公司代码：688238　　公司简称：和元生物

和元生物技术（上海）股份有限公司 2023 年年度报告摘要

第一节 重要提示

1 本年度报告摘要来自年度报告全文，为全面了解本公司的经营成果、财务状况及未来发展规划，投资者应当到 http://www.sse.com.cn/网站仔细阅读年度报告全文。

2 重大风险提示

本公司已在本年度报告中详细阐述在生产经营过程中可能面临的相关风险，敬请查阅第三节“管理层讨论与分析”之“四、风险因素”部分的相关内容。公司提请投资者特别关注如下风险：

报告期内，主要受生物医药领域投融资放缓，国内细胞和基因治疗行业下游客户融资不畅等不利影响，公司 CDMO 业务订单规模及业务收入下降，且公司因新技术研发投入增加、项目执行周期拉长、临港产业基地一期正式投产、团队规模扩大等因素，导致运营成本大幅增长，公司 CDMO 业务毛利率和净利润出现负值。细胞与基因治疗是生物医药行业未来的重点发展方向，国家产业政策亦持续支持及规范本行业的发展，随着行业调整的逐步完成、公司临港产业基地产能持续爬坡，公司将继续发挥业务全面性、技术多样化、项目成功经验丰富等优势，并积极采取拓展新客户、布局新业务领域、降本增效等应对措施，进一步拓展国内外市场，推动公司订单数量及规模的增长，不断提升自身竞争力和盈利能力，以更好满足全球细胞和基因治疗客户需求。

3 本公司董事会、监事会及董事、监事、高级管理人员保证年度报告内容的真实性、准确性、完整性，不存在虚假记载、误导性陈述或重大遗漏，并承担个别和连带的法律责任。

4 公司全体董事出席董事会会议。

5 天健会计师事务所（特殊普通合伙）为本公司出具了标准无保留意见的审计报告。

6 公司上市时未盈利且尚未实现盈利

□是　√否

7 董事会决议通过的本报告期利润分配预案或公积金转增股本预案

公司于 2024 年 4 月 23 日召开公司第三届董事会第十三次会议、第三届监事会第九次会议，审议通过了《关于<2023 年度利润分配方案>的议案》，根据《公司法》《公司章程》的相关规定，公司 2023 年度净利润及累计未分配利润均为负值，未满足《公司章程》规定的公司实施利润分配的条件，2023 年度公司不派发现金股利，不送红股，不进行资本公积金转增股本。本次分配预案尚需经股东大会审议通过。

8 是否存在公司治理特殊安排等重要事项

□适用　　√不适用

第二节 公司基本情况

1 公司简介

公司股票简况

√适用　　□不适用

公司股票简况				
股票种类	股票上市交易所及板块	股票简称	股票代码	变更前股票简称
A 股	上海证券交易所科创板	和元生物	688238	不适用

公司存托凭证简况

□适用　　√不适用

联系人和联系方式

联系人和联系方式	董事会秘书（信息披露境内代表）	证券事务代表
姓名	徐鲁媛	赵雯
办公地址	上海市浦东新区紫萍路 908 弄 19 号楼	上海市浦东新区紫萍路 908 弄 19 号楼
电话	021-58180909	021-58180909
电子信箱	zhengquanbu@obiosh.com	zhengquanbu@obiosh.com

2 报告期公司主要业务简介

（一）主要业务、主要产品或服务情况

1、主营业务

和元生物是一家聚焦细胞与基因治疗领域的生物科技公司，专注于为细胞与基因治疗的基础研究提供基因治疗载体研制、基因功能研究等 CRO 服务，以及为细胞与基因药物的研发提供 IND-CMC 药学研究、临床样品 GMP 生产等 CDMO 服务。

基因治疗是继小分子、大分子靶向疗法之后的新一代精准疗法，为肿瘤、罕见病、慢病及其他难治性疾病提供了新的治疗理念和手段，具备了一般药物可能无法企及的长期性、治愈性疗效。2017 年以来，随着 Kymriah、Luxturna、Zolgensma 等里程碑产品获 FDA 批准上市，基因治疗持续取得突破性进展，成为最具发展潜力的全球性前沿医药领域之一；2019 年以来，国内基因治疗行业加快发展，CAR-T 产品、溶瘤病毒产品、AAV 产品等基因治疗临床试验持续增加。

基因治疗由于其复杂的技术机制、高门槛的工艺开发和大规模生产、严苛的法规监管要求、有限的产业化经验、差异化的适应症药物用量，相比传统制药更加依赖于研发和生产外包服务。近年来，随着国家和各省市高度重视生物医药创新发展，在“十三五”、“十四五”的规划下出台了系列产业政策，对基因治疗及其 CRO/CDMO 行业进行支持，以 CDMO 为核心的基因治疗服务快速兴起，产业投融资不断增加，市场规模持续增长。

公司以“赋能基因治疗，共守生命健康”为使命，围绕病毒载体研发和大规模生产工艺开发，打造了核心技术集群，建立了适用于多种基因药物的大规模、高灵活性 GMP 生产体系。通过提供：①质粒、腺相关病毒、慢病毒等载体产品；②溶瘤疱疹病毒、溶瘤痘病毒等多种溶瘤病毒产品；③CAR-T、CAR-NK、干细胞等细胞治疗产品；④mRNA 等其他产品的技术研究、工艺开发和 GMP 生产服务，公司致力于加快基因治疗的基础研究、药物发现、药学研究、临床和商业化进程，推动基因治疗产业整体发展，实现“以客户为中心，以提供专业服务为己任，成为国际领先的基因和细胞治疗 CXO 集团企业”的愿景。

2、主要产品及服务

公司聚焦并深耕基因和细胞治疗 CRO/CDMO 领域多年，具备丰富的覆盖腺相关病毒、溶瘤病毒、细胞治疗等领域主流基因治疗的载体技术、工艺和 GMP 生产经验，公司围绕病毒载体研发和大规模生产工艺开发打造形成了两大核心技术集群，为科研院所、医院、药企等提供全方位基因和细胞治疗 CRO 和 CDMO 服务。此外，公司还从事少量生物制剂及试剂的生产与销售。

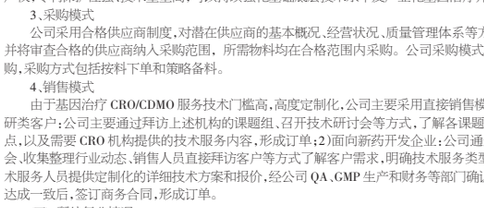

图 1、公司主营业务介绍图

公司提供的基因治疗相关服务与产品情况如下：

业务类别	服务类型	具体服务	说明
基因治疗 CRO	基因治疗载体研制服务	质粒构建、病毒包装等服务	提供实验室阶段的基因治疗载体包装服务，包括质粒构建、腺相关病毒包装、慢病毒包装、腺病毒包装、其他载体构建等服务
	基因功能研究服务	细胞实验服务、动物实验服务、检测服务及其他服务等	提供实验室阶段稳定株构建、细胞功能学实验、动物模型构建、指标检测等服务，以及外泌体、CRISPR/Cas9 文库、非编码 RNA 等其他特色服务
基因治疗 CDMO	新药 Pre-IND 服务	Non-IND 服务	在中试车间完成质粒、病毒、mRNA 药物及细胞治疗产品制备，用于非注册临床研究服务
		IND-CMC 服务	根据实验室规模工艺进行中试放大，并在 GMP 车间完成用新药临床申报的中试样品生产，可提供撰写 CMC 材料服务
		Pre-IND 配套服务	质粒、细胞或毒株三级建库服务、制剂灌装服务、稳定性研究服务、AAV 血清型筛选服务等临床前研究配套服务
	新药 Post-IND 服务	临床 I&II 期生产服务	GMP 生产的技术转移和工艺放大，并在 GMP 车间完成临床 I/II 期样品生产服务
		临床 III 期生产服务	在 GMP 车间完成临床 III 期样品生产服务
		商业化生产服务	在 GMP 车间完成大规模商业化样品生产服务
		Post-IND 配套服务	技术转移咨询、工艺表征、制剂灌装等临床及商业化生产配套服务
生物制剂、试剂及其他	生物制剂	质粒、病毒等现货生物制剂	质粒、病毒等现货生物制剂
	试剂及试剂盒等	转染试剂、细胞功能检测试剂盒等	自行研发的用于开展基因功能研究、病毒助感染、质粒转染等实验的试剂及检测类试剂盒产品

（二）主要经营模式

1、商业模式

公司采取了“院校合作+基因治疗先导研究+基因治疗产业化”模式不断满足客户不同的需求。1）通过服务科研院所，加强对基础科学、基因治疗先导研究发展趋势的追踪，保持自身技术的先进性；2）通过覆盖先导研究，从基因治疗的理论基础和转化源头出发，提升 CRO/CDMO 业务布局和技术研发、储备方向的精准性，同时关注市场动态和业务机会；3）通过提供载体大规模制备工艺开发和 GMP 生产服务，在助力基因治疗药物开发和产业化的同时，能够深入把握前沿技术工艺的发展方向，持续积累技术诀窍 Knowhow，不断提高核心技术竞争力。

该商业模式下，公司在提供从基因治疗先导研究到药物商业化的服务上良好协同，技术研发基础不断巩固，市场竞争力持续提升。

2、研发模式

公司高度重视研发效率，研发需求主要来源：1）根据市场需求趋势发起的新型或改良型基因治疗载体开发；2）根据基因治疗行业技术趋势发起的新型载体开发；3）项目运行过程中产生的产品和技术研发需求。公司围绕研发需求开展基因治疗载体的研发和大规模生产技术研究，并不断形成自有知识产权、专利保护性强、技术壁垒高，可以持续强化基础底层技术水平及产业化基因治疗开发服务能力。

3、采购模式

公司采用合格供应商制度，对潜在供应商的基本概况、经营状况、质量管理体系等方面进行审查，并将审查合格的供应商纳入采购范围，所需物料均在合格范围内采购。公司采购模式主要为自主采购，采购方式包括按料下单和策略备料。

4、销售模式

由于基因治疗 CRO/CDMO 服务技术门槛高、高度定制化，公司主要采用直接销售模式。1）面向科研类客户：公司主要通过拜访上述机构的课题组、召开技术研讨会等方式，了解各课题组的研究重难点，以及需要 CRO 机构提供的技术服务内容，形成订单；2）面向新药开发企业：公司通过参加行业展会、收集整理行业动态、销售人员直接拜访客户等方式了解客户需求，明确技术服务类型；再由公司技术服务人员提供定制化的详细技术方案和报价，经公司 QA、GMP 生产和财务等部门确认，最终与客户达成一致后，签订商务合同，形成订单。

（三）所处行业情况

1. 行业的发展阶段、基本特点、主要技术门槛

公司主要从事细胞与基因治疗 CRO 和 CDMO 业务。根据中国证监会发布的《上市公司行业分类指引（2012 年修订）》，公司所处行业为“M73 研究和试验发展”和“C27 医药制造业”。根据国家统计局发布的《国民经济行业分类与代码》（GB/T4754-2017），公司所处行业为“M73 研究和试验发展”中的“M731 自然科学研究和试验发展”和“M734 医学研究和试验发展”，以及“C27 医药制造业”中的“C276 生物药品制品制造”。根据发改委发布的《战略性新兴产业重点产品和服务指导目录（2016 版）》，公司产品属于“4 生物企业”之“4.1 生物医药产业”之“4.1.6 生物医药服务”。

1.1 细胞与基因治疗行业仍处于成长期

近年来，在基础生命科学和前沿生物科技进步的推动下，全球创新药行业的发展达到新的爆发点，以基因疗法为代表的新一代先进疗法快速兴起，在更好满足临床需求的同时，对以小分子和大分子药物为主的创新药市场起到了重要的迭代、开拓作用。2015 年之后，中国、美国、欧盟、日本等主要医药市场中，总计超过 30 款细胞与基因治疗产品陆续获批上市，为肿瘤、罕见病、神经系统、肌肉骨骼系统、免疫系统等严重危害患者生命的疾病治愈带来希望，也正是由于上市药物的加速获批，基因疗法正经历从实验室概念到临床应用的快速发展阶段。

作为前沿创新疗法的细胞与基因治疗仍处于行业成长期，相比于成熟疗法更容易受到宏观经济、产业投融资环境、技术发展、临床应用进程的因素影响，而出现阶段性调整；此外，细胞与基因治疗行业存在大量初创公司，其资金实力、技术水平、运营能力、产品管线存在较大差异，因此，必然导致行业的出清及再发展，此亦属于高成长性行业发展的“阵痛期”典型特征。

然而，作为已经成功实现多种不同产品商业化的细胞与基因治疗行业，仍具有明确的广阔发展前景。未来，随着技术进步和临床经验积累，细胞与基因治疗行业必然在治疗肿瘤、中枢神经系统疾病、血液疾病、心血管疾病等领域发挥越来越重要的作用。

（1）细胞与基因治疗相关产品正在大规模走向临床

2023 年，细胞与基因治疗领域的相关产品正在大规模走向临床。根据美国基因和细胞治疗协会（ASGCT）近期发布的“Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape: Q4 2023 Quarterly Data Report”报告显示，截止 2023 年末，全球已拥有累计超过 3,951 个基因治疗（包括基因治疗及基因修饰的细胞治疗）、非基因修饰的细胞疗法与 RNA 疗法管线，其中在基因治疗的 2,111 条管线中，313 个项目处于 II 期及之后。同时，随着大量细胞与基因治疗产品临床试验的开展与推进，获批药物不断增加。随着进入临床中后期的管线数量快速上升，基因和细胞治疗产品正逐步从大量概念验证阶段进入大量临床应用阶段。未来在产业政策持续支持和规范的前提下，在越来越多未被满足临床需求的引领下，基因和细胞治疗产品将进入发展的快车道。

（2）细胞与基因治疗新产品不断获批上市，商业化进程加速

细胞与基因治疗产品在 2023 年迎来产品上市潮，报告期内，根据相关统计数据显示，全球共 12 款细胞与基因治疗产品在不同国家获批上市：

获批上市时间	产品名称	商品名	所属公司	获批国家	适应症	备注
2023 年 2 月	etranacogene dezaparvovec	Hemgenix	uniQure	欧盟	中度和重度 B 型血友病	2022 年 11 月在美国首次上市
2023 年 3 月	新型冠状病毒 mRNA 疫苗（SYS6006）	度恩泰	石药集团	中国	于预防新型冠状病毒感染引起的疾病	
2023 年 4 月	omidubicel	Omisirge	Gamida Cell	美国	降低因干细胞移植所发生的感染	
2023 年 5 月	beremagene geperpavec	Vyjuvek	Krystal Biotech	美国	营养不良型大疱性表皮松解症	首款可重复给药的基因疗法
2023 年 6 月	valoctocogene roxaparvovec	Roctavian	BioMarin	美国	严重血友病 A	2022 年 8 月在欧盟首次上市
2023 年 6 月	delandistrogene moxeparvovec	Elevidys	Sarepta Therapeutics	美国	杜氏肌营养不良症	全球首款
2023 年 6 月	伊基奥仑赛注射液	福可苏	驯鹿生物、信达生物	中国	复发或难治性多发性骨髓瘤	首款在中国获批的 BCMA 靶向 CAR-T 疗法
2023 年 6 月	donislecel	Lantidra	CellTrans	美国	1 型糖尿病	
2023 年 11 月	exagamglogene autotemcel	Casgevy	Vertex Pharmaceuticals、CRISPR Therapeutics	美国、英国	罕见血液疾病	全球首款利用 CRISPR 基因治疗药物
2023 年 11 月	纳基奥仑赛注射液	源瑞达	合源生物	中国	B 细胞急性淋巴细胞白血病（rfr B-ALL）	首款在中国获批的治疗白血病的 CAR-T 疗法
2023 年 12 月	lovotibeglogene autotemcel	Lyfgenia	bluebird bio	美国	镰刀型细胞贫血病（SCD）	
2023 年 12 月	新型冠状病毒 mRNA 疫苗（SYS6006.32）	度恩泰	石药集团	中国	针对 XBB.1.5+BQ.1 毒株的二价疫苗产品	二代疫苗

（3）全球细胞与基因治疗商业化进程基本符合预期

细胞与基因治疗大量新产品、新技术的出现，以及在多种适应症应用的开拓，推动细胞与基因治疗市场发展。根据 Evaluate 数据库的分析，全球基因和细胞治疗领域产品的销售额有望在 2023 年达到 74 亿美元，并以超过 43.5% 的复合增长率（2021-2028 年），有望增长到 2028 年的近 500 亿美元销售额。不同适应症的基因和细胞治疗产品销售额也将逐步呈现百花齐放的态势，除肿瘤以外，神经系统疾病、血液疾病、肌肉疾病、心血管疾病、皮肤病、感觉系统疾病的基因和细胞治疗产品将为人类健康带来更多希望。

图 2、全球基因和细胞治疗领域产品销售额预期（数据来源：Evaluate 数据库）

（4）国内政策鼓励细胞与基因治疗行业持续发展

2023 年，国家政策和各地产业发展继续加大支持力度，对以基因和细胞治疗为代表的创新药领域提供政策和产业支持。同时，监管部门出台的一系列指南对于本领域药物开发进一步规范，保障了行业长期健康发展，促进了创新药对于高水平、高规格的 CRO/CDMO 需求。

1）继续鼓励细胞与基因治疗行业发展

政策端持续向好，提升产业发展信心。2023 年 12 月，国家发展和改革委员会审议《产业结构调整指导目录（2024 年本）》，再次强化对基因和细胞治疗领域的鼓励，与《产业结构调整指导目录（2019 年本）》相比，医药关键核心技术开发与应用被排在首位，并首次提出“生物医药配套产业”的概念，体现了国家对创新药技术和产业的重视。同时，将罕见病药和创新药纳入“新型药品开发和生产”的鼓励类目，体现了新药研发仍然是行业发展的长期方向和关键领域，再次明确了基因和细胞治疗在生物制药领域“鼓励发展”的地位及重要性。

各地方政府陆续出台了一系列具体行动计划，为行业发展指出明确方向，其中：① 2023 年 2 月，北京经济技术开发区陆续出台《北京经济技术开发区关于促进医药健康产业高质量发展的若干措施》《北京经济技术开发区关于促进高端医疗装备智造产业高质量发展的若干措施》《北京经济技术开发区关于促进细胞与基因和细胞治疗产业高质量发展的若干措施》，措施明确以政策鼓励、补贴奖励、平台建设费用减免等方式大力支持基因和细胞治疗与细胞治疗产业；北京市政府公布的《政府工作报告重点任务清单》第 124 条明确列明“加强布局细胞基因治疗、合成生物制造等前沿新兴领域，推进行程集群化发展态势”；② 2023 年下半年，上海市科委、市经信委、市卫健委联合印发《上海市促进基因治疗科技创新与产业发展行动方案（2023—2025 年）》，包含 4 个方面 12 条重大任务和 8 项保障措施，旨在增强基因治疗领域创新策源和临床研究转化能力，提升基因治疗产品可及性和产业发展能级；③ 河北省、山东省、吉林省、浙江省、天津、深圳、苏州等多个省市也在 2023 年纷纷出台促进生物医药产业集群发展的措施，从政策和实际措施中支持包括基因和细胞治疗和细胞治疗产业在内的先进疗法开发及制造。

2）支付端政策向好，提振创新药发展信心

医保支付端政策持续向好，促进创新药行业长期健康发展。国家医保局发布《谈判药品续约规则》及《非独家药品竞价规则》公开征求意见，并于 2023 年 7 月 21 日正式发布实施，相比于 2022 年《谈判药品续约规则》，本次续约规则体现创新药医保支付价清晰化、且续约降幅不断趋于温和。其中，目录纳入范围得到扩展，且连续 4 年纳入医保的药品续约降幅趋小，有利于创新药的合理价格预期。

2023 年 7 月 28 日，上海市医保局与经信委等部门联合发布了《上海市进一步完善多元支付机制支持创新药械发展的若干措施》，旨在通过商保供给增强、价格形成机制完善、临床应用加速及医保支付的特别支持来促进创新药械的整体发展。措施包括支持创新药械纳入商业健康保险支付范围，优化价格形成机制，调整医疗机构考核以促进其使用，并在 DRG/DIP 支付模式下特别支持创新药械。

2023 年 8 月 2 日，广东省医保局发布《关于做好医保药品单独支付保障工作的通知》，强调了单独支付机制的实施，旨在提高国谈药品在医院端的实际应用速度。这些政策共同标志着对创新药械及其支付环境的重大改进，预示着未来更多类似的积极措施的实施。

2024 年 4 月 7 日，北京市等地发布《北京市支持创新医药高质量发展若干措施（2024）（征求意见稿）》等支持医药创新发展的政策或征求意见稿，鼓励探索和拓展创新药支付渠道，加强医保、商业保险、医院端的协同。

支付端的调整规则有助于创新药品种长期稳定放量增长，有助于提升创新药企业研发热情和商业化动力，以服务创新药物开发为核心的 CRO/CDMO 企业亦将获得稳定增长的基础和信心。

3）国家多部委密集出台政策保障基因和细胞治疗药物良性发展

2023 年国家药品监督管理局、科学技术部、卫健委等部委陆续出台发布相关政策，对于正在加速进入商业化阶段的基因和细胞治疗领域，不仅提高了产品开发的技术和安全标准，也加强了全球监管框架的一致性，促进了这一新兴领域的健康和有序发展。

主要相关政策包括如下：

政策文件	发文时间	主管部门	主要内容或支持方向
《基因治疗血友病临床试验设计技术指导原则》	2023 年 4 月	国家药品监督管理局	为基因治疗血友病临床试验设计的提供技术指导和建议
《人源干细胞产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》	2023 年 4 月	国家药品监督管理局	规范和指导人源干细胞产品的药学研发、生产和注册
《人类遗传资源管理条例实施细则》	2023 年 5 月	科学技术部	我国人类遗传资源的监管日益标准化及常规化，对于涉及人类遗传信息的基因和细胞治疗行业健康发展起到促进作用
《人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品临床试验技术指导原则（试行）》	2023 年 6 月	国家药品监督管理局	对人源性干细胞及其衍生细胞治疗产品开展临床试验提供技术指导和建议
《自体 CAR-T 细胞治疗产品药学变更研究问题与解答（征求意见稿）》	2023 年 6 月	国家药品监督管理局	进一步规范和指导 CAR-T 类产品的变更研究和申报
《体细胞临床研究工作指引（试行）》	2023 年 8 月	中国医药生物技术协会、卫健委	规范了开展非注册临床试验研究的药品制备要求

1.2 细胞与基因治疗行业基本特点

（1）细胞与基因治疗产品的种类多样，所涉及的适应症范围广泛

细胞和基因治疗产品领域涵盖了多种类型的产品，其中包括基于 AAV 病毒载体的基因治疗、经基因修饰的细胞治疗（例如 CAR-T、CAR-NK 等免疫细胞治疗和基因修饰的干细胞疗法等）、非基因修饰的细胞治疗、溶瘤病毒产品等。这些高度多样化的产品种类为该行业的发展带来了广阔的机遇。同时，随着 mRNA 产品、外泌体药物载体、非病毒载体、再生医学等新技术的不断涌现，基因治疗产品的种类也在不断丰富。除了单一类型产品的发展，还出现了先进疗法的联合治疗。例如，溶瘤病毒结合 CAR-T 免疫细胞治疗、PD-1 抗体药物联合免疫细胞治疗等。这些联合治疗方法不仅为患者提供了更好的疗效，也为整个行业健康发展提供了支持。

根据 Pharmaprojects 的统计数据显示，基因治疗产品的适应症范围不断扩大。目前正在开发中的基因治疗产品涵盖了多个热门药物领域，包括抗肿瘤药物、罕见病药物、神经系统药物、感觉系统药物、代谢疾病、肌肉骨骼系统、免疫系统、心血管以及抗感染等，对临床适应症的广泛覆盖是基因治疗长期发展的坚实保障。

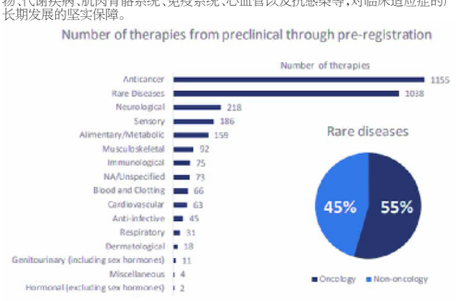

图 3.基因治疗产品管线适应症分布（数据来源：ASGCT）

报告期内值得注意的细胞与基因治疗药物开发方向包括：

1）在 AAV 基因治疗领域，除了基因遗传疾病外，Voyager Therapeutics 等公司正在致力于借助 AAV 携带单抗或双抗药物开展肿瘤治疗药物开发，Genprex、Kriya Therapeutics 等公司正在开展基于 AAV 的糖尿病基因治疗产品开发，美国国家过敏和传染病研究所（NIAID）开展的 AAV 抗 HIV 感染临床研究也在近期取得积极进展。

2）在细胞治疗领域，除 CAR-T、TCR-T 等基于 T 细胞的免疫细胞疗法外，多种免疫细胞疗法（如 γδT、NK、巨噬细胞）纷纷进入肿瘤治疗临床研究，并已从主要针对血液瘤扩展到多种实体瘤药物开发，2021 年以来已经陆续有多款实体瘤 CAR-T 产品的临床数据公布，展现出良好的安全性和临床效果。此外，德国埃尔朗根-纽伦堡大学风湿病学和免疫学系主任 Georg Schett 教授借助 CAR-T 疗法成功治愈了系统性红斑狼疮、抗合成酶抗体综合征患者，使得免疫细胞疗法的适应症进一步扩展到免疫系统疾病。

3）在溶瘤病毒领域，联合疗法开发成为行业发展的重要方向之一，2023 年 4 月，亦诺微医药在美国癌症研究协会（AACR）年会上首次公布了 MVR-T7011 的临床前主要研究结果。MVR-T7011 本身不会影响 CAR-T 细胞的活性和功能，且其联用能显著增强 CAR-T 对肿瘤细胞的特异性杀伤，在多种实体瘤模型上显示联合抗肿瘤活性。此外，2023 年 12 月，GC Oncology 宣布溶瘤病毒 GC0070 治疗高危、卡介苗治疗不响应非肌肉侵袭性膀胱癌（NMIBC），GC0070 与 PD-1 抗体联合治疗进一步提升疗效，安全性方面，也是唯一没有 3 级及以上副作用的创新疗法。正是基于优异的疗效与安全性，FDA 同时授予其突破疗法认证和快速通道资格。

4）在核酸药物领域，mRNA 成为核酸药物开发领域最炙手可热的产品类型，随着 mRNA 疫苗开发热潮，人们在 mRNA 制备、递送等方面积累大量经验，正在针对罕见病、肿瘤疫苗等多疾病领域开展 mRNA 产品开发。

（2）学术推动产业发展，初创生物技术公司是重要力量

相较于传统药物，基因治疗与生物医学基础研究关联紧密，转化机制亦有所区别；基因治疗先导研究主要由高校、科研院所和医疗机构推动，基因治疗药物的技术孵化通常源于实验室研究。根据 JAMA 的分析，在纳入统计的 341 项美国基因治疗临床试验中，接近 50% 的临床 I 期与 II 期试验项目获得过来自学术界的资助，表明基因治疗药物研发具有较强的基础研究临床转化特点。

同时，中小型生物技术公司仍然是细胞与基因治疗行业的主要研发力量。根据麦肯锡的数据分析，全球前 20 的药企仅发起了 2% 和 5% 的 GCT 临床前与临床试验研究，并且仅拥有 4% 和 13% 的细胞与基因治疗资产，其余管线均由中小型初创生物技术公司或高等院校引领。随着新技术、新靶点的不断出现，初创生物技术公司持续进入基因治疗赛道，源自基础研究或创新技术开发的动能将不断推动细胞与基因治疗行业的快速成长。

（3）CRO/CDMO 公司是推动细胞与基因治疗行业发展的中坚力量

研发和生产外包服务（CRO/CDMO）组织能够以专业技术和丰富经验加速新药开发流程、降低新药开发失败风险，已逐步成为制药产业链的关键环节。在基因治疗领域，由于产品开发具有高度复杂的技术体系、高难度的工艺开发要求、高标准的质量体系、严苛的法规监管要求和规模化生产需求，基因治疗 CRO/CDMO 的全方位、高水准的服务需求旺盛。此外，相较传统药物开发，细胞与基因治疗行业产业化、商业化的经验有限，但研发管线丰富、药物用法用量多变，且初创生物技术公司容易受到工艺开发能力、GMP 生产经验、临床申报相关法规知识的限制，因而专业的、经验丰富的 CRO/CDMO 成为推动行业发展的中坚力量。

全球基因治疗企业的选择亦如此，据 2023 年 CRB 调研数据显示，所调研的细胞与基因治疗企业有 GMP 生产外包意愿及需求占比 54%，远超传统生命科学企业的 34%。基因治疗领域的公司通常更倾向于选择外包给专业的 CRO/CDMO 进行药物研究与生产，主要基于以下几个维度的因素：

1）加速药品开发上市速度：高质量专业的 CRO/CDMO 具备充足的即丰富的产能、能够提供清晰准确的项目执行及交付计划并做出可达成的保证、拥有大量成功的项目管理经验及稳定的供应链能保障细胞与基因治疗企业管线的顺利推进。

2）全面的技术能力及端到端的专业服务能力：细胞与基因治疗药物产品种类繁多并处于高速发展的节奏中，技术迭代和需求变化速度快并且所涉及的生产工艺及分析方法复杂多样。通过委托专业的 CRO/CDMO 公司可以避免或解决①不必要的工艺变更风险；②产品质量的潜在影响；③专利权使用费及许可费成本；④同品类药物工艺开发竞争能力不足等问题。此外，专业外包机构往往能够提供从早期细胞株选择、驯化、工艺开发、质量方法开发、临床样品生产到商业化生产等全流程解决方案，从而极大地提升效率并能够有效降低开发及生产成本。

3）全方位的质量管理体系与规范标准：细胞与基因治疗产品生产涉复杂及专业的监管要求和标准，专业的外包机构建立有符合标准的质量体系来确保生产的质量和合规性。

1.3 行业主要技术门槛

细胞与基因治疗药物的成功与否，在很大程度上取决于载体的性能和工艺的开发能力。基因治疗载体作为传递基因的工具，对于基因传递的效率、靶向性以及临床给药方式等关键属性起着决定性的作用，也直接影响药物的临床疗效、安全性以及商业化成本。

基因治疗载体种类繁多，不同产品之间存在显著的工艺差异，同时载体的生产过程非常复杂，包括质粒转染和纯化、细胞大规模培养、质粒转染、病毒纯化、制剂、灌装等多个环节。过程控制方面要求非常严苛，需要开发相应的工艺和质量控制方法且容错率较低，这给整个工艺开发过程带来了较高的挑战。

因此，载体研发能力、工艺开发能力、GMP 生产和质量控制能力是基因治疗领域的核心关键，也是基因治疗 CDMO 的技术门槛所在，是企业竞争力的主要依托。

（1）基因治疗载体研发能力是底层技术门槛

基因治疗适应症广泛，产品种类繁杂，不同治疗方式需要不同靶向性的基因治疗载体，持续研发具有特定属性的基因治疗载体能够加速细胞与基因治疗行业发展。以基因治疗常用的腺相关病毒载体（AAV）为例，其病毒衣壳蛋白的组成和结构决定了病毒载体靶向性和体内基因递送效果，基因治疗领域科学家已陆续发现特异性靶向肺、视网膜特定细胞层、肌肉组织的新 AAV；在产业界，大量生物技术公司专注于开发新 AAV 载体，如 Dyno Therapeutics 借助人工智能算法辅助 AAV 研发，其服务已获得罗氏制药、诺华等大型药企数十亿美元的合作。对基因治疗载体的创新突破是细胞与基因治疗行业的刚性需求，也是企业核心技术竞争力。

（2）基因治疗载体及细胞生产工艺开发技术门槛高

基对于基因治疗载体生产工艺，除细胞驯化、细胞培养、菌株发酵等核心的底层技术外，创新大规模细胞培养技术（例如固定床反应器等）、大规模质粒转染技术、创新下游纯化技术等生产工艺的开发持续为行业带来挑战和机遇。同时，不同种类基因治疗药物的生产工艺各不相同，大量个性化生产工艺的需求，以及随之而来的更为复杂的质量检测和放行标准体系对于 CDMO 的综合技术能力提出极高的要求。此外，新的非病毒基因递送技术如新型脂质纳米粒（Lipid Nanoparticle，LNP）、外泌体递送系统的出现也为基因治疗载体的工艺开发带来新的挑战。

对于细胞治疗产品生产工艺，其同样具有产品种类多样、细胞类型多样、作用机制多样性、高度个性化等特点。目前，已上市细胞治疗产品以自体回输基因修饰的细胞为主，此类药物从供体样品采集到生产、回输较为复杂，全过程对细胞活性、功能、安全性及有效性有着严苛的控制要求，给生产工艺开发及质量控制带来更多的技术挑战，对于生产设施的设计和运营管理也提出了更高要求。上述挑战形成了进入细胞治疗领域的高门槛。

建设全面的技术平台，形成自有的核心技术是从事基因治疗 CDMO 业务的必由之路，但技术平台与核心技术的建设不仅需要长期的技术研发投入，还需要通过大量项目实践积累技术诀窍和工艺经验。在国内基因治疗 CDMO 行业加快发展的趋势下，行业新进入者将面临较高的技术壁垒。

（3）GMP 生产体系壁垒

符合 GMP 标准的生产是基因治疗药物研发的关键步骤，随着候选产品研发推进，申报 IND、临床试验和商业化生产对于 GMP 生产的要求逐步提高。由于近年来基因治疗新药研发投入的快速增加、管线开发向临床中后期及商业化阶段推进，市场对大规模、高灵活性的 GMP 生产平台的需求日益增多，该能力也逐步成为细胞和基因治疗 CDMO 公司的重要竞争力。

高标准 GMP 生产平台的建成涉及定制化载体构建、先进生产工艺开发、基因药物质量管理体系搭建、供应链整合等多个领域，不仅需要大额资金投入，还要求基因治疗 CDMO 企业对于上下游生产工艺与质量控制、法规监管体系、GMP 平台建设及验证具备深刻理解，强调企业的技术实力和项目执行经验。对于行业新进入者而言，由于缺乏综合积累，将面临较高的 GMP 体系壁垒。

2. 公司所处的行业地位分析及其变化情况

公司是行业内为数不多专注于细胞与基因治疗 CRO 到 CDMO 提供一站式服务的企业，并在不断积累的核心技术集群加持下，持续为行业发展和基因治疗药物开发提供全方位支持。

2.1 基因治疗 CRO/CDMO 行业地位分析

（1）基因治疗 CRO 服务领域

基因治疗 CRO 服务覆盖药物发现、临床前研究、临床研究阶段。其中，药物发现阶段，主要提供基因靶点筛选和确证、基因功能研究、载体开发、包装及测试等服务；临床前研究阶段，主要提供目的基因动物模型构建、药理药效学研究、药代动力学研究、毒理学研究等；临床研究阶段，主要提供 I-III 期临床试验、临床试验现场管理、数据管理与生物统计等服务。鉴于基因治疗偏早期的行业发展特点，该等服务现阶段多集中于临床前及更早期研究阶段，所服务客体为科研院所和基因治疗药物开发提供全方位支持。

2.1 基因治疗 CRO/CDMO 行业地位分析

（1）基因治疗 CRO 服务领域

基因治疗 CRO 服务覆盖药物发现、临床前研究、临床研究阶段。其中，药物发现阶段，主要提供基因靶点筛选和确证、基因功能研究、载体开发、包装及测试等服务；临床前研究阶段，主要提供目的基因动物模型构建、药理药效学研究、药代动力学研究、毒理学研究等；临床研究阶段，主要提供 I-III 期临床试验、临床试验现场管理、数据管理与生物统计等服务。鉴于基因治疗偏早期的行业发展特点，该等服务现阶段多集中于临床前及更早期研究阶段，所服务客体为科研院所和基因治疗药物开发提供全方位支持。

随着基因治疗药物开发管线的发展，培育出快速成长的市场及多家不同规模的 CDMO 公司。全球范围内，欧美发达地区的基因治疗 CDMO 行业发展相对更为成熟，参与者主要包括 Lonza、Catalent、Oxford BioMedica、Fujifilm 等。国内基因治疗 CDMO 行业处于发展初期，近年来加快成长，市场规模不断放大。

行业快速发展的背景下，基因治疗 CDMO 服务市场规模持续增长，根据海通国际测算，2016 年至 2020 年，全球基因治疗 CDMO 行业的市场规模从 7.7 亿美元增长到 17.2 亿美元，年复合增长率达 22.4%，预计到 2025 年，将达到 114 亿美元规模，2021 年至 2025 年的年复合增长率将高达 37%。同时，中国基因治疗 CDMO 行业经过近年的持续增长，预计到 2025 年达到 17 亿美元（约合 113 亿人民币）的市场规模。

截至 2023 年末，公司累计协助客户获得中美 IND 批件 32 项，涉及溶瘤病毒产品、AAV 基因治疗产品、慢病毒产品、细胞治