

基因治疗研发和生产外包服务

市场研究报告

2021 年 5 月

弗若斯特沙利文咨询公司

报告提供的任何内容（包括但不限于数据、文字、图表、图像等）均系弗若斯特沙利文公司独有的高度机密性文件（在报告中另行标明出处者除外）。未经弗若斯特沙利文公司事先书面许可，任何人不得以任何方式擅自复制、再造、传播、出版、引用、改编、汇编本报告内容，若有违反上述约定的行为发生，弗若斯特沙利文公司保留采取法律措施，追究相关人员责任的权利。弗若斯特沙利文开展的所有商业活动均使用“弗若斯特沙利文”或“Frost & Sullivan”的商号、商标，弗若斯特沙利文无任何前述名称之外的其他分支机构，也未授权或聘用其他任何第三方代表弗若斯特沙利文开展商业活动。

目录

方法论	3
一、 基因治疗市场研究.....	4
1. 细胞和基因治疗定义与基本原理介绍.....	4
2. 全球基因治疗市场规模.....	5
3. 中国基因治疗市场规模.....	5
4. 全球细胞和基因治疗投融资金额分析.....	6
5. 全球在研基因治疗临床试验分析.....	7
6. 中国在研基因治疗临床试验分析.....	7
7. FDA 累计获批基因治疗产品数量分析.....	9
8. EMA 累计获批基因治疗产品数量分析.....	9
二、 医药研发和生产外包市场研究.....	10
1. 中国医药研发和生产外包服务市场规模.....	10
三、 基因治疗合同研究组织市场研究.....	10
1. 基因治疗 CRO 服务分析.....	11
2. 基因治疗 CRO 市场规模.....	11
四、 基因治疗合同开发和制造组织服务市场研究.....	13
1. 基因治疗产业链概览.....	13
2. 基因治疗 CDMO 服务分析.....	13
3. 基因治疗 CDMO 市场规模.....	14

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 2021 年 5 月完成。

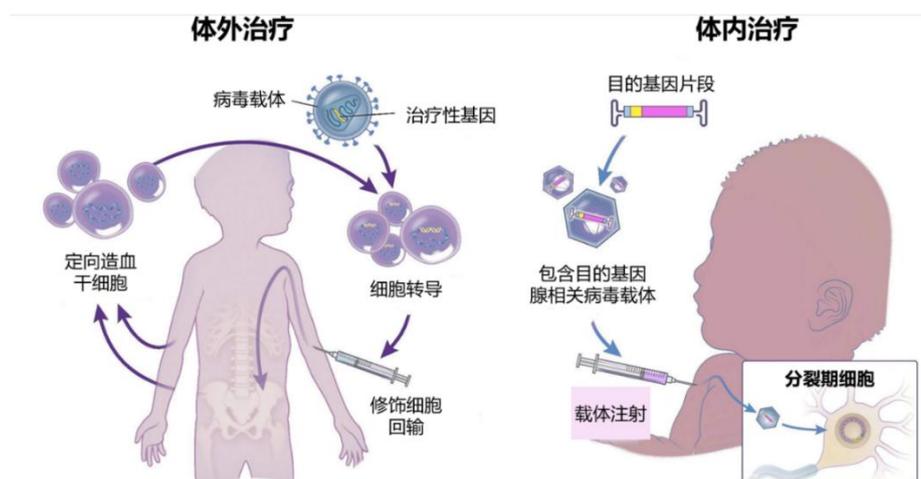
一、 基因治疗市场研究

1. 细胞和基因治疗定义与基本原理介绍

广义的细胞和基因治疗 (Cellular and Gene Therapy, CGT) 包括细胞治疗和基因治疗。细胞治疗是指应用人自体或异体来源的细胞经体外操作后输入 (或植入) 人体, 用于疾病治疗的过程。体外操作包括但不限于分离、纯化、培养、扩增、活化、细胞 (系) 的建立、冻存复苏等。获批药物如 2016 年经 FDA 批准的 Clevecord, 是一种用于治疗血液瘤及特定血液及免疫系统紊乱的干细胞治疗产品。

目前, 业内公认的 CGT 主要是指基因治疗, 即通过基因添加, 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, 达到治愈疾病目的的疗法。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, 获批药物如 2019 年经 FDA 批准的 Zolgensma, 是一种治疗脊髓性肌肉萎缩症的基于腺相关病毒载体的体内基因疗法; 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, 获批药物如 2017 年 FDA 批准的 Kymriah, 是一种用于治疗难治或复发性 B 细胞前体急性淋巴细胞白血病 (ALL) 的基于慢病毒载体的体外基因疗法。

体外基因治疗和体内基因治疗过程示例

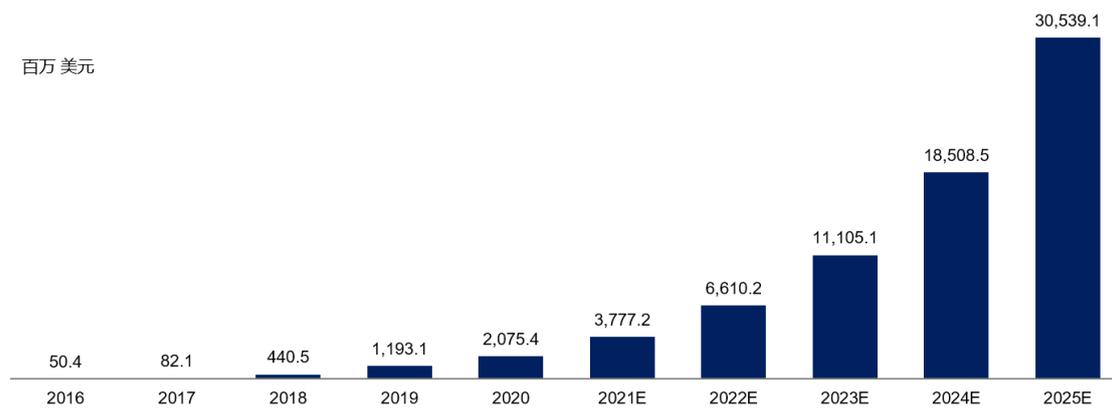


资料来源: High KA, et al. Gene Therapy. N Engl J Med. 2019 Aug 1;381(5):455-464., 弗若斯特沙利文制图

2. 全球基因治疗市场规模

随着基因治疗临床试验的不断开展和产品的陆续获批, 2016 年以来, 全球基因治疗市场高速发展, 从 2016 年到 2020 年, 市场从约 5,040 万美元增长到 20.8 亿美元, 预计到 2025 年, 全球基因治疗市场规模将达到近 305.4 亿美元。

全球基因治疗市场规模及预测, 2016-2025E

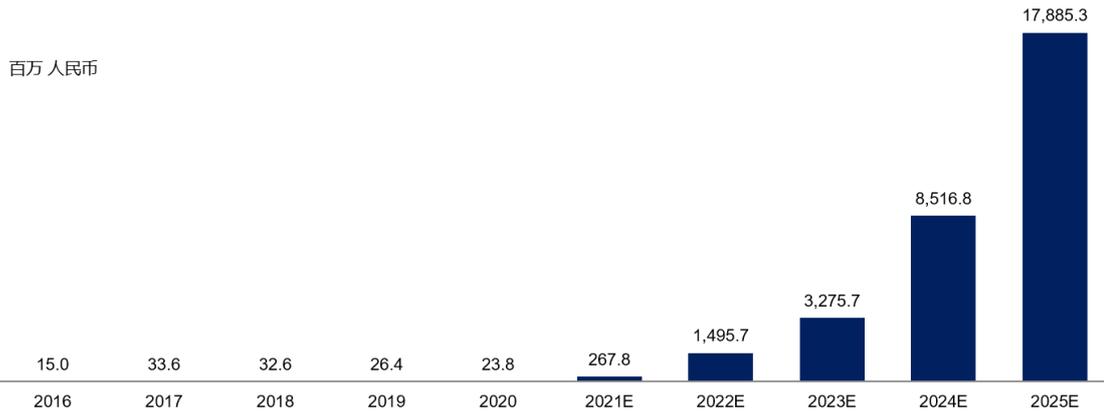


资料来源: 上市公司年报, 公开资料, 专家访谈, 弗若斯特沙利文分析

3. 中国基因治疗市场规模

中国基因治疗市场规模从 2016 年的 1,500 万人民币增长到 2020 年的 2,380 万人民币。预计未来, 中国基因治疗市场将得益于相关利好政策的支持、临床试验的不断开展和产品的不断获批, 其规模将于 2025 年达到 178.9 亿人民币。

中国基因治疗市场规模及预测, 2016-2025E

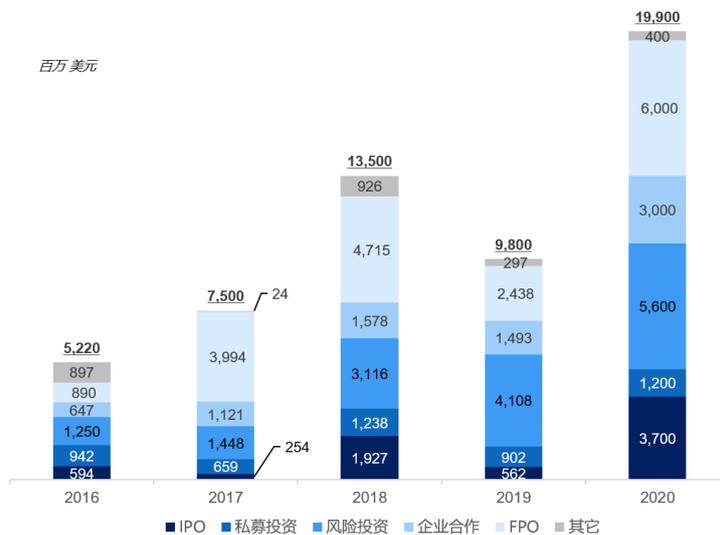


资料来源：上市公司年报，公开资料，专家访谈，弗若斯特沙利文分析

4. 全球细胞和基因治疗投融资金额分析

细胞基因治疗公司受到资本市场青睐，私募融资、IPO、并购、合作等多种交易形式蓬勃发展，频频出现重磅交易。2019年，全球细胞和基因治疗收并购预付款费用达到113亿美元。其中，百时美施贵宝 (Bristol-Myers Squibb) 收购新基 (Celgene) 的总金额高达740亿美元，一举成为史上最大医药并购案。资本的持续注入促进细胞和基因治疗技术的发展，持续从概念阶段向产业化和商业化发展。

全球细胞和基因治疗投融资金额，2015-2019

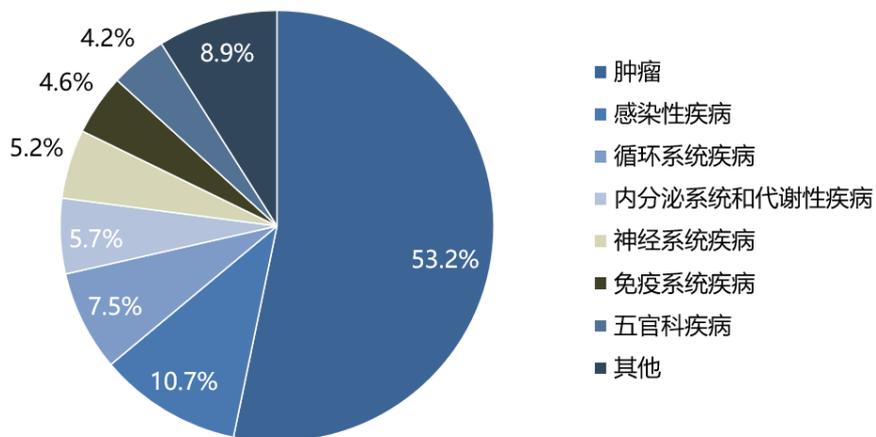


资料来源：公开资料，弗若斯特沙利文分析

5. 全球在研基因治疗临床试验分析

截至 2020 年 12 月 31 日，根据 ClinicalTrials.gov 的临床试验来看，全球正在进行的基因治疗临床试验中，有超过一半针对肿瘤治疗，此外，基因治疗在感染性疾病、血液系统疾病、内分泌系统和代谢性疾病领域也较为活跃。

全球在研基因治疗临床试验按治疗领域拆分

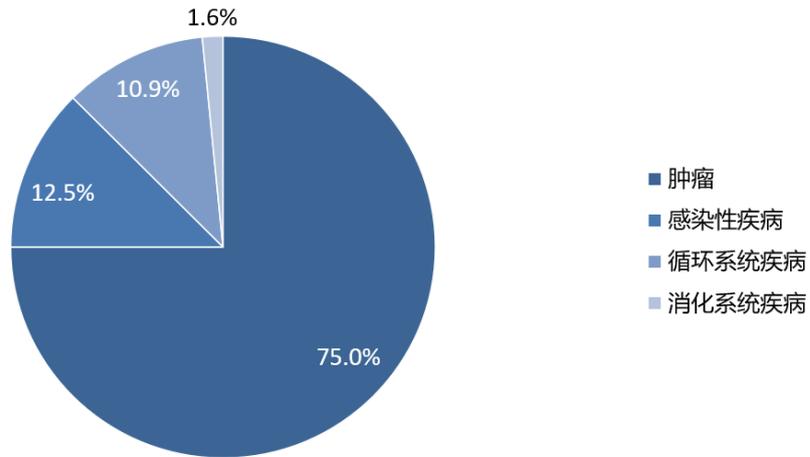


资料来源：ClinicalTrials.gov，弗若斯特沙利文分析

6. 中国在研基因治疗临床试验分析

截至 2020 年 12 月 31 日，根据 CDE 注册的临床实验来看，中国正在进行的基因治疗临床试验中，有 75% 针对肿瘤；此外，感染性疾病和循环系统疾病各占 13% 和 11%。

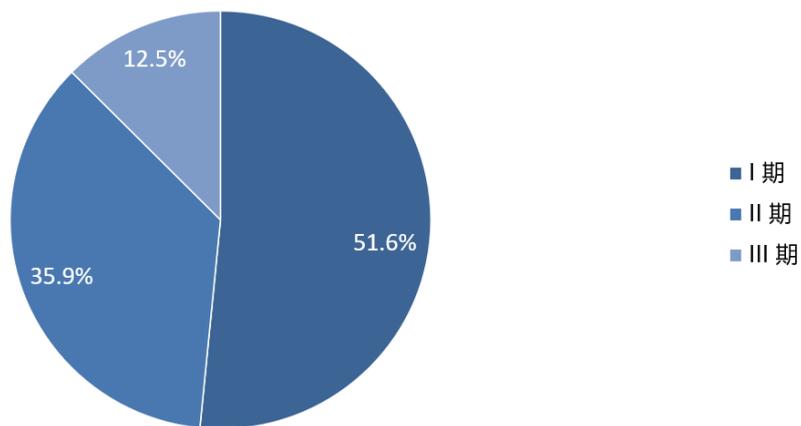
中国在研基因治疗临床试验按治疗领域拆分



资料来源：CDE，弗若斯特沙利文分析

按临床阶段来看，中国在研基因治疗临床试验中有 52%处在临床 I 期，36%处在临床 II 期，13%处在临床 III 期。

中国在研基因治疗临床试验按临床阶段拆分



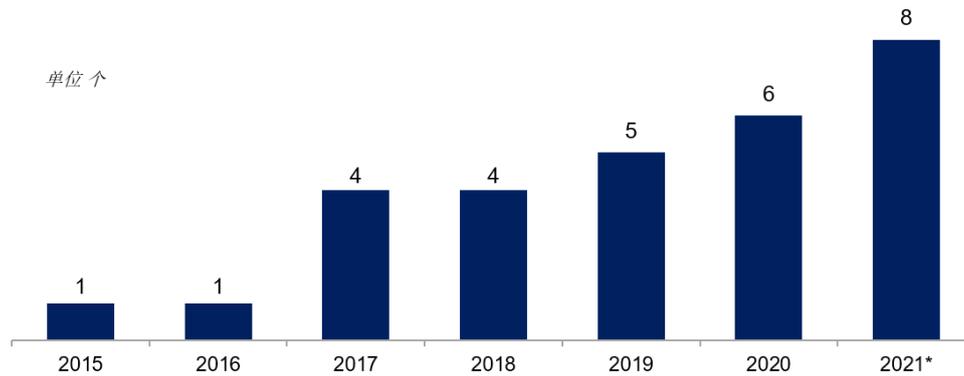
注：I/II 期临床算作 II 期，II/III 期临床算 III 期

资料来源：CDE，弗若斯特沙利文分析

7. FDA 累计获批基因治疗产品数量分析

2015 年，美国第一款基因治疗产品 IMPLYGIC 上市，此后，获批基因治疗产品开始增多，截至 2021 年 5 月 26 日，美国共有 8 个基因治疗产品上市，其中 6 个是肿瘤治疗产品，2 个应用于遗传疾病领域。

FDA 累计批准的基因治疗产品数量，2015-2021



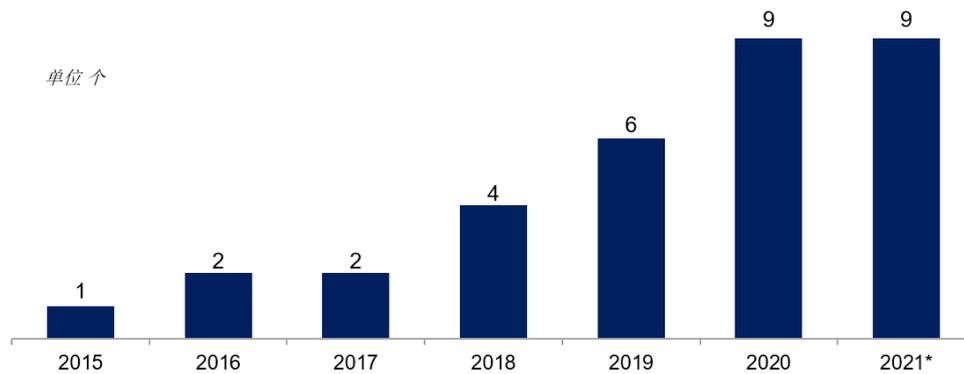
备注：数据调研时间截至 2021 年 5 月 26 日

资料来源：FDA，弗若斯特沙利文分析

8. EMA 累计获批基因治疗产品数量分析

在 EMA 已批准的基因治疗产品中，有 9 个是基因治疗产品，其中 3 个是 CAR-T 疗法。

EMA 累计批准的基因治疗产品数量，2015-2021



备注：数据调研时间截至 2021 年 5 月 26 日

资料来源：EMA，弗若斯特沙利文分析

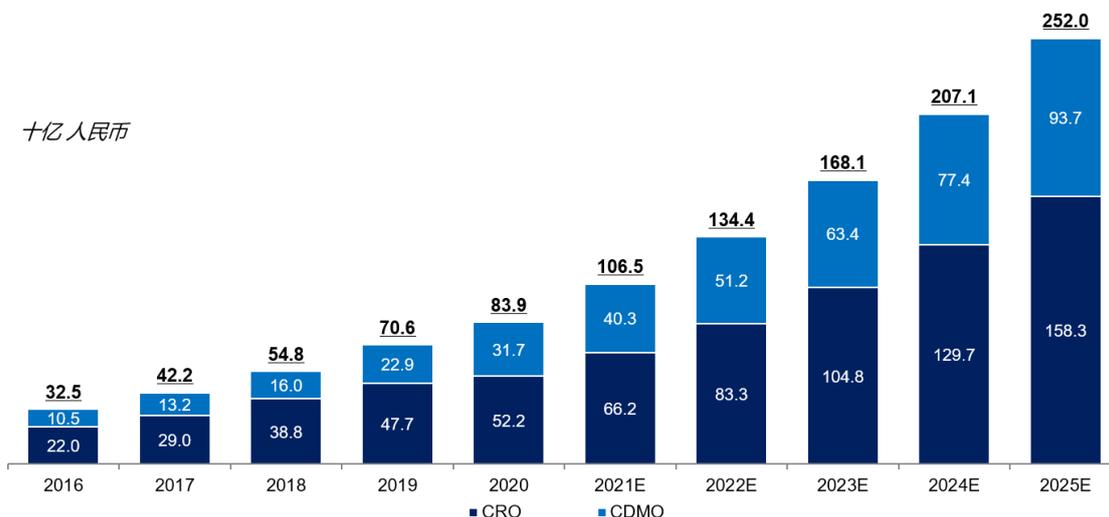
二、 医药研发和生产外包市场研究

1. 中国医药研发和生产外包服务市场规模

医药研发和生产外包服务产业链覆盖医药研发与生产全周期，包括从药物发现到上市后商业化生产的各个阶段。医药研发生产外包服务提供商，主要包括合同研究组织（CRO）和合同开发和制造组织（CDMO），可以为医药行业各个参与者，如不同规模的制药企业、医院等提供研究，CRO 主要服务于药物研发阶段，可提供药物发现、临床前和临床阶段的研究服务，CDMO 主要服务于药物生产阶段，主要提供药物工艺开发、小规模生产以及大规模商业化生产等服务。

我国医药研发和生产外包服务市场规模从 2016 年的 325 亿人民币增长到 2020 年的 839 亿人民币，预计到 2025 年，我国医药研发和生产外包服务市场规模将增长至 2,520 亿人民币。

中国医药研发和生产外包服务市场规模及预测， 2016-2025E



资料来源：上市公司年报，公开资料，专家访谈，弗若斯特沙利文分析

三、 基因治疗合同研究组织（CRO）市场研究

1. 基因治疗 CRO 服务分析

基因治疗 CRO 提供药物发现阶段、临床前研究阶段、临床研究阶段的相关研究服务，其中药物发现阶段主要包括目的基因筛选和确认、目的基因功能研究、载体选择、构建与验证（此服务横跨药物发现阶段与临床前研究阶段）等；临床前研究阶段主要包括动物模型或替代性模型构建、药理药效学研究、药代动力学研究、毒理学研究、概念验证（POC）、风险评估等；临床研究阶段主要包括 I-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。

基因治疗 CRO 服务分析

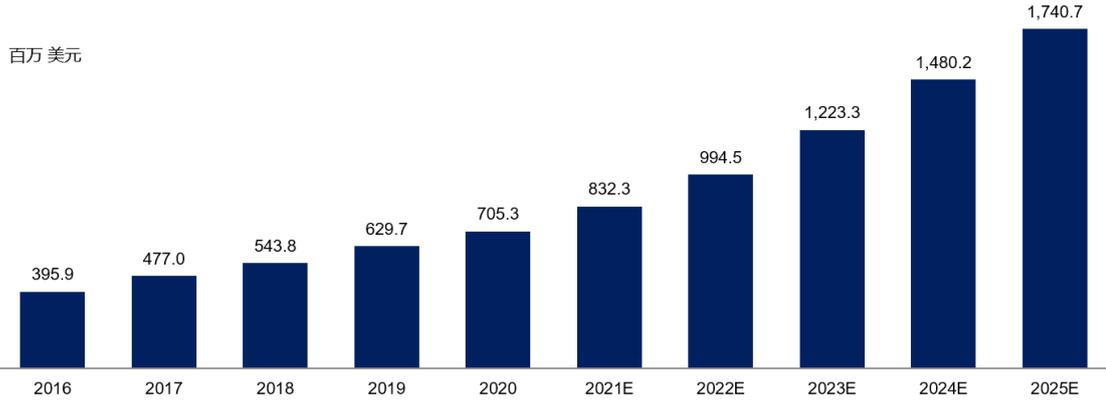


资料来源：弗若斯特沙利文分析

2. 基因治疗 CRO 市场规模

2016 年至 2020 年，全球基因治疗 CRO 市场规模从 4.0 亿美元增长至 7.1 亿美元。随着支持基因治疗以及 CRO 行业的政策相继出台，预计未来全球基因治疗 CRO 市场将持续稳步增长，于 2025 年增至 17.4 亿美元。

全球基因治疗 CRO 市场规模及预测，2016-2025E

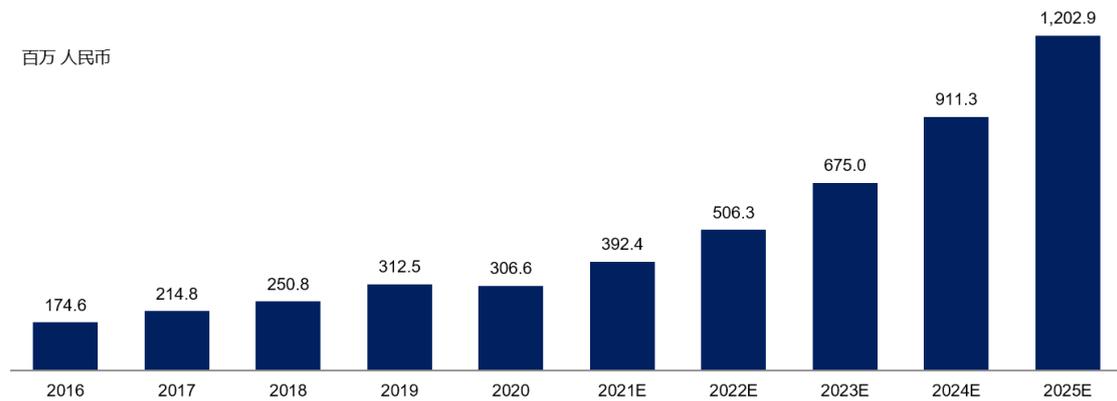


注：此处基因治疗 CRO 市场规模仅包括药物发现和临床前阶段的业务，不包括临床阶段业务

资料来源：上市公司年报，公开资料，专家访谈，弗若斯特沙利文分析

2016 年至 2020 年，中国基因治疗 CRO 市场规模从 1.7 亿人民币增长至 3.1 亿人民币，预计将于 2025 年增至 12.0 亿人民币。

中国基因治疗 CRO 市场规模及预测，2016-2025E



注：1. 此处基因治疗 CRO 市场规模仅包括药物发现和临床前阶段的业务；2. 中国基因治疗 CRO 市场指在中国本土实施 CRO 外包服务的收入，但业务订单来自全球。

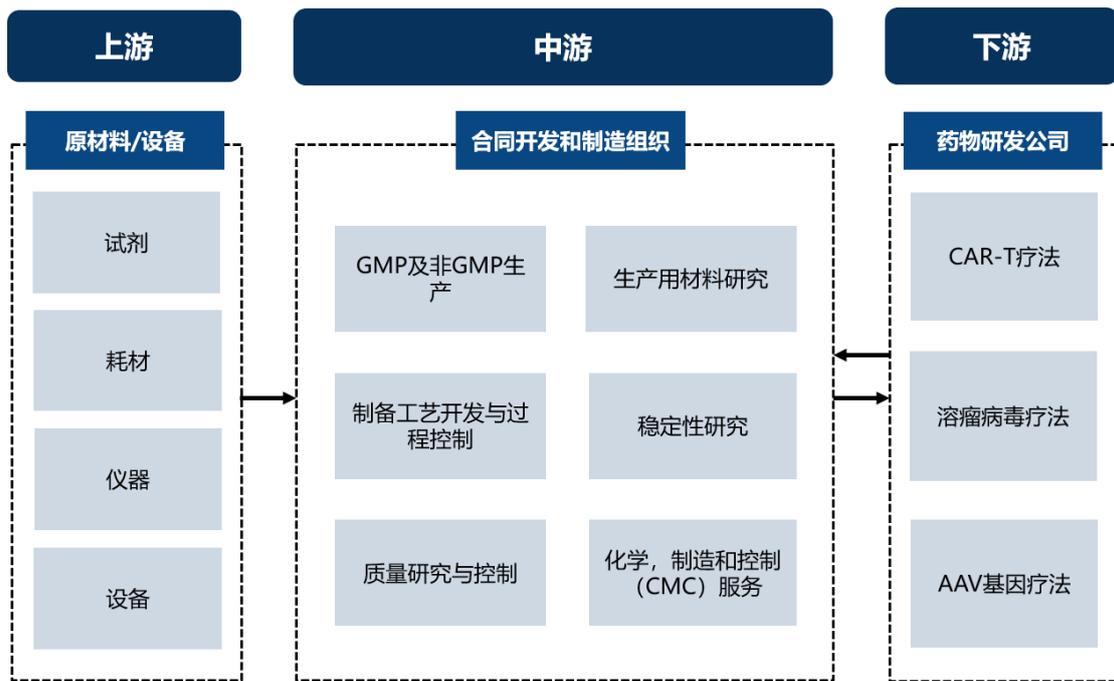
资料来源：上市公司年报，公开资料，专家访谈，弗若斯特沙利文分析

四、 基因治疗合同开发和制造组织（CDMO）服务市场研究

1. 基因治疗产业链概览

中国基因治疗 CDMO 行业发展时间较短，但发展迅速，集原材料及设备供应商、基因治疗开发和制造外包服务提供商，和药物研发公司于一体的基因治疗 CDMO 产业链已基本形成。基因治疗 CDMO 服务商从上游供应企业购买实验设备与试验耗材，为下游的基因治疗药物研发公司提供 GMP 及非 GMP 生产服务、生产用材料研究、制备工艺开发与过程控制等生产相关服务。目前，基因治疗药物研发公司在生产上外包意愿不断增强，在相关利好政策的促进下，逐渐形成了与基因治疗 CDMO 公司良好、长久的合作共赢关系。

基因治疗 CDMO 产业链概览



资料来源：弗若斯特沙利文分析

2. 基因治疗 CDMO 服务分析

基因治疗 CDMO 提供临床前研究阶段、临床研究阶段、商业化生产阶段的相关生产服务，其中临床前研究阶段主要包括生产用材料研究、制备工艺开发与过程控制、稳定性研究、质量研

究与控制等服务；临床研究阶段主要包括临床用产品 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，CDMO 还提供化学，制造和控制（CMC）服务用于支持产品临床研究 and 上市申请。

基因治疗 CDMO 服务分析

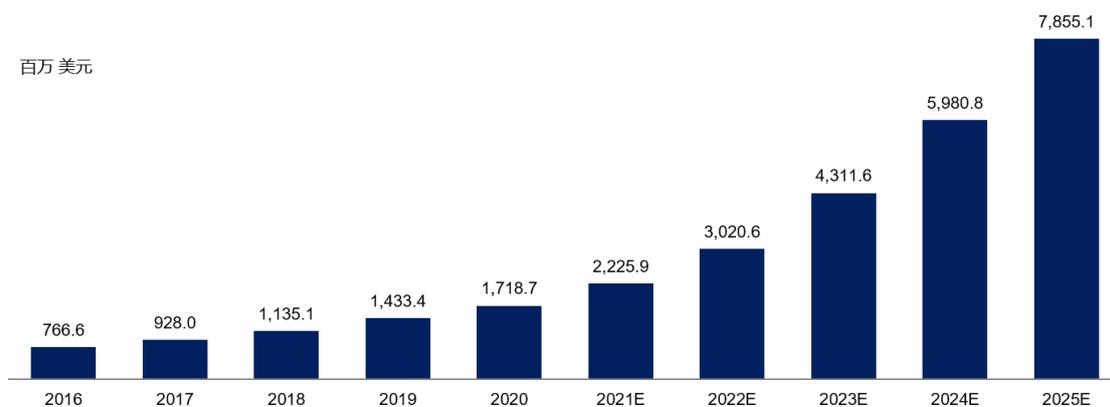


资料来源：弗若斯特沙利文分析

3. 基因治疗 CDMO 市场规模

目前，全球范围内基因治疗的 CDMO 服务都处于萌芽阶段，从 2016 年到 2020 年，市场从 7.7 亿美元增长到 17.2 亿美元。随着基因治疗临床试验的不断开展，预计到 2025 年，全球基因治疗 CDMO 市场规模将达到 78.6 亿美元。

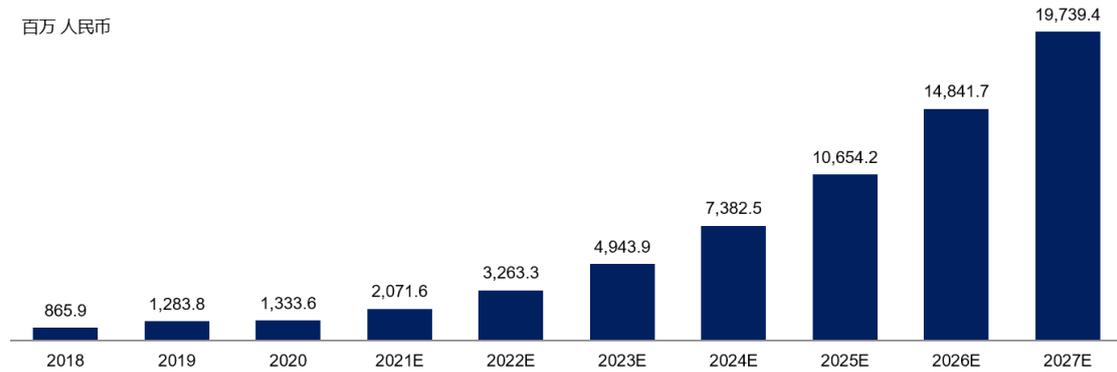
全球基因治疗 CDMO 市场规模及预测， 2016-2025E



资料来源：上市公司年报，公开资料，专家访谈，弗若斯特沙利文分析

纵观全球，中国将是增速最快的基因治疗 CDMO 细分市场，从 2018 年到 2020 年，中国基因治疗 CDMO 市场从 8.7 亿人民币增长到 13.3 亿人民币，预计到 2027 年，市场规模将达到 197.4 亿人民币。

中国基因治疗 CDMO 市场规模及预测， 2018-2027E



注：中国基因治疗 CDMO 市场指中国企业在全球范围实施 CDMO 外包服务产生的收入，业务订单来自全球

资料来源：上市公司年报，公开资料，专家访谈，弗若斯特沙利文分析