

儿童药时代：政策破局下的创新药 蓝海与立项机会洞察

摩熵咨询
2026年6月

生命科学领域全球领先的数据系统与咨询服务提供商

摩熵数科 www.bcpmdata.com

摘要

写作背景

本报告聚焦儿童药政策、市场与研发格局，围绕政策从鼓励迈向制度化、市场常见病与高价值赛道结构性分化、研发从成人折算转向儿童专属证据与适宜剂型、商业化从适应症补充转向临床到支付的全链闭环，系统研判儿童药发展态势与核心机遇。报告旨在为医药企业、投资机构及相关决策主体提供一站式研发参考、市场洞察与立项策略支持。

■ 制度破局

儿童用药从“鼓励研发”走向“制度化支持”，市场独占期、优先审评、短缺监测及八部门实施意见等机制密集落地，推动研审联动、支付采购与临床服务全链条保障。

■ 赛道分野

儿童药并非单一赛道，常见病基本盘与罕见病/肿瘤等高价值创新药结构性并存。全球临床试验市场增长但高质量证据供给不足，超说明书用药普遍，儿童专属剂型与证据缺口仍是核心矛盾。

■ 技术跃迁

研发重心聚焦儿童专属剂量、剂型与长期安全性证据。ASO、AAV基因治疗、CAR-T等精准疗法最为活跃，微片、口服膜、干混悬剂等适宜制剂技术成为改良型新药重要方向，呈现“机制明确、早期干预、去化疗化”趋势。

■ 模式重塑

儿童药商业化从“成人适应症补充”转向“儿童疾病特点驱动的专属开发”。企业需构建“临床缺口→儿童证据→适宜剂型→政策准入→商业化闭环”的全链能力，围绕支付准入、供应保障与患者管理建立复合壁垒。

为什么儿童药值得重新关注？

儿童不是成人的缩小版，儿童药需要独立的剂量、剂型和临床证据

患者基础

全球儿童人口约为23亿，儿童疾病覆盖呼吸、感染、消化、神经、遗传病、肿瘤等多场景¹。

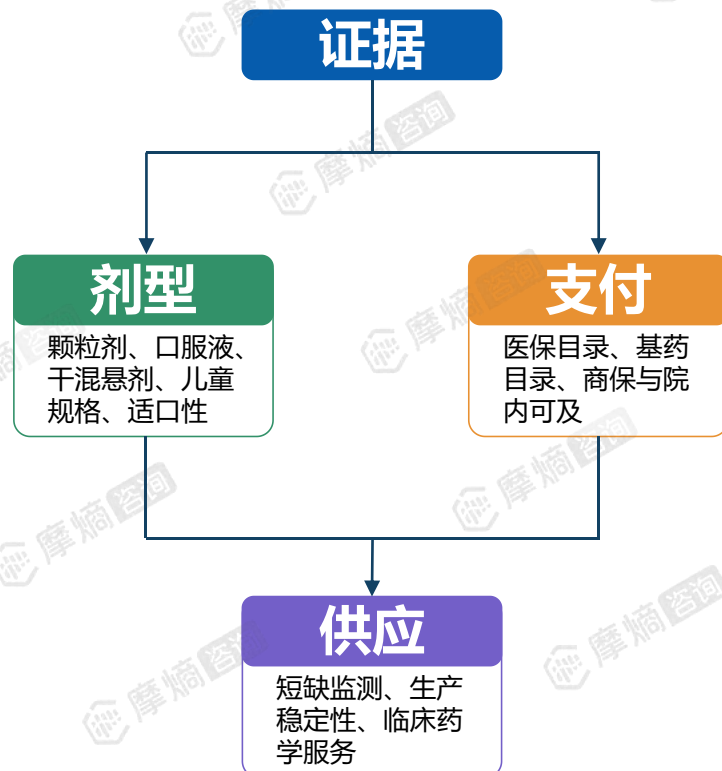
临床缺口

系统综述显示，儿童超说明书用药发生率在不同研究中差异很大，范围可达3.2%–95%²。

剂型问题

WHO相关研究持续提示：儿童适宜剂型仍存在全球性缺口，成人剂型拆分/粉碎可能带来剂量偏差³。

儿童药价值重构逻辑



政策与审评窗口正在打开

- 2024 第五批儿童药清单**
15个品种、25个规格、8种剂型；强调优先审评、基药/医保衔接⁴。
- 2024 审评批准提速**
CDE全年批准儿童用药106个品种；20个优先审评、35个扩展儿童适应症⁵。
- 2025 WHO GAP-f路线图**
“30 by 30”推动儿童友好制剂开发、批准与可及⁶。
- 2026 八部门供应保障机制**
覆盖研发创新、说明书完善、临床试验、供应可及与支付保障⁷。

从“儿童可用”走向“儿童专用”

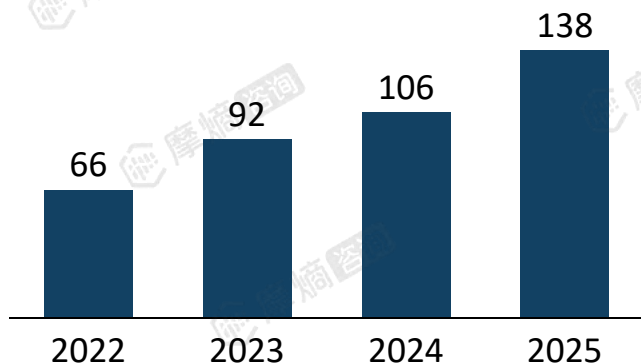
儿童药的核心机会不只是“市场扩容”，而是围绕儿童专属证据、适宜剂型、支付准入与供应保障共同重构产品价值。

儿童药市场：存量需求稳定，创新增量正在打开

儿童药不是单一赛道，而是由常见病基本盘与高价值创新药共同构成

➢ Grand View Research估算，全球儿童临床试验市场2024年为199亿美元，2030年预计达到269.9亿美元，2025–2030年CAGR为5.25%⁵。但同时，ClinicalTrials.gov中2015–2024年儿童专属干预性药物临床试验共2,928项，年登记量在257–339项之间，且67.5%的试验样本量不超过100例，说明“研发服务需求增长”与“高质量儿童证据供给不足”并存⁶。

国内儿童用药获批数量（个）¹⁻⁴



儿童药市场五大机会维度

常见病用药基本盘

- 呼吸、感染、消化、退热镇痛、过敏、皮肤等场景患者基数大；
- 看重剂型适配、品牌、渠道与安全性。

高价值创新药赛道

- 罕见病、遗传病、儿童肿瘤、神经系统疾病等患者较少；
- 未满足需求高、支付价值高、技术壁垒强。

儿童专属价值

- 建立儿童专属剂型、剂量、终点和长期安全性数据。

重点领域

- 基本盘：呼吸/感染/消化/过敏；
- 增量盘：罕见病/肿瘤/遗传病。

生命周期拓展机会

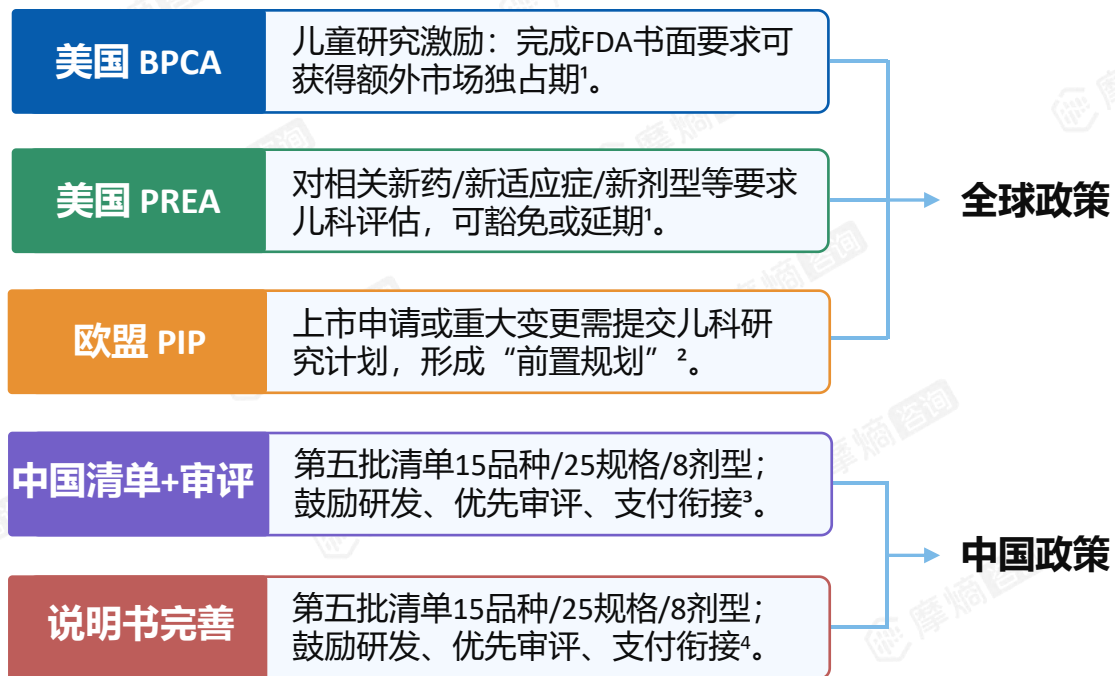
- 成人药儿童适应症扩展、儿童用法用量补充；
- 真实世界证据和长期安全性研究。

儿童药市场的增长逻辑正从“补齐成人药儿童适应症”转向“儿童疾病特点驱动的专属开发”。

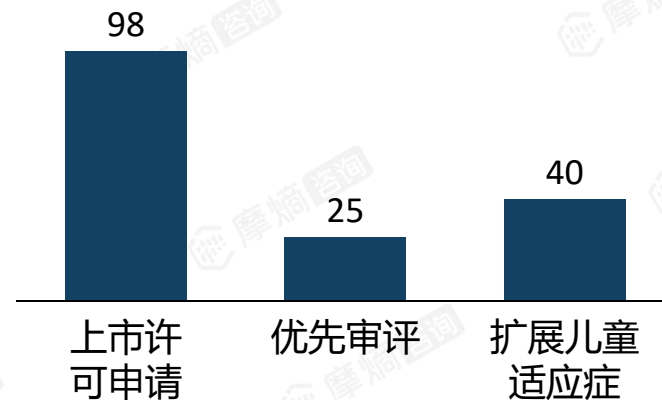
政策环境：儿童药从“鼓励研发”进入“制度化支持”阶段

政策正在改变儿童药研发回报预期，推动企业重新评估儿童适应症价值

全球与中国政策



2025年中国儿童药审评数据



- 2025年批准138个儿童用药品种，含98个上市许可扩展、25个优先审评品种及40个儿童适应证⁵。
- 2026年八部门实施意见提出研审联动、滚动提交、临床试验协作网、数据外推及支付采购倾斜等多项保障措施⁶。

政策的核心不只是“鼓励研发”，而是推动儿童用药从经验使用走向证据化、规范化和可及化。

儿童罕见病：儿童创新药最重要的突破口

罕见病常具备机制明确、疾病严重和高支付价值，是高价值儿童药最集中的场景

6000–8000¹

已知罕见病种类

疾病数量多且高度分散

约80%¹

具有遗传起源

机制明确度较高

约70%¹

儿童期发病

自然病程负担重

高支付²

罕见病/孤儿药属性

临床价值可转化为支付价值

罕见病治疗技术路线与临床价值

疾病机制	技术路线	临床价值
单基因/明确机制	AAV / 基因编辑	一次性或病因修正治疗
蛋白/酶缺陷	酶替代 / 蛋白疗法	生化指标+功能终点清晰
神经肌肉病	ASO / AAV / 外显子跳跃	早干预可显著改变自然史
代谢异常	RNA疗法 / 酶替代	代谢指标与临床结局联动

代表案例：技术突破重塑自然病程³

1 SMA

- Spinraza / Zolgensma;
- ASO与AAV基因治疗改变SMA治疗范式。

2 DMD

- 外显子跳跃 / Elevidys;
- 外显子跳跃与AAV基因治疗并行推进。

3 AADC缺乏症

- AAV基因治疗;
- 探索一次性治疗模式。

4 遗传代谢病

- 酶替代 / RNA疗法;
- 以机制和代谢终点支撑价值证明。

儿童罕见病的商业价值不来自患者数量，而来自明确机制、高疾病负担和显著临床获益。

儿童肿瘤：成人肿瘤创新路径正在向儿童场景延伸

儿童肿瘤创新不能简单复制成人路径，需兼顾疗效、发育安全与长期生存质量

血 儿童血液肿瘤：创新相对领先¹

以儿童/年轻成人B-ALL为例，Kymriah获批用于25岁以下复发/难治B-ALL患者，证明CAR-T

实 儿童实体瘤：仍有较大空白

神经母细胞瘤、脑胶质瘤等异质性强，创新药渗透率仍低，ADC、靶向和免疫联合值得持续跟踪

安 长期管理：安全性更关键

儿童患者生存期长，治疗后毒性、生长发育影响、第二肿瘤风险和生活质量需要进入价值评估。

儿童肿瘤机会层级

血液肿瘤

CD19等靶点证据先行，复发/难治B-ALL已形成突破

实体瘤

神经母细胞瘤、脑胶质瘤等异质性强，需靶点和联合策略

长期管理

儿童生存期长，长期毒性与安全性纳入评估

开发关键：从成人证据外推到儿童专属评价

生物学差异

儿童肿瘤突变负荷、驱动机制与成人不同，不能直接套用成人靶点逻辑。

临床终点

疗效需同时关注生长发育、认知影响、长期毒性和二次肿瘤风险。

商业化能力

多中心协作、诊断率、患者管理和支付路径决定真实落地。

儿童肿瘤创新不是简单复制成人肿瘤，而是要兼顾疗效、发育安全和长期生存质量。

技术路线：哪些创新技术最适合儿童药？

基因层面治疗与长期疾病修正技术，更契合儿童遗传性疾病和罕见病需求

技术路线	代表应用	儿童适配性	核心挑战	价值证明重点	立项优先级
ASO/siRNA	SMA、DMD、代谢病	★★★★★	递送/长期给药/安全性	生物标志物+功能终点	高
AAV基因治疗	SMA、DMD、眼病	★★★★★	免疫反应/剂量/安全窗	一次性获益+长期随访	高
CAR-T/细胞治疗	儿童血液肿瘤	★★★★★	制造/复发/成本	ORR/持久缓解/安全	中高
ADC/双抗	儿童肿瘤	★★★	靶点选择/毒性管理	有效率+长期毒性	中
酶替代/蛋白疗法	遗传代谢病	★★★★★	长期给药/依从性/支付	代谢指标+功能改善	中高

适合儿童药的核心逻辑

机制明确、干预早、获益可衡量、长期疗效价值高¹。

不适合简单外推

需要年龄分层、长期随访和儿童安全性评价。

产业化关键

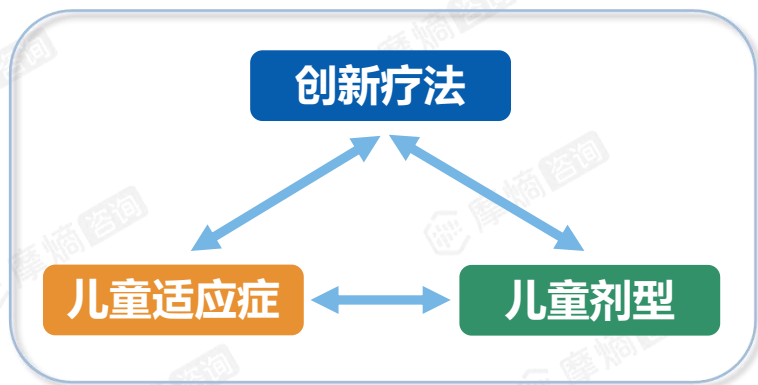
递送、CMC、支付和患者管理共同决定商业化上限。

儿童创新药的技术选择，核心在于“机制-人群-终点-长期价值”能否形成闭环。

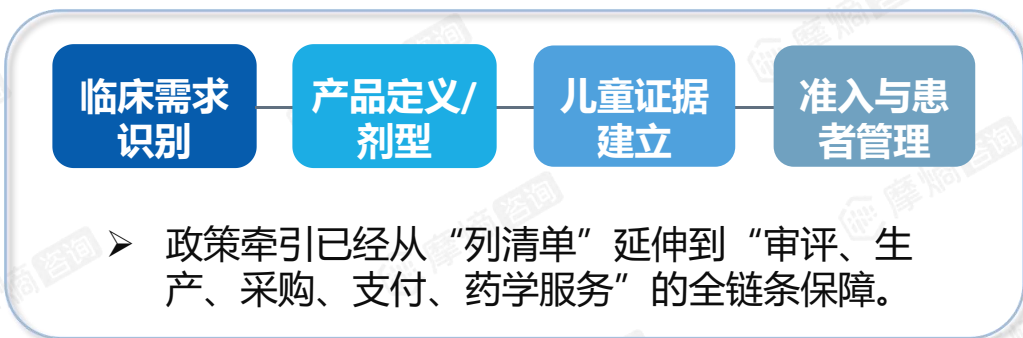
中国儿童药机会：从政策红利走向产品能力竞争

中国儿童药机会不在“大而全”，而在高价值疾病、儿童剂型和真实证据能力

中国儿童药机会三角



中国政策与审评数据提示¹



未来机会路线图²⁻⁴



中国儿童药机会将由“有没有产品”转向“是否具备儿童专属证据、剂型和准入能力”。

企业如何布局儿童药？

儿童药立项应从疾病价值、技术可行性、临床证据、注册支付和商业化能力共同判断

儿童药立项模型¹



企业布局建议：从机会识别到产品工程²

1. 疾病优先级

筛选高严重性、高未满足需求、机制明确或剂型痛点突出的疾病。

2. 产品定义

围绕目标年龄段确定剂型、规格、给药频次、终点、随访周期和说明书信息策略。

3. 证据路径

优先设计PK/PD、桥接研究、真实世界证据、长期安全随访与患者登记。

4. 注册支付

提前评估优先审评、罕见病支持、医保/商保支付、院内准入和患者管理闭环。

5. 立项避坑

单看患者数易低估价值，单看政策易忽视回报，单看成人证据易低估儿科难度。

儿童药不是单纯研发问题，而是贯穿研发、注册、支付和患者管理的全链条产品工程。

主线：临床缺口 → 儿童证据 → 适宜剂型 → 政策准入 → 商业化闭环

版权声明:

COPYRIGHT NOTICE:

本报告版权属于摩熵数科（成都）医药科技有限公司，并受法律保护。

转载、摘编或利用其它方式使用本报告文字或者观点的，应注明来源。

违反上述声明者，编者将追究其相关法律责任。

The copyright of this report belongs to BCPMdata Pharma Technology (Chengdu) Co.,Ltd., and is protected by law. Those who reprint, extract or use the text or views of this report in other ways should indicate the source, and those who violate the above statement will be investigated for their relevant legal responsibilities.

摩熵咨询是摩熵数科旗下生物医药专业咨询服务品牌，由深耕医药领域多年的专业人士组成，核心成员均来自国际顶级咨询机构和行业标杆企业，涵盖立项、市场、战略、投资等从业背景，依托摩熵数科丰富的外部专家资源及全面的医药全产业链数据库，为客户提供专业咨询服务和定制化解决方案。

结合数据资源与行业资源
提供专业咨询服务与定制化解决方案

市场洞察与营销赋能

分析市场现状，洞察行业趋势，依托数据分析和深度研究，辅助商业决策。

立项评估及管线规划

提供疾病领域品种调研、专家访谈、品种立项、项目交易整套服务。

产业规划及研究服务

以数据为基础，为组织、园区、企业提供科学的决策依据和趋势线索。

多渠道数据分析及定制服务

帮助客户深入了解目标领域和市场情况，发现潜在机会，优化业务决策。

投资决策与交易估值服务

为药企/投资机构提供市场调研、价值评估、专利评估、募投报告及IPO行研等决策支持服务。

"十五五"战略规划咨询服务

为政府及行业大中型企业提供外部环境洞察、地方发展评估、先进经验对标、总体战略规划等服务。

数据驱动决策，一站式生物医药咨询服务

- 销售数据，覆盖医院/药店/电商
- 60000+行业研究报告
- 真实世界数据，细分到科室
- 200+真实项目案例
- 药品流向数据，细分到医院
- 3000+业内高端专家资源

数据库免费试用



扫一扫
立即申请

11万份行业报告免费下载



定制需求/数据库咨询

☎ 400-9696-311 转1

摩熵数科“4+4+6”战略

4大产业链架构

B 摩熵生物
Biotechnology
生物大分子数据检索系统

C 摩熵化学
Chemical
化学小分子数据检索系统

P 摩熵医药
Pharmaceutical
药物和器械综合情报系统

M 摩熵医学
Medical
循证医学与医疗大数据

4大核心服务

数据检索SaaS服务

BCPM数据库检索，15大数据库矩阵，快速查询生命科学全产业链数据，支持在线分析。

定制咨询分析服务

提供产业立项评估、产业研究、市场洞察、销售布局、真实世界研究等定制化咨询服务。

AI语料及数据接口服务

AI语料定制及数据API接口服务，轻松实现AI模型训练和自定义业务场景所需底层数据。

产业链生态服务

基于BCPM数据生态进行生物学-化学-药学-医学相关上下游供应链服务，市场推广营销等服务。

6大客户群体

政



产



学



研



医



投

