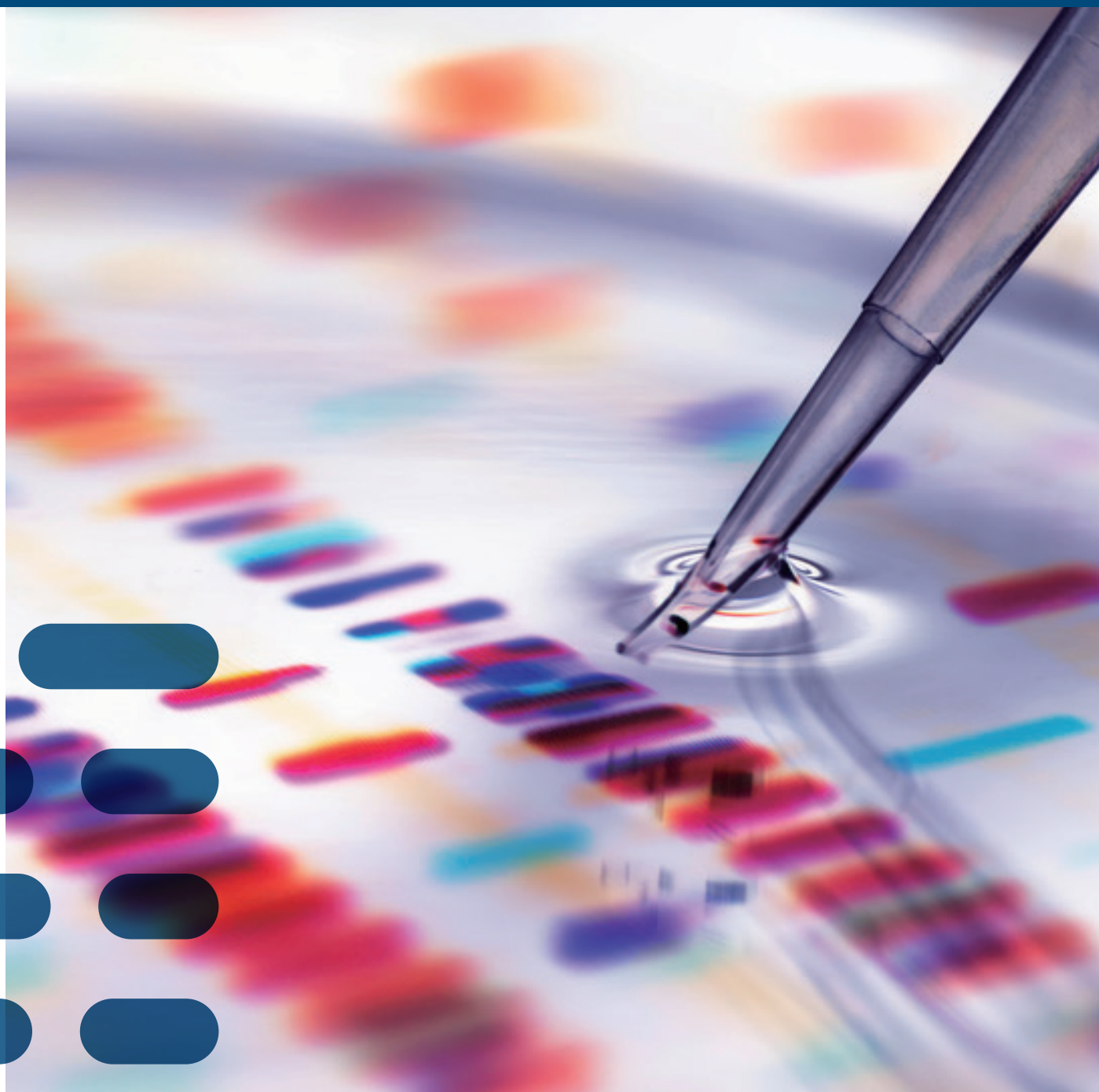


2023年10月

# 前沿视点 VIEW POINT



# 目录

<b>释放生物类似药潜力</b>	<b>01</b>
不断发展的生物类似药市场环境	02
肿瘤科医生和免疫科医生的生物类似药使用经验	03
神经科医生对生物类似药的认知和预期	07
<b>数字化自我护理的新浪潮</b>	<b>09</b>
数字健康解决方案：一种颠覆性的力量	09
创新的“黄金点”正在演变	10
不断演变的数据和诊断之间的智能连接	11
关注以健康结局和基于价值的服务	11
数字生物标志物：自我护理领域的下一个前沿阵地	11
传感技术和人工智能/机器学习（AI/ML）算法正在快速演变	12
数字生物标志物对消费者和行业的潜在效益	13
推动去中心化试验方法	13
家庭和消费者端的数字健康工具	14
数字疗法驱动更好的健康结局	17
市场力量提升数字健康潜力	17
数字健康监管进一步统一	17
<b>卓越上市白皮书（第八版）</b>	<b>20</b>
“疫情后”的上市环境：我们在恢复吗？	20
上市基本要素改变了吗？	21
哪些趋势将塑造未来的“卓越上市”	23
给未来“卓越上市”的建议	25
<b>提高效率、降低风险：贯通研发到上市的行动计划</b>	<b>27</b>
早期项目支持	27
后期产品支持	29

# 释放生物类似药潜力

## 概述

过去二十年来，生物药已彻底改变了患者的治疗方式。生物制剂是源自活生物体或其成分的产品，可以治疗糖尿病、癌症和免疫缺陷等多种疾病。生物药也是市场上最昂贵的药物之一，在药物总支出中所占份额越来越大。生物类似药是在已获批生物药（“参比药品”）的独占期过后与之高度相似的生物药品，能够提供更具成本效益的治疗方式，并对参比生物药品造成竞争压力。这有助于为卫生系统节省开支，并扩大生物制剂的使用范围。生物类似药还为药品制造商提供了一种新的商业模式，有助于可持续的生物制剂创新和竞争。确保生物制品市场的健康竞争对于实现生物类似药的相关效益非常重要。

了解医生对生物类似药的看法是发展可持续竞争市场的一个重要部分。与过去五年相比，在接下来的五年里，至少有 30 多种生物制剂将失去独占期保护。不同专业的医生将首次拥有不同生物类似药的选择；例如，神经科医生预计将在 2023 年首次获得用于治疗多发性硬化症（MS）的那他珠单抗生物类似药。这些医生可以从已经使用生物类似药多年的肿瘤科医生和免疫科医生的经验中获益。评估是什么促使医生采用生物类似药，分享在不同情况下使用的最佳实践，并确定最合适的信息共享方法，将有助于优化生物类似药的使用。使用过生物类似药的医生的经验也将使卫生系统能够预测可能出现的、与新生生物类似药有关的问题，并确保可持续竞争市场的发展。

为了了解医生对使用生物类似药治疗疾病的看法，IQVIA 对多个欧洲国家的 63 名肿瘤科医生和免疫科医生进行了调研。超过四分之三的受访医生表示，他们对生物类似药有一定了解或非常了解，他们信息的主要来源是治疗指南，其次是医学期刊和同事。另外，63% 的医生表示，他们对生物类似药的看法随着时间的推移而发生了变化，并且变得更加积极。

此外，83% 的受访医生在获得生物类似药使用经验后对生物类似药抱有积极或非常积极的看法。经验更多、对生物可比性的接受更高以及成本更低是使用生物类似药的关键驱动因素。

免疫科医生和肿瘤科医生正在大量使用生物类似药，63% 的医生表示，他们让 50% 以上的新患者开始使用生物类似药。大多数医生报告称，在生物类似药上市的推动下，接受生物分子治疗的患者数量有所增加。患者总数的增幅主要在 15% 至

20% 之间。医生们表示，节省成本和疗效获益是开具生物类似药的一个关键驱动因素。

在向生物类似药过渡且不得不改变给药途径的医生中，50% 的免疫科医生和 39% 的肿瘤科医生认为这一过程顺利且简单。其余的医生大多认为这一过程相对困难，但可以应付。

对于没有生物类似药经验的医生而言，肿瘤科医生和免疫科医生建议采取多种方法来加强教育，包括医学协会和治疗指南的教育，以及与其他有经验的医生进行探讨。

## 释放生物类似药潜力：来自不同治疗领域的医生经验

那他珠单抗生物类似药预计于 2023 年上市，因此，IQVIA 还对西班牙、英国、意大利、德国、法国、芬兰、丹麦和瑞典的 61 名神经科医生进行了一项调查，以了解他们对生物类似药的看法。结果显示，54% 的神经科医生表示他们对生物类似药的总体情况和生物类似药在其他专业领域的使用情况有一定了解或非常了解，70% 的神经科医生表示他们对生物类似药抱有积极或非常积极的看法（无论他们是否有直接使用生物类似药的经验）。神经科医生似乎也对生物类似药的上市有所期待，对多发性硬化症生物类似药产品管线有较好的了解。

神经科医生期望在生物类似药上市时对其加以利用；其中 48% 的医生期望能为 50% 以上的患者使用生物类似药。开具生物类似药的原因主要与成本和获取途径有关。当被问及限制他们在生物类似药上市第一年开具处方的主要担忧时，医生表示疗效、安全性、生物可比性以及收集更多信息的必要性是主要因素。虽然神经科医生提出了这些担忧，但值得注意的是，2022 年，欧洲药品管理局 (EMA) 表示，“自 2006 年以来，EMA 已批准了 86 种生物类似药。在过去的 15 年里，这些药物经过了彻底的审查和监测，临床实践经验表明，就疗效、安全性和免疫原性而言，它们与参考产品相当，因此可以替换。”

随着治疗 MS 的生物类似药上市，神经科医生将面临这样的情况：即参比药品以皮下 (SC) 方式给药，但生物类似药通过静脉 (IV) 方式给药。由于成本优势，许多神经科医生确实希望将患者从皮下用药转为静脉类生物类似药，但他们指出，这个过程可能很困难，并且患者的偏好将是一个因素。为促进市场活力，所有卫生系统的利益相关方都将需要考虑这些情况，并确保在医生 / 患者偏好和自主权、多个参与者的竞争空间以及医

保资金可持续性之间取得平衡。同行、护士和患者教育项目之间的知识分享可以帮助促进这一进程，而跨专业和通过医生协会分享最佳实践将非常重要。

总体而言，这些调查表明，随着医生获得了更多的生物类似药使用经验，他们对生物类似药与参比药品之间生物可比性的担忧有所减少。尽管生物类似药的个人经验对医生来说很重要，但他们中的许多人表示，同行之间的学习有助于增强对生物类似药使用的信心。事实上，大多数神经科医生也表示，随着生物类似药成为一种选择，通过医生协会从其他专业以及从其他国家的同行学习最佳实践将对他们有益。卫生系统需要考虑这些方法来加强医生教育，因为这将是确保生物类似药可持续发展的关键组成部分。

一个可持续发展的市场不仅需要考虑所有利益相关方的需求，同时也提供管理现有医疗预算以及维护健康竞争和供应水平的手段，从而改善患者获得安全和高质量生物药物的机会以及医生开具处方的选择。随着越来越多的专科医生获得生物类似药的经验，卫生系统有机会及时实现最优医保资金管理。

不断发展的生物类似药市场环境

过去二十年来，生物药已彻底改变了患者的治疗方法。生物制剂也是市场上最昂贵的药物之一，在药物总支出中所占的份额越来越大。

生物类似药和仿制药可以支持卫生系统的整体可持续性，特别是生物类似药，为医疗系统中的多个利益相关方提供了独特的价值主张。

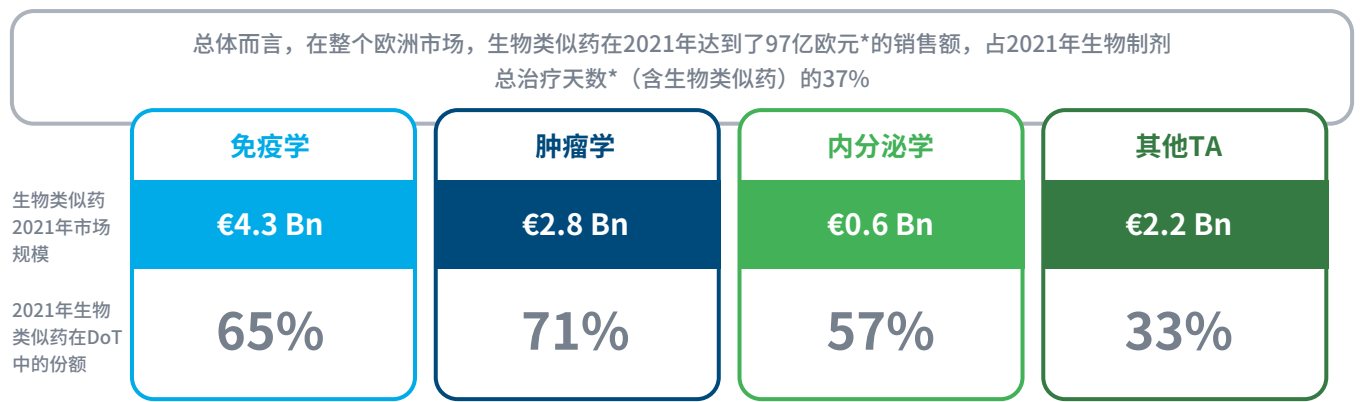
- 首先，生物类似药可以为患者提供及时获得重要药物的机会，特别是在由于指南或报销限制，或者因为参比药品在一些患者群体中不被视为具有成本效益而无法获得的市场。
- 其次，生物类似药能够以更具成本优势的方式提供更早、更广泛的生物治疗途径，并对参比生物药品带来竞争压力。这有助于为卫生系统节省开支，扩大生物制剂的使用范围，改善患者护理。
- 第三，生物类似药还为制造商提供了一种新的商业模式，并且有助于可持续的创新和竞争。

确保健康的竞争水平以及市场上有多个参与公司会对价格产生影响，如果有效利用这一情况，提高供应稳定性，并改善患者获得生物疗法的机会，还会带来额外的整体效益。

生物类似药的采用已经对欧盟医疗健康系统的用药产生了巨大影响，为整个欧洲节省超过 300 亿欧元。然而，生物类似药的使用和普及因国家和分子而异，即使在欧洲内部也是如此。

过去的研究发现有多重因素可以影响生物类似药使用，从国家层面的政策到主要利益相关方的看法。从2014至2018年间针对医生对生物类似药的认知、看法和偏好所进行的分析已经强调了这些方面的高度差异性，这可能会影响生物类似药的优化使用；然而，仅在欧洲，生物类似药就提供了近 45 亿个治疗日 (treatment days)。

图1：按治疗领域划分的生物类似药市场和份额



注：\* 2021 年 1 月至 12 月免疫生物制剂（阿达木单抗、依那西普和英夫利昔单抗）、内分泌生物制剂（生长激素）、肿瘤生物制剂（贝伐珠单抗、利妥昔单抗、曲妥珠单抗、非格司亭和乙二醇化非格司亭）和其他 TA 生物制剂（依诺肝素钠、依泊汀α、促卵泡素α、甘精胰岛素和赖脯胰岛素）的累计销售，基于出厂价（标价）。生物类似药年销售额包括以下国家奥地利、比利时、保加利亚、克罗地亚、捷克、爱沙尼亚、芬兰、法国、德国、希腊、匈牙利、爱尔兰、意大利、拉脱维亚、立陶宛、卢森堡、波兰、葡萄牙、罗马尼亚、斯洛伐克、斯洛文尼亚、西班牙、瑞典、英国。  
缩写：TA：治疗领域；DoT：治疗天数。  
数据来源：2021年IQVIA MIDAS™数据



与过去五年相比,在接下来的五年里,至少有 30 多种生物制剂将失去独占期保护。将有一批新的利益相关方可以选择首次使用生物类似药。例如,就多发性硬化症而言,神经科医生将考虑新的生物类似药选择。先前的研究强调了医生教育的重要性,特别是来自医生协会的教育。在 IQVIA 进行的一项调查中,许多神经科医生表示希望学习其他专科医生的经验。因此,为了确保生物类似药市场的可持续性并优化采用,需要了解使用既往生物类似药的医生的行为经验,因为这可以作为神经学家和其他利益相关方优化利用生物类似药的学习平台。分享最佳实践和经验有助于把握生物类似药带来的机会。

### 肿瘤科医生和免疫科医生的生物类似药使用经验

2022 年 9 月, IQVIA 对丹麦、芬兰、法国、德国、意大利、西班牙、瑞典和英国的 63 名肿瘤科医生和免疫科医生进行了调研。这项调研的目的是了解肿瘤科医生和免疫科医生使用生物类似药的经验。

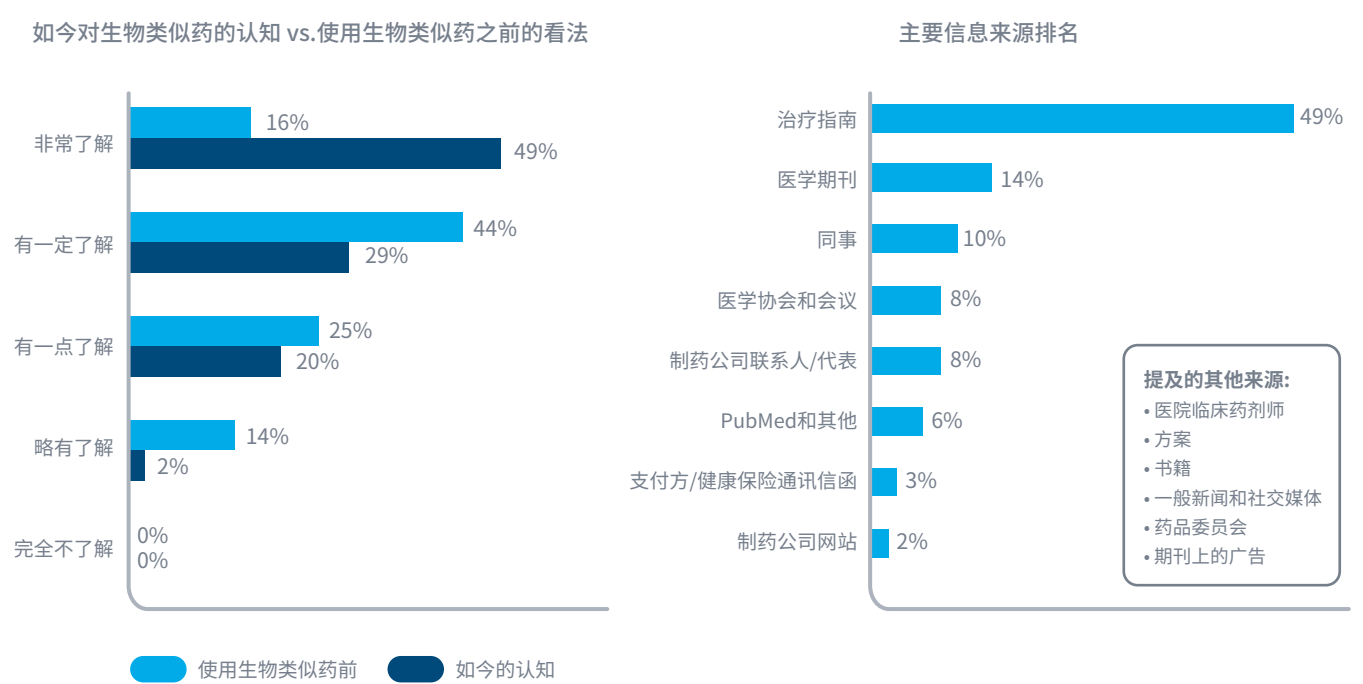
### • 认知和看法

调研显示,自医疗从业者使用生物类似药的第一年以来,他们的总体意识有所提高,超过四分之三的受访医生表示,他们对生物类似药有一定了解或非常了解(图 2)。对医生有帮助的主要信息来源为治疗指南,其次是医学期刊和同事。

此外,63% 的医生表示,他们对生物类似药的看法随着时间的推移而发生了变化,并且变得更加积极。83% 的受访医生在获得生物类似药使用经验后,对生物类似药抱有积极或非常积极的看法。

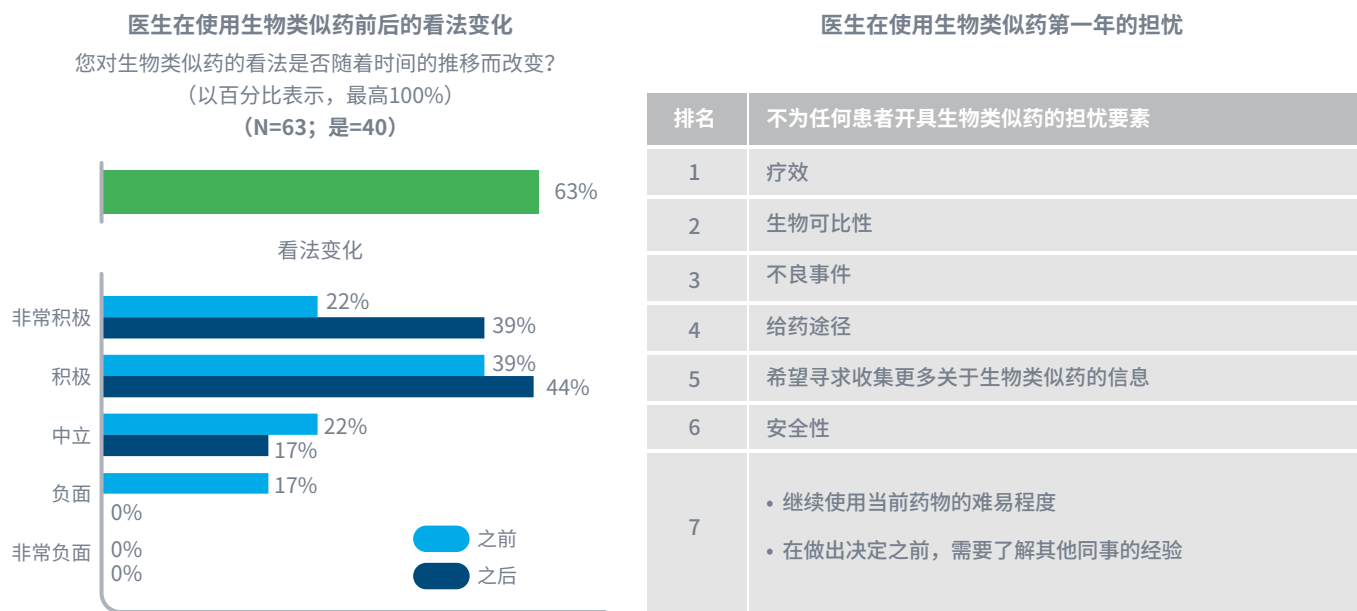
最初,医生们对生物类似药的疗效和生物可比性有所迟疑,这限制了他们开具生物类似药处方。随着时间的推移,由于积极看法的增加,这些担忧似乎有所减轻。更丰富的经验、对生物可比性的认可更高、以及成本更低是他们在初治患者中使用生物类似药的关键驱动力,也是将患者从使用参比药物转向使用生物类似药的驱动力。以前的研究也表明,较低的医疗成本是采用生物类似药的主要驱动力之一。

图2：对生物类似药的认知和主要信息来源的排名



数据来源: IQVIA对HCP(肿瘤科医生和免疫科医生)对生物类似药认知演变的调研, N=63。注: HCP= 医务人员。

图3：医生在使用生物类似药前后的看法变化以及医生在使用生物类似药第一年的担忧



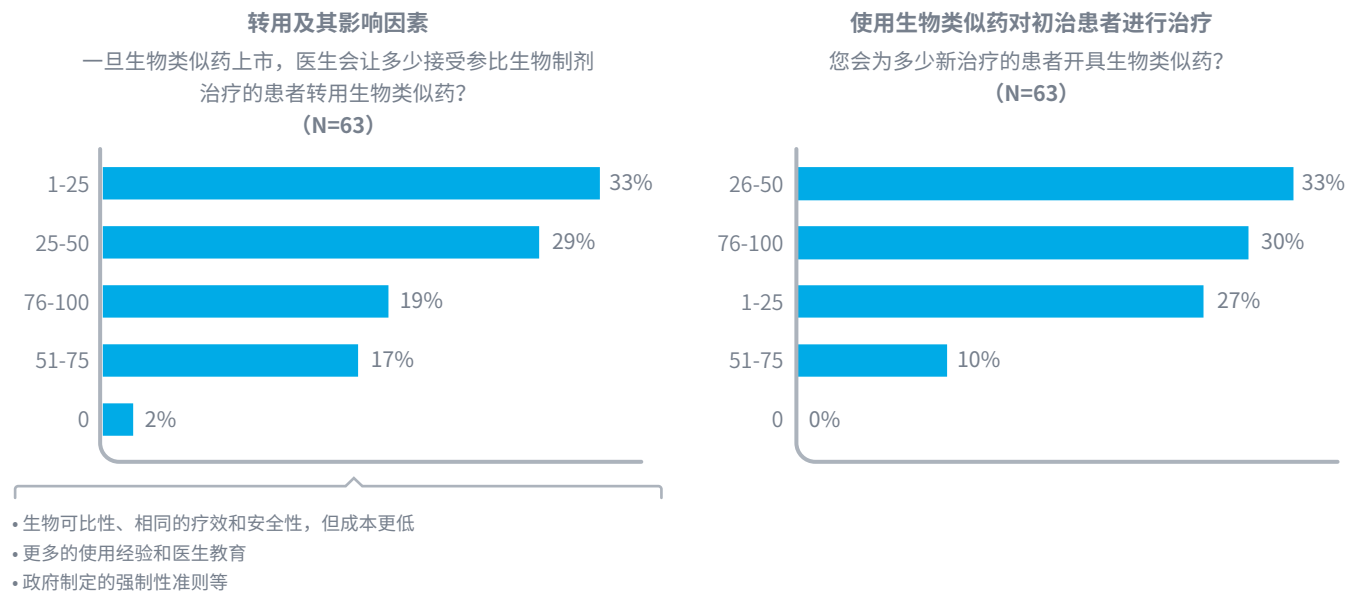
数据来源：IQVIA对HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。

• 采用和转换给药方式（皮下 vs. 静脉）

免疫科医生和肿瘤科医生正在大量使用生物类似药，63% 的医生表示，他们让 50% 以上的新患者开始使用生物类似药。另外，36% 的医生将一半或更多使用参比药品的患者转为使用生物类似药（图 4）。虽然有些国家存在差异，但这种使

用趋势也反映在宏观的国家总体生物类似药使用情况中。一些国家和地区还设有生物类似药配额和财政激励措施来促进其采用，但医生似乎并没有受到这些因素的强烈推动。随着医生获得了更多的经验，他们似乎更受自己的用药习惯驱动。

图4：患者转用生物类似药、以及使用生物类似药对初治患者进行治疗的百分比

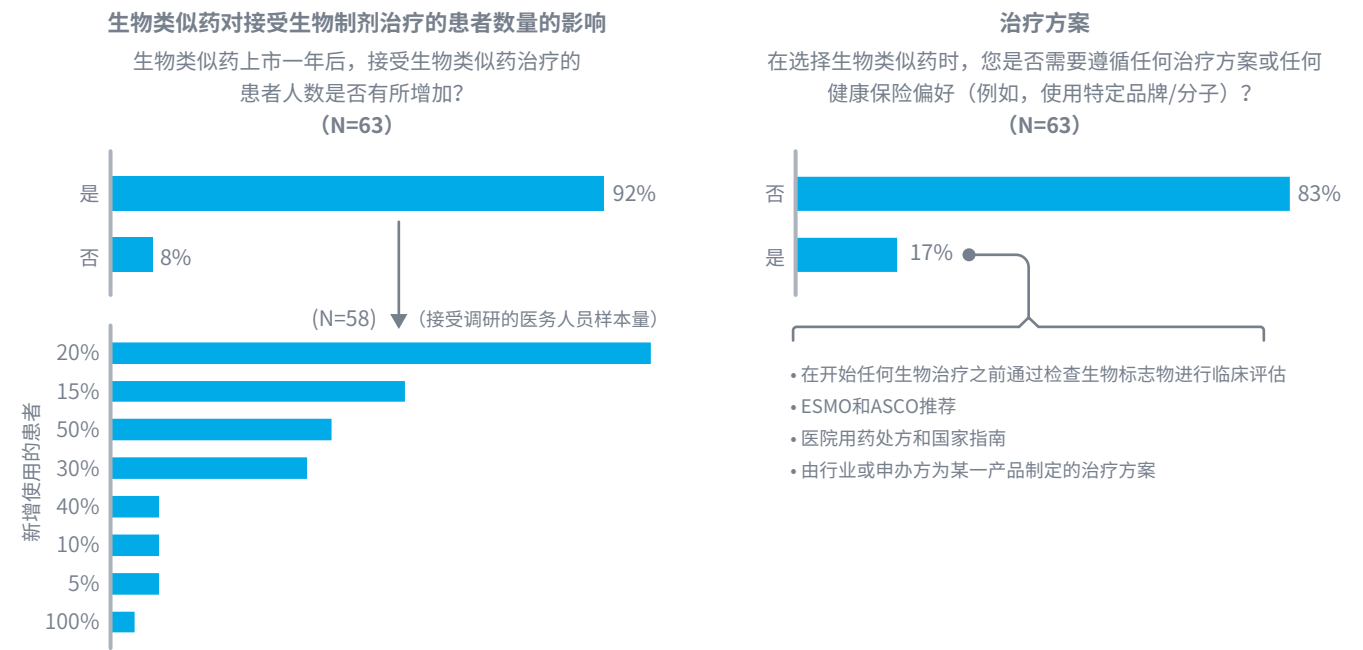


数据来源：IQVIA对HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。

有趣的是，大多数医生表示，生物类似药上市一年后，使用生物分子治疗的患者人数总体有所增加。这一增幅大致在15-20%之间(图5)。治疗人数增长背后的原因诸多，例如获

得生物制品的可及性增加、成本降低使得可配置资源更加丰富等。

图5：生物类似药对接受生物制剂治疗的患者数量的影响、以及选择生物类似药的治疗方案

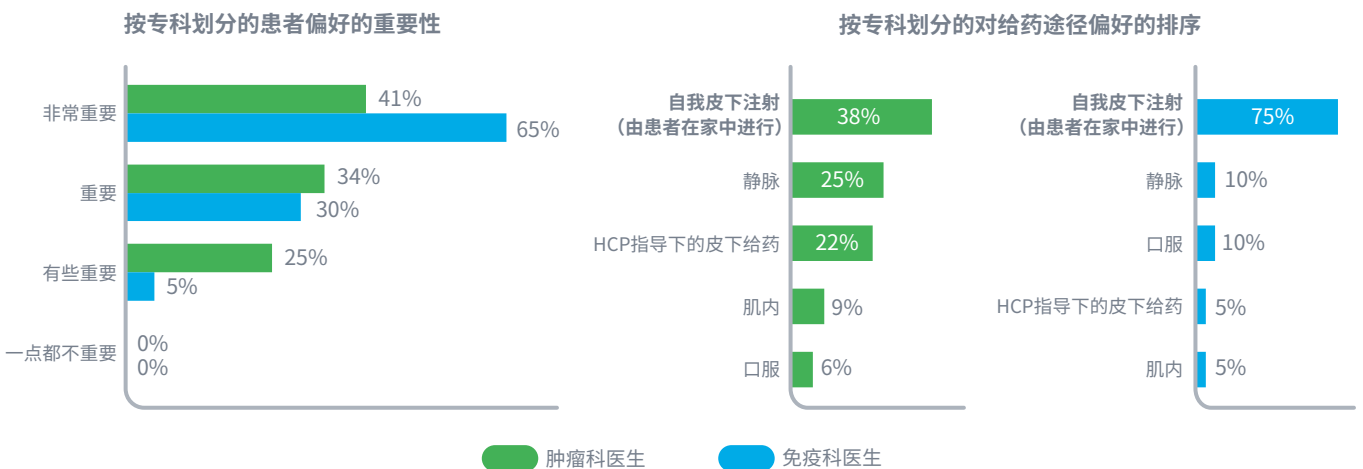


数据来源：IQVIA对HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。

生物类似药和参比药品之间的竞争可能由许多影响处方决策的因素所驱动。在某些情况下（例如曲妥珠单抗和利妥昔单抗），医生可以选择成本较低的静脉给药生物类似药而不是皮下给药参比药品。

一般而言，肿瘤科医生和免疫科医生认为患者对给药途径的偏好是关键，并指出最优选的是自我皮下注射，其次是在诊所进行静脉给药(图6)。

图6：按专科划分的患者偏好的影响、以及患者对给药途径的偏好排序

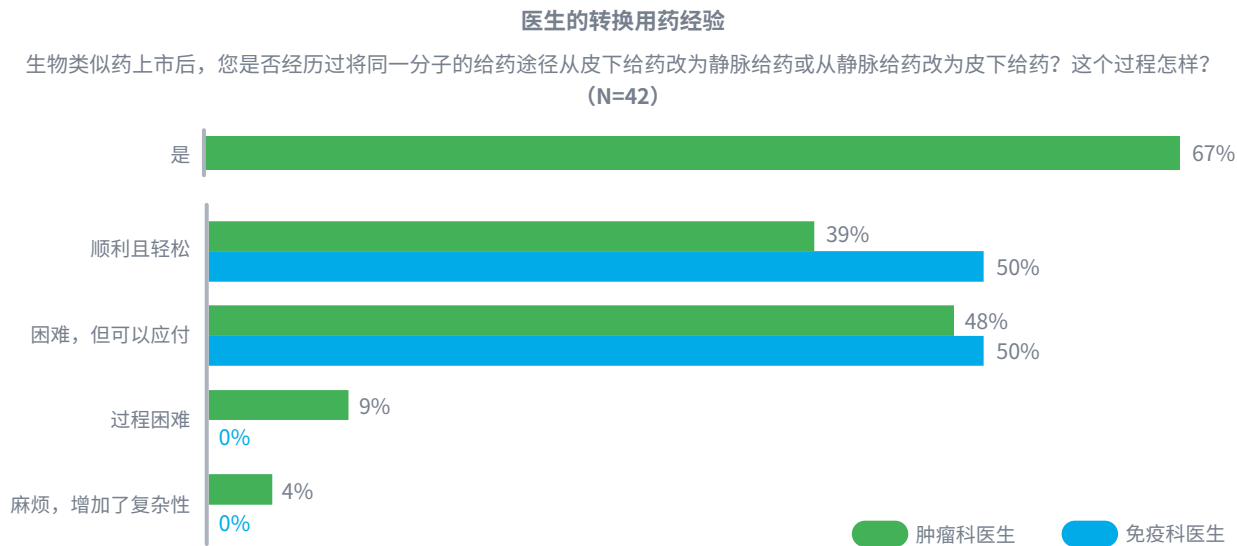


数据来源：IQVIA对HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。

对于生物类似药，在不得不改变给药途径的医生中，50%的免疫科医生和39%的肿瘤科医生认为这一过程顺利且简单。其余的医生大多认为这一过程较为困难，但可以应付。当问到仅在曲妥珠单抗和利妥昔单抗给药中进行转换的医生时，也出

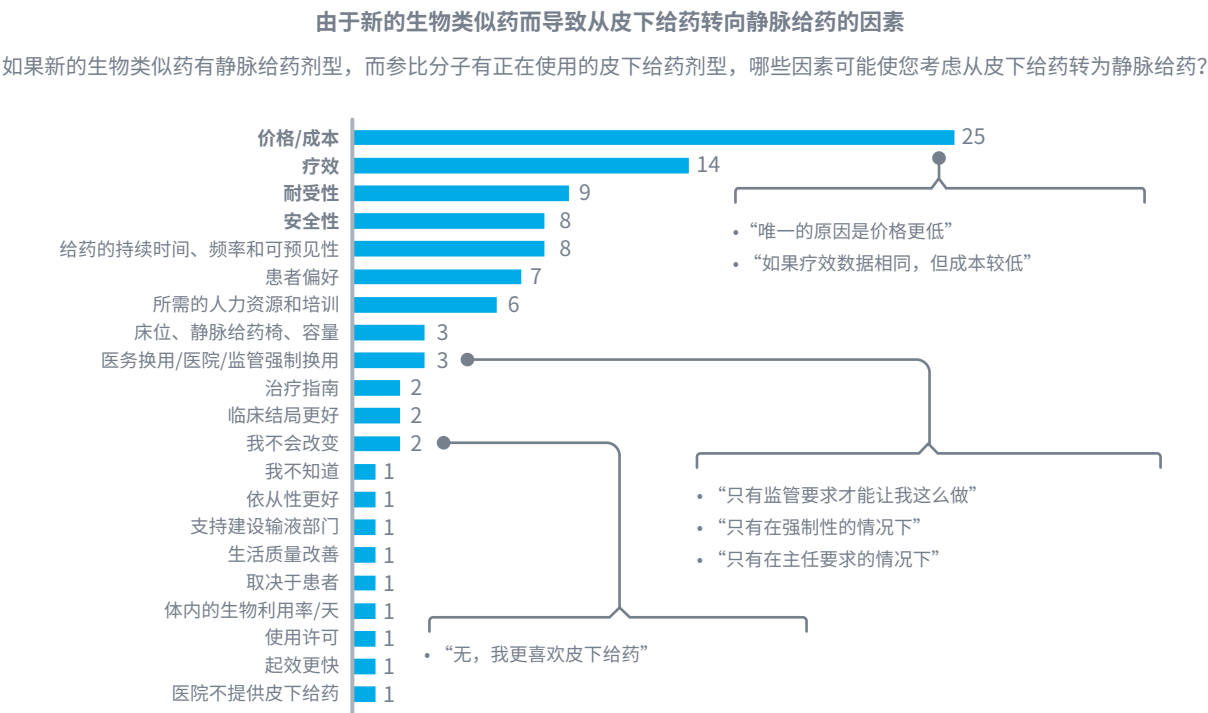
现了类似的趋势。当被问及如果新的生物类似药采用静脉给药而参比分子采用皮下给药时，哪些因素会促使医生考虑从皮下给药转换为静脉给药，医生表示价格和治疗费用将是主要驱动因素(图7和8)。

图7：医生的转换用药经验



数据来源：HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。

图8：由于新的生物类似药而导致从皮下给药转向静脉给药的因素



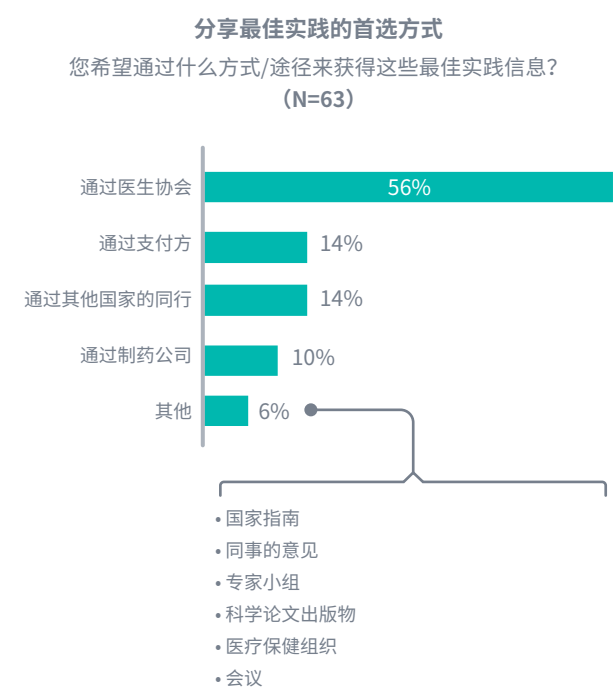
数据来源：IQVIA对HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。



• 分享最佳实践

如前所述，大多数有过生物类似药经验的医生表示，在同事之间分享最佳实践是教育过程的重要组成部分。肿瘤科医生和免疫科医生都喜欢通过医生协会获得这些信息。在向可能尚未使用生物类似药的其他医生提供建议时，肿瘤科医生和免疫科医生建议采取几种不同的方法来加强教育，包括医生协会和治疗指南的教育、以及与其他有丰富经验的医生进行讨论（图9）。

图9：分享最佳实践的首选方式



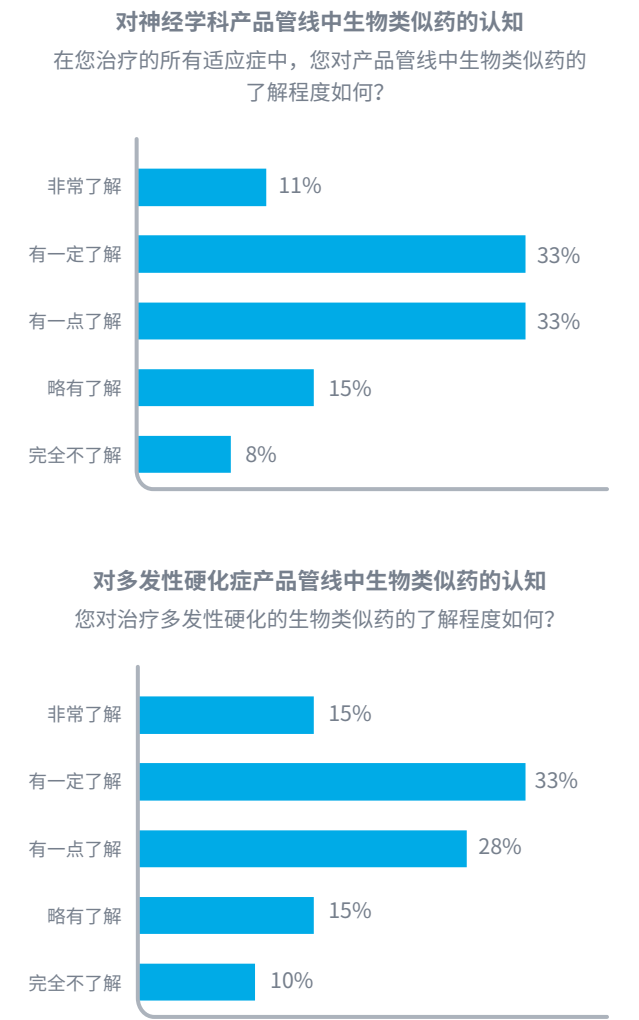
数据来源：IQVIA对HCP（肿瘤科医生和免疫科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=63。

神经科医生对生物类似药的认知和预期

2022年9月，IQVIA还对丹麦、芬兰、法国、德国、意大利、西班牙、瑞典和英国的61名神经科医生进行了调研。结果显示，神经科医生似乎对那他珠单抗生物类似药的上市有所期待，对产品管线有较好的了解（图10）。

70%的神经科医生表示他们对生物类似药抱有积极或非常积极的看法（无论他们是否有使用生物类似药的经验）。神经科医生也对那他珠单抗生物类似药的上市抱有期待，对多发性硬化症生物类似药产品管线有较高的认知。虽然这标志着医生对生物类似药有一定程度的认知，但在提高医生意识和克服担忧方面仍有改进的空间。

图10：对神经学科和多发性硬化症产品管线中生物类似药的认知

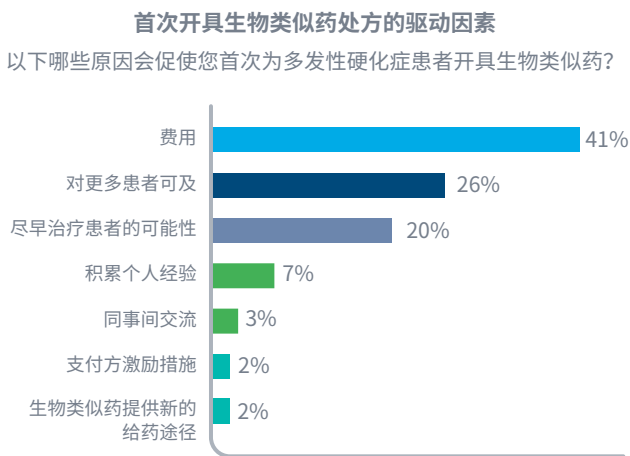


数据来源：IQVIA对HCP（神经科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=61。

神经科医生期望利用生物类似药，其中48%的受访医生预计会给50%以上的患者使用生物类似药。开具生物类似药的原因主要与成本和可及性有关。

当被问及限制他们在生物类似药上市第一年开具处方的主要考虑因素时，医生表示疗效、安全性、生物可比性以及收集更多信息的必要性是主要因素。解决这一问题很重要，因为生物类似药没有出现疗效方面的顾虑，而且EMA已表示生物类似药可与原研药互换。

图11：首次开具生物类似药处方的驱动因素



数据来源：IQVIA对HCP（神经科医生）对生物类似药认知演变的调研，N=61。

随着治疗多发性硬化症的生物类似药上市，神经科医生也将面临给药方式的选择：即参比药品以皮下方式给药，但生物类似药通过静脉方式给药。由于成本效益，许多神经科医生确实希望将患者从皮下参考分子转为静脉生物类似药，但他们指出，这个过程可能很困难（尽管可以应付），并且患者的偏好将是一个因素。

同行、护士和患者教育项目之间的知识分享可以帮助促进这一进程，而跨专业和通过医生协会分享最佳实践将非常重要。为了实现市场竞争，制造商将需要了解目前向神经科学家提供的服务，因为神经科医生希望这些服务能够匹配，以便他们转用生物类似药。

小结

一个可持续发展的生物类似药市场需要考虑所有利益相关者的需求，同时提供管理现有医疗预算以及维护健康竞争和供应水平的手段，从而改善患者获得安全和高质量生物药的机会。

在医生偏好、患者偏好、医疗健康基础设施挑战和潜在节省之间取得平衡至关重要，持续了解医生的看法、加强医生的教育和分享最佳实践也至关重要。

更多信息，敬请垂询

**Will Zhao**  
IQVIA艾昆纬中国管理咨询高级执行总监  
will.zhao@iqvia.com

# 数字化自我护理的新浪潮

## 数字健康解决方案：一种颠覆性的力量

数字健康正在颠覆消费者的思考方式，让他们重新思考如何照顾自己以及家人。如今，市场上已经有多种多样成熟的解决方案，包括消费者健康应用软件，以及智能手表和活动跟踪器等可穿戴设备（图 1），并且，对于由这些设备生成的证据，监管的要求和期望正在变化。

生物测量传感器既可以加入到此类设备中，也可以单独使用，如连接在葡萄糖或心律监测仪中，而即使是基本的智能手机工具（如摄像头和麦克风），也可以测量健康相关数据。例如，血压可以通过指尖光学血压计进行跟踪，这是一种无创性的方法，在皮肤的表面上采用光源和光学探测器来测量血液循环的变化。智能手机也可以探测咳嗽和打鼾的声音特征，然后采用诊断算法和人工智能 / 机器学习（AI/ML）方法，对这些设备采集的数据进行分析，此类新技术在消费者端和生产商端，均对消费者健康有着越来越大的影响。

除了消费者，公共卫生管理局和医务工作者（HCPs）也在利用数字健康技术。英国国家医疗服务体系（NHS）已经在采用语音辅助技术来传递网站上的卫生信息，同时，医务工作者正越来越多地利用现有的信息和视频平台提供远程医疗问诊。

数字健康的兴起带给消费者健康行业最大的机遇可能是，它能够促进临床试验的顺利开展，并开拓新的证据生成方式。业界可以采用虚拟工具来通过数字渠道收集健康数据，帮助减轻研究负担，使研究更加以消费者为中心，同时改善依从性和后果，并更好地理解产品和服务的真实世界功效和安全性。

数字驱动的证据生成领域开辟了一片新天地，它已经在转变消费者健康产品的开发方式，如果能正确利用，将会引领消费者健康创新的新浪潮。

图1：“数字健康”正在颠覆消费者对健康的思考方式



数字健康工具有益于消费者、医务工作者乃至整个行业

创新的“黄金点”正在演变

不论是消费者健康公司、大型技术公司，还是数字健康初创公司的行业创新，都应反映消费者对技术的期望的变化，即技术的使用便捷性和以结果为导向。

在银行、旅游和娱乐等行业中，我们都已见证了数字推动的创新转变，现在，数字科技正越来越多地为健康决策提供信息、并为疾病预防工作和 / 或疗法提供支持。

不过，未来充分发挥数字健康领域的潜力，我们需要采用新的思维方式。目前，在消费者健康行业中，已有的商业存续模式和品牌适配模式会继续得到使用，相比之下，医务

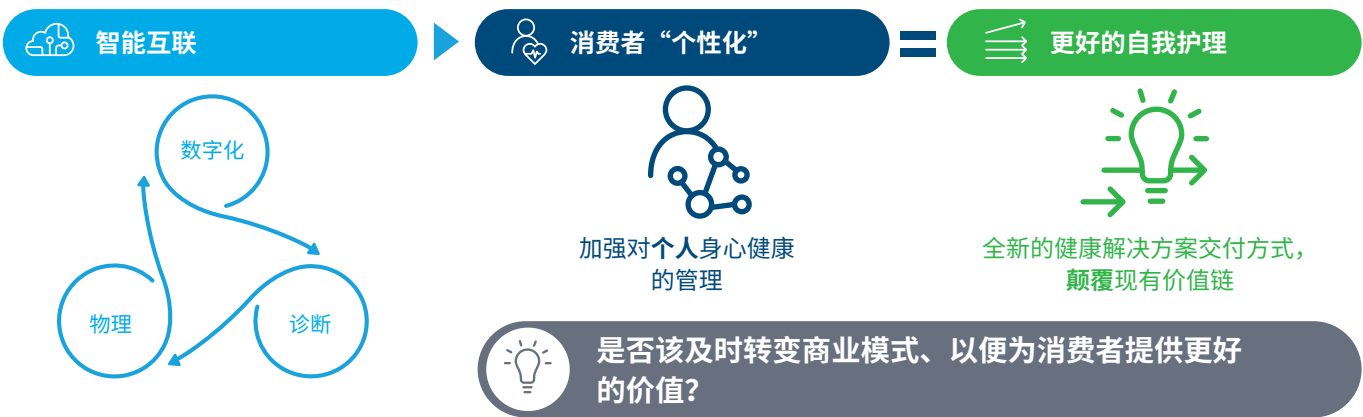
人员、医疗计划和其他利益相关方已经开始使用数字化方法，以满足消费者正在演变的需求和期望、提高患者参与度和体验，并增加忠诚度。

新冠疫情加快了新兴医疗保健趋势，包括消费者偏好和行为的转变、生命科学和医疗保健的整合、数字健康技术的实行、新型人才模式和护理交付模式的开发，以及临床创新。在消费者健康行业内部延续并加快这种数字转型，对于使业界能够触及新的创新“黄金点”，并迎接以消费者为中心的未來做好充分准备至关重要(图 2)，而改善结果和消费者体验则是创新的新关键绩效指标 (KPI)。

图2：“创新的黄金点”正在随消费者而演变



图3：数字健康技术助力改善结局



## 不断演变的数据和诊断之间的智能连接

从这种创新黄金点演变而来的产品，可能会与诊断能力以及物理和化学创新实现智能连接。基于数字健康工具提供的高质量数据以及先进的酶组学、微生物组学和其他高通量技术（Omic）和诊断能力，消费者对他们身心健康的管理将得到加强。虚拟现实和增强现实也将起到一定的作用。

物理产品和数字产品相互结合，将引导服务和平台的发展方向，推动个性化创新和自我护理的交付（图 3）。因此，健康解决方案将以新的方式交付，颠覆现有价值链。

## 关注以健康结局和基于价值的服务

如今，消费者健康创新的重点不应仅限于治疗症状，而是要改善健康结局，提供有价值的服务。随着“告知 - 建议 - 诊断 - 治疗 - 预防 - 管理”的顺序中各环节越来越多地由消费者掌控，数字医疗将成为这一转变的催化剂，推动全面、多维的医疗保健和自我保健。（图 4）。

图4：业界关注重点应为更优的健康结局和基于价值的服务

### 更高层次的身心健康

- 深度创新，超越配方开发
- 为老龄化的社会提供基于证据的产品
- 处方药（Rx）向非处方药（OTC）转换，从而非处方药被更广泛使用
- 长期的预防保健服务



告知—建议—诊断—治疗—预防—管理



除了治疗症状外，品牌是否能提供更多的效益？

### 数字创新

- 整合新的数字体验
- 数字疗法
- 先进诊断和个性化
- 数字生物标志物

## 数字生物标志物：自我护理领域的下一个前沿阵地

数字生物标志物代表着医疗保健和自我护理领域的下一个前沿领域。美国食品和药品管理局把数字生物标志物定义从数字健康技术中收集的一种或一组特征。数字健康技术收集的特征或特征集，可作为正常生物过程、致病过程或对暴露或干预措施的反应，包括治疗干预。

不同设备和技术的新数据点可以跟踪这些生物标志物，其中包括物理信息和数字信息的组合。业界可以采用数字生物标志物为新产品的开发提供支持、验证创新性成果，帮助建立竞争优势。

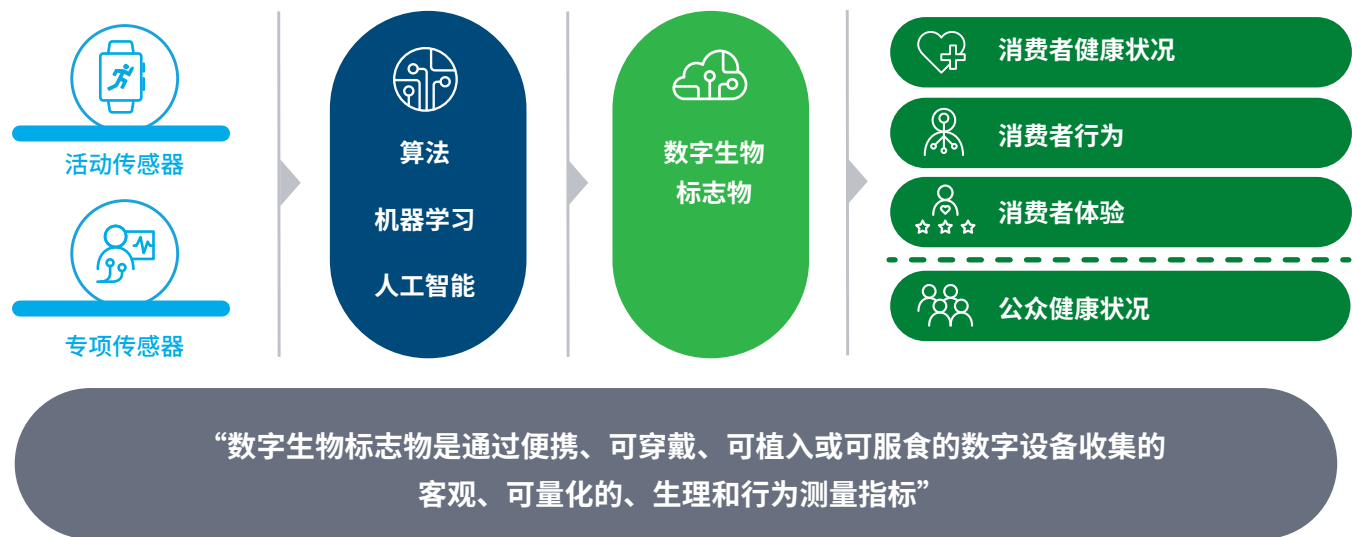
数字生物标志物的验证过程包含三个步骤：

- **验证：**证明设备可以准确地测量和保存数值
- **分析验证：**证明数据可以准确、安全地传输
- **临床验证：**证明所选终点是合适的，适合特定的研究目标

数字生物标志物通常从便于使用、无创性、低摩擦和以消费者为中心的设备中获取。这些设备可以测量健康数据，根据消费者的日常生活实时生成连续和纵向的健康视图。人工智能/机器学习（AI/ML）算法有助于在持续监测的基础上生成强大的分析结果；这些分析结果是自我管理 and 健康跟踪的宝贵工具。长远来看，这些见解可以影响消费者的行为和体验，同时大规模跟踪人口健康指标。（图 5）。



图5：数字生物标志物可以提供新型健康信息



### 新颖传感器可以提供健康及运动相关信息

**Spire Health** 设有健康标签传感器，可持续采集医疗级生理数据，包括呼吸强度。这些传感器可以安装在内衣/外衣上，对慢性阻塞性肺疾病 (COPD) 患者进行远程监测。先进的算法可以提供病情变化通知。

**佳得乐的 GX 汗液贴片** 是一种一次性使用的可佩戴设备，用于测量水合水平，面向运动员销售。该设备可以捕捉整个训练期间的出汗情况，并能实时提供出汗率和钠成分的显色反馈。配套的 Gx 应用软件可以显示佩戴者的汗液概况，包括体液损失、出汗率和钠损失。该应用软件还能根据用户的汗液概况，提供出水合建议。

**Biobeat** 可佩戴无袖套腕式血压监测手表用于跟踪多项生命体征。这项技术包括一个患者管理平台，可以监测健康状况并提醒潜在的健康恶化可能。

**Welltory** 心率变化跟踪器用于分析心率变化。

**皮肤传感器** 用于探测皮肤中散发的丙酮气体，从而跟踪包括糖尿病和心脏病在内的各种健康问题的生物标志物。

良好的数字生物标志物依赖于：

- 高质量的数据
- 大量的数据
- 处理数据的强大的算法
- 建立算法和进行质量查验的专业洞察力
- 支持研究结果的统计模型
- 安全、强大的连接和数据共享基础设施
- 与其他信息来源进行整合的能力、以及回答相关商业和临床问题的能力
- 合规性

不过，要发挥数字生物标志物的潜力，并整合和充分利用现有数据，我们需要取得进一步的进展，以超越目前以零散方式生成数据的状态。

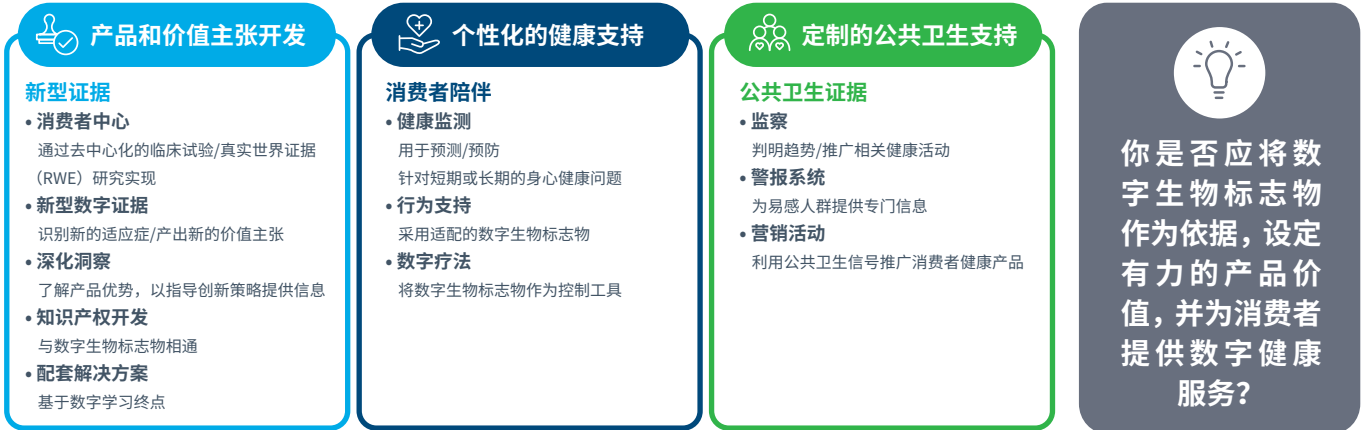
### 传感技术和人工智能/机器学习 (AI/ML) 算法正在快速演变

传感技术和机器学习算法正在快速演变，这对于数字生物标志物的验证和解读是一个重要的考虑因素。人工智能有潜力将复杂数据转译为可执行的测量指标，并发现数字生物标志物。然而，我们需要更强大的训练模型来实现其全部价值。当今技术在处理海量数据的同时准确性不断提高，基于此，人们正向现有的可穿戴设备中添加新的技术，例如智能服装、贴片和纹身（侧栏 1）。

图6：传感技术和数据分析



图7：数字生物标志物助力自我护理生态系统



## 数字生物标志物对消费者和行业的潜在效益

数字生物标志物在整个自我护理生态系统中极具发展前景（图7），同时，传感技术和机器学习算法的新应用也为消费者和行业提供了多种潜在效益：

- **助力产品开发和价值主张：**从消费者健康公司的立场出发，生成新的数字证据
- **监测消费者健康：**充当“数字伙伴”，追踪相关测量指标，并适时采用应用软件提供行为支持和干预
- **提供健康监察：**明确传染病的扩散情况。例如，杜克大学（北卡罗来纳州达勒姆市）开展了CovIdentify研究，旨在探索如何通过智能设备收集的数据确定用户是否感染了新冠

## 推动去中心化试验方法

数字健康工具可以通过经验证的或消费者级的设备，生成以消费者为中心的临床和真实世界证据，这是它的一大关键优势。这种能力已产生一定影响，推动了去中心化试验方法的发展，且这种方法在新冠疫情期间进一步普及（图8）。

图8：利用数字工具生成以消费者为中心的临床和真实世界证据



### 案例分析：欧盟一项关于上市后跟踪的虚拟研究

例如, 在由数字化推动的去中心化临床试验中, 艾昆纬消费者健康部门与合作伙伴共同设计并开展了一项鼻腔喷雾设备上市后的跟踪研究, 这项研究完全虚拟且直接面向消费者。研究目的是根据欧盟医疗器械法规的要求, 获取消费者报告的真实世界安全性和性能数据。整个研究从招募到结束均成功在线上完成, 利用应用程序评估, 并向大量的来自五个欧盟国家的参与者发放问卷 (参见如下案例分析)。

### 家庭和消费者端的数字健康工具

除了可穿戴设备, 数字健康工具也用到了消费者领域其他的常见硬件及软件新技术, 即利用多种数字辅助工具和手机应用程序, 如亚马逊的 Alexa。

此外, 由于数字辅助设备和智能手机能够监听和监测行为, 声学人工智能和声学生物标志物也正引起人们的关注。例如, 可以训练算法, 根据咳嗽的声学模式检测不同病症引起的各类咳嗽; 谷歌在其新智能手机上发布了打鼾和咳嗽检测功能, 从而将这种设想带入真实世界。对制造商而言, 这些类型的生物标志物有助于他们评估消费者健康产品的使用情况和效果, 为价值主张提供了更多证据 (图 9)。

### 案例分析：欧盟对于鼻腔喷雾设备上市后的虚拟跟踪研究, 所收集的电子患者报告临床结局 (ePRO)

**背景和目标:** 一家跨国非处方药 (OTC) 客户需要临床支持, 对五个欧盟国家的一系列医疗器械产品进行上市后临床跟踪 (PMCF)。这些产品是过敏性鼻炎 / 感冒领域中的医疗器械或者外用 / 喷雾产品。

**方法:** 这是一项 100% 虚拟的真实世界证据 (RWE) 研究。我们通过社交媒体宣传进行招募; 潜在的研究参与者收到了筛选调查问卷、产品相关调查问卷、提醒、合规提示, 以及控制界面更新。按照欧盟的监管要求报告不良事件和分析数据。参与者年龄介于 18-65 岁之间, 来自五个欧盟国家。

**结果:** 根据欧盟医疗器械法规的要求, 成功收集到了电子患者报告临床结局 (ePRO)。生成一份临床结局报告, 其中包括真实世界消费者对于非处方药产品效果和安全性反馈。

图9：案例分析—数字追踪咳嗽和睡眠质量



未来的真实世界（RW）研究或临床研究是否应考虑采用数字生物标志物，以丰富成果？

消费者配套应用软件对于个人也极具价值，人工智能驱动的工具可以将相关数据转化为健康相关的行为建议，从而产生更好的健康结局。这些配套应用软件基于：

• **数据：**多领域输入，如：活动数据和其他传感数据；视觉和听觉数据；医疗数据；其他类型的结构化或非结构化数据和信息

- **处理：**相关数据
- **结果：**帮助理解、学习和预测
- **转译：**健康状况信息至行为建议
- **健康行为：**直接、预防或优化类的行动

## 案例分析： 戒烟 — 力克雷QuickMist® SmartTrack™

强生消费者健康产品力克雷 QuickMist® SmartTrack™ 是全球首款互联型非处方药品，结合了一种经临床验证的烟碱替代疗法 (NRT) 口喷剂与一款配套的辅助戒烟应用软件 (图 10)。

这款应用软件由吸烟者、强生的行为学科学家及其技术合作伙伴联合开发，它利用认知行为改变技术，在戒烟者的戒烟全程中提供支持。主要特色包括：

- **四步个性化戒烟计划：**消费者自主设定目标
- **跟踪进度：**了解目标进程
- **激励性提示：**为戒烟者提供建议，戒烟全程提供引导
- **宣教：**讲解烟碱替代疗法 (NRT) 的使用方法，克服依从性这一重要戒烟障碍

在艾昆纬近期举办的消费者健康网络研讨会上，强生消费者健康公司戒烟部门的全球高级营销经理 Janina Schendel 提到了这一产品背后的开发思路，即该应用软件旨在延长吸烟者保持戒烟的时间，并防止复吸，从而改善戒烟效果。

Schendel 补充道，该系统为消费者带来的好处包括能自主设定目标、跟踪目标进程、了解自己的行为模式，从而提高戒烟的意识和动力。

该应用收集到的数据也具有很多益处：帮助加深对戒烟过程的理解，深入了解不同的用户群体，提供信息以改进功能特性，还能借助真实世界数据来改善健康结局。

然而，Schendel 指出，我们仍需克服一些挑战，如数据隐私相关问题、医疗器械法规中关于医疗器械软件 (SaMD) 的考虑、以及缺乏针对这类互联药品的监管蓝图。

总体而言，尽管我们仍需克服一些难点，通过坚持及与监管机构密切合作，让这些优质产品进入市场，消费者和自我护理行业也能获益。

图10：力克雷QuickMist® SmartTrack™





数字疗法驱动更好的健康结局

数字疗法是由软件驱动的循证治疗干预措施，用于预防、管理或治疗疾病，是另一种以结果为导向的服务。如图 11 所示，现在市面上已有多个数字疗法的案例。其中包括 RelieveVRx，它将虚拟现实 (VR) 系统运用到沉浸式认知行为疗法之中，用于减轻疼痛；M-sense 帮助消费者了解自己偏头

痛的诱因，并提供量身定制的舒缓练习建议；Kaia Health 用于治疗肌肉骨骼病症，是一种基于证据的数字疗法；Sleepio 设计基于一项为期六周的临床验证的数字认知行为治疗计划，用于改善睡眠质量；NaturalCycle 的算法可以根据基础体温判断女性排卵状况。在不同的健康领域，这些数字疗法既可以单独使用，又可以与实物产品结合使用。

图11：数字疗法是一种结局导向的服务



市场力量提升数字健康潜力

随着数字化在消费者生活方方面面的普及，数字健康正逐渐成为消费者健康行业的“必需品”，这由多种市场力量促成，例如向基于价值的服务的转变、数字健康资产差异化的竞争加剧，以及数字疗法和通过数字化手段收集的临床结局评估进一步获得监管认可（图 12）。这些市场力量随着人工智能/机器学习 (AI/ML) 等数字科技的不断进步而加强，又反作用于该领域，推动其行业的专业竞争。

数字健康监管进一步统一

随着全球数字健康倡议的推进，预计监管要求将进一步统一。目前，多家主要监管机构已经成立了工作组以制定数字卫生产品指南，开发创新监管方法。他们正在开发多种框架来应对数字健康转型：

- 世界卫生组织 / 欧盟 (WHO/EU) 数字健康行动计划，2023-2030 年
  - » 2022 年 9 月通过
  - » 旨在利用并扩大数字健康转型规模，找准数字技术投资方向
  - » 以平等、团结和人权等为核心原则

- 美国食品药品监督管理局（FDA）数字健康 2020
  - » 包括医疗软件指南，以及准备制定一项数字健康软件预认证试点计划
  - » 旨在加强 FDA 数字健康部门的人才实力和专业技能
- FDA 数字健康卓越中心（DHCoE）
  - » 旨在联络合作伙伴、建立合作关系、分享知识、开发创新监管方法
- 亚太地区（APAC）
  - » 亚太地区的倡议包括多个最佳实践监管框架，分别来自澳大利亚药品管理局、日本医药品医疗机器综合机构，以及新加坡卫生科学局
  - » 正在进行以下工作：
    - » 软件资质认证
    - » 咨询
    - » 人工智能 / 机器学习（AI/ML）框架
  - » 亚太医疗技术协会正寻求在数字健康协调方面发挥积极作用

图12：数字健康领域增长的驱动因素



## 结论：应对领域不确定性，推进数字健康创新

消费者健康公司内的数字健康创新可能会受四大领域的不确定性影响而减缓，这些领域都与早期行业优先项以及方法的新颖性有关。首先是监管不确定性，这是一个现实问题，可以通过积极主动的方法解决，并借机与监管机构合作塑造未来。其次是商业模式的不确定性，人们需要将关注重点从以往的实体产品转向数字产品。同样，我们采用灵活主动的方法以实现成功转型。第三个问题是缺乏适配策略；最后，公司内部能力可能不足。

总而言之，消费者健康行业应考虑以下方面：

- **应对监管不确定性：**这是一个现实问题，可以通过积极主动的方法解决，并借机与监管机构合作塑造未来。
- **接纳新技术和数字化：**为创新性价值主张以及整体的产品和服务提供支持。主张需要有强有力的证据支撑，新技术则要能使业界通过数字生物标志物发现新的结局。
- **整合数字健康和诊疗至创新管线：**从更宏观的角度来看，这可能意味着离开舒适区，进一步向自我护理靠拢。
- **发展内部数字专业能力：**鼓励开放创新；内部能力的缺乏可能反映了，各企业在数字健康和数据科学专业

方面存在竞争。要想招聘和留住优秀人才，企业应提供有吸引力的工作条件。同时，开展外部合作也有助于提升专业能力。

- **调整商业模式：**提供更注重结果和服务的产品。改变运作良好的商业模式并非易事，但可以帮助企业从数字健康带来的机遇中获益。过去，关注重点是物理产品，我们需要将关注重点从以往的实体产品转向数字产品。同样，我们采用灵活主动的方法以实现成功转型。

改善消费者体验是成功的关键要素，因此，数字健康对于满足未来的消费者需求至关重要。消费者健康公司应考虑加速以数字化的方式，提供更为全面和个性化的服务。这也将推动自我护理行业进一步实现结果导向，使科学民主化，帮助消费者和患者更好地管理自己的健康。

### 更多信息，敬请垂询

Senior Li  
IQVIA艾昆纬中国消费者健康业务负责人  
[senior.li@iqvia.com](mailto:senior.li@iqvia.com)

### 整合数字健康和诊疗 至创新管线



# 卓越上市白皮书（第八版）

## “疫情后”的上市环境：我们在恢复吗？

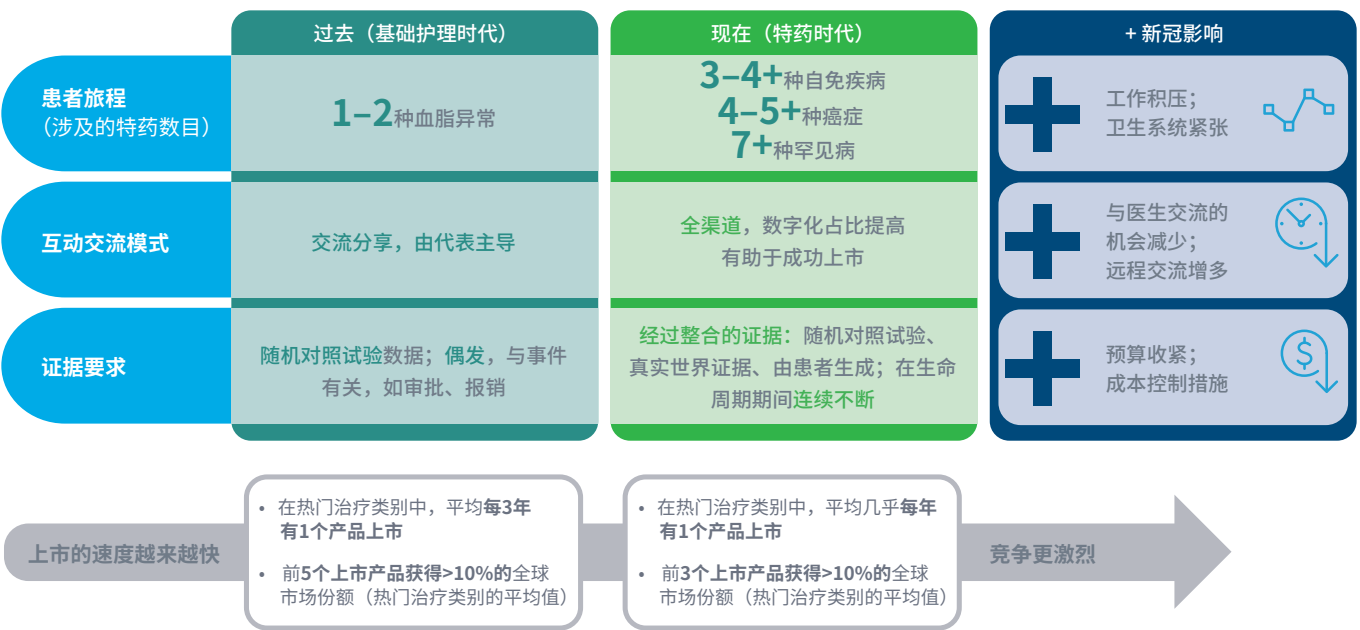
### 环境挑战增加了“疫情后”的上市压力

疫情前，上市环境已愈发具有挑战性，主要是特药产品的上市使患者旅程的治疗过程变得更加复杂，并且推广环境和证据环境也变得更加多元化。与这些趋势相伴的是，进入重要治疗领域的新品总数增多，各新品上市的间隔缩短，以及上市2年后在对应治疗市场上占全球份额超过10%的新品数目有所减少。过去三年的上市面临额外的、由疫情引发的挑战：

- 1. 卫生系统脆弱，“患者旅程”更复杂，漏诊患者增多
- 2. 制药公司和医生（HCP）之间的互动交流减少，且形式发生改变
- 3. 预算收紧，准入门槛抬高

IQVIA 艾昆纬曾在2022年的《卓越上市白皮书》中提出了“疫情后卓越上市的三大支柱”。这三个重点仍然存在，但也在不断发展。

图1：新冠疫情增加了上市压力



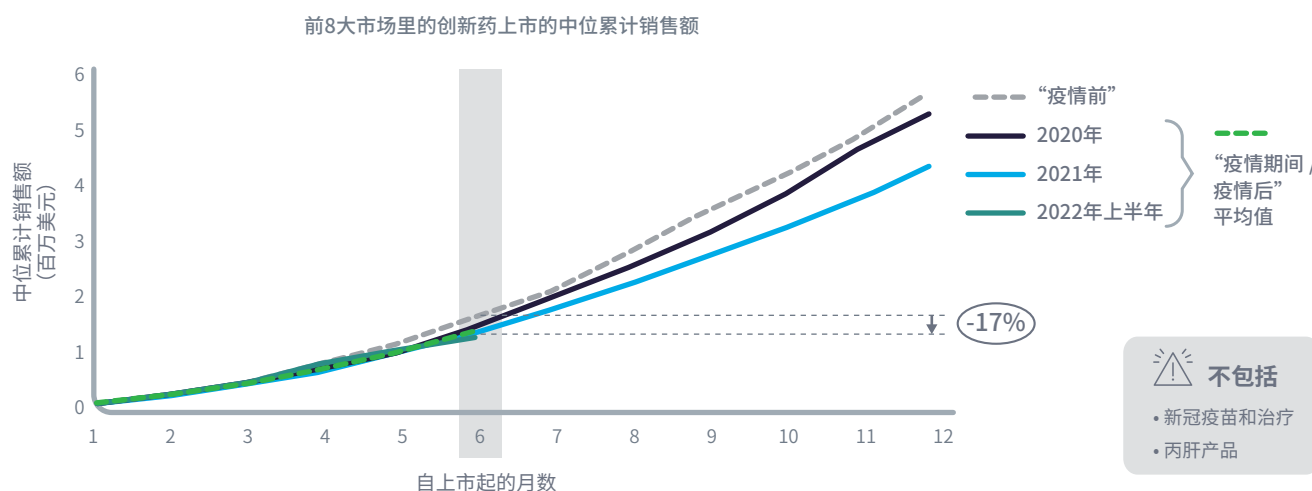
数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership

## “疫情后”新药上市表现仍低于历史水平

最新一批于2022年上半年在八大市场上市的创新药前六个月的销售额中位数仍比历史水平低23%，所有新产品上市前六个月的销售额总计比历史水平低17%（图2）。令人担心的是，中位累计销售额轨迹仍在下降：相较疫情前新产品上市前六个月的累计销售额水平，这一数据在2020-2022年分别降低10%、18%和23%。

在医疗系统被严重占用时，开展上市工作比较困难。同样，在注意力高度分散以及有较高不确定性的时候，上市的准备工作也面临挑战，因此，2021、2022及此后的“上市前”准备期属于次优状态。面对这一挑战的重点是，聚焦于疫情对患者和医疗健康系统的影响、医生交流以及预算这三方面，来改进上市准备工作。

图2：新冠前后创新药上市表现对比



注：仅限处方药；美元，以固定汇率计；“疫情前”上市：2016年第2季度到2019年；包括NAS新药、以及被认为有显著创新性的其他新药（如用于新治疗领域、孤儿病或新组合疾病的非NAS新品，包括创新性品牌药物）；不包括丙肝产品、新冠疫苗和治疗；所包含的国家有美国、中国、日本、英国、德国、意大利、法国、西班牙。

数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership, IQVIA MIDAS Monthly 2023 (accessed April 2023).

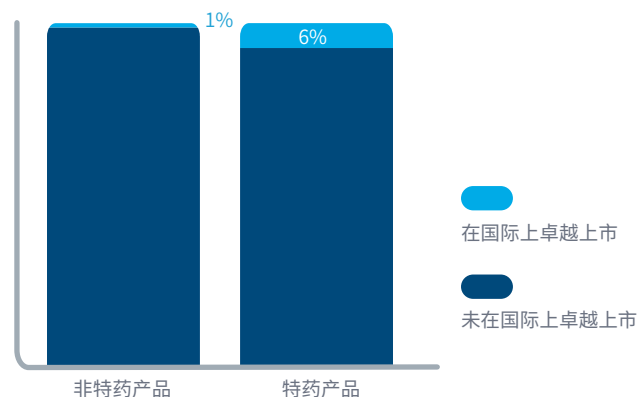
## 上市基本要素改变了吗？

我们的“卓越上市”方法学在16年的时间里保持大致相同；先确定某一国家的典型商业化表现，再确定与之相比的卓越上市表现。但随着数据供给和分析方法的发展，“卓越上市”方法学也已演进，《卓越上市白皮书》的第八版也不例外，因为疫情导致了重大的“趋势突破”。

### 特药产品更有可能在全球成功上市

对于“疫情后”上市，我们发现，6%的特药产品在国际上卓越上市，而只有1%的基础护理产品在国际上卓越上市（图3）。这与我们新近的“卓越上市”研究相符，这些研究也发现，特药产品的“国际卓越上市”可能性高于非特药产品；而且与过去相比，非特药新品在国际上卓越上市的可能性减小。

图3：“疫情期间/疫情后” — 在国际上卓越上市的新品占比



注：包括从2019年第4季度到2021年上半年的创新性上市，前六个月销售额可能会受到疫情影响；不包括孤儿病、丙肝产品、新冠疫苗和治疗；所包含的国家有美国、中国、日本、英国、德国、意大利、法国、西班牙。

数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership, IQVIA MIDAS Monthly 2023 (accessed April 2023).



在疫情前后所有的上市中，在某个国家卓越上市的特药产品，超过半数 (54%) 在至少一个其他国家里也取得了卓越上市；但是，在某个国家卓越上市的基础护理产品，几乎大部分 (92%) 仅在一个国家里取得了卓越上市。在最新一批上市的产品中，有一些基础护理产品非常成功，例如糖尿病 (Mounjaro)、肥胖症 (Wegovy) 和偏头痛 (如 Nurtec、Ubrovelvy)。不过，最新一批成功的基础护理产品主要集中在美国。

其中一个原因是，至我们的截稿时间，美国新一波偏头痛和肥胖症基础护理产品尚未在欧洲上市。这些新品在欧洲的上市速度通常较慢，在有些情况下是供应的问题。这些受消费者推动的新品在美国的成功上市，得益于“直面消费者”的广告宣传，和减少或免除患者“自掏腰包”的患者援助计划。

## 85% 在国际上卓越上市的新品隶属于三个特药治疗领域

我们还探究了，在哪些治疗领域确有“国际卓越上市”存在；我们发现，85% 在国际上卓越上市的新品集中在三个特药治疗领域：肿瘤 (44%)、HIV (人体免疫缺陷病毒) (26%) 和免疫 (15%)。我们把丙肝新品排除在分析之外，是因为它们的销售上量模式比较独特。在《卓越上市白皮书》第六版中，我们第一次把 2010 年至 2016 年的上市划分为特

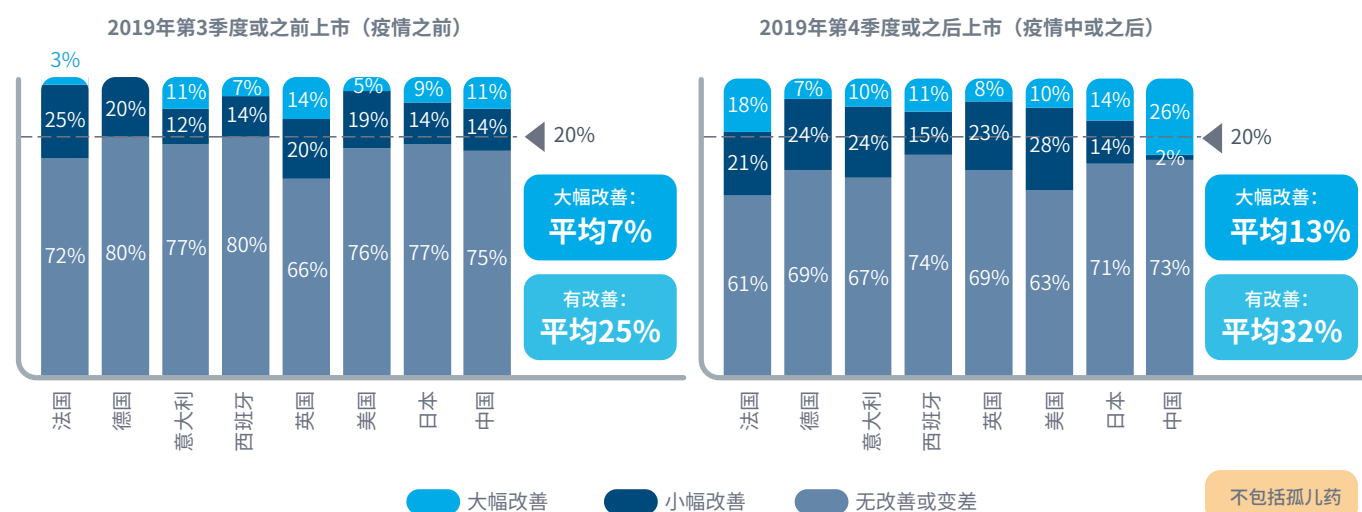
药类和基础护理类，其中国际卓越上市的特药产品和基础护理产品分别占到 51% 和 49%。

## 6 个月窗口期仍然适用，但是，更多“疫情后”上市产品的销售表现在 6 到 18 个月期间出现改善

自最早的第一项“卓越上市”研究起，我们就已发现，上市的最初六个月是一段至关重要的时期，它可以判定超过 80% 的新品能否获得长期成功。这意味着，如果某新品开局不利，则只有 20% 或更小的概率，该新品能显著改善其命运，这反映出“上市前”阶段和严谨的上市规划具有至关重要的意义。

今年，我们单独研究了在疫情中或疫情后上市的产品，以判定在这段时期里，此原则是否仍然适用。我们发现，除中国以外，80:20 原则仍然适用，最初六个月依然是一个至关重要的时段。不过，对于因疫情导致开局不利的新品来说，更多的新品在 6 个月以后改善了它们的表现。前八大市场里，在 6 到 18 个月期间显著改善其销售表现的新品平均比例，在疫情前为 7%，在疫情后为 13% (图 4)。进而，我们研究了改善其表现轨迹的全部新品比例，发现在疫情之前，大约四分之一的新品能够改善其表现轨迹，而在疫情之后，将近三分之一的新品能够如此。对于开局不利的 2020 年和 2021 年的新品来说，这是个好消息，尽管改善程度有限。

图4：六个月窗口期仍然适用，与“疫情前”相比，更多的“疫情期间/疫情后”上市产品在6到18个月期间出现表现轨迹改善



注：美元，以固定汇率计；“疫情前”上市指的是，在某个国家、前6个月销售发生在新冠之前（2016年第2季度到2019年第3季度）；“疫情后”上市指的是，前6个月销售可能会受到疫情影响（2019年第四季度—2021年第2季度）；包括NAS上市、以及被认为有显著创新性的其他上市（如用于新治疗领域或新组合疾病的非NAS上市，包括创新性品牌药物）；不包括孤儿药、丙肝产品、新冠疫苗和治疗。

数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership, IQVIA MIDAS Monthly 2023 (accessed April 2023).

## 在 6 到 18 个月期间显著改善了其销售表现轨迹的多数是特药产品

在 6 到 18 个月期间显著改善了其表现轨迹的产品多数是特药产品 (~70%)，排名前列的治疗领域是肿瘤 (~23%，特药产品)、免疫 (13%，特药产品) 和糖尿病药物 (~12%，非特药产品)。不过，各个国家的模式存在明显差异。在欧盟 4 国和英国，显著改善了其表现轨迹的产品大部分是特药产品 (85%+)。在欧洲以外地区，一部分非特药产品上市在 6 到 18 个月期间显著地改善了它们的表现轨迹。

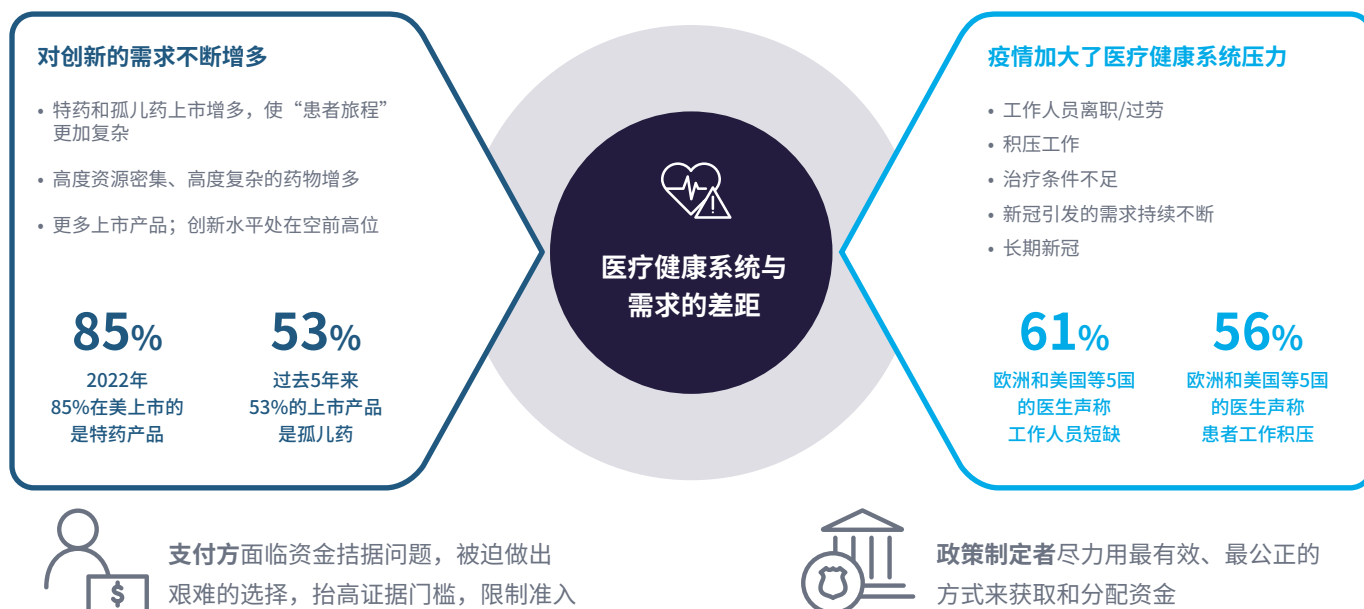
## 哪些趋势将塑造未来的“卓越上市”

### 对创新药的需求和医疗健康系统能力之间的差距不断变大

医疗健康系统采用了很多非常规的方式来处理疫情危机，动员了前所未有的资源来应对未遇之变局。不过，医疗健康系统的能力受到来自各方的压力，从而影响了其为上市做好准备和发挥最佳效能的潜力。

特药上市和孤儿药上市增多，这种趋势提高了对医疗健康系统的要求；产品在前期通常比较昂贵，它们可能需要采用伴随诊断，并需要在医院里而非在家里经由训练有素的专业人员进行给药管理。上市产品越来越精细复杂，这种趋势将会持续：管线由肿瘤产品（它们需要越来越复杂的生物标志物检测）和罕见病药物主导。另外，细胞疗法和基因疗法等先进疗法的数目不断增长，这需要全新的操作和资源。在过去五年中，全球新活性物质（NAS）的上市，比之前的五年大幅提升，虽然在 2022 年，新的 NAS 上市数量回落，但是管线仍然丰富，我们预计这种回落是暂时的。近期，行业在高发病率、老龄化和富裕带来的慢性疾病方面取得了突破，例如阿尔兹海默症和肥胖症，这带来了巨大的发展前景，但同时也为实现这一希望带来了经济和卫生系统方面的挑战。

图5：医疗健康系统和创新需求间的差距必须加以解决，让创新产品上市发挥它们全部的潜力



数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership; 1. IQVIA Institute, Global Trends in R&D 2023: Activity, Productivity, and Enablers 2. IQVIA Primary Research, Impact of COVID-19 on Healthcare System in EU4, UK & US, March 2023.

其次，疫情留下长期后患，前8大市场的医疗健康系统长期处于紧张状态，给患者、医生和上市产生了影响。医护人员遇到的是普遍和根本性的挑战，过劳、离职、缺少可持续的接替人员都是世卫组织在其2022年9月的报告以及其他文件中提到的严重问题。艾昆纬于2023年3月在美国和欧洲5国与医生一起开展了初步研究；这项研究显示，在所有国家里，有超过半数的受访者声称由于辞职和过劳导致工作人员短缺，这一比例在美国高达64%，在英国上升到74%(图6)。同一项调查显示，在美国和五大欧洲市场里，平均有56%的医生声称存在患者工作积压，这一比例在英国上升到79%，在西班牙高达68%，在意大利高达64%。虽然研发管线里充满了新的、激动人心的创新，但是，这些产品所处的上市环境不利，最终可能会影响其卓越上市。

### 更严格的支付方管理影响了药企的盈利，改变了证据标准和要求

疫情还加重了财务压力，迫使支付方做出艰难的选择，严格管理新疗法的准入，这通常会抬高证据标准。在德国，一些重大政策变化于2023年初生效（法定健康保险稳定法案），一些公司认为它们达不到合适的效益评级，选择放弃新品上市，特别是肿瘤产品。这反映出，达到“更高的效益评级”

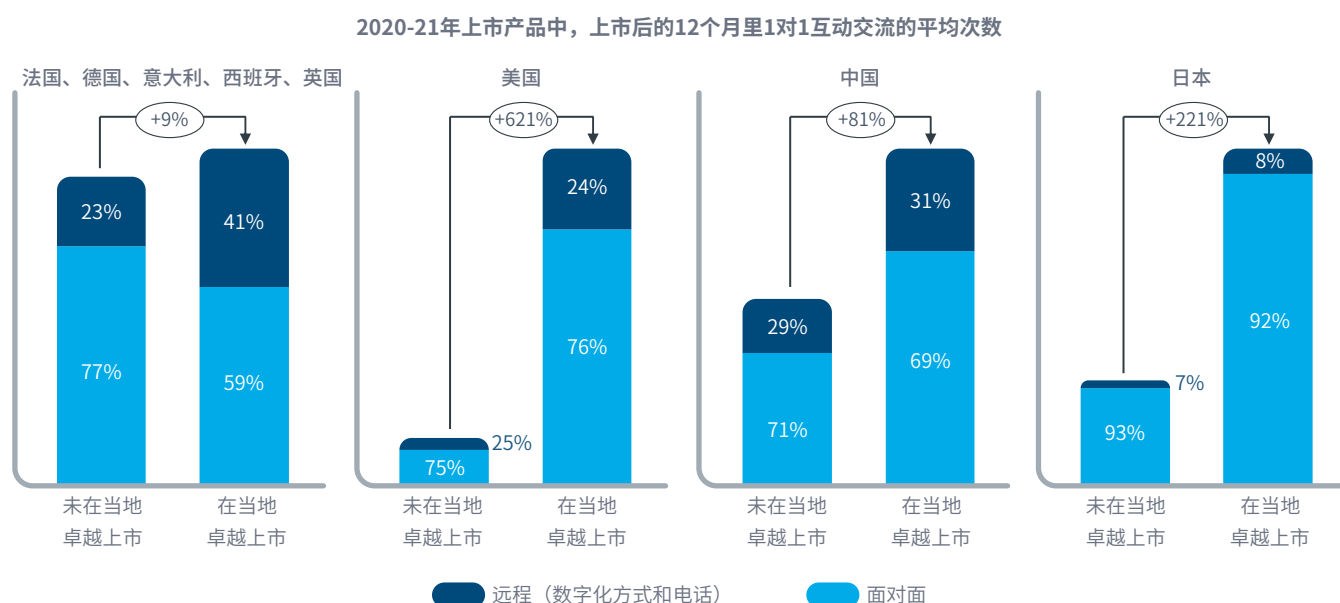
越来越重要，这样才能在德国（以及其他地区）保证有利的定价。

在美国，支付方对新上市产品的管控继续加强；2021年，每四名寻求新上市品牌的患者中，仅有一人成功获得了处方。随着支付方覆盖率的下降，越来越多的药企开始承担费用。据艾昆纬估算，2022年美国新上市品牌的处方总量中，有一半以上得到了药企的全额支付，而2018年这一比例还不到10%。这种高昂的准入成本最终会降低上市盈利能力。在英国，“品牌药物定价和准入自愿方案”（VPAS）回扣的增加也可能会降低药企的盈利，调查发现，85%的药企受访者表示，由于这个原因，他们公司有可能会将一种或多种药物在英国上市的优先级向后调整。

### 卓越上市产品的互动交流更多

如果把疫情期间及疫情后的“卓越上市”与“非卓越上市”产品进行比较，“卓越上市”产品与医生的互动交流数量更多(图6)。这种差异在欧洲以外特别明显，特别是在美国。在欧洲之外的上市过程中，面对面交流仍然扮演着重要的角色，且多多益善。而在欧洲，这一点不适用，面对面交流虽然重要，但不是明显的差异化因素。渠道搭配很重要。

图6：疫情期间及疫情后卓越上市产品对比其他产品，每种新品1对1互动交流的平均次数



注：仅限1对1详细交流；远程交流包括数字化方式和电话；“在当地卓越上市”按照艾昆纬“卓越上市”方法学识别。  
数据来源：IQVIA EMEA Thought; IQVIA ChannelDynamics, May 2023.

## 给未来“卓越上市”的建议

研发管线充满了激动人心的创新，但是，艾昆纬对上市典型代表所做的研究显示，即使是最具革命性的产品，成功上市也不是必然的；疫情后环境催生出新的“当务之急”。因此，根据最新研究结果，我们进一步优化了“疫情后卓越上市三大支柱”，以反映我们认为成功上市最重要的基础（图7）。

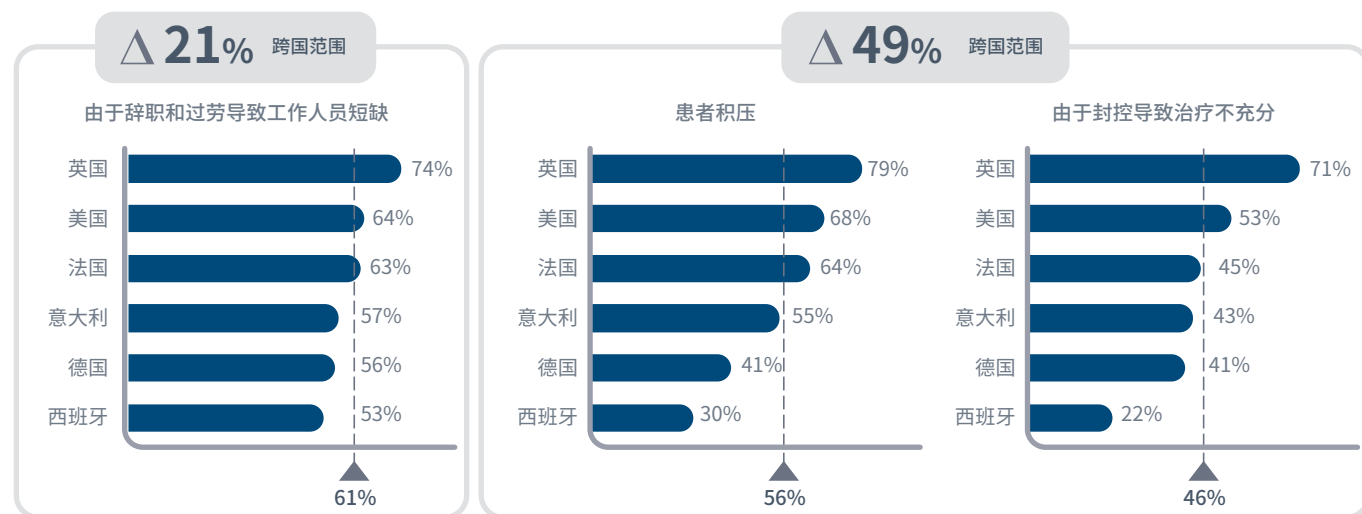
新品上市涉及的内容已经从“聚焦于产品特性”（安全性和功效），转变为“更加以患者为中心的结局”，但是，药企仍必须进一步拓宽其价值主张和互动交流，以满足更广泛的医疗健康系统需求。在医疗健康系统承压的环境中，“让系统做好准备”变得更加重要；对于资源密集性或者有颠覆性的产品来说，这一点特别重要。药企必须及早投入力量开展以下工作：

- **对当地医疗系统、医护路径和优先事项形成深入的理解。**此事宜尽早当地完成。艾昆纬最新研究发现，在各个国家之间，医疗系统差别显著。例如，在英国，79%的医生声称存在工作积压，与之相比，在法国，只有30%的医生声称如此（图8）。深入理解当地挑战后，就能通过呼吁解决当地优先事项，实现与医疗系统的有效交流。英国的医生声称，与其他欧盟4国和美国相比，他们面临最大范围的医疗健康系统挑战，涉及各项指标（工作人员短缺、工作积压和治疗不充分）；与此同时，在英国，那些能够为系统提供支持的产品表现尤为良好（例如，

帮助缓解输液负担）。药企需要首先理解当地优先事项、差距和薄弱环节，据此调整上市准备工作。

- **为护理路径，预上市，端到端提供便利，以防止在系统中出现瓶颈、弱点和差距。**在一些成功案例中，药企为患者医护路径提供了支持，甚至是在罕见病领域。Horizon 创建了一种工具，来帮助甲状腺眼病的潜在患者在线找到甲状腺眼病专家，以简化就医旅程，把潜在患者“汇聚”到合适的专家那里。由于人们对甲状腺眼病知之甚少，Horizon 还将该工具与多渠道宣传活动相结合，以提高疾病认知。
- **与国家和地方层面的医疗系统建立合作关系。**建立能提高系统效率、或者能优化患者体验和结局的合作关系，使药企和卫生系统能够实现共同的目标，即扩大新疗法的准入范围，惠及所有符合条件的患者，并减少治疗延误。例如，勃林格殷格翰的“天使倡议”通过与医生、护士和救护人员合作，帮助十二个国家里的医院做好中风救治准备，以优化医护和诊断，减少治疗延误。百时美施贵宝、麦克米兰基金会（Macmillan）和一家 NHS（英国国家医疗服务）癌症信托机构之间建立合作关系，旨在通过开发劳动力和创新预测模型，预测未来癌症治疗创新将如何影响癌症患者整个治疗过程中的劳动力资源，从而应对英国癌症治疗长期面临的挑战。作为“非推广性”职能部门，医疗事务团队完全有能力牵头与医疗系统建立合作关系。一些公司可以考虑设立专门的卫生医疗项目经理。

图7：疫情对“非新冠”医疗服务的影响（医生声称情况的百分比，每个国家n = 120）



数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership; IQVIA Primary Research; Impact of COVID-19 on Healthcare systems in EU4, UK, US March 2023;

问题：新冠对“非新冠”医疗服务的重要影响是什么？

- 及早部署医疗资源。**很多制药公司尚待发掘“医疗事务”部门的全部潜力，尤其是在上市之前。如果及早部署医疗资源，它们就可以通过提供独特见解、建立合作关系和推进内部协同，来帮助做出战略决策，解决“上市前”问题。例如：
  - 提供关于疾病、治疗格局、患者医护路径、需求缺口和临床实践的深入见解，以帮助：
    - 优化产品策略（与品牌团队一起）
    - 为递交 HTA（卫生技术评估）说明提供帮助
    - 设计“上市前”干预策略，以防止在医护路径中出现瓶颈
  - 在各个职能部门之间（研发、市场准入、卫生经济学与结局研究、商业化），精心制定经过整合的证据规划，确保结局高度契合患者、支付方和医疗系统三方的需求
  - 为患者援助计划（PSP）的设计提供建议，以优化患者体验
  - 促进各个利益相关方之间的外部交流，包括支付方、HTA 机构、医生和患者，以便宣传讲解创新的价值（包括经济学和临床学两个角度）
- 制定多利益相关方的综合证据策略，**以提供持续、高度相关的证据。审批和准入证据门槛升高的趋势将加强；选择正确的对照组、患者群体和有意义的终点，这些事项的重要性将提高。然而，除此以外，对包括真实世界

证据在内的高相关性综合证据的需求也增加了，以应对资金紧缩、医生交流减少和知识差距等“疫情后”挑战。例如：

- 量化创新将给医疗系统、患者和医生带来的价值（包括可能节省的时间和成本，这对于变革性的疗法特别重要）
- 弥补知识差距，例如更多以远程的方式管理患者或“长新冠”患者。艾昆纬在 2023 年 6 月开展的研究中发现，在美国、欧盟 4 国和英国，与疫情前常规值相比，肿瘤专家和他们的患者之间远程互动数仍然平均多出五倍。
- 促进与医生的高价值互动。
- 重建医生互动交流，让每次互动都有意义：**在整个产品生命周期生成新的证据，可以创造机会与医生交流，帮助弥补低频的互动。互动必须精心规划，以偏好为导向，并基于高度相关的内容。药企必须确保互动可以给医生带来价值，而且带来良好的体验。

更多信息，敬请垂询

Estelle Xu  
 IQVIA艾昆纬管理咨询部企业战略负责人  
 estelle.xu@iqvia.com

图8：“卓越上市”意味着扩大准备工作范围，以满足更广泛的系统需求



数据来源：IQVIA EMEA Thought Leadership.



# 提高效率、降低风险：贯通研发到上市的行动计划

## 早期项目支持

客户在临床前研究开始时，通常在首次人体试验（FIH）前大约 18 个月就开始与 IQVIA 合作。IQVIA 帮助客户顺利完成产品的早期开发阶段，首要考虑以下事项：

- 应优先考虑哪些产品和适应症？如何建立我们的目标产品概况？
- 非临床研究、CMC 及临床计划中存在哪些差距，需要在 FIH 之前解决？如何制定临床开发计划？完成注册所需的临床试验需花费多少时间和成本、有哪些相关风险？应在

何时提交 IND 申请？如何准备与监督管理局的交流互动？产品可能有资格获得哪些特殊的加速审批？总体监管策略是什么？

- 产品的商业价值是多少？在每个里程碑节点，产品价值将如何变化？是否应投资我们看好的新产品？在技术和监管方面取得成功的可能性有多大？
- 如何分析试验获得的药代动力学和药效动力学数据？如何利用生物标志物？是否需要伴随诊断？

图1：从发现到上市的完整产品策略

## 完整产品策略

客户在各个阶段期望取得哪些成果

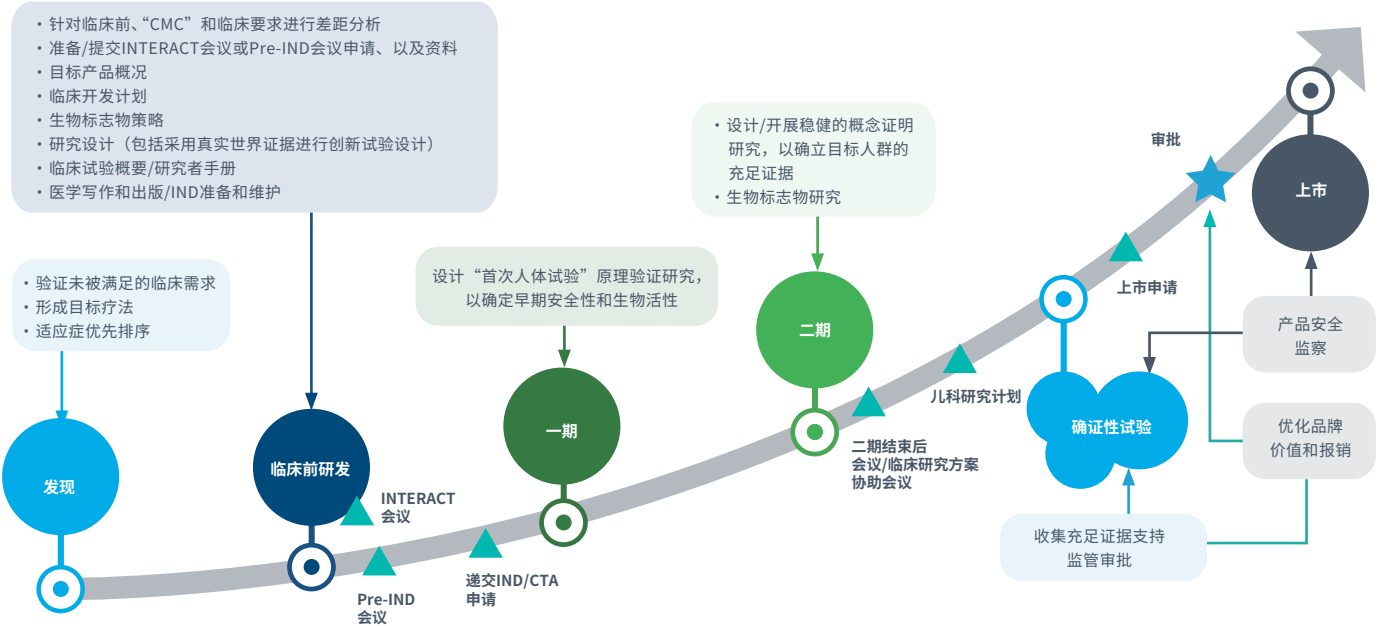


图 1 是客户希望在每个里程碑实现的目标概览。在发现阶段，艾昆纬会从科学、商业和运营三个方面，帮助确定优先的理想适应症。科学角度，我们会从基于作用机理的疾病关联性、临床前证据、以及药效基准来研究您的候选适应症。对于其中的每一项，我们都会联合给予评分。我们还会采用全球销售和纵向患者数据，包括电子病历、医疗理赔、医院理赔、医院就诊数据和纵向处方数据，来评估市场吸引力、商业潜力和可及的患者人群。这有助于确定高度特异性的可及患者人群。

然后，我们的医生会查看每种潜在适应症未被满足的临床需求，以确定是否存在次优治疗方案，或者您是否可以成为同类产品里的最优者。我们还将考虑市场估值和竞争格局，

目标适应症包括正在开发的和前景看好的产品。最后一项评估是操作可行性，此评估用于对比不同适应症进行一系列试验的成本、耗时和难度。艾昆纬将为每个类别打分，并确定推荐策略。一旦确定，我们将填写适应症优先排序表格，并对各分数进行加权，提供一个直观的适应症优先排序表格，以便与潜在的合作伙伴分享。

当进入临床前开发阶段时，“监管事务和药物研发解决方案（RADDS）”团队将确定目标产品概况（TPP），帮助您制定开发过程中的策略；TPP 的考虑事项如图 2 所示。我们会研究这些属性并设立两种情况：最低可接受情况（即您的药物至少必须做到哪些才能与当前的标准治疗竞争）以及目标情况（即如果您达到了所有终点，您的概况所呈现的样子）。

图2：TPP构建策略

TPP属性	评估方法	受影响的研发策略属性
适应症	基础情况概况  最优概况  竞争对手概况	目标适应症
患者人群		商业价值、临床研发人群、监管认可
剂型/疗程		商业价值、货物成本、临床研发、CMC规划
临床疗效（可批准的终点）		商业价值、监管认可、关键研究规模 需具体说明：用作“通过/未通过”标准
生物标志物		
安全性		报销、监管认可
生存质量		
其他方面		总体资产策略：转让？合作？

潜在的投资者可能会要求提供目标产品概况，以展示您期望达到的目标（您未来的产品标签），并可以用作临床研发计划(CDP)的蓝图。CDP 会绘制不同研发方案的时间和成本。“Pipeline Architect”是一款由艾昆纬开发的工具，可生成具有不同风险水平的不同临床开发方案：激进型、标准型和保守型。对于每种方案，我们都可以准确估算出对时间、成本和风险。对于风险，会根据该治疗领域和适应症的历史基准，以技术和监管成功的概率来表示。当要与监管机构接触时，我们会整理出一份由医生编写的方案概要：15到20页，阐述主要/次要目标和终点、受试者人数、主要入选/排除标准、事件顺序、和基本统计学考虑事项。它足以供医学写作者据其写成一份完整的符合人用药物技术要求协调国际理事会（ICH）要求的临床研究方案。

然后，RADDs 将帮助药企（或申办方）开始与监管机构沟通。对于由生物制品评估与研究中心（CBER）负责的生物制品，客户可以尝试利用 INTERACT 会议来获得监管建议。Pre-IND 会议是艾昆纬另外一个常见的服务。对于这个会议，我们将准备一份会议信息文件包，其中包含药理学、毒理学、“CMC”和概要部分。对于会议申请函，我们会与药企（或申办方）共同拟定详尽的问题，以确保最大限度地获得监管机构的观点和意见。他们的回答将帮助药企（或申办方）在提交 IND 之前进行必要的修正。IND 申报资料通常会超过一千页，涉及 RADDs 出版团队、医学写作、和电子通用技术文档负责人他们将把所有内容转化为电子通用技术文件 e-CTD 格式，以便提交。

## 后期产品支持

RADDs 为客户提供策略和运营方面的支持，从上市申请递交到生命周期管理。对于上市申请，我们会采用五阶段方法，重点关注监管当局的考虑倾向。先进行差距分析、数据审查和评估，包括对科学研究内容以及要提交的各文件进行详细的审查。

通过评估和数据审查，RADDs 形成向监管当局提交数据的策略，并准备在上市申请递交前会议上讨论的关键问题。差距分析有助于发现隐患和完善策略。我们会为客户提供会议服务，负责与监管部门联系、准备会议申请函和文件包、并参加后续会议。在文件准备全过程中，我们准备注册资料、完成各个模块、起草标签以及评估所需的任何其他详细资料，例如环境影响声明（EIS）。我们为文件的递交提供全方位的服务，从把资料转化为可即时提交的格式，到出版和汇编最终定稿的资料包以便提交给监管部门。最后，我们会在监管部门审评期间提供支持，在此期间，我们会答复监管当局提出的问题并处理任何所需的后续事宜。我们全程跟进，指导新上市许可申请获得批准。

一旦获得许可上市，就需要生命周期管理，以保证其在市场上的地位和患者使用的安全性。艾昆纬提供三种不同的注册上市后服务（图 4）。首先是注册建议和咨询，我们帮助客户制定扩展到全球其他市场的注册策略和注册路径。其次，我们帮客户进行市场扩展，根据当地的要求编制特定的当地资料，包括翻译。从注册监管的角度处理合法化和本地代理的各方面问题。最后，我们通过研究和递交变更，包括 CMC 和标签变更，对药品的生命周期进行跟踪和管理。在药品生命周期管理中，我们还提供其他的一些变更服务，包括新适应症的许可延伸、定期报告、以及市场许可转让等。

图3：艾昆纬向监管当局申请产品上市策略





作为申请和变更提交的一部分，出版和注册运营在提高效率方面发挥着关键作用。RADDS 在出版过程中的目标是尽可能利用自动化/机器人流程自动化和创新技术工具，以最简化的方式进行排版、编辑、交付和存档。在技术方面，我们根据客户需要采取不同的方法。我们可以选择在客户的系统上提供服务，也可以采用我们自己专有的、经过验证的注册信息管理 (RIM) 智能系统，该系统集成了监管智能工具和自动化

功能。我们还可以使用混合解决方案，将客户的技术与我们自己的技术相结合，共同开发流程文档和服务水平协议，以便在紧密结合的环境中无缝地工作。RIM 数据维护和系统支持是注册运营的组成部分，专注于保持产品注册和关键数据的最新性、准确性。我们将这些系统作为客户服务的延伸进行管理，确保合规性以及所有相关方统一的注册信息来源。

图4：艾昆纬的注册后服务

### 监管建议

制定全球监管策略，以帮助ABC公司了解市场和策划扩展

### 市场应用扩展

对文件资料进行本地化定制，包括翻译及合法化

艾昆纬  
注册上市后  
服务

### 生命周期管理

可追踪的变更管理、研究和递交





## 案例分析：ABC Therapeutics公司的“注册事务和药物研发解决方案”旅程

ABC 医疗公司是一家中型生物制药组织，专注于肿瘤学和免疫学，拥有处于不同阶段的产品以及多种有前景的适应症。目前，它们主要关注美国，也期盼扩展到其他全球地区。它们在多个疗法领域中正面临专题事务专业资源局限问题。利用艾昆纬的高技能资源、量身定制的外协模型以及协作技术，ABC Therapeutics 公司能够加速推进它们的项目。

ABC Therapeutics 公司选择采用艾昆纬 RIM Smart 统作为它们的主要系统，因为它们当时没有设立系统。作为注册服务的一部分，艾昆纬能够提供的这种环境，并给予 ABC Therapeutics 公司联合协作访问权。RADDs工作人员在此系统之内工作，以追踪发给监管当局的产品信息和函件、追踪向监管当局做出的承诺、以及发布提交件。ABC Therapeutics 公司可以访问此系统，以便对活动进行追踪、以及提取它们自己的报告。我们无缝地连接到它们的电子文件管理系统 (EDMS)，这意味着不需要文件和数据转移。我们能够通过机器人流程自动化技术来建立定制的自动化，并且 ABC 公司无需支付任何额外的许可费用。一旦准备就绪，他们就可以接管此系统的所有权，同时仍然可以使用艾昆纬服务，做到零中断。

ABC Therapeutics 公司起初对是否要离岸 到低成本中心犹豫不决，因此我们设计了 60% 离岸搭配 40% 在岸的混配运营模式。后来，我们根据服务级协议和关键绩效指标，确保质量水平稳定，ABC Therapeutics 公司对我们交付的信心增强，此时，我们建议采用分阶段的方法进一步离岸。我们在第一年年末转变为 70/30 模式，最终，在第三年年初转变为 90/10 模式。目前，90% 的工作离岸，10% 的工作在近岸或在岸中心管理。目标是，采用合适的、分阶段的方法，确保价值最大化。RADDs 团队利

用多个离岸和低成本中心，来增加更多层次的业务延续性。拉丁美洲和亚太地区的低成本中心在 ABC Therapeutics 公司最需要的地方提供了全球覆盖。此外，通过跨越多个时区分配资源需求，可以为项目团队提供更好的工作与生活平衡。通常，当合并到单一离岸地时，员工必须夜班工作，才能提供全天候报道、覆盖全部时区，导致身体损耗和人员流失。这不仅不利于员工，而且会对项目交付项的质量构成风险。

据艾昆纬计算，资源支出降低了 38%，比 ABC Therapeutics 公司在全球多地招聘和分包资源的支出显著减少。在缺口分析过程中，我们设定了明确的计划制定途径，并创建了制定新计划的基础，特别适用于全球扩展。我们能够比 ABC Therapeutics 公司预期快三个月提交申请，并通过制定策略性的提交计划进一步提高效率。

RRDAS 团队在技术和基础设施方面开展合作，通过利用自动化技术和共享系统，实现了 52% 的时间节省和效率提高。我们不再需要跨越两个完全不同的系统来迁移数据和文件。最终，它导致了全公司范围的文化转变 — 在整个 ABC Therapeutics 公司，“更聪明地工作”这种想法受到推崇，并激发了创新。

### 更多信息，敬请垂询

Miranda Li  
IQVIA 艾昆纬注册事务和药物开发解决团队注册总监  
[miranda.li@iqvia.com](mailto:miranda.li@iqvia.com)

## 关于 IQVIA

IQVIA艾昆纬(纽交所代码: IQV)是全球领先的专注生命科学领域的高级分析、技术解决方案和临床研究服务供应商。IQVIA利用深入分析、前沿技术、大数据资源和广泛领域的专业知识,智能连接医疗生态的各个环节。IQVIA Connected Intelligence™快速敏锐地为客户提供强大的数据洞察,帮助客户加速创新医疗的临床开发和商业化进程,以更好的医疗成果惠及患者。IQVIA拥有约90,000名员工,足迹遍布100多个国家/地区。

IQVIA是保护患者个人隐私的全球领导者。IQVIA拥有多元化的加强型隐私技术和保障手段,能够在保护个人隐私的同时对信息进行管理和分析,帮助医疗利益相关方有效开展精准疗法,获得更佳的疗效。这些洞见和能力能够帮助生物科技、医疗器械、制药公司、医学研究者、政府机关、支付方以及其他医疗利益相关方,获得对疾病、人类行为和科技进步更深入的理解,共同朝着治愈各类疾病的方向迈进。

扫一扫  
权威报告免费下



敬请关注  
IQVIA艾昆纬  
官方微信



扫一扫  
关注IQVIA艾昆纬  
视频号



更多详情, 请登录官网[www.IQVIA.com](http://www.IQVIA.com)查询

## IQVIA 艾昆纬中国

### 上海

艾昆纬医药科技(上海)有限公司  
上海市浦东新区耀龙路1359号  
晶耀商务广场1幢9楼  
+86 21 2422 8888

艾昆纬企业管理咨询(上海)有限公司  
上海市浦东新区耀龙路1359号  
晶耀商务广场1幢9楼  
+86 21 3325 2288

### 北京

艾昆纬医药科技(上海)有限公司北京分公司  
北京市东城区王府井大街138号  
新东安广场3座9楼901-919室  
+86 10 5911 7888

艾昆纬企业管理咨询(上海)有限公司北京分公司  
北京市东城区王府井大街138号  
新东安广场3座9楼901-919室  
+86 10 8567 4500

### 大连

艾昆纬医药发展(大连)有限公司  
辽宁省大连市高新技术产业园区  
汇贤园1号楼10层10-02/04  
+86 411 8498 8188

### 广州

艾昆纬医药科技(上海)有限公司广州分公司  
广东省广州市越秀区越华路112号  
珠江国际大厦4401-4403  
+86 20 2829 5799

### 杭州

艾昆纬医药科技(上海)有限公司杭州分公司  
浙江省杭州市上城区新业路8号  
华联时代大厦B幢3A01&3A04室  
+86 571 2689 1688

