

# 生物医药行业投资图谱报告系列 之基因治疗篇

## 投资图谱报告

一级行业	生物医药
二级行业	生物制品
12个月行业评级	强于大市

### 分析师观点

基因治疗被认为是最有希望根治难治性疾病的治疗方式，发展前景广阔且市场需求强烈。近年来，随着细胞与基因治疗行业的规范和法律法规建设，相关产品的审评审批流程得到加速，加上一系列利好政策的推动，我国基因治疗行业进入规范且高速的发展时期。其中，由于基因治疗产品较高的技术要求与复杂的生产工艺，能为基因产品开发减少生产设备和生产团队投入的 CDMO 机构备受青睐，成为基因治疗行业的重点关注对象。

### 投资要点

#### ■ 基因治疗为难治性疾病提供根治可能，市场需求广阔

基因治疗可通过操纵遗传物质的方式来干预疾病的产生与发展，被认为是最有希望根治罕见病与常规疗法无法治愈疾病的治疗方式。目前基因治疗产品正被广泛的研究应用于癌症、遗传病、传染病、和神经肌肉疾病等多种病症的治疗。随着基因治疗产品和技术的发展，面对广阔且未被满足的治疗需求，基因治疗市场发展迅速。根据 Frost & Sullivan 的统计预测，2020 年全球基因治疗市场规模为 20.8 亿美元，2025 年预计增至 305.4 亿美元，CARG 为 71%；我国 2020 年基因治疗市场规模为 2380 万元人民币，到 2025 年将增至 178.9 亿元，CARG 高达 276%。

#### ■ 政策利好推动基因治疗行业规范发展

中国的基因治疗研究开展较早，但受制于滞后的法律法规与行业规范，行业发展整体较为缓慢。近年来，随着“魏则西”和“基因编辑婴儿”等事件的发生，国家开始加强对相关领域的法律法规与行业规范建设，目前已基本形成全面监管体系，加速了审评审批流程。与此同时，一系列利好政策也陆续出台，“十三五”和“十四五”规划中都明确表达了对基因治疗产业的支持。随着行业规范的建立、研发投入的增加、和国家政策的推动，基因治疗行业将进入规范且高速的黄金发展期。

#### ■ 高技术工艺要求下，基因治疗 CDMO 机构备受青睐

合同开发和制造组织（CDMO）主要服务于药物生产阶段，提供药物工艺开发、小规模生产以及大规模商业化生产等服务。基因治疗产品由于较高的技术要求与复杂的生产工艺，开发难度大、生产投入高。因此，能降低研发投入、提高生产效率的 CDMO 机构在基因治疗行业备受青睐。据 J.P.Morgan 统计，基因治疗外包渗透率超过 65%，远超传统生物制剂 35% 的渗透率，而 Frost & Sullivan 也预测，中国基因治疗 CDMO 市场将由 2020 年的 9 亿增长至 2027 年的 197 亿，将是全球增速最快的基因治疗 CDMO 市场。

### 风险

行业政策变动的风险；CDMO 业务发展的不确定性风险；产品研发不达预期。

领域重要数据	2018A	2019A	2020A	2021A	2022A
国内融资笔数	-	44	83	130	137
国内融资金额（亿元）	-	110.4	202.34	360.48	388.93

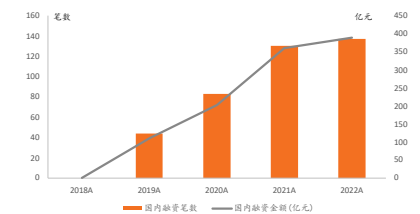
资料来源：至美研究根据公开资料整理

至美研究院

医疗组

research@mimircap.com

### 基因治疗领域融资趋势



### 行业定义：生物制品

生物制品指以微生物、细胞、动物或人源组织和体液等为起始原材料，用生物学技术制成，用于预防、治疗和诊断人类疾病的制剂。

### 行业定义：基因治疗

基因治疗是指通过基因添加、基因修正、基因沉默等方式修饰个体基因的表达或修复异常基因，将外源正常基因导入靶细胞内校正或置换致病基因，达到治愈疾病目的的疗法。通过这种疗法，目的基因或与宿主细胞染色体整合，或不整合位于染色体外，但能在细胞中得到表达，起到治疗疾病的目的。基因治疗主要可分为以病毒为载体的基因替代和非病毒载体的基因编辑。

### 基因治疗领域头部公司

公司简称	上轮融资	融资金额
艾博生物	C/2021	USD 7+亿
方拓生物	B/2022	USD 1.6 亿
信念医药	B/2020	USD 1 亿

### 基因治疗领域活跃机构

机构简称	本年（笔）	累计（笔）
红杉中国	5	18
夏尔巴投资	4	12
博远资本	1	10

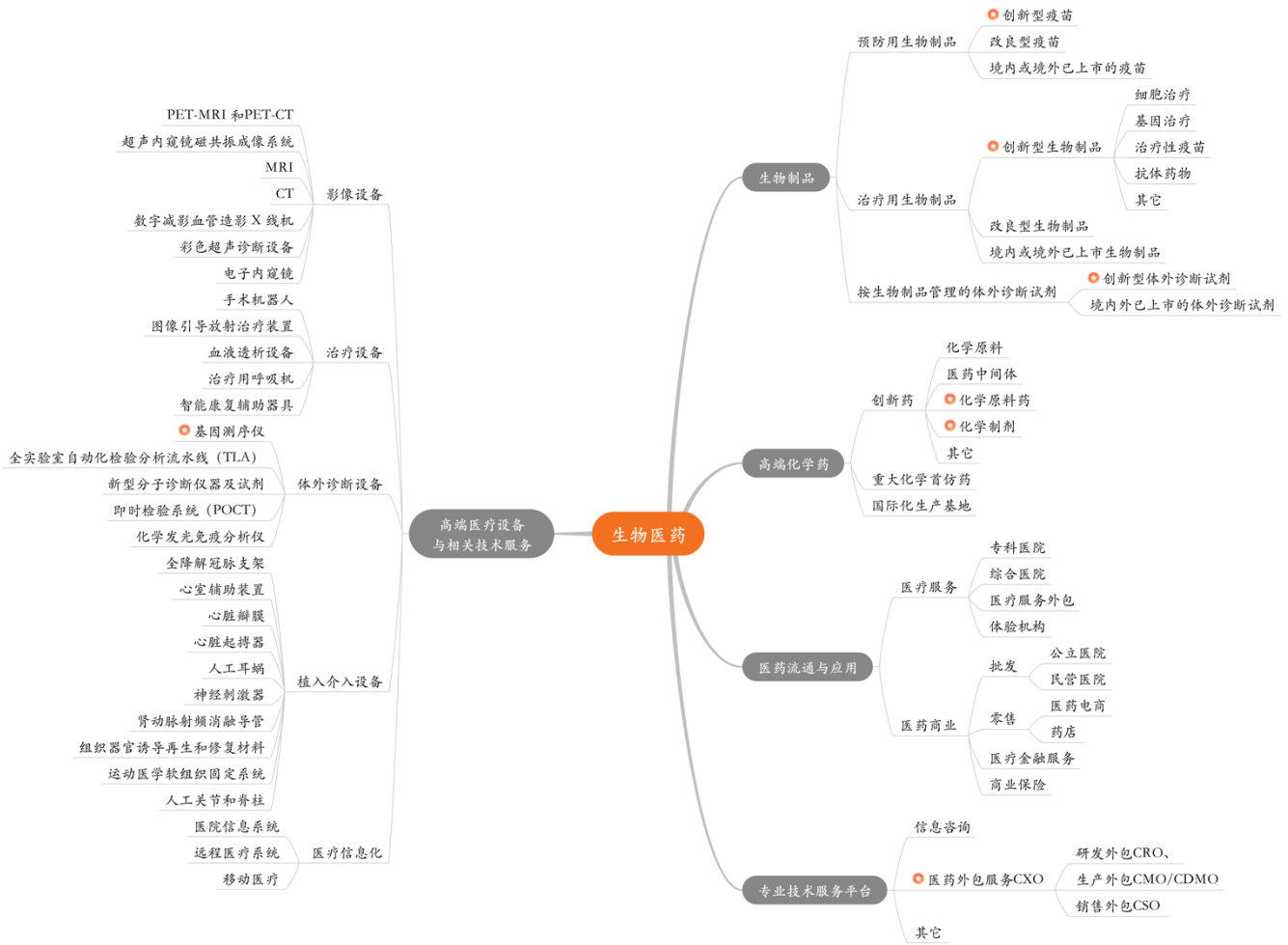
### 生物医药行业相关报告

- 《生物医药行业投资图谱报告系列之干细胞治疗篇》2023-08-28
- 《生物医药行业投资图谱报告系列之抗体药物篇》2023-09-04

资料来源：至美研究根据公开资料整理

## 生物医药行业图谱

图表 1: 生物医药行业图谱



资料来源：至美研究

## 基因治疗领域投资图谱

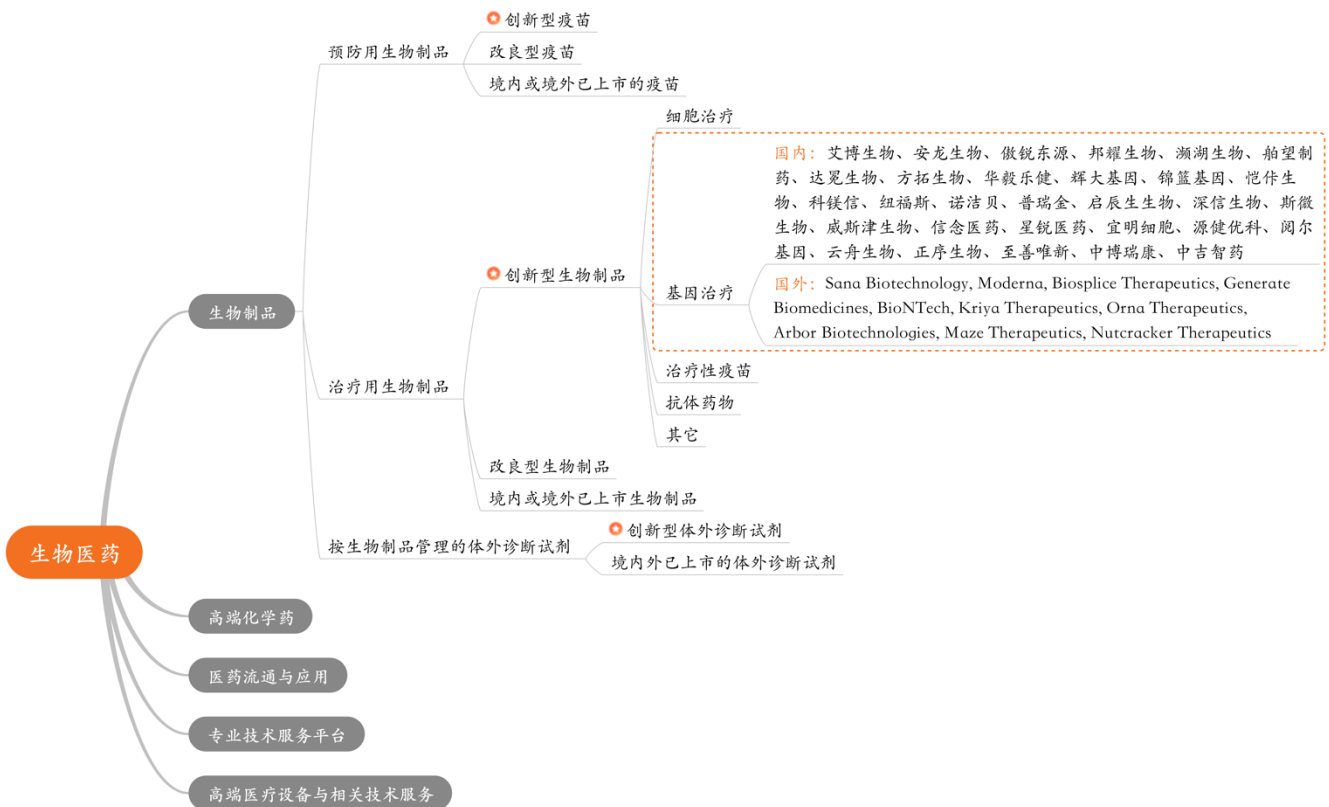
根据我们对生物医药产业图谱的梳理和划分，细胞与基因治疗药物是生物药市场中一个具有巨大发展潜力的新兴市场，在我国起步较早，但因为滞后的行业规范和相关法律法规，之前一直处于早期发展阶段。近年来，随着行业规范的建设，相关产品的审评审批得到加速，此外，国家还陆续颁布了多项利好政策，如《“十三五”生物产业发展规划》、《“十四五”医药工业发展规范化》、以及《“十四五”生物经济发展规划》等，大力推动中国基因治疗产业发展。随着研发投入的增加、利好政策的推动、市场需求的不断增长，我国基因治疗产业将进入高速发展期。

根据治疗途径，基因治疗可分为体内基因治疗和体外基因治疗，其中体内基因治疗是指将携带治疗性基因的病毒或非病毒载体直接递送到患者体内的疗法，而体外基因治疗则指将患者的细胞在体外进行遗传修饰后回输到患者体内进行治疗的方法。

根据技术特点，基因治疗产品又可以分为质粒 DNA、病毒载体、细菌载体、人类基因编辑技术、以及患者源性细胞基因治疗产品等五类。基因治疗可针对不同症状和靶标灵活设计，目前已被广泛研究应用于癌症、遗传病、传染病、和神经肌肉疾病等多种病症的治疗。然而，由于较高的技术要求与复杂的生产工艺，基因治疗产品开发难度大、生产投入高，因此，高度依赖能降低研发投入、提高生产效率的 CDMO 机构，如为基因药物的研发提供工艺开发及测试、IND-CMC 药学研究、临床样品 GMP 生产等服务的和元生物，以及提供细胞系开发、宿主细胞商业化授权、上下游工艺开发、分析方法开发和临床样品及商业化生产服务的金斯瑞蓬勃生物等公司。

我们本次梳理了国内 30 家已获得主流机构投资的创新公司纳入基因治疗领域投资图谱。从融资阶段上来看，进入 C 轮以后的有 7 家，A 轮-B 轮阶段的有 21 家，A 轮之前的早期公司有 2 家。从所在地区来看，上海市有 10 家，北京有 6 家，江苏省有 7 家，广东省 4 家，四川省 2 家，还有湖北省有 1 家。

图表 2：基因治疗领域投资图谱



资料来源：至美研究

## 风险因素

---

**行业政策变动。**虽然现在中国细胞与基因治疗监管政策制度较为完善，但是不排除经济政治因素造成的行业政策变动造成的风险因素。

**CDMO 业务发展的不确定性风险。**基因治疗 CDMO 依赖基因药物的研发，若基因药物研发投入不及预期则会影响相关 CDMO 公司的发展。

**产品研发不达预期的风险。**基因治疗产品研发难度大，投入高，周期长，存在产品研发失败和研发进度不达预期的风险。

## 分析师声明

每位主要负责编写本研究报告全部或部分内容的研究分析师在此声明：(1) 作者具有股权投资咨询专业胜任能力，保证报告所采用的数据均来自合规渠道，分析逻辑基于作者的职业理解；(2) 本报告中所表述的任何观点均准确地反映了作者的研究观点；(3) 分析师薪酬的任何组成部分无论是在过去、现在及将来，均与其在本研究报告中所表述的具体建议或观点无直接或间接的关系。

## 评级说明

至美研究基本评级体系说明	评级	说明
评级分为公司评级和行业评级。分析师采用相对评级体系，评级标准为报告发布日后 6 到 12 个月内的相对市场表现。投资者应仔细阅读所有评级定义。在任何情形下，评级（或研究观点）都不应被视为或作为投资建议。	公司评级	跑赢行业 未来 6~12 个月，分析师预计公司表现超过同期其所属的行业指数
		中性 未来 6~12 个月，分析师预计公司表现与同期其所属的行业指数相比持平
	行业评级	跑输行业 未来 6~12 个月，分析师预计公司表现不及同期其所属的行业指数
		强于大市 未来 6~12 个月，分析师预计某行业会跑赢大盘 10%以上
		中性 未来 6~12 个月，分析师预计某行业表现与大盘的关系在-10%与 10%之间
		弱于大市 未来 6~12 个月，分析师预计某行业会跑输大盘 10%以上

我们在此提醒您，请投资者仔细阅读研究报告全文，以获取比较完整的观点与信息，不应仅仅依靠评级来推断结论。

## 法律声明

本报告由至美投资咨询有限公司（以下简称“本公司”）制作，仅供本公司的客户使用。本公司不会因接收人收到本报告而视其为本公司的当然客户。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。

本报告中的信息均来源于我们认为可靠的已公开资料，但本公司对这些信息的准确性及完整性不作任何保证。本报告中的信息、意见等均仅供投资者参考之用，在任何时候均不构成对任何人的个人推荐或投资操作性建议。投资者应当对本报告中的信息和意见进行独立评估，自主审慎做出决策并自行承担风险。投资者在依据本报告涉及的内容进行任何决策前，应同时考量各自的投资目的、财务状况和特定需求，并就相关决策咨询专业顾问的意见。对依据或者使用本报告所造成的一切后果，本公司及/或其关联人员均不承担任何责任。

本报告所载的意见、评估及预测仅为本报告出具日的观点和判断，相关股权或证券的价格、价值及收益亦可能会波动，过往表现不应作为日后的表现依据。该等意见、评估及预测无需通知即可随时更改。在不同时期，本公司可能会发出与本报告所载意见、评估及预测不一致的研究报告。我们不承诺也不保证，任何所预示的回报会得以实现。分析中所做的预测可能是基于相应的假设。任何假设的变化可能会显著地影响所预测的回报。

在法律许可的情况下，本公司可能与本报告中提及公司正在建立或争取建立业务关系或服务关系。因此，投资者应注意，本公司可能会有对报告的客观性产生影响的利益冲突。投资者应仅将本报告视为作出投资决策的考虑因素之一。

本报告提供给某接收人是基于该接收人被认为有能力独立评估投资风险并就投资决策能行使独立判断。投资的独立判断是指，投资决策是投资者自身基于对潜在投资的目标、需求、机会、风险、市场因素及其他投资考虑而独立做出的。

本报告版权仅为本公司所有，未经书面许可，任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制、发表或引用。如征得本公司同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“至美研究”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节和修改。如欲了解更多观点，应参见至美资本旗下网站 innoHere (www.innohere.com) 所载报告。

若本公司以外的其他机构（以下简称“该机构”）发送本报告，则由该机构独自为此发送行为负责。通过此途径获得本报告的投资者应自行联系该机构以要求获悉更详细信息或进而交易本报告中提及的股权或证券。本报告不构成本公司向该机构之客户提供的投资建议，本公司、本公司员工或者关联机构亦不为该机构之客户因使用本报告或报告所载内容引起的任何损失承担任何责任。

## 至美研究院 | 至美投资咨询有限公司

至美研究院 (Mimir Research) 是至美资本旗下一级市场独立研究机构。至美研究专注于新经济领域，通过行业研究和企业调研，为国内外投资机构 and 行业组织提供宏观经济、新兴产业及公司分析和投资策略服务。innoHere (www.innohere.com) 是至美资本旗下投融资数据平台。

北京	上海	深圳	香港
中国北京朝阳区光华路 1 号 嘉里中心南楼 10 层 邮编：100020	中国上海黄浦区延安东路 222 号 外滩中心 18 层 邮编：200002	中国深圳南山区梦海大道 5033 号 卓越前海壹号 A 座 28 层 邮编：518000	中国香港皇后大道 181 号 新纪元广场低座 7 楼 邮编：999077
官网：www.innohere.com	邮箱：research@mimircap.com	微信：MimirRes	电话：4000-789-885



至美研究  
公众号



innoHere  
公众号