新兴生物技术公司实用指南

应对挑战与推进临床研发的实用建议



LABIOTECH.eu

MEDPACE

目录

现代生物技术：一个创新的时代 3

新兴生物技术公司：药物研发领域的拓荒者 4

新兴生物技术公司面临的的挑战：是什么让您的公司举步维艰？
从激烈的行业竞争中突出重围 6

- 直面高度的不确定性 7
- 应对筹资难的问题 7
- 组建合适的团队 7

新兴生物技术公司有着诸多考量：
新药临床试验申请阶段与首次人体试验之间的时间是一个关键时期 8

- 制定战略并且按照战略执行 8
- 与监管机构携手合作 9

物色合适的合作伙伴 10

- 合作伙伴的沟通能力 10
- 合作伙伴的行业经验 10
- 合作伙伴的灵活变通性 11
- 合作伙伴的关系 11
- 合作伙伴的组织架构 11

现代生物技术公司的合作势头 12

MEDPACE的解决方案 13

参考文献 14



现代生物技术：一个创新的时代

生物技术是生命科学行业创新的关键驱动因素。随着免疫肿瘤学、基因疗法、细胞疗法以及微生物疗法的进步，2021年全球生物技术行业的市值为7,940亿美元，到2030年其市值将达到约1.684万亿美元[1]。全球有10,000余家生物技术企业，整个行业近百万名员工[2]。

生物技术行业的持续繁荣不仅体现在其市场价值上，还体现在近年来取得的众多成就上。在过去五年，美国食品药品监督管理局（Food and Drug Administration，FDA）平均每年批准51种新药，而在十年前，平均每年仅批准24种新药。2021年，共有50种新药获批，其中大部分是针对肿瘤科、神经内科、感染性疾病和心血管疾病等治疗邻域[3]。同年，第100个抗体药物以及首个用于癌症治疗的KRAS基因和缺氧诱导因子（HIF）-2α的靶向疗法获批上市。

2021年还见证了首批mRNA疫苗所取得的里程碑式批准速度。美国辉瑞公司Pfizer）和德国医药公司BioNTech共同研发的新冠疫苗Comirnaty™（中文名称为复必泰）于2021年8月获完全批准，从疫苗研发到获批上市历时仅1.5年，开创了疫苗研发的先河。而此前，疫苗的发明到问世平均通常需要经过10.7年[3]。Comirnaty™的销售额高达369亿美元，位居2021年畅销药榜首[4]。

还有多项荣获诺贝尔奖的发现已应用在生物技术行业。James Allison和Tasuku Honjo两位免疫学家凭借检查点抑制剂方面的重大发现摘得2018年诺贝尔生理学和医学奖，他们的科研成果促使调节检查点的抗癌药物的研发和批准。2018年诺贝尔物理学奖的一半授予美国科学家Arthur Ashkin，表彰其设计的一种可用于精确操纵细胞内分子的激光镊子；2018年诺贝尔化学奖的一半则授予George Smith和Gregory Winter，奖励两位科学家在噬菌体展示技术用于创建新型抗体领域作出的突出贡献[5]。更值得注意的是，生物化学家Emmanuelle Charpentier和生物学家Jennifer A. Doudna凭借其在CRISPR-Cas9作为基因编辑工具领域 的突破性研究，斩获2020年诺贝尔化学奖[6]。

生物技术和创新息息相关。自20世纪50年代以来，现代生物技术领域取得了包括单克隆抗体、新型疫苗、免疫疗法在内的多项发展。引领在生物技术行业前沿的是一众大型生物技术和制药企业，如新基公司（Celgene）、吉利德科学公司（Gilead）、安进公司（Amgen）、辉瑞公司（Pfizer）、罗氏（Roche）和诺华集团（Novartis）[7]。然而，生物技术行业的创新和繁荣也离不开成千上万岌岌无名的新兴生物技术公司的共同努力。

2021年全球生物技术行业市值
7,940亿美元

2030年预计行业市值
1.684万亿美元

全球有超过**1万余家**生物技术企业

过去5年平均每年FDA批准
51种新药

2021年FDA批准
50种新药



新兴生物技术公司：药物研发领域的拓荒者

纵观现代生物技术的发展史，无数新兴生物技术公司留下了自己的辉煌足迹，一路为大型制药企业提供支持。大名鼎鼎的基因泰克公司（Genentech）起初规模很小，在20世纪70年代末，只有12名员工，但现在却拥有1.4万名员工。Genentech成立的第六年就参与了美国礼来公司（Eli Lilly）开发合成人胰岛素的项目——那是首个用于治疗人类疾病的基因工程疗法，并于1982年批准上市[8]。

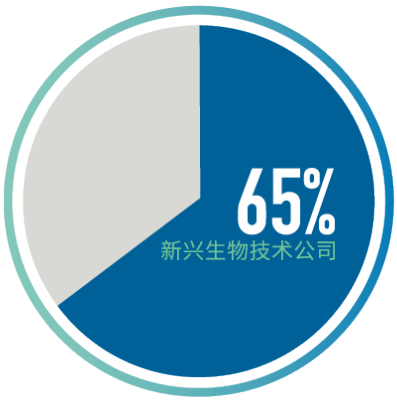
此外，阿达木单抗（adalimumab）的成功研发也体现了新兴生物技术公司对大型制药企业的支持。20世纪90年代，Greg Winter创办了Cambridge Antibody Technologies公司（简称CAT）。当时仅有6名员工的CAT却与巴斯夫生物研究公司（BASF Bioresearch Corporation）合作研发了首款全人源单克隆抗体[9]。阿达木单抗于2002年获FDA批准用于治疗类风湿性关节炎。如今，阿达木单抗已跻身全球畅销药行列，2021年销售额达207亿美元[4]，仅次于新冠疫苗复必泰。CAT及其突破性发现成为英国最成功的英国生物技术发展史上最伟大的篇章之一[9]。

新兴生物技术公司是指每年研发支出低于2亿美元且收入低于5亿美元的公司。未来，新兴生物技术公司将继续蓬勃发展。目前，研发管线上的大/小分子新药项目中有65%由新兴生物技术公司负责，比2001年增长三分之一。在2021年获FDA批准的新活性物质中，其中一半是由新兴生物技术公司负责研发的[10]。

新兴生物技术公司走在科学前沿，勇于探索缺乏或没有真实世界数据可参照或没有监管框架可依照的未知领域。尽管存在较高风险，但如果成功，将在患者福利和经济收益方面获得高回报。

例如，越来越多的公司专注于孤儿药的研发：针对罕见病的药物研发已从2010年的18%增至2019年的31%[11]。为满足3000万美国罕见病患者的医疗需求，美国现有700余种在研药物[11]。在2021年，FDA共批准50种新药上市，其中孤儿药的比例占了一半以上[3]。

研发管线上的大/小分子新药



目前，研发管线上的大/小分子新药中有65%由新兴生物技术公司负责[10]，新兴生物技术继续蓬勃发展。

然而，孤儿药的研发面临许多挑战，包括致病机理复杂、患者基数少、难以收集相关数据和物流运输问题等[12]。尽管如此，新兴生物技术公司一直是孤儿药领域的先行者，直到最近才有大型制药企业进入罕见病市场。事实上，正是由于罕见病治疗药物缺乏有利可图的商机，导致很少有大型制药企业关注此类药物的研发，才诞生了“孤儿药”的说法[13]。

美国和欧盟监管机构出台的多项激励措施推动了孤儿药领域研发活动的增加，其中包括审批速度快、市场独占权、监管费用低、税收减免等多项针对孤儿药研发公司的激励政策[12]。

然而，新兴生物技术公司关注的不仅仅是孤儿病领域。截至2021年3月，超过95%的抗感染/抗菌在研药物是由新兴生物技术公司负责的，其中70%的公司尚未进入盈利阶段。此前，大型制药企业大多已相继退出市场。2020年，抗生素耐药性行动基金（Anti-microbial Resistance Action Fund，AMR Action Fund）启动，投入10亿美元为研发新抗生素的初创公司提供资金支持[14]。

尽管大型制药企业仍然是新兴生物技术公司的重要合作伙伴，两者经常合作推出降低候选药物的风险，但越来越多的新兴生物技术公司正携手合作：2021年，62%的公司间合作来自新兴生物技术公司；其余38%的公司间合作为新兴生物技术公司与大中型企业的合作，低于2016年的51%[15]。

上述数据表明，新兴生物技术公司正在逐步形成对药物研发流程和研发资产的自主控制，而不再依赖于大型制药企业[4]。随着新兴生物技术公司在候选药物的发现、研发直至商业化的过程中发挥着越来越重要的作用，大型制药企业在大/小分子原研药领域的影响力似乎越来越小[4]。

在这个竞争激烈的行业中，新兴生物技术公司面临着各种挑战，特别是在药物开发的早期阶段。本白皮书将讨论生物技术公司面临的诸多挑战，并提供成功从候选药物中脱颖而出的解决方案。





新兴生物技术公司挑战：是什么让您的公司举步维艰？

生物技术行业的环境复杂且充满挑战，众多小型新兴生物技术公司难以占据一席之地。这是一种几乎不可避免的命运。毕竟，他们要做的是利用极其复杂而新颖的科学技术开发新疗法，攻克鲜为人知的疾病。尽管如此，了解新药开发过程中的各种挑战可以帮助新兴生物技术公司避免遭遇毁灭性挫折。

新兴生物技术公司在进入市场的过程中面临着众多挑战，药物研发阶段主要涉及四个关键难题：生物技术公司与制药行业的竞争格局、意外并发症的可能性、筹资难问题以及团队对项目结果的影响。

从激烈的行业竞争中突出重围

谈到生物技术行业的现状时，Medpace医学部高级副总裁Reinilde Heyrman医生表示："目前，我们使用全新的科学技术，尝试开发以前没有的新药和治疗方法，而使我们对于疾病有更深入的了解"。

药物研发成本上涨、具有影响力数据的收集难度增加、对疾病流行病学的不断深入了解、合适的临床试验中心竞争日益加剧以及普遍拥挤的市场状况，共同塑造了生命科学行业的高度竞争格局。

尽管相关数据存在争议，但大多数业内人士一致认为，近几十年来药物研发成本大幅增加，抗癌药物的上市价格在过去二十年几乎翻了一倍[16][17]。根据治疗领域的不同，研发一种新药的预估成本可能为1.61亿美元到45亿美元不等[18]。

这些数据表明，新药研发一旦失败，可能会让一家公司遭受巨大打击。对于新兴生物技术公司来说尤其如此，因为这类公司通常只有一两种在研药物。如果研发不成功，所导致的经济负担可能足以导致公司破产。因此，这些公司不断收集具有影响力的数据，并增加对疾病流行病学的了解。

一旦临床前阶段完成，有关寻找合适的临床试验中心的竞赛就开始了。选择临床试验中心的过程可能十分漫长，因为临床试验中心对于试验的成功至关重要。如果草率决定临床试验中心，可能会对研究结果产生负面影响。如果错误选择临床试验中心，可能会造成受试者招募困难、数据质量不佳，从而导致试验进度严重滞后、成本过于高昂[19]。

直面高度的不确定性



“创新会面临许多不确定因素，运用探索性的科学技术，对于罕见病来开发新的治疗药物，生物技术公司和药企必须制定策略来管理和降低风险。”

——Reinilde Heyrman博士，Medpace医学部首席医学官

在这个竞争激烈的行业中，新兴生物技术公司面临着很大的不确定性。在研发过程中，药物很可能造成意外并发症。由于只有少量在研药物，因此每一步的成功和失败都会产生巨大影响。从药物所依据的科学知识开始，不确定性伴随着新兴生物技术公司的整个药物研发过程。新兴生物技术公司为了试图解决未满足的医疗需求，往往需要涉足医学界尚未有充分认知的领域，因而风险程度和失败概率都随之增高[20]。

在日新月异的环境中，新兴生物技术公司也面临着技术、财务和市场相关的不确定性[20][21]。这些公司严重依赖复杂的利益相关方网络，包括大型制药企业和金融企业。未能在临床前和临床研发阶段实现预定里程碑可能会导致重要投资方撤资[20]。

应对筹资难的问题

资金是新兴生物技术公司的命脉。药物研发的高昂成本迫使新兴生物技术公司需要在药物研发阶段多次筹集资金。科技公司可以在短短几个月内实现产品上市，而生物技术公司则需要花费数年的时间才能实现产品盈利[18]。即使花费数年时间，产品失败的风险仍然很高[18]。

Medpace中心启动和维护副总裁Brad Hansman说“通常只有在实现某些里程碑并取得相关数据后，才能获得投资者的资金支持。这往往会给小型新兴生物技术公司的长期发展规划和执行带来挑战。”

如果新兴生物技术公司未能实现既定目标或未能制定全面计划，就有可能失去投资者的信任[22]。根据临床研发阶段的不同里程碑，提前规划和调整筹资时机是一件棘手的事情，只有通过合适的团队协力合作才能实现。

组建合适的团队

新兴生物技术公司可能缺乏必要的人力来完成药物研发的各个阶段。Heyrman博士说：“新兴生物技术公司通常只有一个小团队，对他们来说，招募并留住人才是一个长期的挑战。”此外，新兴生物技术公司能否取得成功与其管理团队关系密切。因此，管理团队需要与公司股东保持良好关系。这不仅会影响后期的多轮融资，还会影响团队的动态。管理层可以从利益相关方的专业知识中受益，因此他们可以共同建立一个适应生物技术行业快节奏环境的团队。[22]

新兴生物技术公司的规模较小，也意味着必须针对适合外包和内部承担的工作类型做出决策。Hansman 解释道：“由于药物研发受多种因素影响，因此需要吸纳化学、非临床、临床和监管等多个重点领域的专业人才。但不具备这些资源的小公司只能依赖顾问，这可能会导致小公司在战略层面缺乏一致性，以及项目执行过程中缺乏连续性。”



新兴生物技术公司有着诸多考量：新药临床试验申请阶段与首次人体试验之间的时间是一个关键时期

尽管新兴生物技术公司面临上述挑战，但可以采取以下步骤降低相关风险。由于生物技术公司的药物研发项目不仅涉及内部团队成员，还包括外部专家、顾问、投资者和其他合作伙伴，因此制定一个所有利益相关方都可以遵循和理解的整体战略对于生物技术公司来说至关重要。

确定并遵照战略



“我们经常看到有的公司急于求成，还没学会走就想跑。药物研发需要经历多个不同阶段，多年来，这些阶段已通过反复测试。因此，这些阶段的存在显然是有充分原因的。”

—— Reinilde Heyrman博士，Medpace医学部首席医学官

在研发的早期阶段确定战略，可以帮助新兴生物技术公司减少潜在的风险和挑战。提前预见这些风险和挑战可以帮助公司提前采取行动。

因此，在战略制定阶段，生物技术公司应始终牢记其最终目标，无论是获得某一轮融资还是实现药物注册[23][24]。Hansman说：“制定一项战略，并在牢记最终目标的基础上执行这项战略，将实现面向期望患者群体、针对期望适应症、按照期望剂量方案的营销。”

此外，确定目标有助于研究团队理解和预测药物研发过程中的不同拐点[23][24]。Heyrman博士补充说：“生物技术公司需要十分睿智，应该慎重考量自己可以实现什么目标，可以获得什么数据，以及在进入下一阶段之前需要提供什么结果。这也需要足够的耐心。”

耐心是一个关键词。为了节省时间和成本，许多新兴生物技术公司可能会试图跳过项目的某些阶段，但逐步严谨地获取数据可以降低失败的风险，并减少必须返工并重新开展特定实验的几率，而跳过项目的某些阶段则可能反而会增加时间和成本。

Heyrman博士认为：“归根结底，这不仅关系到公司内部制定的战略有多好，还关系到公司执行该战略的能力如何。毕竟，想取得成功，仅仅制定计划是不够的，还需要一定的定力来执行该计划。”



“新兴生物技术公司应留出充分的时间用于规划，这一点是非常重要的。许多生物技术公司在规划阶段都面临时间紧迫的问题，匆忙制定出一个勉强的方案，随之而来的是后续多次修改。这种做法浪费时间、精力和金钱。”

——Nicholas Alp博士，Medpace医学部高级副总裁、
英国皇家内科医师学会会员、美国心脏病学学会会员

花足够的时间来制定计划和方案是必不可少的。在规划阶段，公司应确保其方案具有科学性和可操作性。公司应与有关当局讨论临床试验方案和临床研发计划，并向行业专家咨询拟议的科学和运营战略。

Heyrman博士补充道：“拖慢研究进度的实际上是药物研发阶段。生物技术公司应该问问自己临床试验需要什么？是否已做好充分准备，按计划启动临床试验？临床供应是否充足？产品的保质期是否够长？如果出现轻微延误，产品是否仍可用于试验？所有这些问题都需要在规划阶段提出，以预测和降低风险，从而节省试验时间。”

此外，应对比不同版本的临床研发计划，并做好临床研发计与临床前工作的核对工作。于此，重要的是要确保动物数据可与人类数据进行对比并据此得出推论。Heyrman博士表示：“原则上，失败得早，失败的代价就小。如果从动物数据中或者有关此类化合物或此类疾病的文献中发现有任何迹象表明对人类有风险，那么就需要开展适当的人体实验，从而决定是否继续使用此类化合物。”因此，在临床研发计划中纳入意外发现的场景至关重要。

与监管机构携手合作

对于新兴生物技术公司而言，增加成功几率的另一种方法是在药物研发的早期阶段与监管机构做好沟通，特别是在开发先进疗法时[25]。这是药物研发过程中的重要一环，方向错误只会浪费时间和金钱。

因此，为与FDA或其他监管机构进行沟通，新兴生物技术公司应切实了解其开展特定项目的实力和局限性，包括属于特定监管考量因素的技术领域[25]。

随着越来越多新疾病领域的出现，新药的研发不断增加。然而，虽然针对这些新药的法规正在慢慢完善，但跟进速度可能不及科学和科学界的理解。因此，如何在受监管的环境中开展工作，是非常重要的一环[21]。对于没有监管专家或刚接触监管流程的公司来说，可能相当具有挑战性。于此，拥有一个经验丰富、熟悉必要监管框架的全球合作伙伴至关重要。





物色合适的合作伙伴



“合适的合同研究组织(Contract Research Organization,常简称为CRO)可以为生物技术公司提供全方位的合作服务,而不只是‘多了一个帮手’。鉴于小型新兴生物技术公司的资源有限,因此,寻找合适的合作伙伴对于许多药物研发领域的成功来说尤为重要。”

——**Brad Hansman,** Medpace临床试验中心激活与维护部副总裁

与正确的合作伙伴合作,找到合适的实验室、试验中心和专家,对于增加新兴生物技术公司的成功率至关重要。合同研究组织(Contract Research Organization, 简称CRO)可以帮助这些企业最大限度地利用内部资源,加快开发进程和提高效率[26]。例如,当新兴生物技术公司专注于他们的下一轮融资时,CRO负责运行和监督当前的研究。两者之间的透明合作可以确保试验的完美执行。

合作伙伴应具备以下关键优势……

沟通能力

生物技术公司与其CRO合作伙伴之间建立的关系必须以信任为基础。由于新兴生物技术公司规模相对较小,因此他们需要依赖其合作伙伴几乎独立地执行研究,同时专注于其他问题[27]。为了保持高度的独立性,新兴生物技术公司应坦诚沟通,并确保CRO了解其复合战略和目标。

在寻找合作伙伴时,新兴生物技术公司应该重点关注两个团队之间的合作是否具有可行性。Medpace临床试验管理部副总裁Andrew Masih表示:“要寻找一个不会因为您的公司规模小或直接管线有限而降低合作的优先级的合作伙伴。然后,与CRO的关键人员建立合作关系,并确保他们和您一样投入到您产品的科学研究中。”

Heyrman博士进一步表示:“确保您的CRO有足够充分的资源顺利开展项目,但规模太大的CRO可能又难以关注并理解一个只有10来个人的小规模公司及其业务中的复合问题。”

总体而言,CRO合作伙伴应该成为新兴生物技术团队的外延力量。在特派项目经理(作为两个团队之间的联络人)的帮助下,可以保持公开透明和稳固的组织结构。

经验积淀

Hansman表示:“选择与您战略合拍的合作伙伴,您需要与经验丰富的CRO合作,以使您有能力处理富有挑战性的科学技术和复杂的监管框架。选择具有药物研发专业知识和监管经验的合适合作伙伴对于确保稳健的研究设计、促进高效的临床试验执行、有效的机构和临床试验中心互动以及监管文件的提交至关重要。”

在选择合作伙伴时，新兴生物技术公司应确保CRO为其配备了可以在整个药物研发过程中为其提供支持的合适的专家[27]。CRO的丰厚经验和对科学技术的理解也应在过去完成的项目中有所体现[12]。事实上，科学相关专业知识还将体现CRO是否会优先考虑新兴生物技术公司的产品开发，并在整个药物研发过程中是否会提供支持。

Hansman补充道："CRO还应在必要的治疗领域拥有经验，深入了解疾病、研究终点、临床试验中心、患者接触等方面，这一点非常重要。药物研发相关专业知识可以进一步帮助公司制定监管策略、提交监管文件，并促进有影响力的权威互动，从而加速临床研发和授权过程。"

灵活变通

Heyrman博士提到："这些年来，我学到的一件事是要保持开放的心态，重要的是不要一意孤行，义无反顾地坚持一条路，而是要考虑替代方案，以防出现计划外情况。问问自己：你的第一备选计划是什么？你的第二备选计划是什么？"

身处不断发展、充满挑战的行业中，懂得灵活变通非常重要[27]。不仅是自身的灵活变通，合作伙伴也需要灵活变通。**CRO必须有能力帮助新兴生物技术公司找到问题的解决方案并应对意外情况。**Masih表示："要寻找能够制定主动应急计划（包括备选的临床试验中心、甚至备选国家在内）的CRO，而不是制定被动应急计划的CRO。"

此外，选择一个可以提供全方位服务而不是功能性服务的合作伙伴可以增加成功的概率。如果您的CRO可以与其医疗、监管和运营团队充分配合，并基于同一套标准操作流程展开工作，应该帮助您可以提升质量、提高效率。

与可以提供全方位服务的合作伙伴意味着所有服务都按照同一标准进行内部协调，并且一个负责任的平台也能避免重复进行管理监督工作。参与的合作伙伴越多，药物研发过程中出现分歧的几率就越大。这可能会影响成本支出和里程碑的实现。但CRO可以兼顾严格执行和灵活变通。

良好关系

对于新兴生物技术公司来说，选择适宜的临床试验中心以及与合适的关键意见领袖（KOL）建立联系可能存在一定难度[24]。不过，一个合适的CRO合作伙伴通常与临床试验中心和KOL都保持有长期良好关系和近期往来。此外，合作伙伴应该具备一套切实可行的受试者招募方法，例如了解同时拥有合适受试者和KOL的临床试验中心，以及访问全球真实数据的能力[27]。

Medpace医学部心血管内科高级副总裁、英国皇家内科医师学会会员（FRCP）、美国心脏病学学会会员（FACC）Nicholas　Alp博士表示："在可预见的未来，临床试验将继续依赖于主动参与研究的首席研究员（PI）来招募受试者，确保受试者的健康和安全，并努力执行研究方案。PI是临床研究的关键，如果没有他们的参与，研究根本无法开展。对于与生物技术公司合作的CRO而言，与这些关键专业人士建立并维持关系应该是CRO的核心能力。"

组织架构

对于药物研发合作伙伴来说，掌握组织架构和行动灵活性之间的适度平衡至关重要，架构过于复杂会导致时间和资源的损失。于此，CRO需要拥有精简的决策流程，这一点是不可或缺的[27]。Masih补充说道："寻找能够使其项目管理团队专注于研究里程碑而不是创收的CRO，确保CRO领导层充分参与您的研究并将您的研究作为其首要任务。"





现代生物技术公司的合作势头



“与您的CRO密切合作，对他们进行投资，为他们提供研发项目的相关知识。知识就是力量。尽可能保持事项公开透明，让所有关键利益相关方参与与其相关的流程，并协同开展工作。”

——Andrew Masih, Medpace临床试验管理副总裁

预计到2023年，49%的临床研发工作将外包给CRO。2018年以来，CRO的市场渗透率增长了12%[28]。同年，全球CRO市场价值预计将达到877亿美元[28]。这些数据并不令人意外，因为小型新兴生物技术公司正在努力应对紧迫的成本问题和快速上市带来的压力，同时尽力扩大其研发管线、追踪新的科学发现并提高药物疗效和安全性[26]。

凭借在临床研究和设计领域的专业知识、专家网络、KOL、临床试验中心以及对最新技术的投资，CRO可以在药物研发过程中为新兴生物技术公司提供支持[26]。此外，当CRO负责组织和执行各项研究时，新兴生物技术公司可以专注于解决其他紧迫问题，例如筹集更多资金和实现不同的里程碑。

尽管新药研发的失败率仍居高不下，但新兴生物技术公司与CRO之间的通力合作可以增加新药研发成功的几率[29]。CRO可以通过预测潜在陷阱，并利用自身经验引导新兴生物技术公司完成与药物研发和监管事务有关的复杂流程，从而达到帮助新兴生物技术公司降低相关风险的目标[29]。毫无疑问，未来生物技术行业内部的合作将会不断增加。

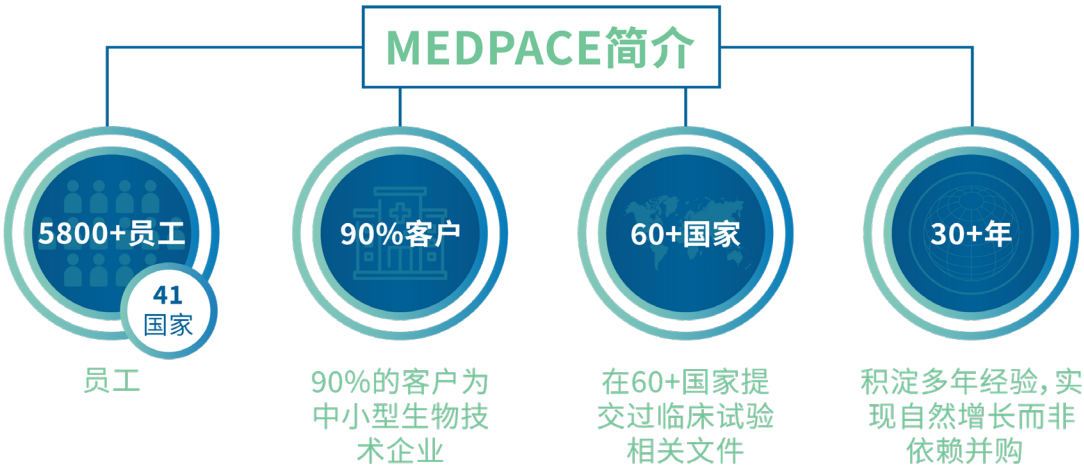
预计到2023年，约49%的临床研发工作将外包给CRO。

2018年以来，CRO的市场渗透率增长了12%。

与此同时，全球CRO市场价值预计同年将达到877亿美元。



MEDPACE的解决方案



作为排名前十的CRO，Medpace的使命是在全球范围内推动安全有效的医学疗法的快速发展。公司在过去三十多年里不断发展壮大，确保其领导力、流程、技术和专业知识的稳定性。Medpace拥有强大的专业知识，以独特的企业文化为中心，致力于营造良好的合作氛围，这对于资源有限、在某些领域经验有限的新兴生物技术公司来说非常重要。

Heyrman博士表示："Medpace的独特之处在于，我们真正热衷于为有需要的患者提供新疗法。我们专攻我们有信心能够带去真正附加价值的领域，我们所有的执行工作都是从医学领域出发。我们秉持责任感，具有主人翁意识。我们真切希望成为生物技术公司的合适的合作伙伴，为申办方团队提供流畅的外部支持，帮助他们将新疗法推向市场。"

Medpace提供全方位服务，在特定治疗领域拥有广泛的专业知识，可以优化试验设计、加速临床研发。Medpace拥有一支监管专家团队，可以在沟通协调、文件编写和备案流程等所有涉及监管机构的事项上为新兴生物技术公司提供支持。

此外，Medpace的全球影响力和丰富经验在解决各国文化和监管差异方面发挥着重要的作用。涉及先进疗法和转基因生物临床试验时，这一点尤为重要，因为先进疗法和转基因生物涉及复杂程序，而且各区域间通常缺乏协调。

"我们的企业文化和组织结构能助力快速解决意外情况。此外，我们在医学领域积累了深厚经验，我们秉持责任感、具有主人翁意识，可以为生物技术公司带来显著的优势，"Heyrman博士补充道。"我们与申办方同心协力，不断努力实现重要里程碑。这种伙伴关系赋予我们更强执行力的同时，也帮助我们在同行中脱颖而出。"

Medpace致力于实现**"化繁为简、无缝执行（Making the Complex Seamless™）"**，以不折不扣的坚定承诺，最高道德标准和专业表现开展工作，助力您的临床试验按时、按预算完成。

参考文献

1. **Global Newswire.** Biotechnology Market Size, Share, Growth, Forecast 2021-2030 [Internet]. 18 Jan 2022. Available: https://www.globenewswire.com/news-release/2022/01/18/2368681/0/en/Biotechnology-Market-Size-to-Surpass-US-1-683-52-Bn-by-2030.html
2. **IBIS World.** Global Biotechnology Industry: Market Research, Report [Internet]. 25 May 2021. Available: https://www.ibisworld.com/global/market-research-reports/global-biotechnology-industry/
3. **Mullard A.** 2021 FDA Drug Approvals. Nat Rev Drug Discov. 2022;21:83–88.
4. **50 of 2021's Best-Selling Pharmaceuticals.** In: Drug Discovery & Development [Internet]. 29 March 2022. Available: https://www.drugdiscoverytrends.com/50-of-2021s-best-selling-pharmaceuticals
5. **Smith J.** This Year's Nobel Prizes Highlight Advances in Biotechnology. In: Labiotech.eu [Internet]. 4 Oct 2018. Available: https://labiotech.eu/medical/nobel-prizes-biotechnology/
6. **Kotsev V.** 2020 Chemistry Nobel Prize Awarded to CRISPR-Cas9 Pioneers. In: Labiotech.eu [Internet]. 9 Oct 2020. Available: https://www.labiotech.eu/trends-news/crispr-cas9-nobel-2020/
7. **Which Are The Largest Biotech Companies In The World?** In: WorldAtlas [Internet]. 20 March 2017. Available: https://www.worldatlas.com/articles/which-are-the-largest-biotech-companies-in-the-world.html
8. **Fraser L.** Cloning Insulin. In: Genentech [Internet]. 7 Apr 2016. Available: https://www.gene.com/stories/cloning-insulin
9. **Warner E.** Cambridge Antibody Technology: The History of the UK's Best Biotech. In: Labiotech.eu [Internet]. 8 Jun 2017. Available: https://labiotech.eu/interviews/greg-winter-interview-history
10. **IQVIA.** Global Trends in R&D 2022: Overview Through 2021 [Internet]. 10 Feb 2022. Available: https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports/global-trends-in-r-and-d-2022
11. **PhRMA.** Medicines in Development: Rare Diseases. A Report on Orphan Medicines in the Pipeline [Internet]. 15 Dec 2021. Available: https://www.phrma.org/-/media/Project/PhRMA/PhRMA-Org/PhRMA-Org/PDF/MID-Reports/MID-Rare-Diseases-2.pdf
12. **Post S.** The Rise of Orphan Drugs: A New Paradigm for the Future. In: Labiotech.eu [Internet]. 18 Feb 2019. Available: https://labiotech.eu/sponsored/orphan-drugs-development-future/
13. **Langhauser K.** Rising Tides of Orphan Drugs. In: Pharma Manufacturing [Internet]. 10 Jun 2021. Available: https://www.pharmamanufacturing.com/articles/2021/rising-tides-of-orphan-drugs/
14. **Straus M.** 2022 Pipeline Report: Capitalizing on Opportunity. In: PharmExec.com [Internet]. 9 Dec 2021. Available: https://www.pharmexec.com/view/2022-pipeline-report-capitalizing-on-opportunity
15. **Aitken M.** The Resilience of R&D: Pharma Posted Record Output in 2021. In: PharmExec.com [Internet]. 8 March 2022. Available: https://www.pharmexec.com/view/the-resilience-of-r-d-pharma-posted-record-output-in-2021
16. **Scannell JW, Blanckley A, Boldon H, Warrington B.** Diagnosing the Decline in Pharmaceutical R&D Efficiency. Nat Rev Drug Discov. 2012;11: 191–200.
17. **Herper M.** The Cost Of Developing Drugs Is Insane. That Paper That Says Otherwise Is Insanely Bad. In: Forbes [Internet]. 16 Oct 2017. Available: https://www.forbes.com/sites/matthewherper/2017/10/16/the-cost-of-developing-drugs-is-insane-a-paper-that-argued-otherwise-was-insanely-bad/

18. **Schlander M, Hernandez-Villafuerte K, Cheng CY, Mestre-Ferrandiz J, Baumann M.** How Much Does It Cost to Research and Develop a New Drug? A Systematic Review and Assessment. PharmacoEconomics. 2021:39;1243–1269

19. **Hurtado-Chong A, Joeris A, Hess D, Blauth M.** Improving Site Selection in Clinical Studies: Aa Standardised, Objective, Multistep Method and First Experience Results. BMJ Open. 2017;7: e014796.

20. **Lesser N, Terry C, Wu J, Mulder J, Dondarski K.** In the Face of Uncertainty: A Challenging Future for Biopharmaceutical Innovation. In: Deloitte [Internet]. Available: https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/lu/Documents/life-sciences-health-care/us_consulting_Inthefaceofuncertainty_040614.pdf

21. **Domonkos D.** Uncertainty in Innovation in the Biotech-Pharmaceutical Industry. Period Polytech Soc Manag Sci. 2010;18: 21–30.

22. **Fernández CR.** Top 5 Reasons Why Biotech Startups Fail -- and How to Avoid Them. In: Labiotech.eu [Internet]. 27 Nov 2018. Available: https://labiotech.eu/tops/biotech-startups-failure-advice/

23. **Rhyne LC.** Business Model Design for Biotechnology Firms. In: International Journal of Business Innovation and Research [Internet]. 2009;3:298–310. Available: https://www.inderscienceonline.com/doi/abs/10.1504/IJBIR.2009.024181

24. **Dixon J.** Begin With the End in Mind. In: Trade Secrets [Internet]. 18 May 2012. Available: http://blogs.nature.com/tradesecrets/2012/05/18/begin-with-the-end-in-mind

25. **Milmo S.** The Role of Regulatory Advice in Drug Development [Internet]. 2 April 2015. Available: http://www.pharmtech.com/role-regulatory-advice-drug-development

26. **Van Mol R.** Industry Joins Forces to Improve Collaboration Between Sponsors and CROs. J Clin Trials. 2018;10:56–57.

27. **Molho D.** Partnering with the Right CRO is a Winning Strategy for Companies Big and Small. In: Drug Discovery World [Internet]. 5 Oct 2013. Available: https://www.ddw-online.com/business/p216817-partnering-with-the-right-cro-is-a-winning-strategy-for-companies-big-and-smallfall-13.html

28. **Kadiwar K, Jacob I, Groden L, Kersse B.** CRO Sector: M&A Drivers and Market Trends Q1 2022. In: Results [Internet]. 23 Feb 2022. Available: https://resultsig.com/wp-content/uploads/2022/02/CRO-sector-MA-drivers-and-market-trends-Q1-2022-Results-Healthcare.pdf

29. **Montana J, Hop C.E.C.A.** Brothers in Arms: Biopharma and CROs Collaborating in Early Drug Discovery. In: Charles River Laboratories [Internet]. 2015. Available: https://www.criver.com/sites/default/filesresourcesBrothersinArmsBioPharmaandCROscollaboratinginearlydrugdiscov

关于MEDPACE

Medpace是一家全球领先的临床研究服务供应商 (CRO)。Medpace致力于通过高科学性和规范性的运营方法，利用包括肿瘤学、心脏病学、代谢疾病、内分泌学、抗病毒和抗感染在内的所有治疗领域的专业知识，实现“在全球范围内加速开发安全有效的医学手段”这一终极使命。

Medpace还提供全球中心实验室、中心成像实验室和生物分析实验室服务，以及位于俄亥俄州辛辛那提市总部临床研究园区的 I期临床研究病房。

Medpace总部位于美国俄亥俄州辛辛那提市，在全球拥有超过5800名员工，足迹遍布41个国家/地区。公司于2016年开始作为一家上市公司进行股票交易。

公司从2007年开始在中国开设办公室并开始运营临床项目，并于2020年在上海浦东新区落成一座Medpace全资的中心实验室，该实验室有能力帮助申办方在中国进行I期至IV期临床试验。

扫描关注MEDPACE公众号

获取更多高价值资讯

联系Medpace专家团队

Medpace.com