



# 新药研发

投资风控策略浅析

安镁药事管理部

2024/1/20



# 全球新药研发成功率以及投资因素考虑

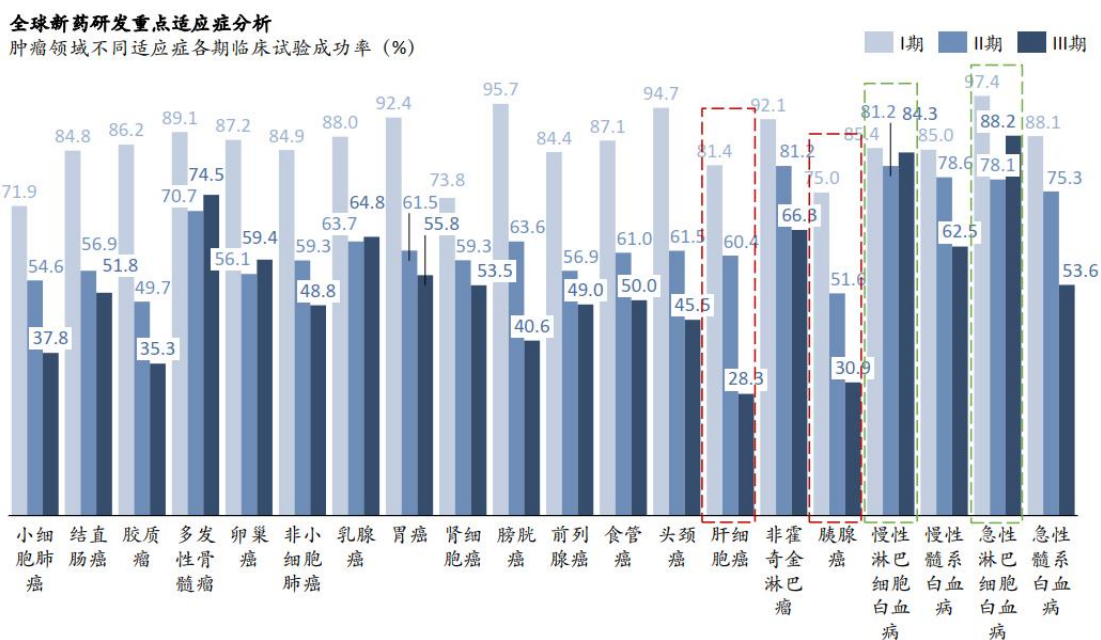
创新药投资面临着极低的成功率，判断管线临床试验风险的高低是 biotech 投资者最核心的工作之一。本文基于医药魔方 NextPharma@数据库咨询分析，对全球新药研发成功率及收益风险进行分析梳理。下面我们将对临床成功率和临床失败的原因及对策做一个简易性的概要。

## 一、临床试验成功率多维度浅析<sup>[1]</sup>

不同药物类型，不同企业，同一靶点不同适应症，临床试验阶段的成功率都不同，临床试验成功率需要多因素考量。

### 1. 重要适应症新药研发成功率分析

重点疾病分析中以肿瘤领域和自身免疫领域为例。肿瘤领域中，绿框圈出的慢性淋巴细胞白血病通常进展较慢，而急性淋巴细胞白血病是少数几个能通过化疗完全治愈的恶性肿瘤，这两类适应症 3 个阶段临床试验成功率相比其他恶性肿瘤较高。其他血瘤由于对化疗及靶向药物相对敏感，也有不错的成功率。而红框中标注的肝癌和胰腺癌由于恶性程度高、病情进展快、治疗难度大，III 期临床试验结果不佳。



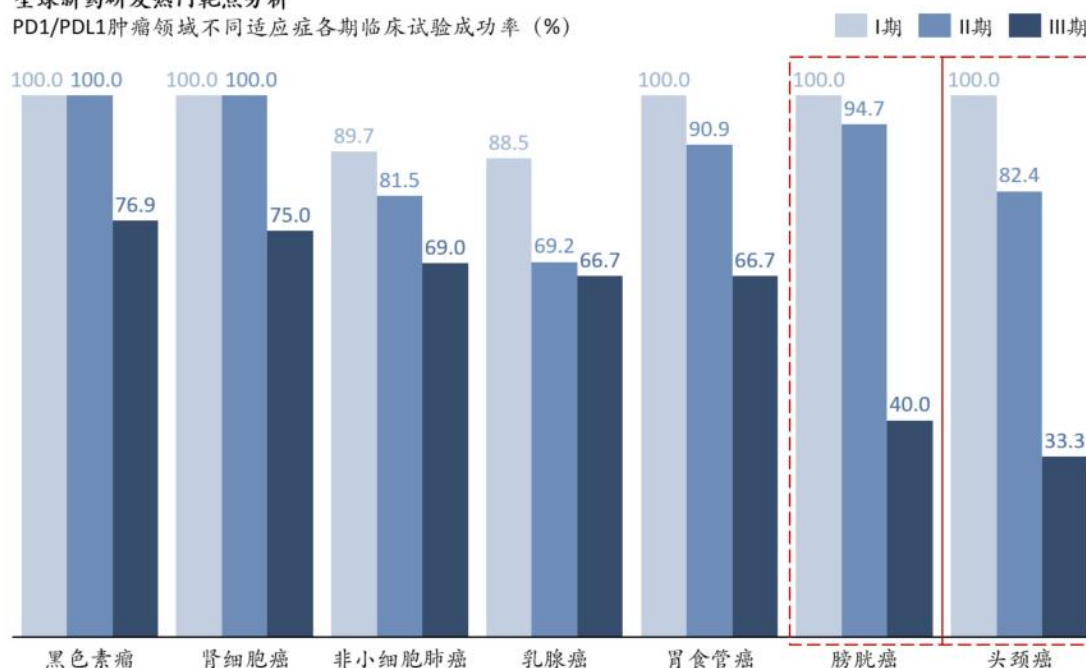
<sup>[1]</sup> 医药魔方 NextPharma@数据库；医药魔方研究与分析:全球新药研发成功率分析

## 【靶点对应适应症临床试验成功率分析-以 PD1/PDL1 新药为例】

肿瘤领域各适应症中，除了膀胱癌和头颈癌的 III 期临床试验成功率略低外，以 PD1/PDL1 为靶点的药物在其涉及的肿瘤适应症中均达到了 65% 以上的 III 期临床成功率，提示在这些适应症中以 PD1/PDL1 为靶点的新药研发风险更低、成功率更大。通过对比 PD1/PDL1 为靶点的肿瘤药和整体肿瘤药研发成功率，发现早中期临床试验中 PD1/PDL1 靶点药物有明显优势（I 期临床：95.2% vs 87.2%，II 期临床：84.6% vs 64.4%），但需注意 III 期临床成功率已基本持平，提示 PD1/PDL1 靶点研发虽未过热，但在后期临床相较整体肿瘤药研发已无优势，企业需了解风险、遴选适应症进行差异化开发，盲目入局并不可取。靶点成功率分析可为企业布局某类适应症时的药物靶点选择提供启发。

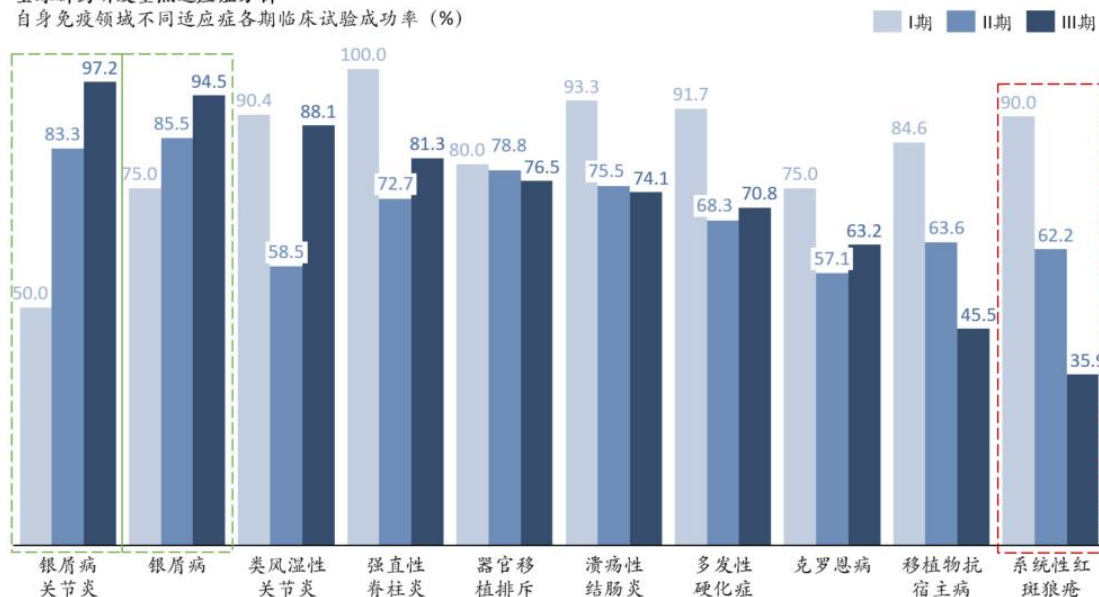
### 全球新药研发热门靶点分析

PD1/PDL1 肿瘤领域不同适应症各期临床试验成功率 (%)



资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

全球新药研发重点适应症分析  
自身免疫领域不同适应症各期临床试验成功率 (%)

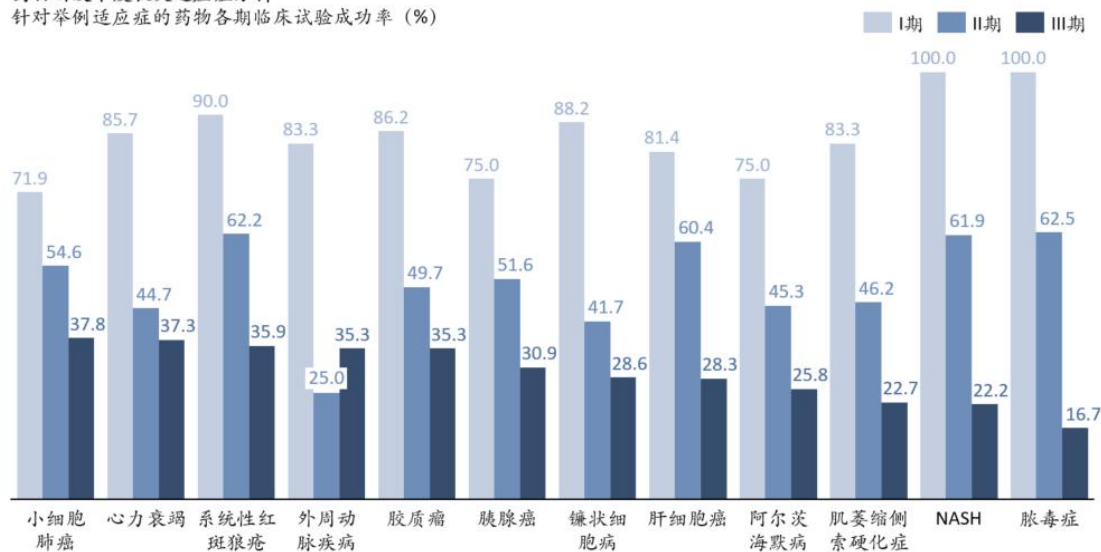


资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

### 【药物研发难度较大适应症成功率】

此处不完全列举了数个 III 期临床试验成功率在 40% 以下的代表性疾病，主要包括恶性程度高、易转移复发的小细胞肺癌、胶质瘤、胰腺癌和肝癌等恶性肿瘤，发病机制复杂、药物开发方向不明确的心衰、外周动脉疾病、SLE、NASH 等疾病，机体不可逆性器质性病变或退化导致的镰状细胞病、阿尔茨海默病及肌萎缩侧索硬化症等疾病以及病情进展极快、患者状态不佳的脓毒症等疾病。对于这些疾病的药物研发虽然难度较大，但评估标准也可能相应下调，若能获批上市也可能有很好的潜在市场收益，提示企业在布局此类疾病前应综合评估潜在风险与预期收益。

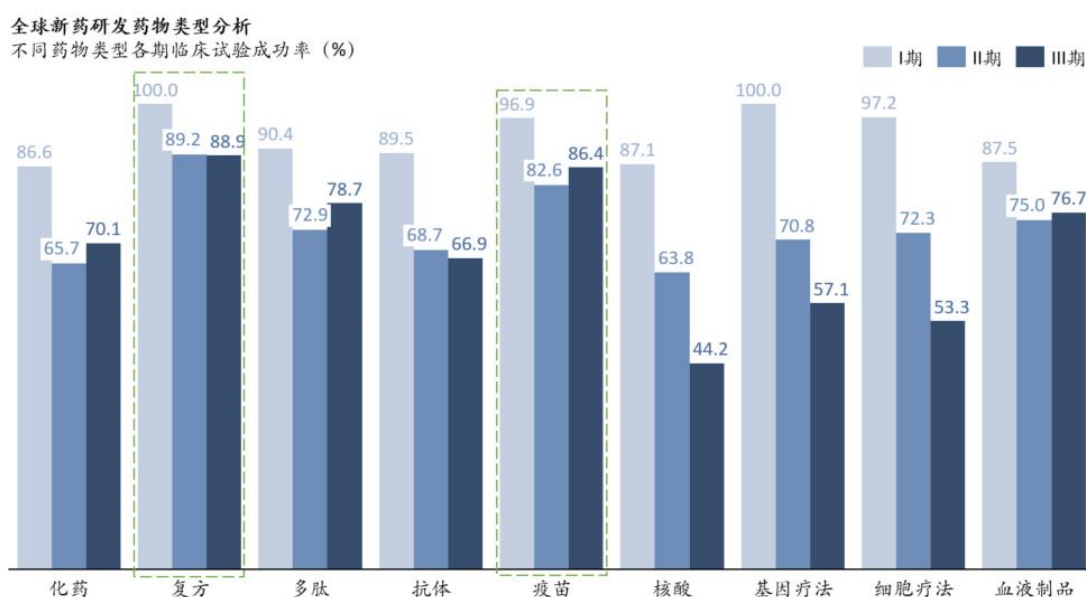
药物研发难度较大适应症分析  
针对举例适应症的药物各期临床试验成功率 (%)



资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

## 2. 不同药物类型研发成功率对比

药物类型分析中，复方类药物由于单方产品的良好背书，在整个临床试验阶段都展现出 90% 及以上的成功率，进入及后期研发风险均较小。疫苗类新药的研发同样在 3 个阶段临床试验中均有 8 成以上成功率，这可能与疫苗类药物的临床试验设计主要评价指标为对应疾病发生率的降低有关，相比治疗类药物有效性评估更容易获得良好的临床结果。近年来热门的抗体类新药虽然整体来看成功率尚可，但越到临床后期成功率越低，企业应了解风险、综合应对。



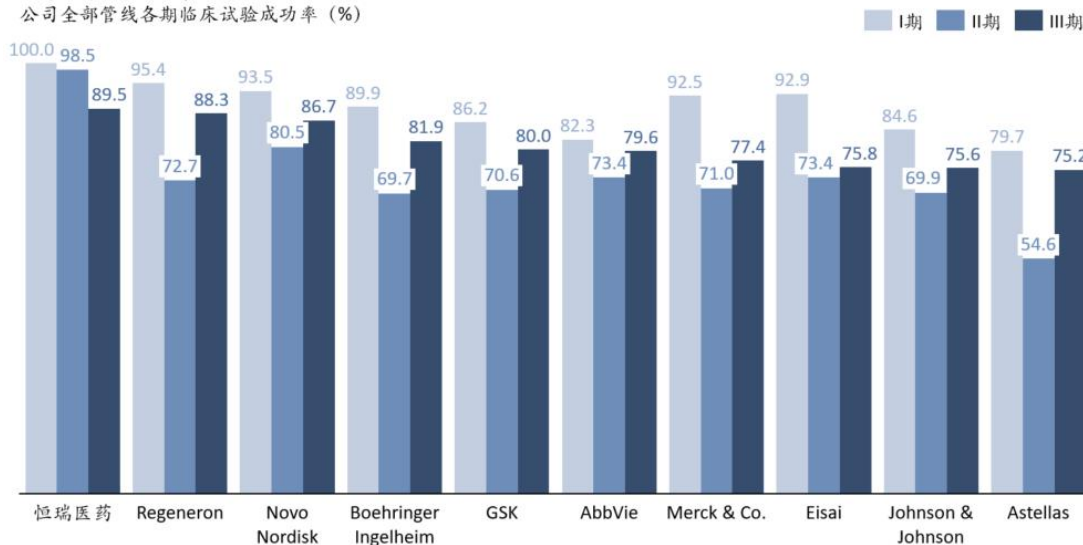
资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

## 3. 不同企业新药研发成功率分析

投资者在选择企业投资时，无论是 biotech 还是 Phrama, 都应明确其新药开发策略和专业研发领域，以此掌握对投资标的收益预期。

(1) 尚处发展早期的大型药企：以再生元和恒瑞为代表，公司管线并不是非常多，但对于产品立项及研发能力有独特追求，研发专注度相对较高，因此可以达到领先其他 MNC 的 III 期临床试验成功率。

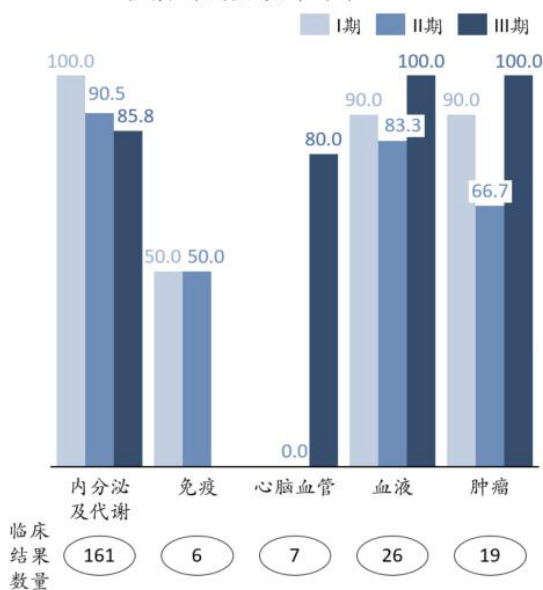
全球III期临床成功率TOP10大型企业  
公司全部管线各期临床试验成功率 (%)



资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

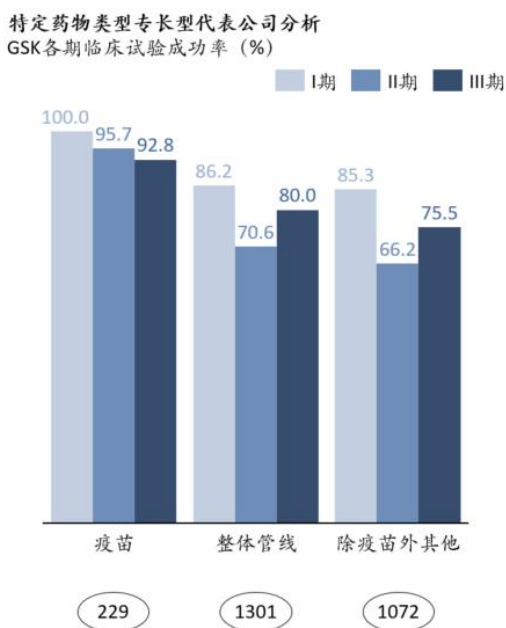
(2) **特定治疗领域专长型药企**：以专注于内分泌及代谢领域的诺和诺德、呼吸领域的BI以及免疫领域的AbbVie为代表，此类公司在某一个或某几个领域有大量的研发经验，研发成功率相较该领域其他公司或相较本公司其他领域均有优势。又由于往往公司会在自己擅长领域布局更多管线，某个药物获得积极结果后也会布局多个亚组临床试验，因此会拉高公司整体临床结果成功率。

特定治疗领域专长型代表公司分析  
Novo Nordisk各期临床试验成功率 (%)



资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

(3) **特定药物类型专长型药企**：以专注于疫苗产品的 GSK 和默沙东为代表，此类公司的整体临床试验成功率往往会和自身擅长的药物类型临床试验成功率息息相关。以 GSK 为例，由于疫苗制品在临床试验中往往能获得较高成功率，而 GSK 又在该领域做到了全球龙头，因此可以看到 GSK 在疫苗领域的研发布局拉高了公司整体管线的临床试验成功率。



## 二、临床试验失败原因及解决办法

临床 I 期失败最多的原因是安全性，因有效性失败的比例不足 9% (14/157)；到临床 II 期，失败最多的原因是有效性，比例达 35% (31/89)；而到了临床 III 期，有效性作为最主要的失败原因，占比高达 55%。

(数据来源：Warning MJ et.al.2015Nat Rev Drug Discovery)

### 药物无效（无法控制）

并不是每一个产品都会有预期的作用或者副作用。

### 临床试验设计问题（可以控制）

如何根据资料、文献设计临床试验，减少临床试验失败风险成为主要课题。

### 操作问题（可以避免）

临床试验人员的责任就是要把好药做成功。如果临床试验设计很合理，药物也很好，



做失败了，那么这是做临床试验人员的失职，操作问题是我认为最应该避免的错误。

### 决策问题（决策很重要）

公司在临床 I 期或者 II 期失败时候，如何去评估失败产品，是否足够的信息去评估（大多数情况下是没有完整的数据而必须做出决定）需要决定是否要继续投资。

采取措施尽量减少 III 期临床风险。

因为小样本的 II 期临床试验并不能让我们了解一个分子的全部特性，所以失败是肯定的。

研究人员需要详细深入地了解研究资料，靶点，早期数据，安全性等，非常重要。并合理开展 I 期、II 期早期临床试验。

众多的 IDO III 期临床试验，没有一个 II 期是随机的，全是新单臂联合试验。

联合试验如果是 II 期单臂，会很危险，因为产生结果的原因并不清楚，联合用药时，是不是里面每一个药都有用——这在结果从 10% 增加到 90% 时容易判断，但如果如果结果是从 40% 增加到 60%，则不容易判断。

客观仔细分析所有可获得的数据很重要。不要忽略不好的数据，不能只看高剂量结果很好，而不去问低剂量组为什么不好？例如，为什么一个产品在高剂量有效，在低剂量不但无效而且更差，这是个很大的警示信号，一定要注意这样的数据。还要有 robust hypothesis，不能想当然或者存在侥幸心理。Smart 设计也很重要。

注意安全性，这也是临床试验失败的很重要原因。

注意地域性差别。中国国内可能有这种差别，中国东北和南方区别可能也有一些，但不是很大。美国或者全球的区别会很大。有时候会因为一个区域造成临床试验失败的例子也很多。

高效、高质量开展也是减少 III 期临床失败很重要的因素。

## 三、投资考虑因素

### 1. 市场需求

(1) 对于患者来说，他们关注治疗药物的数量，可及性以及价格，也关注疾病的严重性和负担，以及等待新治疗的时间。患者的反馈与需求对于开发满足其特定需求的治疗方案来说至关重要。



(2) 药物开发者寻求公众健康未满足的医疗需求，开发具有临床价值和商业价值的产品。他们视未满足的需求为差异化的机会，并专注于研发能够满足特定患者人群需求的疗法。

(3) 监管机构将未满足的医疗需求纳入其评估和决策过程。监管机构将概念验证、初步证据和获益与风险的平衡作为决策依据，以确保患者获得安全有效的治疗，保障医疗产品的质量。

(4) 医疗技术评估机构从国家层面考虑未满足需求，评估药物的临床价值和医疗系统的影响。投资者要了解到药监注册部门对于新药注册策略的意见，把握注册通过率。

(5) 支付者也是从国家层面评估未满足需求，以做出关于报销和付费的决策。他们重点关注特定的患者人群，并评估不同干预措施所提供的相对益处的大小，以实现资源有效分配。

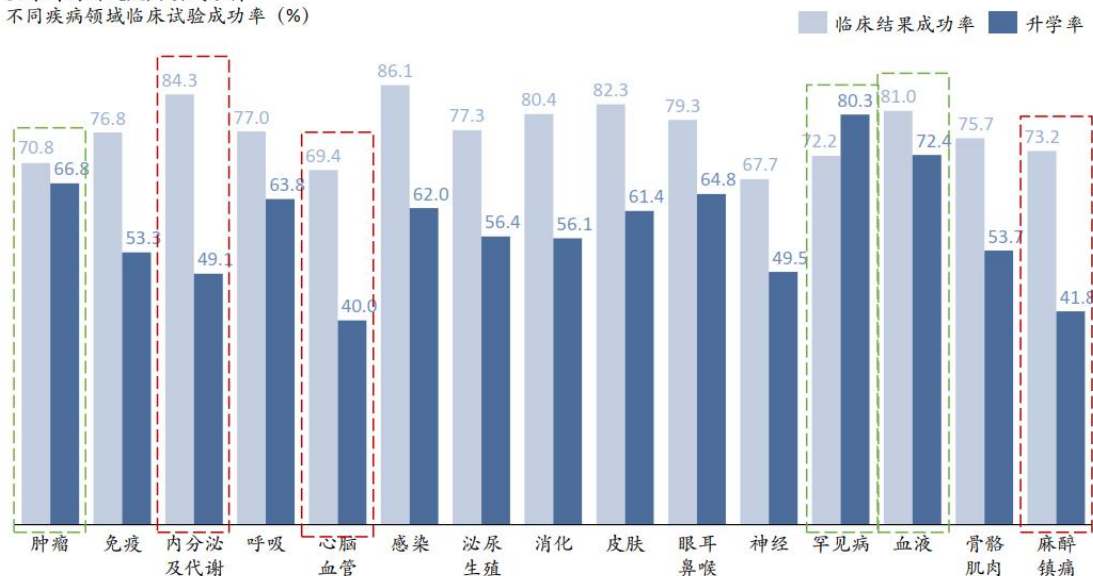
## 2.潜在风险与收益

### 【收益】

比如下图，肿瘤和血液病药物市场需求相对较大以及罕见病药物研发更紧迫（升学率甚至高于临床结果成功率）。相反，内分泌及代谢，心脑血管和麻醉镇痛的领域企业尽管获得了良好的临床结果，但推进意愿较低（升学率低）。这3个领域药物机制较为明确且已有相当规模经过市场检验的上市药品，继续研发的潜在收益受限。

全球新药研发疾病领域分析

不同疾病领域临床试验成功率 (%)



资料来源：医药魔方NextPharma®数据库；医药魔方研究与分析

投资者应该了解研发企业的市场管线布局。

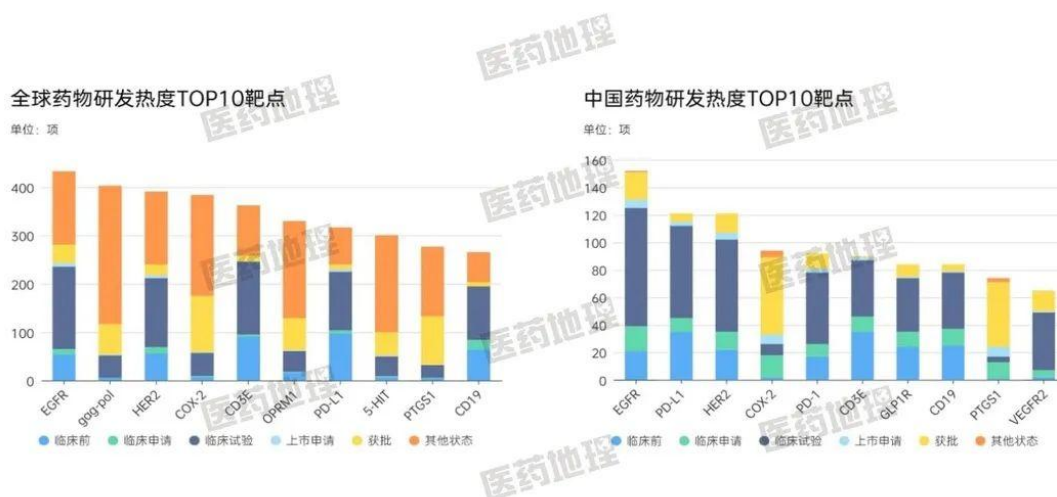
## 【风险】

### (1) 研发难度

有些适应症病因机制复杂，药物研发难度大，因此临床试验成功率低。如自免领域中，银屑病及相关疾病由于通路机制明确、且已有相当数量针对通路靶点的药物上市，研发证据相对明确。而系统性红斑狼疮病因机制复杂，药物开发方向不明确，因此 III 期临床试验结果并不理想。虽然难度较大，但评估标准也可能相应下调，若能获批上市也可能有很好的潜在市场收益。

### (2) 靶点集中度分析看内卷程度<sup>[2]</sup>

(全球药物研发热度 TOP10 靶点海内外对比)



(来源: Pharma One)

首先，从海内外研发热度 TOP10 榜单来看，其中有 8 个靶点重合。

分别是 EGFR、PD-L1、HER2、COX-2、PD-1、CD3E、CD19、PTGS1，在海外热度居第二位的 gag-pol 与居第六位的 OPRM1，并未出现在中国 TOP10 热门靶点的排名中，取而代之的是糖尿病明星靶点 GLP1R 与老牌抗肿瘤靶点 VEGFR2。

<sup>[2]</sup> 医药地理，FT 生物：海外 VS 国内靶点 TOP5 | 十组研发数据公开对比，预示了怎样的未来？

## 全球IND及以上研发阶段新药TOP10靶点

靶点	申报临床	临床	I期临床	II期临床	III期临床	申请上市	批准上市	总计
EGFR	2	4	68	68	24	7	33	206
CD19	5	10	95	77	6	1	10	204
HER2	5	0	76	42	25	9	30	187
Insulin	7	2	32	22	26	6	83	178
COVID19 Spike glycoprotein	0	4	48	47	32	4	32	167
INSR	7	2	26	14	18	5	71	143
CD3	6	0	74	44	3	2	9	138
PD-L1	4	3	67	41	5	5	7	132
PD-1	3	2	51	41	17	2	15	131
AR	1	3	19	38	5	2	62	130

全球 IND 及以上研发阶段新药的 TOP1 靶点为 EGFR，药品数量共计 206 个。以批准上市的药物数量统计，靶点为 Insulin 的药品数量最多，共计 83 个。靶点为 CD19 的药品中，处于临床阶段的药品数量最多，共计 188 个，占有 CD19 药品的 92.2%。

(数据来源：药融云)

## 四、总结

投资者在投资评估时，需要对药物管线以及研发企业自身战略有良好的把握。

药物方面应避免过度扎堆的靶点药物开发，并且关注企业对市场容量，市场定位竞争对手管线情况以及药品生命周期的估算。从多维度估算药物临床试验的成功率，高质，高效的开展临床试验，严格，客观分析实验数据，尽可能减少试验风险。

在企业战略规划方面，医药企业需充分了解疾病的发生、演变规律和患者的群体特征，并在分析市场形态、政策、消费者、竞争对手的基础上，判断战略客户群及新药研发重点，从而制定有效的竞争策略。由于患者接受能力尚不明确，导致新药上市后前景存在诸多不确定因素，企业可通过系统地研发新产品的多种适应证，以适应多变的市场需求，不能仅着眼于现阶段临床需求，更应分析产品上市后（如 10 年后）该临床需求是否仍存在，或是否有可能发生变化。同时，根据疾病和未被满足的临床需求来规划产品管线。

投资者应关注医药企业确定的研发方向，关注其优势专业领域，某类疾病的深度研发，与竞争对手形成有效区隔。识别未满足的临床需求，差异化竞争也是研发企业竞争力的体现，应关注其管线布局，避免研发管线单薄，项目储备不足的情况。

研发模式主要分为自主创新模式、授权合作模式、VIC 模式 3 种类型。为保障研发战略有效达成，医药企业可根据自身情况选择合适的研发模式，也可根据不同项目的特点选择几种研发模式优势互补。

影响创新药的因素很多。无论是企业研发管线布局、临床试验进程以及潜在市场估值都需要专业研究和持续跟踪。投资者应该在了解相关知识、谨慎评估风险和回报，并根据自身的财务状况和投资目标来制定合适的投资策略。

## 五、关键第三方解决方案

医药投资的独特性在于很多方面，知识迭代快，资源储备成本高，因此，医药投资需要的专业顾问尤其重要，安镁深耕医药医疗全球业务多年，我们既可以作为 GP 参与基金运营，又可以作为协作顾问参与项目咨询，我们保持了灵活的位置来满足场景需求“， 庞树， 安镁副总裁。

全球聪明的投资者（指 LP 与 GP），在面对复杂的高风险的 BIOTECH 创新药研发时，并不能立刻获得相关专业知识（开发和临床）用于判断机会和风险，但是他们凭职业嗅觉能够感知周期性机会，市场需求前景，因此，他们会利用可靠的第三方伙伴的专业能力，甚至是多个第三方能力，对项目进行多家多维度综合分析，通过第三方的分析评估，找到项目的机会与风险，甚至利用量化打分工具支撑投资决策。这一点借鉴了药物经济学评估阶段使用的多 RCT 试验的 meta 综合分析，因为并不能获得现实疗效世界数据，也同样获得把握度高的，共识性强的评估结果。在多数投资领域，投资者们只需要维护那些有能力识别风险的专业团队，投资的事就解决了一半。

同时，由于药物开发周期长，第三方机构凭借固有的全球新药研发管线管理能力-多数数据库基础设施和分析能力，而投资者不太可能拥有这些资源，那么，第三方可以持续跟踪和监督研发进展和风险分析，并直接对投资者负责，通过激励政策安排，第三方从利益逻辑上，专业识别，及时性上满足投资者对风险的管控的期望。



## 关于作者

安镁健康 江荷 BD

8年 CRO 以及生物制药职业阅历,负责医疗医药业务拓展,  
国际市场运营管理,注册至上市后市场研究

EMAIL: [jh@amedstar.com](mailto:jh@amedstar.com)



## 关于安镁

安镁（上海）健康科技有限公司是一家医药咨询公司，基于价值管理，安镁帮助医药供应商实现全球商业价值，帮助保险公司实现医药的价值购买，帮助投资人实现价值投资。业务包括但不限于：

- 1: 药事管理与服务，HBM 与 CSO
- 2: HTA 药物经济学评估，准入咨询，续约管理
- 3: 学术运营与医师培训
- 4: 医事开发与特色医疗管理
- 5: 投资咨询



安镁健康科技有限公司

官方网站: [www.amedstar.com](http://www.amedstar.com)

市场合作: [hello@amedstar.com](mailto:hello@amedstar.com)

加入安镁: [hr@amedstar.com](mailto:hr@amedstar.com)



安 镁

扫码关注安镁健康