

## 2019年IQVIA全球肿瘤学趋势 患者治疗的创新

近年来，获批的肿瘤新药创历史纪录，带来了新的治疗方案和指南，最大限度地为患者带来益处。但是，肿瘤学仍然是药物研发中最具挑战性的领域，面临着失败和研发周期长的重大风险。新药的采用仍存在阻碍，耽误了患者的及早治疗。治疗方案的增加对药物支出水平的影响已成为世界大部分地区的焦点——预计这一趋势将持续下去。

针对17种适应症的15种新的肿瘤治疗药物在2018年上市。超过一半的新药是口服药，并在标签上有孤儿药或预后生物标志物的注明。在2014-2018年间，共57个肿瘤药上市，针对23个癌种和89种适应症。在非实体瘤中，白血病、淋巴瘤和多发性骨髓瘤占了三分之一的获批适应症；而在实体瘤中，肺癌的获批适应症最多，有12个，其次是乳癌(7个适应症)和黑色素瘤(6个适应症)。

在2018年，一些值得关注的成功(和失败)为疾病理解上的突破作出了贡献，包括深层的发病机理、疾病进展和潜在治疗手段。此外，最近面世的治疗方案正更广泛地用于多种肿瘤患病人群和早期治疗。2018年在美国，超过20万名患者使用了免疫治疗，是前两年的两倍多。针对HER-2阴性乳腺癌的新型CDK 4/6抑制剂的使用在美国和欧洲都显著增加。

700多家公司正在开展临床研发活动，达到了创纪录的高水平。尽管临床试验生产率和未来五年有进一步发展可能的候选药物有所增加，但药物开发仍然伴随高风险和长周期。在2018年，处在临床后期阶段的药物管线增长了19%，自2013年以来增长了63%。纵观临床开发的所有阶段，免疫治疗领域最活跃，近450种候选药物涉及60多种作用机制。98个被称为下一代生物疗法(细胞、基因和核苷酸法)的候选治疗方案通过18种治疗方式进行临床试验。免疫治疗和下一代生物疗法几乎面向所有肿瘤类型，涉及80多种作用机制。

在参与肿瘤药临床后期阶段的711家公司中，近500家公司完全专注于肿瘤学，其中463家是新兴生物制药公司。在2018年全球医药销售额超过50亿美元的33家大型制药公司中，有28家拥有庞大而活跃的肿瘤管线。

临床试验仍然是高风险的，肿瘤学的综合成功率从2017年的11.7%降至2018年的8.0%。肿瘤学临床试验的周期仍长于其他疾病领域，但在过去五年中普遍下降。在过去5年，I期临床试验的复杂性明显增加，该复杂性以临床试验终点、入组标准以及受试者、试验地和国家数量来综合衡量。肿瘤学临床试验的总体生产率——以试验成功率与试验的复杂性和周期长度对比衡量——自2010年以来提高了22%，但仍远低于其他治疗领域。

肿瘤治疗从科学研发到用于患者治疗之间所需的时间正在缩

(第2页继续)

## 简讯

医疗分销联盟(Healthcare Distribution Alliance, HDA)总裁兼CEO John Gray先生宣布他将于2020年5月2日从HDA退休。自2004年以来一直领导HDA的John Gray先生，因重组及精简组织会员和加强与制药供应链内外的相关利益者的合作而受到赞誉。另外，他还领导HDA制药供应链倡导团队取得重大的联邦立法成就，包括2013年的“药品供应链安全法”。John Gray先生多年来一直是IFPW的重要合作伙伴，IFPW祝愿他明年退休一切顺利。

日本处方药市场在2018财年显示放缓迹象，同比下降1.8%。根据IQVIA行业分析师的说法，这是两年来首次下降。在10大畅销处方药中，抗癌药物安维汀(Avastin)位列第一，其次是销量有显著增加的丙型肝炎药物艾百乐(Maviret)。流行的减酸药物耐信(Nexium)与止痛药物利痛抑(Lyrica)销量均有所下滑。免疫肿瘤药物欧狄沃(Opdivo)为第三大畅销处方药，同比增长7.5%。

赛诺菲(Sanofi)宣布Paul Hudson将取代Olivier Brandicourt担任公司CEO。Hudson目前是诺华制药(Novartis AG)的制药部负责人，拥有丰富的制药行业经验，曾经是阿斯利康(AstraZeneca)北美分部制药部负责人。自2015年加入赛诺菲的现任CEO Brandicourt先生将会退休，他曾促使赛诺菲在今年早些时候寻找其继任者。法国核医学专家公司(Advanced Accelerator Applications SA)的总裁Marie-France Tschudin将会取代Hudson在诺华制药部主管一职。

(第2页继续)

## 生物制药龙头对药品定价与可及性的平衡、下一波生物仿制药的来临以及患者参与展开讨论

(资料来源: Joseph Haas在Scrip上发表的文章)

今年的国际生物科技展会(BIO International Convention)于6月的第一周在美国费城举行，一些业内最具影响力的领袖提出了敏锐的观点和见解，包括默沙东(Merck Inc.)总裁与CEO Ken Frazier、山德士(Sandoz)知识产权副总裁Julia Pike和美国罕见疾病组织(National Organization for Rare Disorders, NORD)总裁Peter Saltonstall。

炉边谈话以行业面临的相互冲突的顾虑为讨论中心，一方面是开发和营销救命的治疗药物，另一方面是为需要这些治疗手段的患者提高药物药品可及性。

“我们尝试围绕定价和营销做出负责任的事情，我希望我们能够做得更好，”Frazier说。“我在这个行业工作多年，包括作为一名律师。回想20世纪70年代的时候，这个行业被称作有道德的制药行业。那时候不是开玩笑。”紧接着，他提出我们需要一个“社会共同价值观的框架”，特别在处理

(第2页继续)

## 2019年IQVIA全球肿瘤学

短，但在批准、诊断、治疗基础设施和医疗报销方面仍存在阻碍，导致了治疗方法存在差异和耽误了患者的及早治疗。2018年上市的新型肿瘤药物，从第一次专利申请到监管审批和上市所需时间的中位数为10.5年，比2017年减少了4年多。药物上市后，要在其他国家上市是一个复杂而耗时的过程。在2018年，不到一半的新型抗肿瘤药物在上市后前5年内被超过9个国家的患者使用。与之相类似，许多欧洲国家的医疗报销以健康技术评估(HTAs)为决策基础，该评估的结果存在差异，积极的决策在总体决策中的占比呈下降趋势，限制了患者通过保险计划获得肿瘤治疗。

治疗癌症患者的所有医疗支出在2018年接近1,500亿美元，同比增长12.9%，连续第五年实现两位数增长。这种增长完全由药物支出推动，增长了15.9%，同时辅助性药物治疗的支出在2018年下降了1.5%。过去两年推出的新品牌和受专利保护的品牌的处方量增长是大多数发达市场获得增长的主要原因，除日本外的发达市场的支出平均增长超13%。

在日本，新型治疗方法的采用率很高，但整体支出增长较低，部分原因是通过降价来减少开支。降价针对的是较老的品牌化疗药和仿制药，而新品牌则贡献了一半的增长。

在医药新兴市场中，中国在支出和增长方面都处于领先地位。尽管辅助性治疗的支出下降了10%，总体支出在2018年增长了24%，达90亿美元。

预计未来五年的治疗支出的复合年增长率为11-14%，总市场将达到2,000-2,300亿美元。包括预计将下降3%至6%的辅助性治疗，而肿瘤治疗支出将达到2,200-2,500亿美元，至2023年每年将增长9-12%。

关于2019年IQVIA全球肿瘤学趋势报告的更新讯息，请浏览<https://www.iqvia.com/institute/reports/global-oncology-trends-2019>。

### 简讯...

预计2019年美国药品支出将增长2.5%，达到3,700亿美元。据惠誉解决方案公司(Fitch Solution)在5月发布的一份报告显示，美国整体医疗支出预计将增长4%，攀升至3.6万亿美元。到2023年，预计药品销售额将达到4200亿美元，占全国GDP的近1.7%，占整体医疗支出的9.7%。

大型零售业巨头沃尔玛(Walmart)已加入MediLedger，这是一个正在致力于建立区块链药品跟踪的财团。此举代表沃尔玛将加深与区块链技术合作的愿景。MediLedger使用的是以太坊区块链(Ethereum blockchain)的企业版，该区块链是由Parity客户端的修改版本和称为权威证明的共识机制构建组成。MediLedger的其他成员包括药品批发商麦克森(McKesson)、美源伯根(AmerisourceBergen)和卡地纳健康(Cardinal Health)。

资料来源：CoinDesk，公司新闻稿，PharmaJapan和Scrip

## 生物制药龙头对药品定价与可及性的平衡

药物成本时。Frazier以生物制药行业和化石燃料行业进行类比，化石燃料被认为是生命资源，但仍遇到了一部分人的反对，他们只把化石燃料的利用视为环境威胁。默沙东希望通过遵循科学来取得适当的平衡。他介绍了默克的Keytruda(可瑞达，帕博利珠单抗)的临床开发以及如何利用生物标志物优化其临床实验的患者筛选。

“类比我们的行业，我们必须找到一个方法，在提供救命药物给需要它们的患者的同时，不会破坏我们明天的药物的(资金)基础”，Frazier说道。换句话说，捍卫资本主义的二元性，即社会的进步需要逐利来推动创新。

NORD的总裁Peter Saltonstall表示对看到参与罕见疾病治疗的开发和批准过程的患者数持续增加很受鼓舞。NORD与FDA的共同努力证明了之前缺乏这种投入。但随着2012年安全与创新法案(FDA Safety and Innovation Act)的通过，改进进程获得势头，2016年的21世纪治愈法案(21st Century Cures Act)更进一步推动了这一进程。

“在我看来，承诺的真正兑现是将患者置于谈话的中心，”Saltonstall说。“抓取患者的数据，并将这些信息交给像您们这样的行业人员。而患者的实际参与能更好地帮助药物开发。”

山德士的高管Julia Pike认为对大量的III期临床相似性实验放宽监管，能促进生物仿制药公司对那些销售一般的生物药开展仿制研发。

Julia Pike说，“我认为在下一波浪潮中，你会看到人们更加努力推进一件事，在不进行大规模的III期临床实验的前提下获得生物仿制药的上市批准。”她指出，这将改变生物仿制药公司的候选药物类型，因为没有必要投资1.5亿美元来开发一个产品。“如果您不需要投资1.5亿美元来完成开发，那么您也不再要求这药物成为全球销售达120~130亿美元的重磅药物”，她补充道。

Pike指出全球的卫生监管机构对生物仿制药的认识和认知都有所提高。这种熟悉有助于他们在如何看待生物仿制药方面形成一个相对先进的思维。这种先进的思维将进一步完善监管机构的指南，规范未来生物仿制药的成药条件。

