2023-07-03

**譯者**．**陳如月**

奈米和微型上市是新常態，但什麼預示著重磅藥的潛力？

無論是大、中、小還是新興公司，絕大多數生物製藥公司上市的都不是具有重磅藥潛力的產品。我們的研究顯示，預計峰值銷售額低於5億美元的上市產品是最常見的。事實上，在我們回顧的六年裡，只有23%的上市產品峰值銷售額預計超過10億美元。

在 2017年至2022年的六年間，在美國上市大約337個新分子實體（new molecular entities ，簡稱NME）中，我們分析了265個有銷售數據的NME上市情況。我們按產品在美國的銷售峰值（實際或預期）對產品進行細分，然後根據預期的銷售峰值潛力將其分為以下三個類別之一：

1. 奈米上市 (<2億美元) 和微型上市 (2億─5億美元)
2. 首輪運行 (5億美元─ 10億美元)
3. 重磅藥 (10億美元─50億美元) 和巨型重磅藥 (>50億美元)

### 美國孤兒藥法案(Orphan Drug Act, ODA)的迴響

對於任何規模的公司來說，在六年的時程內，生物製藥公司上市資產的預計銷售峰值額低於5億美元比例是最常見的情況（見圖1）。一些大型製藥行業的資深人士可能會驚訝地看到，這些微型和奈米的上市是大型製藥公司在所回顧的六年中有四年中的最大類別，並且占六年中有三年所有大型製藥公司上市的一半以上。二十多年過去了，《孤兒藥法案》似乎產生了變革性的影響。

新興和小型製藥公司與大型製藥公司幾乎平分，這是一批具有為5億至10億美元營收潛力的「首次運行」池。

在我們分析產品中，近77%的營收潛力低於10億美元。這些資產中有一半是由新興和小型製藥公司上市的，這在二十年前是難以想像的。我們詳細研究了今年早些時候首次上市的新興生物製藥公司。

#### 圖1:



### 產品的新穎性或創新性對其營收潛力的影響

在過去六年中，我們樣本中約有17%的上市是首見適應症上市。我們稱它們人為「先驅者」。大約33%的產品在現有產品的已證實的適應症中具有新的作用機制，我們稱之為「顛覆者」。上市的產品中有一半是模仿（me-too）產品或「跟風者」。

#### 圖2:



高達84%的先驅資產預計不會達到重磅藥的地位（這些先驅資產中約有66%是微型或奈米產品，其中約18%是首輪運行）。大約69%的先驅者被指定為孤兒藥。我們在顛覆者群組中也看到了類似的趨勢，其中約55%的資產是微型或奈米產品，其中約20%是首輪運行。大約25%的跟風者預計將成為重磅藥或巨型重磅藥，大約15%是首輪運行。

### 按治療領域看產品潛力

在首要治療領域（therapeutic areas，簡稱TA），例如腫瘤（包括罕見腫瘤），大多數是跟風者（53%），而先驅者只有11%。在所有先驅者中，大多數屬於非腫瘤罕見類別和腫瘤TA — 其中大多數具有微米和奈米產品潛力（66%），只有一小部分（16%）產品具有重磅藥或巨型重磅藥的潛力。

在非腫瘤罕見適應症中，先驅者是最常見的（約38%），其次是顛覆者（37%）。在全身性抗感染症和中樞神經系統產品中，跟風者約佔61%，其中三分之一顯示出超過10億美元的潛力。

**將仿單標示擴充作為更大產品潛力的驅動力：**無論治療領域如何，近42%的產品在初始上市後擴展到新的適應症或新病患群體。重磅藥和巨型重磅藥在上市後出現後續適應症或仿單標示擴充的可能性是其他兩類（73%）的兩倍（見圖4）。擴展到更多適應症的產品更有可能成為重磅藥或巨型重磅藥。

在111個仿單標示擴充的產品中，63%的產品擴展到新的適應症，其餘產品進行其他類型的擴展，包括產品線延伸、擴展到新的年齡族群或性別，以及透過新配方擴展到新的病患群體。僅擴展一種適應症的產品主要是微型上市或奈米上市（63%）。

#### 圖3:



根據我們樣本中62個重磅或超級重磅資產的預測和實際營收，我們預計年收入超過10億美元的平均時間約為五年，通常為四至八年。值得注意的是，腫瘤學資產可能處於該範圍較長的一端。未來，《降低通膨法案》（Inflation Reduction Act，簡稱IRA）可能會激勵人們加速生命週期管理投資，以平行開發小分子的適應症，因為資產失去專有性（exclusivity）的時間更短。這種對小分子適應症進行更多平行投資的激勵措施可能有利於較大的生物製藥公司，而不是較小的生技公司。

#### 圖4:



適應症擴張似乎是重磅藥潛力的關鍵驅動力。具有三個以上適應症擴展（即至少四個）的產品都是重磅藥或巨型重磅藥（我們評論樣本中的100%）。而且，在所有未擴展適應症的產品中，只有大約11%的產品成為重磅藥和巨型重磅藥。

(資料來源：ZS)