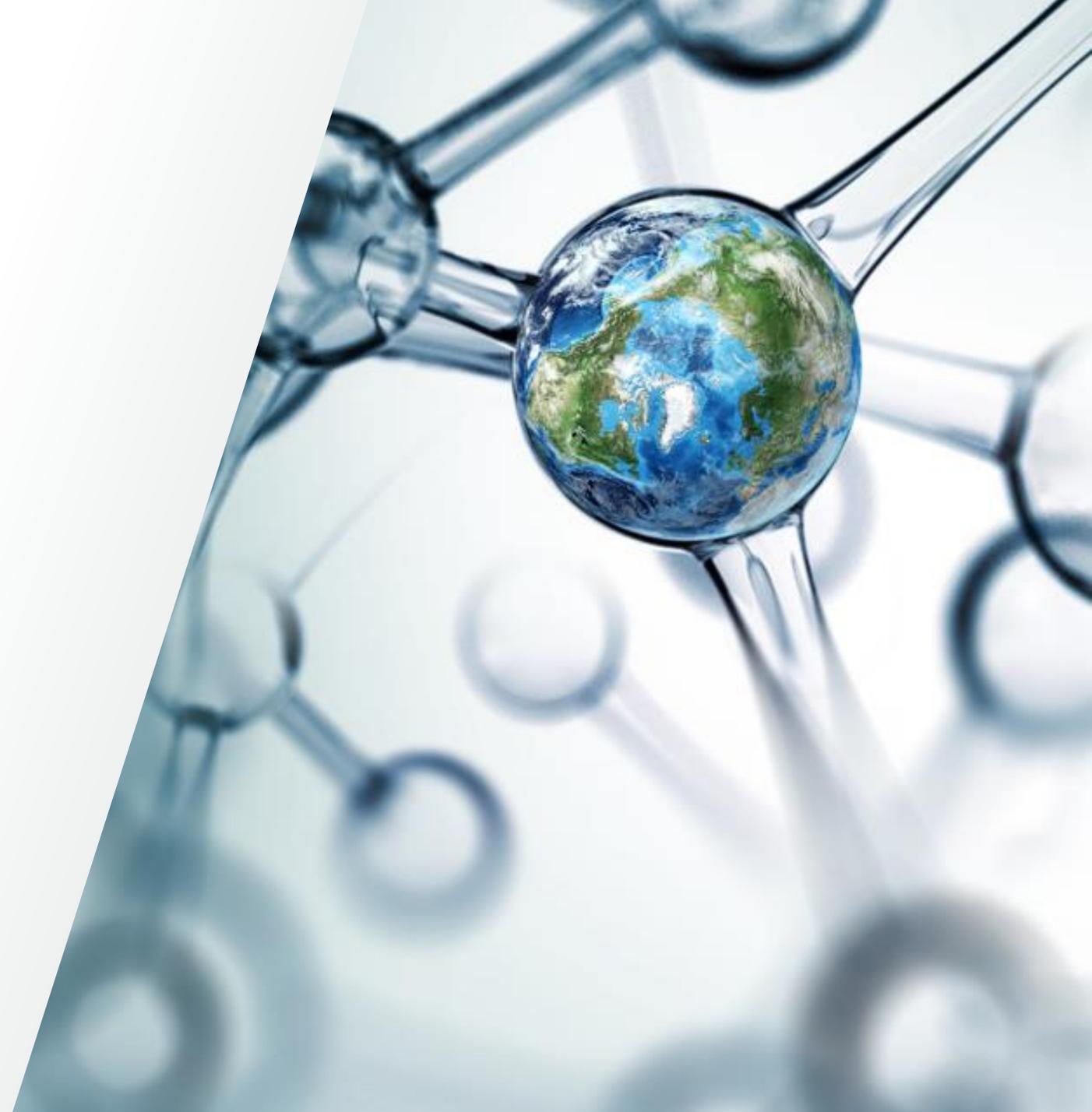


# 规模VS敏捷

## 创新药出海的进阶之道

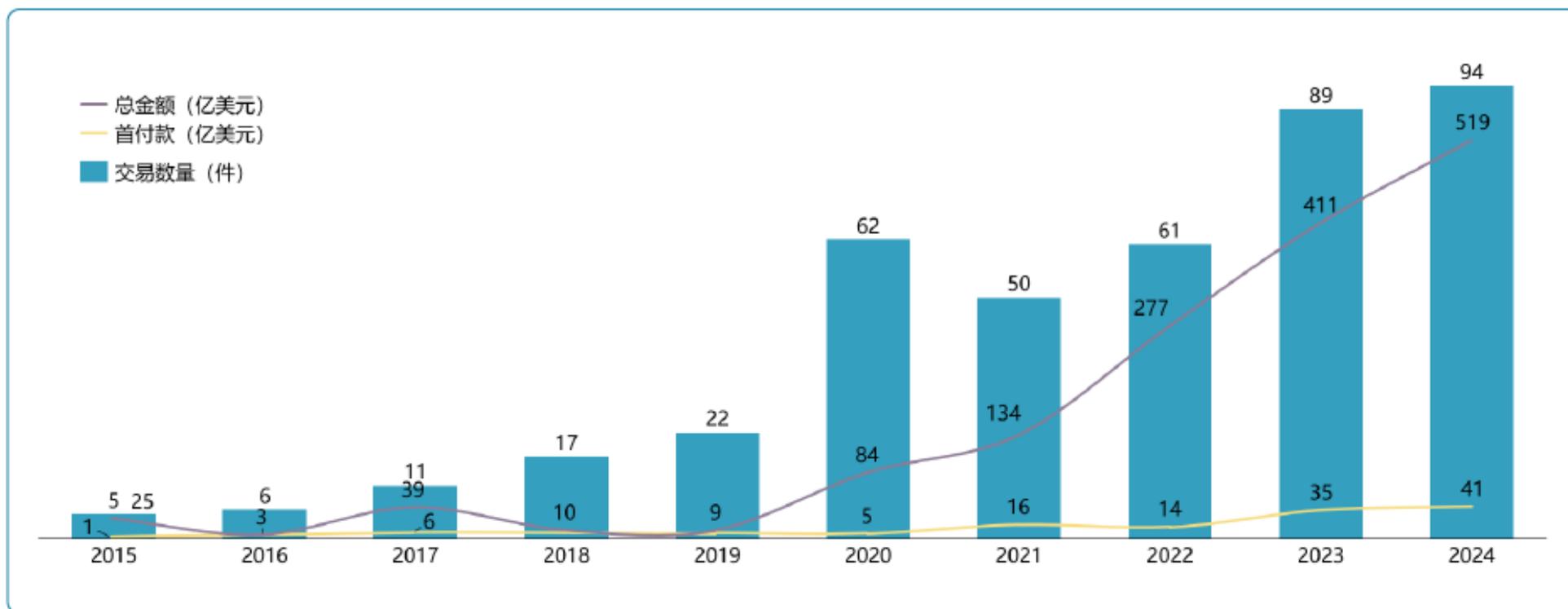
Corrine Hu

 科学服务领域的世界领导者



# 出海趋势：中国创新药加速全球布局，国际化市场拓展步伐加快

## 2015-2024中国药企License-out交易统计



数据来源：医药魔方NextPharma数据库

数据说明：数据统计范围为2015-2024年期间中国企业达成的License-out交易，包括创新药和创新技术平台的相关交易。License-out交易金额和首付款仅统计有公开披露的交易数据。中国交易数据涵盖中国内地数据，不包括港澳台数据。

# 全球化布局模式多元化：从单点突破到生态协同

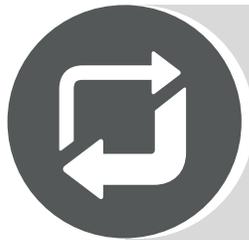
对外授权（License-out）：早期出海以License-out为主，仅转移产品权益

## 其它出海方式：



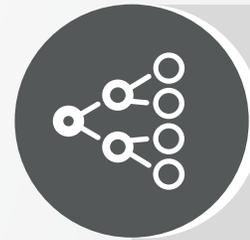
### 自主出海

自建商业化团队，并布局全球供应链



### NewCo

引入国际资本并共享股权，将研发、临床与商业化环节深度绑定



### 并购

通过被跨国药企收购，直接获取国际渠道资源，实现技术、品牌与市场的同步输出

# 中国生物药出海路径探讨

“ 现金流充裕 + 成熟管线 ”

优先选择**自建 + 合作并行的模式**，构建全球化能力

“ 现金流紧张 + 技术领先 ”

通过**license-out**快速回血，保留部分区域权益

“ 早期管线 + 差异化技术 ”

采用**NewCo**模式吸引资本，锁定远期收益

“ 后期管线 + 技术平台匹配 + 资源有限 ”

寻求被**并购**实现技术与资本双退出

## 现金流

现金流充裕的企业  
(Big pharma/成熟 Biotech)

自主出海+license-out/  
New Co模式并行

现金流紧张的企业  
(早期 Biotech)

license-out优先，  
早期管线可尝试NewCo

## 管线阶段

早期管线  
(临床 II 期及之前)

通过早期管线的license-out授权获取资金支持后续研发。若产品技术独特，则吸引战略投资者成立NewCo，以分担风险，专注管线开发，避免过早消耗自有资金。

后期管线  
(III 期/商业化)

现金流充裕，则自建团队及生产基地，筹备自主出海。资源有限，则凭借技术平台和成熟产品线，寻求合作外包或者被并购。

# 自主出海的挑战贯穿研发、临床、生产及市场准入各个环节

药物研发阶段	国际临床开发阶段	生产阶段	市场准入阶段
<ul style="list-style-type: none"> <li>技术创新</li> <li>临床价值与市场需求匹配</li> <li>知识产权与法律风险</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>临床试验标准差异</li> <li>数据认可与互认</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>生产质量体系认证滞后（法规和合规性要求）</li> <li>工艺放大技术风险（技术转移与放大）</li> <li>复杂生产供应链管理（生产供应链环节复杂）</li> <li>供应链稳定性（全球化采购、运输、仓储；地缘政治风险）</li> <li>成本管控（支出和回报相平衡）</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>支付体系复杂性</li> <li>品牌建设与渠道推广</li> <li>缺乏本土经验</li> </ul>



# 海外生产的风险和对策



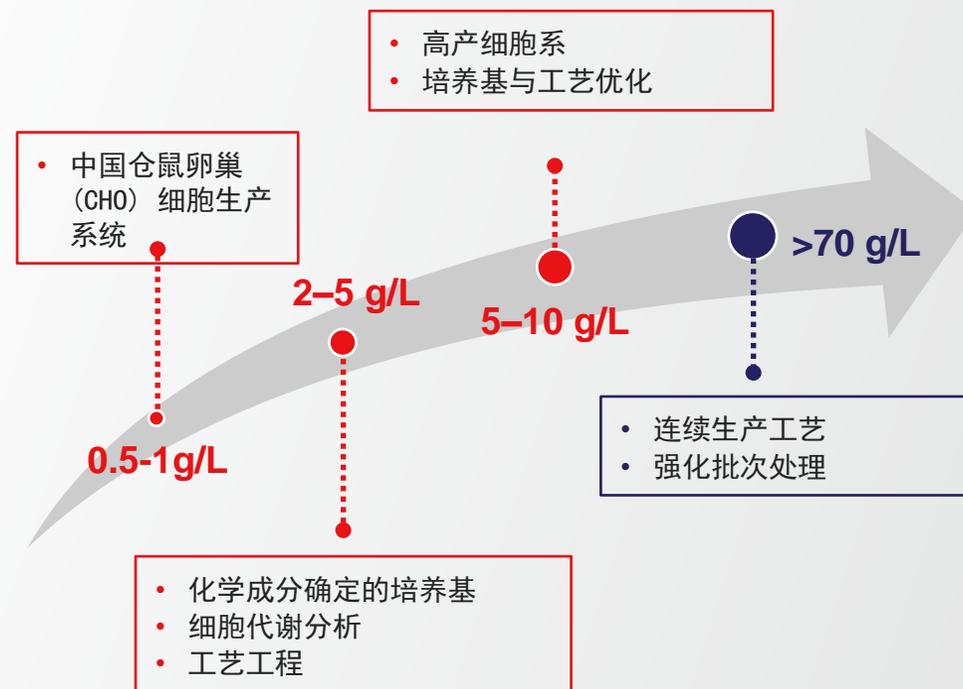
敏捷的商业化生产模式  
— 5kL DynaDrive™

# 推动生物制药生产的市场趋势及创新需求

**1** 当前临床研发管线的分子药物需要中等规模的产能，传统的大型不锈钢生物反应器由于资本投入较高、灵活性不足、设置时间较长、污染风险较高以及与当前的市场趋势和监管环境脱节等原因而不适用。<sup>1, 2</sup>

“美国，欧洲、中东和非洲市场有 1,600 条临床研发管线。88% 采用哺乳动物细胞培养系统进行生产。当前处于后期开发阶段（II/III 期）的重组产品中，近四分之三可通过单个 2,000L 或 5,000L 生物反应器满足生产需求。”<sup>1</sup>

**2** 工艺强化可以提升中型一次性生物反应器的产能，为药物研发与生产提供了一种更可持续且经济高效的可扩展替代方案。



<sup>1</sup> 《2023 年世界制药原料展览会 (CPHI) 年度报告》(假设每个生物反应器每年生产 18 个批次, 成功率为 90%)

<sup>2</sup> 该报告发布于 2023 年世界制药原料巴塞罗那展览会召开之前

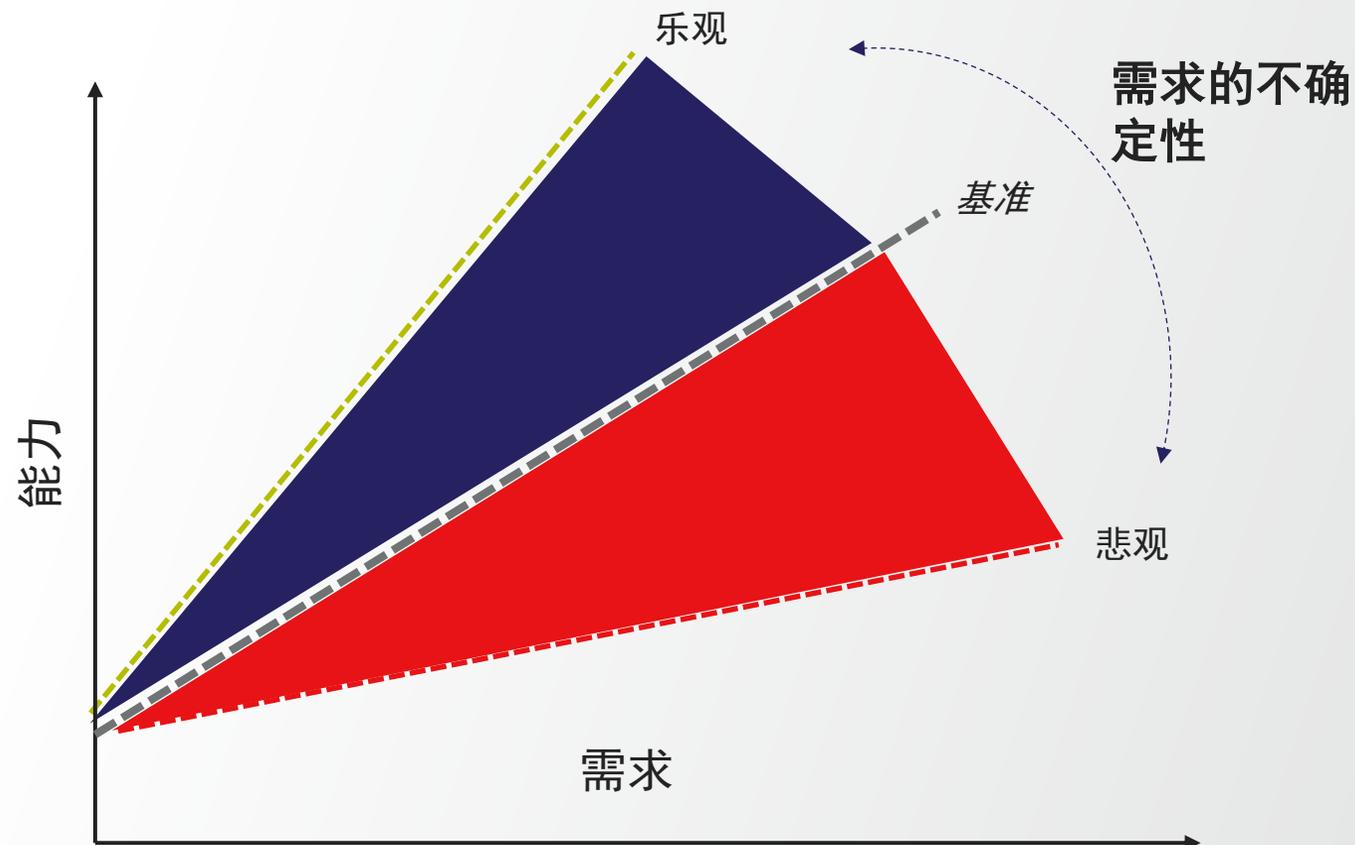
# 需求预测悖论

使用 5,000L (5K) 一次性生物反应器，灵活实现生产规模从中型到大型的扩展

在早期阶段以中小型规模生产蛋白质，后期阶段和商业化阶段随着需求的增加扩大到更大规模，这是非常普遍的现象。

**为避免药品短缺，生物技术公司和制药企业可采取以下措施：**

- 在需求增长前提前增加产能
- 基于乐观需求预测规划产能



# 需求预测悖论

使用 5,000L (5K) 一次性生物反应器，灵活实现从中型到大型的生产规模放大

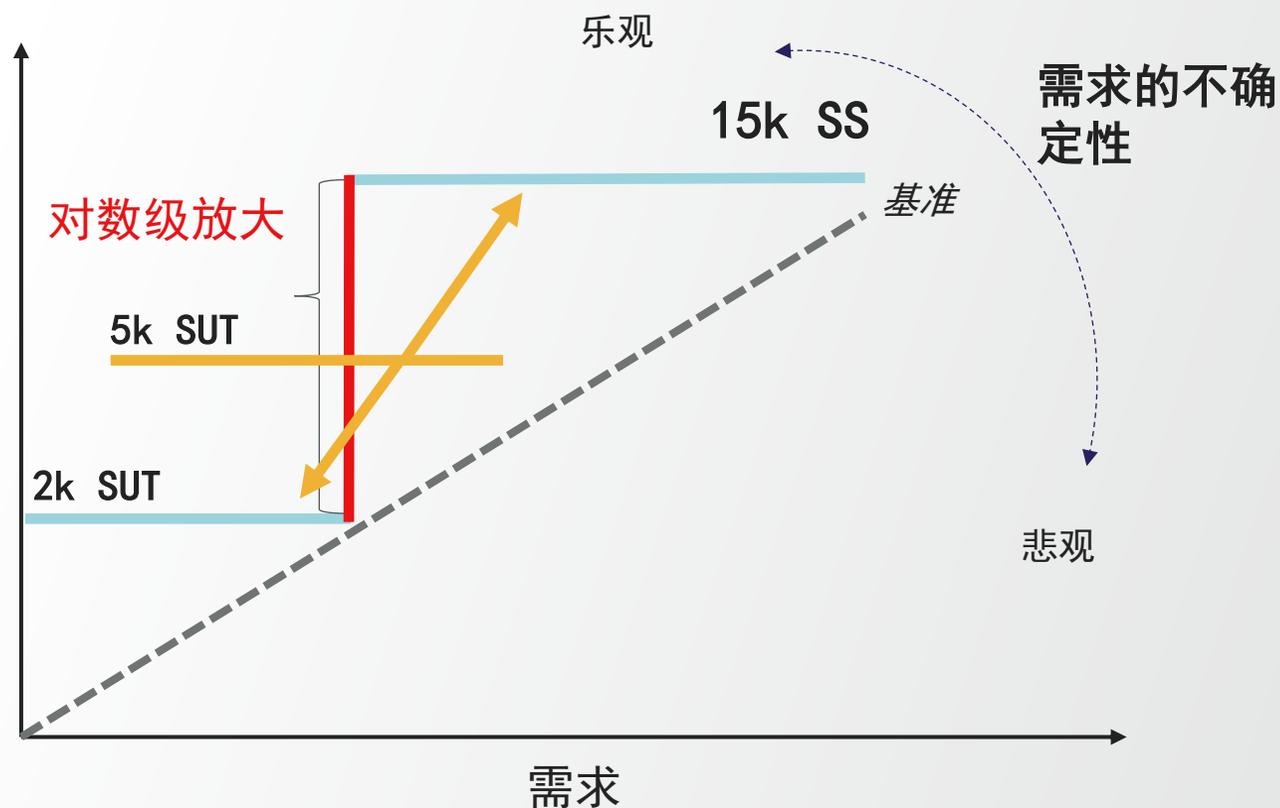
产能从 2,000L 放大到 15,000L 或更大规模是较为常见的，但这意味着在以下方面呈对数级增长：

- 成本增加
- 风险增大
- 时间延长
- 投入加大

5,000L (5K) 生物反应器填补了 2,000L (2K) 生物反应器与不锈钢生物反应器之间的空白

- 可根据市场需求灵活调整产能（扩大产能或缩减产能）
- 采用 2 台 5,000L (5K) 的一次性生物反应器同时进行生产，相较于大型不锈钢生物反应器，更具可靠性、灵活性、可持续性，而且成本更低。

5,000L (5K) 生物反应器是最佳方案





## 案例分享

通过赛默飞制药服务顺利推进药物在美国上市

## 项目概况：

- 一款拟在美国/欧盟上市的创新药物
- 在 I 期临床试验阶段，实现生物原液和生物药生产技术从国内工厂转移到全球工厂，以便顺利完成 III 期临床材料（CTM）生产及商业化

项目讨论	前期沟通 确定策略并发布 RFP 设施适配评估 方案发布、评审与修订 访问工厂/工厂审核 法律合同审查与签署	
项目执行	项目启动会议 技术转移与优化 临床试验材料批次 工艺表征研究 工艺验证研究 工艺性能确认（PPQ）	
临床试验进展情况	临床 I 期 临床 II 期 临床 III 期 上市	



## 临床策略

- 中美同步推进 I 期和 II 期临床试验。
- 中美临床试验互不影响——中国的临床试验仅限中国境内开展。美国试验属于国际多中心临床试验（MRCT）的一部分——主要涵盖美国、欧盟及日本。



## CMC策略

- 生物技术公司优先选择新药在美国 / 欧盟上市，以快速收回成本并盈利。
  - 选择 5,000L 生物反应器作为商业化生产的最佳方案。
  - 通过在美国 / 欧盟生产可销售的 PPQ 批次，以实现投入与收益的平衡。
- 引用：“在商业销售前必须成功完成第二阶段（工艺确认）。若此阶段生产的药物符合要求，可放行销售。”——FDA 指南《工艺验证：通用原则与实践》



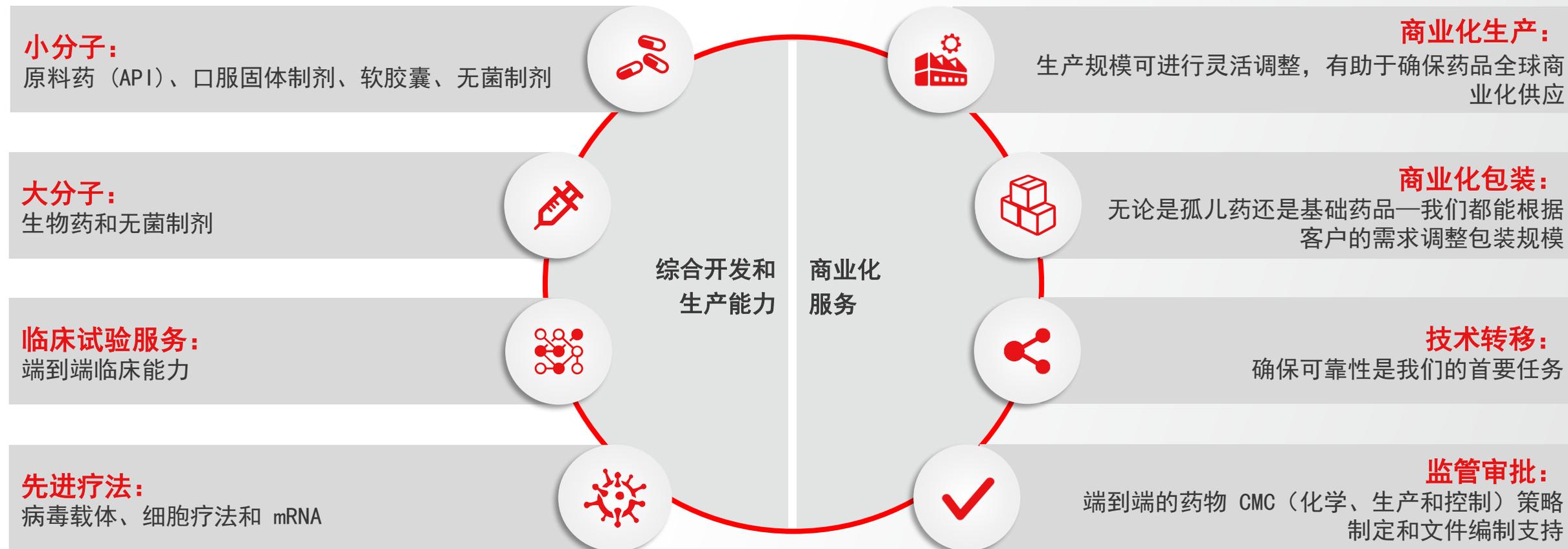
## 项目日程安排

- 在 I 期临床试验阶段，我们开始项目启动沟通，并在获得概念验证（POC）数据后立即签署技术转移合同——通常在获得 I b 期或 II a 期临床试验数据后进行。

全面的医药合同定制研发生产 (CDMO)  
服务

# 制药服务能力与技术专长

全面的 CDMO 服务和解决方案



# 赛默飞CDMO无菌灌装全球网络



## 美国北卡罗来纳州格林维尔工厂

后期开发及商业化生产：西林瓶（水针和冻干）无菌制剂、预灌装注射器和针筒；活病毒灌装

## 英国斯温顿工厂

两条独立的西林瓶水针和冻干制剂的无菌灌装生产线；于 2021 年投入运行

## 意大利费伦蒂诺工厂

研发与商业化生产；大容量注射剂瓶  
非 GMP 预灌装注射器

## 意大利蒙扎工厂

研发与商业化生产能力：西林瓶无菌制剂、预灌装注射器与针筒

## 新加坡工厂

传统灌装生产线与活病毒灌装生产线；分别于 2022 年和 2023 年投入运行

## 可根据您的独特分子 提供定制服务

为临床及商业化批次的注射制剂提供可定制的方案

## 提供优质的服务 值得信赖

我们的服务与实力有口皆碑，能保质保量按时完成项目

## 简化解方案 加速推动新药上市

研发生产一体化解决方案、CRO 服务及商业化包装

## 用数据说明无菌制剂生产能力

94%  
RFT

2023 年 4 月至 2024 年 3 月，制药服务的一次成功率 (RFT) 为 94%

凭借 40 年卓越的专业知识与经验积累，我们的无菌灌装服务团队可提供定制化的服务并保证可靠性，让您的项目可以在规定时间内顺利完成。



# 赛默飞CDMO大分子全球网络

## 生物原液工厂

-  美国密苏里州圣路易斯
-  瑞士伦瑙
-  荷兰格罗宁根
-  澳大利亚布里斯班



## 全球领先的生物药 CDMO

超过 30 年的 GMP 生产经验：

- 哺乳动物细胞培养
- 临床和商业化批次
- 聚焦一次性技术

借助赛默飞临床试验服务，提供从基因研究、药物开发直至交付给患者手中的解决方案

## 灵活的生物制药解决方案

集成生物原液和生物药生产能力：Patheon® Quick to Care™ 服务

### 关键能力

- 细胞系开发：Beacon® 和 ambr® 15 平台
- 工艺开发：ambr® 15 和 250 以及 Freedom EVO® 平台
- 补料分批培养、灌流和 XD® 技术
- 32,000 升一次性 GMP 级生物反应器\*

### 灵活的生物制药解决方案

- 部署多个一次性平台
- 支持现有细胞系
- 非专有培养基与细胞系
- 支持任意阶段的技术转移
- 通过预测性成本建模制定生物制药策略

### 专业知识

- 已经完成了 180 多项技术转移\*\*
- 2017 年以来完成了超过 72 个工艺开发项目
- 70/30 单克隆抗体与复合蛋白质
- 40 多个生物原液和生物药组合项目\*\*
- 62% 小型生物制药客户

### 经验

- 超过 15 年的商业化生产经验
- 全球范围内生产了 810 多批次生物药，包括商业批次、临床批次以及工艺性能确认 (PPQ) 批次 (2018 年至 2023 年)
- 71% 的新生物药项目是单克隆抗体 (mAb) 药 (2018 年至 2023 年)
- 从 2019 年至 2023 年，Patheon 制药服务团队支持了 200 多个生物药分子的开发
- 全球四大专注生物药研究与生产的工厂，可以满足任意规模的项目需求



下载讲座资料



关注赛默飞Patheon™微信公众号  
获取更多资源

# 感谢