

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。

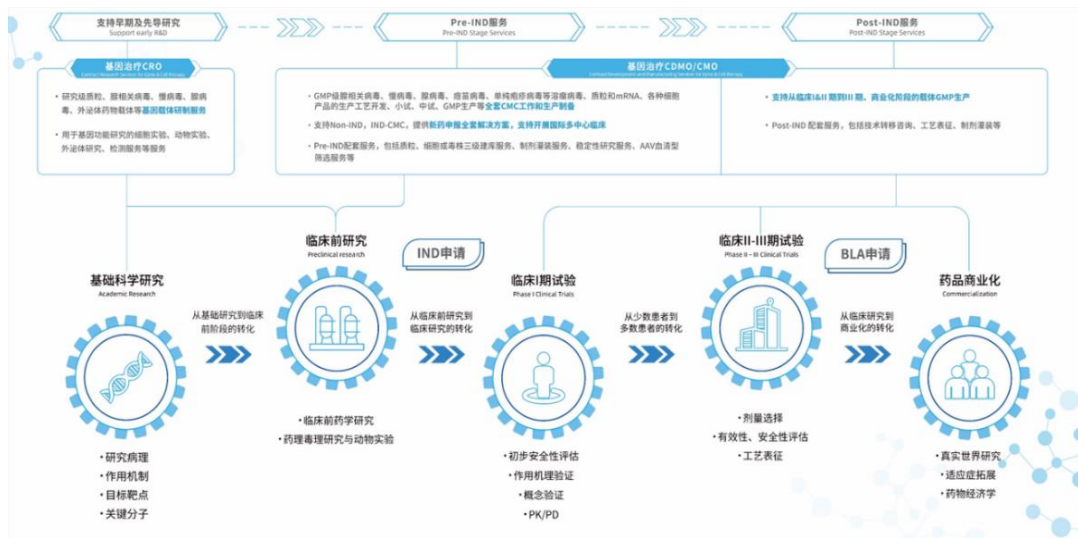


图 1、公司主营业务介绍图

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

业务类别	服务类型	具体服务	说明
	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 (r/r 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。

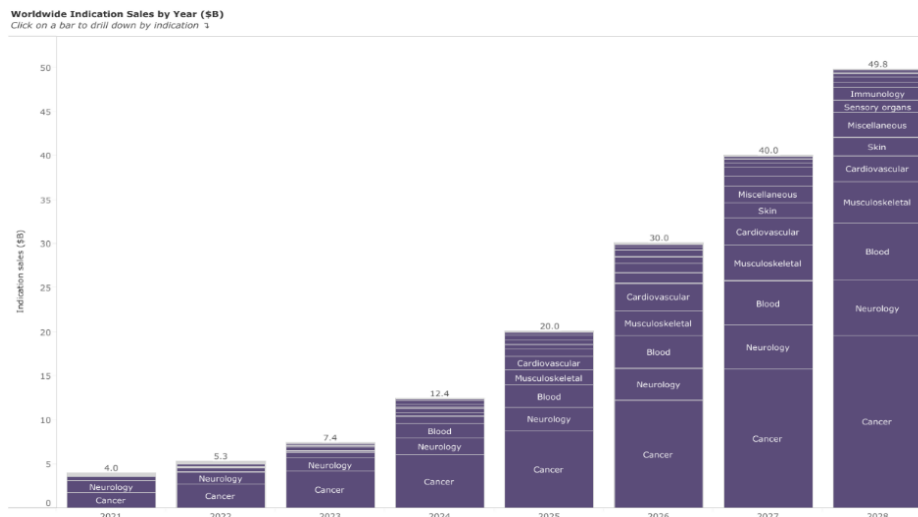


图 2、全球基因和细胞治疗领域产品销售额预期（数据来源：Evaluate 数据库）

（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。

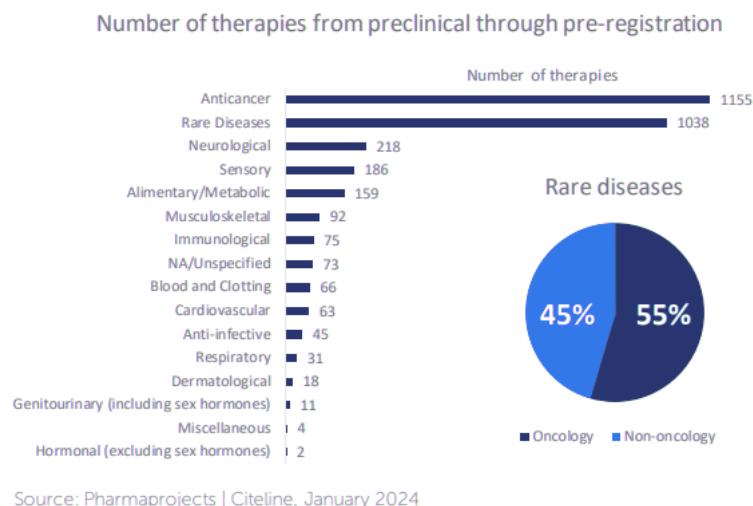


图 3. 基因治疗产品管线适应症分布（数据来源：ASGCT）

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 γ δ T、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，CG Oncology 宣布溶瘤病毒 CG0070 治疗高危、卡介苗治疗不响应非肌肉侵袭性膀胱癌（NMIBC），CG0070 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，产品种类繁多，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

研院所和基因治疗开发公司的基因治疗先导研究。

公司积极拓展基因治疗 CRO 服务，在研究级基因递送载体生产服务和基因功能研究服务方面持续扩大客户群体。截至 2023 年末，累计服务 10,000+家研发实验室客户，较截至 2022 年年末累计数增长超过 20%，在该领域的市场覆盖率不断扩大，进一步巩固了公司的行业地位。

(2) 细胞与基因治疗 CDMO 服务领域

细胞与基因治疗 CDMO 服务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工艺开发和生产服务，是解决基因治疗载体生产难题的核心供应环节。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级样品的 GMP 生产服务；商业化生产阶段主要包括大规模 GMP 生产服务等。

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、细胞治疗产品、质粒及 mRNA 产品等多个领域。公司已累计承接细胞与基因治疗 CDMO 项目数量超过 330 项，服务经验位居国内行业前列。同时，公司积极开拓海外市场，通过行业展会、客户拜访、学术演讲不断扩大公司在美国的行业影响力，为公司的全球化布局打下基础。报告期内，公司 CDMO 业务位于国内行业细分领域第一梯队。

2.2 基因治疗 CRO/CDMO 服务市场变化情况

提供研发和生产外包服务（CRO/CDMO）的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。在基因和细胞治疗领域，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，基因和细胞治疗 CRO/CDMO 的全方位、高水准的服务及产能需求旺盛。

(1) 全球资本市场逐步回暖

根据医药魔方报告，截至 2023 年 12 月，全球创新药融资事件及融资总额逐步回暖，整体呈现一定的复苏迹象。但是从月度融资事件、融资金额来看，中国区域的创新药融资仍处于低位。

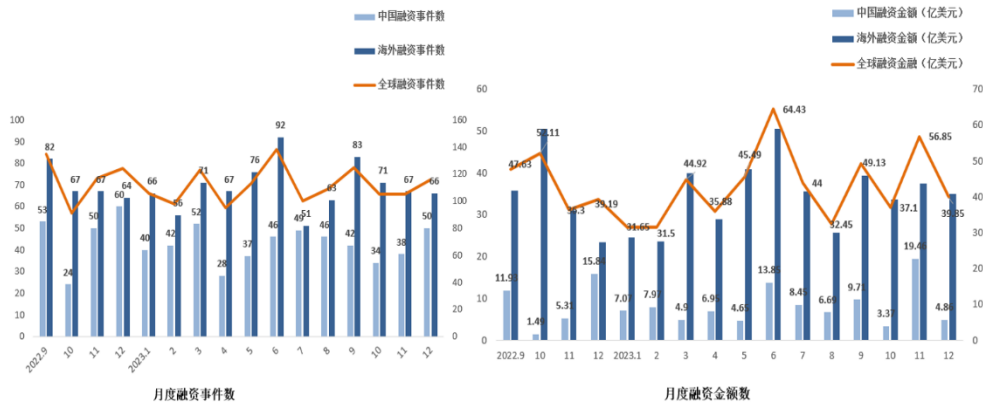


图 4. 创新药领域融资时间及金额月度趋势统计（数据来源：医药魔方）

此外，根据 BioWorld 统计，2023 年全球生物医药基金的规模较 2022 年存在一定提升，尤其后续融资（follow-ons）的规模有明显提升。资金水平的回暖为生物医药产业的长期发展奠定了良好基础，整个行业有望在 2024 年-2025 年迎来更多机遇。

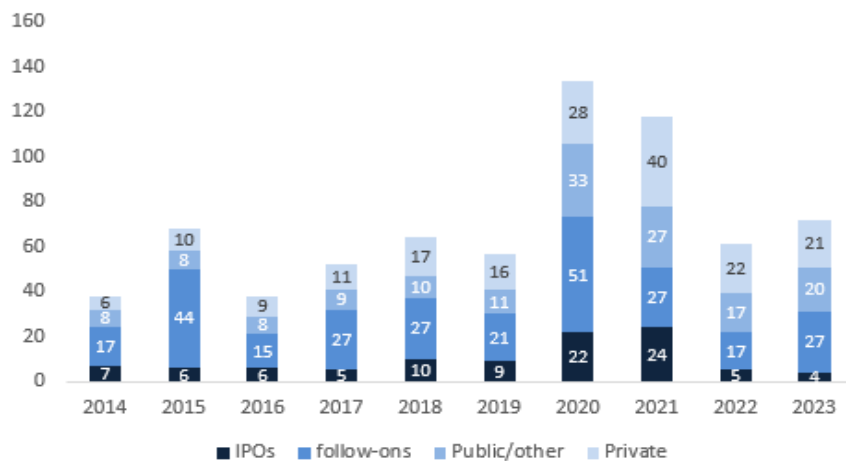


图 5. 2023 年全球生物医药基金不同阶段的规模（数据来源：BioWorld）

(2) 全球范围内生物医药领域并购交易增加

近年来在大量生物技术公司估值触底的契机下，制药界并购交易的步伐正在加快，大型制药

企业正在经济低迷时期持续储备和扩充优质药物研发管线，完善卓有潜力的新兴技术布局，客观上亦提升了基因治疗领域的资产价值。根据 IQVIA Institute for Human Data Science 的数据，在生物医药产业并购（M&A）支出方面，2023 年已达到 890 亿美元，较 2022 年超过 100 亿美元。并购交易的数量也由 2022 年的 114 件上升为 2023 年的 136 件，增幅近 20%。

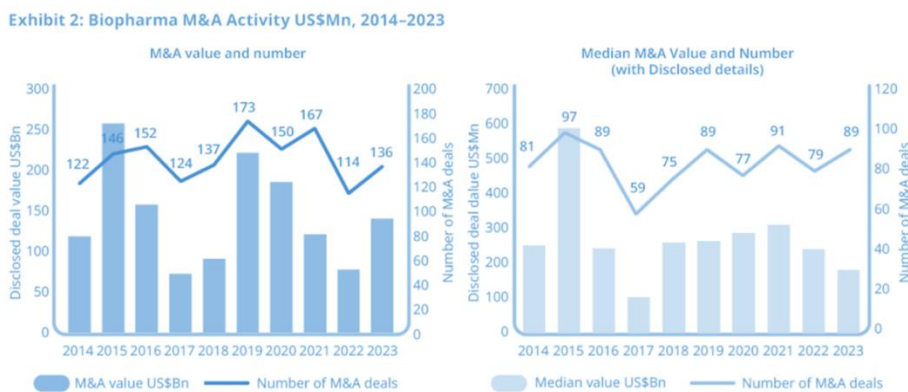


图 6. 生物医药产业并购（M&A）支出方面及并购交易数量

（数据来源：IQVIA Institute for Human Data Science）

大型药企亦持续增强基因与细胞治疗领域布局，如：2023 年 5 月，强生旗下杨森公司与西比曼生物科技（CBMG）达成全球合作和许可协议，获得西比曼双特异性 CAR-T 疗法管线；2023 年 6 月，阿斯利康通过合作授权方式，引入 Quell Therapeutics 针对 I 型糖尿病/炎症性肠病（包括克罗恩病）的 Treg 细胞治疗疗法；礼来收购糖尿病细胞疗法公司 Sigilon，获得其在各种急性和慢性疾病细胞疗法开发领域的管线等。2023 年 12 月，阿斯利康宣布与亘喜生物（Gracell Biotechnology）达成收购协议，为阿斯利康公司不断扩充的细胞治疗管线增加了基于 FasTCAR 技术平台核心管线。

大型药企对创新生物技术公司的并购为生物技术公司的研发带来更多的退出选择，将有助于激活创新药物研发热情。

（3）基因和细胞治疗 CRO 市场多集中于临床前及更早期研究

基因和细胞治疗 CRO 服务覆盖药物发现、临床前研究、临床研究阶段等实验服务，以及基因递送载体制备服务。鉴于基因和细胞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、基因和细胞治疗开发公司。根据弗若斯特沙利文最新的分析报告，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，年复合增长率为 16%；预计于 2025 年增至 34.3 亿美元，于 2030 年有望突破 70 亿美元的规

模。



图 7. 全球基因载体 CRO 市场规模及预测 (数据来源: 弗若斯特沙利文)

(4) 基因和细胞治疗 CDMO 市场规模持续增长但面临更多挑战

基因和细胞治疗 CDMO 服务提供基因和细胞治疗产品的工艺开发和 GMP 生产服务,是解决基因和细胞治疗载体生产难题的核心环节。全球范围内,欧美发达地区的基因和细胞治疗 CDMO 行业发展相对成熟,参与者主要包括 Lonza、Catalent、Oxford BioMedica、Fujifilm 等。国内基因和细胞治疗 CDMO 行业处于发展初期,近年来加快成长,市场规模快速扩大。在资本大量投入早期创新项目的前提下,初创企业工艺和生产能力不足的问题凸显,大量创新产品需要 CDMO 企业完成药物生产的关键环节,市场需求将持续扩大。

根据弗若斯特沙利文最新的分析报告,基因和细胞治疗 CDMO 服务市场规模持续增长,2017年至2021年,全球基因和细胞治疗 CDMO 行业的市场规模从 10.3 亿美元增长到 27 亿美元,年复合增长率达 27.3%;预计到 2025 年,全球基因和细胞治疗 CDMO 市场规模将达到 78.7 亿美元,2020年至 2025 年的年复合增长率将高达 30.7%,并将有望在 2030 年达到 190 亿美元的全球市场规模。

全球基因载体CDMO市场规模及预测，2017-2030E

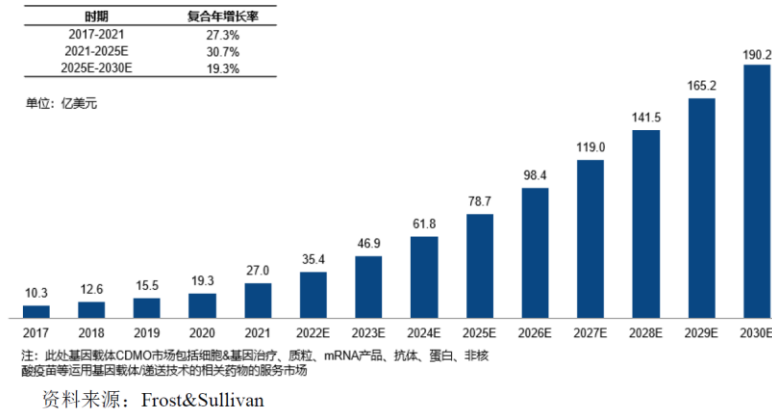


图 8. 全球基因载体 CDMO 市场规模及预测（数据来源：弗若斯特沙利文）

基因和细胞治疗 CDMO 服务市场前景总体向好的同时，国内行业领域也面临着竞争加剧。一方面，产能供给端继续发展，据不完全统计，截至 2023 年，国内已披露的 CDMO 企业公司超过 35 家；另一方面，由于 PE/VC 投资近年来趋于保守化，其投向创新疗法的力度减弱，导致下游基因治疗药物管线推动放缓，短期内出现基因治疗行业 CDMO 产能相对过剩情况，使 CDMO 公司在项目定价、交付条件等方面面临更为苛刻的挑战。

（5）医药开发外包服务领域细分化

目前行业中的医药外包服务涵盖了药品开发全生命周期的每个阶段，除了研发阶段 CRO 服务、临床前 CRO 服务、药物 CMC 研究及生产 CDMO、商业化生产 CMO 等，依据基因与细胞治疗企业需求，专业化分工更加细致深入。

根据 2023 年 CRB 调研数据显示，生命科学领域企业针对自身企业运营能力的差异，有不同方面的更细化的外包需求，例如 GMP 厂房租赁服务、工艺开发服务、注册法规咨询服务及 QC 检测服务等。这也促使更多 CXO 企业针对上下游产业链拓展更深入细致的细分领域服务能力，例如在细胞与基因治疗药物质量控制、评估、检测市场需求不断扩大的驱动下，检测服务行业需求旺盛，许多 CDMO 企业积极布局 CDTMO（合同检测、研发和生产）业务模式，同时也涌现出大量第三方检测机构。

FIGURE 2.5
Does your site contract any of the following support services to supplement the operations for your company?



图 9. 生命科学领域企业不同的外包需求统计（数据来源：CRB）

3. 报告期内新技术、新产业、新业态、新模式的发展情况和未来发展趋势

作为生物医药领域最前沿的方向，基因治疗的技术持续发展。报告期内原有技术不断发展，新技术迭代迅速。值得关注的重要趋势如下：

3.1 新技术和发展趋势

（1）病毒载体开发

病毒载体技术方面，随着人们对基因治疗药物临床试验的理解加深，越来越多的基因药物需要更高效、更低毒性、更强靶向性的载体。因此，在载体开发领域的技术革新将是基因治疗领域技术发展的重心之一。

报告期内，全球细胞与基因治疗行业对“基于突变筛选技术的AAV发现”继续投入热情，借助在非人灵长类动物的大规模筛选，人们期望寻找特异性靶向中枢神经系统（通过静脉注射跨血脑屏障）、靶向骨骼肌、心肌、视网膜、肝脏、肾脏的候选新AAV病毒载体，以提升药物的临床可及性。同时，借助人工智能或计算机模拟算法的技术，大量公司布局“AI+BT”（“人工智能+生物技术”）尝试加速病毒载体筛选效率，不停寻求更好的基因治疗载体。

（2）病毒载体生产工艺

病毒载体的大规模生产工艺开发是基因治疗产品生产的核心，其中在生产细胞培养、病毒纯化两大主要环节均要求更先进的工艺。在细胞培养工艺开发中，细胞与基因治疗行业致力于提升多种不同方式的大规模细胞培养工艺开发能力。报告期内，大规模固定床生产工艺、ATF灌注培养生产工艺均有较好的应用。同时，不同病毒生产体系被应用到病毒载体生产中，如SF9昆虫杆状病毒生产系统、稳定细胞株生产系统等。此外，对于高产细胞株的开发也成为行业竞相努力的方向。

在大规模生产技术方面，基于“一次性工艺”的GMP生产平台仍将是主流发展趋势，现阶段“一

次性工艺”技术面临的如超过1000L的大规模一次性工艺病毒生产瓶颈亦将得到突破，从而优化基因药物生产效率。

（3）非病毒载体开发

近年来，由于mRNA疫苗的开发应用，人们对非病毒载体（如脂质纳米粒（Lipid Nanoparticle, LNP）、质粒等）的理解逐渐增多，非病毒载体的开发也成为报告期内的一个重要技术发展趋势之一。根据美国基因和细胞治疗协会（ASGCT）联合Citeline发布的“Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape: Q4 2023 Quarterly Data Report”报告显示，全球范围内的mRNA产品管线截止2023年已快速增长超过350个以上，其中33%占比管线进入临床研究阶段。除了预防性疫苗领域的成功应用，mRNA在治疗性疫苗及基因治疗领域也得到了大量关注。例如Moderna在2023年美国基因细胞治疗学会（ASGCT）年会上报告其用于治疗丙酸血症（PA）的在研mRNA-3927疗法的临床I/II期试验中期数据。该试验是首个关于mRNA内源性蛋白替代治疗的临床试验。

除mRNA疫苗及药物外，外泌体研究领域在近年来也处在蓬勃发展阶段。2022年5月，国家发改委印发《“十四五”生物经济发展规划》，外泌体治疗首次进入国家经济发展规划行列。在政策支持及指导下，外泌体由基础研究向产业技术开发的转换正在成为目前行业热点之一。随着对外泌体的深入了解，其临床应用越来越受到关注。近年来，关于外泌体递送药物的研究逐渐增多，一些小分子化学药物及基因药物等已被成功载入外泌体，在神经系统疾病尤其是脑部疾病及肿瘤等的治疗中表现出巨大的潜力。

（4）免疫细胞疗法

根据IQVIA Institute for Human Data Science的数据统计，在2023年共有631项细胞与基因疗法相关临床试验开展，其中CAR-T疗法为主要模式，占了39%，而包含自然杀伤（NK）、T细胞受体（TCR）与肿瘤浸润淋巴细胞（TIL）的其他免疫细胞疗法则占比12%。同时，细胞治疗产品开发也从过去集中CD19等热门靶点，转变为多个不同高潜力靶点开发，也在结合基因编辑技术等前沿技术创造了多款First-in-class产品。同时，细胞免疫疗法在癌症领域的成功也逐渐带动其在其他领域的应用，例如自身免疫领域，包括系统性红斑狼疮（SLE）、特发性炎症性肌炎（IIM）和系统性硬化症（SSc）难治性患者等。

近年来，陆续上市的CAR-T产品主要为自体CAR-T产品，个体化产品高成本的生产费用及定价使得缩短制备时间、降低成本，进一步增加CAR-T等细胞疗法的可及性日渐成为领域内的一大共识。开发通用型平台技术成为提高CAR-T药物可及性的一种方式，也是当前CAR-T领域的一大焦点。

此外，免疫细胞疗法在抗衰老领域的应用也逐渐受到研究者的关注。衰老是导致许多慢性疾

病的主要危险因素，如心血管疾病、癌症、阿尔茨海默症和其他与衰老有关的神经性退行性疾病。近年来，许多研究证实了NK细胞在衰老细胞免疫监视中发挥重要作用，NK细胞能够快速识别和清除衰老和凋亡细胞，从而改善和维护机体内部环境的稳定性。越来越多的动物和临床数据也证明了NK细胞免疫疗法在抗衰老领域具有巨大的应用潜力。

（5）基因编辑造血干细胞疗法

细胞与基因治疗产品的重要的技术基础主要包括基因编辑技术（如CRISPR/Cas9）和递送系统技术（病毒载体、非病毒载体）。在细胞与基因治疗领域中最常见的基因编辑技术的应用即基因编辑细胞疗法，其中基因编辑造血干细胞赛道近年来发展迅速。2023年11月，英国批准了由CRISPR Therapeutics和Vertex Pharmaceuticals联合开发的全球首款基因编辑疗法Casgevy上市。该疗法采用CRISPR/Cas9技术，旨在治疗12岁及以上的患有镰状细胞病（SCD）伴复发性血管闭塞危象（VOCs）的患者，以及无法接受人类白细胞抗原（HLA）匹配造血干细胞移植治疗的输血依赖型β-地中海贫血（TDT）患者。

（6）干细胞疗法

与竞争激烈的免疫细胞疗法领域相比，干细胞领域正处于蓄势待发的阶段。干细胞市场具有巨大的发展潜力，根据QYResearch的研究数据，预计2020年至2026年期间，中国干细胞医疗产业市场规模将以复合增长率约为15%的速度增长，到2026年，中国的干细胞医疗产业市场规模将达到325亿元。这意味着在未来几年，中国的干细胞医疗产业市场规模在全球市场中所占比重将进一步上升。其中，特别需要注意的是间充质干细胞MSCs产品的发展，目前全球共有10余款MSCs产品上市，其应用领域包括但不限于神经系统、分泌系统、心血管系统、泌尿系统、免疫系统、肝病、肾病、骨骼疾病和抗衰老等方面。

干细胞疗法作为一项新兴的技术，需要进行强有力的监管，在保证患者健康的同时，利于推动整个行业的健康发展。一方面，近年来针对干细胞产品的法规及相关标准逐步完善，2022-2023年间，我国相继颁布了《细胞治疗产品生产质量管理指南（试行）》《“干细胞研究与器官修复”重点专项2022年度项目申报指南（征求意见稿）》《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）》等多条法规，对干细胞产品的临床试验、质量管理、生产管理、临床应用（如干细胞与器官衰老、新型冠状病毒肺炎、心血管功能重塑）等方面，进行了更加规范的管理。另一方面，更多的干细胞研发企业也逐渐认识到在药物开发及生产过程中质量及合规的重要性，更加注重药品研究与生产的合规性，并积极需求高质量高标准的CDMO合作伙伴。

3.2 行业 and 产业发展趋势

（1）药企持续布局基因治疗领域

报告期内，全球多款基因治疗药物获批上市，给基因治疗的产业化、商业化前景带来成功经验的同时，也给药企布局基因治疗领域带来重组信心。根据CRB机构2022年的调研报告显示，被调的500家生物技术公司中，76%的公司在未来三年内会布局基因修饰细胞治疗和再生医学，超过抗体药物、ADC药物、RNA药物的布局比例；同时，61%的公司会在未来三年布局基因治疗领域，而目前进行基因治疗的公司仅为46%。大量公司进入基因治疗领域是行业发展的重要趋势。

（2）基因治疗 CDMO 市场规模及渗透率进一步提高

随着大量基因治疗临床试验开展与推进，预计获FDA、EMA、NMPA批准的药物预计将不断增加，基因治疗市场有望在未来15-20年高速增长，并成为主要的创新药细分领域之一。在上述因素的带动下，细胞与基因治疗行业对以临床级生产工艺开发和GMP生产为核心的CDMO服务需求和依赖程度将持续上升，从而带动基因治疗CDMO市场规模及渗透率的进一步提高。

（3）全球基因治疗 CDMO 产能进一步向亚太地区转移

近年来，随着基础科研水平的进步、基因治疗研发能力的总体上升、研发投入的持续增加，以中国、日本为代表的亚太地区逐步发展为主要的基因治疗药物研发生产中心之一，且有望凭借日益加快的产能建设、专业化综合制药人才的供给、高效的项目交付能力，加速全球基因治疗CDMO产能进一步向亚太地区转移，从而成为最重要的基因治疗产业聚落之一。

（4）关键设备和材料的国产化程度将持续提高

基因治疗载体工艺开发及GMP生产的过程控制极为严苛，所需的关键生产设备和关键试剂耗材目前主要由欧美等发达国家供应，核心环节的国产化率较低。但随着国内基因治疗CDMO行业的发展，为更好地控制生产成本、提高技术安全性、降低供应链被欧美“卡脖子”的风险，CDMO企业通过开展设备和材料相关的技术工艺创新，从而逐步实现关键物料和设备的国产化，将成为行业的长期发展趋势，产业链国产化程度将持续提高。

3.3 新业态和新模式发展趋势

基于基因治疗领域药物开发与基础研究的密切联系，科研成果孵化将持续成为行业发展的推动因素。报告期内，随着国家“十四五”技术要素市场专项规划的出台，从科研成果所有权转化，到支持科研人员兼职离岗创新创业，行业有望迎来越来越多的初创企业和创新技术，从实验室成果到商业化的一站式服务能力将越来越多受到行业青睐，推动行业共同发展。

3 公司主要会计数据和财务指标

3.1 近3年的主要会计数据和财务指标

单位：元 币种：人民币

	2023年	2022年	本年比上年 增减(%)	2021年
总资产	2,603,492,225.50	2,496,470,674.55	4.29	1,266,860,851.15
归属于上市公司股东的净资产	2,058,243,425.09	2,171,702,446.27	-5.22	917,939,897.32
营业收入	204,805,008.26	291,304,276.50	-29.69	254,949,056.32
扣除与主营业务无关的业务收入和不具备商业实质的收入后的营业收入	204,047,866.77	289,307,332.66	-29.47	254,550,020.74
归属于上市公司股东的净利润	-127,938,329.85	39,256,458.01	-425.90	54,530,572.01
归属于上市公司股东的扣除非经常性损益的净利润	-133,548,885.73	35,507,962.99	-476.11	45,106,066.09
经营活动产生的现金流量净额	-90,121,816.60	21,424,252.98	-520.65	109,308,474.10
加权平均净资产收益率(%)	-6.05	2.13	减少8.18个百分点	6.19
基本每股收益(元/股)	-0.199	0.065	-406.15	0.102
稀释每股收益(元/股)	-0.199	0.065	-406.15	0.102
研发投入占营业收入的比例(%)			增加12.90个百分点	

3.2 报告期分季度的主要会计数据

单位：元 币种：人民币

	第一季度 (1-3月份)	第二季度 (4-6月份)	第三季度 (7-9月份)	第四季度 (10-12月份)
营业收入	30,791,377.00	52,959,613.53	53,243,301.82	67,810,715.91
归属于上市公司股东的净利润	-31,743,281.26	-13,054,610.51	-26,301,678.77	-56,838,759.31
归属于上市公司股东	-32,974,376.13	-16,498,573.97	-29,088,687.39	-54,987,248.24

的扣除非经常性损益后的净利润				
经营活动产生的现金流量净额	-32,994,071.49	-30,145,058.15	-16,081,597.36	-10,901,089.60

季度数据与已披露定期报告数据差异说明

适用 不适用

4 股东情况

4.1 普通股股东总数、表决权恢复的优先股股东总数和持有特别表决权股份的股东总数及前 10 名股东情况

单位：股

截至报告期末普通股股东总数(户)	13,563
年度报告披露日前上一月末的普通股股东总数(户)	12,460
截至报告期末表决权恢复的优先股股东总数(户)	
年度报告披露日前上一月末表决权恢复的优先股股东总数(户)	
截至报告期末持有特别表决权股份的股东总数(户)	
年度报告披露日前上一月末持有特别表决权股份的股东总数(户)	

前十名股东持股情况

股东名称 (全称)	报告期内 增减	期末持股 数量	比例 (%)	持有有限 售条件股 份数量	包 含 转 融 借 出 股 份 的 限 售 股 份 数 量	质押、标记或 冻结情况		股东 性质
						股份 状态	数量	
潘讴东	28,339,740	122,805,540	18.97	122,805,540		无	0	境内 自然 人
上海檀英投资合 伙企业(有限合 伙)	8,097,180	35,087,780	5.42	0		无	0	其他
上海张江科技创 业投资有限公司	5,354,034	23,200,813	3.58	0		无	0	国 有 法人
浙江华睿盛银创 业投资有限公司	1,950,545	19,672,145	3.04	0		无	0	境内 非 国 有 法 人

上海正心谷投资管理有限公司—上海乐永投资合伙企业（有限合伙）	3,744,000	16,224,000	2.51	0		无	0	其他
林芝腾讯科技有限公司	277,010	15,387,010	2.38	0		无	0	境内非 国有法 人
上海晨山投资管理有限公司	2,105,356	12,505,356	1.93	0		无	0	境内非 国有法 人
沈燕飞	10,562,500	10,562,500	1.63	0		无	0	境内自 然人
王富杰	2,135,640	9,254,440	1.43	9,254,440		无	0	境内自 然人
上海张江火炬创业投资有限公司	2,035,800	8,821,800	1.36	0		无	0	国有法 人
上述股东关联关系或一致行动的说明				1、王富杰系潘讴东的一致行动人；2、上海檀英投资合伙企业(有限合伙)与上海乐永投资合伙企业（有限合伙）的基金管理人均为上海正心谷投资管理有限公司，存在关联关系；3、公司未知其余上述股东之间是否存在关联关系或一致行动人的情况。				
表决权恢复的优先股股东及持股数量的说明				无。				

存托凭证持有人情况

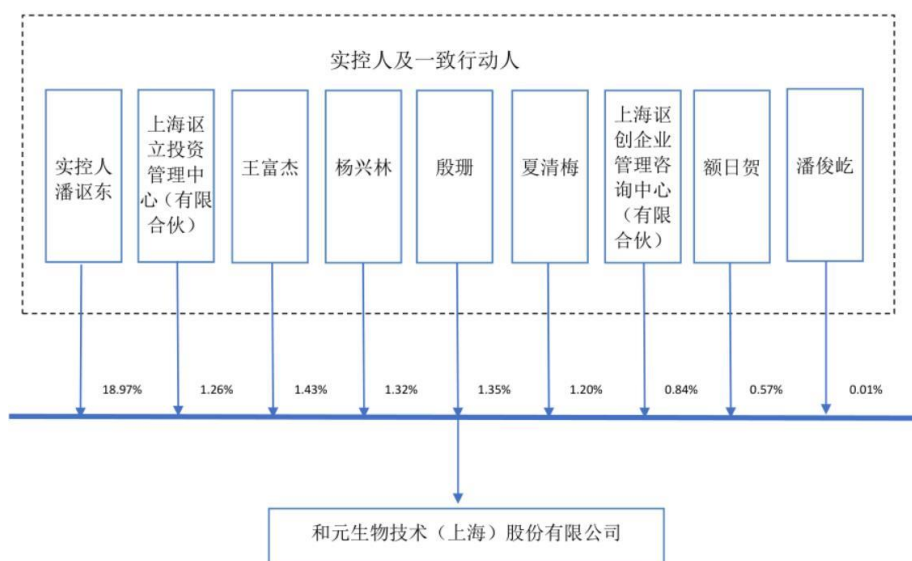
适用 不适用

截至报告期末表决权数量前十名股东情况表

适用 不适用

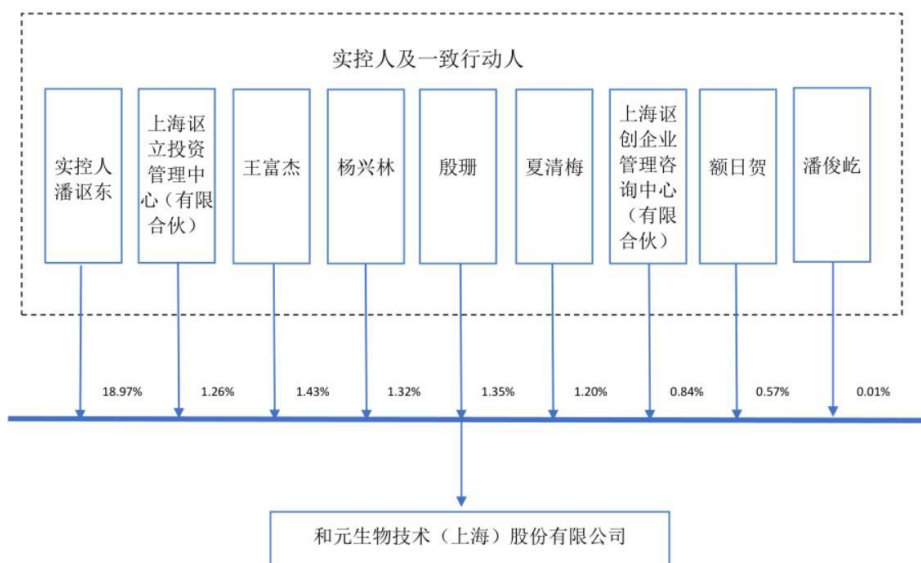
4.2 公司与控股股东之间的产权及控制关系的方框图

适用 不适用



4.3 公司与实际控制人之间的产权及控制关系的方框图

适用 不适用



4.4 报告期末公司优先股股东总数及前 10 名股东情况

适用 不适用

5 公司债券情况

适用 不适用

第三节 重要事项

1 公司应当根据重要性原则，披露报告期内公司经营情况的重大变化，以及报告期内发生的对公司经营情况有重大影响和预计未来会有重大影响的事项。

报告期内，公司实现营业收入 20,480.50 万元，同比下降 29.69%；实现归属于母公司所有者的净利润-12,793.83 万元，同比下降 425.90%；实现归属于母公司所有者的扣除非经常性损益的净利润-13,354.89 万元，同比下降 476.11%。

2 公司年度报告披露后存在退市风险警示或终止上市情形的，应当披露导致退市风险警示或终止上市情形的原因。

适用 不适用