

中国罕见病药行业现状深度研究与发展前景分析 报告（2024-2031年）

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《中国罕见病药行业现状深度研究与发展前景分析报告（2024-2031年）》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://www.chinabaogao.com/baogao/202402/693604.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

罕见病，又称“孤儿病”，指那些发病率极低的疾病，即新生儿是发病率小于0.01%、患病率小于0.01%、患病人数小于14万的疾病。罕见病要通过罕见病药品来治疗，而罕见病药品的研发困难重重，行业进入壁垒也较高，一方面因为罕见病药品投入资金大、研究周期长，经济效益低；另一方面罕见病确切病因不明，且多为先天性疾病，其本身研究治疗年度也较大。

对于有着庞大人口基数的中国来说，罕见病并不罕见，当前中国罕见病患者大约有1680万人，且罕见病患者对罕见病药的需求较为急迫，而罕见病药品在市面上是极度欠缺的。《“破局最后一公里”——罕见病国谈药落地情况调研报告及政策建议（2023）》建议，各地卫健部门指导医疗机构完善罕见病谈判药品临时采购相关规定，优化流程，为临床有需求的罕见病患者增设药品进院绿色通道。

在2024年2月4日，国家药监局发布的2023年度药品审评报告中，批准罕见病用药45个品种（未包括化药4类罕见病用药），其中15个品种（33.3%）通过优先审评审批程序得以加快上市，1个附条件批准上市；批准儿童用药产品92个品种；批准CAR-T细胞治疗产品3个。

2023年通过优先审评审批程序批准的罕见病用药

种类

具体概述

化学药品

尼替西农口服悬浊液、尼替西农胶囊、硫酸氢司美替尼胶囊、氯马昔巴特口服溶液、西罗莫司凝胶、卡谷氨酸分散片、口服用苯丁酸甘油酯、司替戊醇干混悬剂、醋酸氟氢可的松片、卡谷氨酸片、盐酸曲恩汀片

治疗用生物制品

人凝血因子、纳鲁索拜单抗注射液、注射用艾夫糖苷酶、阿那白滞素注射液（预充式）

资料来源：国家药品监督管理局、观研天下整理

全球范围来看，全球目前已知的罕见病超过7000种，全球罕见病患者已超过3亿。因此越来越多的跨国制药企业通过收购和扩大罕见病药物研发管道，进入该局罕见病市场，加速跑马圈地。例如早在2019年，强生入局基因治疗，研发罕见遗传病的基因治疗；同年，辉瑞在罕见病公司Therachonhoholding成功完成收购，获得TA-46罕见病研究药物；罗氏以43亿美元的价格收购了获得FDA孤儿药物认定资质的基因药物卢克纳，并通过布局基因治疗扩展

了其在罕见病领域的布局；2021年9月，默沙东宣布开始布局罕见病领域，丰富了罕见病领域的药品管道，并以115亿美元收购Accelron。国内来看，近些年来随着我国对罕见病的重视程度不断提高，本土制药企业也纷纷入局，推动国内罕见病药物的研发和创新。

政策方面：近些年来，罕见病患者逐渐增多，为了促进罕见病药行业的发展，我国陆续发布了许多政策，如2023年国家药监局发布的《关于进一步加强中药科学监管促进中药传承创新发展的若干措施》提出鼓励并扶持用于重大疾病、罕见病，或者儿童用中药新药的研制，对符合规定情形的相关注册申请实行优先审评审批。

我国罕见病药行业相关政策

发布时间

发布部门

政策名称

主要内容

2017年10月

国务院

关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见

支持罕见病治疗药品医疗器械研发。国家卫生计生委或由其委托有关行业协（学）会公布罕见病目录，建立罕见病患者登记制度。罕见病治疗药品医疗器械注册申请人可提出减免临床试验的申请。对境外已批准上市的罕见病治疗药品医疗器械，可附带条件批准上市，企业应制定风险管控计划，按要求开展研究。

2021年3月

全国人大

中华人民共和国国民经济和社会发展第十四个五年规划和2035年远景目标纲要

完善创新药物、疫苗、医疗器械等快速审评审批机制，加快临床急需和罕见病治疗药品、医疗器械审评审批，促进临床急需境外已上市新药和医疗器械尽快在境内上市。

2021年12月

国家药监局

“十四五”国家药品安全及促进高质量发展规划

鼓励具有临床价值的新药和临床急需仿制药研发上市，对具有明显临床价值的创新药，防治艾滋病、恶性肿瘤、重大传染病、罕见病等疾病的临床急需药品以及儿童用药，符合条件的予以优先审评审批。

2023年1月

国家药监局

关于进一步加强中药科学监管 促进中药传承创新发展的若干措施

鼓励并扶持用于重大疾病、罕见病，或者儿童用中药新药的研制，对符合规定情形的相关注册申请实行优先审评审批。

资料来源：观研天下整理

为了响应国家号召，各省市积极推动罕见病药行业的发展，比如广西壮族自治区发布的《广西贯彻落实 质量强国建设纲要 实施方案》提出加强药品和疫苗全生命周期管理，推动临床急需和罕见病治疗药品、医疗器械审评审批提速，推进药品检验检测和生物制品（疫苗）批签发能力建设，优化中药审评机制，开展壮瑶药认定或认证工作。

部分省市罕见病药行业相关政策

省市

发布时间

政策名称

主要内容

安徽省

2022年1月

安徽省“十四五”科技创新规划

开展肿瘤、心脑血管疾病、老年退行性疾病等重大疾病、罕见病的创新药物研制。

河北省

2022年8月

河北省深化医药卫生体制改革2022年重点工作任务

稳步推进药品供应保障制度建设。加强罕见病用药保障。对市场供应不稳定的药品，通过完善和落实集中采购政策、强化生产支持等方式保障供应。

江西省

2022年8月

江西省深化医药卫生体制改革2022年下半年重点工作任务

健全药品协同监测机制，强化药品短缺分级应对。加强罕见病用药保障。

山西省

2022年10月

山西省深化医药卫生体制改革2022年重点工作任务

健全药品协同监测机制，强化药品短缺分级应对。加强罕见病用药保障。

广西壮族自治区

2023年5月

广西贯彻落实 质量强国建设纲要 实施方案

加强药品和疫苗全生命周期管理，推动临床急需和罕见病治疗药品、医疗器械审评审批提速

，推进药品检验检测和生物制品（疫苗）批签发能力建设，优化中药审评机制，开展壮瑶药认定或认证工作。

江西省

2023年7月

江西省制造业重点产业链现代化建设“1269”行动计划（2023-2026年）

发展免疫组化分析仪、眼科测量诊断设备、大型医学影像设备、智能诊断软件，加快发展针对罕见病、恶性肿瘤的新型诊断试剂。

资料来源：观研天下整理（LJ）

注：上述信息仅供参考，具体内容请以报告正文为准。

观研报告网发布的《中国罕见病药行业现状深度研究与发展前景分析报告（2024-2031年）》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，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。

行业报告是业内企业、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。

【目录大纲】

第一章 2019-2023年中国罕见病药行业发展概述

第一节 罕见病药行业发展情况概述

一、罕见病药行业相关定义

二、罕见病药特点分析

三、罕见病药行业基本情况介绍

四、罕见病药行业经营模式

1、生产模式

2、采购模式

3、销售/服务模式

五、罕见病药行业需求主体分析

第二节 中国罕见病药行业生命周期分析

一、罕见病药行业生命周期理论概述

二、罕见病药行业所属的生命周期分析

第三节 罕见病药行业经济指标分析

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

第二章 2019-2023年全球罕见病药行业市场发展现状分析

第一节 全球罕见病药行业发展历程回顾

第二节 全球罕见病药行业市场规模与区域分布情况

第三节 亚洲罕见病药行业地区市场分析

- 一、亚洲罕见病药行业市场现状分析
- 二、亚洲罕见病药行业市场规模与市场需求分析
- 三、亚洲罕见病药行业市场前景分析

第四节 北美罕见病药行业地区市场分析

- 一、北美罕见病药行业市场现状分析
- 二、北美罕见病药行业市场规模与市场需求分析
- 三、北美罕见病药行业市场前景分析

第五节 欧洲罕见病药行业地区市场分析

- 一、欧洲罕见病药行业市场现状分析
- 二、欧洲罕见病药行业市场规模与市场需求分析
- 三、欧洲XX行业市场前景分析

第六节 2024-2031年世界罕见病药行业分布走势预测

第七节 2024-2031年全球罕见病药行业市场规模预测

第三章 中国罕见病药行业产业发展环境分析

第一节 我国宏观经济环境分析

第二节 我国宏观经济环境对罕见病药行业的影响分析

第三节 中国罕见病药行业政策环境分析

- 一、行业监管体制现状
- 二、行业主要政策法规
- 三、主要行业标准

第四节 政策环境对罕见病药行业的影响分析

第五节 中国罕见病药行业产业社会环境分析

第四章 中国罕见病药行业运行情况

第一节 中国罕见病药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

第二节 中国罕见病药行业市场规模分析

一、影响中国罕见病药行业市场规模的因素

二、中国罕见病药行业市场规模

三、中国罕见病药行业市场规模解析

第三节 中国罕见病药行业供应情况分析

一、中国罕见病药行业供应规模

二、中国罕见病药行业供应特点

第四节 中国罕见病药行业需求情况分析

一、中国罕见病药行业需求规模

二、中国罕见病药行业需求特点

第五节 中国罕见病药行业供需平衡分析

第五章 中国罕见病药行业产业链和细分市场分析

第一节 中国罕见病药行业产业链综述

一、产业链模型原理介绍

二、产业链运行机制

三、罕见病药行业产业链图解

第二节 中国罕见病药行业产业链环节分析

一、上游产业发展现状

二、上游产业对罕见病药行业的影响分析

三、下游产业发展现状

四、下游产业对罕见病药行业的影响分析

第三节 我国罕见病药行业细分市场分析

一、细分市场一

二、细分市场二

第六章 2019-2023年中国罕见病药行业市场竞争分析

第一节 中国罕见病药行业竞争现状分析

一、中国罕见病药行业竞争格局分析

二、中国罕见病药行业主要品牌分析

第二节 中国罕见病药行业集中度分析

一、中国罕见病药行业市场集中度影响因素分析

二、中国罕见病药行业市场集中度分析

第三节 中国罕见病药行业竞争特征分析

一、企业区域分布特征

二、企业规模分布特征

三、企业所有制分布特征

第七章 2019-2023年中国罕见病药行业模型分析

第一节 中国罕见病药行业竞争结构分析（波特五力模型）

- 一、波特五力模型原理
- 二、供应商议价能力
- 三、购买者议价能力
- 四、新进入者威胁
- 五、替代品威胁
- 六、同业竞争程度
- 七、波特五力模型分析结论

第二节 中国罕见病药行业SWOT分析

- 一、SOWT模型概述
- 二、行业优势分析
- 三、行业劣势
- 四、行业机会
- 五、行业威胁
- 六、中国罕见病药行业SWOT分析结论

第三节 中国罕见病药行业竞争环境分析（PEST）

- 一、PEST模型概述
- 二、政策因素
- 三、经济因素
- 四、社会因素
- 五、技术因素
- 六、PEST模型分析结论

第八章 2019-2023年中国罕见病药行业需求特点与动态分析

第一节 中国罕见病药行业市场动态情况

第二节 中国罕见病药行业消费市场特点分析

- 一、需求偏好
- 二、价格偏好
- 三、品牌偏好
- 四、其他偏好

第三节 罕见病药行业成本结构分析

第四节 罕见病药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 中国罕见病药行业价格现状分析

第六节 中国罕见病药行业平均价格走势预测

一、中国罕见病药行业平均价格趋势分析

二、中国罕见病药行业平均价格变动的影响因素

第九章 中国罕见病药行业所属行业运行数据监测

第一节 中国罕见病药行业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 中国罕见病药行业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 中国罕见病药行业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

第十章 2019-2023年中国罕见病药行业区域市场现状分析

第一节 中国罕见病药行业区域市场规模分析

一、影响罕见病药行业区域市场分布的因素

二、中国罕见病药行业区域市场分布

第二节 中国华东地区罕见病药行业市场分析

一、华东地区概述

二、华东地区经济环境分析

三、华东地区罕见病药行业市场分析

(1) 华东地区罕见病药行业市场规模

(2) 华南地区罕见病药行业市场现状

(3) 华东地区罕见病药行业市场规模预测

第三节 华中地区市场分析

一、华中地区概述

二、华中地区经济环境分析

三、华中地区罕见病药行业市场分析

(1) 华中地区罕见病药行业市场规模

(2) 华中地区罕见病药行业市场现状

(3) 华中地区罕见病药行业市场规模预测

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、华南地区罕见病药行业市场分析

(1) 华南地区罕见病药行业市场规模

(2) 华南地区罕见病药行业市场现状

(3) 华南地区罕见病药行业市场规模预测

第五节 华北地区罕见病药行业市场分析

一、华北地区概述

二、华北地区经济环境分析

三、华北地区罕见病药行业市场分析

(1) 华北地区罕见病药行业市场规模

(2) 华北地区罕见病药行业市场现状

(3) 华北地区罕见病药行业市场规模预测

第六节 东北地区市场分析

一、东北地区概述

二、东北地区经济环境分析

三、东北地区罕见病药行业市场分析

(1) 东北地区罕见病药行业市场规模

(2) 东北地区罕见病药行业市场现状

(3) 东北地区罕见病药行业市场规模预测

第七节 西南地区市场分析

一、西南地区概述

二、西南地区经济环境分析

三、西南地区罕见病药行业市场分析

(1) 西南地区罕见病药行业市场规模

(2) 西南地区罕见病药行业市场现状

(3) 西南地区罕见病药行业市场规模预测

第八节 西北地区市场分析

一、西北地区概述

二、西北地区经济环境分析

三、西北地区罕见病药行业市场分析

(1) 西北地区罕见病药行业市场规模

(2) 西北地区罕见病药行业市场现状

(3) 西北地区罕见病药行业市场规模预测

第十一章 罕见病药行业企业分析 (随数据更新有调整)

第一节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

1、主要经济指标情况

2、企业盈利能力分析

3、企业偿债能力分析

4、企业运营能力分析

5、企业成长能力分析

四、公司优势分析

第二节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优劣势分析

第三节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第四节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第五节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第六节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第七节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第八节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第九节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第十节 企业

一、企业概况

二、主营产品

三、运营情况

四、公司优势分析

第十二章 2024-2031年中国罕见病药行业发展前景分析与预测

第一节 中国罕见病药行业未来发展前景分析

一、罕见病药行业国内投资环境分析

二、中国罕见病药行业市场机会分析

三、中国罕见病药行业投资增速预测

第二节 中国罕见病药行业未来发展趋势预测

第三节 中国罕见病药行业规模发展预测

一、中国罕见病药行业市场规模预测

二、中国罕见病药行业市场规模增速预测

三、中国罕见病药行业产值规模预测

四、中国罕见病药行业产值增速预测

五、中国罕见病药行业供需情况预测

第四节 中国罕见病药行业盈利走势预测

第十三章 2024-2031年中国罕见病药行业进入壁垒与投资风险分析

第一节 中国罕见病药行业进入壁垒分析

一、罕见病药行业资金壁垒分析

二、罕见病药行业技术壁垒分析

三、罕见病药行业人才壁垒分析

四、罕见病药行业品牌壁垒分析

五、罕见病药行业其他壁垒分析

第二节 罕见病药行业风险分析

一、罕见病药行业宏观环境风险

二、罕见病药行业技术风险

三、罕见病药行业竞争风险

四、罕见病药行业其他风险

第三节 中国罕见病药行业存在的问题

第四节 中国罕见病药行业解决问题的策略分析

第十四章 2024-2031年中国罕见病药行业研究结论及投资建议

第一节 观研天下中国罕见病药行业研究综述

一、行业投资价值

二、行业风险评估

第二节 中国罕见病药行业进入策略分析

一、行业目标客户群体

二、细分市场选择

三、区域市场的选择

第三节 罕见病药行业营销策略分析

一、罕见病药行业产品策略

二、罕见病药行业定价策略

三、罕见病药行业渠道策略

四、罕见病药行业促销策略

第四节 观研天下分析师投资建议

详细请访问：<http://www.chinabaogao.com/baogao/202402/693604.html>