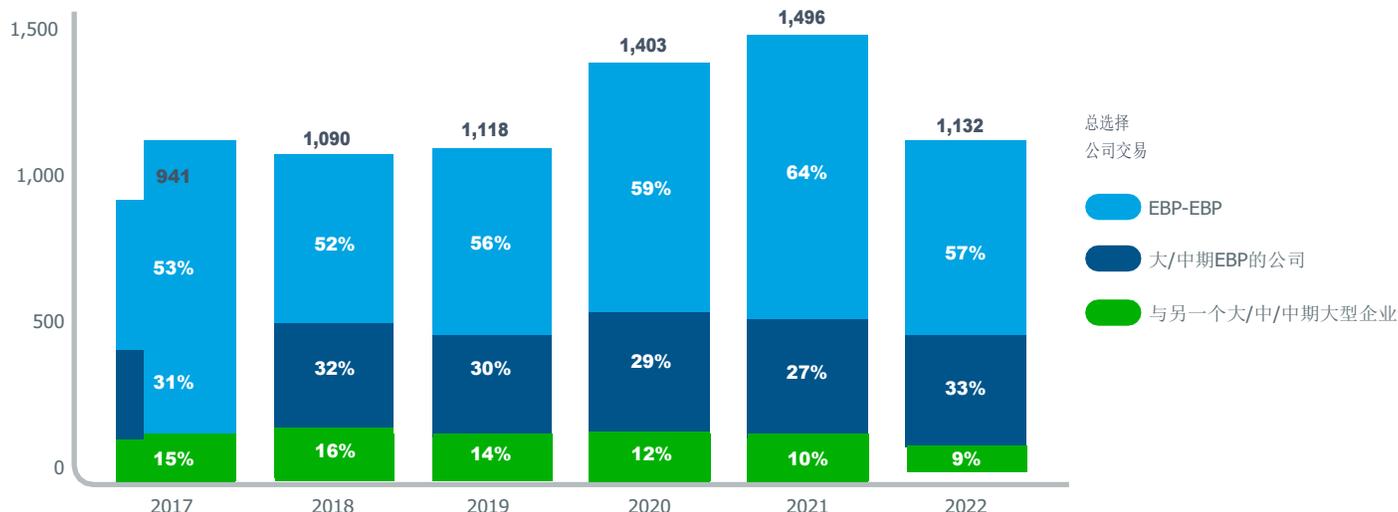
资料来源: 公司财务报表;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 2022年,最大的制药公司在研发方面的支出总计超过1380亿美元,比2021年增长1.7%。
- 在这些公司中,研发在四年高于19%之后,在2022年下降到收入的18.8%,但仍处于历史高位。
- 这15家公司全球收入总额2022年为7370亿美元,高于2021年的7040亿美元,净销售额增长4.7%。
- 2022年研发占收入的百分比下降归因于因研发计划失败而大量注销的公司减少,以及一些大公司与COVID-19疫苗或治疗方法相关的销售额大幅增加,而他们的研发支出也有所增加,但速度较慢。
- 自2017年以来,大公司的研发支出增长了43%,五年复合年增长率为7.4%。
- 研发费用可能包括内部开发或收购的失败研发计划的注销,这可能会带来总支出水平的逐年变化。

注: \*基于截至2022年9月30日的所有公司的12个月财务报告,罗氏除外,罗氏基于截至2022年6月30日的12个月。所有其他年份均反映所示日历年的总研发量。复合年增长率 = 复合年增长率。公司包括:艾伯维、安进、阿斯利康、百时美施贵宝、礼来、吉利德、葛兰素史克、强生、默克、诺华、诺和诺德、辉瑞、罗氏、赛诺菲和武田。这些代表了整个公司的观点,一些部门(如消费者健康)的研发密集度通常低于制药部门。总支出由公司在其财务报表中报告。

## 从 2021 年到 2022 年，制药公司之间的交易下降了 25%，主要是仅 EBP 交易活动

图表7：按公司部门划分的交易数量和份额，2017-2022年



来源:IQVIA Pharmadeals, 2022年12月。

- 新兴生物制药公司 - 定义为研发支出低于2亿美元且低于2亿美元的公司  
每年5亿美元的年销售额 - 在过去五年中稳步扩大了他们对交易的参与。
- 2017年，全球销售额超过50亿美元的大中型公司参与了46%涉及其他大中型或新兴公司的交易;虽然这一交易水平保持稳定，但占公司交易活动的份额已降至42%。
- 过去五年活动的变化意味着，这类公司之间90%的交易活动涉及新兴公司，高于五年前的84%，尽管没有大公司的新兴公司之间的活动现在占交易的57%，高于五年前的53%。
- 近年来，新兴生物制药公司的独立性不断提高，随着涉及大公司的交易从 2021 年的 27% 跃升至 2022 年的 33%，2022 年发生了变化。
- 即便如此，新兴生物制药公司开发的新药也更频繁地由他们推出，2022 年在美国推出的 26 个 EBP 起源的 NAS 中有 69% 也是由 EBP 推出的（图表 31）。

注：本分析中的交易不包括融资交易。资助交易是涉及研究机构、政府机构、大学或其他学术机构的研究资助或资助的交易。不包括非商业性的风险投资和资金赠款。

# 研发管道

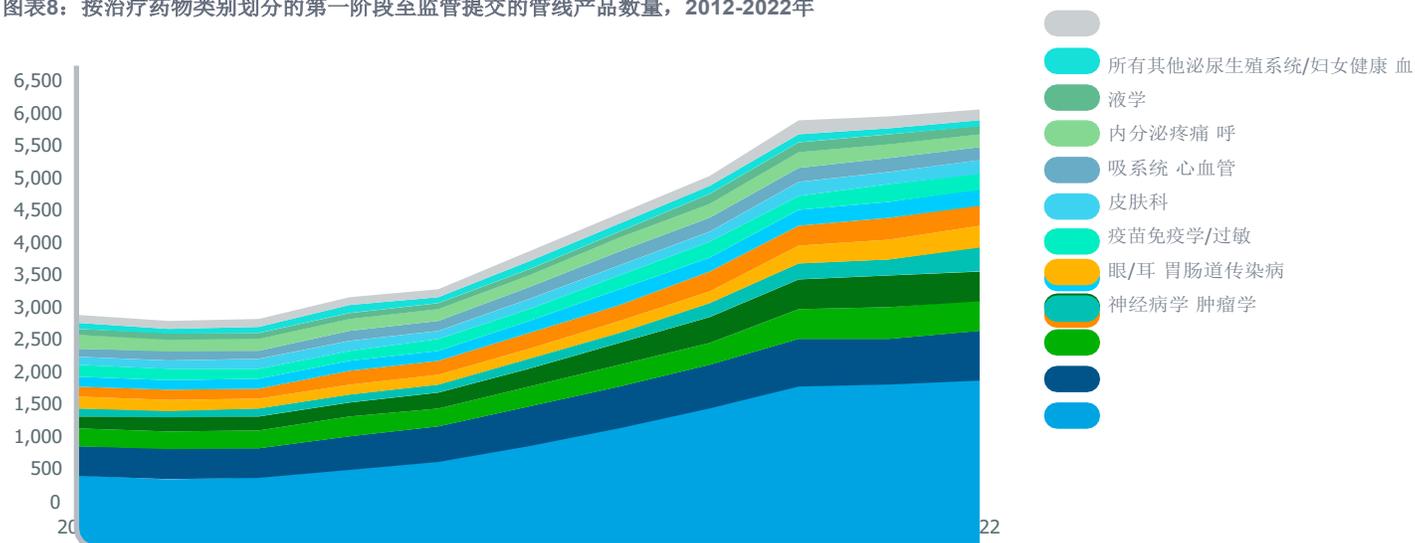
- 研发管道在 2022 年持平，从第一阶段到监管提交，有 6, 147 种产品正在积极开发中，在过去两年中增长了 2%，但自 2017 年以来增长了 49%。
- 非罕见癌症的临床开发管道在 2022 年增长了 7%，但自 2020 年以来，罕见癌症的开发趋于平稳或略有下降，这可能反映了制药公司开始远离罕见癌症。
- 肿瘤学的发展更侧重于实体瘤，比去年增长了5%，而血液癌药物的开发在2022年下降了4%。
- 神经病学研究集中在阿尔茨海默氏症和帕金森氏症上，抑郁症和其他心理健康状况变得越来越重要。
- 对罕见疾病的关注 - 除了罕见癌症 - 反映在研发管道中，其中包括 900 多种分子，靶向越来越多的罕见疾病之一，这些疾病通常没有或非常有限的治疗方法。
- 超过900种下一代生物治疗药物目前正在研发中，其活性正在增加  
CAR T和NK细胞疗法以及基因编辑和核酸疫苗。2022年，超过40%的下一代生物治疗药物用于肿瘤学，为癌症治疗带来了巨大的希望。
- 目前有超过2, 800家公司或组织为研发管道做出贡献。总部位于中国的公司目前占管道的15%，高于十年前的4%，而欧洲和日本的份额分别降至23%和6%。
- 新兴生物制药公司（EBP） - 定义为每年研发支出低于2亿美元，年销售额低于5亿美元的公司 - 是负责研发管道中三分之二的分子，高于2017年的51%和2002年的三分之一。
- 新兴的生物制药药物开发正在迅速上升，特别是在总部位于中国的公司中，其份额现已超过欧洲。总部位于美国的公司占EBP开发的近一半，而欧洲和日本在过去十年中EBP管道的份额有所下降。



研发管道在 2022 年保持平稳，持续关注肿瘤学，并在产品线的稀有、下一代、中国和 EBP 领域继续增加份额。

## 自 2020 年以来，临床管道的增长一直持平，尽管2017年的水平高出49%

图表8：按治疗药物类别划分的第一阶段至监管提交的管线产品数量，2012-2022年



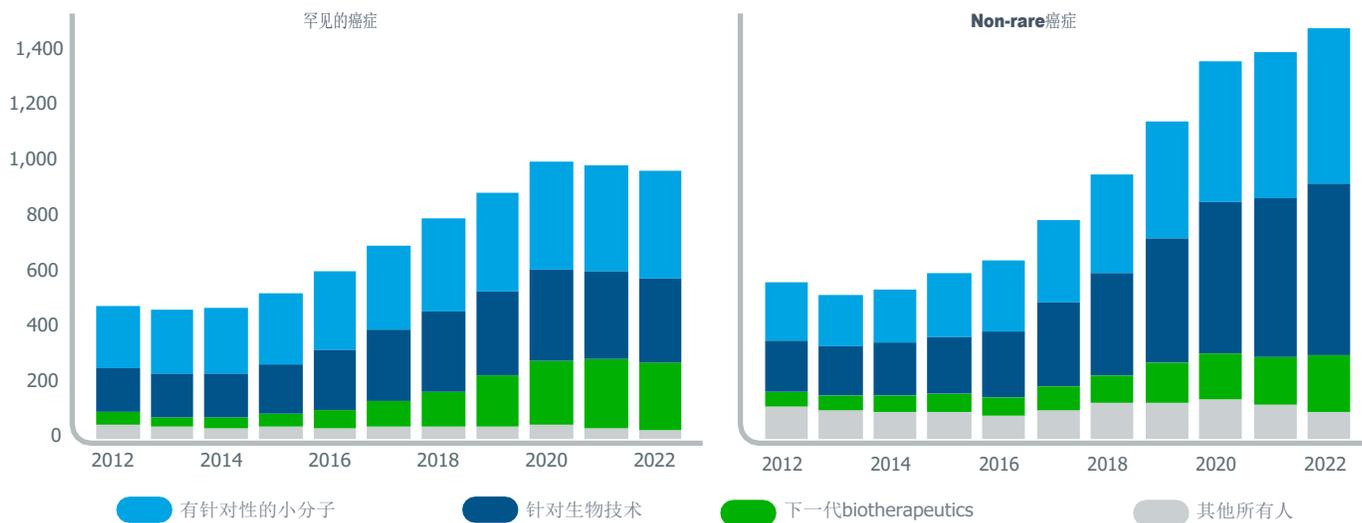
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 研发管道在 2022 年持平，从第一阶段到监管提交，有 6,147 种产品正在积极开发中，过去两年增长 2%，自 2017 年以来增长 49%。
- 自大流行开始以来，这种增长放缓可能是由于开发活动的延迟，因为 COVID-19 和新变种自 2020 年以来对社会造成了一系列破坏。
- 肿瘤学仍然是该管道的重点，包括38%或2,331种产品，在过去五年中以10.5%的复合年增长率增长。
- 神经病学继续占管道的 11%，在 2021 年小幅下降后，正在开发的产品数量增长至 699 种。
- 自2017年以来复合年增长率最高的治疗领域是眼和耳部疾病（20.7%），主要集中在眼部抗新生血管产品和罕见眼部疾病的治疗上。
- 疫苗的复合年增长率自2017年以来排名第二（14.1%），近年来重点关注COVID-19疫苗和流感。
- 正在开发的胃肠道疾病产品占管道的7%，在过去五年中复合年增长率为9.9%。人们越来越关注罕见的胃肠道疾病和肝脏疾病。

注意：包括具有活跃研究计划的药物，其阶段由研究的最高阶段决定，无论适应症如何。肿瘤学包括支持性治疗。神经病学包括中枢神经系统疾病治疗和心理健康治疗，但不包括疼痛管理或麻醉。

## 2022 年，大量癌症的临床管线继续增长，而罕见癌症在 2020 年达到顶峰

图表 9：按类型划分的 I 期到监管提交肿瘤管线产品的数量（2012-2022 年）



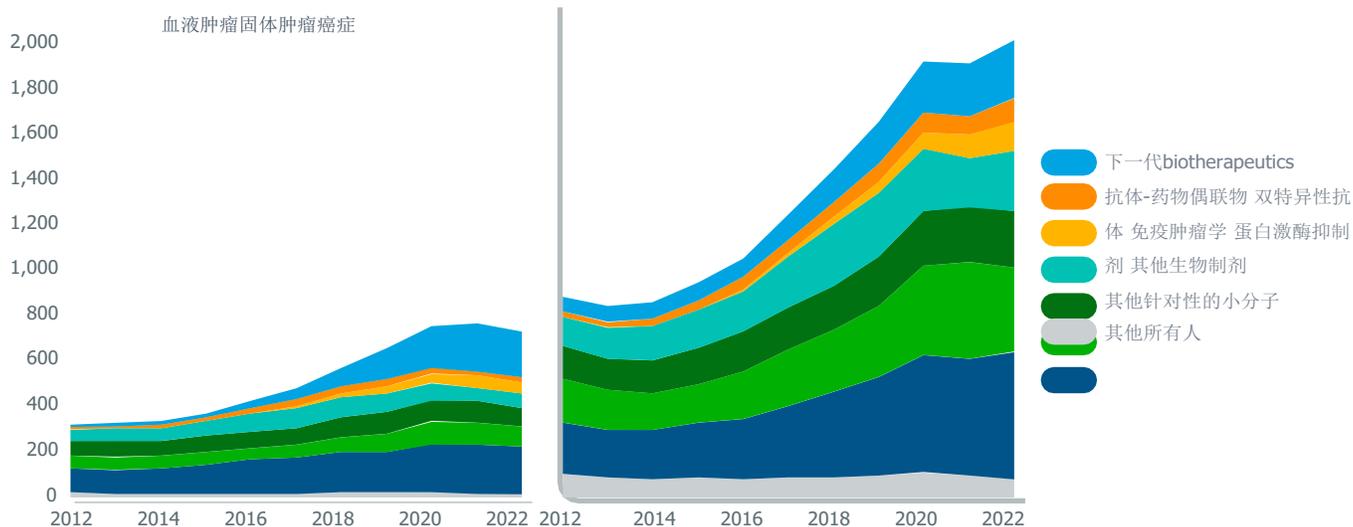
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 非罕见癌症的临床开发管道在 2022 年增长了 7%，但自 2020 年以来，罕见癌症的开发趋于平稳或略有下降，这可能反映了制药公司开始远离罕见癌症。
- 2022 年，39% 的肿瘤学管线正在开发中，用于罕见癌症，低于 2021 年的 41% 和五年前的 46%。
- 针对非罕见癌症的靶向小分子和生物技术疗法继续增长，但在罕见癌症中增长有限甚至下降。这些包括许多新的免疫肿瘤学治疗、检查点抑制剂和激酶抑制剂。
- 尽管下一代生物治疗药物在整个肿瘤学管线中所占的份额较小，但这些细胞、基因和 RNA 疗法为癌症治疗的更精确性提供了有前途的工具，特别是在罕见癌症中，其中四分之一正在开发的产品是下一代。
- 由于许多这些靶向或下一代治疗与基因突变或其他生物标志物有关，因此伴随诊断的使用可能会变得更加普遍，以在癌症患者中提供更精确和有效的治疗。

注：分析包括积极研究中的药物，重点是癌症治疗，包括支持性护理。如果药物的作用机制使用特定的生物标志物来靶向体内治疗，则药物被认为是有针对性的。许多抗癌药物在研究中有多个肿瘤，任何针对罕见癌症的试验的药物已被纳入罕见。没有罕见肿瘤靶点的药物被认为是非罕见的。所有其他包括一系列细胞毒性、激素和放射治疗机制，没有靶向机制。

## 肿瘤学开发专注于实体瘤，下一代生物治疗药物在所有癌症中都在增长

图表10: 肿瘤学研发管道I期至监管提交, 按类型划分, 2012-2022年



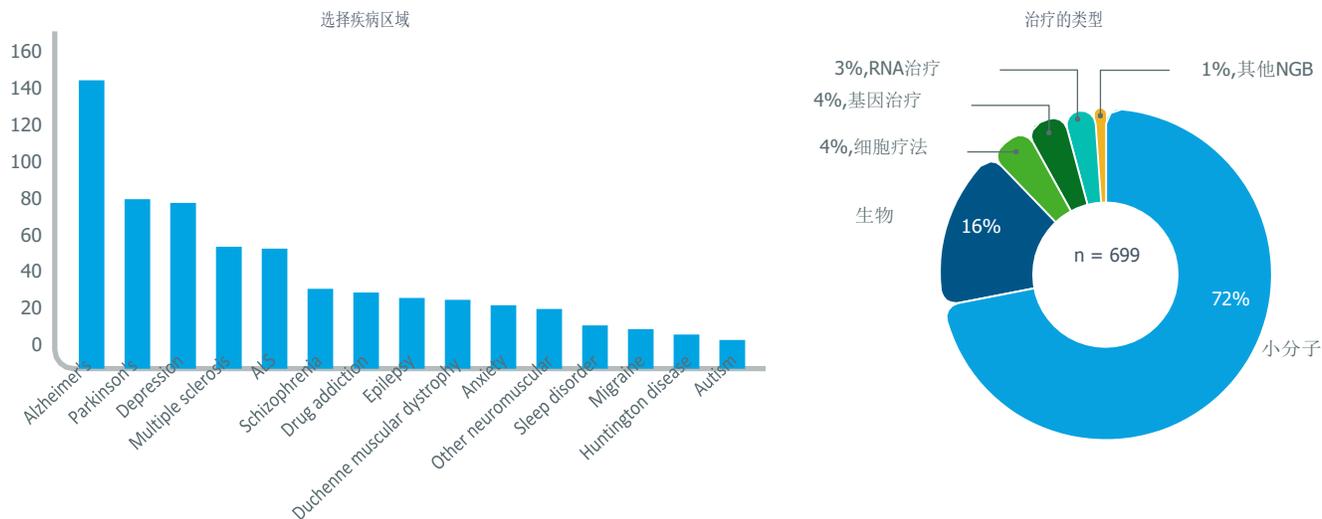
资料来源: 艾昆纬管道情报, 2022年12月;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 肿瘤学研究和开发越来越关注靶向药物, 在过去十年中具有治疗癌症的创新作用机制。
- 虽然血液癌药物的开发在 2022 年下降了 4%, 但实体瘤癌症的临床开发在 2021 年管道略有收缩后增长了 5%。
- 下一代生物治疗药物越来越多地用于血液系统癌症, 目前活跃研究的产品数量是2017年的四倍多, 占血液肿瘤学管道的28%。
- 免疫肿瘤制剂在过去十年中取得了显著增长, 近年来开始逐渐减少。
- 随着实体瘤的血液癌从2018年开始下降, 2019年开始下降, 可能表明转向更新的目标分子。
- 尽管在1960年代首次开发, 但用于癌症治疗的双特异性抗体开发在十年前很少, 并且已经显著增长, 现在占血液肿瘤学和实体瘤管道的7%, 这表明人们越来越关注这些分子作用于多个靶点或通过不同作用机制的能力。
- 在过去十年中, 肿瘤学中已经开发了许多新的抗体药物偶联物, 允许将细胞毒性药物直接靶向癌细胞, 从而改善了旧肿瘤产品的非特异性。

注: 其他包括细胞毒性、激素和放射治疗剂类别中的非靶向机制。正在研究一种以上癌症的产品可能包括在血液癌和实体瘤癌症中。

## 神经病学研究的重点是阿尔茨海默氏症，帕金森氏症和抑郁症，以及一系列其他常见的罕见疾病

图表 11: 按疾病和治疗类型划分的 2022 年神经病学 I 期到监管提交管道的产品数量



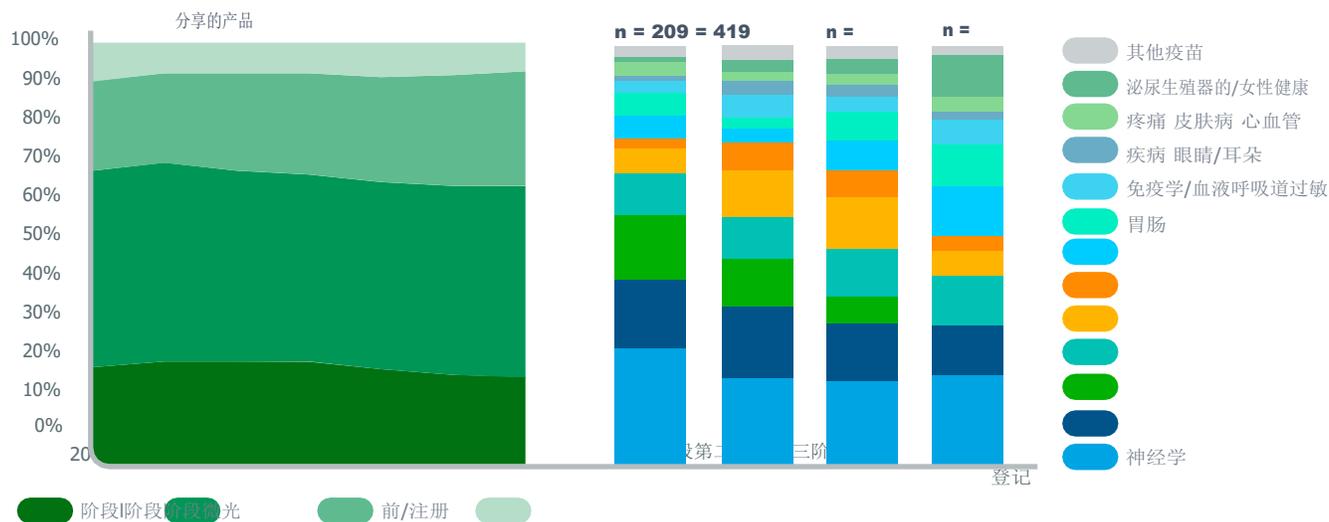
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 目前有**699**种产品正在研究神经病学管道中，包括治疗神经退行性、神经肌肉和精神疾病。
- 正在进行的大部分研究都集中在阿尔茨海默氏症和帕金森氏症上，分别有**127**种和**96**种产品正在研究中。
- 目前上市的阿尔茨海默病产品侧重于症状管理，最近的例外包括**aducanumab**和**lecanemab**；然而，临床开发中的大多数产品都是疾病修饰。
- 抑郁症和其他心理健康状况变得更加普遍和得到认可，尤其是在大流行期间<sup>1</sup>，占越来越多
- 神经病学管道的数量，其中**84**种用于抑郁症的产品正在开发中，**31**种用于焦虑症。
- 其他罕见的神经系统疾病，如肌萎缩侧索硬化症（ALS）和杜氏肌营养不良症，继续受到关注，有希望的疗法正在开发中。
- 目前，**72%**的神经病学产品线由小分子产品组成，这表明它们在快速发展的领域继续发挥作用。
- 下一代生物治疗药物，如细胞和基因疗法，正越来越多地用于神经系统疾病，占神经系统疾病的**11%**。管道。这些产品可以显示出治疗其中一些使人衰弱的疾病的最大希望。

注：分析包括积极研究中的产品，重点是神经病学治疗。针对多个适应症进行研究的产品可能包含在多个疾病领域。治疗类型是非重叠的，大分子（生物制剂）是那些没有另行说明的生物产品。由于四舍五入，百分比的总和可能不是 100%。

## 肿瘤学以外罕见疾病38%的发展集中在胃肠道和神经系统疾病上

图表12: 不包括肿瘤学的罕见疾病管线, 按阶段和治疗药物类别



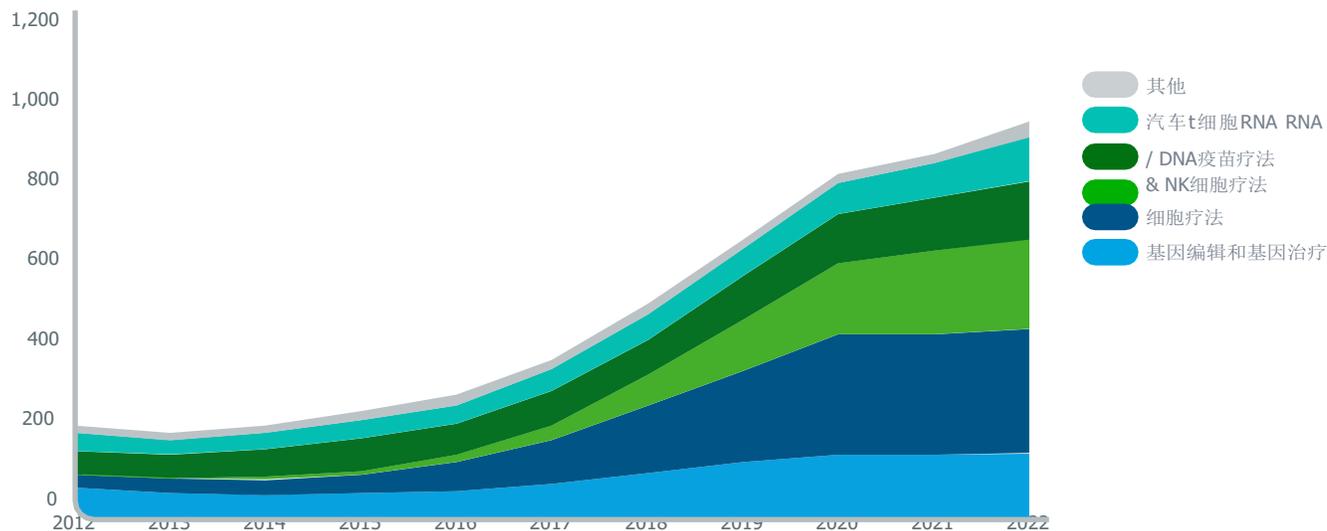
资料来源: 艾昆纬管道情报, 2022年12月;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 目前, 有**1, 824**种罕见疾病产品 (占管道的**30%**) 正在开发中, 其中一半用于肿瘤学以外的疾病。
- **II期**占管线的重要组成部分, 反映了大量混合**I/II期**试验正在进行中, 难以识别患者, 延长了其试验时间, 并有助于这些产品的潜在不同临床开发过程。
- 罕见神经系统疾病开发中的产品占罕见病管线中仅次于罕见肿瘤的最大份额, 占**22%**;然而, 这一比例在后期阶段下降, 并随着时间的推移保持稳定, 表明这些产品在早期阶段难以取得成功。
- 在各个阶段, 罕见胃肠道疾病的药物开发一直在增加, 目前占罕见药物开发的**16%**。近一半的罕见胃肠道管道用于治疗遗传性罕见疾病, 如溶酶体贮积症、粘多糖贮积症和庞贝病, 使用大量基因疗法和其他下一代生物治疗药物来解决这些疾病的潜在遗传修饰。

注意: 包括具有活跃研究计划的药物, 其阶段由研究的最高阶段决定, 无论适应症如何。许多药物正在进行针对多种适应症的研究, 并且任何针对罕见疾病的试验的药物已被纳入罕见。分析排除肿瘤学。

## 下一代生物治疗管线专注于基因编辑、CAR-T细胞和其他细胞疗法

图表 13: 按机制划分的下一代生物治疗药物 I 期到监管提交管道, 2012-2022 年



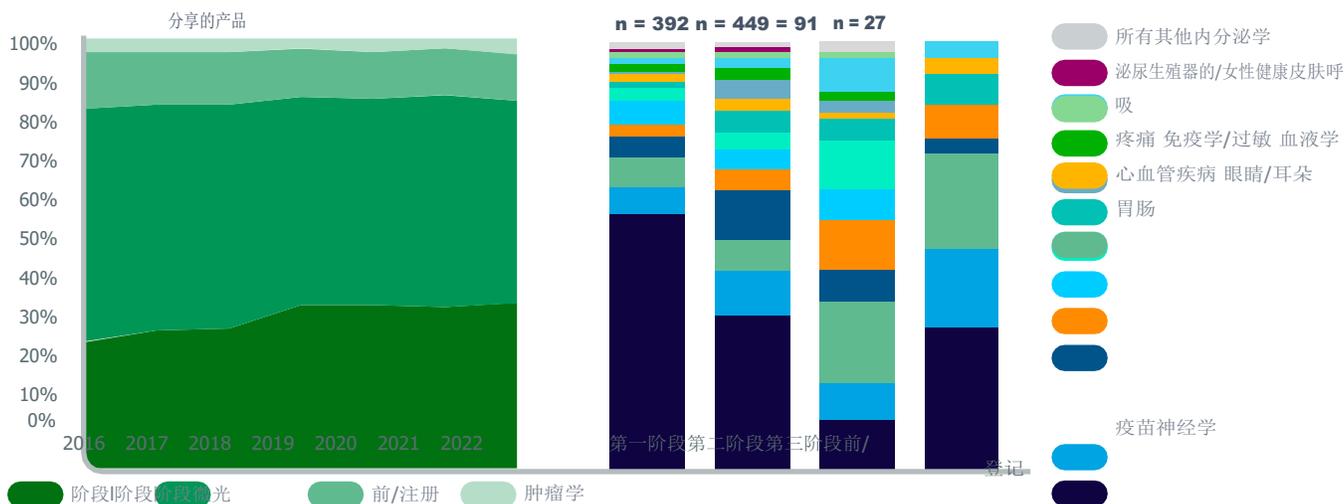
资料来源: 艾昆纬管道情报, 2022年12月;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 2022 年, 从 I 期到提交申请的 960 种下一代生物治疗药物正在开发中  
监管机构。近年来, 下一代生物治疗产品线增长显著, 自2017年以来复合年增长率为20%。
- 细胞疗法在下一代生物治疗管线中占最大份额, 其中40%正在研究一系列癌症, 主要是非罕见的实体瘤恶性肿瘤。
- 基因疗法, 包括CRISPR等基因编辑技术, 在2010年代初经历了一段减速期后, 近年来出现了温和的增长。其中26%集中在胃肠道疾病, 眼睛和耳朵疾病占另外16%。
- 尽管它们在2012年之前没有开发, 但现在有217种嵌合抗原受体 T细胞 (CAR T细胞) 和自然杀伤 (NK) 细胞疗法正在开发中, 占下一代生物治疗管线的第二高份额, 几乎所有药物都在开发中。
- 基于RNA的疗法, 包括RNA干扰 (RNAi) - mRNA抑制某些基因的表达 - 继续占下一代生物治疗管道的一小部分。
- 自 COVID-19 大流行以来, 对一系列癌症和传染病中的 RNA 和 DNA 疫苗进行了越来越多的研究 (图表 21)。

注意: 包括具有活跃研究计划的药物, 其阶段由研究的最高阶段决定, 无论适应症如何。其他包括寡核苷酸和其他不太常见的下一代生物治疗药物。

## 2022年，超过40%的下一代生物治疗药物用于肿瘤学和早期阶段

图表14：按阶段和治疗药物类别划分的下一代生物治疗产品管线



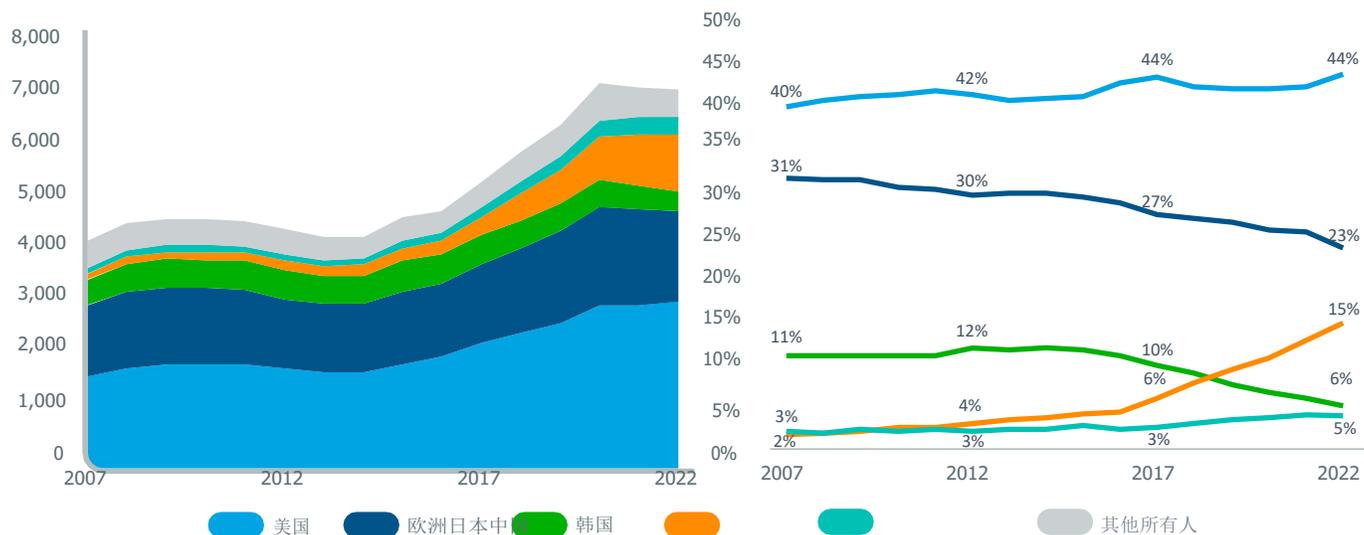
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 超过85%的下一代生物治疗产品线处于I期或II期，部分较小在第三阶段，并提交监管审查，强调将这些产品推向市场的挑战。
- 下一代被定义为细胞疗法、基因疗法、基因编辑、核苷酸和RNA干扰、mRNA 疗法和 RNA 或 DNA 疫苗。
- 肿瘤学继续占下一代生物治疗开发的大部分（42%），但其他疾病领域，如胃肠道疾病和神经系统疾病，继续看到越来越多的活动。
- 在过去两年中，由于大流行加速了mRNA和DNA疫苗技术的发展，下一代疫苗大幅增加。尽管COVID-19仍然是这些核酸疫苗的重点，但目前正在对这些核酸疫苗进行其他疾病的检测（图表21）。

注意：包括具有活跃研究计划的药物，其阶段由研究的最高阶段决定，无论适应症如何。

## 来自中国公司的药物已从十年前的4%上升到15%

图表 15: 2007-2022 年按公司总部位置划分的药物数量和管道第一阶段到监管提交的国家份额



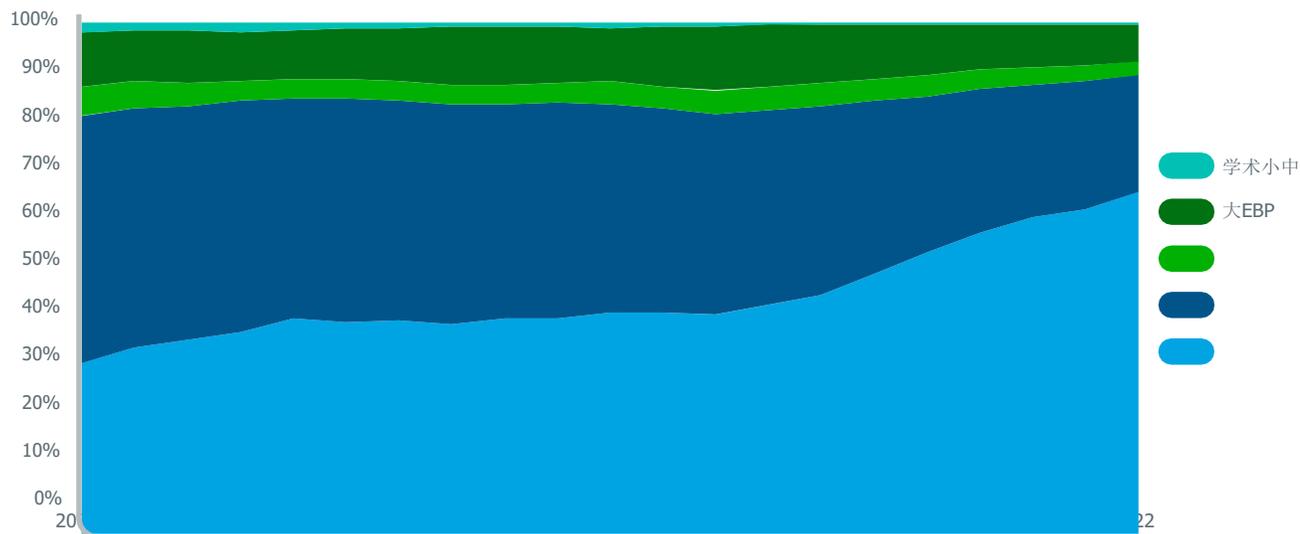
资料来源: 艾昆纬管道情报, 2022年12月;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 目前, 全球有2, 700多家公司和100多个学术或研究小组参与了研发管道。
- 美国在全球研发管道中的份额保持相对稳定, 在过去15年中超过40%。
- 在过去的15年里, 欧洲的份额从31%下降到23%, 而活跃项目的绝对数量增长了25%, 从1, 327个增加到1, 655个。
- 总部位于日本的公司管道中的份额有所下降, 从五年前的 10% 降至 2022 年的 6%, 自 2017 年以来活跃项目的绝对数量下降了 26%。
- 来自中国公司的产品现在占研发管道的15%, 高于五年前的6%和2007年的2%。在过去五年中, 总部位于中国的公司的活跃渠道增加了两倍多, 反映了最近在生命科学领域进行的大量投资。
- 尽管过去五年活跃项目的绝对数量增长了92%, 但韩国在该管道中的份额仍然相对稳定。

注: 包括具有活跃研究计划的药物, 无论适应症如何, 其阶段由每年的最高研究阶段决定。参与药物开发的每家公司都是单独计算的, 因此涉及一家以上公司的产品被计算在内不止一次, 并且可能包含在多个地区。欧洲被定义为欧洲大陆的任何国家。

## 新兴生物制药公司负责三分之二的研发管道，其份额继续增长

图表 16: 按公司部门划分的第一阶段到监管提交管道的份额，2002-2022 年



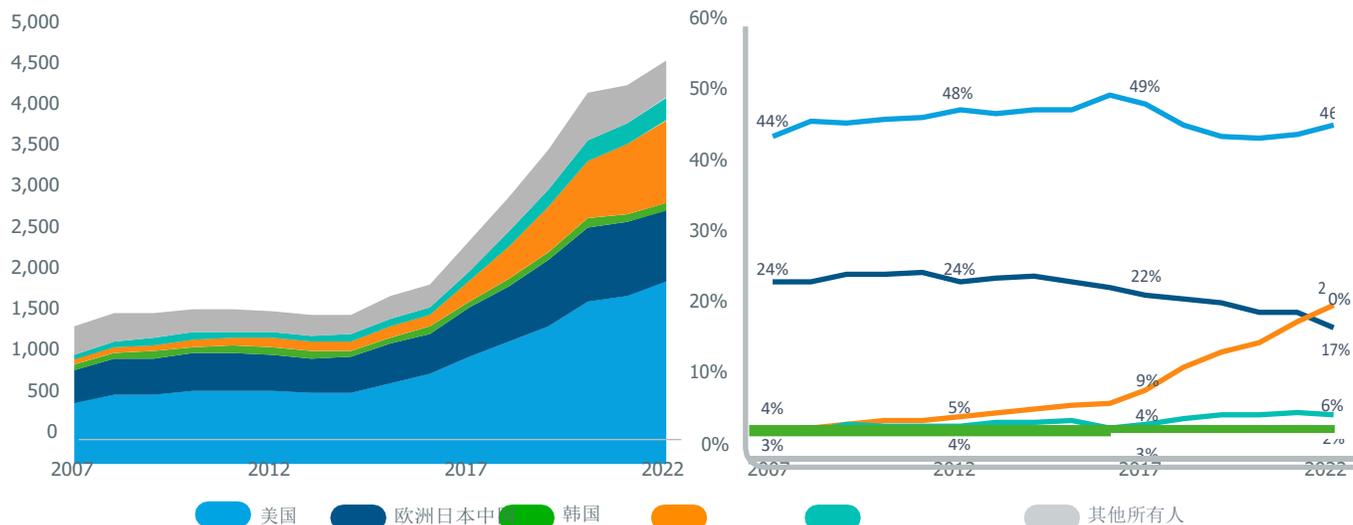
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 新兴生物制药公司的贡献 - 那些年销售额低于5亿美元和研发支出低于每年2亿美元的公司 - 继续增加，而大型制药公司 - 那些年销售额超过100亿美元的公司 - 在研发管道中所占的份额越来越小。
- 虽然新兴生物制药公司在2002年只负责三分之一的创新，但它们现在负责三分之二的研发管道，这凸显了这些小公司创新的重要性日益增加。
- 虽然自2017年以来，积极参与研发管道的大型公司数量保持稳定，但新兴生物制药公司的数量增长了26%。
- 大型制药公司现在仅占管道活动的23%，低于2002年的48%，而这种规模的公司积极研究药物的绝对数量从956种增加到1,090种。
- 虽然学术和研究小组对临床管道的贡献很小 (<1%)，但在研发管道中发挥着重要作用，特别是在推进临床研究前的发现和临床前阶段的工作方面。

注意：包括具有活跃研究计划的药物，其阶段由研究的最高阶段决定，无论适应症如何。涉及两个或更多公司的公司细分由较大的销售部门决定。

## 新兴的生物制药药物开发正在迅速上升，特别是在中国，其份额现已超过欧洲

图表 17：2007-2022 年基于公司总部位置的新兴生物制药管道第一阶段至监管提交的药物数量和国家份额



资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 新兴生物制药公司的研发活动分布在主要地区，新兴生物制药公司正在开发4,500多种产品。
- 新兴的生物制药产品线在 2022 年增长了 7%，此前 2021 年因大流行而略有停滞，使自 2017 年以来的总增长率达到 82%。
- 总部位于中国的公司目前占全球新兴生物制药管道的20%，高于五年前的9%，高于中国。占整个管道的份额。与其他地区相比，中国新兴生物制药产品线的增长最为强劲，去年增长了19%。
- 美国继续占新兴生物制药管道的近一半，尽管近年来这一份额略有下降，从2016年的50%峰值下降到2022年的46%。
- 欧洲和日本在新兴生物制药管道中所占的份额小于整体管道，自2012年以来，随着中国和韩国创新增加，份额下降。去年，欧洲和日本新兴生物制药管道分别下降了5%和20%。

注：包括具有活跃研究计划的药物，无论适应症如何，其阶段由每年的最高研究阶段决定。涉及两个或更多公司的公司细分由较大的销售部门决定。参与药物开发的每家公司都是单独计算的，因此涉及一家以上公司的产品被计算在内不止一次，并且可能包含在多个地区。欧洲被定义为欧洲大陆的任何国家。

## 临床试验活动

- 即使大流行持续到 2022 年，临床试验活动也非常有弹性，非 COVID 试验活动比 2021 年下降了 2%，但恢复大流行前的增长率，比2019年增长8%。
- COVID-19试验推动了近期传染病试验的增长，非COVID-19活动侧重于各种其他疾病。
- 由于 COVID-19 注册人数的下降，2022 年临床试验受试者总数降至 180 万。
- 在过去两年中，mRNA疫苗的开发速度加快，并扩展到COVID-19以外的多种疾病领域。
- 肿瘤学试验的启动量在 2022 年达到了历史最高水平，比 2018 年增长了 22%，主要集中在罕见的癌症适应症上。
- 其他重要疾病领域的临床试验开始量于2022年恢复到大流行前的水平。
- 抑郁症的审判开始高出68%  
大流行前，迷幻药在 25 年的试验开始中近 2022% 进行了测试。
- 黑人/非裔美国人和西班牙裔患者的临床试验代表性在过去十年中有所下降，尽管它在治疗领域差异很大。

*即使大流行持续到 2022 年，临床试验活动也非常有弹性，非 COVID 试验活动比 2021 年下降了 2%，但恢复了大流行前的增长率，比 2019 年增加了 8%。*

## 2022 年非 COVID-19 临床试验启动总数下降了 2%，但仍比 2019 年水平高 8%

图表18：2012-2022年按阶段开始临床试验的总数



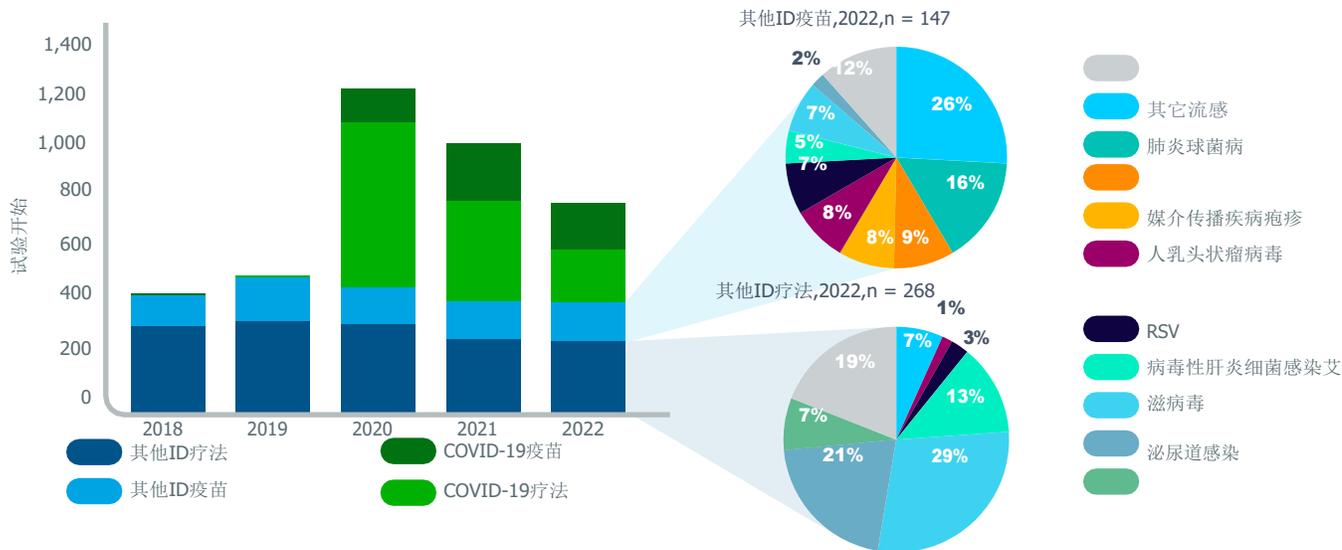
来源: Citeline Trialstrove, 2023年1月。

- 即使大流行持续到 2022 年，临床试验活动也非常有弹性，但非 COVID 试验活动比 2021 年下降 2%，但恢复了大流行前的增长率，比 2019 年增加了 8%。
- 2021 年和 2022 年，COVID-19 试验开始分别占总数的 10% 和 6%。
- 计划中的非COVID-19 II期和III期试验比2021年下降了2%，I期下降了1%，但仍超过了大流行前的试验开始水平。
- 2021年计划开工的两位数增长与2020年试验延迟有关，原因是 COVID-19中断，虽然活动已恢复到更正常的趋势，但并非所有 2021年报告的计划试验都将在年底前开始，因此应谨慎解释近年来的试验开始趋势。

注：第二阶段包括第一阶段/第二阶段、第二阶段、第二阶段a、第二阶段。第三阶段包括第二阶段/第三阶段和第三阶段。包括终止的试验，以跟踪仍涉及其启动、部分执行和终止的活动。试验由行业赞助，干预试验和器械试验被排除在外。

# COVID-19试验推动了近期传染病试验的增长，非COVID-19活动侧重于各种其他疾病

图表19：传染病临床试验开始于疾病



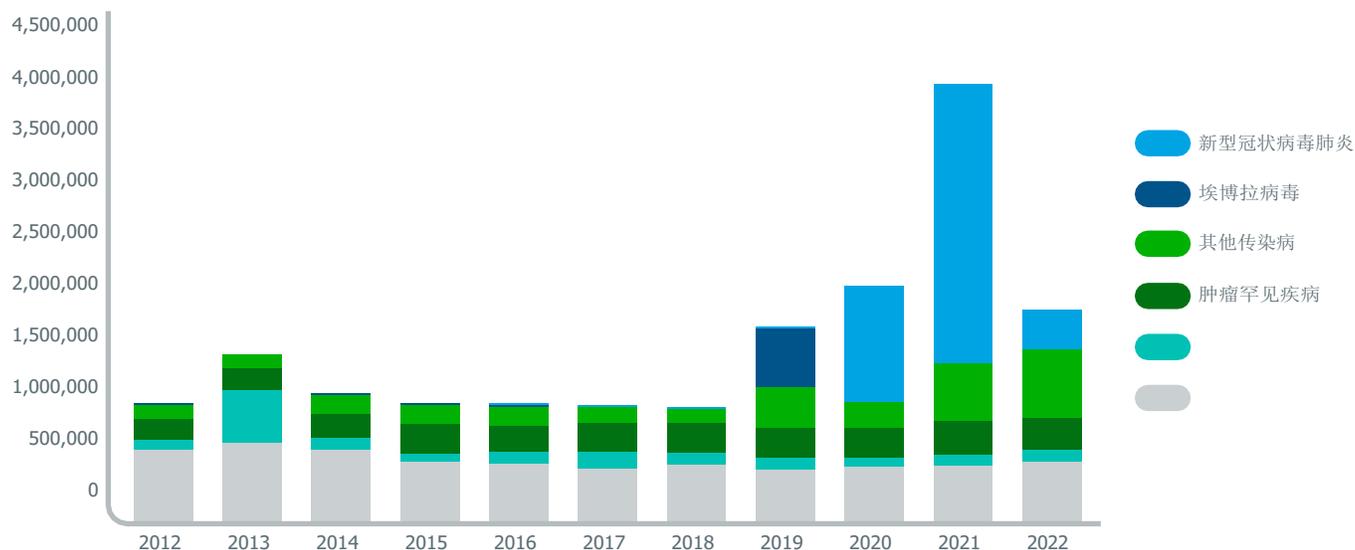
资料来源：Citeline Trialtrave, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 传染病试验显示，非COVID-19在2020年初开始下降，同时出现了第一批COVID-19试验。
- 到2020年年中，与COVID-19相关的试验激增，几乎是传染病试验开始的三倍。
- 新的COVID-19试验已降至2020年水平的一半以下，因为确定的新目标越来越少。
- 总体而言，非COVID-19传染病试验活动比疫苗更侧重于治疗方法。
- 虽然在重点领域存在一些重叠，但疫苗的相对优先权仍然是流感和肺炎球菌试验，而治疗则侧重于细菌感染、艾滋病毒和肝炎。
- 细菌感染占去年开始的传染病试验的21%，考虑到持续缺乏新的机制和靶点以及抗微生物药物耐药性的风险不断增加，这一点值得注意。

注：包括第一阶段、第二阶段（第一阶段/第二期、第二期、二A、二b期）和第三期（第二/三期和第三期）。包括终止的试验，以跟踪仍涉及其启动、部分执行和终止的活动。试验是行业赞助的介入试验。

## 由于 COVID-19 入组人数下降，2022 年临床试验受试者总数降至 180 万

图表20：临床试验受试者，所有阶段，所有疾病，2012-2022



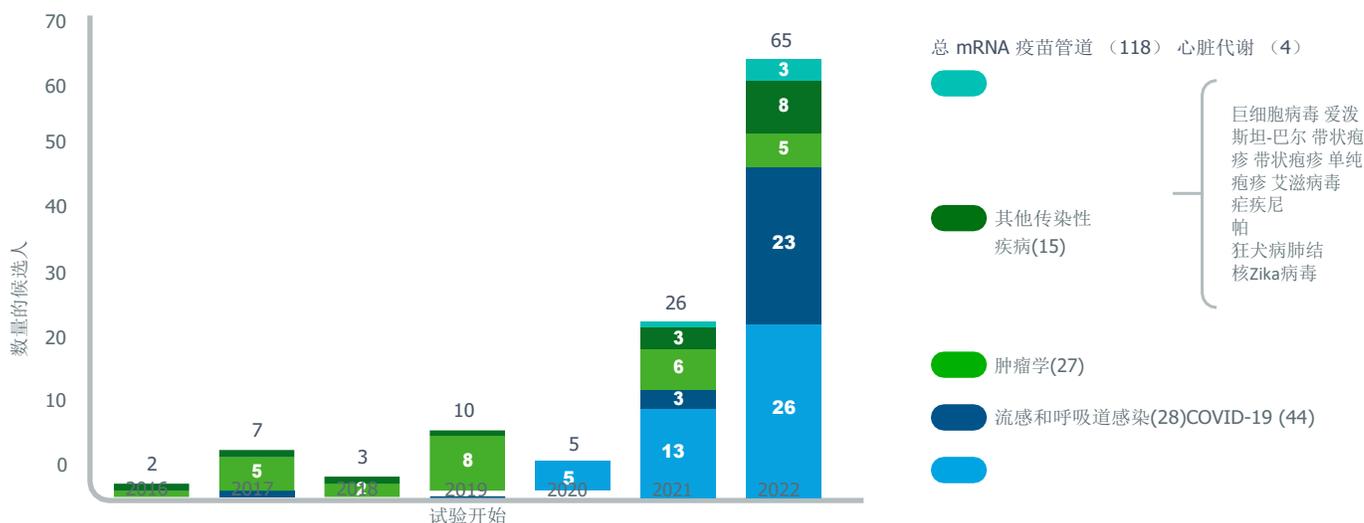
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 在过去四年中，计划或参加临床试验的受试者数量创下了纪录，2021 年这一数字接近 400 万，2022 年仍达到 190 万。
- 研究对象增加最多的领域是传染病，即使不包括 COVID-19 和埃博拉病毒，其他传染病在 2022 年也有近 600,000 名受试者，而 2018 年为 125,000 名。
- 除了 2020 年的 100 万 COVID-19 受试者外，研究在 2021 年又招募了 240 万名受试者，在 2022 年招募了超过 330,000 名受试者。
- 2022 年，肿瘤学试验占行业临床试验受试者的 16%，受试者为 28.9 万人，减少了 9,000 名受试者，但高于 2021 年所有试验受试者的 8%。
- 随着 COVID-19 疫苗试验激增的消退，该行业有机会让大量最近的试验对象参与正在进行的和未来的临床研究。
- 随着越来越多的试验关注利基人群，试验中的受试者数量总体呈下降趋势，尽管这种情况已经逆转，一些针对传染病的大型人群试验以及心血管和其他代谢试验（图表39）。

注意：受试者是报告的目标或实际患者，用于每年计划或实际开始日期的试验。

## mRNA疫苗的开发在过去两年中加速，并扩展到多种疾病领域

图表21：按治疗领域划分的mRNA疫苗管线，2016-2022年



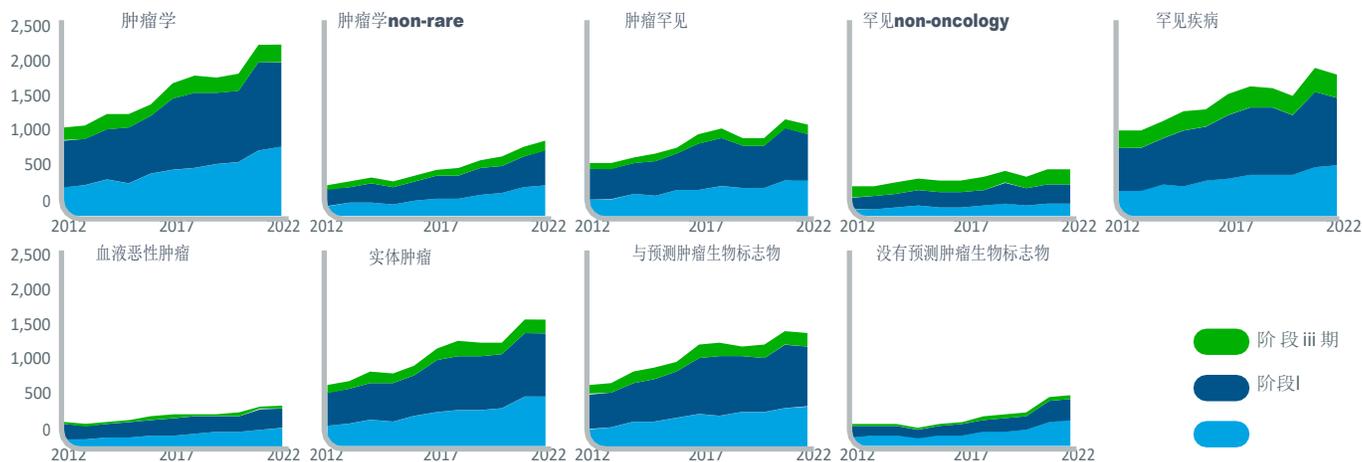
来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- 自2016年以来，mRNA疫苗的临床试验急剧增加，超过。到2022年，候选人人数增加30倍。
- 从2020年开始，COVID-19 mRNA疫苗占这一增长的很大一部分，从2020年开始的5种候选疫苗增加到2022年的26种。
- 由于COVID-19疫苗的开发，对mRNA疫苗的关注日益增加。在过去五年中，非COVID-19 mRNA候选药物的开发增加了12倍，促进了其他发展。
- 针对流感和呼吸道感染的mRNA疫苗开发是2022年非COVID-19疫苗开发的最高部分，占开发活动的35%。
- 尽管占了最大的比例，在 COVID-19 mRNA 管道之前，以肿瘤学为重点的 mRNA 疫苗并没有大幅增加，到 2022 年占管道的 8%。

注：图表显示根据最早试验开始日期排列的临床开发中的mRNA候选疫苗数量。

## 2022 年肿瘤学试验的启动量保持在历史高位，比 2018 年增长 22%，主要集中在罕见的癌症适应症上

图表22：临床试验开始年份，2012-2022



资料来源：Citeline Trialrove, IQVIA研究所，2023年1月。

- 肿瘤学和罕见病仍然是2022年开始试验的两个最活跃的治疗领域，尽管重叠，分别占2022年试验开始的40%和33%。
- 尽管在过去十年的大部分时间里，这两个领域的试验开始量都在稳步增加，但罕见病和肿瘤罕见症在 2022 年都显示出下降，这是它们大量重叠的结果。
- 在肿瘤学领域，罕见病的发病率在过去四年中起伏不定，而非罕见肿瘤学一直在增长——肿瘤学非罕见病例占 2022 年肿瘤学试验开始的 44%，这是至少过去 10 年来的最高相对水平。
- 实体瘤试验的开始数量在过去十年中急剧增长，尽管它们在 2022 年保持稳定；在过去的10年中，血液学试验的开始增长速度较慢。
- 在过去的 10 年里，预测性生物标志物的使用也在稳步增长，现在至少包括四分之三的肿瘤学管道，与肿瘤学管道的其他部分一样，2022 年没有增长。

注：第二阶段包括第一阶段/第二阶段、第二阶段、第二阶段a、第二阶段。第三阶段包括第二阶段/第三阶段和第三阶段。包括终止的试验，以跟踪仍涉及其启动、部分执行和终止的活动。试验由行业赞助，干预试验和器械试验被排除在外。肿瘤学在两张图表中分为血液学或实体瘤，在两张图表中分为具有预测性生物标志物和没有生物标志物的肿瘤。每对图表总计整体肿瘤学。

## 其他重要疾病领域的临床试验开始于2022年恢复到大流行前的水平

图表23：按开始日期划分的行业赞助的干预试验，2012-2022年



资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

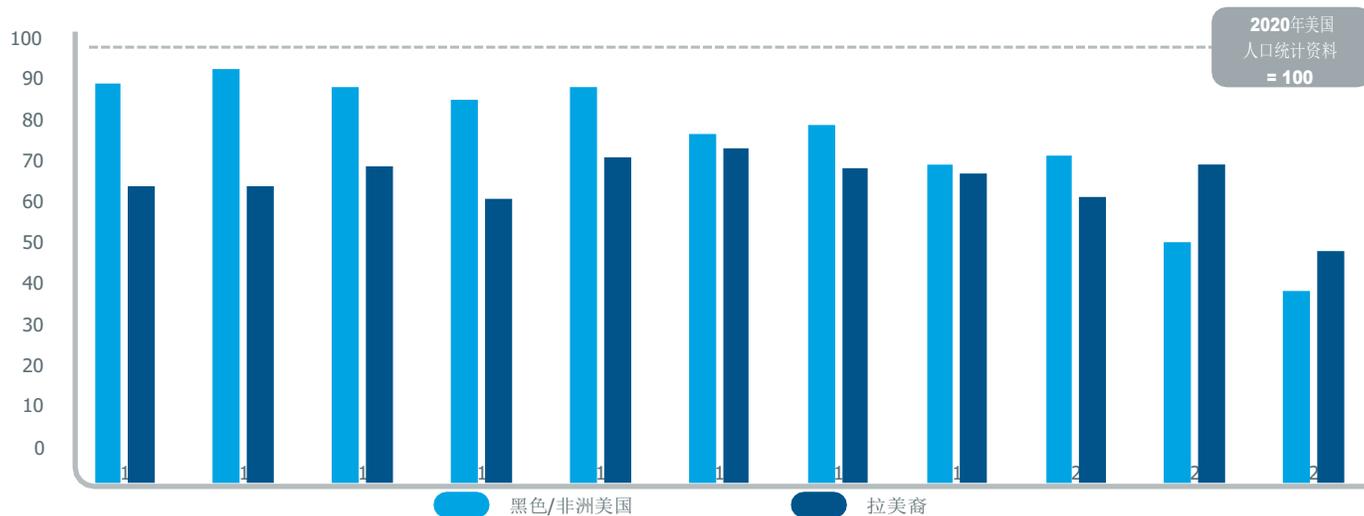
- 与 2019 年相比，许多关键的非肿瘤治疗领域显示 2022 年的临床试验开始量略有下降，但在许多情况下，仍保持在 2020 年的水平之上，这表明恢复到大流行前增长模式。
- 例外情况包括眼科、传染病和妇女健康，这些领域的试验开始时间达到或略高于 2021 年的水平。
- NASH和呼吸系统都显示出略微陡峭的下降，呼吸系统在2020年开始继续下降，NASH总试验在2021年至2022年期间下降了37%。

注：第二阶段包括第一阶段/第二阶段、第二阶段、第二阶段a、第二阶段。第三阶段包括第二阶段/第三阶段和第三阶段。包括终止的试验，以跟踪仍涉及其启动、部分执行和终止的活动。试验由行业赞助，干预试验和器械试验被排除在外。



## 黑人/非裔美国人和西班牙裔患者的临床试验代表性在过去十年中有所下降

图表25：第二阶段和第三阶段的种族和民族包容性与美国人口统计数据挂钩



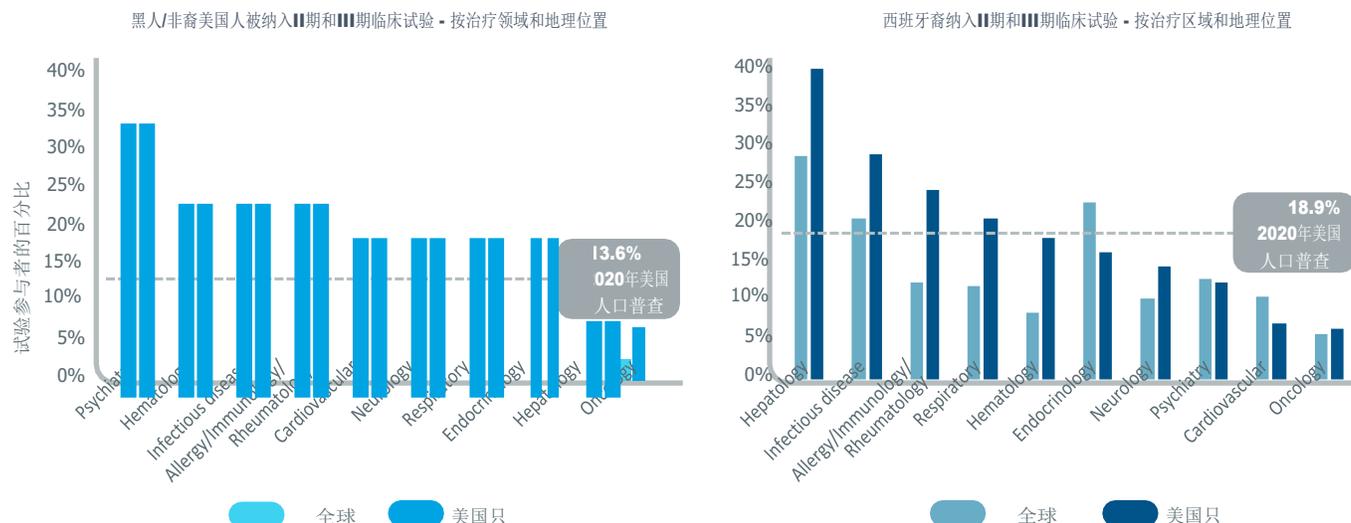
资料来源：ClinicalTrials.gov, 2022年12月;美国人口普查局速览, 2023年1月访问;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 尽管申办者越来越关注临床试验和多样性数据报告中的多样性，以及最近FDA关于多样性数据报告和临床项目多样性规划的指导，但黑人/非裔美国人和西班牙裔患者的参与未能在干预试验中平均达到美国的人口统计水平，包括过去十年的美国站点。<sup>3,4,5</sup>
- 在过去十年中，黑人/非裔美国人的参与率一直在下降，其中包容性下降在过去五年中最为明显，2018年至2022年间，美国人口普查指数的包容性下降了46%，从占美国人口的81%下降到43%。
- 西班牙裔的包容性在过去十年中发生了变化，并没有像黑人/非裔美国人的包容性那样明显下降，但在过去十年中也从未达到美国的人口水平。西班牙裔患者在53%的试验中被招募2022年美国人口水平。
- 黑人/非裔美国人和西班牙裔患者在使用美国临床站点并寻求美国监管部门批准的试验中代表性严重不足，这表明更广泛的临床开发多元化机会，以解决持续的医疗保健差异以及预期的持续监管和立法要求。<sup>3,4,5</sup>

注：包括所有有行业参与的介入性II期和III期试验，以及从2009年开始并在2012年初至2022年底之间完成的 ClinicalTrials.gov 上列出的任何美国研究中心。只有收集了种族或民族数据的试验分别被纳入黑人/非裔美国人或西班牙裔患者的纳入计算中。分析包括该时间段内的4,947项试验。美国黑人/非裔美国人的平均比例为13.6%，西班牙裔为18.9%。

## 在美国和全球试验中，黑人/非裔美国人和西班牙裔美国人的临床试验参与度在治疗领域差异很大

图表 26：按治疗领域和地理位置划分的 II 期和 III 期黑人/非裔美国人和西班牙裔患者纳入情况，2020-2022 年



资料来源: ClinicalTrials.gov, 2022 年 12 月;美国人口普查局速览, 2023 年 1 月访问;艾昆纬研究院, 2023年1月。

- 虽然黑人/非裔美国人和西班牙裔美国人的纳入因治疗领域而异，但在专门在美国招募的试验中，所有治疗领域的纳入率都较高，并且在肿瘤学中的纳入水平最低。
- 具体而言，在 2020 年间进行的仅限美国研究中心的精神病学试验中，黑人/非裔美国人被纳入治疗和地理亚群的比例从 34%（比美国人口统计学高 2.5 倍）不等以及 2022 年同期全球运行的肿瘤学试验的 3%（占美国人口水平的 20%）。
- 同样，在美国进行的肝病研究中，西班牙裔纳入率从44%（比美国西班牙裔人口统计学高2.3倍）到6%（31%的美国人口统计）的全球肿瘤学试验。
- 值得注意的是，即使在仅限美国的研究中心试验中，黑人/非裔美国人和西班牙裔美国人在肿瘤学中的纳入率也分别达到美国人口统计水平的51%和35%。
- 鉴于肿瘤学在行业试验管道中占很大比例（过去五年平均为38%），包容性差的影响在肿瘤学试验中，在整个时间范围内，行业平均包容性正在下降。
- 最大的临床开发领域的巨大包容性差异反映了美国一些最明显的医疗保健差异，并提供了可以影响整个管道和整个医疗保健结果的定向改进机会。<sup>6,7</sup>

注：包括所有有行业参与的介入性II期和III期试验，以及从2009年开始到2020年初至2022年底之间完成 ClinicalTrials.gov 上列出的任何美国研究中心。只有收集了种族或民族数据的试验分别被纳入黑人/非裔美国人或西班牙裔患者的纳入计算中。

# 新药审批和发布

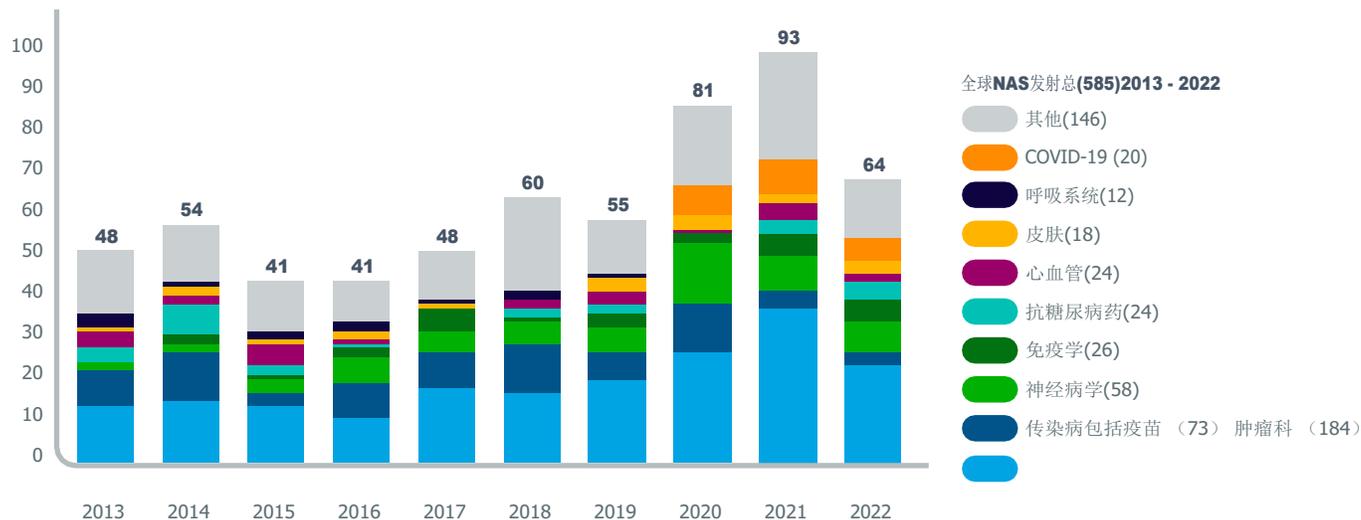
- 2022 年全球共推出 64 种新型活性物质 (NAS)，低于前两年每年推出 80 个，但代表 NAS 发布恢复到 COVID-19 之前的水平。
- 2022 年全球 NAS 推出量下降的原因是 COVID-19 疫苗和治疗方法减少，因为大流行对社会的影响减弱，美国加速批准减少，仅在中国推出的 NAS 减少。
- 2022年新推出的份额越来越大  
首创，反映了越来越多的新科学为患者提供。此外，由于推出的复杂分子数量不断增加，新推出的越来越专业产品，通常需要先进的分销和管理系统才能将它们交付给患者。
- 自1998年推出第一款下一代生物疗法以来，已有42种下一代生物治疗药物  
包括细胞、基因和RNA疗法在内的药物已在全球范围内推出，其中19项是在过去三年中推出的，2022年在美国推出的39项NAS中有6项是2项，包括两种细胞疗法、两种基因疗法和两种RNAi疗法。
- 新兴生物制药企业是67%  
2022 年的所有新药并推出了其中的 69%，这表明 EBP 公司在从创新中获取产品方面更加独立  
推向市场。
- 在过去五年中，全球共有353种新型活性物质上市，使20年的总数达到903种，主要地区的上市时间和获得这些药物的时间各不相同。

---

2022 年，全球推出的新型活性物质数量下降了近三分之一，但仍超过了 COVID-19 之前的所有年份，并且包括更高比例的一流药物，推动了患者获得新科学的机会增加。

## 2022年全球共推出64种新型活性物质（NAS）

图表27：按治疗领域划分的全球新型活性物质（NAS）发布情况（2013-2022）



来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- 2022 年全球共推出 64 种新型活性物质（NAS），低于前两年每年推出80个，但代表恢复到COVID-19之前的水平。

肿瘤学、神经病学和免疫学在新推出的份额上升，353次发布中有173次（49%），而2013年至2017年的232次中有95次（41%）。

- 传染病，包括 COVID-19 以及抗菌、抗病毒、抗真菌和抗寄生虫治疗，包括针对艾滋病毒、埃博拉和最近的猴痘的新疗法，在过去十年中占 NAS 推出的 16%，其中一些年际变化。

- 在过去十年中，总共推出了184种肿瘤学，其中包括免疫肿瘤学中一些最具突破性的新疗法，以及下一代生物治疗药物，以及许多罕见癌症的治疗方法。

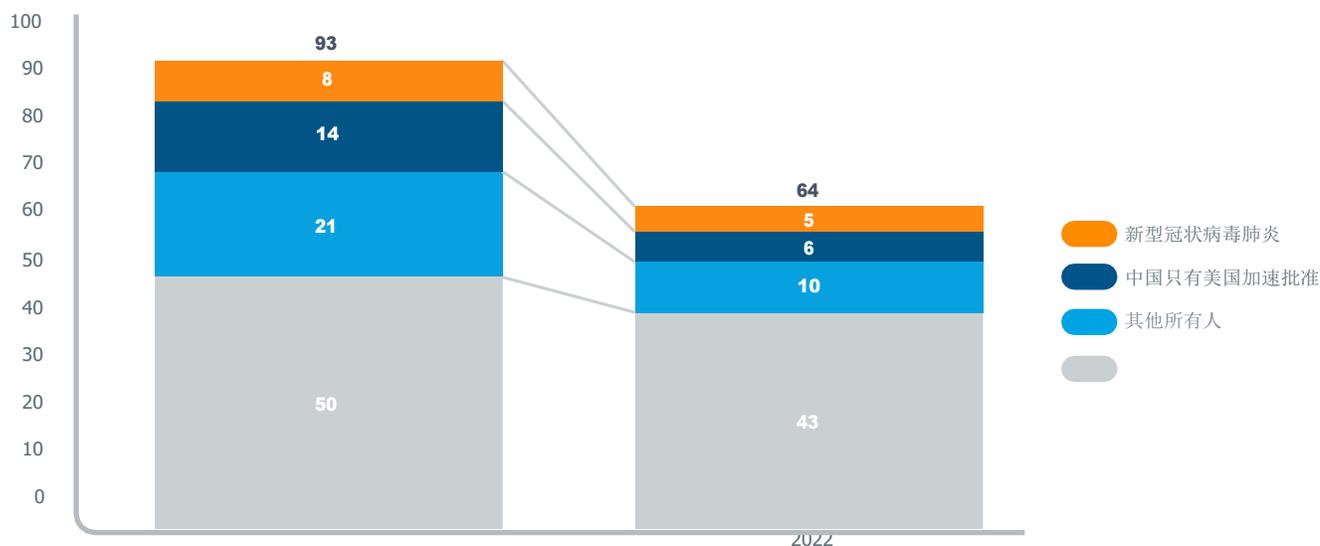
- 神经病学在10年内包括58种药物，最近推出的许多药物都是针对罕见的神经肌肉疾病以及用于偏头痛治疗的新CGRP机制，这是几十年来偏头痛的第一个新机制。

- 第一种下一代生物治疗药物，一种治疗巨细胞病毒视网膜炎的反义寡核苷酸，于1998年在全球推出。从那时起，全球已经推出了42种下一代生物治疗药物，包括细胞，基因和RNA疗法，其中19种是在过去三年中发生的。

注意：新型活性物质（NAS）是新的分子或生物实体或组合，其中至少一种元素是新的。包括按首次全球发布年份在世界任何地方推出的 NAS。发布是通过艾昆纬对销售活动的审计以及公司的公开声明来确定的。肿瘤学包括支持性护理和诊断。COVID-19仅包括新药，不包括先前批准的具有COVID-19新批准用途的药物。

## 2022 年全球 NAS 发布量下降，原因是 COVID-19（仅限中国）和美国加速批准发布

图表 28：按特征划分的全球新型活性物质（NAS）发布（2021-2022）



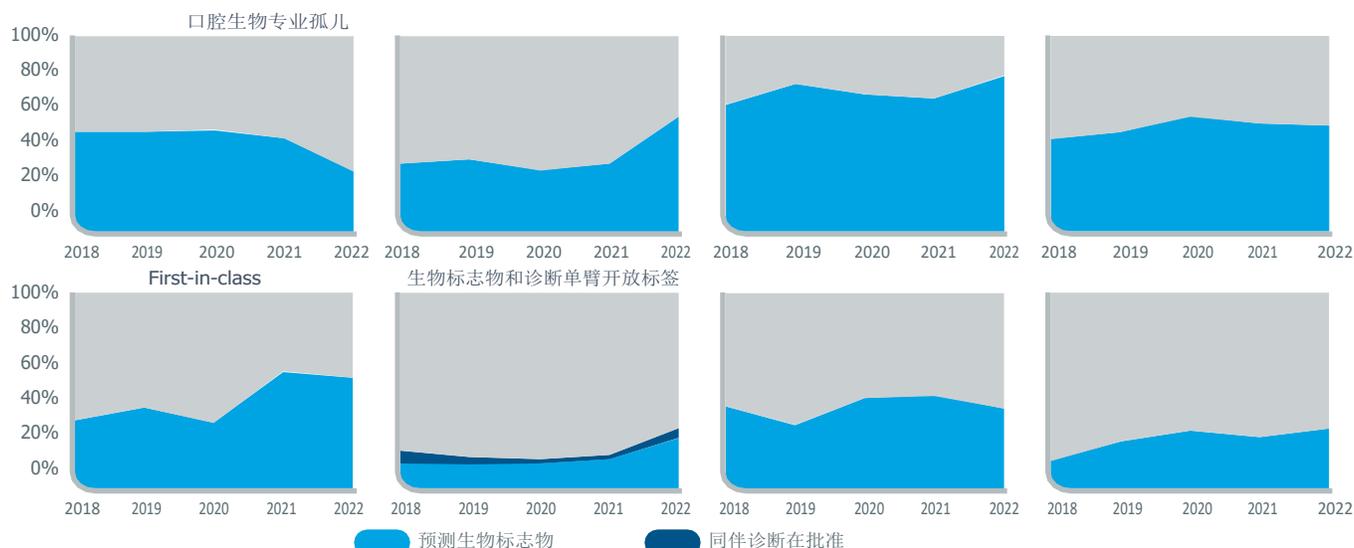
来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- 2022 年全球推出的 64 台 NAS 比 2021 年全球推出的 93 台大幅下降，后者是创纪录的一年，包括各种独特的发布。
- NAS 数量的小幅下降可归因于新型 COVID-19 疗法和疫苗数量的下降，这是大流行对社会的影响下降以及 COVID-19 药物开发的转变的结果。
- 在新药和生物制剂以及补充申请中，美国食品和药物管理局在 2021 年通过加速批准批准了 25 项，到 2022 年降至不到一半。在 2021 年至 2022 年的全球 NAS 发布中，减少了 8 个可归因于美国加速批准的减少，这代表了恢复到 2019 年的水平。
- 中国越来越多的 NAS 仅在国内推出，不在其他主要市场推出。中国推出的 NAS 数量在前几年（5-6 个）仍然很低，但在 2021 年增加到 21 个的峰值，并在 2022 年回落到 10 个，与历史水平更加一致。

注意：细分是不重叠的，所有 COVID-19 NAS 都分组，而不考虑其他特征。仅限中国的 NAS 是仅在中国推出的 NAS，而不是在其他主要市场推出的。

## 2022 年推出的新产品中，超过 60% 是同类首创，一半以上是生物制品，高于五年前的 35%

图表 29：按产品属性和用于批准的临床试验特征划分的美国新型活性物质（NAS），2018-2022 年



来源: IQVIA 研究所, 2023 年 1 月。

- 在过去五年中，大量首创药物已经上市，占 2022 年推出的药物的 62%，过去五年平均为 46%。
- 在过去五年中，143 种具有孤儿药名称的药物上市，占 268 个推出的 53%，表明罕见病创新药的重点。
- 专科药物——那些治疗慢性、复杂或罕见疾病，也具有复杂治疗、分销或患者管理方面的药物，而且成本往往很高，占 2022 年美国推出的 85%，2022 年推出的 39 种中只有 6 种是传统药物。
- 不出所料，2022 年专业药物的增加与生物制剂 NAS 的增加（59%）和口服药物的减少相吻合
- 给药（31%），因为生物药物和注射或输液提供的药物经常导致更复杂的分配和患者管理以及更高的成本。
- 随着新药越来越多地针对高度未满足需求的领域，临床试验设计使用了单臂和开放标签设计，这在该地区很常见。进行更传统的随机安慰剂对照试验不太可行或不切实际的地方。在过去五年中，43% 的发射在批准试验中使用了开放标签试验。

注意：包括 2018-2022 年在美国推出的 NAS，无论 FDA 批准的时间如何。孤儿包括具有 FDA 在产品发布时批准的一个或多个孤儿适应症的药物。如果产品随后获得孤儿指定指示的批准，则不会将其重新归类为孤儿。同类首创基于 FDA 分类。基于 FDA 批准信息的预测性生物标志物和伴随诊断。开放标签和单臂是根据 FDA 指出的与批准相关的试验的试验设计确定的临床试验属性。

# 2022年推出的新型活性物质 (NAS) 包括 33 种特殊药物和 26 种源自EBP

图表30: 2022年在美国推出的新型活性物质 (NAS)

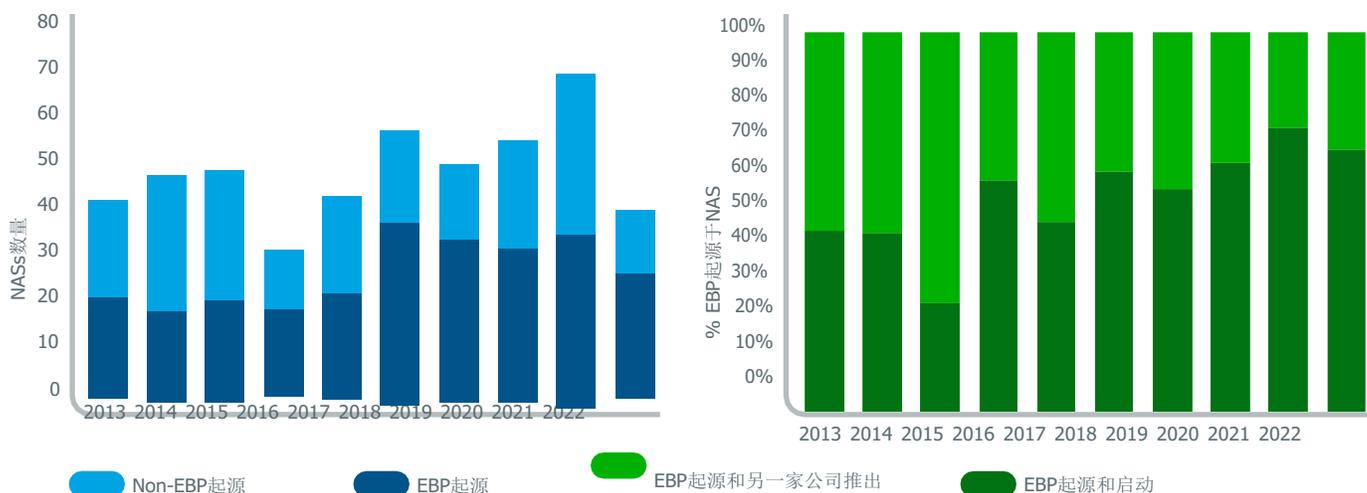
\*关键属性: **问**=口服, **W**=生物, **3**=专业, **r**=下一代biotherapeutic = 孤儿, **y**= First-in-class, **5**= U=加快审查, **我**= U。年代专利推出≤5年 **o**= EBP的起源, **1**)= EBP推出

治疗领域	指示	分子	品牌	属性*																	
				1	2	3	4	5	6	7	8	9	10								
肿瘤学	急性髓系白血病	olutasidenib	Rezilidhia	●	●	●															
	FRα 阳性、铂类抵抗性上皮性卵巢癌、输卵管癌或原发性腹膜癌	mirvetuximab soravtansine	Elahere		●	●	●	●	●												
	肝细胞癌骨髓纤维化	tremelimumab	Imjudo Vonjo		●	●	●	●	●												
	嗜中性白血球减少症	pacritinib	Rolvedon	●	●	●	●	●	●												
	非小细胞肺癌(NSCLC)	eflapregrastim	Krazati	●	●	●	●	●	●												
	前列腺特异性膜抗原 (PSMA) 阳性转移性去势抵抗性前列腺癌 (mCRPC)	adagrasib	Pluvicto		●	●	●	●	●												
	复发或难治性多发性骨髓瘤	镧陆(177)vipivotide tetraxetan	Carvykti	●	●	●	●	●	●												
	不可切除或转移性黑色素瘤 不可切除或转移性葡萄膜黑色素瘤 肌萎缩侧索硬化症 (ALS)	ciltacabtagene autoleucel	Tecvayli		●	●	●	●	●												
	脑瘤	teclistamab	Opdualag		●	●	●	●	●												
	nivolumab relatlimab	Kimmtrak		●	●	●	●	●	●												
神经学	细胞周期蛋白依赖性激酶5 (CDK5) 缺乏症 (CDD) 失眠	tentafusp	Relyvrio		●	●	●	●	●												
	重症肌无力	benbendanipip	Skysona		●	●	●	●	●												
	遗传性甲状腺素转运蛋白介导的淀粉样变性多发性神经病 特应性皮炎	苯丁酸钠+牛磺酸二醇 艾利伐多金	Ztalmly		●	●	●	●	●												
	斑块状银屑病 脓疱型银屑病 严重哮喘	加纳索隆 达里多雷	Quviviq	●	●	●	●	●	●												
	溶血性贫血 血友病B	克坦 埃夫加替吉莫	Vyvgart	●	●	●	●	●	●												
	冷凝血素疾病β-thalassemia	德阿法 武特里西兰	Amvuttra	●	●	●	●	●	●												
	新型冠状病毒肺炎	阿布罗替尼 曲洛基	Cibinqo	●	●	●	●	●	●												
	登革热	单抗 脱氟伐替尼 斯	Adbry	●	●	●	●	●	●												
	复发性外阴阴道念珠菌病 (RVVC) 3期和2期	佩索利单抗 替西佩	Sotyktu		●	●	●	●	●												
	1型糖尿病 2型糖尿病	鲁单抗 米塔皮伐特	Spevigo		●	●	●	●	●												
免疫学	杂合子家族性高胆固醇血症 (HeFH) 或动脉粥样硬化心血管疾病(ASCVD)	etranacogene dezaparvec	Tezspire	●	●	●	●	●	●												
	症状性梗阻性肥厚型心肌病 斑块状银屑病	sutimlimab	Pyrukynd		●	●	●	●	●												
	与慢性肾脏疾病相关的瘙痒 酸性鞘磷脂酶缺乏症	betibeglogene autotemcel	Hemgenix		●	●	●	●	●												
	检测 and 可视化血管异常病变	betelovimab	Enjaymo	●	●	●	●	●	●												
	肠易激综合征伴便秘 (IBS-C)	登革热四价疫苗oteseconazole	Zynteglo		●	●	●	●	●												
	新生血管年龄相关性黄斑变性 (nAMD) 或糖尿病黄斑水肿	teplizumab	Dengvaxia		●	●	●	●	●												
	症状性梗阻性肥厚型心肌病 斑块状银屑病	tirzepatide	Vivjoa Tzield	●	●	●	●	●	●												
	检测 and 可视化血管异常病变	inclisiran	Mounjaro		●	●	●	●	●												
	肠易激综合征伴便秘 (IBS-C)	马瓦卡姆滕膜	Leqvio		●	●	●	●	●												
	新生血管年龄相关性黄斑变性 (nAMD) 或糖尿病黄斑水肿	二非利法林寡	Camzyos		●	●	●	●	●												
抗感染/糖尿病/糖尿病	普酶 α 乳皮酶	Vtama		●	●	●	●	●	●												
	醇 特纳帕诺	Korsuva		●	●	●	●	●	●												
	faricimab	Xenpозzyme		●	●	●	●	●	●												
		Elucirem		●	●	●	●	●	●												
		Ibsrela		●	●	●	●	●	●												
		Vabysmo		●	●	●	●	●	●												
				●	●	●	●	●	●												
				●	●	●	●	●	●												
				●	●	●	●	●	●												
				●	●	●	●	●	●												
总数																					

来源:IQVIA研究所,2023年1月。  
 注意: 包括 2022 年在美国推出的 NAS。肿瘤学包括支持性护理和诊断。从FDA和公司发布的信息以及相关的临床试验信息中整理。基于FDA分类的同类首创。任何形式的快速审查都包括优先审查、加速批准、突破性指定或 FDA 确定的快速通道。如果从第一次专利申请 (或第一次临床试验开始) 到启动之间的时间在美国小于或等于五年, 这已被注意到。

## 新兴生物制药公司起源于67%的新药2022年并推出了其中69%，反映了独立性的提高

图表 31：发起和提交 FDA NAS 监管申请的公司以及发布百分比NAS推出年



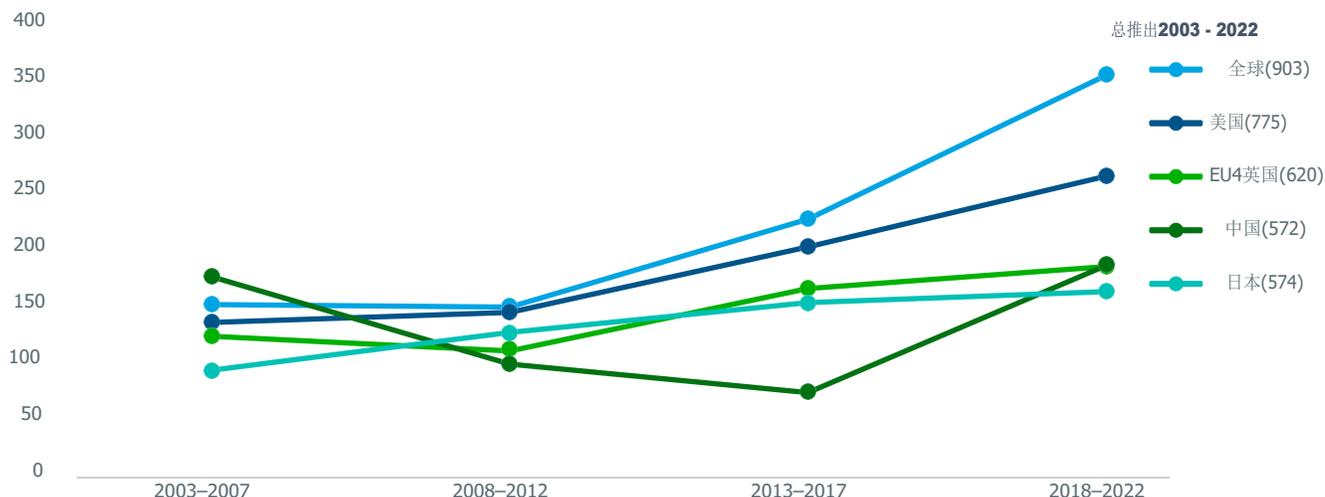
来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- 在过去五年中，由EBP公司推出的新型活性物质（NAS）数量翻了一番，2022年推出了26种来自EBP公司的NAS。
- 尽管由EBP发起的NAS所占份额每年差异很大，但在过去五年中，EBP公司发起了62%的美国NAS启动，高于前五年的49%，这表明EBP创新进入市场的数量有所增加。
- EBP公司越来越多地推出由EBP发起的产品，这表明更多的独立性。EBP公司将产品从创新推向市场。
- EBP公司在2022年推出了69%的自有产品，其中18个EBP发起并推出了NAS。这是过去十年中发起和推出EBP的NAS总数中的最大份额（46%）（平均值 = 33%）。

注意：NAS在美国的发布已按发起人进行细分，原始人基于提交第一项专利的公司。图表1中列出的细分是根据专利申请时的收入或研发支出应用的。启动公司细分已由FDA备案公司评估，并通过该公司与其他公司收购的关系状态进一步验证，因为备案公司通常不会追溯更改以反映新的所有权。

## 过去5年全球共推出353种新型活性物质，使20年的总数达到903种

图表32：2003-2022年全球和选定国家推出的新型活性物质（NAS）数量



来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- 2022年全球首次推出64种新型活性物质，带来五年的总数达到353。基于分子在后期管道中，预计未来五年平均每年将推出 60 个 NAS，未来五年全球推出的 NAS 数量将增加 300 个。
- 2022 年美国发射的 NAS 总数为 39 次，是自 2016 年以来美国单年发射最少的 NAS，这可能反映了大流行的延迟影响，但在过去五年中，总数仍高达 268 次。
- 欧盟四个最大的成员国（法国、德国、意大利、西班牙）和英国在 2022 年向美国发射的 NAS 数量相似，为 38 次，低于 2021 年创纪录的 50 次发射;然而，过去五年的192个落后于美国76个。
- 日本在 2022 年推出了 31 台 NAS，连续第五年推出 30 台或更多，尽管在全球发布后比本世纪初更早推出，但仍然落后于美国和其他主要市场。
- 中国已确认的29个NAS启动使五年总数达到193个，其数量受到监管加速机制的推动，例如加快发展的政策以及审查和报销改革，所有这些都支持不断增长的国内创新生态系统，并鼓励跨国公司提前进入。

注：新型活性物质（NAS）被定义为具有至少一种新成分的药物，并在相关地区首次推出的年份注明。如果其中一种成分是新颖的，则固定剂量组合是 NAS，但如果以前两者都可用，则不是。紧急使用授权（EUA）在药物可供患者使用的那一年计为 NAS，并且不申请批准类型的排除。新型冠状病毒肺炎-19 根据用于制造它们的技术，疫苗被计为NAS，由mRNA技术制造的疫苗计为一个NAS，由八种COVID-19疫苗亚型中每种疫苗生产的疫苗都被视为每种NAS，迄今为止已经推出了五种类型，还有三种正在开发中。

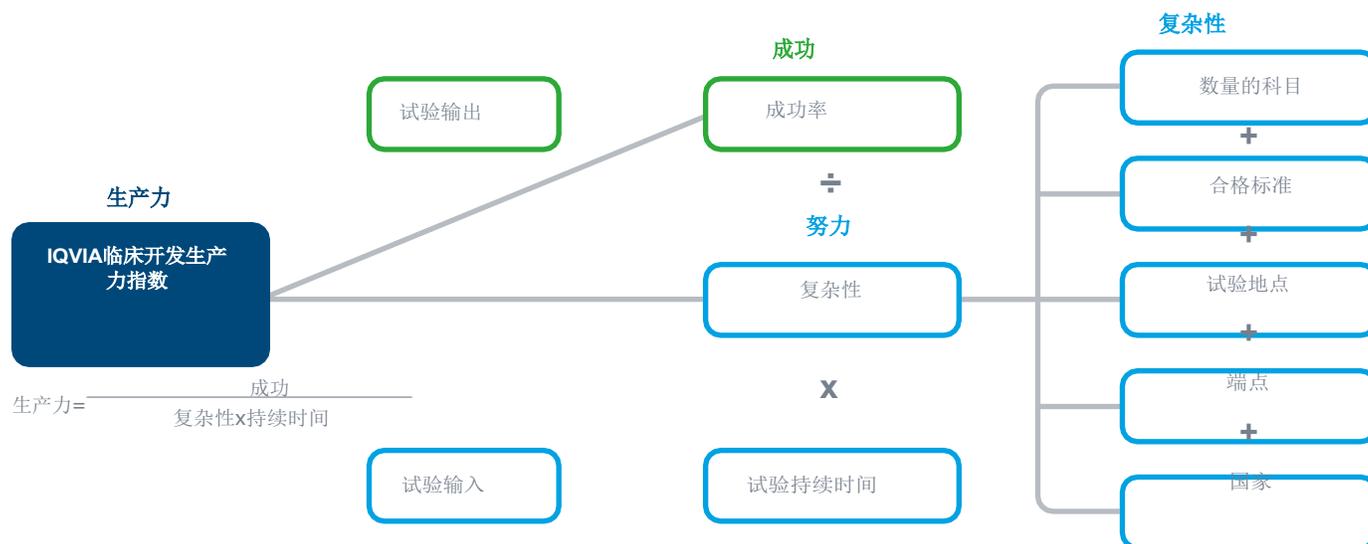
# 临床开发生产力

- 临床开发生产力指数提供了成功率、临床试验复杂性和试验持续时间的综合指标。
- 由于复杂性的降低，临床开发效率在 2022 年大幅提高。
- 2022 年，所有治疗领域的综合成功率降至 6.3%，而 II 期和 III 期成功率上升了 2-6%。
- 在各个疾病领域，2022 年的综合成功率低于 10 年趋势，但的疫苗。
- 不同疾病的成功概率差异很大，传染病和皮肤病学最高。
- 临床试验复杂性在 2022 年下降，继 2021 年因大量 COVID-19 试验。
- 罕见疾病和肿瘤学试验的研究中心数量下降是整体管道复杂性下降的关键驱动因素。
- 在过去十年中，试验时间略有增加，特别是第三阶段近年来一直是推动因素。
- 近年来，肿瘤学和罕见病的试验持续时间一直在下降，总体试验持续时间的增加有所减弱。
- 综合临床开发生产力指数自 2015 年以来稳步下降后，于 2022 年有所上升。
- 传染病的临床开发生产力指数最高，而肿瘤学扩展趋势最低。

综合临床开发生产力指数自 2015 年以来稳步下降后，于 2022 年有所上升。

## 临床开发生产力指数提供了成功率、临床试验复杂性和试验持续时间的综合指标

图表33：临床开发生产力指数



来源: IQVIA研究所, 2023年1月。

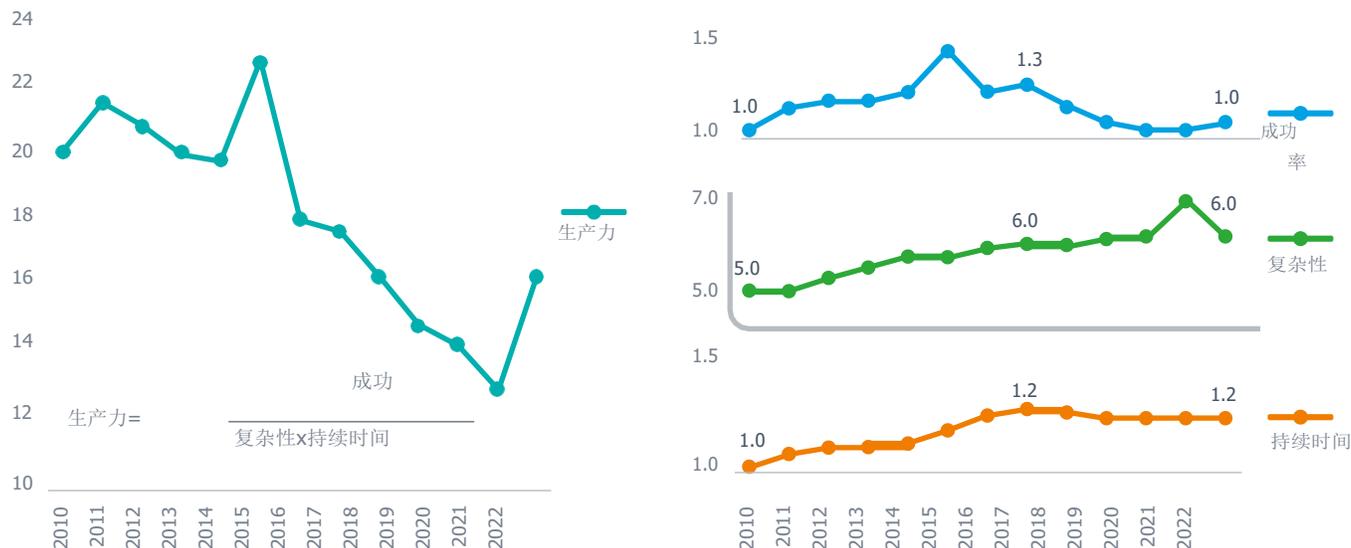
- 临床开发过程的生产力可以被视为试验产出（药物、创新、试验成功等）的衡量标准，与试验投入或专用于获得这些产出的资源（例如，试验复杂性、持续时间、货币投资等方面）相比。如上所述，选择将成功、复杂性和试验持续时间的此类衡量标准纳入生产率指数。
- 成功的增加将提高整体生产力，复杂性或持续时间也会降低。相反，成功率的降低会降低生产力指数，复杂性和持续时间也会增加。
- 为了获得试验复杂性的当前状态测量（终点、研究中心、国家、患者、合格标准的平均数量）以及试验持续时间的数据，利用了 Citeline Trialtrove 临床试验数据库中的属性。为了从

非结构化或半结构化文本 在试验记录中，自然语言处理用于识别试验申办者在详细说明这些功能时采用的常见格式模式。成功指标是根据进入后续研究阶段或停药、暂停、撤回或失去活性三年或更长时间的药物计算得出™的（见方法论）。每种疾病每个阶段的每个指标都索引为所有疾病的等效 2010 年值。指数可用于每个阶段或作为跨阶段的平均值。

- 对 2010 年至 2022 年间开始的所有试验进行了生产力分析，包括治疗领域的详细信息：心血管、皮肤病学、传染病、内分泌学、免疫学、神经病学、肿瘤学、呼吸系统、疫苗（与传染病分开）和罕见疾病。

## 由于复杂性的降低，临床开发效率在 2022 年大幅提高

图表34：临床开发生产力指数和与2010年值指数挂钩的生产力要素



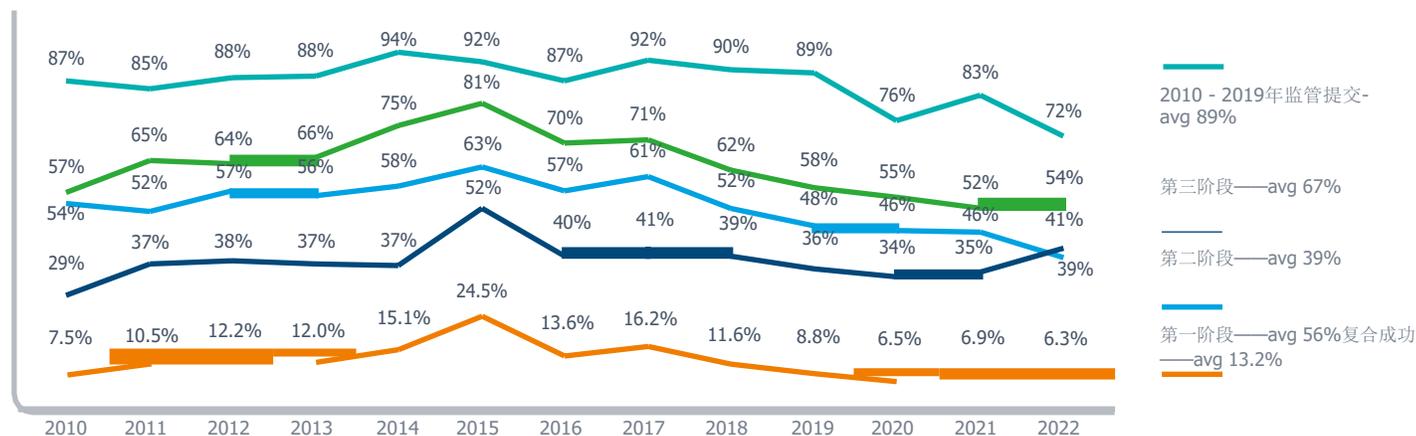
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；Citeline Trialtrove, IQVIA研究所，2023年1月。

- 临床开发生产力（成功率、临床试验复杂性和试验持续时间的综合指标）在 2022 年反弹，扭转了 10 年下降趋势。试验复杂性在 2021 年达到异常值高点后恢复到之前的趋势，而总体成功率略有提高。
- 试验成功率与基线一致，比 2021 年略有上升，但远低于过去 10 年的高点。
- 试验复杂性在 2021 年异常高的水平之后，在 2022 年急剧下降，这是由大量研究对象推动的。复杂性指数的所有其他组成部分在 2022 年略有下降。
- 自 2017 年以来，试验持续时间基本持平，反映了招募更多罕见病患者和治疗后随访期较长的困难，尽管一些试验比历史标准快得多。

注：成功率和持续时间与 2010 年所有疾病的平均值指数相吻合，等于 1。这五个复杂性指标与 2010 年的所有疾病进行索引，等于 1，然后相加，等于 5。

## 2022 年，所有治疗领域的综合成功率降至 6.3%，而 II 期和 III 期成功率上升了 2-6%

图表35：研发综合成功率和平均阶段成功率，第一阶段至申请，2010-2022年



阶段成功率 =  $\frac{\text{成功 (药物达到任何更高的阶段) 成功和失败的总和}}{\text{成功和失败的总和}}$

阶段成功率 =

综合成功率 % = 第一阶段 x 第二阶段 x 第三阶段 x 监管提交

资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月;艾昆纬研究院，2023年1月。

- 该管道的综合成功率在 2022 年降至 10 年来的最低点，但嵌入了第二阶段和第三阶段率的增加，抵消了第一阶段和监管提交时的下降。
- 第二阶段的成功率在一年内从35%增加到41%，恢复到2017年的水平。
- 第三阶段的利率上升至54%，仍远低于大流行前10年67%的平均水平。
- 大流行继续扰乱已完成的审判，近年来由于长期不活动而被认为失败的一些试验实际上仍在继续，并且已经现在已成功完成，导致追溯

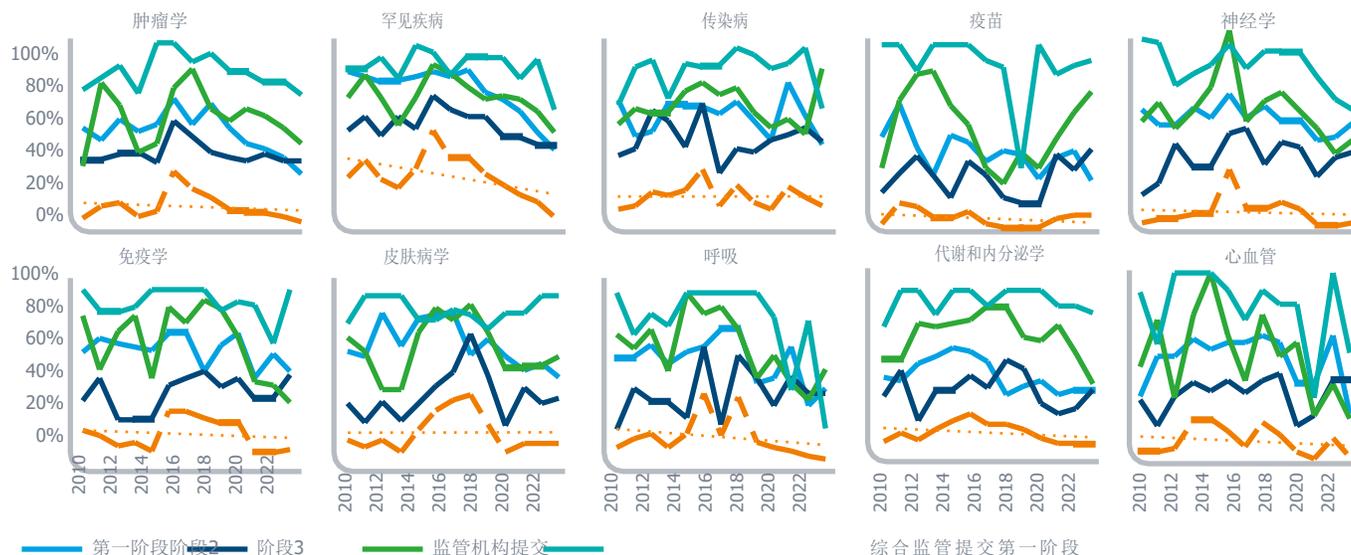
重述过去几年的成功率。去年报告中的总体综合成功率为5.2%，而当前分析中重述为6.9%。

- 第一阶段的成功率降至 39%，为自 2010 年以来的最低水平，比 2021 年下降了 7%。
- 产品申请监管审批的成功率也达到了较低水平，在 2022 年降至 72%。

注：阶段成功率的计算方法是，在一年中达到后续阶段的产品占有结果的产品总数的百分比，包括停产、暂停或撤回的产品以及三年不活跃的产品。最后一次更新后三年的日期决定了该药物被认为已失活并被纳入成功率分母的年份，除非案头研究得出结论该药物仍在积极研究中。产品的研究状态在全球任何地区进行评估。

## 在所有疾病领域，除疫苗外，2022年的综合成功率低于10年趋势

图表36：2010-2022年按治疗领域划分的研发阶段和综合成功率



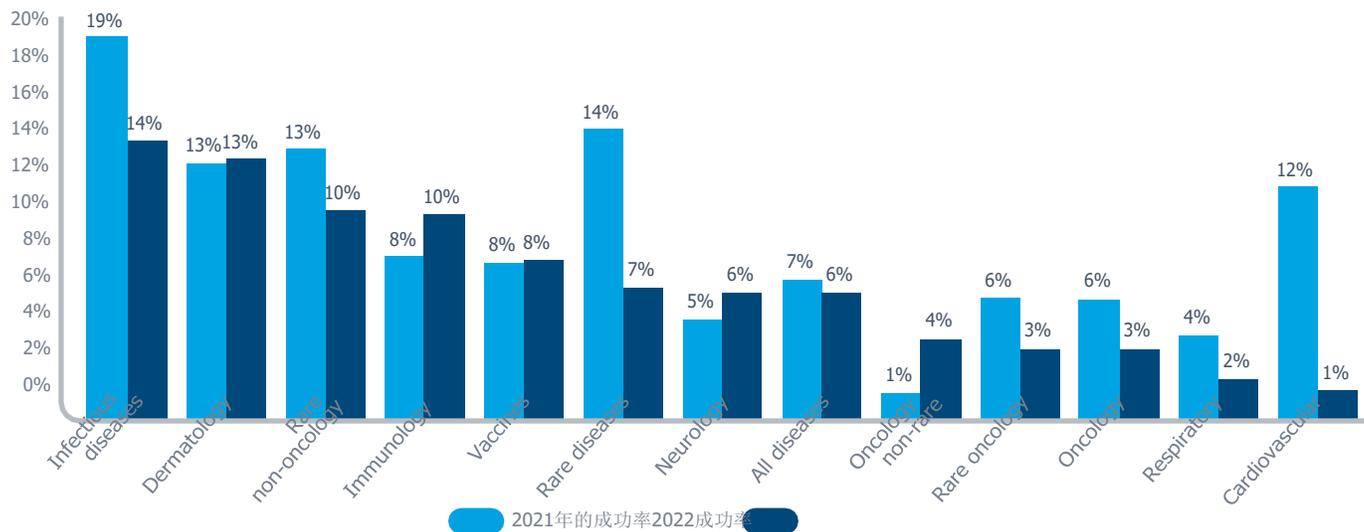
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 2022 年的综合成功率为 6.3%，低于神经病学、肿瘤学、呼吸和心血管类别的 10 年趋势线。
- 虽然大多数疾病领域在 2022 年恶化，但几乎所有疾病领域都重述了前几年，因为以前被认为变得不活跃的研究有了新的进展或更新了活动。
- 虽然疫情期间活动水平保持弹性，但肿瘤学和罕见疾病——研发管道中最大的两个部分——在 2022 年的综合成功率都大幅下降，延续了近年来的趋势。
- 疫苗从2016年到2019年的成功率有所下降，但成功率显著增加除了 2022 年的第一阶段，主要是由 COVID-19 疫苗的成功推动的。
- 传染病综合成功率在 2022 年略有下降，继续低于观察期间的趋势线，原因是第一阶段和监管提交成功率下降。

注：阶段成功率的计算方法是，在一年中达到后续阶段的产品占有结果的产品总数的百分比，包括停产、暂停或撤回的产品以及三年不活跃的产品。最后一次更新后三年的日期决定了该药物被认为已失活并被纳入成功率分母的年代，除非案头研究得出结论该药物仍在积极研究中。

## 不同疾病的成功概率差异很大，传染病和皮肤病学最高

图表37：2021年和2022年按治疗领域划分的研发综合成功率



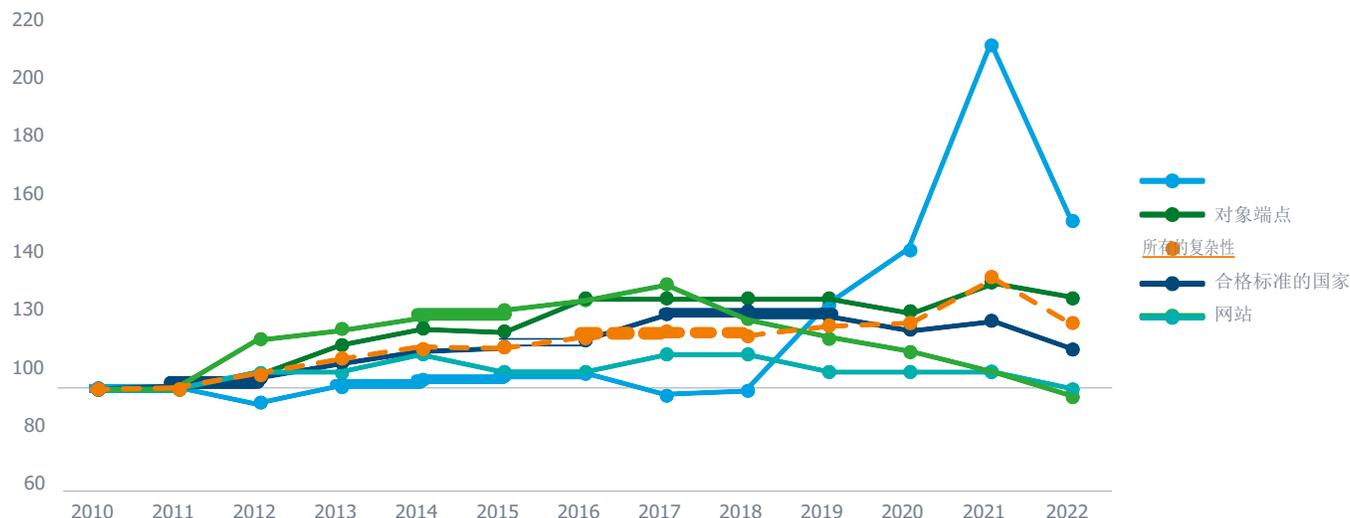
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；艾昆纬研究院，2023年1月。

- 2022年复合成功率的下降覆盖了治疗领域的一系列复杂动态，2021年的范围从1%到19%，2022年的范围更窄，从1%到14%。
- 传染病、皮肤病和非肿瘤罕见病在2022年的复合成功率最高，与2021年的水平相同或略低。
- 肿瘤学是该管道中最大的部分，目前的综合成功率为3%，罕见癌症（3%）和非罕见癌症（4%）之间存在细微差异。
- 2022年罕见病的综合成功率为7%，低于前一年的14%，反映了这些类型药物的高度动态结果。
- 心血管疾病产品在2021年的成功率为12%，更符合2020年和2022年的长期趋势，两者都代表了异常低的成功率。这些异常期是否会持续下去还有待观察。

注：阶段成功率的计算方法是，在一年中达到后续阶段的产品占有结果的产品总数的百分比，包括停产、暂停或撤回的产品以及三年不活跃的产品。最后一次更新后三年的日期决定了该药物被认为已失活并被纳入成功率分母的年代，除非案头研究得出结论该药物仍在积极研究中。

## 临床试验复杂性在 2022 年大幅下降，此前增加在2021年因大型COVID-19试验

图表38：与2010年值挂钩的复杂性元素，2010-2022年所有阶段



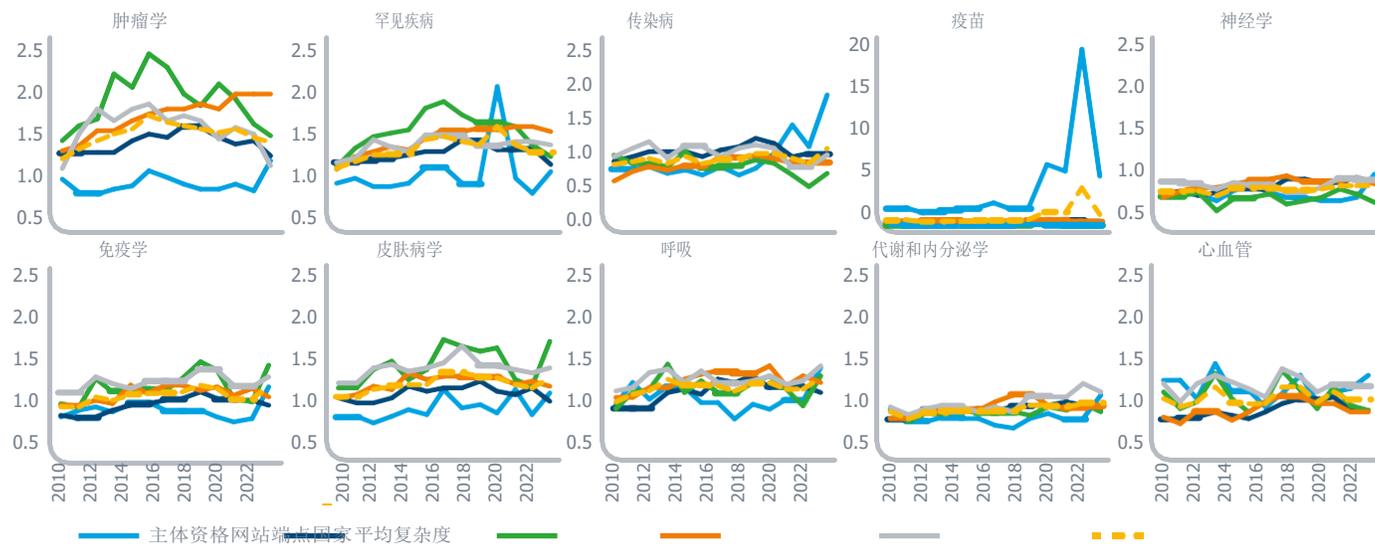
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 在过去十年上半年复杂性增加的一段时间之后，2021年的试验复杂性跃升至与2010年相比的136指数，然后在2022年回落至121，但仍超过前几年。
- 2021年异常多的试验受试者，主要是 COVID-19 试验，是2022年整体复杂性降低的主要驱动力。
- 站点数量和行业试验国家数量的下降是2022年下降的另一个驱动因素，站点比2010年的水平低2.5%，各国恢复到基线指数100，这些指标有所下降受持续的 COVID-19 试验中断和乌克兰冲突的推动。
- 自2018年以来，受试者人数平均急剧增加，2021年的指数为212人，2022年的指数为154人，两者都是大规模 COVID-19 疫苗试验的结果。
- 随着 COVID-19 大流行的消退，临床试验受试者的数量可能会恢复到  
大流行前的水平。
- 这些措施虽然不能确定试验的复杂性，但确实为正在进行的与试验相关的工作提供了有用的指导。

注：终止和撤回的试验被排除在分析之外。试验是行业赞助的和干预性的。诊断、行为疗法、补充剂、设备和医疗程序被排除在外。传染病不包括疫苗。

## 罕见疾病和肿瘤学试验站点数量的下降是整体管道复杂性下降的关键驱动因素

图表39：2010-2022年按要素和治疗领域划分的试验复杂性



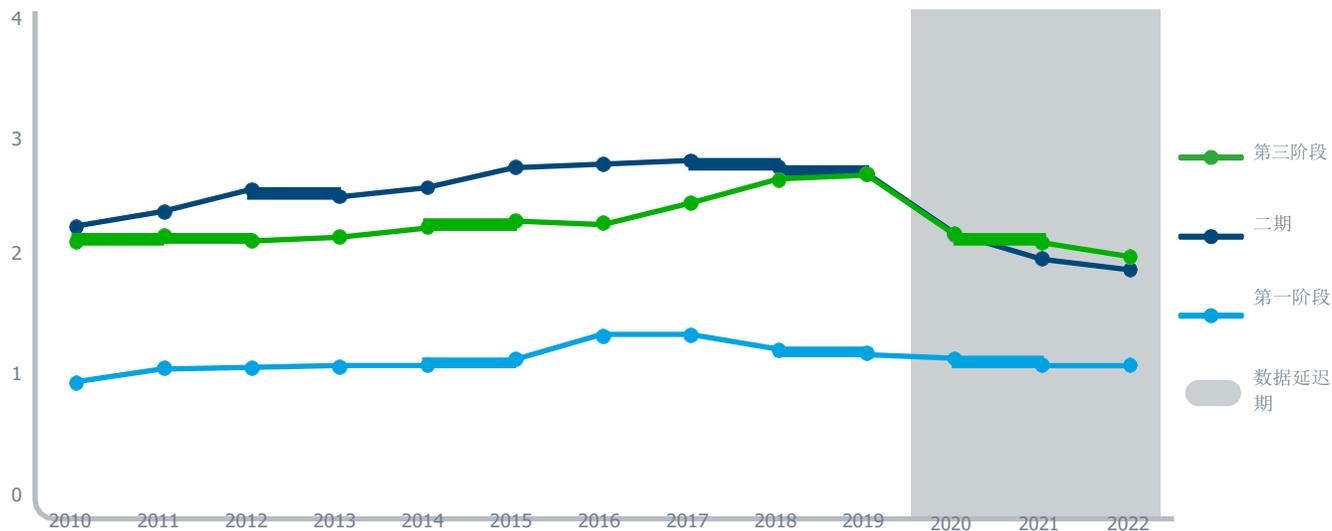
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 随着整体复杂性的降低，大多数评估的治疗领域在 2022 年都出现了下降。
- 使用该指数最复杂的肿瘤学试验在 2022 年的复杂性降至 2011 年以来的最低水平。与一般的管道一样，这种下降与站点和国家数量的下降高度相关，这种下降始于 2015 年，但因大流行而加剧。然而，受试者的数量在 2022 年确实急剧增加，这可能与远离罕见癌症的转变有关。
- 自2015年以来，由于研究中心和受试者数量的减少，罕见病试验的复杂性一直在稳步下降，这表明除了2019年开始的大型埃博拉试验外，人们更加关注较小的患者群体。罕见病试验的地点减少是过去三年中一个显著的转折点。
- 近年来，疫苗试验的规模越来越大，并且按疾病目标划分的受试者数量差异很大，近年来埃博拉、流感和 COVID-19 的大规模试验推动了这一增长。

注：终止和撤回的试验被排除在分析之外。试验是行业赞助的和干预性的。诊断、行为疗法、补充剂、设备和医疗程序被排除在外。传染病不包括疫苗。

## 在过去十年中，试验时间略有增加，特别是第三阶段近年来一直是推动因素。

图表40：2010-2022年所有治疗领域按阶段划分的平均试验持续时间



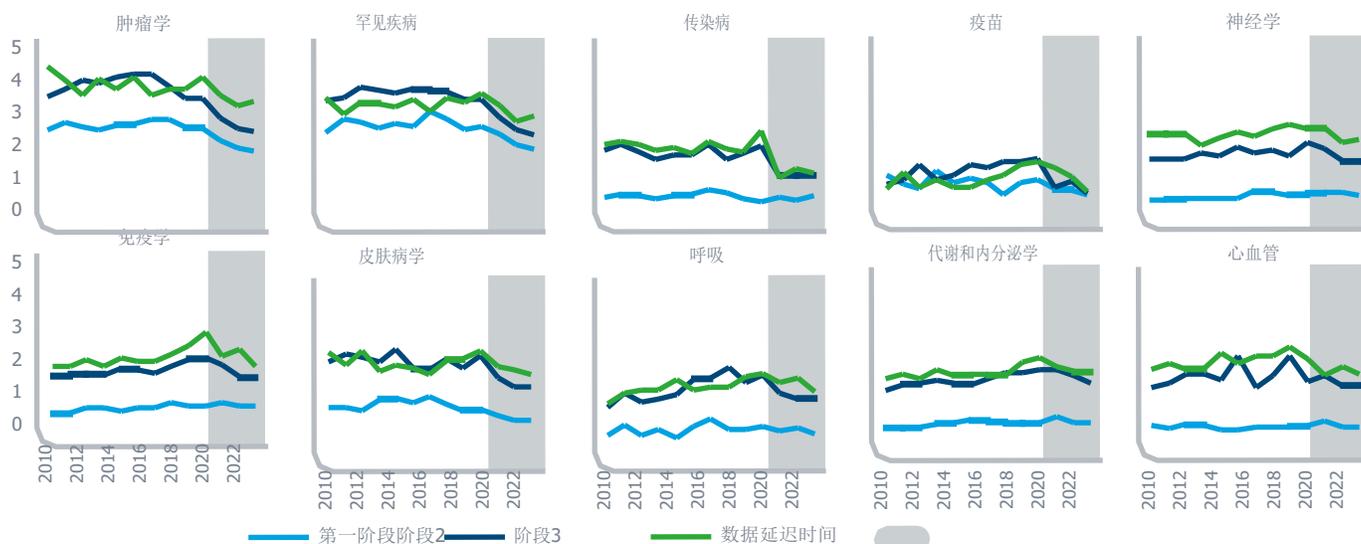
资料来源：Citeline Trialrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 近年来开始的试验的持续时间可能基于计划完成日期与实际确认日期，这可能会人为地推动这一趋势下降，尤其是在 COVID-19 大流行造成的中断期间，使得最近三年成为预期趋势的不可靠指南。
- 在2019年之前，III期试验的试验持续时间略有增加——与2010年的2.2年相比，2018年平均长达2.7年。
- 在最近三年之前，大多数试验持续时间是基于实际完成的，而最近一段时间的试验只有不到50%有实际日期，并且包括非常加速的实际试验以及申办者可能不具代表性的估计。
- 由于这些数据延迟问题，2019年的持续时间信息用于本报告其他地方的生产力指数中，2020年至2022年的持续时间信息，随着实际持续时间的报告更加可靠，这些指数可能会在以后的更新中重述。

注意：试验持续时间计算为从跟踪开始到主要终点完成之间的时间，即使在此之后某些试验活动可能会继续。在数据延迟期间，超过 50% 的试验报告了计划的结束日期，这与实际结束日期相结合，即异常快速，使持续时间向下倾斜，其模式会随着时间的推移不断重述。为了在开发生产力指数中进行分析，使用最后一个预潜伏期（2019 年）作为后续年份的持续时间。

## 近年来，肿瘤学和罕见病试验持续时间一直在下降，总体试验持续时间的增加有所减弱

图表41：2010-2022年按阶段和治疗领域划分的平均试验持续时间（年）



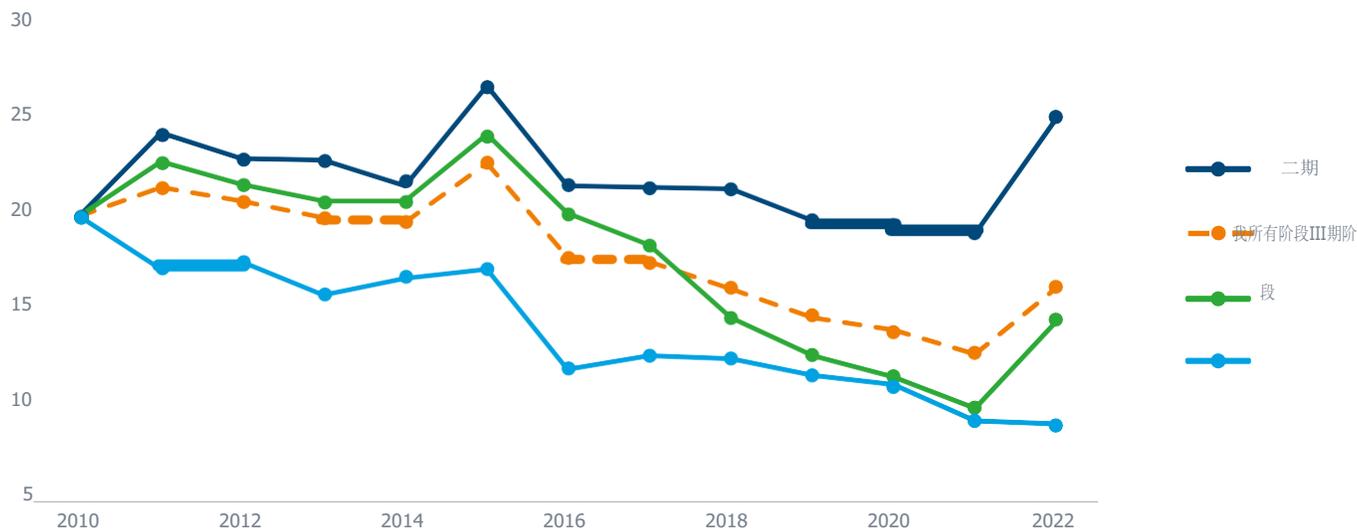
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 在过去十年中，不同疾病领域的试验持续时间总体上是稳定的，不包括过去三年的数据潜伏期。
- I期试验通常很短，除肿瘤学、罕见疾病、疫苗和皮肤病学外，所有试验平均不到一年。
- 到2018年，总（所有阶段）肿瘤学持续时间平均每年下降1%，II期试验持续时间减少的速度最大。
- 肿瘤学和罕见疾病在疾病领域的时间通常最长，这可能是由于难以找到和招募患者作为延长观察期以证明治疗效果。

注：终止和撤回的试验被排除在分析之外。试验是行业赞助的和干预性的。诊断、行为疗法、补充剂、设备和医疗程序被排除在外。试验持续时间基于临床试验数据库中报告的试验日期。试验开始日期是临床研究参与者入组开始的日期。试用结束日期对应于试用结束或预计结束的时间。疫苗试验只是传染病。第二阶段包括第一阶段/第二阶段、第二阶段、第二阶段a、第二阶段。第三阶段包括第二阶段/第三阶段和第三阶段。传染病不包括疫苗。

## 综合临床开发生产力指数自2015年以来稳步下降后，于2022年有所上升

图表42：按阶段和整体划分的临床开发生产力，2010-2022年



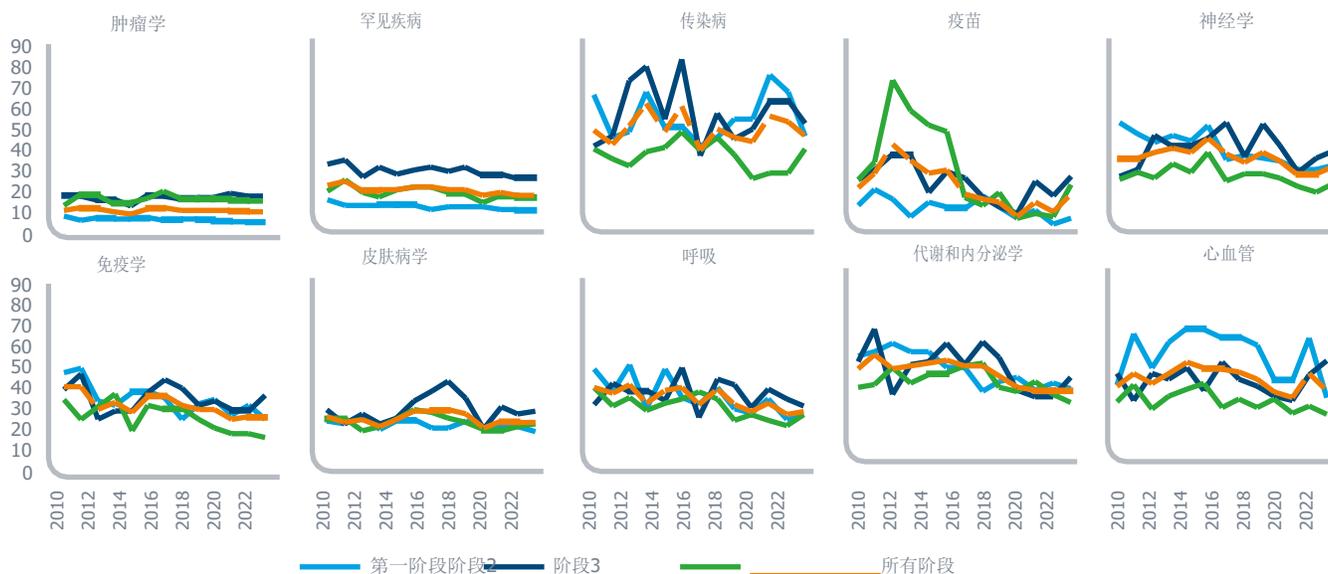
资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月；Citeline Trialtrove, IQVIA研究所，2023年1月。

- 综合临床开发生产力指数在过去十年中下降了22%。
- 临床开发的所有阶段在 2021 年都显示出生产力下降，但 II 期和 III 期在 2022 年反弹，将整体生产力从 12.9 到 16.3, 2010 指数是 20。
- II 期试验一直高于总体指数，因为成功率保持稳定，试验时间略有下降，但 2022 年第二阶段的成功率大幅提高，提高了整体生产力。
- 在过去五年中，III 期试验的生产率显著下降，主要是由于成功概率的降低和持续时间的增加，但随着最近一年复杂性的下降而反弹。
- 虽然治疗领域之间存在很大差异，但生产力的总体下降趋势是，被认为是临床试验时间表缓慢增加和成功概率降低的结果，尽管近年来临床试验的复杂性略有下降。

注：终止和撤回的试验被排除在分析之外。试验是行业赞助的和干预性的。诊断、行为疗法、补充剂、设备和医疗程序被排除在外。试验持续时间基于临床试验数据库中报告的试验日期。试验开始日期是临床研究参与者入组开始的日期。试用结束日期对应于试用结束或预计结束的时间。第二阶段包括第一阶段/第二阶段、第二阶段、第二阶段a、第二阶段。第三阶段包括第二阶段/第三阶段和第三阶段。传染病不包括疫苗。

## 传染病临床开发生产力指数最高，肿瘤学延伸趋势最低

图表43：2010-2022年按治疗领域划分的所有阶段的临床开发生产力



资料来源：艾昆纬管道情报，2022年12月;Citeline Trialtrove, IQVIA研究所，2023年1月。

- 临床开发生产力指数因治疗领域而异，肿瘤学最低为8.6，传染病最高为36.5。
- 在过去10年中，肿瘤学和罕见病一直是生产率最低的疾病之一。这些领域显示出明显的重叠，并且基于类似的成功率下降和高复杂性而保持适度的生产力。
- 在II期和III期成功率提高的推动下，2022年疫苗生产率大幅提高。
- 心血管产品的生产力在2022年有所下降，恢复了过去十年的下降趋势，包括III期生产力持续低迷。

注：终止和撤回的试验被排除在分析之外。试验是行业赞助的和干预性的。诊断、行为疗法、补充剂、设备和医疗程序被排除在外。试验持续时间基于临床试验数据库中报告的试验日期。试验开始日期是临床研究参与者入组开始的日期。试用结束日期对应于试用结束或预计结束的时间。疫苗试验只是传染病。第二阶段包括第一阶段/第二阶段、第二阶段、第二阶段a、第二阶段。第三阶段包括第二阶段/第三阶段和第三阶段。传染病不包括疫苗。

## 生产力的推动者

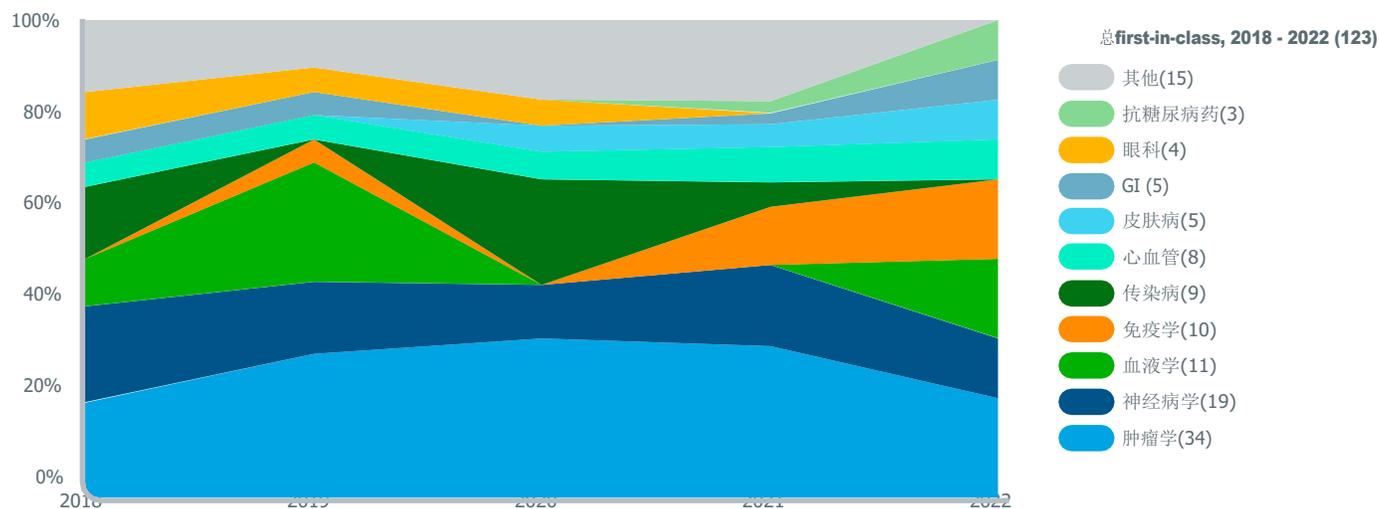
- 创新正在成熟周期中取得进展，以提高临床生产力，即使它们有助于不断发展的行业中断和交付复杂性。
- 科学复杂性继续增加，2022年，62%的首创疗法几乎遍布所有主要治疗领域。
- 监管机构正在重新评估其程序、协议和要求，以应对全系统的变化，从而为创新者带来快速发展的格局。
- 采用新颖试验设计的试验从2010年的7.5%增加到2022年的17.0%，其中一半以上是肿瘤学。
- 与传统试验相比，新颖的试验设计更复杂、更长，但与更快的总项目时间有关。
- 远程、虚拟或分散式（RVD）试验随着行业试验的开始而增加，2022年略有下降。
- RVD试验涉及更多的受试者、地点、国家和终点，但持续时间比传统试验短。
- 尽管FDA更加关注在临床提交中使用RWE，但作为FDA批准决策的一部分，真实世界证据的使用在2022年有所下降。
- 大多数新药都获得了快速审查，2022年的优先和突破性指定有所增加。
- 最近的批准通常会得到某种形式的快速审查，平均而言，包括相对较少的患者，因此试验复杂性较低。
- 在过去三年中，有23种药物在专利期限不到五年内推出，高于2012-2019年的15种。
- 一些治疗领域的试验时间明显缩短，在开始后续研究阶段之前有“空白”。
- 随着创新研究候选药物进入临床开发管道，AI/ML等推动因素对临床开发生产力的潜在影响越来越大。

随着技术和数据在整个药物开发管道中站稳脚跟，生产力正受到复杂性、时机和成功概率等一系列权衡效应的影响。



## 2022 年推出的创新型首创 NAS 几乎遍及所有重要治疗领域

图表45：2018-2022年美国首创新型活性物质（NAS）的治疗领域份额



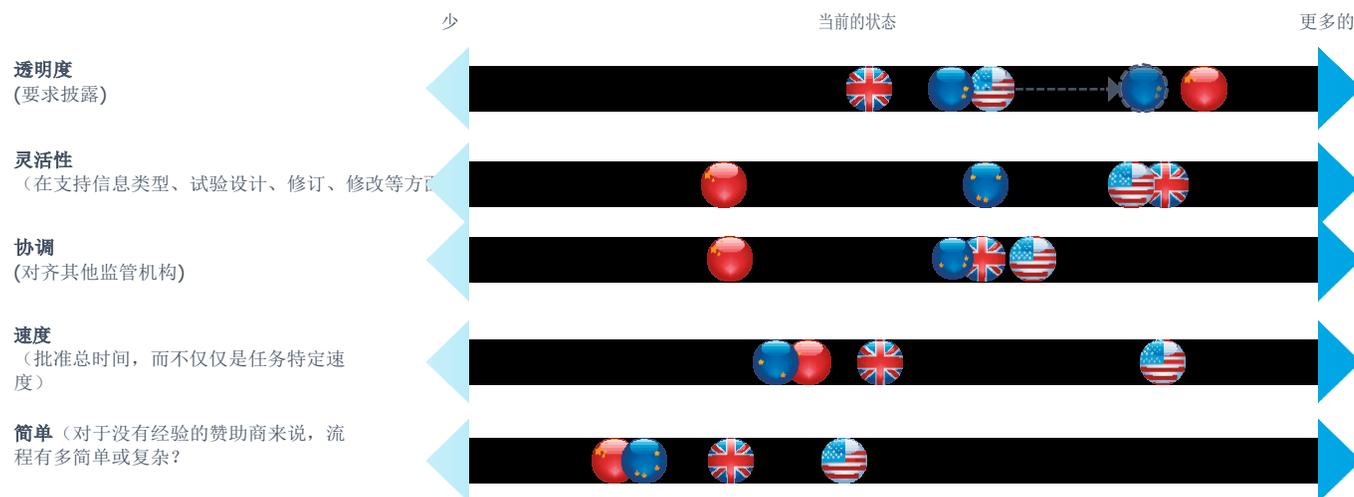
来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- First-in-class分子占62%  
NAS 于 2022 年推出（图表 29），高于 2019 年的 41%。
- 作为在已推出分子中扩大首创代表性的功能，近年来在每个顶级治疗领域都进行了首创的发布。
- 2022 年，一流的分子代表了 100% 的抗糖尿病、皮肤病、胃肠道、和心脏病学，以及分别有5%和50%的肿瘤学和神经病学启动。
- 抗糖尿病专注于一流的发射，是在过去两年没有推出新的机制之后。
- 自 2020 年 COVID-19 驱动的高峰以来，没有推出一流的传染病。
- 值得注意的是，2022年推出的同类首创分子中有79%获得了某种形式的加速开发或审查（例如，优先指定、加速批准、突破性指定或快速通道），而后续分子的这一比例为73%。与2012年以来的平均水平相比，分子新颖性与快速指定的一致性略低，其中已经看到了某种形式的快速审查  
77%的首创发布，而后续机制为59%。

注：新型活性物质（NAS）是新的分子或生物实体或组合，其中至少一种元素是新的；包括 2018-2022 年在美国推出的 NAS，无论 FDA 批准的时间如何。同类首创基于 FDA 分类。

## 监管机构正在改变其程序、协议和要求，从而为创新者带来不断变化的环境

图表46：全球药品监管机构关键特征的比较分析

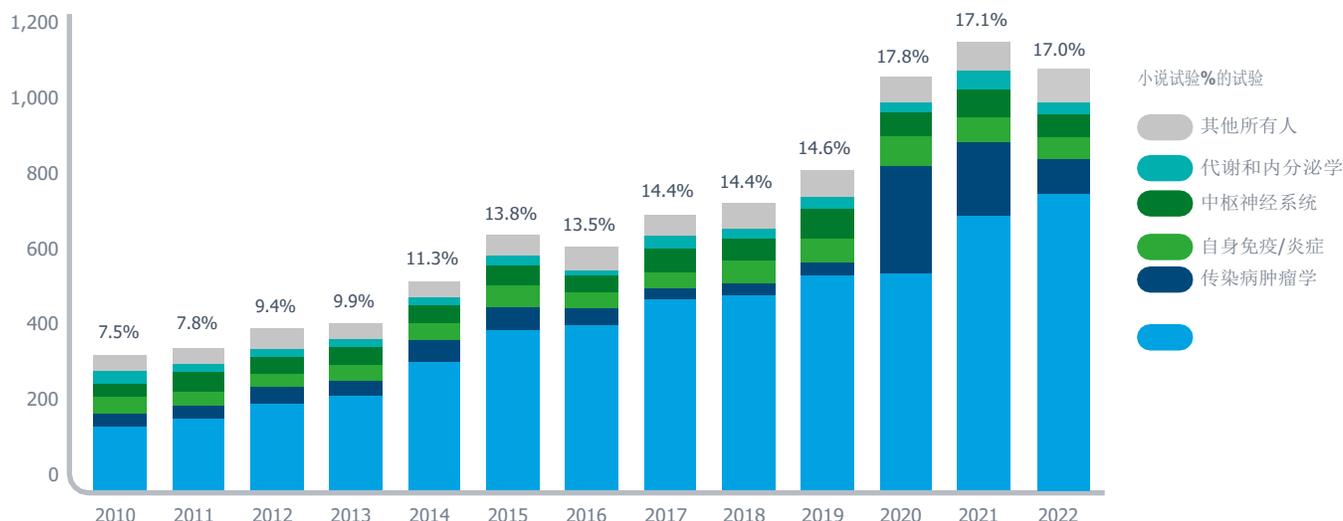


资料来源：艾昆纬全球监管网络专家意见;艾昆纬研究院，2023年1月。

- 全球监管机构正在应对人类健康领域的一系列科学、技术和政策变化，导致一系列反应，这些反应正在影响药物开发商执行全球临床项目。
- 各地对透明度的关注仍在继续，尤其是在欧盟正在进行的临床试验法规（CTR）实施的情况下，但所有这些都受到隐私和竞争复杂性的不同程度的挑战。
- 美国、英国和中国专注于快速通道计划，并实现新颖的试验设计，以实现灵活的加速。
- 欧盟正在努力应对其他挑战，以协调成员国之间的灵活选择。
- 美国和中国明显关注协调，特别是围绕分散试验和新颖试验方法，而欧盟CTR则制定了雄心勃勃的协调目标，并可能面临实施挑战。
- 美国正在实施的快速通道和加速审批机制继续加速，最近中国的关注和人员投资缩短了审批时间。
- 由于实施方面的挑战，欧盟和英国目前在加速路径影响方面落后。
- 为简化提交流程而进行的跨地域监管工作难以跟上药物临床开发流程各个方面的创新驱动的转变和复杂性。

## 新的试验设计从 2010 年的 7.5% 增加到 2022 年的 17.0%，其中一半以上是肿瘤学

图表47：按年份和治疗领域开始的新型试验设计，2010-2022



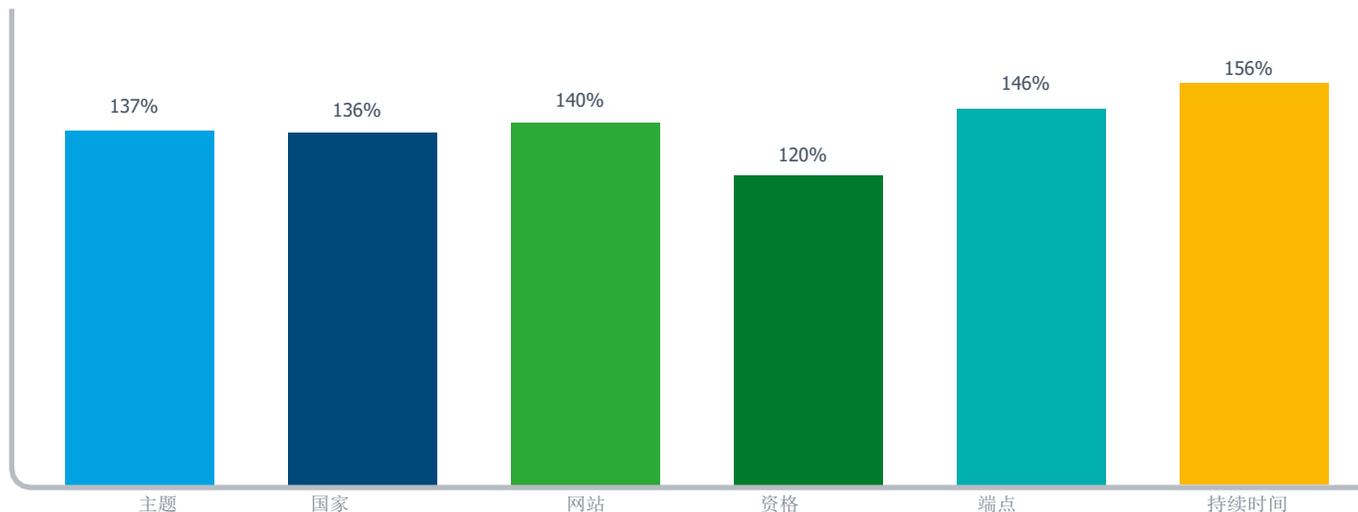
资料来源：Citeline Trialtrave, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 新型试验设计，包括伞形、篮式、主试验和自适应方案，在行业试验管线中的比例稳步增加，有1,068项试验（占新试验和计划试验启动的17%），包括2022年新试验设计的一个或多个方面。
- 肿瘤学试验推动了管道中最多的新型设计活动，2022年显示了迄今为止这些癌症试验的最高数量。在2022年开始的2,334项肿瘤学试验中，有27.3%发现了新颖的试验设计——比整体管道中的17%高出10个百分点。
- 过去三年，新型设计在传染病中的应用显著增加，COVID-19试验广泛利用了主方案以及自适应结构，以实现并行处理、加速程序数据收集和更好的决策。

注：试验为行业赞助，排除介入试验和器械试验。新颖的试验设计包括伞形、篮子式、适应性、主方案、剂量递增 + 使用一系列关键字字符串的剂量扩展研究。

## 与传统试验相比，新颖的试验设计更复杂、更长，但与更快的总项目时间相关

图表48：2010-2022年采用新颖试验设计的试验与传统试验设计的试验比较



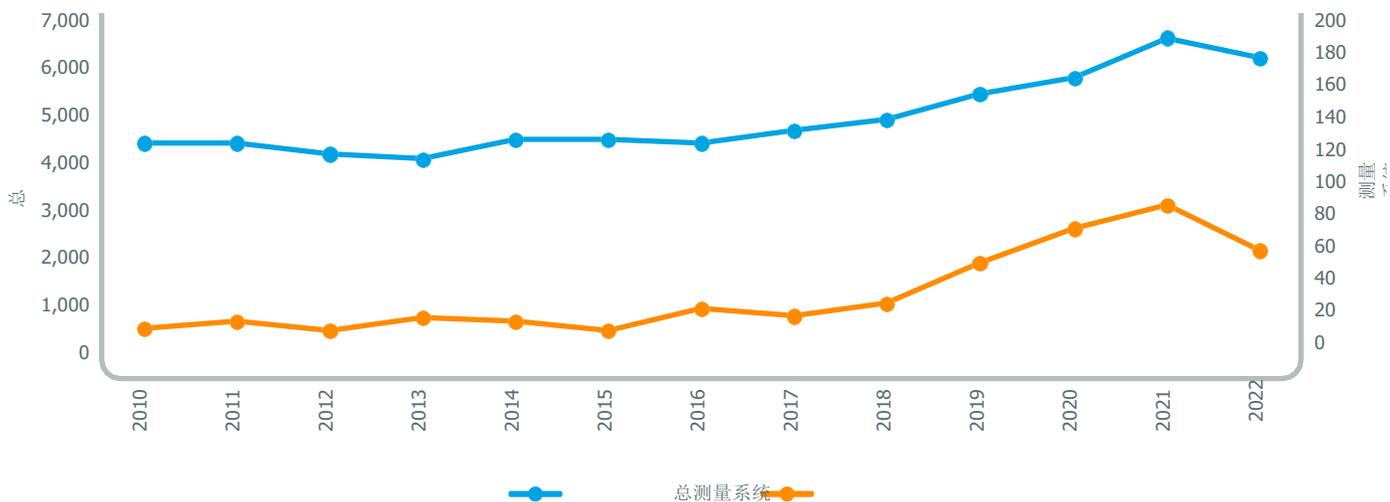
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 对使用新型试验设计（包括联合阶段试验和主/伞形方案）的单个试验的分析表明，与非新颖试验设计的关键试验指标相比，复杂性和时间安排更高。
- 对于具有新颖设计的试验，受试者数量，试验地点，主要和次要终点以及试验持续时间都比传统设计的试验高20%至45%。
- 复杂性总体增加36%，试验持续时间增加56%，这与适应性试验的使用一致，适应性试验旨在丰富在联合阶段方案中收集的信息，以最好地为下一次试验提供信息。
- 当在每个试验的基础上进行分析时，联合阶段试验更复杂、更长，但有助于缩短项目时间信息收集和减少试验总数、相变和空白，将药物推向市场。

注：包括行业赞助的干预试验，不包括设备。新颖的试验设计包括伞形、篮子式、适应性、主方案、剂量递增 + 使用一系列关键字字符串的剂量扩展研究。将Citeline Trialtrove对已确定试验的试验属性与未纳入新设计队列的所有其他试验的12年队列进行比较。

## 远程、虚拟或分散的试验随着行业试验的开始而增加，2022 年略有下降

图表49：2010-2022年所有试验和远程、虚拟或分散试验（RVD）的试验开始



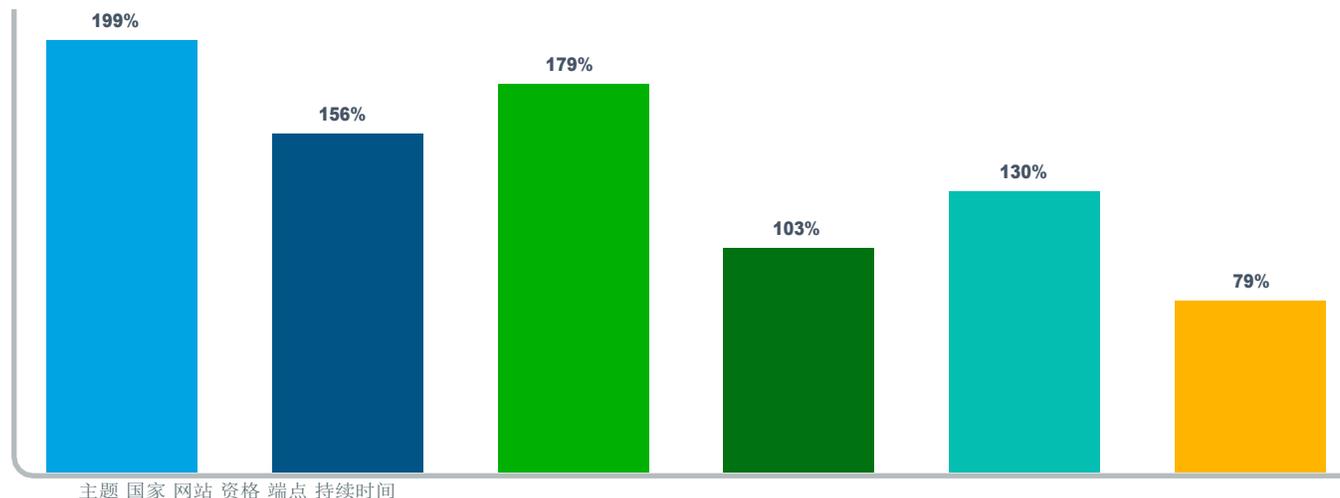
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 在 COVID-19 大流行相关两年后，临床试验中远程、虚拟或分散方法的相对可发现使用在 2022 年下降到 2019 年的水平。
- 2020年初，报告的分散方法急剧增加，这反映了COVID-19治疗和疫苗开发推动的总试验活动急剧增加。这与这些方法的关键性质相关，这些创新使试验在大流行期间具有连续性，并且在向患者提供 COVID-19疫苗和治疗方法方面创下了创纪录的时间表。
- 尽管披露的去中心化方法与 2021 年的峰值相比相对减少，但 2022 年这些方法的使用仍处于 2019 年的水平，在过去 9 年中，它们首次显示出上升，而不是相对恒定的渗透率。

注：具有许多分散特征的试验通常不会在试验注册信息中披露这些特征，并且根据试验描述、设计或注释中包含的单词和短语选择，将试验确定为远程、虚拟或分散，并反映了对这些试验趋势的不完善指南。考虑的一些属性是单词、短语和同义词的使用以及误报的排除。一般来说，术语类似于远程医疗、远程访问、使用远程传感器，或者试验被认为是远程的、分散的、无现场的、虚拟的，或者使用越来越普遍的电子知情同意。在某些情况下，集中式、远程或分布式是与疾病相关的常见医学术语的一部分，与试验设计无关，被排除在外。RVD分析包括工业和非工业以及干预和非干预试验，以确定利用趋势。

## RVD试验涉及更多的受试者、地点、国家和终点，但持续时间比传统试验短

图表50：II期和III期远程、虚拟或分散试验（RVD）与传统试验设计的比较，2010-2022年



资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 对一组公开使用远程、虚拟或分散式（RVD）方法的试验的分析表明，关键试验指标的复杂性增加，包括受试者数量、国家、研究中心、资格标准和终点。
- 尽管平均复杂性较高，但该试验队列的完成速度比非RVD试验快20%以上。
- 具体而言，对分散方法试验的治疗组合的分析显示，分析队列中的试验数量最多。  
来自传染病、疫苗、免疫学和神经病学。重度传染病和疫苗重点可能部分导致高

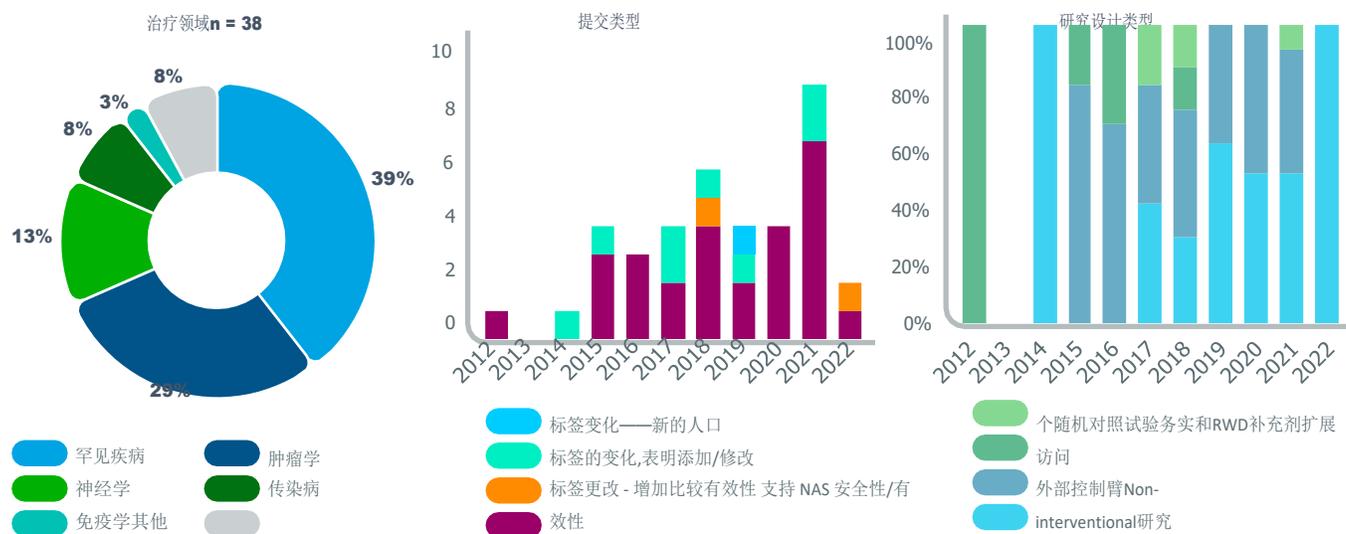
受试者人数和队列中观察到的平均持续时间较短，但RVD在这些治疗上对齐的差异中的作用尚不清楚。

- 许多分散式试验方法正在混合试验环境中以新颖的方式使用，预计随着使用这些方法的技术、流程和全系统经验的增加，复杂性将降低。<sup>8,9</sup>

注：具有许多分散特征的试验通常不会在试验注册信息中披露这些特征，并且根据试验描述、设计或注释中包含的单词和短语选择，将试验确定为远程、虚拟或分散，并反映了对这些试验趋势的不完善指南。考虑的一些属性是单词，短语和同义词的使用以及误报的排除 将Citeline Trialtrove的已确定试验的试验属性与未包含在新颖设计队列中的所有其他试验的12年队列进行比较。仅包括行业介入试验。不包括已终止的试验。

## 在过去十年中，引用真实世界证据的 FDA 批准决定数量一直在上升，但在 2022 年有所下降

图表 51：基于 RWE (RWE) 的 FDA 批准，2012-2022 年



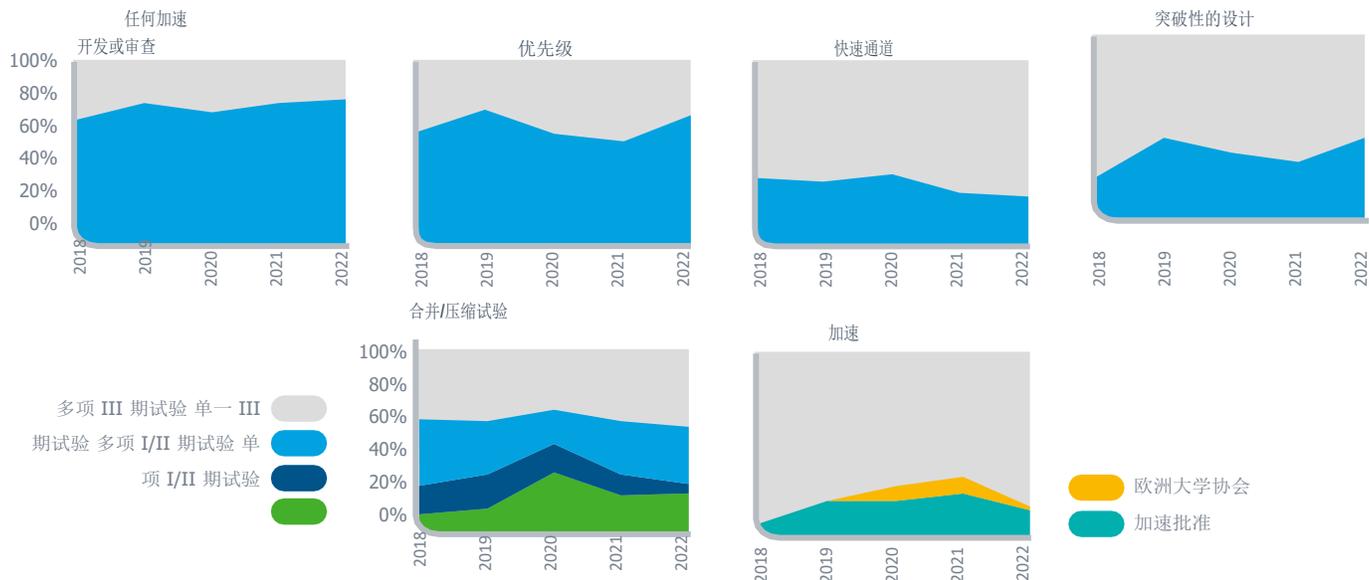
资料来源：Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 在过去的十年中，RWE在美国已用于新批准或扩大现有药物的使用 38次，其中包括2022年的两种药物。
- 在过去十年中，超过三分之二的RWE批准与罕见疾病和肿瘤学批准有关。
- 这些RWE提交的70%用于支持NAS决策，而30%支持标签更改，包括补充额外的比较有效性数据，增加新的患者群体或扩展到新的适应症。
- 在同一时间跨度内，研究设计的主要类型包括使用外部对照组（45%的批准）和非干预性（例如观察性）研究（40%的批准）。
- 虽然 2021 年 12 月发布的修订版 FDA 指南旨在将 RWE 从仅仅在批准中产生影响转变为更频繁地包含在包装说明书中引用的批准和/或结果中，但 2022 年批准的下降基于 RWE可能更能代表整体行业管道审批从肿瘤学和罕见疾病转移，以及FDA越来越关注验证RWE在支持批准决策方面的使用的潜在影响。

注：收集自与药品审批试验有关的公开来源。根据治疗IND或扩大访问方案收集的数据已被FDA视为RWE的一种形式，例如在罕见疾病环境中，前瞻性试验的可能性很小。此处显示的RWE批准包括批准后授予的批准（例如，羧酸2010 RWE，但药物是2006年推出的）。分析包括一些重复计算，其中药物可能具有多种类型的RWE设计类型或提交类型。

## 大多数新药在2022年获得了快速审查，优先级和突破性指定有所增加

图表 52: 按批准特征划分的美国新型活性物质 (NAS) 发布, 2018-2022 年



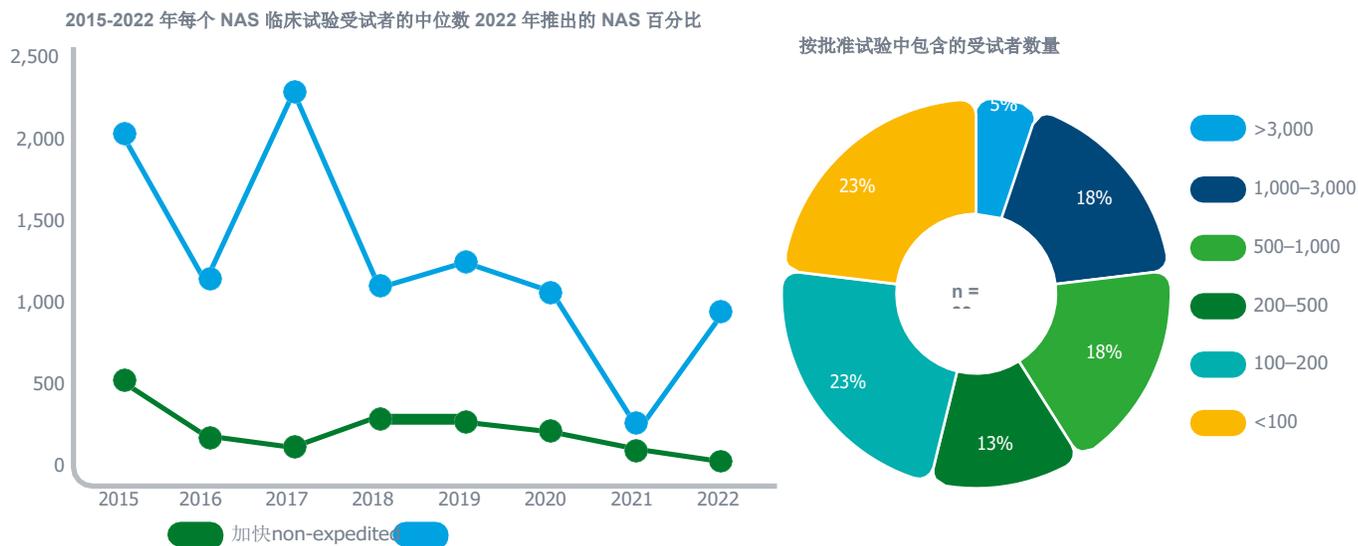
来源: IQVIA 研究所, 2023 年 1 月。

- 在持续的趋势中，越来越多的新批准药物在2022年进行了某种形式的快速审查，其中77%的新上市被指定为优先、快速通道、突破或获得加速批准。
- 在 2022 年推出的 39 种美国药物中，26 种经过优先审查，16 种是突破性指定，10 种被置于快速通道，其中 6 个通过加速批准获得批准，其中包括一个具有紧急使用授权的 COVID-19 NAS。
- 具体而言，优先审查和突破性指定在美国 NAS 发射的相对代表性上升，而快速通道和加速批准百分比下降。
- 总体而言，在过去五年中，任何快速开发或审查机制的相对使用占总发射的百分比增加了 15%。
- 与此同时，合并试验的使用保持稳定，或略有下降，至少部分原因是大流行后管道重新平衡的功能。

注：新型活性物质 (NAS) 是新的分子或生物实体或组合，其中至少一种元素是新的;包括 2018-2022 年在美国推出的 NAS，无论 FDA 批准的时间如何。

## 最近批准加急审查的形式平均包括相对较少的患者

图表53: 按审查状态和类型划分的美国新型活性物质 (NAS) 批准试验中纳入的受试者数量



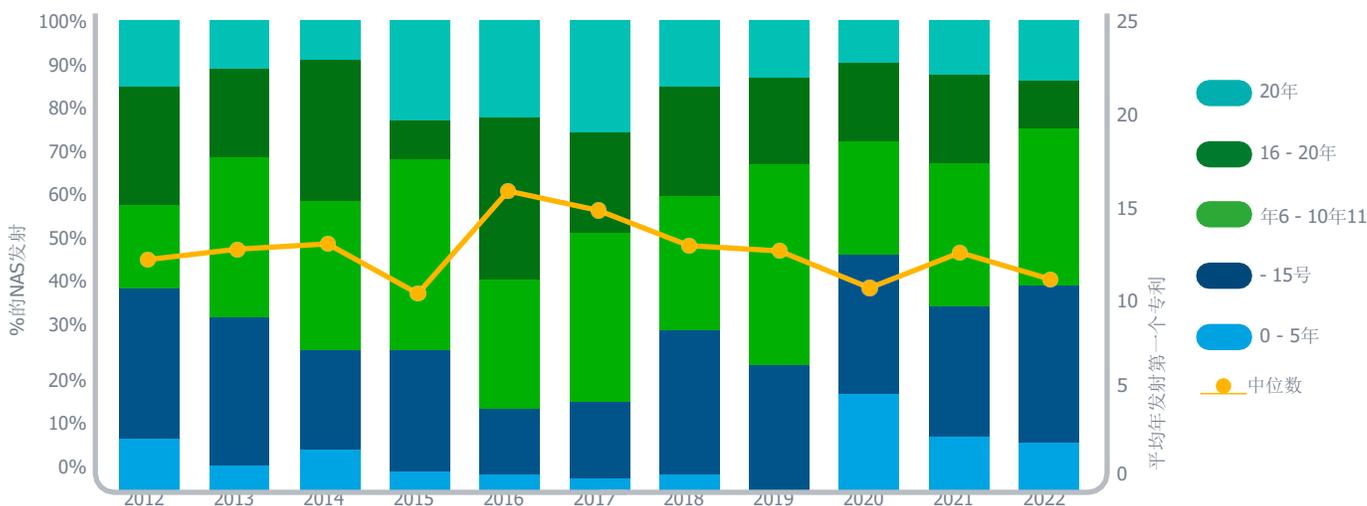
来源:IQVIA研究所,2023年1月。

- 参加 2022 年启动批准试验并接受某种形式的快速审查的患者中位数是非加急发射试验的 15%。
- 2015-2022年间推出的药物就是这种情况，平均而言，加急中位数入学率是非加急药物的31%。
- 随着加急发射的百分比在过去五年中稳步增加（图表52），这导致整个管线范围内参加批准试验的患者稳步减少，2018年至2022年期间所有批准试验的患者入组中位数减少了55%（未显示）。
- 虽然此分析仅关注批准试验，并且与RVD和NTD入组复杂性的所有试验分析不同，但它确实表明成功的临床项目、生产力推动者和监管灵活性正在产生效率，利益相关者看到患者的共同优先事项。

注：快速审评包括加速审批、优先审评、突破性治疗、快速通道指定、紧急使用授权；孤儿药指定未作为快速审查包括在内，但注明，因为它与较少数量的试验受试者相关。

## 在过去3年中，有23种药物在专利期限不到5年内推出，高于2012-2019年的15种

图表 54：从首次专利申请到美国推出新型活性物质（NAS）的时间，2012-2022 年



资料来源：艾昆纬ARK专利情报，艾昆纬研究所，2023年1月。

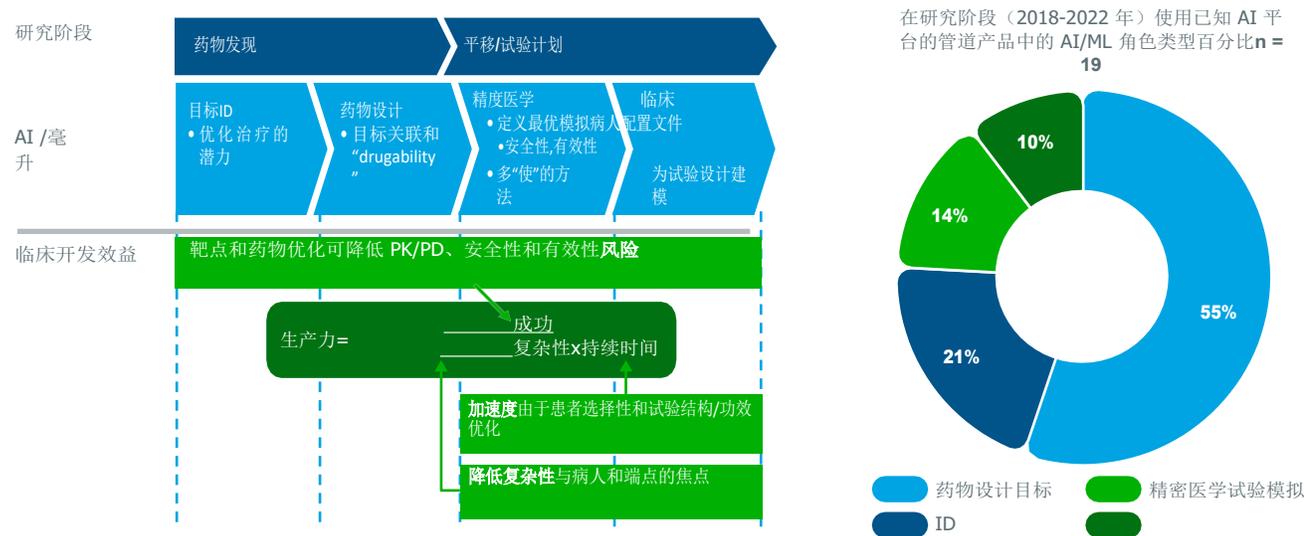
- 从公司首次为创新申请专利到新药上市的时间代表了研发过程效率的有用代表。
- 美国 NAS 从首次专利申请到推出的中位数时间仍接近 2022 年十年来的最低水平，为 11.2 年。
- 在美国的39次发射中，有4次（10%）从专利到美国推出不到五年，其中包括一种获得紧急使用授权的COVID-19疗法。
- 2022 年发布的 30% 以上属于 6-10 年队列——比上一年略有增加。
- 对十年来最快的队列中药物批准的检查显示，几乎所有药物都针对肿瘤学或传染病。
- 从2017年以来的推出来看，在10年内推出的药物中有73%包括合并或压缩试验，而同期所有上市的这一比例为60%。
- 在最快的队列中，只有29%的发射是一流的分子，而自2012年以来所有发射的这一比例为42%，但速度次之。在6-10年的启动队列中，一流的分子占药物的42% - 与完整的数据集相当，这表明虽然一流分子不一定与后续机制相比具有时间“惩罚”，但在最快的队列中推出的新型机制较少见。

注：时间从第一个相关专利的申请日期或第一次人体试验的开始开始计算，以较早者为准。持续时间计算至在美国推出时（非批准）通过IQVIA审计或表明可用性的公司报表中的销售量外观确定。



## 随着研究候选药物进入临床开发管道，人工智能影响潜力越来越大的证据

图表56：人工智能（AI）对行业临床开发管道的影响



资料来源：Clinicaltrials.gov, Citeline Trialtrove, IQVIA研究所, 2023年1月。

- 生物制药公司正在应用AI/ML技术，利用不断增长的化学、生物和患者数据集来加速和改进整个药物发现过程中的靶标和药物选择，并出现了一组最常用的应用。
- 通过询问临床、实验和“组学”数据来选择人工智能靶标，以更好地表征疾病状态并识别新的“可成药”靶标，已在分析的21%的AI/ML影响分子中使用。
- 药物设计代表了评估队列中最常见的AI/ML用途，55%的分析产品通过分析复杂的数据集（包括分子结构、分子动力学、基因组和组合药物筛选数据库）来优化药物设计。
- 使用AI / ML从一系列患者“组学”，生物识别技术和先前的试验数据中提供见解，以通过精确的患者定位专门优化药物发现，这是分析队列中14%产品的申办公司关注的重点。
- 最后，在深度靶点、药物和患者数据集上使用AI/ML技术进行试验模拟，可在10%的分析管线产品中实现优化的临床试验设计。
- 2022年，在研究和发现阶段具有已知AI/ML作用的分析管线产品集的10年峰值为11次试验启动（未显示）。随着这一推动因素的成熟，人们期望使用AI/ML的试验将根据优化的药物特性和试验执行，以更低的风险更快地提供结果。

注意：并非所有AI/ML临床管线活动都是公开披露的，并且通过搜索由已知专注于AI/ML研究方法的公司赞助或共同赞助的临床试验来确定在其研究周期中具有AI/ML活性的产品。本分析中包括临床管线产品的申办者/共同申办者是：A2A Pharmaceuticals, AI Therapeutics, Aptuit, Auransa, BenevolentAI Bio, Berg Pharma/BPGbio, Exscientia, Healx, Nimbus Therapeutics, PathAI, Pharos iBio, Recursion Pharmaceuticals Inc., Relay Therapeutics, Schroedinger, Silicon Therapeutics, Valo Health和Verge Genomics。每个确定的产品在分析中可能包含多种类型的AI/ML角色。此分析不包括使用AI/ML进行临床试验操作优化，包括站点和患者选择，或组织学/病理学或终点分析。

# 笔记来源

---

## 本报告基于下面详述的IQVIA服务

**柜管道情报**是一个药物管道数据库，包含超过40,000种药物的最新研发信息，以及全球9,000多种正在积极开发的药物。该数据库捕获了研发的整个过程，涵盖了从发现阶段到临床前和临床开发，再到批准和发布的活动。

**方舟专利情报™**是130多个国家/地区的生物制药专利或同等专利数据库，其中包括3,000多种分子。研究涵盖51个国家批准的专利延期，涵盖所有类型的专利，包括产品、工艺、使用方法等。

**柜新产品情报**是一个包含超过500,000种具有不同商品名称的产品数据库，这些产品的推出时间可追溯到30多年前，涵盖60多个主要市场。该数据库每月报告超过1,500个新发布，该服务提供洞察哪些公司成功地快速推出产品，无论是发布全新的化学实体还是失去专利保护的药物的仿制药。

**IQVIA™制药公司交易**是一个全面的生命科学交易和联盟数据库，利用全球信息来源提供交易和联盟的最新情报。

## 第三方信息

**CITELINE的TRIALTROVE**提供有关药物开发管道的情报和全球临床试验信息。Citeline报告称，Trialtrove使用了超过40,000个来源，包括公共领域的资源，并得到了经验丰富的行业分析师的支持。该数据库包括提取的信息，包括协议详细信息，以及其他与行业相关的搜索词，例如其专有患者

细分、试验结果和生物标志物标签。它包括有关试验设计、资格标准、终点、研究中心、申办者以及预期和实际开始和结束日期的信息。这些属性在艾昆纬临床生产力指数中得到了广泛的利用。有关

Trialtrove的更多信息，请参阅www。

[pharmaintelligence.informa.com/clinical-trial-data](http://pharmaintelligence.informa.com/clinical-trial-data)

**BIOWORLD**是科睿唯安运营的一套新闻服务，包括生物制药融资交易的跟踪和细分，包括风险投资、IPO和后续融资以及其他公共融资。

## 成功率

使用艾昆纬管线智能，包括编辑人员披露或能够确定的各种药物开发阶段的事件日期，跟踪每种产品的阶段开始日期。如果任何后续阶段的阶段开始日期较晚，则认为某个阶段成功。在没有后续阶段开始的情况下，审查了负面事件的最高日期，例如停产、暂停、申请人撤回或超过三年不活动。对所有适应症进行分析，并考虑药物水平的成功或失败，因此没有跟踪每种药物的特定适应症，而是衡量整个计划的成功。

总体而言，检查了**32,300**种不同的药物，从**1977**年至今的事件中有**129,200**种潜在的相变。然后，我们仅限于在**2010**年至**2022**年之间完成相变的产品，并提供有关相变的有效信息，无论是成功还是失败，其中包括**9,625**种不同的药物和**13,926**种相变。

我们考虑药物进入每个阶段的最早日期。我们考虑负面事件结果的最晚日期。负面结果包括终止、暂停和撤回，当申办者披露时，数据收集集中会注明这些结果。负面事件还包括三年内没有验证活动时确定的不活动。非活动记录分配给确定非活动年份（上次记录处于活动状态的时间加上三年）。

## 复杂性度量

复杂性指标中包含的临床试验数据 — 试验开始和结束日期、国家/地区、数量

临床部位、受试者的实际或目标数量、终点和纳入/排除标准 — 依赖于公司报告的有关正在进行的或

计划的临床试验。在报告大量受试者、研究中心和国家方面存在重大滞后，这些受试者、研究中心和国家都依赖于研究中心选择、启动和招募，早期试验信息可能无法反映所需工作的全部程度。

对此数据的不同年终版本的历史评估表明，最近一次复杂性指标中包含的各个度量存在差异

数据年份。特别是，从一年到下一年，地点、国家和主题的数量显示出报告的数量存在显著差异。与**2020–2022**年年终版本相比，最近一年所有阶段国家/地区平均数量的复杂性指标增加了**13%**，网站增加了**29%**，主题增加了**33%**。这些变化

对整体复杂性和生产力产生了影响，最近出版年份的复杂性增加了**15%**，生产力降低了**6%**。

因此，根据对这种数据延迟的历史观察，在最近一年（**2022**年）对主题、站点和国家进行了调整。最近一年可能会在随后的期间发生变化。

## 参考文献

---

1. 艾昆纬人类数据科学研究所。2022年美国药品使用：使用和支出趋势以及到2026年的展望。2022年4月。
2. Fabbri C, Montgomery S, Lewis CM, Serretti A.遗传学和重度抑郁症：对疾病风险，预后和治疗的临床意义。国际临床精神药理学。2020 9月;35（5）：233。
3. 艾昆纬人类数据科学研究所。通过跨利益相关者的承诺和行动促进临床开发的多样性：进展和结果的最新情况。2022年11月。
4. 美国食品和药物管理局。多样性计划，以改善来自代表性不足的种族和民族人群参与者在临床试验中的招募 行业指南 - 指南草案。2022年4月。可用：[https:// www.fda.gov/media/157635/Download](https://www.fda.gov/media/157635/Download)。
5. 美国食品和药物管理局。在临床试验中收集种族和民族数据。2016年10月。可用：[https:// www.fda.gov/media/75453/download](https://www.fda.gov/media/75453/download)。
6. 疾病控制和预防中心（CDC）。卫生，美国，2021年：按性别、种族和西班牙裔分列的选定死因的年龄调整死亡率：美国，选定的1950-2019年。2021。可从：[https:// www.cdc.gov/nchs/hus/data-finder.htm](https://www.cdc.gov/nchs/hus/data-finder.htm)。
7. 赵斌，韩茹，连明，等.评估三阴性乳腺癌女性治疗和死亡率的种族/民族差异。贾马·昂科尔。2021;7(7):1016–1023.doi: 10.1001/jamaoncol.2021.1254。
8. 哈蒙DM，诺斯沃斯PA，姚X。临床试验的数字化和去中心化。梅奥临床研究 2022;印刷中。DOI: 10.1016/j.mayocp.2022.10.001。
9. Alemayehu D, Hemmings R, Natarajan K, Roychoudhury S.虚拟（远程）临床试验作为加速药物开发的“新常态”的观点。临床药理学2022 2月;111（2）：373-81.DOI: 10.1002/ cpt.2248。

# 关于作者



**莫里艾特肯**

艾昆纬人类数据科学研究所执行主任

Murray Aitken是艾昆纬人类数据科学研究所的执行主任，该研究所为全球卫生部门的政策制定者和决策者提供对医疗保健动态的客观见解。自2011年1月成立以来，他领导IMS医疗保健信息学研究所（现为IQVIA研究所）。

Murray之前曾担任医疗保健洞察高级副总裁，领导IMS Health在全球范围内的思想领导力计划。在此之前，他于2004年至2007年担任企业战略高级副总裁。

Murray于2001年加入IMS Health，负责发展公司的咨询和服务业务。在加入IMS Health之前，Murray有14年的任期

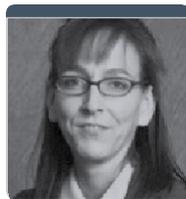
在麦肯锡公司工作，从1997年到2001年，他是制药和医疗产品业务的领导者。Murray定期就医疗保健行业面临的挑战撰写和演讲。他是

Health IQ的编辑，该出版物专注于价值。

推进循证医疗保健的信息，并在《制药执行》的编辑顾问委员会任职

。Murray拥有奥克兰大学的商业硕士学位

在新西兰，并以优异的成绩获得哈佛大学工商管理硕士学位。



**妮可·康纳利**

研究室主任，  
IQVIA人类数据科学研究所

Nicole担任IQVIA人类数据科学研究所的研究总监，该研究所专注于全球药物研发相关主题。

在这项工作中，她与团队成员、艾昆纬专家和行业思想领袖合作，为研发绩效和持续创新带来见解。事先

她于2021年底加入研究院，担任艾昆纬研发战略高级总监，与该组织的领导者合作制定企业和治疗增长战略。2008年至2014年，她还在艾昆纬咨询公司工作，领导制药和生物技术客户的项目，并帮助优化跨职能药物开发解决方案。在加入艾昆纬之前，Nicole曾在辉瑞公司从事研发组织效率工作，并于2008年在麦肯锡公司（McKinsey & Company）的制药和医疗产品部门开始了她的职业生涯。Nicole拥有杜克大学微生物学博士学位和纽约州立大学弗雷多尼亚分校生物学学士学位。

# 关于作者



**迈克尔让**

艾昆纬人类数据科学研究所研究总监

担任IQVIA人类数据科学研究所的研究总监，为该研究所制定研究议程，领导开发报告和项目，重点关注人类数据科学在人类数据科学中当前和未来的作用美国和全球的医疗保健。Kleinrock领导研究发展，包括在全年发布的研究所报告中。该研究的重点是促进对医疗保健以及全球提供医疗保健的复杂系统和市场的理解。从1999年开始在IMS Health任职期间，他曾担任客户服务，营销，产品管理方面的职务，并于2006年加入市场洞察团队，该团队现在是IQVIA人类数据科学研究所。他拥有英国科尔切斯特埃塞克斯大学历史和政治学学士学位，以及英国伦敦大学金史密斯学院新闻与广播制作硕士学位。



**杰米·普里切特**

思想领导经理IQVIA研究所  
人类的科学数据

Jamie Pritchett是艾昆纬研究所的思想领导经理，负责管理艾昆纬研究所项目的各个方面，并在全球医疗保健领域进行研究和分析。在2021年加入艾昆纬之前，他曾在北卡罗来纳州卫生与公众服务部和杜克大学人类疫苗研究所任职，在那里他发展了理解和解决一系列身体、环境和社会因素对个人健康的技能。Jamie 利用他在公共卫生、健康传播、药物开发和研究方面的经验来了解医疗保健和生命科学行业的当前趋势。

他拥有动物科学理学学士学位和北卡罗来纳州立大学动物学和毒理学硕士学位。

# 关于研究所



艾昆纬人类数据科学研究院为人类健康进步做出贡献  
在全球范围内，通过及时的研究、有见地的分析和科学专业知识应用于精细的未识别患者级数据。

该研究所满足医疗保健的基本需求，提供客观、相关的见解和研究，加速理解和创新，这对合理的决策和改进至关重要  
人类成果。凭借艾昆纬的机构知识、先进的分析、技术和无与伦比的数据，该研究所与广泛的医疗保健利益相关者合作，推动以人类数据科学为重点的研究议程，包括政府机构、学术机构、生命科学行业和付款人。

## 研究议程

该研究所的研究议程集中在五个被认为对促进全球人类健康至关重要的领域：

- 通过有效使用应用于及时相关数据的高级分析和方法，改善整个卫生系统的决策。
- 抓住提高临床开发生产力的机会，专注于推动全球医疗保健的创新疗法。
- 通过关注以患者为中心、精准医疗和更好地了解疾病原因、治疗后果和措施，优化卫生系统的绩效，以提高向患者提供的医疗保健的质量和成本。

- 了解生物制药在人类健康、市场动态以及对制造商、公共和私人付款人、供应商、患者、药剂师和分销商的影响。
- 研究技术在卫生系统产品、流程和交付系统以及推动创新的商业和政策系统中的作用。

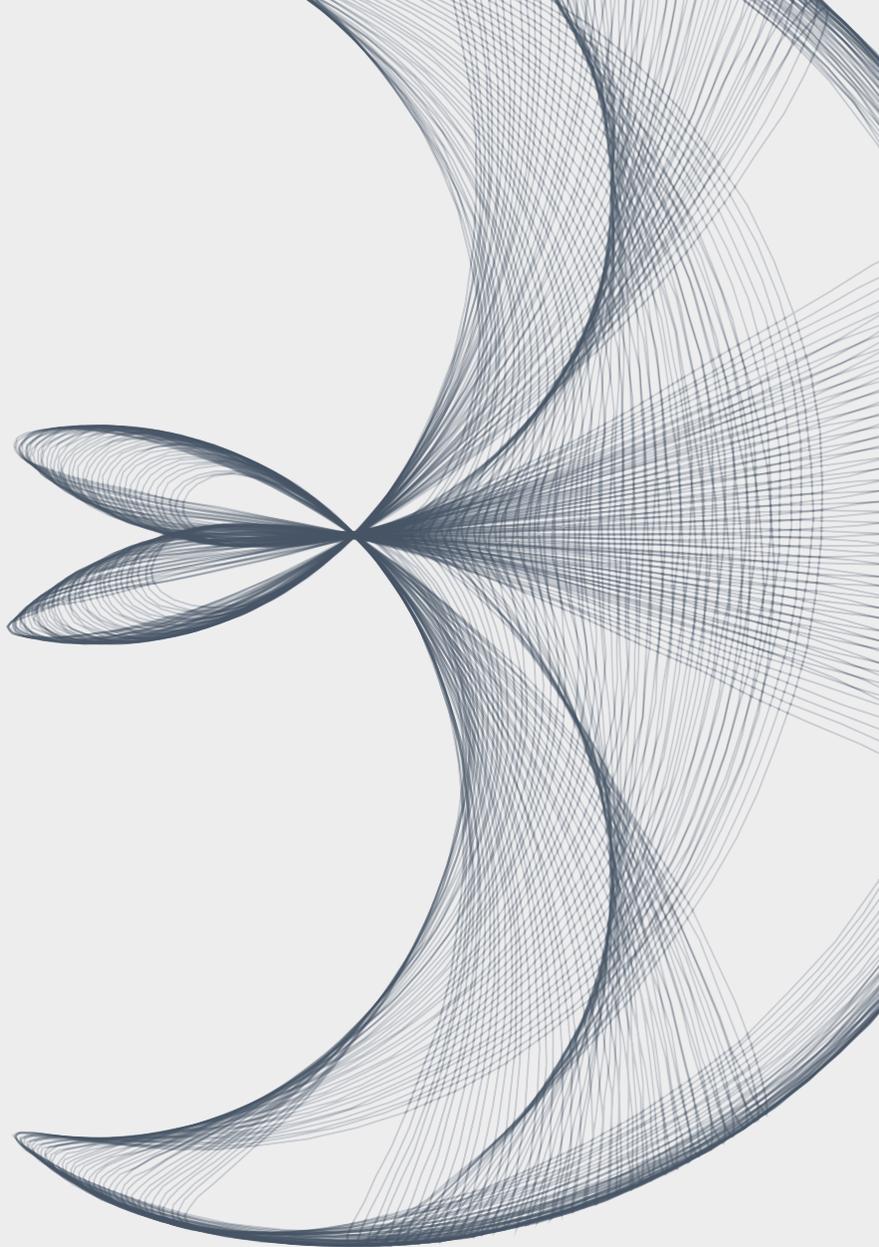
## 指导原则

该研究所根据一系列指导原则运作：

- 未来的医疗保健解决方案需要基于事实的科学证据、对信息、技术、独创性的专家分析以及对个人的关注。
- 必须对大量及时、高质量和相关的数据进行严格的分析，以提供价值并推动医疗保健向前发展。
- 公共和私营部门所有利益相关者之间的合作对于推进医疗保健解决方案至关重要。
- 从信息和分析中获得的见解应广泛提供给医疗保健利益相关者。
- 保护个人隐私至关重要，因此研究将基于未识别患者信息的使用，并将汇总提供者信息。
- 信息将负责地用于推进研究，为讨论提供信息，实现更好的医疗保健并改善所有人的健康。

艾昆纬人类数据科学研究所致力于利用人类数据科学，为世界各地的卫生系统和人类健康动态提供及时的、基于事实的观点。封面插图是这一任务的视觉表现。使用报告本身的算法和数据，最终图像为人类数据科学的复杂性、美感和数学以及页面中的见解提供了一个新的视角。

本报告中的算法技术是使用临床开发生产力属性数据生成的，包括受试者数量、研究中心、终点和资格标准;试用期;和成功率。这些是针对 2010 年至 2022 年期间的主要疾病整理的。



---

**联系我们**

100 IMS驱动器

日前,新泽西州07054

美国

[info@iqviainstitute.org](mailto:info@iqviainstitute.org)**iqvia**  
**institute.org**