

药物开发解决方案

依托创新 360° CDMO 与 CRO 解决方案， 加速药物开发：

助力简化药物开发流程并缩短药物上市时间的综合指南

前言

药企正面临着药物开发投资回报率下降、开发周期拉长等多重挑战，因此，寻求高效的药物开发方法与一次成功策略仍是其首要任务之一。

本电子书详细阐述了如何在药物开发的各个阶段最大程度地利用各种资源并尽可能降低风险，帮助所有的药物申办者推进其独特的药物开发进程，更快实现将药物交付给患者的目标。涵盖的主要内容如下：



药物开发市场的现状：解读当前行业格局与发展趋势



特色解决方案与服务能力：介绍赛默飞 360° CDMO 与 CRO 解决方案，以及这些服务如何优化药物开发流程。



案例研究：探讨如何通过简化且高效的工艺流程降低风险、提高可扩展性，帮助药物申办者缩短药物上市周期。



行业洞察：汇总行业领导者的核心观点，内容涵盖提高药物开发效率、集成药物开发的价值，以及监管合规难题与应对方案。

本电子书重点讲述赛默飞的 Accelerator™ 药物开发平台——360° CDMO 与 CRO 解决方案，有助于您更快实现将药物交付给患者的目标。

药物开发现状

当今药物开发领域面临的挑战包括人力、设备与耗材成本高昂，以及药物开发周期冗长且存在多种不确定性。2022 年，一款新药的平均开发成本攀升至 23 亿美元，开发周期更是拉长至 7 年以上（数据来源：[德勤 2023 年报告](#)）。除开发周期长之外，新药开发成本激增的部分原因还在于，新型原料药 (API) 与处方愈发复杂、临床试验设计难度加大，以及患者招募工作面临挑战。2022 年，药物开发的预期投资回报率降至 1.2%，这是 2010 年以来的最低水平，且远低于 2021 年 6.8% 的投资回报率（数据来源：[德勤 2023 年报告](#)）。

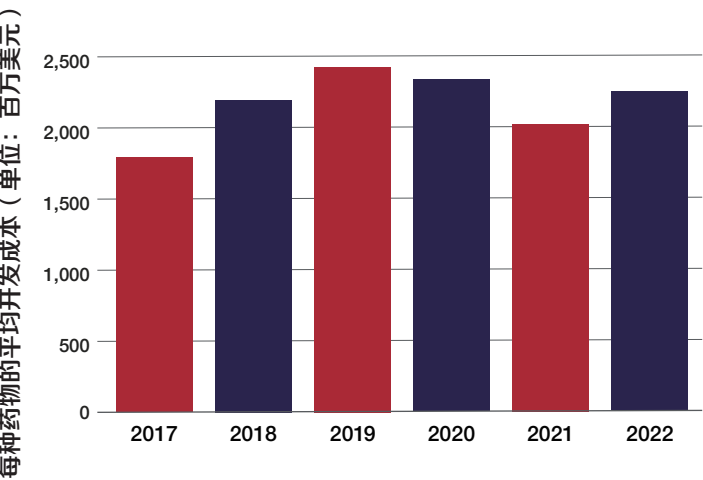


图 1.推动新药上市的成本持续攀升（数据来源：德勤 2023 年报告）

德勤健康解决方案中心对 20 家药企进行了分析，2022 年药物开发投入达 1,390 亿美元（较 2021 年下降 2%）；预测的每种药物的平均最高销售额从 2021 年的 5 亿美元、2020 年的 4.22 亿美元，降至 2022 年的 3.89 亿美元。如果再剔除获得紧急使用授权 (EUA) 的 COVID-19 相关药物，预测的每种药物的平均最高销售额则从 2021 年的 3.4 亿美元降至 2022 年的 2.84 亿美元。德勤报告指出，2022 年多种高价值药物退出研发管线，这是导致销售额下降的主要原因（数据来源：[德勤 2023 年报告](#)）。

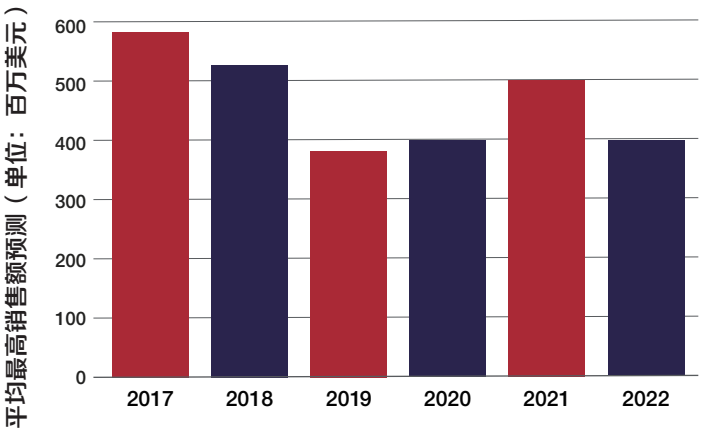


图 2.预测平均最高销售额持续下滑（数据来源：德勤 2023 年报告）

2022 年终止开发的药物数量从 2021 年的 15 种增至 30 种，增加了 2 倍，其中包括 6 种曾被预测为重磅炸弹级的新药（数据来源：[德勤 2023 年报告](#)），这进一步表明药物开发相关风险在不断上升。这些风险表明，优化复杂的药物开发流程已迫在眉睫。优化药物开发流程可降低成本，其中也包括因开发周期冗长产生的相关成本。在此背景下，整合多项核心药物开发服务的集成方法，其优势尤为显著，尤其是对于初入市场或正推进分子药物临床试验的小型及新兴生物技术公司与生物制药企业而言，这种集成开发方法具备突出的优势。



真实成功案例

统筹全球分发，规避供应短缺

一家中型药企与赛默飞已建立了合作关系，在赛默飞位于德国雷根斯堡的工厂完成了原料药 (API) 的初期研发工作。该项目在 2022 年转移至奥地利林茨工厂，进行大规模生产。

当时，该客户需协调多批原料药 (API) 从林茨运往加拿大，用于临床试验物料 (CTM) 及验证工作。此项目还需借助赛默飞的全面运输管理 (TTM) 服务，安排多批次临床试验物料 (CTM) 运往美国伊利诺伊州普罗斯佩克特山工厂，并在该工厂中完成临床包装与贴标后，为覆盖 30 多个国家/地区的 7 项在研临床试验提供支持。最终，通过全面运输管理 (TTM) 服务，我们从普罗斯佩克特山工厂向各临床研究中心运送了 71,687 套试剂盒；从德国莱茵费尔登工厂向各临床研究中心又运送了 14,993 套试剂盒。

项目在推进过程中，出现了一系列挑战。由于多个临床研究中心覆盖的潜在患者群体范围广泛，招募的患者人数超出预期可能引发临床试验用药物及辅材供应短缺的风险。此外，该临床研究采用的特定包装规格（40 粒装瓶）已停止生产，且使用的旧原料药 (API) 此前已在全球监管机构完成注册；而（产自林茨工厂的）新原料药仅获准用于供应美国市场，这导致欧盟 (EU) 地区面临着临床试验用药物及辅材供应短缺的风险。

赛默飞的项目经理在与临床供应项目经理的内部项目管理协调会议中，获悉了上述风险。药品项目经理可以通过一个综合仪表盘对风险进行密切关注，该仪表盘可全面监控库存情况与供应链动态，确保风险实时可控。随后，药品项目经理在内部制定了多套应对方案，并分析了每套方案对项目进度及成本的影响。方案提交给客户审核后，项目团队共同决定，将研发管线中使用旧原料药的部分临床试验用药物及辅材转运至欧盟市场，以规避监管合规风险。同时，团队采用“拆分生产”策略，将即将使用林茨工厂原料药生产的某一批药品，在加拿大安大略省惠特比的包装工厂拆分为 110 粒装瓶与 40 粒装瓶两种规格。为避免影响患者入组，团队决定将 40 粒装瓶调配至多家美国临床研究中心，这些临床研究中心不存在对原料药来源的监管限制。

总而言之，集成项目管理架构使赛默飞团队能够尽早确定风险，并开展跨业务部门的协同合作，评估解决方案后提交客户审核。最终，上述挑战对项目进度和临床试验物料浪费量的影响甚微，且未对临床试验造成任何影响。所有首例患者首次给药 (FPFD) 的目标均顺利达成。

行业洞察 (Ic) 提高药物开发效率

德勤健康解决方案中心发布的报告《把握数字化机遇：2022 年制药创新投资回报评估》，对 20 家全球领先的生物制药公司的后期开发阶段研发管线投资回报率 (ROI) 进行了预测分析。报告显示，2021 年由于多种新冠肺炎治疗药物获得了紧急使用授权 (EUA)，这些生物制药公司的内部回报率 (IRR) 达到最高，而 2022 年则回落至疫情前的水平（数据来源：德勤 2023 年报告）。此外，制药行业药物开发的预期投资回报率 (ROI) 也呈现下滑趋势，从 2020 年的 2.3%、2021 年的 6.8% 降至 2022 年的 1.2%。

原材料、耗材、劳动力成本以及间接成本的不断攀升，对药物开发行业产生了重大影响。德勤报告计算结果显示，一款新药从药物发现到上市的平均开发成本已达 22.84 亿美元。其中大部分成本主要是因为新药临床试验平均周期延长造成的，2022 年新药临床试验的平均周期已超过了 7 年，而

2021 年则为 6.90 年、2014 年仅为 6.15 年。临床试验周期延长主要是因为临床试验的复杂性不断增加，患者招募与留存工作面临着较多的挑战（数据来源：德勤 2023 年报告）。

与此同时，预测的每种药物的平均最高销售额也呈下滑趋势，从 2020 年的 4.22 亿美元、2021 年的 5 亿美元，降至 2022 年的 3.89 亿美元（数据来源：德勤 2023 年报告）。

上述所有挑战均凸显了赛默飞集成解决方案，即 Accelerator™ 药物开发平台——360° CDMO 与 CRO 解决方案的必要性。集成方案可提高开发流程的效率，尽可能降低风险，实现成本缩减与开发周期缩短的目标。赛默飞提供的端到端服务还包括覆盖全球的网络布局及一体化 CDMO 与 CRO 服务，能够应对当前药物开发领域面临的多项关键挑战。



赛默飞特色解决方案与服务能力介绍

药物开发的整个过程需要多个专业领域的众多专家共同投入大量精力并紧密协作。借助赛默飞 Accelerator™ 药物开发平台——360° CDMO 与 CRO 解决方案，赛默飞的全球行业专家组成了统一、高效的协作团队，为整个临床开发过程提供一系列世界一流的解决方案，包括提供 CDMO 与 CRO 服务。赛默飞的 Accelerator™ 药物开发平台及端到端服务能力，覆盖从原料药到制剂开发、临床试验研究、生产制造、供应链优化、物流运输，再到商业化生产及后续阶段的全过程。这些全方位的服务能力，能够帮助客户简化并加速药物开发过程，而这一切则需要依托赛默飞先进的技术、专业的团队，以及强大的全球网络支持。



图 3.赛默飞定制化集成解决方案可节约时间与资源并降低风险

赛默飞 Accelerator™ 药物开发平台的优势

赛默飞 Accelerator™ 药物开发平台是一种全面且灵活的解决方案，能够快速且高效地推动分子药物从研发阶段到商业化阶段的过渡。该解决方案将原料药和制剂开发、需求规划和临床试验供应执行简化为一个定制化的解决方案。全球专家团队提供统一的项目管理和科学技术支持，同时优化药物开发流程，确保服务药物开发取得成功。Accelerator™ 药物开发平台的各项功能均以患者为中心，最终目标是将药物快速、安全地交付给有需要的患者。



图 4.赛默飞 Accelerator™ 药物开发平台可以在药物开发的各个阶段为客户提供一种以患者为中心的集成解决方案。

客户如果选择与赛默飞合作，就可避免与多家供应商频繁交接以及运营孤岛的出现，这些问题通常会导致工流程冗杂与流程效率低下、产品信息断层，并可能造成药物开发周期延误或开发进度停滞，这种药物开发策略会使申办者面对重重困难，药物开发过程的管理需要投入大量的资源和时间。

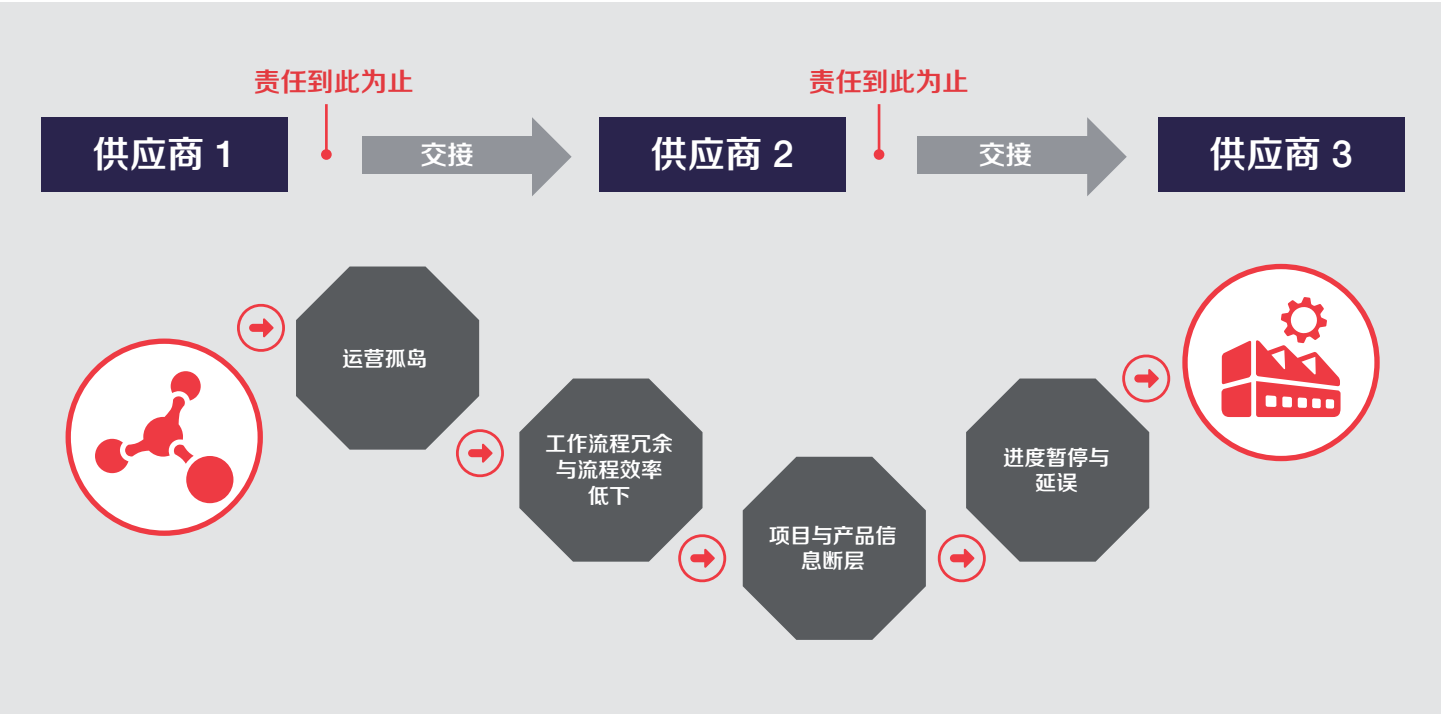
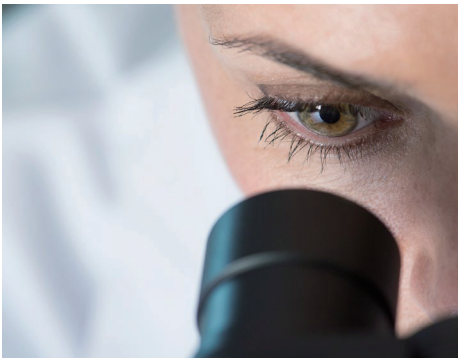


图 5.与多家供应商合作可能对决策产生负面影响且不利于药物开发

赛默飞 Accelerator™ 药物开发平台的一个重要优势就是还设有经验丰富的专属项目经理，他们在整个药物开发过程中对项目负责。在整个药物开发过程中，专属项目经理扮演三重关键角色：客户利益的维护者、团队协作的整合者，以及风险的防控者。他们负责制定并管理项目治理流程，同时调动赛默飞全球网络中的技术专家资源。此外，专属项目经理还全程掌握所有里程碑节点与关键任务的进展，在整个供应链中承担协调、沟通、承诺兑现及责任追究的重要职责。实践证明，这种模式通过赛默飞的全球网络和端到端的服务能力，利用多种工具与工艺流程，能够极大地提高效率，并降低药物开发项目的整体风险。





真实成功案例

新冠肺炎治疗药物的快速开发与工艺放大

某家大型跨国制药公司研发出一款具有突破性疗效的胶囊剂型新冠肺炎治疗药物，该公司与赛默飞合作，在爱尔兰科克工厂进行原料药生产。制剂生产则分别在美国俄亥俄州辛辛那提与加拿大安大略省惠特比的两大工厂进行，且两个工厂之间完成了技术转移。

项目推进过程中面临多重挑战，需快速进行工艺放大、完成原料药生产厂与制剂生产厂之间的工艺转移，同时还要满足全球市场对产能的需求。考虑到新冠肺炎治疗药物的特殊性与上市的紧迫性，必须在 12 个月内生产超过 2 公吨的原料药，并生产超过 2 亿粒胶囊剂。该药物在获得紧急使用授权 (EUA) 后，还需供应美国、欧盟、中国及日本等国家和地区。

为满足快速开发和工艺放大的需求，客户选择与赛默飞合作，获得了赛默飞提供的专属整体项目管理服务。专属项目经理通过统筹协调全球网络资源、建立项目治理体系，并确保整个药物开发过程中的信息透明度来应对上述挑战。该解决方案的核心在于对生产原材料进行战略性统筹调配，以及

详细了解两大制剂生产厂的多种原材料需求。项目团队借助赛默飞全球采购团队的力量，充分利用与供应商的议价能力，并针对关键原材料的生产排期提前达成采购承诺。此外，项目经理还调动了原料药团队的技术专家资源，专门解决工艺放大过程中遇到的技术难题。

赛默飞团队通过发挥议价能力并提前达成采购承诺，使得关键原料药的交付时间少于 52 周。两大生产厂在启动生产时，所需的制剂原材料已全部到位；同时，原料药与制剂的生产工艺均已高效完成工艺放大。最终，两家工厂均在 11 个月内完成了目标产量的制剂生产。

行业洞察

集成药物开发的价值

美国药品研究与制造商协会 (PhRMA) 发布的《药物研发、开发与审批现代化》报告指出, 创新药物的研发需投入大量时间与成本, 平均研发周期都在 10 年以上, 一款成功上市的药物, 其研发成本高达 26 亿美元 (含失败研发项目的成本分摊)。这份 2016 年的报告还强调, 制药行业的新药研发成功率偏低, 仅有 12% 进入临床试验阶段的药物, 最终能获得美国食品药品监督管理局 (FDA) 的批准。这些风险无一不在表明简单、高效、集成药物开发流程的必要性, 这一药物开发流程可有效提高开发效率、降低开发成本。报告还呼吁 FDA 进行改革, 推动审批流程现代化, 并采纳那些用于药物审批的创新工具与策略。对于创新药企而言, 无论是依靠内部团队, 还是通过外部合作, 都需确保自身具备专业的监管合规能力, 以适应监管机构为应对当前药物开发不断涌现的挑战与日益增加的复杂性而出台的各类调整政策。

美国药品研究与制造商协会发布的《研发政策框架》, 探讨了生物制药公司在研发上的大量投入。该协会认为, 正是这些投入才让药物实现了前所未有的突破, 并着重强调了个性

化医疗与免疫疗法不仅可以挽救无数生命, 还能改善患者的生活质量。PhRMA 的成员企业在过去 10 年间的年度研发投入, 已增加了不止一倍, 其中包括 30 余家全球规模最大的药企。PhRMA 协会将生物制药行业称作“美国经济体中研发投入最密集的行业”。但高额的研发投入往往伴随着高风险。

为研发新型有效疗法所投入的资金, 必须与药物开发关键收尾环节所需流程的极致精细化管理相匹配, 二者缺一不可。无论失误与延误是否可避免, 药物开发过程中出现此类问题, 只会降低投资回报率 (ROI), 还可能导致有效的治疗药物无法及时交付给亟需的患者。鉴于药物开发的投入规模庞大, 且影响投资回报率的风险因素众多, 制药行业对整合服务资源、有效应对监管合规挑战的需求愈发迫切。赛默飞推出的 Accelerator™ 药物开发平台, 即 360° CDMO 与 CRO 解决方案, 致力于提高药物开发成功率, 让药企得以将更多精力集中在创新环节。



真实成功案例

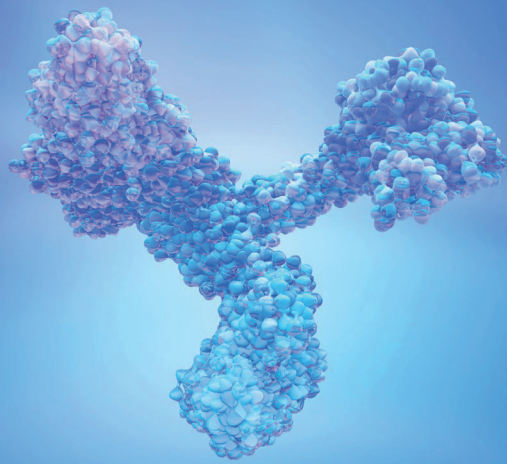
与专注于肌肉激活剂领域的生物制药公司达成战略合作

这是一家处于研发后期阶段的生物制药公司，专注于开发新型肌肉激活剂与抑制剂，旨在为肌萎缩侧索硬化 (ALS)、心力衰竭、肥厚型心肌病 (HCM) 等疾病患者提供创新药。该生物制药公司于 2021 年启动小分子药物研发项目，初期仅涉及一种分子药物。该生物制药公司与赛默飞在加拿大安大略省多伦多工厂的制剂团队以及在美国伊利诺伊州芒特普罗斯佩克特工厂的临床供应团队（包装、贴标及分发）开展合作。

客户要求整个药物开发项目由一个团队负责统筹协调，实现单点对接，而且由于药品注册申报计划的目标时间紧迫，在有限的时间内生产多批次制剂的压力较大。此外，这个项目需要在多个国家开展临床试验，因此供应链物流也更为复杂。

赛默飞通过与客户的高效合作，在战略层面解决了上述挑战，具体包括定期开展高管层级的沟通。从项目启动之初，客户便充分借助赛默飞的专业能力，确保所有业务单元间的高效沟通。这一合作模式通过数字化工具、Smartsheet 及数据仪表盘，实现了研发项目执行进度的实时可视化管理。此外，项目团队还利用了赛默飞的**全面运输管理(TTM)** 服务，为临床试验用药物及辅材提供运输、储存及管理支持，最终保障了临床试验按计划推进。

该客户成功利用赛默飞的 Accelerator™ 药物开发平台实现了规模化生产。赛默飞目前负责客户研发项目中的四种分子药物，并正根据客户要求，就涵盖所有业务部门的高管支持机制，与该客户探讨建立端到端的战略合作模式。双方还计划进一步拓展合作范围，包括与 PPD（2021 年被赛默飞收购）达成协议，为客户现有的及未来的研发管线提供临床试验项目支持。



行业洞察

监管合规挑战和解决方案

美国食品药品监督管理局 (FDA) 下属生物制品评价和研究中心 (CBER) 发布的《2023 年指南议程》，明确了制药行业面临的监管工作重点与挑战，为了解复杂的监管环境提供了宝贵的洞见（信息来源：AABB，2023 年）。该议程特别指出，FDA 计划制定 11 份新的指南文件，以解决血液制品和生物治疗药物研发中具有重要监管合规意义的问题，例如，供体资格审核、工艺自动化等关键议题。仅在 2023 财年，FDA 下属生物制品评价和研究中心 (CBER) 就发布了 13 份相应的指南文件，每份文件均包含药物开发特定方面的关键信息（信息来源：[FDA, 2024a](#)）。

此外，FDA 近期还发布了多份文件，专门探讨人工智能 (AI) 与机器学习 (ML) 在药物开发中的应用挑战与机遇（信息来源：[FDA, 2024b](#)）。对于众多小型及新兴生物技术公司与生物制药公司而言，他们本身并不具备足够的能力，既不具备对监管合规指南的专业解读能力，也无法精准解读监管机构定期发布的海量信息。

赛默飞提供的监管合规服务，可帮助药企从药物研发阶段到商业化阶段，始终满足最新指南中的要求，从而更顺畅地推进监管审批流程。赛默飞的监管合规服务包括针对从药物早期及后期开发阶段的法规要求提供的咨询服务，协助召开新药临床试验申请前会议，以及起草各类申报材料。在药物开发的各个阶段都提供此类专业支持，可有效降低开发过程中因失误或遗漏导致高昂成本的风险。

结论

本电子书阐述了当前创新药企在药物研发领域面临的挑战，包括新药上市成本攀升、研发失败率高以及投资回报率下降等问题。药物研发预算超支与周期拉长的诸多风险，很大程度上是因为多供应商协作模式下的流程效率低下。因此，从早期药物发现阶段到商业化阶段，实施能优化药物研发流程的策略对新药研发的整体成败至关重要。

赛默飞推出的 Accelerator™ 药物开发平台是一套全方位、端到端的药物研发与临床服务解决方案，涵盖小分子药物、大分子药物及前沿治疗药物的原料药与制剂生产、临床供应、临床研究及商业化等。这套独特的全集成服务体系，能确保在整个药物开发过程中的责任可追溯性，助力药企提高研发速度、简化流程，并增强工艺放大能力。

所有这些服务均由专属项目经理全程统筹，并依托赛默飞全球专家网络提供支持，可帮助药企在整个药物开发过程中提高效率，并实现更紧密的协作。Accelerator™ 药物开发平台的核心优势包括服务整合、工艺流程效率提升、风险降低与专业能力支持。客户案例表明，Accelerator™ 药物开发平台可以帮助客户优化工艺流程、提高效率、降低风险、增强规模化生产能力。

总而言之，这一端到端解决方案不仅涵盖从早期药物发现到商业化的全过程，还能为药企提供应对当下挑战所需的关键专业能力与管理支持，更能加速药物开发进程，为创新疗法更快惠及所需患者铺平道路，助力构建药物开发新局面。

参考资料

- Association for the Advancement of Blood and Biotherapies (AABB). Regulatory update: FDA releases 2023 guidance agenda. January 31, 2023. Available at: <https://www.aabb.org/news-resources/news/article/2023/01/31/regulatory-update-fda-releases-2023-guidance-agenda>.
- Deloitte Center for Health Solutions. Seize the digital momentum: Measuring the return from pharmaceutical innovation 2022. Available at: <https://www.deloitte.com/global/en/Industries/life-sciences-health-care/analysis/measuring-the-return-from-pharmaceutical-innovation.html>
- PhRMA. Modernizing drug discovery, development, and approval. 2016. Available at: <https://phrma.org/en/resource-center/Topics/Research-and-Development/Modernizing-Drug-Discovery-Development-and-Approval>.
- PhRMA. Research and development policy framework. Last updated January 22, 2024. Available at: <https://phrma.org/policy-issues/Research-and-Development-Policy-Framework>.
- US Food and Drug Administration (FDA). Guidance Agenda: Guidance Documents CBER is Planning to Publish During Calendar Year 2024. 2024a. Last updated July 3, 2024. Available at: <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/biologics-guidances/guidance-agenda-guidance-documents-cber-planning-publish-during-calendar-year-2024>.
- US Food and Drug Administration (FDA). Artificial Intelligence and Machine Learning (AI/ML) for Drug Development. 2024b. Last updated March 18, 2024. Available at: <https://www.fda.gov/science-research/science-and-research-special-topics/artificial-intelligence-and-machine-learning-aiml-drug-development>.
- PhRMA's Modernizing Drug Discovery, Development & Approval. <https://www.pharmtech.com/view/phrma-releases-new-policy-solutions-delivering-innovative-treatments-patients>
- FDA's 2023 Guidance Agenda.

选择赛默飞同行，让药物开发更高效、更可靠。
如需了解更多集成服务，请访问 thermofisher.cn/crdmo

