

2020年中国罕见病市场现状分析报告- 市场调查与发展趋势研究

报告大纲

观研报告网

www.chinabaogao.com

一、报告简介

观研报告网发布的《2020年中国罕见病市场现状分析报告-市场调查与发展趋势研究》涵盖行业最新数据，市场热点，政策规划，竞争情报，市场前景预测，投资策略等内容。更辅以大量直观的图表帮助本行业企业准确把握行业发展态势、市场商机动向、正确制定企业竞争战略和投资策略。本报告依据国家统计局、海关总署和国家信息中心等渠道发布的权威数据，以及我中心对本行业的实地调研，结合了行业所处的环境，从理论到实践、从宏观到微观等多个角度进行市场调研分析。

官网地址：<http://baogao.chinabaogao.com/zhongxiyao/509710509710.html>

报告价格：电子版: 8200元 纸介版：8200元 电子和纸介版: 8500

订购电话: 400-007-6266 010-86223221

电子邮箱: sale@chinabaogao.com

联系人: 客服

特别说明：本PDF目录为计算机程序生成，格式美观性可能有欠缺；实际报告排版规则、美观。

二、报告目录及图表目录

近日，出现一款药品在中国市场一针卖70万元人民币，而在澳大利亚仅卖41澳元，天价数字引发群众关注热度。此药物为诺西那生钠注射液，英文名Spinraza（nusinersen），是专门用于治疗罕见病脊髓性肌萎缩症的进口特效药，也是全球首个获批治疗罕见病SMA的药物。

该药品之所以存在较大中外价格差是由于在澳大利亚其被纳入了当地的药品福利计划中，其中药品的政府采购单支价格为11万澳元，患者自付费用为41澳元，因此“41澳元并非诺西那生钠注射液在澳大利亚的药品价格”，而此药品目前在中国仍属于自费药物。

SMA是一种罕见的遗传性神经肌肉疾病，是导致儿童死亡的最常见的遗传病，由编码运动神经元存活蛋白的SMN1基因突变引起。根据患者的起病年龄和临床病程，可以将SMA由重到轻分为4型。在儿童患者中，1型和2型占了一大半，其中1型最为严重。目前，全球有三个产品可以有效控制SMA，但因价格昂贵，所以这部分药品几乎很难到达患者手中。

SMA治疗三朵金花

产品

Spinraza

Zolgensma

Risdiplam

药企

渤健（Biogen）

诺华（Novartis）

罗氏/PTC公司

作用机制

增加SMN水平

药物类型

反义核寡苷酸（ASO）

基因疗法

小分子

给药途径

鞘内

静脉注射

口服

剂量

4次负荷剂量，之后每4月一次

1次

每天1次

体内发布

中枢神经系统

多系统

多系统

目标人群

所有类型

SMA1型

SMA1型 数据来源：公开资料整理

罕见病，罕见疾病又称“孤儿病”，指那些发病率极低的疾病，其药品也被称之为“孤儿药”。此前，罕见病药是一块不受本土及外资药企所重视的市场，由于罕见病患者数量少且研发费用高，制药企业基于经济效益的考量，对罕见病药物研发并不积极。于是，在欧盟、日本及美国等国家市场，针对罕见病用药会在立法、专利期及税收等方面给予政策支持，来保障罕见病用药公司的收益和公益性，而在中国近几年的罕见病用药产业政策也慢慢朝这部分市场靠拢。

全球部分地区罕见病用药市场对比情况

美国

欧盟

日本

韩国

中国

立法保障

1983年颁布《罕见病用药法》

1999年颁布《孤儿药管理规定》

1993年颁布《罕见病用药管理制度》

2003年颁布《罕见病用药指导》

暂无

药品独占期

7年

10年（儿童用药12年）

10年

6年

--

税金减免

临床研究费用的50%

鼓励各国给予税收优惠

药物开发费用的6%+不超过公司税的10%

暂无

进口环节减按3%征收增值税，国内环节可选择按3%简易办法计征增值税

医疗保障机制

政府医疗保障计划 商业保险

各国政策不同

NIH药物价格优惠

医保报销2/3

国内仅有57种罕见病药物纳入医保，可全额报销的只有10种

药品审批

纳入有限审批缩短6个月

集中审批 优先审批

10个月快速审批

6-9个月快速审批

优先审批

其他优惠

新药申请费全免

审批费部分减免

审批费减免

--

--

政府资助研发

2300万21个病种

框架计划 公共健康计划

销售额回馈*

--

-- 数据来源：公开资料整理

近年国内外罕见病药物研发情况

但随着科技的发展，基因疗法、siRNA、免疫疗法等新型治疗方式的呈现，带动了罕见病药物的研发，目前全球正在进行中的罕见病药物项目有560个。以美国为例，2014-2019年美国FDA合计批准孤儿药为15种，部分难治罕见病在治疗上均有了新的突破。

2014-2019年美国FDA批准15种罕见病药物

药物商品名

适应症

获批时间

Ofev

特发性肺纤维化

2014-10-15

Esbriet

特发性肺纤维化

2014-10-15

Orkambi

囊性纤维化

2015-07-02

Strensiq

低磷酸酯酶症

2015-10-23

Kanuma

溶酶体酸性脂肪酶（LAL）缺乏症

2015-12-08

Brineura

Batten病

2017-04-27

Henlibra

血友病

2017-11-16

Symdeko

囊性纤维化

2018-02-13

Crysvita

X连锁低磷血症

2018-04-17

Onpattro

转甲状腺素介导的淀粉样变性（hATTR）

2018-08-10

Takhzyro

遗传性血管性水肿

2018-08-23

Firdapse

肌无力综合征

2018-11-28

Vyndamax

转甲状腺素介导的淀粉样变性 (hATTR)

2019-05-03

Zolgensma

脊髓性肌萎缩症

2019-05-24

Trikafta

囊性纤维化

2019-10-21 数据来源：公开资料整理

对比中国，长久以来我国罕见病领域受制于全制药工业的发展，一直处于停滞阶段，自2018年开始，政府、药企均做出相应改变。2020年02月18日，药明康德斥资3000万美元投资北海康成，打造罕见病的生态圈，进一步完善其罕见病领域的布局。

中国罕见病相关发展历程

时间

发展历程

2018年5月

官方首次颁布了《第一批罕见病目录》，共统计了121种疾病，加强国家对罕见病的管理。

2019年

开启了中国单克隆抗体的新纪元，同时有一批靶向仿制药上市获批，随着制药工业水平的不断提升，使一些本土企业开始涉足罕见病领域，进入早期探索阶段。

2019年2月

国务院对首批21个罕见病药品和4个原料药实行降税优惠。多项政策的落实，极大地改善罕见病患者“病无所医、医无所药、药无所保”的窘境，也鼓舞了国内药企的信心，促使了药企加大对罕见药的研发投入，我国罕见病用药产业逐渐起步。

2019年12月

东阳光药业盐酸芬戈莫德胶囊获得美国FDA批准，首仿上市。2020年2月26日，该药上市申请获得中国国家药品审评中心(CDE)承办。目前国内芬戈莫德在研的企业或研究所还有，浙江华海药业股份有限公司、山东创新药物研发有限公司、江苏豪森药业股份有限公司、南京华威医药科技开发有限公司、杭州中美华东制药有限公司、中国人民解放军军事医学科学院毒物药物研究所和北京福瑞康正医药技术研究。

2019年09月05日

瑞士诺华制药的芬戈莫德在中国获批上市，用于治疗复发型多发性硬化症（MS）。该药2010年9月21日在美国首次批准上市，目前已在全球 80 多个国家获批，使近30万患者获益。数据显示，2018年和2019年的芬戈莫德全球销售额达到33.41 亿美元和32.23亿美元。

2020年02月18日

药明康德公告披露，斥资3000万美元投资北海康成，该公司专注于首创罕见病药物的研发，具备多个罕见病药物管线，是中国首个进入胶质母细胞瘤（GBM）临床II/III期试验的I类创新靶向生物药创新企业。药明康德通过投资北海康成，打造罕见病的生态圈，进一步完善其罕见病领域的布局。 数据来源：公开资料整理

2019年，国家药品监督管理局通过快速审批、优先审批、有条件方式上市许可，批准了8种罕见病药物上市，其中有6种是《第一批罕见病目录》所收录的疾病，有7种是《临床急需境外新药名单》药物。

2019年中国罕见病药物上市获批表

药物名称

适应症

公司

批准日期

诺西那生钠（SPINRAZA）

脊髓型肌萎缩症

渤健

2019-02-22

地舒单抗（安加维）

骨巨细胞瘤

安进

2019-05-21

依洛硫酸酯酶（唯铭赞）

黏多糖贮积症IVA型

拜玛林

2019-05-21

达雷妥尤单抗（兆珂）

多发性骨髓瘤

西安杨森

2019-07-04

依达拉奉（Radicava）

肌萎缩侧索硬化症

田边三菱

2019-07-12

芬戈莫德（捷灵亚）

多发性硬化症

诺华

2019-07-25

波生坦（全可利）

肺动脉高压

Actelion

2019-09-05

阿加糠酶（法布赞）

法布雷病

健赞

2019-12-20数据来源：公开资料整理

2019年2月，国务院对首批21个罕见病药品和4个原料药实行降税优惠政策，政策的落实很大程度上改善了罕见病患者“病无所医、医无所药、药无所保”的窘境，同时促使药企加大对罕见病药物的研发投入。

中国罕见病减税药品清单

类别

活性成分通用名称

药品名称

已批准上市剂型

21种罕见病药品制剂

波生坦

波生坦片

片剂

安立生坦

安立生坦片

片剂

利奥西呱

利奥西呱片

片剂

马昔腾坦

马昔腾坦片

片剂

伊洛前列素

吸入用伊洛前列素溶液

溶液剂

曲前列尼尔

曲前列尼尔注射液

注射剂

吡非尼酮

吡非尼酮胶囊

胶囊剂

尼达尼布

乙磺酸尼达尼布胶囊

胶囊剂

--

注射用伊米苷酶

注射剂

--

注射用阿糖苷酶

注射剂

麦格司他

麦格司他胶囊

胶囊剂

--

重组人生长激素注射液

注射剂

沙丙蝶呤

盐酸沙丙蝶呤片

片剂

--

重组人干扰素 1a注射液

注射剂

青霉胺

青霉胺片

片剂

利鲁唑

利鲁唑片

片剂

--

人凝血因子VIII

注射剂、冻干粉针剂

--

注射用重组人凝血因子VIII

注射剂

--

注射用重组人凝血因子IX

注射剂

--

人凝血酶原复合物

注射剂、冻干粉针剂

--

注射用重组人凝血因子VIIa

注射剂

4种罕见病药品原料药

波生坦

/

/

吡非尼酮

青霉胺

利鲁唑数据来源：公开资料整理

目前，在中国上市且有罕见病适应证的55中药品中，有29种药品被纳入国家医保目录，涉及18种罕见病。在29中药品中，有9中享有国家医保目录甲类报销，用于治疗11种罕见病适应证。此外，有26种药品，涉及21种罕见病，其中有13种罕见病涉及的全部治疗药品，均待纳入我国医保目录。

国内已上市待纳入医保目录部分罕见病相关药品年治疗费用统计情况

疾病名称

治疗药品

估算国内患病人数

成年年治疗费用（元）

儿童年治疗费用（元）

非典型溶血性尿毒症

依库珠单抗

1061

4880281

阵发性睡眠性血红蛋白尿

依库珠单抗

6188

3660211

戈谢病

伊米苷酶

2357

3219947

643989

特发性肺动脉高压

司来帕格

26639

3162994

糖原累积病II型

阿糖苷酶

12966

2943464

587080

特发性肺动脉高压

马昔腾坦

26639

413824

尼曼匹克病

麦格司他

1532

312857

52143

特发性肺动脉高压

曲前列尼尔

26639

278490

高苯丙氨酸血症

沙丙蝶呤

133692

205936

41187

四氢生物蝶呤缺乏症

沙丙蝶呤

295

205936

41187

特发性肺动脉高压

伊洛前列素

26639

191584

特发性肺动脉高压

利奥西呱

26639

168180

特发性肺动脉高压

安立生坦

26639

81597

特发性肺动脉高压

波生坦

26639

56802

重症先天性粒细胞缺乏症

非格司亭

4170

45457

原生性肉碱缺乏症

左卡尼汀

8479

41539

15577

生物素酶缺乏症

生物素

295

1049

先天性胆汁酸合成障碍

胆汁酸

177

200

遗传性低镁血症

葡萄糖酸镁

34750

189

数据来源：公开资料整理

罕见病药物的价格高昂，若无医保支付患者难以长久保持足量和足疗程的治疗模式，因此在中国罕见病行业的发展和政策制定仍任重道远。（CMY）

中国报告网是观研天下集团旗下的业内资深行业分析报告、市场深度调研报告提供商与综合行业信息门户。《2020年中国罕见病市场现状分析报告-市场调查与发展趋势研究》涵盖行业最新数据，市场热点，政策规划，竞争情报，市场前景预测，投资策略等内容。更辅以大量直观的图表帮助本行业企业准确把握行业发展态势、市场商机动向、正确制定企业竞争战略和投资策略。本报告依据国家统计局、海关总署和国家信息中心等渠道发布的权威数据，以及我中心对本行业的实地调研，结合了行业所处的环境，从理论到实践、从宏观到微观等多个角度进行市场调研分析。

它是业内企业、相关投资公司及政府部门准确把握行业发展趋势，洞悉行业竞争格局，规避经营和投资风险，制定正确竞争和投资战略决策的重要决策依据之一。本报告是全面

了解行业以及对本行业进行投资不可或缺的重要工具。观研天下是国内知名的行业信息咨询机构，拥有资深的专家团队，多年来已经为上万家企业单位、咨询机构、金融机构、行业协会、个人投资者等提供了专业的行业分析报告，客户涵盖了华为、中国石油、中国电信、中国建筑、惠普、迪士尼等国内外行业领先企业，并得到了客户的广泛认可。

本研究报告数据主要采用国家统计局数据，海关总署，问卷调查数据，商务部采集数据等数据库。其中宏观经济数据主要来自国家统计局，部分行业统计数据主要来自国家统计局及市场调研数据，企业数据主要来自于国家统计局规模企业统计数据库及证券交易所等，价格数据主要来自于各类市场监测数据库。本研究报告采用的行业分析方法包括波特五力模型分析法、SWOT分析法、PEST分析法，对行业进行全面的内外部环境分析，同时通过资深分析师对目前国家经济形势的走势以及市场发展趋势和当前行业热点分析，预测行业未来的发展方向、新兴热点、市场空间、技术趋势以及未来发展战略等。

【报告大纲】

第一章 2017-2020年中国罕见病行业发展概述

第一节 罕见病行业发展情况概述

- 一、罕见病行业相关定义
- 二、罕见病行业基本情况介绍
- 三、罕见病行业发展特点分析

第二节 中国罕见病行业上下游产业链分析

- 一、产业链模型原理介绍
- 二、罕见病行业产业链条分析
- 三、中国罕见病行业上游环节分析
- 四、中国罕见病行业下游环节分析

第三节 中国罕见病行业生命周期分析

- 一、罕见病行业生命周期理论概述
- 二、罕见病行业所属的生命周期分析

第四节 罕见病行业经济指标分析

- 一、罕见病行业的赢利性分析
- 二、罕见病行业的经济周期分析
- 三、罕见病行业附加值的提升空间分析

第五节 中国罕见病行业进入壁垒分析

- 一、罕见病行业资金壁垒分析
- 二、罕见病行业技术壁垒分析

- 三、罕见病行业人才壁垒分析
- 四、罕见病行业品牌壁垒分析
- 五、罕见病行业其他壁垒分析

第二章 2017-2020年全球罕见病行业市场发展现状分析

- 第一节 全球罕见病行业发展历程回顾
- 第二节 全球罕见病行业市场区域分布情况
- 第三节 亚洲罕见病行业地区市场分析
 - 一、亚洲罕见病行业市场现状分析
 - 二、亚洲罕见病行业市场规模与市场需求分析
 - 三、亚洲罕见病行业市场前景分析
- 第四节 北美罕见病行业地区市场分析
 - 一、北美罕见病行业市场现状分析
 - 二、北美罕见病行业市场规模与市场需求分析
 - 三、北美罕见病行业市场前景分析
- 第五节 欧盟罕见病行业地区市场分析
 - 一、欧盟罕见病行业市场现状分析
 - 二、欧盟罕见病行业市场规模与市场需求分析
 - 三、欧盟罕见病行业市场前景分析
- 第六节 2021-2026年世界罕见病行业分布走势预测
- 第七节 2021-2026年全球罕见病行业市场规模预测

第三章 中国罕见病产业发展环境分析

- 第一节 我国宏观经济环境分析
 - 一、中国GDP增长情况分析
 - 二、工业经济发展形势分析
 - 三、社会固定资产投资分析
 - 四、全社会消费品罕见病总额
 - 五、城乡居民收入增长分析
 - 六、居民消费价格变化分析
 - 七、对外贸易发展形势分析
- 第二节 中国罕见病行业政策环境分析
 - 一、行业监管体制现状
 - 二、行业主要政策法规
- 第三节 中国罕见病产业社会环境发展分析

- 一、人口环境分析
- 二、教育环境分析
- 三、文化环境分析
- 四、生态环境分析
- 五、消费观念分析

第四章 中国罕见病行业运行情况

第一节 中国罕见病行业发展状况情况介绍

- 一、行业发展历程回顾
- 二、行业创新情况分析
- 三、行业发展特点分析
- 四、行业发展动态

第二节 中国罕见病行业市场规模分析

第三节 中国罕见病行业供应情况分析

第四节 中国罕见病行业需求情况分析

第五节 中国罕见病行业供需平衡分析

第六节 中国罕见病行业发展趋势分析

第五章 中国罕见病所属行业运行数据监测

第一节 中国罕见病所属行业总体规模分析

- 一、企业数量结构分析
- 二、行业资产规模分析

第二节 中国罕见病所属行业产销与费用分析

- 一、流动资产
- 二、销售收入分析
- 三、负债分析
- 四、利润规模分析
- 五、产值分析

第三节 中国罕见病所属行业财务指标分析

- 一、行业盈利能力分析
- 二、行业偿债能力分析
- 三、行业营运能力分析
- 四、行业发展能力分析

第六章 2017-2020年中国罕见病市场格局分析

第一节 中国罕见病行业竞争现状分析

一、中国罕见病行业竞争情况分析

二、中国罕见病行业主要品牌分析

第二节 中国罕见病行业集中度分析

一、中国罕见病行业市场集中度分析

二、中国罕见病行业企业集中度分析

第三节 中国罕见病行业存在的问题

第四节 中国罕见病行业解决问题的策略分析

第五节 中国罕见病行业竞争力分析

一、生产要素

二、需求条件

三、支援与相关产业

四、企业战略、结构与竞争状态

五、政府的作用

第六节 产业结构发展预测

一、产业结构调整指导政策分析

二、产业结构调整中消费者需求的引导因素

三、中国罕见病行业参与国际竞争的战略市场定位

四、产业结构调整方向分析

第七章 2017-2020年中国罕见病行业需求特点与动态分析

第一节 中国罕见病行业消费者基本情况

第二节 中国罕见病行业消费者属性及偏好调查

第三节 罕见病行业成本分析

第四节 罕见病行业价格影响因素分析

一、供需因素

二、成本因素

三、其他因素

第五节 中国罕见病行业价格现状分析

第六节 中国罕见病行业平均价格走势预测

一、中国罕见病行业价格影响因素

二、中国罕见病行业平均价格走势预测

三、中国罕见病行业平均价格增速预测

第八章 2017-2020年中国罕见病行业区域市场现状分析

第一节 中国罕见病行业区域市场规模分布

第二节 中国华东地区罕见病市场分析

- 一、华东地区概述
- 二、华东地区经济环境分析
- 三、华东地区罕见病市场规模分析
- 四、华东地区罕见病市场规模预测

第三节 华北地区市场分析

- 一、华北地区概述
- 二、华北地区经济环境分析
- 三、华北地区罕见病市场规模分析
- 四、华北地区罕见病市场规模预测

第四节 华南地区市场分析

- 一、华南地区概述
- 二、华南地区经济环境分析
- 三、华南地区罕见病市场规模分析
- 四、华南地区罕见病市场规模预测

第九章 2017-2020年中国罕见病行业竞争情况

第一节 中国罕见病行业竞争结构分析（波特五力模型）

- 一、现有企业间竞争
- 二、潜在进入者分析
- 三、替代品威胁分析
- 四、供应商议价能力
- 五、客户议价能力

第二节 中国罕见病行业SWOT分析

- 一、行业优势分析
- 二、行业劣势分析
- 三、行业机会分析
- 四、行业威胁分析

第三节 中国罕见病行业竞争环境分析（PEST）

- 一、政策环境
- 二、经济环境
- 三、社会环境
- 四、技术环境

第十章 罕见病行业企业分析（随数据更新有调整）

第一节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况
- 四、公司优劣势分析

第二节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况
- 四、公司优劣势分析

第三节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况
- 四、公司优劣势分析

第四节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况
- 四、公司优劣势分析

第五节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况
- 四、公司优劣势分析

第六节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况
- 四、公司优劣势分析

第七节 企业

- 一、企业概况
- 二、主营业务
- 三、运营情况

四、公司优劣势分析

第八节 企业

一、企业概况

二、主营业务

三、运营情况

四、公司优劣势分析

第九节 企业

一、企业概况

二、主营业务

三、运营情况

四、公司优劣势分析

第十节 企业

一、企业概况

二、主营业务

三、运营情况

四、公司优劣势分析

第十一章 2021-2026年中国罕见病行业发展前景分析与预测

第一节 中国罕见病行业未来发展前景分析

一、罕见病行业国内投资环境分析

二、中国罕见病行业市场机会分析

三、中国罕见病行业投资增速预测

第二节 中国罕见病行业未来发展趋势预测

第三节 中国罕见病行业市场发展预测

一、中国罕见病行业市场规模预测

二、中国罕见病行业市场规模增速预测

三、中国罕见病行业产值规模预测

四、中国罕见病行业产值增速预测

五、中国罕见病行业供需情况预测

第四节 中国罕见病行业盈利走势预测

一、中国罕见病行业毛利润同比增速预测

二、中国罕见病行业利润总额同比增速预测

第十二章 2021-2026年中国罕见病行业投资机遇、风险与营销分析

第一节 罕见病产业投资面临的机遇

一、政策机遇

二、技术创新机遇

三、市场机遇

四、其他机遇

第二节 罕见病行业投资风险分析

一、罕见病行业政策风险分析

二、罕见病行业技术风险分析

三、罕见病行业竞争风险

四、罕见病行业其他风险分析

第三节 罕见病行业企业经营发展分析及建议

一、罕见病行业经营模式

二、罕见病行业销售模式

三、罕见病行业创新方向

第四节 罕见病行业应对策略

一、把握国家投资的契机

二、竞争性战略联盟的实施

三、企业自身应对策略

第十三章 2021-2026年中国罕见病行业发展战略及规划建议

第一节 中国罕见病行业品牌战略分析

一、罕见病企业品牌的重要性

二、罕见病企业实施品牌战略的意义

三、罕见病企业品牌的现状分析

四、罕见病企业的品牌战略

五、罕见病品牌战略管理的策略

第二节 中国罕见病行业市场重点客户战略实施

一、实施重点客户战略的必要性

二、合理确立重点客户

三、对重点客户的营销策略

四、强化重点客户的管理

五、实施重点客户战略要重点解决的问题

第三节 中国罕见病行业战略综合规划分析

一、战略综合规划

二、技术开发战略

三、业务组合战略

- 四、区域战略规划
- 五、产业战略规划
- 六、营销品牌战略
- 七、竞争战略规划

第十四章 2021-2026年中国罕见病行业发展策略及投资建议

第一节 中国罕见病行业产品策略分析

- 一、服务产品开发策略
- 二、市场细分策略
- 三、目标市场的选择

第二节 中国罕见病行业定价策略分析

第三节 中国罕见病行业营销渠道策略

- 一、罕见病行业渠道选择策略
- 二、罕见病行业营销策略

第四节 中国罕见病行业价格策略

第五节 观研天下行业分析师投资建议

- 一、中国罕见病行业重点投资区域分析
- 二、中国罕见病行业重点投资产品分析

图表详见正文

更多好文每日分享，欢迎关注公众号

详细请访问：<http://baogao.chinabaogao.com/zhongxiyao/509710509710.html>