

# 全球基因递送市场研究报告

2023 年 01 月

弗若斯特沙利文咨询公司

## 方法论

### 研究方法

沙利文于 1961 年在纽约成立，是一家独立的国际咨询公司，在全球设立 45 个办公室，拥有超过 2,000 名咨询顾问。通过丰富的行业经验和科学的研究方法，我们已经为全球 1,000 强公司、新兴崛起的公司和投资机构提供可靠的咨询服务。作为沙利文全球的重要一员，沙利文中国团队在战略管理咨询、融资行业顾问、市场行业研究等方面均奠定了良好的基础。

在市场行业研究方面，沙利文布局中国市场，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。

✓ 沙利文依托中国活跃的经济环境，从大健康行业，信息科技行业，新能源行业等领域着手，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，沙利文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。

✓ 沙利文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，在沙利文的每一份研究报告中，完整地呈现行业的过去，现在和未来。

✓ 沙利文秉承匠心研究，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。

✓ 弗若斯特沙利文本次研究于 2023 年 01 月完成。

## 一、 基因递送市场分析

基因递送技术是一种将外源遗传物质定点递送至靶细胞内并进行表达的技术，是众多基因研究及应用领域的重要底层技术之一。基因递送技术应用广泛，在生命科学研究、基因药物的研发及商业化生产、食品农业、绿色能源、工业发酵等领域均有应用。基因药物的研发及商业化生产是基因递送技术重要的下游应用领域之一，基因递送技术为细胞与基因治疗药物、核酸疫苗等基因药物的研发及生产提供关键技术支持。

未来，随着基因递送技术迭代升级、行业利好政策持续发布以及下游应用需求快速增长等多项因素推动，基因递送领域将持续突破技术壁垒，吸引大量专业人才及资本进入，实现产、学、研各领域协同发展，推动行业集中度提升，加速行业整合。同时，基因递送外包服务也将向个性化、多样化、线上化、智能化等方向快速发展，基因递送外包服务企业将基于其深厚的基因载体构建、基因递送等理论知识及经验储备，开发更多递送系统、载体骨架、载体元件等，不断积累其原研能力，提供高难度、定制化的科研基因递送载体服务，为科研及临床药物研发客户开发符合实验需求的定制化基因递送载体系统，加速新型基因递送系统的研发，实现基因递送技术在下游领域更为完善及深入的应用，推动基因递送行业蓬勃发展。

### 1.1 欧美日韩等国基因递送行业主要相关政策

政策名称	颁发部门	颁布时间	主要内容
人体细胞治疗和基因治疗的考量 Points to Consider (PTC) in Human Somatic Cell and Gene Therapy	FDA	1991	首次提出了使用细胞和基因治疗应思考和注意的方向
人体细胞治疗和基因治疗指南 Guidance for Industry: Guidance for Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy	FDA	1998	更新并替换了 1991 年的 PTC，旨在为制造商提供有关生产，质量控制测试、基因治疗用重组载体和临床前试验管理方面的最新监管

			信息
中止使用逆转录病毒改造血液干细胞基因的临床试验 Temporary Halt on Gene Therapy Trials Using Retroviral Vectors in Blood Stem Cells	FDA	2003	一种逆转录病毒在法国一项基因疗法实验中引发一个儿童罹患白血病。因此，FDA 将所有涉及逆转录病毒载体和针对免疫缺陷的基因治疗临床试验暂停，要求所有类似试验不能再纳入新的临床病例
人体组织和细胞捐赠、获得、筛选、处理、保存、贮藏和配送的质量和标准 Directive 2004/23/EC of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 on setting standards of quality and safety for the donation, procurement, testing, processing, preservation, storage and distribution of human tissues and cells	欧盟议会及理事会	2004	规定了所有用于人类应用的人体组织和细胞以及用于人类应用的人体组织和细胞制成品的捐赠、采购和测试的质量和标准，以确保对人类健康的保护
人类基因治疗产品给药后的长期随访 Long Term Follow-Up after Administration of Human Gene Therapy Products	FDA	2020	加强了上市后对患者进行的长期健康随访，提供有关设计长期随访 (LFTU) 观察性研究的建议，以便收集基因治疗产品给药后延迟不良事件的数据
先进技术治疗医学产品法规 Regulation (EC) No 1394/2007 of the European Parliament and of the Council of 13 November 2007 on advanced therapy medicinal products and amending Directive 2001/83/EC and Regulation (EC) No 726/2004 (Text with EEA relevance)	欧盟议会及理事会	2007	将基因治疗产品、体细胞治疗产品和组织工程产品定义为先进技术治疗医学产品，对计划在欧盟成员国上市的、以工业方式制备的或以涉及工业过程的方法制造的先进技术治疗医学产品进行管理 该法规中的医院豁免条款 (Article 28) 允许医生在经过安全性和有效性验证后，为患者个体进行治疗，主要限定于在医疗机构中进行的个体细胞治疗。豁免权需由欧盟各国修订至本国的相关医疗法规后得以执行。
人类基因疗法新药申请的化学、制造和控制信息 Guidance for FDA Reviewers and Sponsors: Content and Review of Chemistry, Manufacturing, and Control (CMC) Information for Human Somatic Cell Therapy Investigation New Drug Application (INDs)	FDA	2008	提供关于基因治疗产品的安全性、均一性、质量、纯度和有效性等支持信息的建议，适用于人类基因治疗产品，以及含有人类基因治疗产品或装置的组合
人类细胞医学产品指导原则 Guideline on Human Cell-based Medical products	EMA	2008	指南讨论必要的细胞药物产品 (CBMP) 非临床研究，以预测产品的药理和毒理作用，指南还提供了关于进行药效学/药代动力学研究、剂量测定和临床疗效及安全性研究的指导，描述了细胞药物产品药物警戒方面和风险管理计划应给予的特殊考虑

同种异体胰岛细胞产品的注意要点 Guidance for Industry: Considerations for Allogeneic Pancreatic Islet Cell Products	FDA	2009	向参与同种异体胰岛细胞产品临床研究以治疗 1 型糖尿病的制造商和研究人员等提供建议，以帮助识别在新药研究中可能有助于确定产品安全性、纯度和效力的数据和信息
细胞治疗和基因治疗产品的效能试验 Potency Tests for Cellular and Gene Therapy Products	FDA	2011	此指南为细胞和基因治疗产品的制造商等提供有关效能测试的建议，以支持 IND 或 BLA 申请
基因治疗药物产品在开发过程中的设计修改 Design modifications of gene therapy medicinal products during development	EMA	2012	介绍了特定的基因治疗药物产品的监管考虑，对申请档案中可能需要的研究类型作了深入分析，以支持开发过程中对产品设计的修改
在研细胞与基因治疗产品临床前评估指南 Guidance for Industry: Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products	FDA	2013	规定了细胞治疗与基因治疗产品都适用的临床前研究需要考虑的问题，包括临床前研究目标、对临床前研究设计的总体建议、试验动物物种选择等
日本再生医学促进法	WHLW	2013	推动了另外两个法案的制定，即《再生医学安全法》（RM 法）和《药物和医疗器械法案》（PMD 法），提出了再生医学产品，包括细胞治疗产品的双轨制监管途径
日本再生医学安全法	WHLW	2014	为再生医疗的监管审批和产品质量提供了重要的法律支撑，其中说明应就对人体健康的影响程度，采用风险评估的三级分层体系，将再生医疗技术分为三类，以确定研究质量监督所需要的水平
日本药物和医疗器械法案	WHLW	2014	提供了医疗器械、体外诊断试剂、处方药、药品和化妆品以及再生和细胞疗法产品在日本市场中的规管法律框架
基于病毒或细菌的基因疗法和溶瘤细胞的脱落研究设计和分析 Design and Analysis of Shedding Studies for Virus or Bacteria-Based Gene Therapy and Oncolytic Products	FDA	2015	提供了如何以及何时收集脱落数据以及如何使用脱落数据来评估向未经治疗的个体传播的可能性
基因治疗、载体疫苗和相关重组病毒微生物产品环境评估需求和内容确定行业指南 Determining the Need for and Content of Environmental Assessments for Gene Therapies, Vectored Vaccines, and Related Recombinant Viral or Microbial Products	FDA	2015	提供了为 IND, BLA (生物制品许可申请) 或 BLA 补充提交 EA (环境评估) 时要考虑的内容并提供了 EA 提交的内容和格式的信息
关于人体组织和细胞编码的技术要求 Commission Directive (EU)	欧盟议会 及理事会	2015	提出应通过对组织和细胞的编码以及附带的文件来确保从捐赠者到接受者的可追溯性，反之亦然。在接受者这一端，欧洲单一代码

2015/565 of 8 April 2015 amending Directive 2006/86/EC as regards certain technical requirements for the coding of human tissues and cells Text with EEA relevance			提供关于捐赠和负责采购组织和细胞的组织机构的信息。在捐献者一端，负责采购组织和细胞的组织机构可以通过要求链上的下一个操作者根据随附文件中的欧洲单一代码的捐献识别要素提供与组织和细胞使用有关的数据，来跟踪分配给人类使用的组织和细胞
用于基因疗法的微生物载体的建议 Recommendations for Microbial Vectors Used for Gene Therapy	FDA	2016	针对用于基因疗法早期临床试验的微生物载体，提供关于产品生产及表征、临床前研究及临床研究的建议
韩国药品事务法 Pharmaceutical Affairs Act, PAA	MFDS	2016	该法案将细胞治疗产品被归类为生物制品，因此韩国生物制剂产品包括传统生物制剂（疫苗、血浆制剂与解毒剂）、重组 DNA 产品、细胞治疗产品与基因治疗产品等，此类产品的管理将依据药品事务法中的具体监管要求
对人类细胞、组织以及基于细胞和组织的产品的监管注意事项 Regulatory Considerations for Human Cells, Tissues, and Cellular and Tissue-Based Products: Minimal Manipulation and Homologous Use; Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff	FDA	2017	向人体细胞、组织以及基于细胞和组织的产品的制造商、医疗保健提供者以及 FDA 的工作人员提供的监管注意事项
韩国生物制剂的批准及审查条例 Regulation on Approval and Review of Biological Products	MFDS	2017	依据《药品事务法》第 31 条、第 35 条和第 42 条的规定，对生物制品、重组 DNA 产品、细胞培养衍生产品、细胞治疗产品、基因治疗产品和其他类似产品的生产和销售（进口）规定了详细的安全性和有效性审查程序、规格和分析程序、批准产品的标准和要求等，以确保产品审批的正当性
基因治疗药物产品的质量、非临床和临床方面的指导原则 Guideline on the quality, non-clinical and clinical aspects of gene therapy medicinal products	EMA	2018	指南是对 2001 年《关于基因转移药物产品的质量、临床前和临床方面的指导说明》的修订。指南定义了科学原则，并为开发和评估拟用于人类并提交市场授权申请（MAA）的基因治疗药物产品（GTMPs）提供指导，重点是对 GTMP 的质量、安全和疗效要求
在产品制造和患者随访期间，测试逆转录病毒载体基因治疗产品具有复制能力的逆转录病毒 Testing of Retroviral Vector-Based Human Gene Therapy Products for Replication Competent Retrovirus During Product Manufacture and Patient Follow-up	FDA	2020	建议对复制感受态逆转录病毒（RCR）进行测试，以排除基于载体的人类基因治疗产品中 RCR 的存在。该指南提供了有关在基于逆转录病毒载体的基因治疗产品的生产过程中以及对患者进行后续随访期间进行 RCR 测试的建议，包括测试的材料、数量和方法
含有转基因细胞的医药产品的质量、非临床和临床方面的指南 – 修	EMA	2021	指南的修订反映了自第一个基于转基因细胞的基因治疗药物产品批准以来，在批准这类

订版 1 Guideline on quality, non-clinical and clinical aspects of medicinal products containing genetically modified cells - Revision 1			基因治疗产品方面取得的经验。该修订版也纳入了对使用包括 CAR-T 细胞、诱导性多能干细胞和基因组编辑等新技术开发的转基因细胞的指导
--	--	--	--

资料来源：美国食品药品监督管理局（FDA），美国国立卫生研究（NIH），欧盟议官方公报，欧洲药品管理局（EMA），日本卫生部，日本厚生劳动省（MHLW），日本制药和医疗器械局（PMDA），韩国食品药品安全部（MFDS）

## 二、 科研基因载体外包服务市场分析

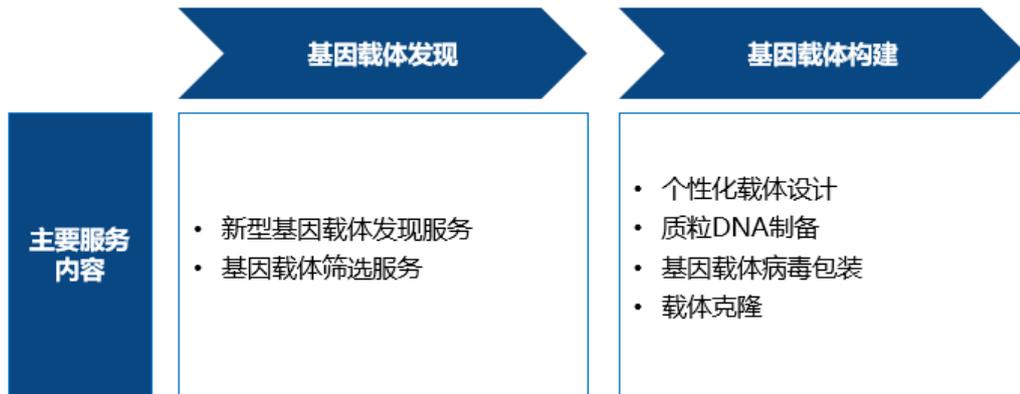
基因递送行业持续突破技术壁垒，行业集中度逐渐提高，不断推动基因递送外包服务多样化发展。基因递送外包服务按照载体应用场景可大致分为科研基因载体外包服务、基因载体 CRO 服务以及基因载体 CDMO 服务等。

其中，科研基因载体外包服务提供的基因载体主要应用于科研实验及药物发现阶段。科研基因载体外包服务内容主要包括个性化载体设计、载体构建、质粒 DNA 制备、载体病毒包装、载体克隆等。

### 2.1 科研基因载体服务内容

基因递送外包服务企业基于不同客户在基础科研及药物发现阶段基因载体开发及制备过程中的多种需求，开发了基因载体发现及筛选、个性化载体设计、载体构建、质粒 DNA 制备、载体病毒包装、载体克隆等科研基因载体服务。

#### 科研基因载体主要服务内容分析



资料来源：弗若斯特沙利文分析

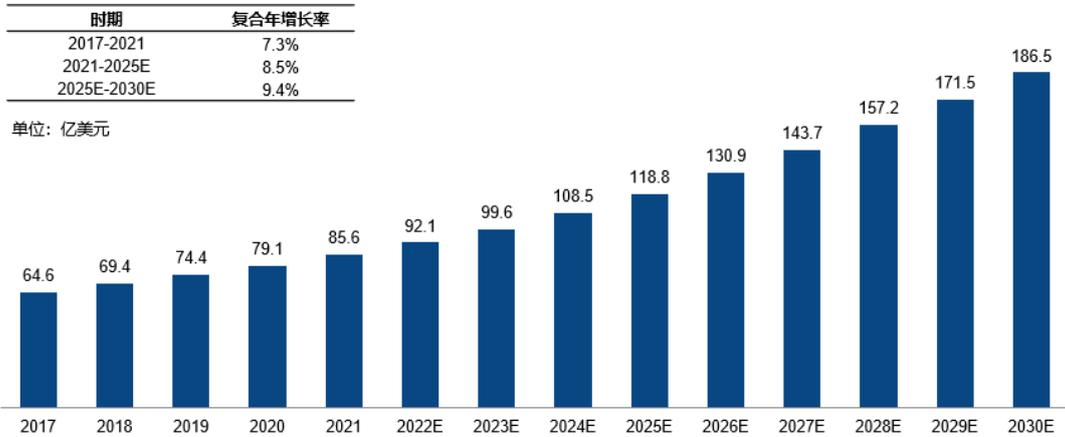
## 2.2 全球科研基因载体投入规模及预测

目前，众多生命科学实验室及基因药物研发企业投入大量科研经费用于基因载体的构建。其中，部分生命科学实验室及基因药物研发企业通过内部研发自主构建所需的基因载体，而其他的则将该业务外包给基因载体服务提供商完成。自 2017 年至 2021 年，全球科研基因载体投入规模从 64.6 亿美元增长至 85.6 亿美元，2017 至 2021 年的年复合增长率为 7.3%，市场增速快。未来，随着基因载体构建难度提升及相关利好政策持续发布等，预计全球科研基因载体投入规模将持续增长，2025 年全球科研基因载体投入规模将达到 118.8 亿美元，2021 至 2025 年的年复合增长率为 8.5%。

近年来，由于生命科学实验室及基因药物研发企业多倾向于自主构建所需基因载体，提供科研基因载体外包服务的企业数量较为有限，因此在 2021 及 2022 年前后全球生命科学实验室及基因药物研发企业基因载体的外包比例在 5% 之内，未来随着生命科学实验室及基因药物研发企业对于科研基因载体开发的要求不断提高，各机构及企业对于新型基因递送载体及系统的需求不断增长，基因递送外包服务企业数量将持续增长，推动基因递送外包服务内容不断拓展，预计至 2030 年，生命科学实验室及基因

药物研发企业对于科研基因载体外包的比例将大幅增长达到 20%至 40%。

全球科研基因载体投入规模及预测，2017-2030E



资料来源：弗若斯特沙利文分析

### 三、基因载体合同研究组织服务市场分析

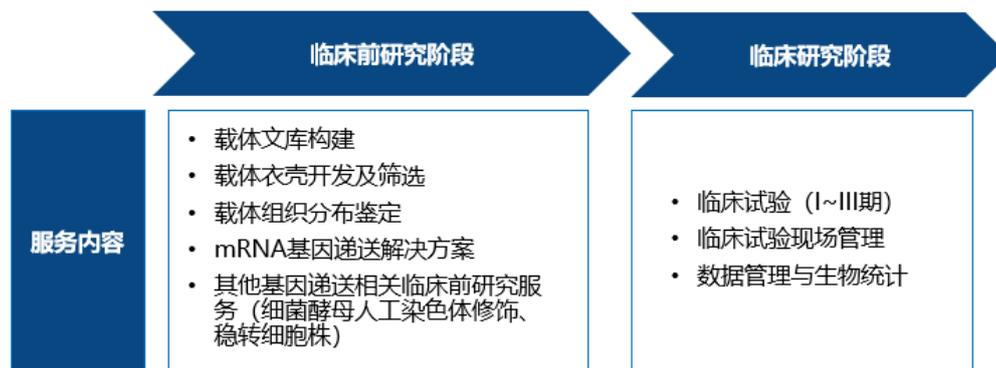
基因载体合同研究组织服务可为基因药物的临床研发提供临床前研究、临床研究阶段的相关服务。其中，临床前研究阶段可提供广泛的研究相关服务，包括载体文库构建、载体衣壳开发及筛选、载体组织分布鉴定、mRNA 基因递送解决方案、其他基因递送相关临床前研究服务如细菌酵母人工染色体修饰、稳转细胞株等，对基因药物治疗的安全性及基因载体的转导效果起到关键作用。基因载体 CRO 在提供广泛的 CRO 服务的同时，通过先进的技术和丰富的经验，满足客户对临床研发服务的全流程需求。例如，基因载体 CRO 服务提供商可通过提供计算机设计、人工智能、NGS 分析等技术支持，为客户提供高质量且多样化的载体文库构建及载体衣壳筛选服务；也可在多种生物体内通过不同给药途径为客户提供载体在器官、组织和细胞水平上的组织分布鉴定服务，为基因药物研发企业缩短基因药物产品的临床研发周期，减少相应

的研发成本提供助力。

### 3.1 基因载体 CRO 服务概览

基因载体合同研究组织服务可为基因药物的临床研发提供临床前研究、临床研究阶段的相关服务。其中临床前研究阶段主要包括载体文库构建、载体衣壳开发及筛选、载体组织分布鉴定、mRNA 基因递送解决方案、其他基因递送相关临床前研究服务如细菌酵母人工染色体修饰、稳转细胞株等；临床研究阶段主要包括 I 至 III 期临床试验、临床试验现场管理、数据管理与生物统计服务等。

#### 基因载体 CRO 服务内容分析



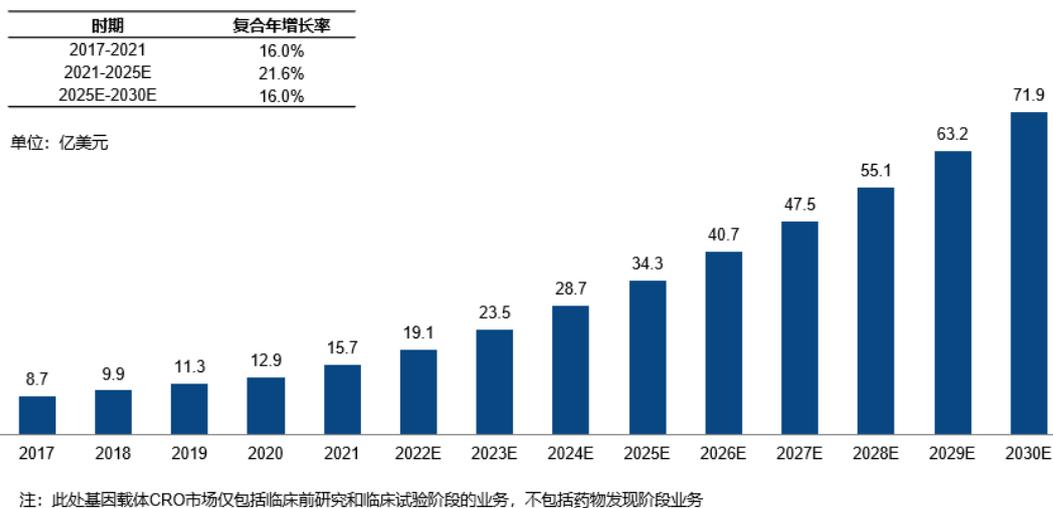
资料来源：弗若斯特沙利文分析

### 3.4 全球基因载体 CRO 市场规模及预测

全球基因载体 CRO 市场持续扩容。自 2017 年至 2021 年，全球基因载体 CRO 市场规模从 8.7 亿美元增长至 15.7 亿美元，2017 至 2021 年的年复合增长

率为 16.0%。未来，随着基因药物研发热度不减及基因药物研发政策趋严等因素，预计全球基因载体 CRO 市场规模将持续增长，2025 年全球基因载体 CRO 市场规模将达到 34.3 亿美元，2021 至 2025 年的年复合增长率为 21.6%，2030 年全球基因载体 CRO 市场规模将进一步增长至 71.9 亿美元。

全球基因载体CRO市场规模及预测，2017-2030E



资料来源：弗若斯特沙利文分析

## 四、基因载体合同开发和制造组织服务市场分析

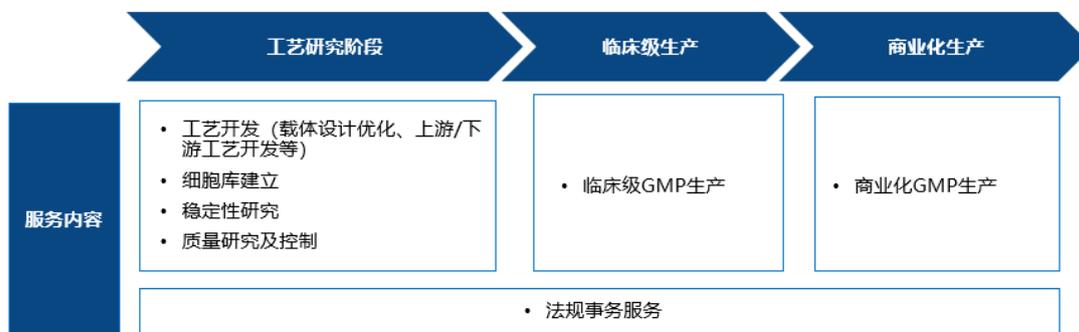
### 4.1. 基因载体 CDMO 服务概览

基因载体合同开发和制造组织服务 (CDMO) 可为基因药物的开发及生产提供工艺研究阶段、临床级生产、商业化生产的相关服务，其中工艺研究阶段主要包括工艺开发、细胞库建立、稳定性研究、质量研究及控制等服务；临床研究阶段主要包括临床级 GMP 生产服务；商业化生产阶段主要包括商业化 GMP 生产服务。此外，基因载

体 CDMO 还为基因药物开发过程中各关键阶段提供法规事务服务用于支持产品临床申报和上市申请。

工艺开发是指开发可最终满足基因药物临床级及商业化要求的生产工艺，包括载体设计优化、上游工艺开发、下游工艺开发等。应根据目标基因药物产品的质量属性，通过充分的工艺开发，逐步建立从实验室规模到生产规模的生产工艺。细胞库建立可为基因药物的生产提供已标定好的、细胞质量相同及能持续稳定传代的细胞种子。稳定性研究的目的是确保原料药或制剂在保质期内质量可稳定维持，一般包括长期稳定性、加速稳定性、影响因素研究、运输稳定性、使用稳定性等。质量研究一般通过开发基因药物产品所需的众多质检分析方法来确认基因药物产品的安全性和有效性。质量控制的目的是保证最终产品的质量和批间一致性，具体应根据工艺和控制需要对不同阶段的样品制定质量标准。

### 基因载体 CDMO 服务内容分析



资料来源：弗若斯特沙利文分析

## 4.2 全球基因载体 CDMO 市场规模及预测

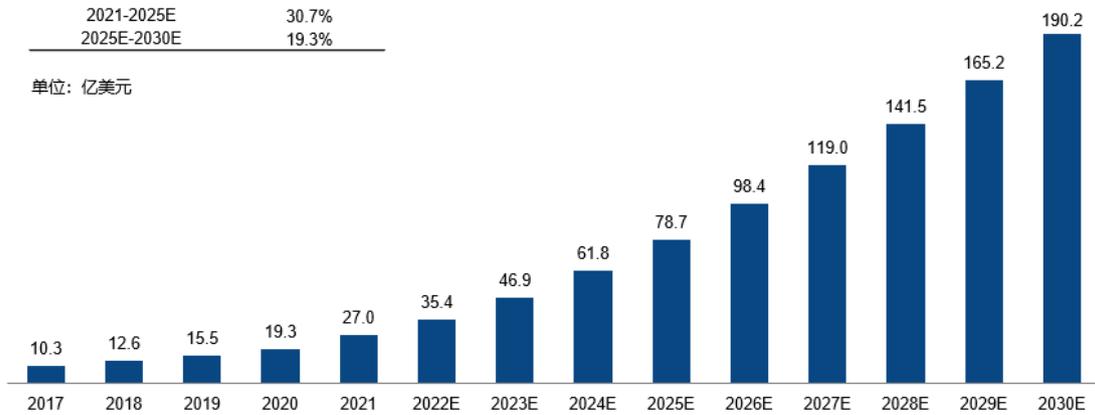
全球基因载体 CDMO 市场蓬勃发展。自 2017 年至 2021 年，全球基因载体 CDMO

市场规模从 10.3 亿美元增长至 27.0 亿美元，2017 至 2021 年的年复合增长率为 27.3%。未来，随着基因药物获批数量增加、基因药物商业化生产难度逐步提高、国家政策扶持等因素，预计全球基因载体 CDMO 市场规模将持续高速增长，2025 年全球基因载体 CDMO 市场规模将达到 78.7 亿美元，2021 至 2025 年的年复合增长率为 30.7%，2030 年全球基因载体 CDMO 市场规模将进一步增长至 190.2 亿美元。

全球基因载体CDMO市场规模及预测，2017-2030E

时期	复合年增长率
2017-2021	27.3%
2021-2025E	30.7%
2025E-2030E	19.3%

单位：亿美元



注：此处基因载体CDMO市场包括细胞&基因治疗、质粒、mRNA产品、抗体、蛋白、非核酸疫苗等运用基因载体/递送技术的相关药物的服务市场

资料来源：弗若斯特沙利文分析

**以上内容仅为删减版，其余内容如有需求请与我们联系获取**