



[www.leadleo.com](http://www.leadleo.com)

# 2021年 中国基因治疗行业概览

2021 China Gene Therapy Industry Overview

2021年の中国の遺伝子治療産業の概要

概览标签：基因治疗、基因疗法、基因编辑、罕见病

报告主要作者：郝世超

2021/05

# 头豹研究院简介

- ◆ 头豹是**国内领先的原创行企研究内容平台和新型企业服务提供商**。围绕“**协助企业加速资本价值的挖掘、提升、传播**”这一核心目标，头豹打造了一系列产品及解决方案，包括：数据库服务、行企研报服务、微估值及微尽调自动化产品、财务顾问服务、PR及IR服务，以及其他企业增长咨询服务等
- ◆ 头豹致力于以优质商业资源共享为基础，利用**大数据、区块链和人工智能**等技术，围绕**产业焦点、热点问题**，基于**丰富案例和海量数据**，通过开放合作的研究平台，汇集各界智慧，推动产业健康、有序、可持续发展



## 四大核心服务

### 企业服务

为企业提供定制化报告服务、管理咨询、战略调整等服务

### 云研究院服务

提供行业分析师外派驻场服务，平台数据库、报告库及内部研究团队提供技术支持服务

### 行业排名、展会宣传

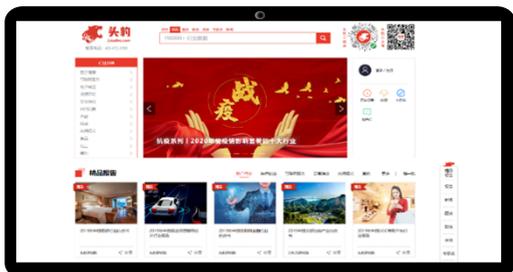
行业峰会策划、奖项评选、行业白皮书等服务

### 园区规划、产业规划

地方产业规划，园区企业孵化服务

# 研报阅读渠道

1、头豹科技创新网([www.leadleo.com](http://www.leadleo.com)): PC端阅读**全行业、千本**研报



2、头豹小程序: 微信小程序搜索“**头豹**”、手机扫上方二维码阅读研报

3、行业精英交流分享群: 邀请制, 请添加右下侧头豹研究院分析师微信



图说



表说



专家说



数说



扫一扫  
实名认证行业专家身份

详情咨询



客服电话

400-072-5588



上海

王先生: 13611634866

李女士: 13061967127



南京

杨先生: 13120628075

唐先生: 18014813521



深圳

李女士: 18049912451

李先生: 18916233114

# 摘要

## 基因治疗，为有需要的人提供创新选择

基因治疗是指通过操作遗传物质来干预疾病的发生、发展或进程，基因治疗有望从根本上治愈一些现有的常规疗法不能解决的疾病。

现阶段，基因治疗产品正被研究用于治疗包括癌症、遗传病和传染病在内的疾病，分为体内与体外两种途径，按技术特点可分为五类产品。基因治疗可针对多种临床适应症和组织靶标，包括神经肌肉疾病、遗传性失明和癌症等，同时基因治疗可为开发其他疾病的治疗方法奠定基础。

由于加速审评审批的政策利好及高患者基数，在中国开展的基因治疗临床试验数量已为全球第二，未来中国对基因治疗产品临床试验和后续商业化吸引力将持续提升。

### 提升特异性产率与回收率，填补供需缺口

- 中国基因治疗行业尚未形成完善产业链，多数基因治疗产品应用于实验室开发与临床前与临床项目申报等，放眼全球，病毒载体出现供需缺口，基因治疗企业将侧重于采用和实施创新技术放大工艺

### 基因治疗产品外包服务将兴起

- 可提供从临床前研究到商业化生产的一体化服务的CDMO机构可为药企缩小研发投入，并且帮助解决研产瓶颈，成为市场化结构优化的必然趋势

### 基因治疗产品的支付与报销或受海外启发

- 在欧洲、美国与加拿大市场，除已退市的产品外，获得上市授权（MA）的基因治疗产品已进入国家支付体系，在复杂的市场化挑战中给予中国一定的启发

# 目录

## CONTENTS

◆ 名词解释	-----	09
◆ 基因治疗行业综述	-----	10
• 分子机制	-----	11
• 途径与分类	-----	12
• 里程碑事件	-----	13
• 市场规模	-----	14
• 价值链	-----	15
◆ 基因治疗全球上市产品及价格数据	-----	16
◆ 基因治疗行业驱动因素	-----	20
• 罕见病的治疗需求强烈	-----	21
• 基因治疗研发优势独特	-----	22
◆ 基因治疗行业相关政策分析	-----	24
◆ 基因治疗行业发展趋势	-----	25
• 支付与报销受海外启发	-----	26
• 临床试验规模继续扩大	-----	27
• 应用于基因治疗中的AAV载体优化	-----	28
• 基因治疗CDMO服务兴起	-----	29
◆ 中国基因治疗行业推荐企业	-----	30
• 复星凯特	-----	31
• 博雅辑因	-----	33
• 药明康德	-----	35
◆ 中国基因治疗行业投资风险	-----	37
◆ 方法论	-----	38
◆ 法律声明	-----	39

# 目录

## CONTENTS

◆ Terms	-----	09
◆ Industry Overview	-----	10
• Molecular Mechanism	-----	11
• Approach And Classification	-----	12
• Milestone Event	-----	13
• Market Size	-----	14
• Value Chain	-----	15
◆ Listed Products And Price Data	-----	16
◆ Driving Factors	-----	20
• Strong Demand For Treatment Of Rare Diseases	-----	21
• Unique Advantages In Gene Therapy Research And Development	-----	22
◆ Policy Analysis	-----	24
◆ Development Trend	-----	25
• Payment And Reimbursement Inspired By Overseas	-----	26
• The Scale Of Clinical Trials Continues To Expand	-----	27
• AAV Vector Optimization Applied In Gene Therapy	-----	28
• The Rise Of Gene Therapy CDMO Services	-----	29
◆ Recommended Companies	-----	30
◆ Methodology	-----	37
◆ Legal Statement	-----	38

# 图表目录

## List of Figures and Tables

图表1:	基因治疗的三种分子机制	-----	11
图表2:	基因治疗产品途径	-----	12
图表3:	基因治疗里程碑事件	-----	13
图表4:	中国基因治疗市场规模	-----	14
图表5:	中国基因治疗行业价值链	-----	15
图表6:	全球获批上市的细胞与基因产品, 1998-今	-----	17
图表7:	细胞与基因产品梳理, 2003-今	-----	18
图表8:	细胞与基因产品梳理, 2003-今 (续)	-----	19
图表9:	基于20,804名罕见病患者的罕见疾病种类分布及人数, 2019 <sup>(1)</sup>	-----	21
图表10:	基因疗法与传统治疗药物对比	-----	22
图表11:	中国基因治疗行业相关政策, 2003-2021	-----	24
图表12:	欧洲五国、美国及加拿大对于已获上市的基因治疗产品的支付策略	-----	26
图表13:	基因治疗临床试验数量, 2020.02	-----	27
图表14:	工程化AAV三种技术设计路径	-----	28
图表15:	基因治疗研发成本与基因治疗CDMO服务流程	-----	29
图表16:	复星凯特企业发展里程碑事件	-----	31
图表17:	Yescarta临床数据与业绩情况 <sup>(1)</sup>	-----	32
图表18:	博雅辑因企业发展里程碑事件	-----	33
图表19:	博雅辑因产品介绍	-----	34
图表20:	药明康德相关平台	-----	35

# 图表目录

## List of Figures and Tables

图表21:	药明康德财务数据, 2019-2020	-----	35
图表22:	药明康德业务范围	-----	36

# 名词解释

## TERMS

- ◆ **HDR:** 同源性定向修复
- ◆ **NHEJ:** 非同源末端连接
- ◆ **罕见病:** 在欧盟地区, 发病率低于5/10,000的疾病为罕见病; 在美国是患病人数低于200,000人、发病率低于7.5/10,000的疾病为罕见病; 在日本则是患病人数低于50,000人、发病率低于4/10,000的疾病为罕见病
- ◆ **核酸酶:** 在核酸分解的第一步中, 作用于水解核苷酸之间的磷酸二酯键, 属于水解酶
- ◆ **罕见病:** 根据世界卫生组织的定义, 罕见病为患病人数占总人口的0.65‰-1‰的疾病。世界各国根据自己国家的具体情况, 对罕见病的认定标准存在一定的差异。常见的罕见病包括血友病、白化病、特发性肺动脉高压病、肢端肥大症等
- ◆ **CAR-T:** Chimeric Antigen Receptor T-Cell Immunotherapy, 嵌合抗原受体T细胞免疫疗法, 指通过基因工程获取携带识别肿瘤抗原特异性受体的T细胞, 输回患者体内, 杀伤恶性肿瘤细胞的疗法。CAR-T细胞可以直接识别肿瘤相关抗原, 准确定位到肿瘤靶点并长期表达, 有效增强T细胞的肿瘤杀伤效应。CAR-T疗法在白血病、淋巴瘤、多发性骨髓瘤等血液瘤或肝癌、乳腺癌、卵巢癌等癌症治疗中疗效明显
- ◆ **MA:** 上市授权
- ◆ **GTMP:** 基因治疗药品, 用于指所有类型的基因治疗和基因工程细胞治疗
- ◆ **HTA:** 卫生技术评估

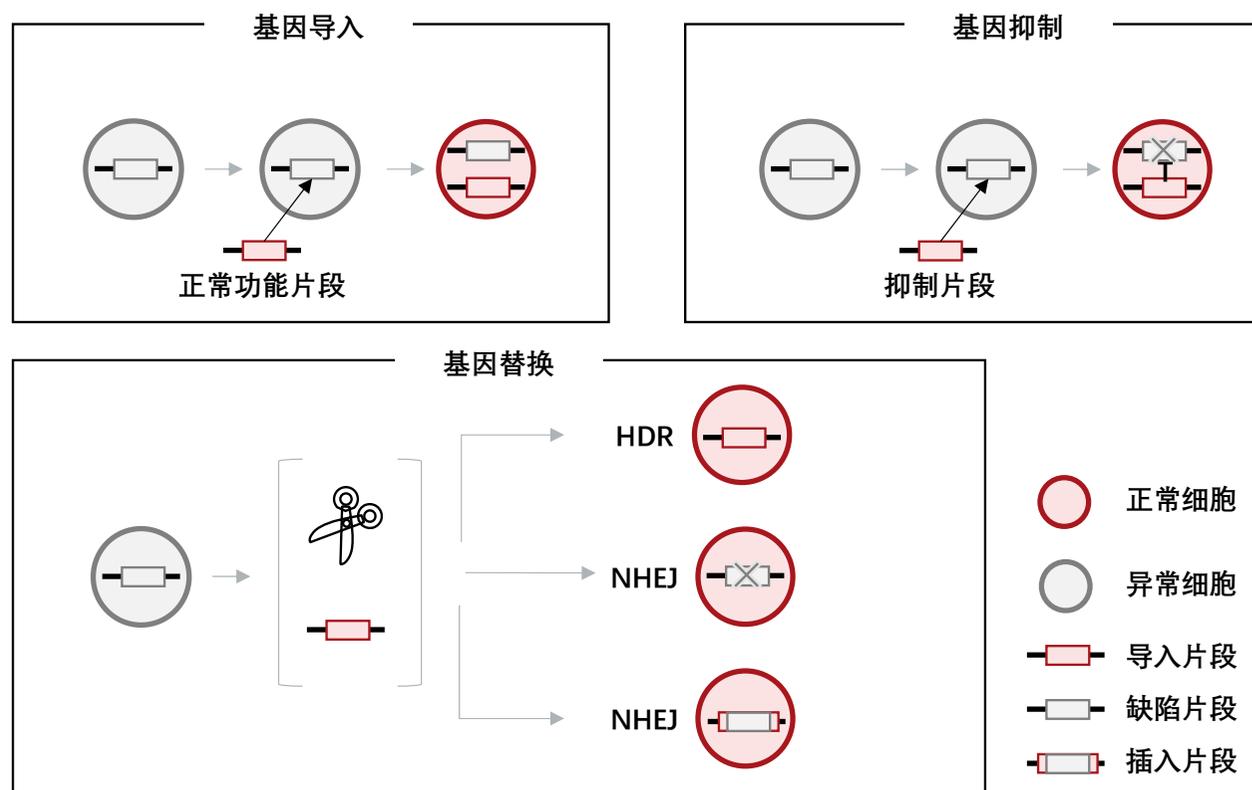
# 01 基因治疗行业综述

- 基因治疗是指通过操作遗传物质来干预疾病的发生、发展或进程，基因治疗有望从根本上治愈一些现有的常规疗法不能解决的疾病
- 基因治疗产品正被研究用于治疗包括癌症、遗传病和传染病在内的疾病，分为体内与体外两种途径，按技术特点可分为五类产品
- 基因治疗可针对多种临床适应症和组织靶标，包括神经肌肉疾病，遗传性失明和癌症等，同时基因治疗可为开发其他疾病的治疗方法奠定基础

# 基因治疗行业综述——分子机制

基因治疗是指通过操作遗传物质来干预疾病的发生、发展或进程，基因治疗有望从根本上治愈一些现有的常规疗法不能解决的疾病

## 基因治疗的三种分子机制



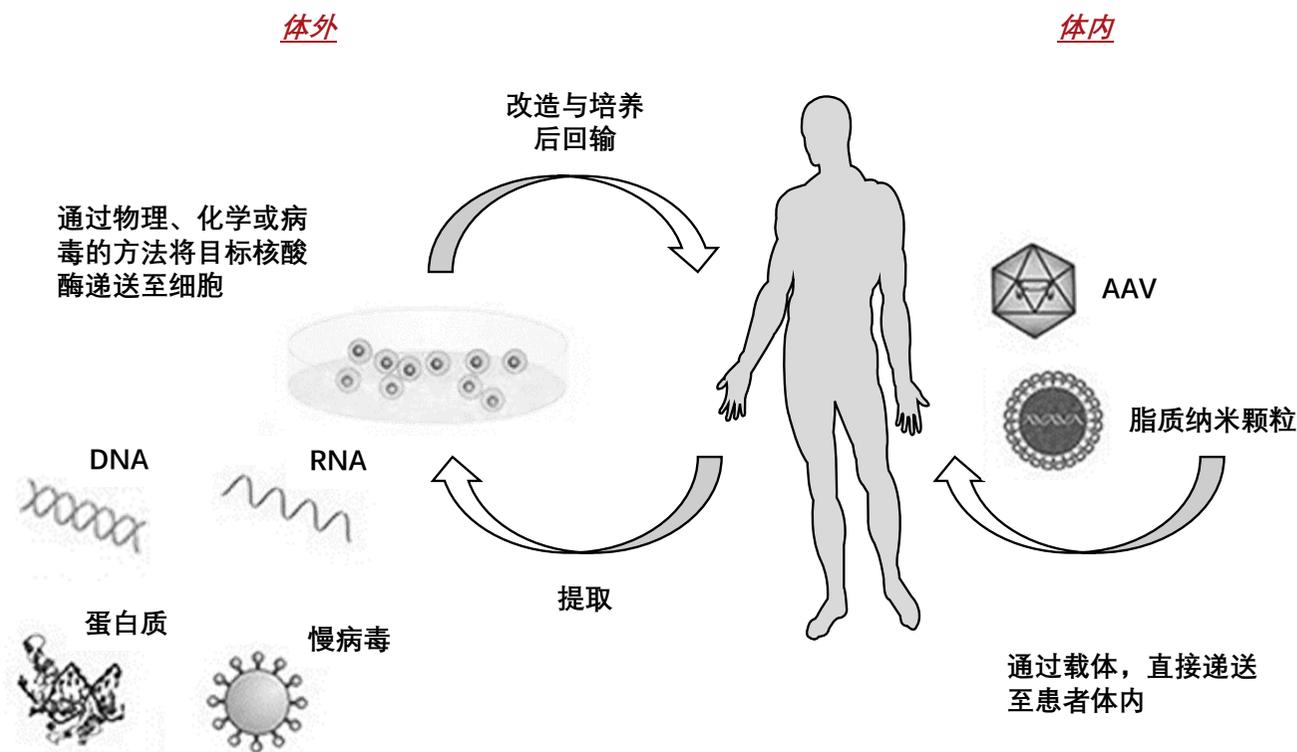
## 介绍

- 基因治疗 (Gene Therapy) 是一种改变人的基因来治疗或治愈疾病的技术，旨在改变或操纵基因的表达，或改变活细胞的生物学特性，以供治疗之用。
- 基因治疗有望从根本上治愈一些现有的常规疗法不能解决的疾病。
- 基因治疗主要通过以下三种机制发挥作用：
  1. 基因替换：将致病基因替换为该基因的健康拷贝。
  2. 基因抑制：使无法正常工作的致病基因失活。
  3. 基因导入：将一种新的或经过修饰的基因引入人体，以帮助治疗疾病。

# 基因治疗行业综述——途径与分类

基因治疗产品正被研究用于治疗包括癌症、遗传病和传染病在内的疾病，分为体内与体外两种途径，按技术特点可分为五类产品

## 基因治疗产品途径



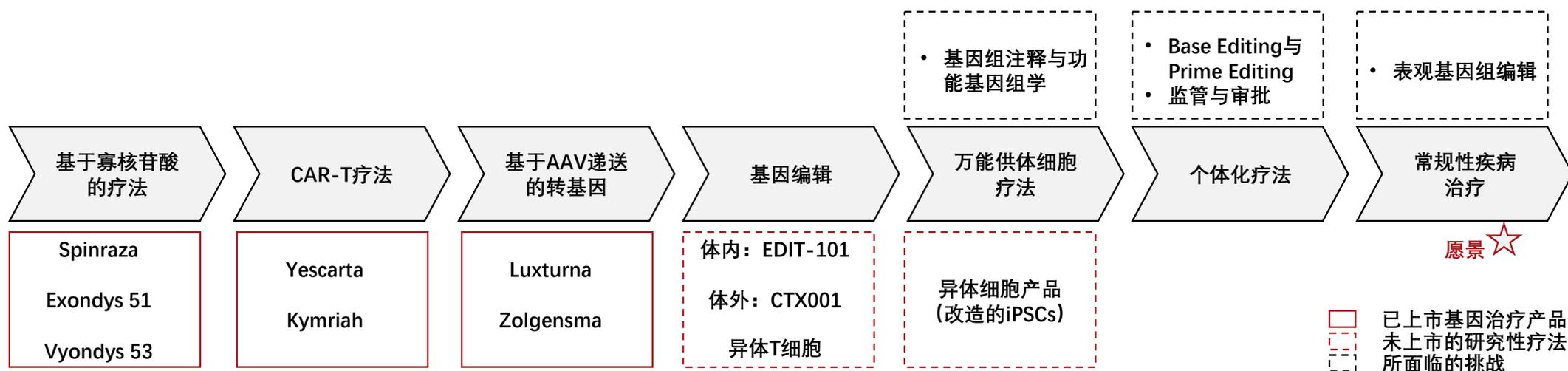
## 介绍

- 基因治疗产品正被研究用于治疗包括癌症、遗传病和传染病在内的疾病。
- 基因治疗有体内与体外两种途径，基因治疗产品按技术特点包括以下五种：
  1. **质粒DNA:** 环状DNA分子可以通过基因工程将治疗基因携带到人类细胞中。
  2. **病毒载体:** 病毒具有将遗传物质传递到细胞中的自然能力，因此一些基因治疗产品是从病毒中衍生出来的。一旦病毒被改造以消除它们引起传染病的能力，这些经过修饰的病毒就可以被用作载体(载体)，将治疗基因携带到人类细胞中。
  3. **细菌载体:** 细菌可以被修饰以防止它们引起传染病，然后作为载体(载体)将治疗基因携带到人体组织中。
  4. **人类基因编辑技术:** 基因编辑的目的是破坏有害基因或修复突变基因。
  5. **患者源性细胞基因治疗产品:** 细胞从病人身上移除，基因改造(通常使用病毒载体)，然后返回给病人。

# 基因治疗行业综述——里程碑事件

基因治疗可针对多种临床适应症和组织靶标，包括神经肌肉疾病，遗传性失明和癌症等，同时基因治疗可为开发其他疾病的治疗方法奠定基础

## 基因治疗里程碑事件



- ❑ 基因和细胞疗法领域在过往几年中出现复兴，一批疗法获批。这包括第一种基于寡核苷酸的疗法（Spinraza, Exondys 51, Vyondys 53）、三种细胞疗法（Kymriah, Yescarta, Tescartus）和两种体内基因疗法（Luxturna和Zolgensma）。这些疗法可针对多种临床适应症和组织靶标，包括神经肌肉疾病，遗传性失明和癌症。
- ❑ 尽管这些批准的疗法改变了患病患者的生活，但它们在更广泛的领域证明中提供了更广泛的影响，并为基因治疗可为开发其他疾病的治疗方法奠定基础。例如，Luxturna和Zolgensma分别将体内AAV基因成功转移到人的视网膜和中枢神经系统中，从而分别治疗了莱伯先天性黑朦病和脊髓性肌萎缩症与杜氏肌营养不良症。同样，将慢病毒和逆转录病毒基因转移到T细胞的早期技术发展已导致过继性细胞免疫疗法的发展，现已扩展到造血干细胞的修饰。针对镰状细胞病和β地中海贫血等遗传性疾病的治疗方法已在欧盟获批，亦正在美国进行审查。

## 基因治疗行业综述——市场规模

对基因治疗未来潜在市场规模进行预测，2021年-2025年，中国基因治疗行业市场规模将从504亿元人民币增长至1,208亿元人民币，年复合增长率24.4%

### 中国基因治疗市场规模

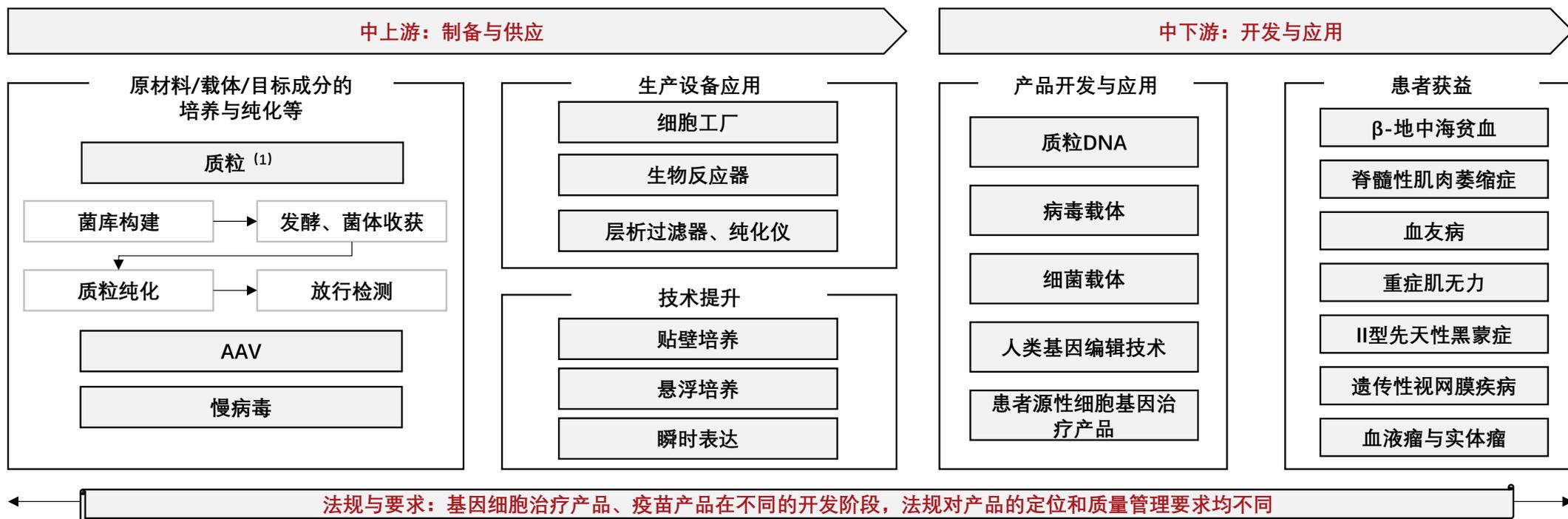


- 产品研发、市场和商业化途径对未来的基因治疗商业化具有重大的影响，因此如何发现与借鉴商业模式，更为精准地针对常见病开展基因治疗将成为评估市场潜力的重要因素。
- 目前，除今又生和安科瑞之外，中国仅Spinraza获批上市。
- 复星凯特的益基利仑赛和药明巨诺的瑞基仑赛已提交上市申请。传奇生物与强生的西达基奥仑赛正处于临床II期。
- 此外，中国开展的基因治疗临床试验约20个，适应症主要为血友病与地中海贫血等罕见病及黑色素瘤等肿瘤疾病。
- 今又生作为首款基因治疗产品上市之际，基因治疗行业尚未成熟。本文仅针对基因治疗未来潜在市场规模进行预测，2021年-2025年，中国基因治疗行业市场规模将从504亿元人民币增长至1,208亿元人民币，年复合增长率24.4%。

# 基因治疗行业综述——价值链

中国基因治疗行业尚未形成完善产业链，多数基因治疗产品应用于实验室开发与临床前与临床项目申报等，放眼全球，病毒载体出现供需缺口，基因治疗企业将侧重于采用和实施创新技术放大工艺

## 中国基因治疗行业价值链



行业需解决的问题：如何提升特异性产率与回收率，填补供需缺口，从而助推商业化生产

(1)：所示流程为质粒临床级GMP生产

来源：案头研究，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

## 02 基因治疗全球上市产品及价格数据

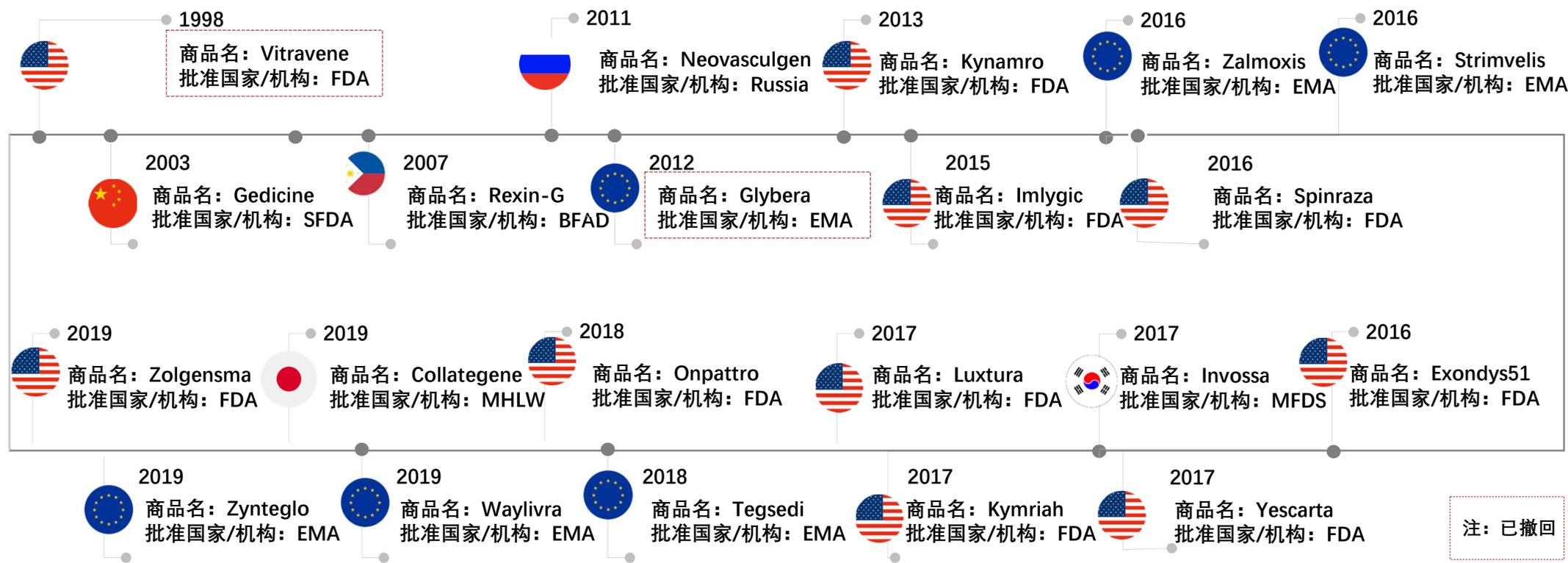
---

- Gendicine被认为是第一款商品化的基因治疗药物，随着递送系统在基因疗法中应用的逐渐成熟，基因治疗药物转化的壁垒被逐步攻破，基因治疗产品陆续获批
- 截至2021年3月，全球获批基因治疗产品20余种，市场价格高昂，但为罕见和遗传性疾病以及无法治愈疾病的治疗带来了巨大希望

# 基因治疗全球上市产品及价格数据 (1/3)

Gendicine被认为是第一款商品化的基因治疗药物，随着递送系统在基因疗法中应用的逐渐成熟，基因治疗药物转化的壁垒被逐步攻破，基因治疗产品陆续获批

全球获批上市的细胞与基因产品，1998-今



来源: Forntiers, 头豹研究院编辑整理  
©2021 LeadLeo

## 基因治疗全球上市产品及价格数据 (2/3)

截至2021年3月，全球获批基因治疗产品20余种，市场价格高昂，但为罕见和遗传性疾病以及无法治愈疾病的治疗带来了巨大希望

细胞与基因产品梳理，2003-今

商品/通用名	Zynteglo	Zolgensma	Waylivra	Collategene	Onpattro	Tegsedi	Luxturna	Yescarta	Kymriah	Invossa
适应症	地中海贫血	脊髓型肌萎缩	家族性乳糜微粒血症综合征	严重肢体缺血	淀粉样变性	淀粉样变性	视网膜营养不良	大B细胞淋巴瘤	B细胞前体急性淋巴细胞白血病和大B细胞淋巴瘤	膝关节炎
治疗领域	罕见病	罕见病	罕见病	心血管疾病	罕见病	罕见病	罕见病	罕见病	罕见病	骨关节炎
厂商										
获批日期	2019-06	2019-05	2019-05	2019-03	2018-08	2018-07	2017-12	2017-10	2017-08	2017-07
给药途径	体外	体内	体内	体内	体内	体内	体内	体外	体外	体外
费用	157.5万欧元 / 疗程	212.5万美元 / 疗程	-	60.0万日元 / 针	34.5万美元 / 2 mg/ml	3.4万美元 / 月	42.5万美元 / 单只眼睛	37.3万美元 / 疗程	47.5万美元 / 疗程	-

来源: Forntiers, 头豹研究院编辑整理  
©2021 LeadLeo

## 基因治疗全球上市产品及价格数据 (3/3)

截至2021年3月，全球获批基因治疗产品20余种，市场价格高昂，但为罕见和遗传性疾病以及无法治愈疾病的治疗带来了巨大希望

细胞与基因产品梳理，2003-今 (续)

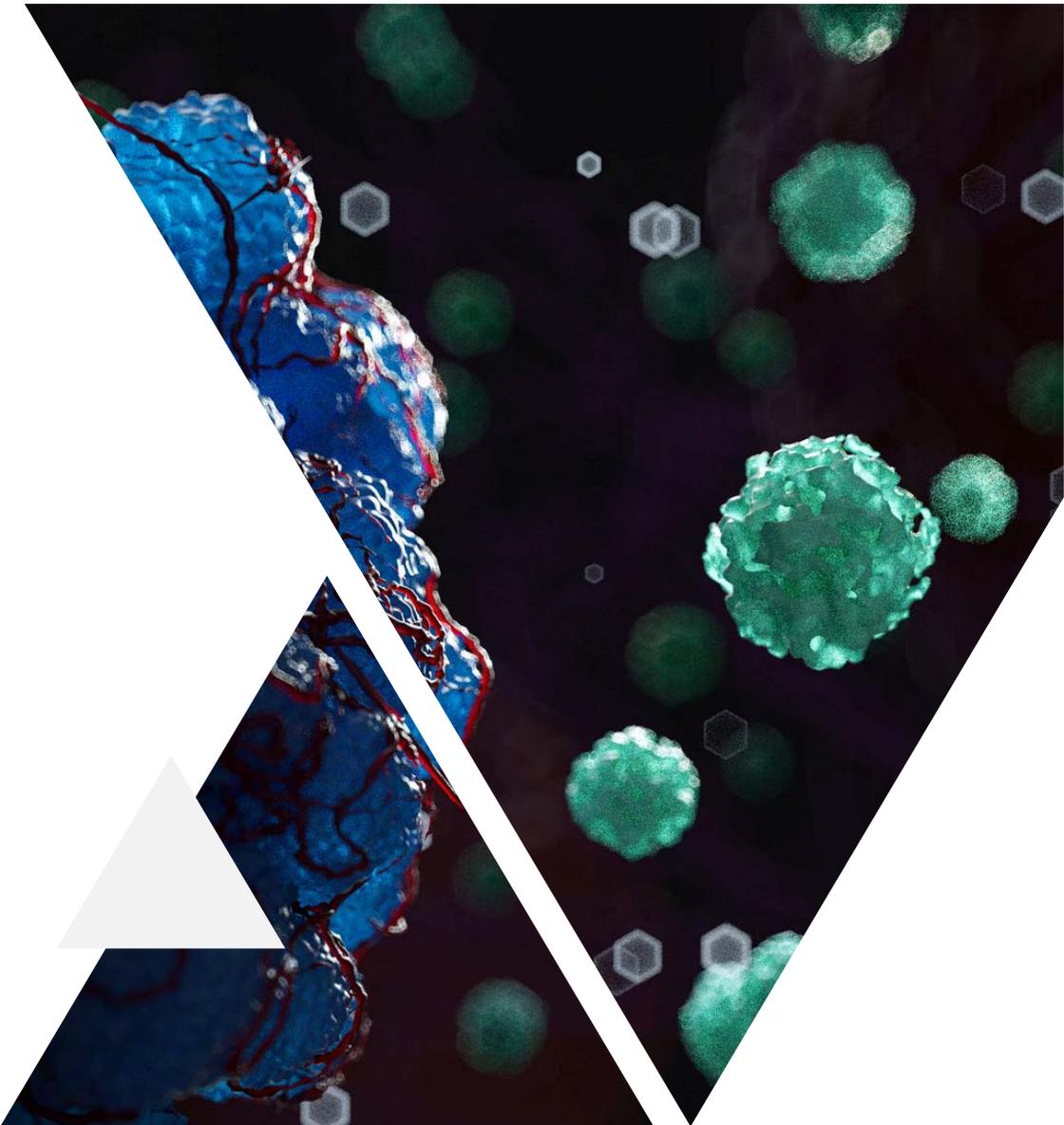
商品/通用名	Spinraza	Exondys 51	Zalmoxis	Strimvelis	Imlygic	Kynamro	Glybera	Neovasculgen	Rexin-G	Gendicine
适应症	脊髓型肌萎缩	杜氏肌营养不良症	恢复免疫系统HSCT移植	重症联合免疫缺陷	黑色素瘤	纯合子家族性高胆固醇血症	家族性脂蛋白脂肪酶缺乏症和胰腺炎发作	动脉粥样硬化性外周动脉疾病	软组织肉瘤, 骨肉瘤和胰腺癌	头颈癌
治疗领域	罕见病	罕见病	免疫疾病	罕见病	癌症	罕见病	罕见病	心血管疾病	罕见病	癌症
厂商										
获批日期	2016-12	2016-09	2016-08	2016-05	2015-10	2013-01	2012-10	2011-12	2007-12	2003-10
给药途径	体外	体内	体外	体外	体内	体内	体内	体内	体内	体内
费用	12.5万美元/针	1,678美元/2ml/瓶	16.4万欧元/疗程	64.8万美元/疗程	6.5万美元/疗程	6,910美元/2ml/瓶	120万美元/人	6,600美元/疗程	50万美元/疗程	387美元/针

来源: Forntiers, 头豹研究院编辑整理  
©2021 LeadLeo

# 03

## 基因治疗行业驱动因素

- 罕见病患者总人数超过了艾滋病与癌症，但是超过90%的罕见病缺乏有效的治疗手段，基因治疗有望解决这一困境
- 核酸序列的设计与合成相较小分子靶向药和单抗药物难度更小，在开发出一个安全、高效的递送系统之后，基因治疗产品的开发难度反而更低、研发成功率更高

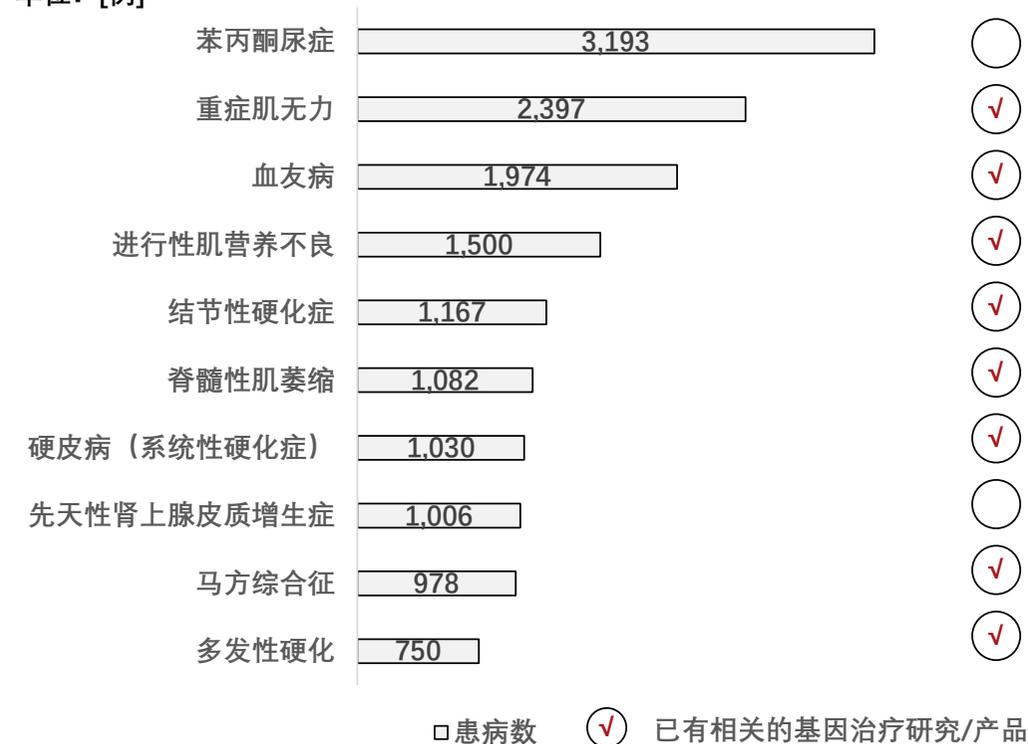


# 基因治疗行业驱动因素——罕见病的治疗需求强烈

罕见病患者总人数超过了艾滋病与癌症，但是超过90%的罕见病缺乏有效的治疗手段，基因治疗有望解决这一困境

基于20,804名罕见病患者的罕见疾病种类分布及人数，2019 <sup>(1)</sup>

单位：[例]



(1)：患病率前10的种类，不完全统计

来源：NMPA, FDA, SFC, Chinaicf, 头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

分析师观点

- ❑ 绝大多数的罕见病由遗传基因导致。罕见病种类多达7,000余种，总人数估计达3.5亿人，超过了艾滋病与癌症的数量。
- ❑ 但是，罕见病出现的“确诊难、没有药”困境尚未解决，现阶段超过90%的罕见病缺乏有效治疗手段。罕见病治疗是国际难题，罕见病有效治疗方法稀缺，而且大多耗费巨大，这给患者和家庭带来沉重的经济和心理压力，并最终导致更大的社会成本。
- ❑ 国家层面对于健康中国的建设直接推动罕见病的防治，进而驱动基因治疗行业发展。
- ❑ 2015年，中国罕见病患者总人数约为1,680万人，而到2020年，中国罕见病患者约2,000万人。基因治疗为罕见和遗传性疾病以及无法治愈疾病的治疗带来了巨大希望。

## 基因治疗行业驱动因素——基因治疗研发优势独特

核酸序列的设计与合成相较小分子靶向药和单抗药物难度更小，在开发出一个安全、高效的递送系统之后，基因治疗产品的开发难度反而更低、研发成功率更高

### 基因疗法与传统治疗药物对比

	小分子药物	抗体药物	基因治疗（核酸药物）
分子量	小	大	中
作用位点	胞内、胞外与膜上	胞外、膜上	胞内
靶点个数	多	少	多
作用方式	静电力吸附	蛋白相互作用	碱基互补配对
特异性	弱	强	强
半衰期	短	短	长
先导分子研发难度	大	小	小
给药途径	口服	静脉或皮下注射	静脉或皮下注射等

### 分析师观点

- 基因治疗研发的三大共性步骤包括：
  1. 核酸序列的设计与合成
  2. 将目标序列递送至细胞中（体内或体外）
  3. 工业化生产
- **核酸序列的设计与合成相较小分子靶向药和单抗药物难度更小。**病毒载体的大规模生产具有一定难度但并非不能实现且未来可以通过优化载体来规避。非病毒载体工艺的工业化级别放大也相对容易。
- **因此，在开发出一个安全、高效的递送系统之后，基因治疗产品的开发难度反而更低、研发成功率更高。**
- 以siRNA领域领先公司Alnylam为例，Alnylam公司的研发项目从1期临床进展到3期临床试验结果积极的成功率达到54.6%，**远远高于新药开发的行业平均值。**

来源：财通证券，CNRS，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

# 04 基因治疗行业相关政策分析

- 中国政府在伦理性及保障性等角度发布相关政策推动行业发展，同时，因加速创新药物研发已经成为全球共识，在政策推动下，基因治疗发现、临床应用和商业化持续深入

# 基因治疗行业相关政策分析

中国政府在伦理性及保障性等角度发布相关政策推动行业发展，同时，因加速创新药物研发已经成为全球共识，在政策推动下，基因治疗发现、临床应用和商业化持续深入

## 中国基因治疗行业相关政策，2003-2021

文件/事件	日期	主体	态度
《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法（征求意见稿）》	2021-03	卫健委	• 所有涉及人的生命科学和医学研究活动均应当接受伦理审查
《人用基因治疗制品总论（公示稿）》	2019-06	国家药典委员会	• 生产过程中使用的菌毒种和动物细胞基质应符合“生物制品生产检定用菌毒种管理规程”和“生物制品生产检定用动物细胞基质制备及检定规程”的相关要求。使用的原材料和辅料应符合“生物制品生产用原材料及辅料质量控制规程”的相关要求等
《中华人民共和国人类遗传资源管理条例》	2019-05	国务院	• 国务院科学技术行政部门和省、自治区、直辖市人民政府科学技术行政部门应当会同本级人民政府有关部门对利用人类遗传资源开展科学研究、发展生物医药产业统筹规划，合理布局，加强创新体系建设，促进生物技术和产业创新、协调发展
《生物技术研究开发安全管理办法》	2017-07	科技部	• 中国禁止以生殖为目的对人类配子、合子和胚胎进行基因操作
《涉及人的生物医学研究伦理审查办法》	2016-12	原卫生部	• 涉及人的生物医学研究应当符合知情同意、控制风险等伦理原则。涉及人的生物医学研究的医疗卫生机构是涉及人的生物医学研究伦理审查工作的管理责任主体，应当设立伦理委员会，并采取有效措施保障伦理委员会独立开展伦理审查工作
《人胚胎干细胞研究伦理指导原则》	2003-12	原卫生部；科技部	• 利用体外受精、体细胞核移植、单性复制技术或遗传修饰获得的囊胚，其体外培养期限自受精或核移植开始不得超过14 d

来源：中国政府，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo



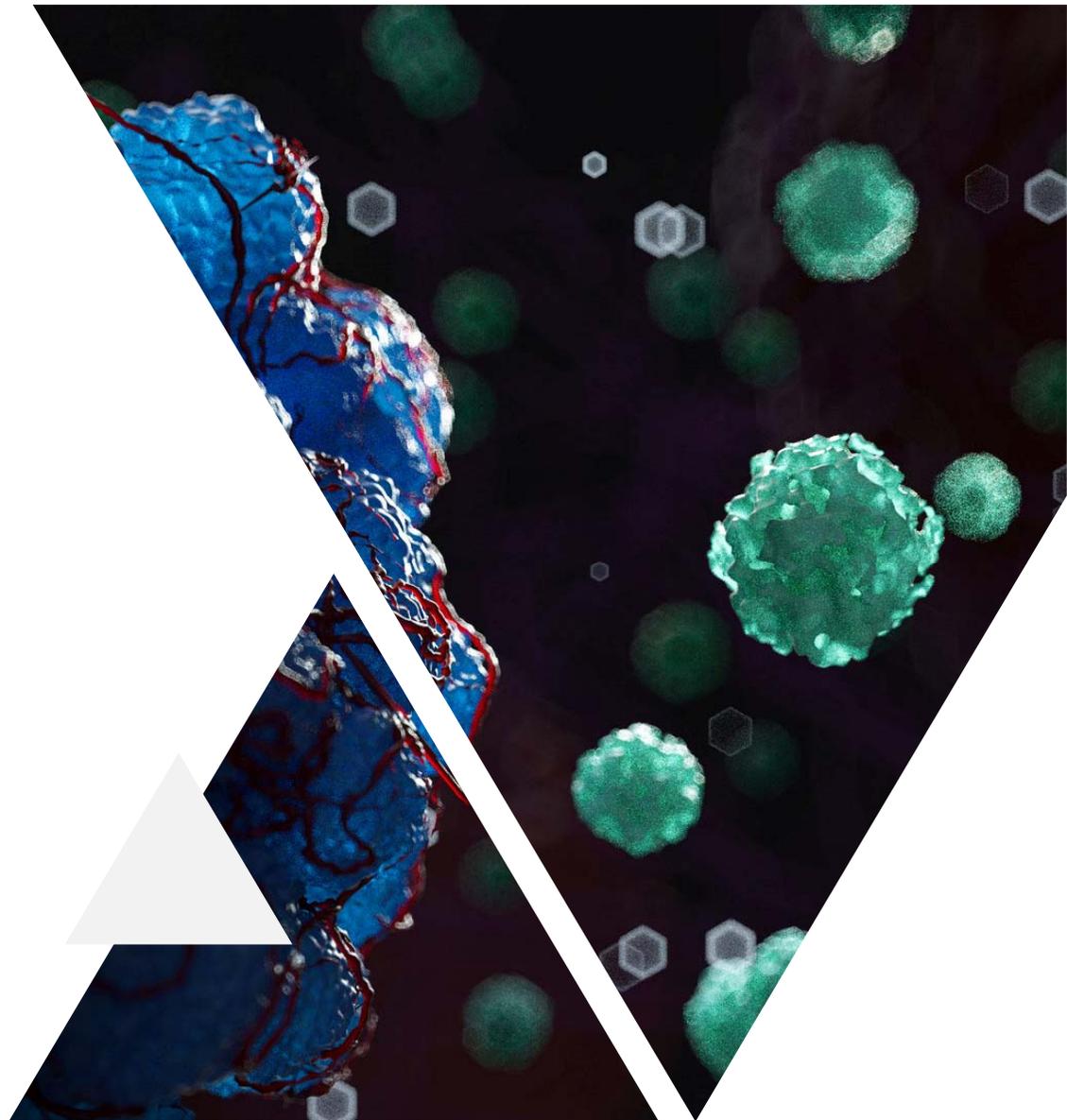
- 中国政府陆续发布人类生命科学与伦理相关文件不仅表明中国在医学研究伦理审查与监督管理方面的态度的态度，同时通过保障体系鼓励罕见病治疗及基因治疗等领域发展。政策推动下，基因治疗发现、临床应用和商业化将持续深入。
- 伦理性方面：2021年3月16日，国家卫健委官方网站发布《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法（征求意见稿）》。在新修订的征求意见稿中，所有涉及人的生命科学和医学研究活动均应当接受伦理审查。
- 保障性方面：美国1983年通过了《孤儿药法案》，强制要求保险公司的承保范围包含各种罕见病。中国于2019年发布《罕见病诊疗指南（2019年版）》，公布第一批罕见病目录，积极探索进一步提升罕见病保障水平的可行路径，努力构建具有中国特色的罕见病医疗保障模式。

www.leadleo.com

# 05

## 基因治疗行业发展趋势

- 在欧洲、美国与加拿大市场，除已退市的产品外，获得上市授权（MA）的基因治疗产品已进入国家支付体系，在复杂的市场化挑战中给予中国一定的启发
- 由于加速审评审批的政策利好及高患者基数，在中国开展的基因治疗临床试验数量已为全球第二，未来中国对基因治疗产品临床试验和后续商业化吸引力将持续提升
- AAV由于抗AAV中和抗体的普遍而受限，未来技术上将通过衣壳修饰、表面偶联及封装等方式工程化AAV系统以解决AAV局限性
- 可提供从临床前研究到商业化生产的一体化服务的CDMO机构可为药企缩小研发投入，并且帮助解决研产瓶颈，成为市场化结构优化的必然趋势



## 基因治疗行业发展趋势——支付与报销受海外启发

在欧洲、美国与加拿大市场，除已退市的产品外，获得上市授权（MA）的基因治疗产品已进入国家支付体系，在复杂的市场化挑战中给予中国一定的启发

### 欧洲五国、美国及加拿大对于已获上市的基因治疗产品的支付策略

产品/国家	欧洲						美国 MA日期	支付方	加拿大 MA日期	支付方
	MA日期	法国	德国	英国	意大利	西班牙				
Glybera	2012	不报销	报销	-	-	-	-	-	-	-
Imlygic	2015	-	不报销	报销	报销	-	2015	报销	-	-
Strimvelis	2016	-	-	报销	报销	-	-	-	-	-
Kymriah	2018	报销	报销	报销	报销	报销	2017	报销	2018	报销 <sup>(1)</sup>
Yescarta	2018	报销	报销	报销	报销	报销	2017	报销	2019	预期报销 <sup>(2)</sup>
Luxturna	2018	报销	报销	报销	-	-	2017	报销	-	-
Zynteglo	2019	-	报销	-	-	-	-	-	-	-
Zalmoxis	2016	不报销	报销	-	报销	-	-	-	-	-
Zolgensma	2020	-	预期报销	-	-	-	2019	报销	-	-

(1)：由国家HTA机构在大幅降价的条件下推荐

(2)：在安大略省和魁北克得到报销

药物被撤回
  被国家拒绝
  由国家支付
  HAT机构推荐，但目前不报销

- 在欧洲、美国与加拿大市场，除已退市的产品外，获得上市授权（MA）的基因治疗产品已进入国家支付体系。截至2020年，已有9个基因治疗产品在欧洲获得上市授权，有5个在美国，有2个在加拿大。海外（如加拿大）已经率先对先进的治疗产品进行监管审查，以便与医疗保健利益相关者合作评估产品，并建立新的监管途径。
- 同时，海外基因治疗企业也在积极寻找与保险机构的合作，寻找按价值支付的模式。如诺华Kymriah与 Medicaid（免费社会保险）、Medicare达成协议就CAR-T产品采取“按疗效付费”，Anthem等公司就Spinraza、Zolgensma等药物采取分期付款的方式等。
- 基因治疗产品定价虽然遵循经济和市场规律，但定价仍然昂贵。因此，基因治疗药物市场准入复杂化的挑战可能会发生在不同国家中，包括不同国家所面临不同的报销挑战。所以对于参与中国基因治疗药物开发监管和使用的相关方有一定启发意义。

来源：ELSEVIER，头豹研究院编辑整理

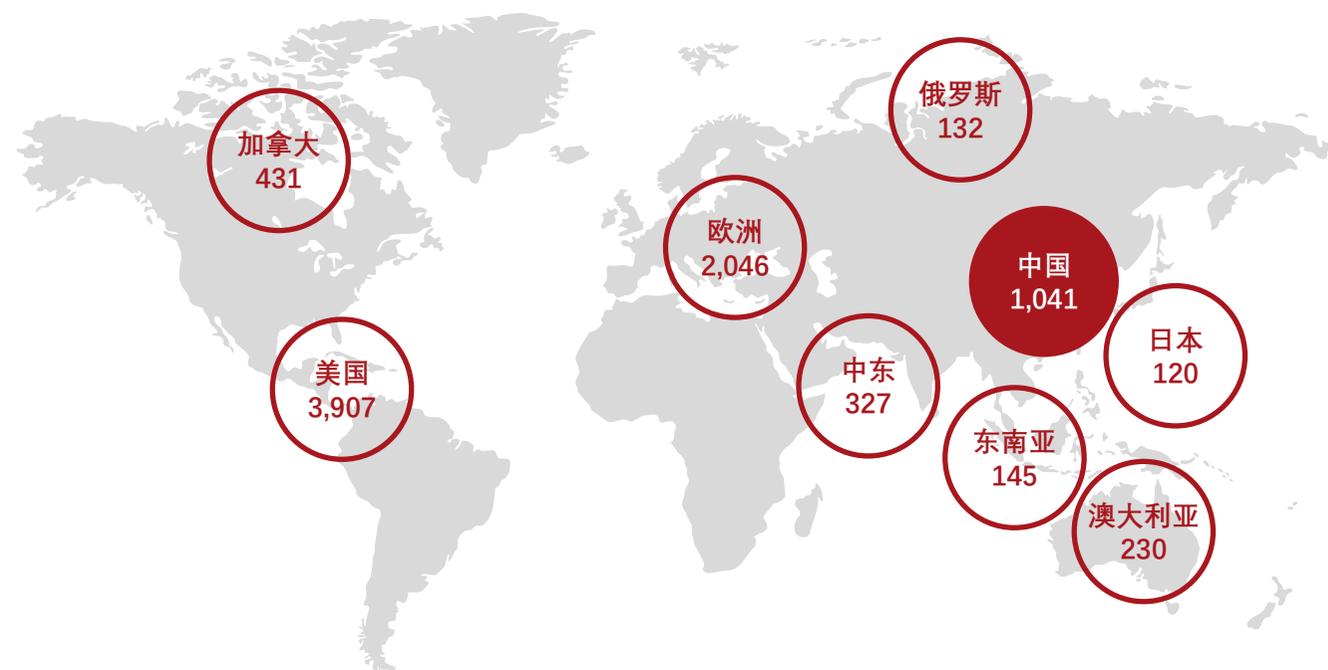
©2021 LeadLeo

## 基因治疗行业发展趋势——临床试验规模继续扩大

由于加速审评审批的政策利好及高患者基数，在中国开展的基因治疗临床试验数量已为全球第二，未来中国对基因治疗产品临床试验和后续商业化吸引力将持续提升

基因治疗临床试验数量，2020.02

单位：[项]



分析师观点

- ❑ 截至2020年2月，在中国开展的基因治疗临床试验数量已为全球第二。
- ❑ 未来，中国对基因治疗产品临床试验和后续商业化吸引力将持续提升，原因有二：
  - ❑ 政策利好：在中国政府加速审评审批流程的推动下，获得良好疗效的项目研究将会迅速推进至注册临床研究，从而令中国成为热门注册地。
  - ❑ 患者基数：中国罕见病患者约2,000万人，而患有遗传疾病的人数达5,700万，较美国患有遗传疾病的人数高出4倍以上。
- ❑ 同时，中国基因治疗的临床研究规模不断扩大，将继续帮助中国顶尖的肿瘤和遗传疾病治疗中心成为收集本土诊治证据的首个接触点，积累基因治疗实践经验，形成良性循环。

# 基因治疗行业发展趋势——应用于基因治疗中的AAV载体优化

AAV由于抗AAV中和抗体的普遍而受限，未来技术上将通过衣壳修饰、表面偶联及封装等方式工程化AAV系统以解决AAV局限性

## 工程化AAV三种技术设计路径

## 分析师观点

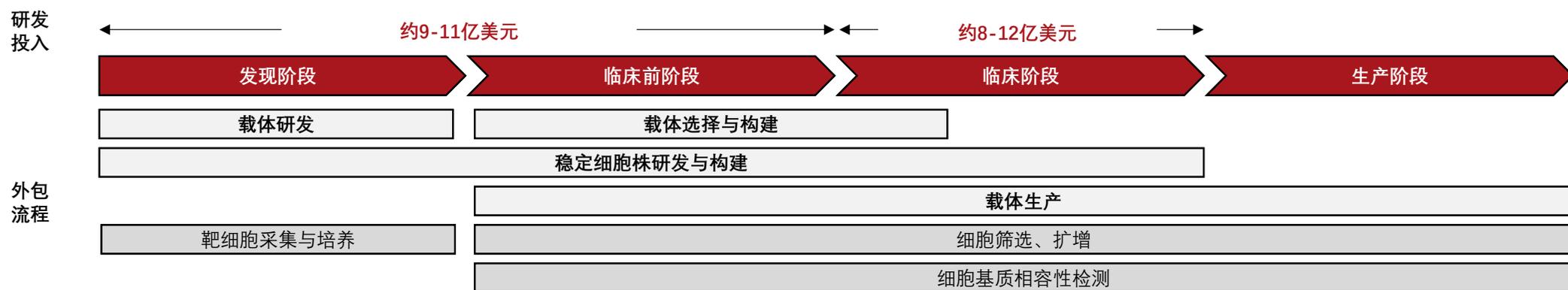


- ❑ 腺相关病毒 (AAV) 因其较低的免疫原性和位点特异性整合能力被认为具有更好的安全性。其在基因治疗方面的发展势头越来越大，越来越多的临床试验将其用于各种治疗。
- ❑ 截至目前，FDA批准的基于AAV的基因疗法包括Sparktherapeutics的Luxturna和Avexis的药物Zolgensma，分别用于治疗遗传性视网膜疾病和脊髓性肌萎缩症。
- ❑ 然而，抗AAV的中和抗体在大多数人群中普遍存在，这限制了AAV的系统应用。
- ❑ 因此，未来基因治疗行业内研究重点集中在工程化的AAV，通过对其衣壳进行分子修饰、与小分子和聚合物偶联和络合以及包装在各种人工和天然载体（包括囊泡、水凝胶和聚合物）中，解决天然AAV局限性，同时用于提高安全性、疗效和多模式治疗。

## 基因治疗行业发展趋势——基因治疗CDMO服务兴起

可提供从临床前研究到商业化生产的一体化服务的CDMO机构可为药企缩小研发投入，并且帮助解决研产瓶颈，成为市场化结构优化的必然趋势

### 基因治疗研发成本与基因治疗CDMO服务流程



- ❑ 基因治疗领域CDMO机构所提供的外包服务将兴起。
- ❑ 一方面，中国细胞和基因疗法热度显现，龙头企业纷纷布局，小型企业大量涌现，但基因治疗研发生产的瓶颈始终存在。药企不仅尚未积累足够的细胞治疗研发经验，同时也没有配套的生产厂房，因此在基因疗法和细胞疗法研发领域，对于利用专业的CDMO团队以降低成本的需求很高。而CDMO不仅具备定制研发能力，同时具备生产能力，能够提供从临床前研究到商业化生产的一体化服务，可明显缩小研发投入。
- ❑ 另一方面，CDMO作为一种新型研发生产外包模式，可提供的服务包括载体选择与优化服务、载体构建和病毒包装服务、质量检测服务、临床阶段小规模生产服务以及后期商业化生产服务，作为研发生产所遇痛点的解决方案，成为行业市场结构优化的必然结果。

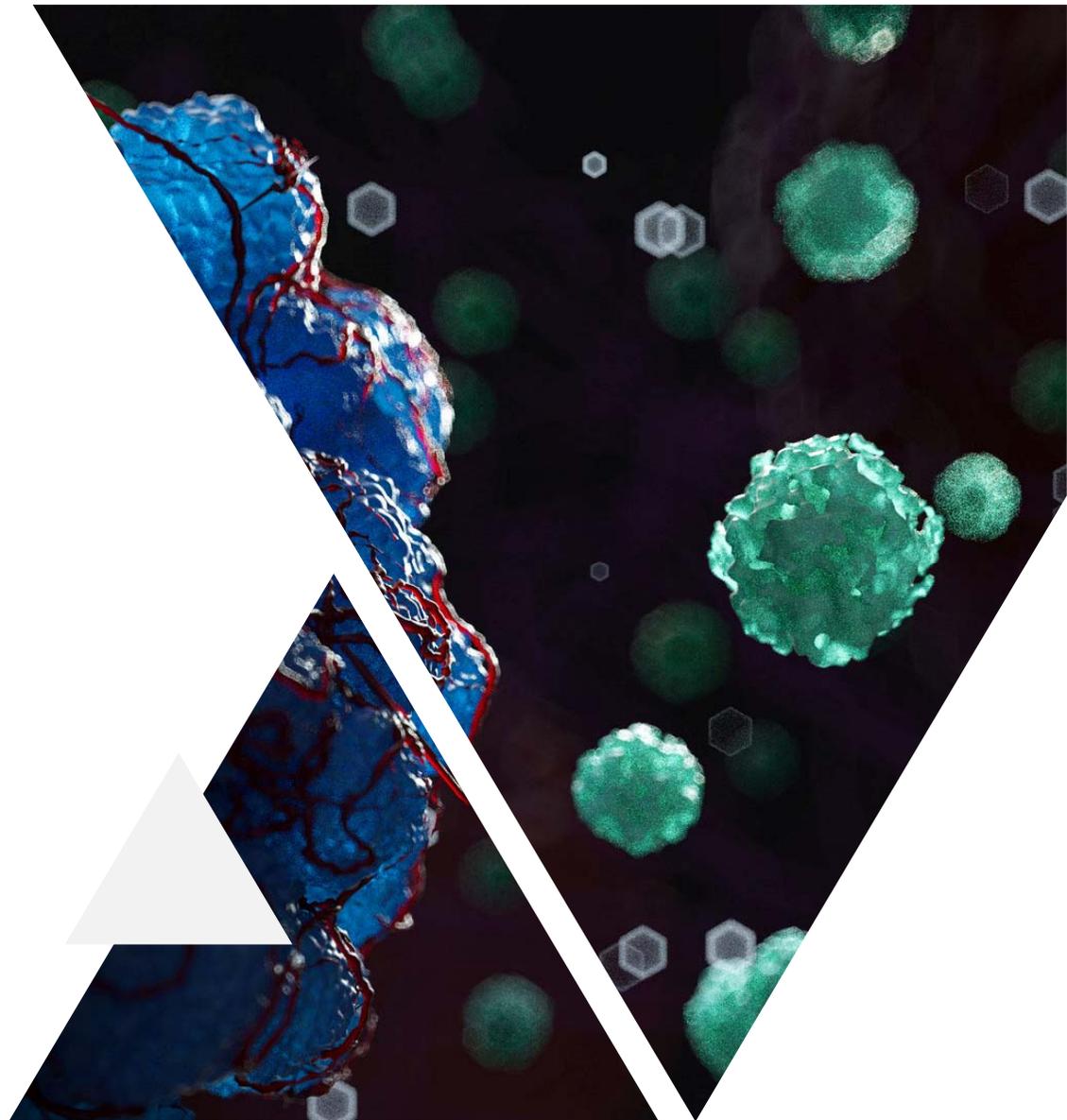
来源：Frost & Sullivan，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

# 06 中国基因治疗行业推荐企业 与投资风险

---

- 复星凯特
- 博雅辑因
- 药明康德



# 中国基因治疗行业推荐企业——复星凯特（1/2）

复星凯特生物科技有限公司为复星医药集团与美国Kite Pharma的合营企业，引进Kite的YESCARTA（FKC876）作为新药上市申请获国家药品监督管理局正式受理

## 复星凯特生物科技有限公司

### 企业介绍

- 企业名称：** 复星凯特
- 成立时间：** 2017年
- 总部地址：** 上海市
- 对应行业：** 肿瘤免疫细胞治疗产品的研发



- 复星凯特生物科技有限公司**为复星医药集团与美国Kite Pharma（吉利德旗下公司）的合营企业，2017年4月于中国上海注册成立。
- 复星凯特主要是在中国对TCR产品进行研发、生产并使其商业化。致力于将国际最先进的细胞治疗技术产品在中国快速落地，规范化地研发及生产细胞治疗产品，并推动其注册上市，造福肿瘤病患。目前，复星凯特正在全面推进建成符合最新GMP标准和全封闭细胞生产先进工艺流程的洁净实验室。

### 企业发展里程碑事件

2017年

4月，复星医药与美国Kite Pharma合营成立复星凯特生物科技有限公司，引进全球首款获批治疗特定非霍奇金淋巴瘤的CAR-T细胞药物YESCARTA（FKC876）；  
12月，临床样品GMP制备基地落成

2018年

5月，FKC876完成技术转移工艺验证及可比性研究，递交注册临床试验申请；  
8月，获得IND批件，开展临床试验；  
10月，通过中国人类遗传资源办公室审批

2019年

1月，复星凯特首个产业化生产基地落户上海天慈国际药业；3月开工建设；10月竣工验收；12月正式启用；  
3月，研发中心落成，专注CAR-T/TCR-T早期研发和临床循证阶段项目的推进，打造可持续的创新研发管线。

2020年

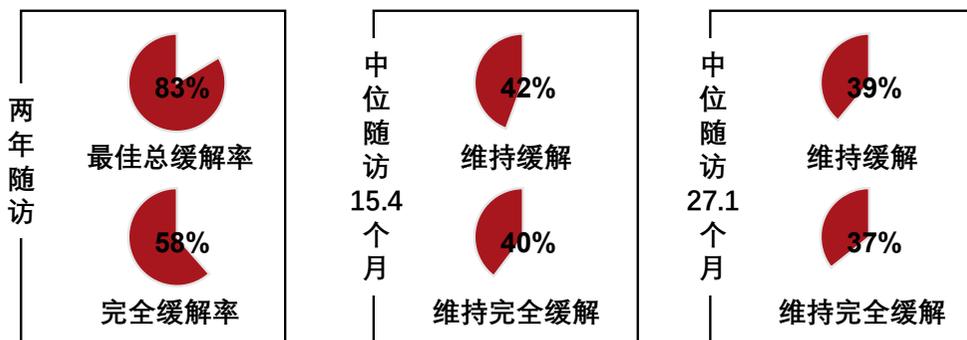
2月，FKC876新药上市申请获国家药品监督管理局正式受理；3月被纳入优先审评

## 中国基因治疗行业推荐企业——复星凯特（2/2）

FKC876是复星凯特在中国推进商业化的第一个CAR-T细胞治疗产品，也是国家药品监督管理局（NMPA）迄今为止正式受理上市申请的第一个CAR-T细胞治疗产品

### 复星凯特生物科技有限公司

#### Yescarta临床数据与业绩情况 <sup>(1)</sup>



□ Axicabtagene Ciloleucel，美国商品名Yescarta，是美国Kite Pharma开发的CAR-T 细胞免疫治疗产品，2017年10月18日获得美国FDA 批准上市，用于复发难治性大B细胞淋巴瘤患者的治疗，是美国FDA 批准的首款针对特定非霍奇金淋巴瘤的CAR-T细胞药物。

□ 据吉利德年报披露，Yescarta 2019年销售额4.56亿美元，同比增长73%；2020年，Yescarta®和Tecartus™在内的细胞疗法销售额在2020年第四季度增长34%至1.63亿美元，2020年全年增长33%至6.07亿美元。

(1)：Kite Pharma ZUMA-1 II期随访数据，N=101

来源：复星凯特企业官网，吉利德，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

#### 投资亮点

1

##### 授权引进

复星凯特2017年初从美国Kite Pharma引进Yescarta，获得全部技术授权。该产品是复星凯特在中国推进商业化的第一个CAR-T细胞治疗产品，也是国家药品监督管理局（NMPA）迄今为止正式受理上市申请的第一个CAR-T细胞治疗产品。

2

##### 优先许可

除Yescarta以外，复星凯特同时在上述地区享有Kite Pharma后续产品授权许可的优先选择权。复星凯特2,000平米的细胞治疗研发中心于2019年初落成，研发管线还包括多个 CAR-T/TCR-T 临床阶段品种和早期创新研发项目；并且与国内外肿瘤免疫治疗领域优秀研发机构合作，打造可持续的创新研发管线。

3

##### 合作开发

致力于免疫细胞治疗的复星凯特生物科技有限公司与致力于推动和加速生物医药研发与生产的全球技术和服务提供商Cytiva（思拓凡）近日共同宣布建立战略合作关系，双方在复星凯特位于上海张江的研发中心建立“细胞与基因治疗工艺开发联合实验室”。

4

##### 独家授权

复星凯特拥有Yescarta在中国包括香港、澳门的商业化权利，该产品将被开发用于治疗两线或以上系统性治疗后复发或难治性大B细胞淋巴瘤，包括：弥漫性大B细胞淋巴瘤（DLBCL）非特指型、原发性纵隔B细胞淋巴瘤（PMBCL）、高级别B细胞淋巴瘤和滤泡淋巴瘤转化的DLBCL。

# 中国基因治疗行业推荐企业——博雅辑因（1/2）

博雅辑因基于CRISPR/Cas9基因编辑疗法成为中国首个获国家药监局批准开展临床试验的基因编辑疗法产品和造血干细胞产品，18年8月至今累计融资金额超过11亿人民币

## 博雅辑因（北京）生物科技有限公司

### 企业介绍

- 企业名称：博雅辑因
- 成立时间：2015年
- 总部地址：北京市
- 对应行业：科技推广和应用服务业



博雅辑因（北京）生物科技有限公司（以下简称“博雅辑因”）是一家处于临床阶段的、致力于通过国际前沿的基因组编辑技术，为多种遗传疾病和癌症加速药物研究以及开发创新疗法的生物医药企业。

### 企业背景

4 座 城市  
145 位 员工  
11+ 亿 累计融资

### 技术服务

4 大 研发平台  
1 项 IND 项目  
2 大 疾病领域  
1 个 GMP 生产中心

### 企业发展里程碑事件

2021-04

#### B+轮融资

-正心谷资本领投，博远资本、夏尔巴投资等跟投

2020-10

#### B轮融资

-三正健康投资、红杉资本中国基金、雅惠投资、昆仑资本、IDG资本、礼来亚洲基金、华盖资本、松禾资本

2019-09

#### Pre-B2轮融资

- IDG资本、礼来亚洲基金

2019-02

#### Pre-B+轮融资

- 松禾资本、IDG资本

2018-08

#### Pre-B轮融资

- 礼来亚洲基金、华盖资本

2016-10

#### A轮融资

- IDG资本、中经合集团、海松资本、龚虹嘉等

2015-12

#### 天使轮融资

博雅辑因是基因编辑领域的头部企业，技术水平处于前沿。

2021年4月21日，博雅辑因完成4亿元B+轮融资。2018年8月至今，博雅辑因累计融资金额超过11亿人民币，博雅辑因现有投资者IDG资本、礼来亚洲基金、三正健康投资、华盖资本、红杉资本中国基金、雅惠投资、昆仑资本、方正心谷资本等。

来源：博雅辑因官网，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo



# 中国基因治疗行业公司推荐——药明康德[603259] (1/2)

药明康德是全方位、一体化的医药研发服务与技术平台，服务范围涵盖化学药研发和生产、细胞及基因疗法研发生产、医疗器械测试等领域

## 药明康德新药开发有限公司

### 企业介绍

- 企业名称：药明康德
- 成立时间：2000年
- 总部地址：上海市
- 对应行业：医药研发服务能力与技术平台

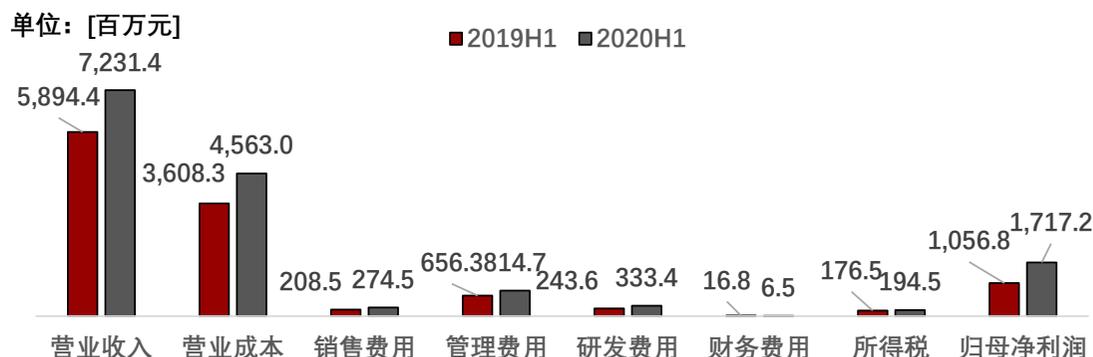


- 药明康德新药开发有限公司（以下简称“药明康德”）创建于2000年，是具备新药研发实力的开放式、全方位、一体化的医药研发服务能力与技术平台，服务范围涵盖化学药研发和生产、细胞及基因疗法研发生产、医疗器械测试等领域。
- 药明康德的基因治疗业务主要通过美国控股子公司负责美国基因治疗商业化cGMP工厂建设项目。2019年，药明康德位于无锡的细胞和基因治疗研发生产基地投入运营，开始为中国客户提供基因治疗产品的CDMO/CMO服务。

### 相关平台

平台	相关产品	制造和测试设施	产能
临床制造	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 细胞库 (拥有50多个细胞株系)</li> </ul>	League Island1: 建于2004年, 早期临床生产和测试, 包括细胞鉴定、QC和病毒清除	占地82,000平方公尺
商业制造	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 细胞疗法 (病毒载体生产平台)</li> <li>• 病毒产品</li> </ul>	Commerce Cener3: 建于2015年, 用于自体细胞疗法	占地55,000平方公尺
		League Island2: 建于2016年, 基因疗法后期商业化生产	占地150,000平方公尺

### 财务数据



来源：药明康德企业官网，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

# 中国基因治疗行业公司推荐——药明康德[603259] (2/2)

药明康德是涵盖新药研发全产业链的全球性医药研发服务企业，为中国最大、全球前列的小分子医药研发服务企业

## 药明康德新药开发有限公司

### 业务范围

#### 01 化学药研发和生产

- 化学服务
- 化学分析服务
- 结构生物学药物发现平台
- 药物发现服务
- 体内/体外生物学服务平台
- DNA编码化合物库
- 肿瘤和免疫学服务平台

#### 02 细胞及基因疗法研发生产

- 细胞库
- 细胞治疗
- 病毒类产品
- 高端疗法
- 分析开发
- 蛋白质疗法
- 疫苗
- 细胞系特征描述
- 病毒清除验证
- 材料特征

#### 03 药物研发和医疗器械测试

- 临床前药物研发
- 生物分析
- 毒理学服务
- 微生物
- 大动物研究
- 临床药物研发
- 药代动力学
- 化学分析
- 风险评估
- 生物相容性

#### 04 临床试验服务

- 早期临床服务
- 临床运营服务
- 临床数据管理与统计分析
- SMO现场服务
- 注册事务
- 医学事务
- 质量体系管理与咨询
- 患者招募与推广

□ 药明康德业务范围主要为化学药研发和生产、细胞及基因疗法研发生产、药物研发和医疗器械测试及临床试验服务。

### 投资亮点

**1 行业龙头** 药明康德为中国最大、全球前列的小分子医药研发服务企业。同时，药明康德是涵盖新药研发全产业链的全球性医药研发服务企业，拥有包括上海、苏州、天津、武汉、常州及美国费城、圣保罗、亚特兰大、圣地亚哥、德国慕尼黑等在内的全球26个研发基地和分支机构。

**2 体系优势** 药明康德是中国第一个通过美国FDA审查的化学制造与控制（CMC）研发平台，中国第一个符合美国、欧洲以及中国质量标准的cGMP药物产品生产设施、GLP生物分析实验室，中国第一个同时获中国、美国、欧盟、日本、加拿大、瑞士、澳大利亚以及新西兰等政府监管机构批准的小分子创新药生产商业化原料药及GMP中间体的CMO/CDMO企业。

来源：药明康德企业官网，头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

# 中国基因治疗行业投资风险

基因治疗行业包括政策风险、产品风险及伦理风险，其中政策风险及产品风险对行业影响较大，伦理风险对行业影响较小

## 基因治疗行业投资风险

- ❑ **政策风险较大：**基因治疗的技术与应用受到政府严格监管，并且基因治疗产品在临床前申报、临床注册等不同阶段所受约束的条件不同。因此政策的不确定性或将影响基因治疗行业。

### 政策风险



#### 政策对于技术与资源的监管

- 遗传资源受到政府严格保护和监管。例如，商务部和国际发改委发布的2019年版负面清单主要禁止外商投资“人体干细胞、基因诊断与基因治疗技术开发与应用”

### 产品风险



#### 产品脱靶与安全性

- 基因治疗在进行外源基因递送时采用的整合型载体产生的可随细胞分裂而保留的插入突变，以及病毒载体本身所产生的免疫反应是基因治疗在发展过程中备受关注的风险问题

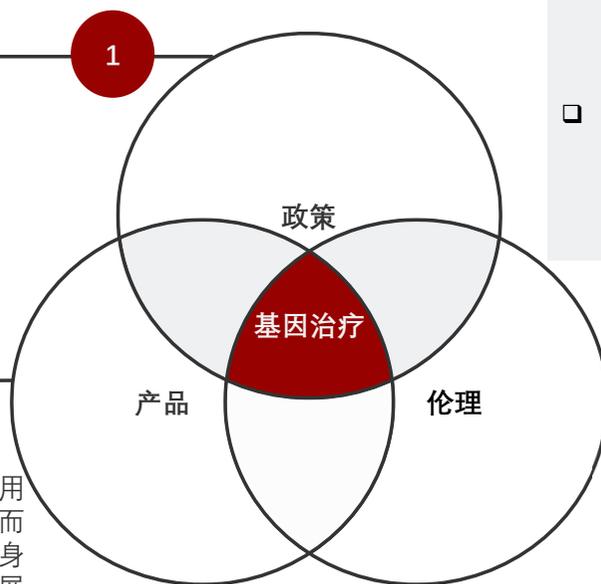
- ❑ **产品风险较大：**短期来看，技术开发与迭代将进一步提升产能，助推行业发展。但基因治疗行业从属于重症医疗，目前仍有脱靶、治疗不佳、毒副作用强等问题，若在治疗中出现严重状况，将面临严肃的医患关系，甚至引发社会规模性舆论打压。
- ❑ **伦理风险较小：**经过系列化的政策出台、贺建奎事件所引发的反思与各组织在国际期刊所发表的共识，基因治疗在伦理层面被约束了伦理边界，将起到有效的约束作用。

### 伦理风险



#### 伦理与道德争议

- 基因治疗的研发过程中，伦理风险不容忽视，理论上基因治疗既可以将基因转移到体细胞中，也可以转移到生殖细胞中，但生殖细胞基因治疗目前在国际上争议颇多，包括中国在内的许多国家禁止对胚胎的编辑研究



来源：头豹研究院编辑整理

©2021 LeadLeo

# 方法论

- ◆ 头豹研究院布局中国市场，深入研究10大行业，54个垂直行业的市场变化，已经积累了近50万行业研究样本，完成近10,000多个独立的研究咨询项目。
- ◆ 研究院依托中国活跃的经济环境，从肿瘤、医院、医疗服务等领域着手，研究内容覆盖整个行业的发展周期，伴随着行业中企业的创立，发展，扩张，到企业走向上市及上市后的成熟期，研究院的各行业研究员探索和评估行业中多变的产业模式，企业的商业模式和运营模式，以专业的视野解读行业的沿革。
- ◆ 研究院融合传统与新型的研究方法，采用自主研发的算法，结合行业交叉的大数据，以多元化的调研方法，挖掘定量数据背后的逻辑，分析定性内容背后的观点，客观和真实地阐述行业的现状，前瞻性地预测行业未来的发展趋势，在研究院的每一份研究报告中，完整地呈现行业的过去，现在和未来。
- ◆ 研究院密切关注行业发展最新动向，报告内容及数据会随着行业发展、技术革新、竞争格局变化、政策法规颁布、市场调研深入，保持不断更新与优化。
- ◆ 研究院秉承匠心研究，砥砺前行的宗旨，从战略的角度分析行业，从执行的层面阅读行业，为每一个行业的报告阅读者提供值得品鉴的研究报告。

# 法律声明

- ◆ 本报告著作权归头豹所有，未经书面许可，任何机构或个人不得以任何形式翻版、复刻、发表或引用。若征得头豹同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“头豹研究院”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节或修改。
- ◆ 本报告分析师具有专业研究能力，保证报告数据均来自合法合规渠道，观点产出及数据分析基于分析师对行业的客观理解，本报告不受任何第三方授意或影响。
- ◆ 本报告所涉及的观点或信息仅供参考，不构成任何投资建议。本报告仅在相关法律许可的情况下发放，并仅为提供信息而发放，概不构成任何广告。在法律许可的情况下，头豹可能会为报告中提及的企业提供或争取提供投融资或咨询等相关服务。本报告所指的公司或投资标的的价值、价格及投资收入可升可跌。
- ◆ 本报告的部分信息来源于公开资料，头豹对该等信息的准确性、完整性或可靠性不做任何保证。本文所载的资料、意见及推测仅反映头豹于发布本报告当日的判断，过往报告中的描述不应作为日后的表现依据。在不同时期，头豹可发出与本文所载资料、意见及推测不一致的报告和文章。头豹不保证本报告所含信息保持在最新状态。同时，头豹对本报告所含信息可在不发出通知的情形下做出修改，读者应当自行关注相应的更新或修改。任何机构或个人应对其利用本报告的数据、分析、研究、部分或者全部内容所进行的一切活动负责并承担该等活动所导致的任何损失或伤害。

# 头豹领航者计划介绍



沙利文担任计划首席增长咨询官、江苏中科院智能院担任计划首席科创辅导官、财联社担任计划首席媒体助力官、无锋科技担任计划首席新媒体造势官、iDeals担任计划首席VDR技术支持官、友品荟担任计划首席生态合作官.....



- 1 企业申请共建
- 2 头豹审核资质
- 3 确定合作细项
- 4 信息共享、内容共建
- 5 报告发布投放

备注：活动解释权均归头豹所有，活动细则将根据实际情况作出调整。

©2021 LeadLeo

# 头豹领航者计划与商业服务

## 研报服务

共建深度研报  
撬动精准流量



## 传播服务

塑造行业标杆  
传递品牌价值



## FA服务

提升企业估值  
协助企业融资



头豹以**研报服务**为切入点，  
根据企业不同发展阶段的资本价值需求，依托**传播服务、FA服务、资源对接、IPO服务、市值管理**等，提供精准的商业管家服务解决方案

## 资源对接

助力业务发展  
加速企业成长



## IPO服务

建立融资平台  
登陆资本市场



## 市值管理

提升市场关注  
管理企业市值



扫描二维码  
联系客服报名加入





扫码二维码即刻联系你的  
智能随身专家

