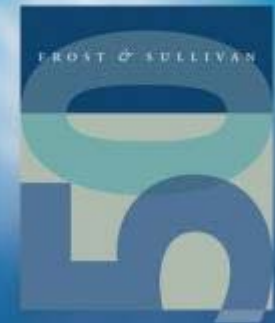


关于小核酸药物 独立市场研究报告

Frost & Sullivan
2020年12月15日



© 2020 Frost & Sullivan. All rights reserved. This document contains highly confidential information and is the sole property of Frost & Sullivan. No part of it may be circulated, quoted, copied or otherwise reproduced without the written approval of Frost & Sullivan.

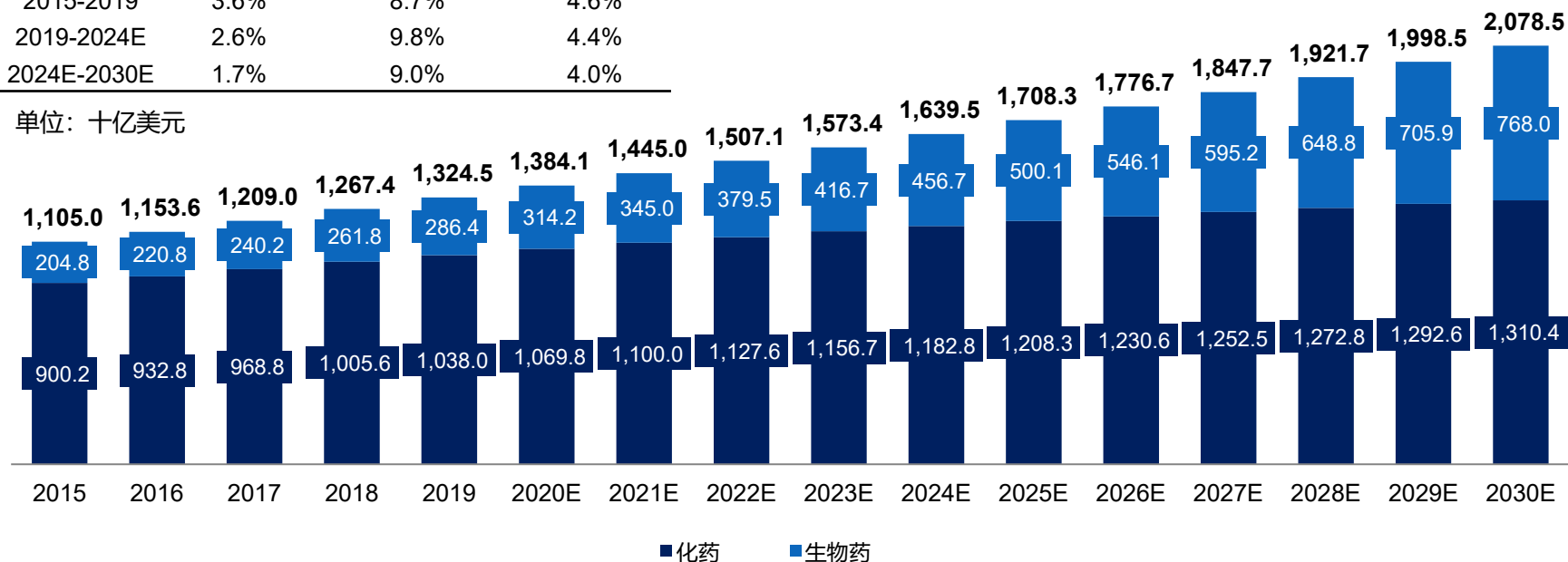
全球医药市场规模，2015-2030E

- 全球医药市场由化药和生物药两部分组成。2019年全球医药市场规模为13,245亿美元，预计在2024年和2030年分别达到16,395亿美元和20,785亿美元。2019年至2024年的复合年增长率为4.4%，2024年至2030年的复合年增长率为4.0%。
- 和化药相比，在过去的五年中生物药的增速更快，从2015年的204.8亿美元增长至2019年的2,864亿美元，复合年增长率为8.7%。在持续增长的市场需求、技术进步以及新产品的销售额增长的驱动因素下，生物药市场有望在2024年和2030年分别实现4,567亿美元和7,680亿美元。2019年至2024年的复合年增长率为9.8%，2024年至2030年的复合年增长率为9.0%。

全球医药市场规模，2015-2030E

时期	复合年增长率		
	化药	生物药	总体
2015-2019	3.6%	8.7%	4.6%
2019-2024E	2.6%	9.8%	4.4%
2024E-2030E	1.7%	9.0%	4.0%

单位：十亿美元



来源：弗若斯特沙利文分析

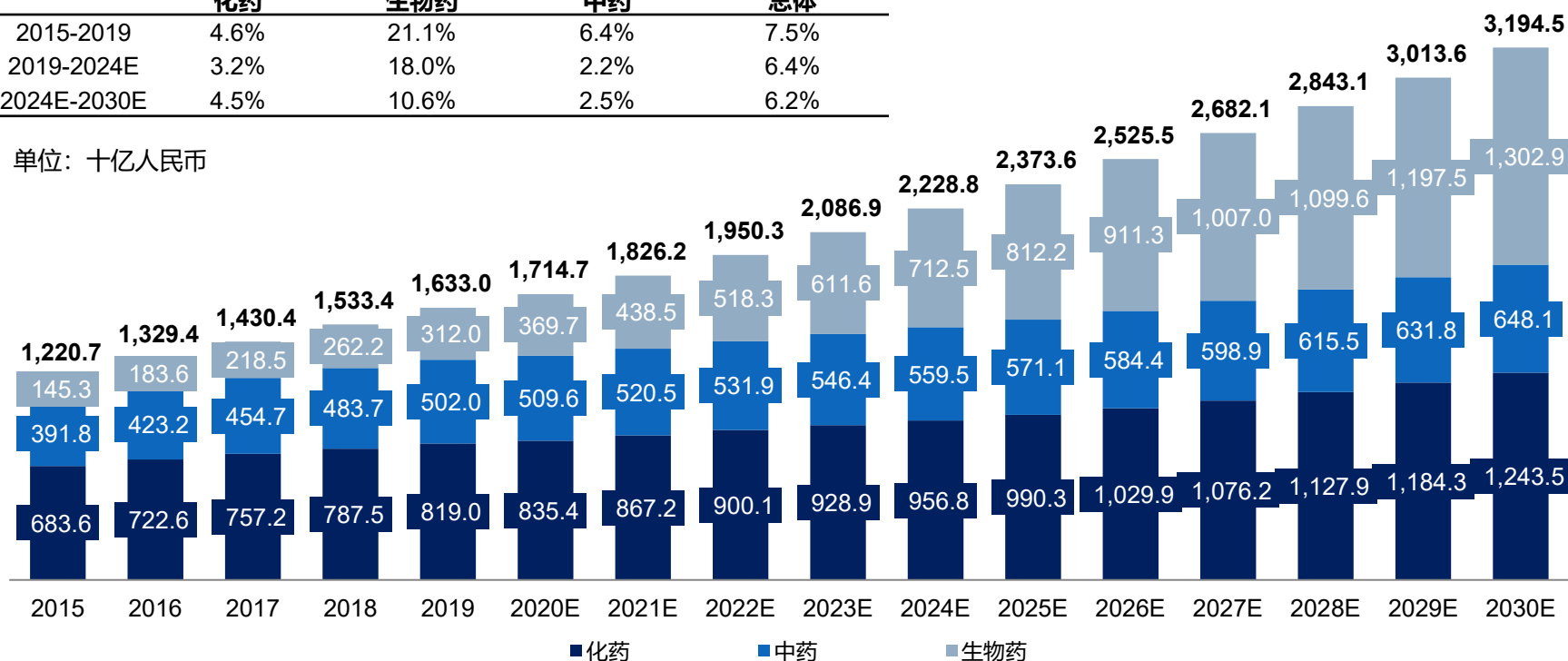
中国医药市场规模，2015-2030E

中国医药市场在经济增长和医疗卫生需求的驱动下，从2015年的12,207亿人民币增长至2019年的16,330亿人民币，复合年增长率为7.5%。中国医药市场预计将在2024年和2030年分别突破22,288亿人民币和31,945亿人民币。2019年至2024年的复合年增长率为6.4%，2024年至2030年的复合年增长率为6.2%。

中国医药市场规模, 2015-2030E

时期	复合年增长率			
	化药	生物药	中药	总体
2015-2019	4.6%	21.1%	6.4%	7.5%
2019-2024E	3.2%	18.0%	2.2%	6.4%
2024E-2030E	4.5%	10.6%	2.5%	6.2%

单位：十亿人民币



来源：弗若斯特沙利文分析

全球医药研发演进趋势分析

• 制药行业的发展，逐渐解决了疾病治疗的未满足需求。在重组蛋白和抗体药物研发出现成药性等瓶颈的同时，新一代的小核酸药物在基因水平上的实现治疗，可突破目前蛋白/通路靶向机制无法成药的限制。

➢ 为了解决疾病治疗的未满足需求，制药行业不断发展



最常见的疾病治疗药物，通常作用于人体内的酶、不饱和脂肪酸、离子通道等

无靶向性药物

- ✓ 广谱性
- ✗ 缺乏特异性

➢ 1997年，美国FDA批准了第一款抗肿瘤大分子靶向药物——利妥昔单抗



可靶向致病相关细胞蛋白或信号通路的药物，能在目标部位蓄积或释放有效成分

靶向蛋白/通路药物

- ✓ 特异性
- ✗ 在人体内的疾病相关蛋白中，大约超过80%的蛋白质不能被目前常规的小分子药物以及生物大分子制剂所靶向，属于不可成药蛋白

➢ 2018年，美国FDA批准了第一款siRNA药物——Patisiran



主要指采用RNA干扰技术的小核酸药物，通过使特定疾病基因沉默，达到治疗目的

靶向核酸药物*

- ✓ 在基因水平上实现对疾病的治疗，不受不可成药蛋白的制约
- ✗ 需要通过结合先进的药物递送系统，使药物的安全性提升，脱靶效应减少

*注：广义的核酸药物包括mRNA药物和小核酸药物，因mRNA药物仍主要通过表达蛋白实现治疗的目的，所以在此将重点分析小核酸药物。

小核酸药物概览

- 小核酸药物是指药物构成为核苷酸序列，药物机制为作用于mRNA，通过干预靶标基因表达实现疾病治疗目的的药物，目前小核酸药物主要包括RNAi药物和ASO药物。

小核酸药物的主要类别

RNAi药物

- RNAi技术是指在进化过程中高度保守的、由双链RNA诱发的、同源mRNA高效特异性降解的现象，是一种降解mRNA的后转录基因沉默（PTGS）。
- RNAi的主要机制是长链双RNA被剪切为短链RNA后，与蛋白质结合形成siRNA诱导干扰复合体（RISC），短链RNA的正义链降解后，RISC再与特定mRNA结合，使mRNA降解，最终沉默特定基因的表达。
- 目前已知具有RNAi作用的RNA主要包括：siRNA、miRNA和piRNA。

ASO药物

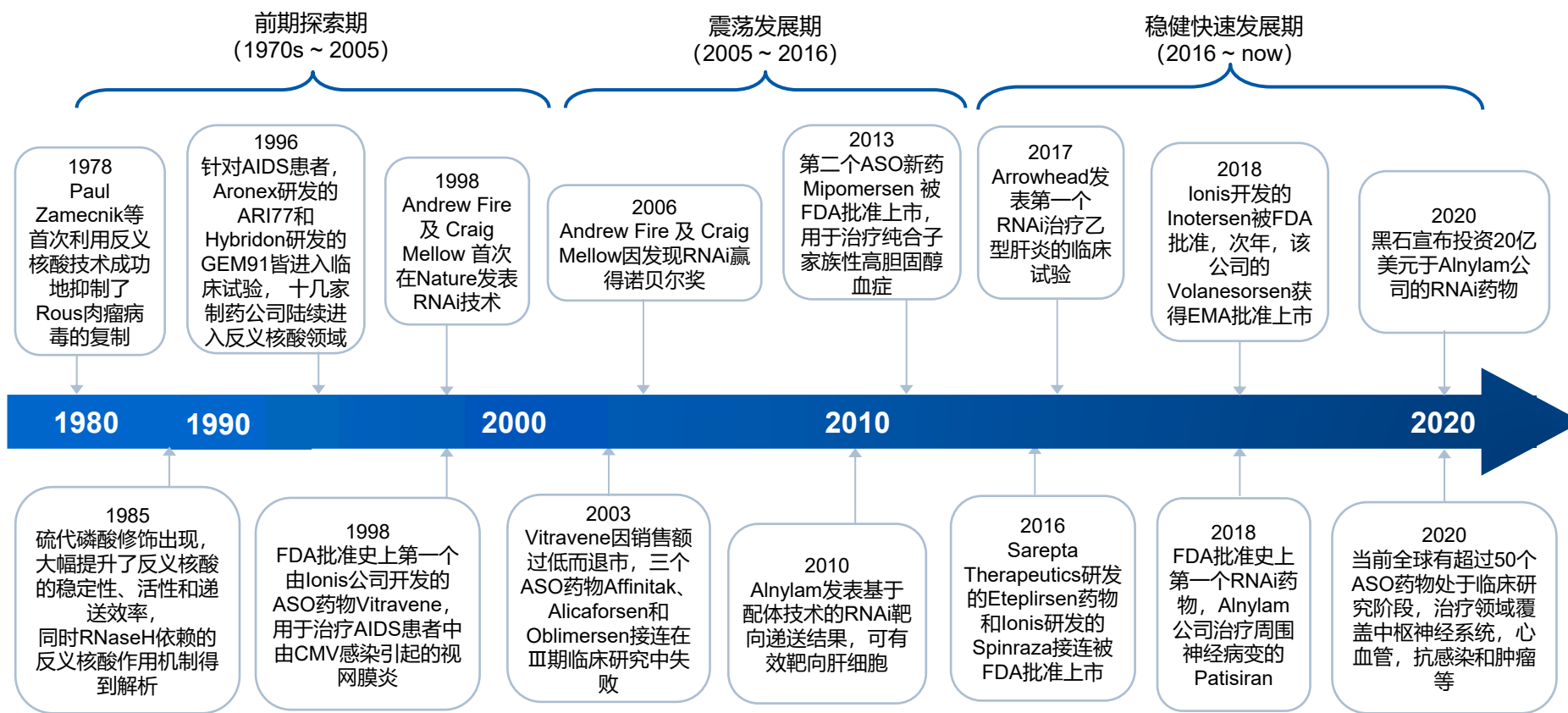
- ASO是指与靶基因mRNA互补的一段单链DNA或RNA序列，通常由十几到几十个碱基组成，通过化学合成的方式生产。
- 对ASO进行某些特定的化学修饰后，ASO药物通过一定方式进入细胞，能够特异性地调控靶基因的表达。
- 第一款ASO药物Vitravene®（Fomivirsen）于1998被FDA批准上市。

主要小核酸药物的比较

	siRNA	ASO
作用机理	<ul style="list-style-type: none">• siRNA在解旋酶作用下生成正义链和反义链。反义链与多蛋白组分形成RISC，RISC中保留的反义链与靶基因的mRNA特异地互补，同时RISC具有核酸酶活性，能将靶基因的mRNA切割降解，抑制靶基因的表达。	<ul style="list-style-type: none">• 与mRNA特异性的互补结合，抑制该mRNA的翻译或引起mRNA的降解，调节蛋白的表达及细胞的生长、分化等，起到治疗疾病的作用。与Pre-mRNA等结合影响其剪切也是ASO的一种作用机制。
长度组成	<ul style="list-style-type: none">• 20~25个核苷酸，双链	<ul style="list-style-type: none">• 15~30个核苷酸，单链
特点	<ul style="list-style-type: none">• 高特异性、高效性、长效性• 低免疫原性• 合成方便• 转录水平后调控	<ul style="list-style-type: none">• 高特异性• 合成方便

小核酸药物研发及产业概览 (ASO/RNAi药物)

- ASO技术和RNAi技术先后于二十世纪70年代和90年代出现，大量科研力量聚焦于新领域，同时获得了制药工业界广泛的关注，小核酸药物领域由此进入了早期的研发探索时期，这一阶段直至2006年，RNAi技术获得诺贝尔奖。
- 2005年到2016年的约十年间，由于小核酸技术领域的技术瓶颈迟迟没有获得突破，药物本身的特性以及商业化进程中的种种问题导致该领域进入了一段震荡发展的时期。
- 从2016年至今，由于小核酸领域药物递送技术等关键难题的突破以及重磅药物的接连获批，加之资本信心的重建，小核酸领域迈入新的稳健快速发展时期。



来源：文献检索，弗若斯特沙利文分析

结语

- 以上内容仅为报告摘要，如需要查阅更多内容，请与我们联系。谢谢！