

质量跃迁、结构优化与创新生态构建：医药制造行业 技术要素对信用质量的影响分析（上篇）

工商企业评级部 朱侃 翁斯喆 李雨聪

摘要：

当前我国经济结构和产业发展正处于新旧动能转换的关键时期，国内医药制造业正经历从“规模扩张”到“价值创造”的深刻变革，在政策、技术、资本的多重要素驱动下，行业格局加速分化，头部企业凭借创新与国际化能力抢占制高点，中小型企业通过专业化、差异化生存，落后产能持续出清。

技术要素对医药制造企业信用质量的影响呈现“双刃剑”特征：一方面，高强度研发投入和技术创新可提升产品竞争力、优化财务结构，进而增强信用质量稳定性；另一方面，技术转型的巨额投入和政策适配风险可能短期内削弱盈利表现。评级机构更为关注企业技术储备和研发管线的商业化潜力，以及技术赋能下的产品创新价值，而非短期财务波动。但企业仍应重视长期收益与短期压力的平衡。未来随着 AI 技术、个体化医疗等领域的突破，技术领先型企业将更易获得资本市场的认可，而技术滞后企业将处于劣势地位，需警惕信用质量弱化风险。

我们认为，研发强度与产品竞争力、创新能力与技术壁垒、资本补充能力以及高素质的专家团队是医药制造行业转型升级的核心驱动力。未来，医药制造行业需进一步强化基础研究、优化区域协同、突破技术壁垒，以实现从“中国制造”到“中国智造”的跨越。

并购家 免费行业报告网

IPOIPO.CN 每日更新 不用注册会员 无广告 永久免费

一、国内医药制造行业转型升级特征

近年来，国内医药制造业在政策引导、技术创新、市场需求等多重因素驱动下，加速推进转型升级，形成以创新为核心、数字化为支撑、国际化与区域协同并进的新格局。行业向高质量、高附加值方向演进，产业发展内生动力不断增强，企业竞争分化逐步加大，具备技术创新能力的行业头部企业竞争优势得到增强，技术落后和环保不达标产能持续出清。

政策驱动方面，2021 年以来国家出台《“十四五”医药工业发展规划》和《“十四五”生物经济规划》，明确支持创新药研发、高端医疗器械国产替代及中药现代化，通过税收优惠、产业基金等方式鼓励企业加大研发投入。2024 年上海市发布《浦东新区综合改革试点实施方案》，提出建立生物医药协同创新机制，允许创新药参照国际定价，加速创新成果转化。政策兼顾监管优化和市场规范并重，药品审评审批流程进一步简化，第二类医疗器械注册标准和审评尺度统一化，湖南等地通过优先审批通道加速创新产品上市。全国范围内开展“四同药品价格治理”和集中采购扩面（如第十批胰岛素专项接续采购），集采政策从“唯低价中标”转向强化质量评估，倒逼企业提升研发能力和产品合规性。

技术赋能方面，创新药研发取得突破，国产创新药企业通过差异化竞争和国际化合作，加速布局肿瘤、免疫等领域。2024 年医保目录调整优先纳入临床价值高的国产新药，推动销售放量。中药现代化进

程加快，湖南省发布 275 个中药配方颗粒标准，支持“养血祛风止痛颗粒”等中药 1 类新药转化上市，推进中药材 GAP 示范建设。数字化和智能制造升级，制药装备行业受益于政策扶持和医疗设备更新需求（2024 年上报设备更新超 200 亿元），推动智能化生产线、连续制造技术应用，提升生产效率与质量控制水平。企业通过 AI 辅助药物筛选、区块链追溯系统等数字化工具优化研发与供应链管理，加速“智改数转”。

区域协同与产业集群发展方面，东部沿海地区（如上海、广东）依托人才与技术优势，聚焦高端化药与生物药研发；中西部地区（如湖南、云南）发力中药与医疗器械特色产业。湖南省承接大湾区医疗器械产业转移，吸引近百家珠三角企业落户，形成生物医药产业集群，并通过“园区专班”模式提供全流程政策支持；长三角形成以上海张江、苏州 BioBAY 为核心，聚焦创新药与高端医疗器械，形成“研发-临床-制造-商业化”闭环生态；珠三角依托广州国际生物岛、深圳坪山园区，发展基因测序、AI 医疗设备，国产 CT、MRI 设备市场份额提升至 28%；成渝地区以中药现代化为特色，推进中药材标准化种植（如四川川芎基地）与智慧中药房建设。

结构优化与国际化方面，医药外包行业全球化布局，药明生物、康龙化成等企业通过海外建厂承接全球订单，2023 年 CXO 行业营收同比呈现高增长。原料药行业向 CDMO 升级，九洲药业、普洛药业从低端原料药转向高附加值 CDMO 服务，毛利率提升至 40% 以上。国际化深度合作方面，企业通过海外并购（如复星医药）、设立海外

研发中心等方式拓展国际市场，同时借助 RCEP 等贸易协定降低进出口壁垒，提升全球竞争力。

绿色发展与 ESG 转型方面，多地出台环保限产政策，淘汰高污染、低效产能。行业加大环保投入，推广绿色原料药生产技术，部分企业因环保不达标被淘汰，推动产业结构优化。依托长三角 G60 科创走廊、京津冀生物医药集群等区域规划，通过整合上下游资源，降低能耗与成本，各地医药产业园区实现集约化发展。

总体看，医药制造行业转型升级带来行业格局的重塑与挑战：一方面，集采常态化政策影响下，化药、中成药、医疗器械等领域集采扩面，企业竞争压力加大，市场份额向规模化、成本控制能力强的头部企业集中，中小企业面临转型压力。创新药企通过聚焦高端生物类似药或罕见病药物领域，进行差异化布局规避集采冲击。另一方面，行业向绿色发展转型，加大环保投入，推广绿色生产技术，环保不达标产能持续出清，推动产业结构优化。

二、医药制造业转型升级趋势

医药制造行业具备新质生产力属性的细分行业或领域较多，本文重点分析创新药、细胞与基因治疗、高端医疗器械、AI+医药四个重点行业或领域。

(一) 创新药

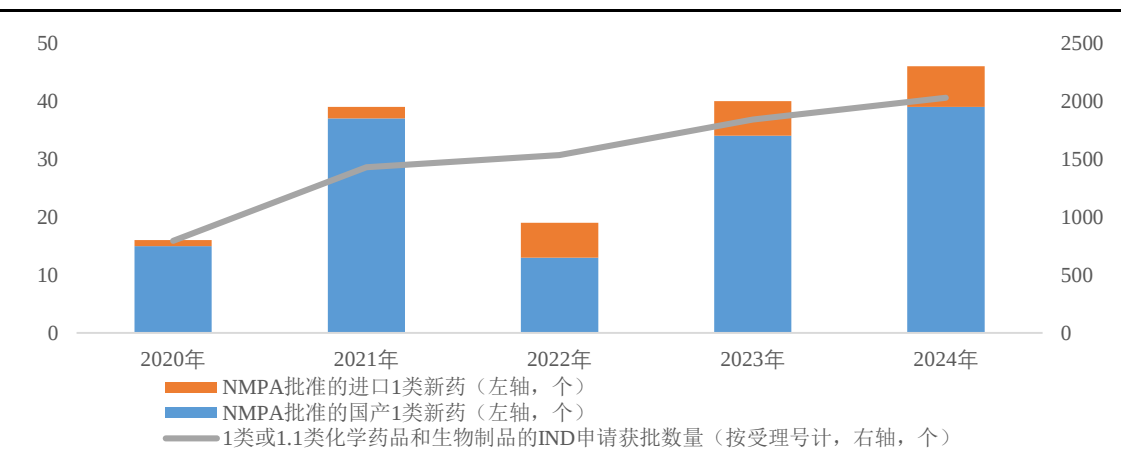
1. 行业发展特点及核心驱动要素

根据 2016 年 3 月国家药品监督管理局（NMPA）《关于发布化学药品注册分类改革工作方案的公告》显示，创新药是指含有新的结构明确、具有药理作用的化合物，且具有临床价值、以及自主知识产权的药物。一般可按照创新程度分为首创新药（first-in-class）和仿创新药（me-too）；按注册方式分为化药、生物制药和中药；按药品形态分为小分子创新药、大分子创新药、细胞治疗创新药、基因治疗创新药和活体微生物创新药等。

创新药作为医药领域的前沿力量，对于推动医学进步和改善人类健康具有不可估量的重要性。近年来全球创新药市场规模保持稳健增长，由 2019 年的 8,877 亿美元升至 2023 年的 10,103 亿美元，复合增速约 3.3%。2023 年全球创新药市场规模占医药市场规模比重为 64.9%。

我国自 2015 年《药品注册管理办法（修改草案）》发布之后，一直鼓励医药创新，国内创新药行业进入快速发展期。根据弗若斯特沙利文（Frost & Sullivan）数据显示，2022 年我国创新药市场规模首次突破万亿元，2024 年中国创新药市场规模为 1.13 万亿元，预测 2025 年将突破 1.5 万亿元，2028 年进一步攀升至 1.79 万亿元，增速领先全球市场。2024 年我国创新药市场规模占医药市场规模约为 45.2%，与全球相比仍有较大发展空间。“十四五”以来，我国国产创新药数量和质量齐升，获批上市国产创新药是“十三五”获批新药数量的 2.8

倍。2024 年 NMPA 批准上市的 1 类新药¹46 个，其中进口新药 7 款，国产新药 39 款，数量上再创新高。近年来 1 类或 1.1 类化学药品和生物制品的 IND 申请获批数量（按受理号计）呈现较快增长态势²。



注：根据公开数据整理绘制。

图 1. 近年来 NMPA 批准的 1 类新药以及 CDE 受理的 1 类新药 IND 获批数量

与此同时，由于我国创新药发展起步相较于发达国家较晚，基础研究薄弱限制了源头创新，加上企业为降低风险以及快速获得回报优先选择跟进成熟赛道等原因，目前我国创新药管线及靶点同质化情况较为突出，对比中美两国在研新药管线，虽然数量接近，但我国原创药物靶点很少，重复技术路线过多。从治疗领域来看，2024 年 NMPA 批准的 1 类新药中，抗肿瘤药依旧位居榜首，占比 50%（23/46）；位居第二的是消化道和新陈代谢用药，占比 13.04%（6/46）；再者是神经系统用药，占比 8.7%（4/46），抗感染药物、杂类和中药均获批 3 款（3/46, 6.5%）。从热门靶点看，其涉及药物占比从 2018 年的 18.3% 上升至 2023 年的 27.1%，其中 PD-1/PD-L1、HER2、EGFR 等靶点扎

¹ 指注册分类为 1 类或 1.1 类或 1.4 类的药品。

² 2022 年增速低主要受公卫事件影响。

堆研发情况突出。同质化影响了科研产出效益，还导致一些宝贵的科技资源利用效率不高，造成资金和资源的浪费。

表 1. 创新药主要治疗领域及靶点情况

治疗领域	代表靶点	适应症	国内已上市药品数量	主要涉及企业和产品
肿瘤	PD-1/PD-L1	多种实体瘤、淋巴瘤等	13+	帕博利珠单抗（默沙东）、纳武利尤单抗（百时美施贵宝）、信迪利单抗（信达生物）、特瑞普利单抗（君实生物）、卡瑞利珠单抗（恒瑞医药）、替雷利珠单抗（百济神州）等
	HER2	乳腺癌、胃癌等	10+	曲妥珠单抗（罗氏）、帕妥珠单抗（罗氏）、维迪西妥单抗（荣昌生物）、伊尼妥单抗（三生国健）等
	EGFR	非小细胞肺癌（NSCLC）	15+	奥希替尼（阿斯利康）、阿美替尼（翰森制药）、伏美替尼（艾力斯）、埃克替尼（贝达药业）等
	VEGF/VEGFR	结直肠癌、肺癌等	8+	贝伐珠单抗（罗氏）、阿帕替尼（恒瑞医药）、呋喹替尼（和记黄埔）等
	Claudin 18.2	胃癌、胰腺癌	0	安斯泰来 Zolbetuximab（已提交上市申请）、科济药业 CAR-T（临床 III 期）
自身免疫	TNF-α	类风湿关节炎、银屑病等	10+	阿达木单抗（艾伯维）、格乐立（百奥泰）、安健宁（复宏汉霖）等生物类似药
	IL-17/IL-23	银屑病、强直性脊柱炎	5+	司库奇尤单抗（诺华）、依奇珠单抗（礼来）、古塞奇尤单抗（强生）等，本土企业恒瑞、康方生物在研
	JAK 抑制剂	类风湿关节炎、特应性皮炎	5+	托法替布（辉瑞）、巴瑞替尼（礼来）、乌帕替尼（艾伯维）
代谢疾病	GLP-1 受体	2 型糖尿病、肥胖症	6+	司美格鲁肽（诺和诺德）、度拉糖肽（礼来）、贝那鲁肽（仁会生物）等
抗感染	3CL 蛋白酶	新冠肺炎	3+	奈玛特韦/利托那韦（辉瑞 Paxlovid）、先诺特韦（先声药业）、来瑞特韦（众生药业）
	RdRp	新冠肺炎	2+	瑞德西韦（吉利德）、氢溴酸胍瑞米德韦（君实生物）

注：根据公开资料整理绘制。

政策支持对创新药行业发展至关重要，为引导创新药行业发展的核心驱动要素之一。近年来，我国陆续出台多项政策，鼓励创新药行业的发展创新，并在创新支持、定价、审评、支付、投融资等多个方

面为创新药发展提供了保障。

政策支持是创新药行业发展的核心驱动要素之一。近年来，我国创新药行业受到国家产业政策的重点支持和各级政府的高度重视，国家陆续出台了多项政策，鼓励创新药行业发展。2024 年政府工作报告中首次提及创新药。2024 年 7 月，国务院常务会议审议通过《全链条支持创新药发展实施方案》，明确将创新药作为新质生产力核心领域之一，统筹价格管理、医保支付、商业保险、投融资等政策，优化审评审批流程，强化基础研究支持。在国家政策引导下，各地也推出一系列针对创新药发展的具体支持政策，北京、广州、珠海同时发布支持医药创新发展的政策或征求意见稿，上海发布了《上海市人民政府办公厅关于支持生物医药产业全链条创新发展的若干意见》，大力推动医药健康产业创新。2025 年政府工作报告中提出“健全药品价格形成机制，制定创新药目录，支持创新药发展”。

表 2. 2024 年以来创新药相关政策支持情况

发布时间	发布部门	文件	主要内容
2024 年 2 月	国家医保局、医药价格和招标采购司	《关于建立新上市化学药品首发价格形成机制鼓励高质量创新的通知（征求意见稿）》	通过有关行业协会征求意见，主旨是坚持药品价格由市场决定，更好发挥政府作用，整体提高新药挂网效率，支持高质量创新药品获得“与高投入、高风险相符的收益回报”。
2024 年 7 月	国家药监局	《优化创新药临床试验审评审批试点工作方案的通知》	对于纳入试点区域、试点项目和试点药物临床试验机构的，按试点区域申请、试点机构申请和试点项目申请、审评审批、启动实施药物临床试验等步骤进行试点工作实施。
2024 年 7 月	国务院常务会议	《全链条支持创新药发展实施方案》	提出统筹用好价格管理、医保支付、商业保险、药品配备使用、投融资等政策，优化审评审批和医疗机构考核机制，合力助推创新药突破发展。调动各方面科技创新资源，强化新药创制基础研究，夯实我国创新药发展根基所制定的实施方案。
2024 年 11 月	国家医疗保障局	《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录（2024 年）》	本次调整共新增 91 种药品，覆盖肿瘤、糖尿病等慢性病、罕见病、抗感染、中成药和其他领域用药，有 90 种是 5 年内新上市品种，38 种是“全球性”的创新药。

发布时间	发布部门	文件	主要内容
		年)》	新药, 平均降价 63%。同时,调出了 43 种临床已被替代或长期未生产供应的药品。
2025 年 3 月	国务院	《2025 年国务院政府工作报告》	健全药品价格形成机制, 制定创新药目录, 支持创新药发展。

注: 根据公开资料整理绘制。

2017 年药品审批制度改革之后, 优先审评、附条件批准等政策将新药上市周期缩短至 4-5 年, 较传统流程压缩 30%以上。2024 年以来, 《优化创新药临床试验审评审批试点工作方案的通知》、《全链条支持创新药发展实施方案》以及《关于全面深化药品医疗器械监管改革促进医药产业高质量发展的意见》等多个政策文件中提出要缩短创新药的审评时间、优化注册检验流程等, 其中在缩短创新药与医疗器械临床试验的审批时间方面计划将医疗器械与部分试点地区的创新药临床试验审批时间从 60 个工作日缩短为 30 个工作日; 在优化药品与医疗器械注册检验流程方面计划将药品注册检验、生物制品批签发检验和进口药品通关检验的每批次用量从全项检验用量的 3 倍减为 2 倍; 在加快罕见病用药与医疗器械审评审批方面计划符合条件的罕见病创新药减免临床试验, 罕见病药物的注册检验批次从 3 批减为 1 批, 每批次用量从全项检验用量的 3 倍减为 2 倍。整体看, 在保障有效性和安全性的前提下, 新政策有助于降低创新药品检验的损耗和时间成本, 或有利于加快创新药上市。此外, 我国构建了覆盖研发、生产、投资全链条的税收支持体系, 给予创新药企业较大的税收政策支持, 近年来财政部、税务总局陆续提出, 2023-2027 年创新药研发机构采购国产设备全额退还增值税; 企业投入基础研究的支出可按实际发生额税前扣除并 100%加计扣除; 接收方 (非营利科研机构等) 的基础

研究资金收入免征企业所得税；企业研发费用加计扣除比例提高至 100%；单价≤500 万元的研发设备可一次性税前扣除等。整体看，政策支持及审批加速能够提升企业研发积极性，为生物医药产业的高质量发展提供了强有力的支撑和保障。

研发和技术实力是创新药企业核心驱动要素，是竞争力的重要体现。创新药企业需要投入大量资金用于基础研究、临床试验和技术开发，研发阶段需要购买昂贵设备、支付高额人力成本，近年来我国创新药的研发投入持续增加，创新药企业在研发投入强度、技术突破及商业化能力上呈现显著分化，头部企业通过高研发投入驱动管线升级，部分 Biotech 公司则在细分领域实现技术突破，形成差异化竞争。

研发投入方面，近年来我国创新药研发投入持续增加，根据药智网数据统计，2018-2023 年中国上市药企研发投入 TOP50 研发投入合计从 368 亿元增长到 883 亿元，复合增长率 19.15%，主要集中于前 10 位，占比约 50%，第一及第二位分别为百济神州和恒瑞医药。我国创新药行业主要企业研发投入策略有所差异。以百济神州为代表的重研发企业，以规模化研发驱动全球化布局，百济神州 2023 年研发投入占营收比重 73.54%，研发人员规模 3,744 人，其研发强度已接近或超过国际药企水平，核心管线覆盖肿瘤、免疫疾病等领域，并通过全球化临床试验（如替雷利珠单抗在欧美上市）实现技术输出。2024 年上半年，其研发投入达 66.28 亿元，同比增速 12.68%，支撑 10 余项 III 期临床研究同步推进。Biotech 企业主要聚焦细分技术领域，通常采用“小而精”策略，以高占比投入实现技术突破，比如再鼎医药

2023 年研发投入占营业收入比重达 99.68%，核心资源集中于肿瘤靶向药物开发，其 PARP 抑制剂尼拉帕利通过联合疗法拓展适应症；亚盛医药研发团队仅 401 人，但 2023 年人均研发投入达 176.31 万元，聚焦细胞凋亡通路药物，其 BCL-2 抑制剂 APG-2575 已进入全球多中心III期临床。传统药企转型的创新药企业注重研发效率与商业化平衡，恒瑞医药、贝达药业等研发投入占比相对较低，但凭借成熟的商业化体系维持竞争力。恒瑞医药 2023 年研发投入虽仅为百济神州的 48.00%，但其 PD-1 单抗卡瑞利珠单抗通过医保准入实现快速放量，2023 年销售收入超 50 亿元。贝达药业 2024 年上半年研发投入占营业收入比重 25.45%，但其 ALK 抑制剂恩沙替尼通过差异化适应症布局（如 ROS1 阳性肺癌）实现市场份额逆袭。

表 3. 近年来主要创新药上市公司研发投入情况（单位：亿元）

公司名称	2023 年末 研发人员数量（人）	2022 年		2023 年		2024 年上半年度	
		研发投入	占营业收入比重	研发投入	占营业收入比重	研发投入	占营业收入比重
复宏汉霖	1,035	21.84	67.94%	14.33	26.56%	4.82	17.57%
百济神州	3,744	111.52	116.58%	128.13	73.54%	66.28	55.25%
恒瑞医药	5,110	63.46	29.83%	61.50	26.95%	38.60	28.38%
信达生物	近 1,000	28.71	63.02%	22.28	35.89%	13.99	35.41%
再鼎医药	764	2.86	133.19%	2.66	99.68%	1.16	61.96%
君实生物	736	23.84	164.04%	19.37	128.95%	5.46	69.51%
和黄医药	900+	3.87	90.73%	3.02	36.04%	0.95	31.16%
康方生物	999	13.23	157.95%	12.54	27.71%	5.94	58.00%
荣昌生物	1,308	9.82	127.19%	13.06	120.63%	8.06	108.69%
亚盛医药	401	7.43	424.80%	7.07	365.30%	4.44	55.29%
诺诚健华	474	6.49	103.73%	7.57	102.53%	4.21	100.40%
贝达药业	562	9.77	41.11%	10.02	40.79%	3.82	25.45%

注：根据公开数据整理绘制。

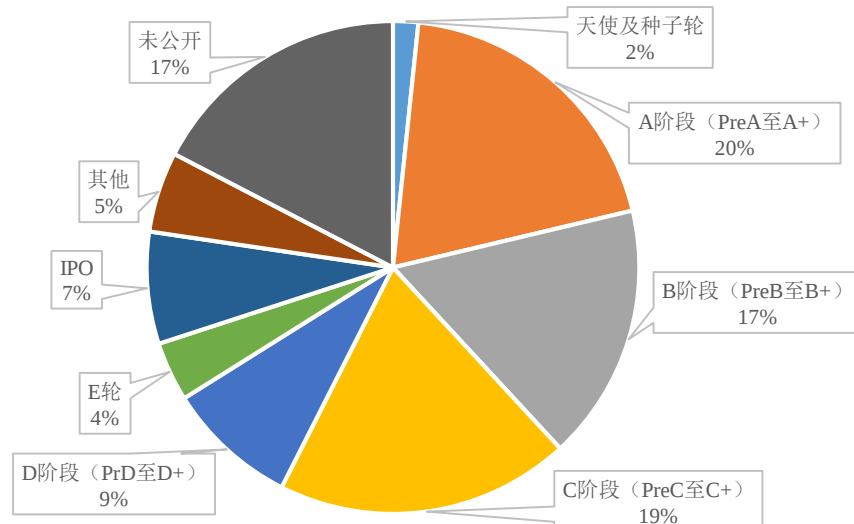
技术突破方面，复宏汉霖、康方生物、荣昌生物等在双特异性抗

体（双抗）和抗体偶联药物（ADC）领域实现突破性进展，从跟随创新到全球领先，复宏汉霖的 PD-L1/TIGIT 双抗 HLX301 于 2024 年完成 III 期临床，成为全球首个针对非小细胞肺癌的双抗疗法，临床数据显示客观缓解率（ORR）达 42%，优于同类单抗药物（约 30%）。康方生物的 PD-1/CTLA-4 双抗 AK104（卡度尼利单抗）2023 年研发投入超 10 亿元，推动其宫颈癌适应症在美国进入 III 期临床，潜在市场规模超 20 亿美元。ADC 领域，荣昌生物维迪西妥单抗（HER2 ADC）通过 License-out 交易获 2 亿美元首付款及最高可达 24 亿美元的里程碑付款，创中国创新药出海纪录。细胞治疗与基因编辑领域，药明巨诺的 CAR-T 产品瑞基奥仑赛注射液 2023 年销售额突破 8 亿元，其生产成本从早期每剂 150 万元降至 70 万元，推动可及性提升。诺诚健华 2024 年上半年研发投入 4.21 亿元，重点投入 TYK2 抑制剂和基因编辑技术，其奥布替尼（BTK 抑制剂）通过联合疗法探索自身免疫疾病适应症，差异化避开肿瘤领域红海竞争。此外，部分头部企业开始将 AI 技术融入靶点发现、分子设计等环节。信达生物 2023 年研发投入 22.28 亿元中，约 15% 用于 AI 平台建设，其与英矽智能合作开发的 USP1 抑制剂从靶点识别到临床前候选化合物仅用时 18 个月，较传统流程缩短 60%。百济神州则通过 AI 算法优化临床试验设计，将替雷利珠单抗的全球多中心 III 期试验入组时间减少 30%。

创新药企业研发资金投入大且时间跨度长，融资需求大。近年来，国内资本市场延续谨慎态度，生物医药领域融资仍阶段性承压，行业发展处于“阵痛期”。目前，行业内融资以早期轮次为主，债务融资

规模整体较小。具备强大研发实力和产品商业化能力的企业能够显著提升市场竞争力和财务表现，获得资本市场的青睐。

根据药智数据显示，2024 年上半年，中国创新药一级市场共发生 126 起融资项目，同比下降 28.4%；融资金额总计 180.73 亿元，同比下降 37.3%，自 2022 年以来呈现持续下降态势。从融资轮次看，2024 年上半年度阶段新药融资趋势与之前类似，依旧是早期项目更加活跃，除股权融资、战略融资与定增外，天使轮共计完成 16 项融资，占比 14%，总金额达 2.97 亿元，对比上年同期提升明显；A 阶段共计完成 48 项融资，总金额达 35.26 亿元、B 阶段完成 16 项融资，总金额达 30.25 亿元、C 阶段完成 11 项融资，总金额达 34.73 亿元，三阶段对比上年同期均有所下降。2024 年上半年度创新药 IPO 数量为 3 家、融资总额 13.21 亿元，同比分别减少 5 家和 42.79 亿元。从企业类型来看，2024 年上半年新药领域融资情况中，生物药仍是目前资本市场最青睐的领域，共计完成 60 个融资项目，占比近半；小分子、疫苗紧随其后；而 CXO、核药、AI 医药研发、生物智造等领域也是资本市场重点关注的企业类型。从药物类型看，2024 年上半年，小分子靶向抑制剂、细胞疗法、核酸药物、抗体是目前融资最活跃的药物类型，对比去年同期，核酸药物地位提升明显，首次超过抗体类药物，排名第三。从疾病领域来看，2024 年上半年，肿瘤方向的新药研究仍是目前最主要的方向，共有 53 家企业完成融资，与近几年新药在研方向基本一致。



注：根据药智数据整理绘制。

图 2. 2024 年上半年度国内创新药企业各阶段融资金额分布情况

债务融资方面，目前我国创新药企业债务融资规模整体较小，整体资产负债率不高，按 2024 年 6 月末数据来看，以 45%以下为主。其中，复宏汉霖资产负债率相对高企，达到 74.17%，恒瑞医药、百济神州资产负债率分别为 10.37%和 41.07%。企业债务融资以银行贷款为主，尚未通过发行债券进行融资。整体看，近年来资本市场的观望情绪已对创新药研发企业的融资节奏和研发进展产生了较大影响。尤其是规模较小的初创型企业，因融资不畅，面临研发管线推进延后、停滞甚至资金链断裂的风险，行业整体发展正经历“阵痛期”。未来随着政策支持的进一步明确和资本市场信心的逐步恢复，行业有望在未来迎来新一轮的增长机遇。

近年来，随着技术质量、商业转化效率及监管准入突破，我国创新药产业 License-out 实现爆发式增长，头部企业通过差异化管线布局与全球化生态构建实现从“产品出海”到“生态出海”，我国创新

药国际化进程加速。

我国创新药早期以 License-in（授权引进）模式为主，近年来国际化进程加速，逐步向 License-out（对外授权）倾斜，我国药企从“跟随者”向“创新输出者”的角色升级。2020 年国内创新药 License-out 交易规模约 100 亿元人民币，至 2024 年预计突破 600 亿美元（约合 4,300 亿元人民币），五年间复合增长率超 40%。

从技术层面来看，中国药企主导的全球多中心临床试验占比从 2020 年的 12% 提升至 2024 年的 35%，其中百济神州的泽布替尼在全球 III 期头对头试验中击败伊布替尼，成为首款在欧美市场取得疗效优势的中国原研 BTK 抑制剂。百济神州、恒瑞医药为代表的头部企业，通过 PD-1 单抗、ADC（抗体偶联药物）、GLP-1 受体激动剂等领域的突破，实现从单一产品输出到平台技术授权的跨越。2024 年恒瑞医药以 60.35 亿美元向美国 Hercules 公司转让 GLP-1 类药物权益，创下中国小分子药物对外授权金额之最。全球 ADC 管线中中国占比达 34%，2024 年荣昌生物的维迪西妥单抗以 26 亿美元授权 Seagen，成为首款实现海外商业化的国产 ADC 药物。

从商业层面来看，License-out 交易条款日益优化，2023 年首付款占比达交易总额的 28%（2018 年仅 15%），且里程碑付款更多与临床疗效挂钩。比如，2024 年船望制药向诺华授权的心血管 RNAi 疗法，将获得 1.85 亿美元的首付款、总金额不超过 41.65 亿美元的潜在里程碑付款及分级特权使用费，创下国内 RNA 领域最高纪录。

监管方面，中国药监体系 2017 年加入国际人用药品注册技术协调会（ICH），推动临床试验与国际标准接轨；2020 年新《药品注册管理办法》实施，允许“全球同步研发、同步申报”，缩短海外上市周期。2020-2024 年中国创新药获美国食药监局（FDA）批准上市数量从 2 款增至 9 款，君实生物 PD-1 特瑞普利单抗成为首款获 FDA 批准的中国自主研发大分子药物。

整体看，我国创新药的国际化进程 License-out 规模从百亿级迈向千亿级。未来，随着更多首创新药诞生，我国有望从“医药制造大国”进阶为“医药创新强国”。

2. 风险与挑战

（1）技术与研发风险

创新药研发具有长周期、高投入、高失败率特征，一般一款创新药经历早期研究发现、临床前研究、临床研究、申报上市等需投入 10-20 亿美元，平均耗时 10-15 年，临床成功率不足 10%。技术与创新瓶颈是制约医药创新的无形壁垒，目前全球在研药物中超 60%集中在已验证的成熟靶点中，2023 年我国生物医药领域新增临床申请中，me-too 类药物占比达 78%，而 first-in-class 药物不足 5%。

（2）商业化风险

目前，创新药商业化阶段持续面临较大挑战，根据艾意凯报告，在 2004 年至 2016 年获得 FDA 批准的 450 种新分子实体药物中，约有一半药物上市后的销售额低于市场预期值；据西南证券统计，传染

病、免疫学和心血管疾病等领域新药销售低于预期的比例更高，约 50% 的心血管新药和免疫学新药在上市后的三年内都达不到预期，约 48% 传染病新药也未能达到预期销售目标，癌症新药上市后的市场表现要好于前述 3 个治疗领域的药物，但也有约 38% 未能达到市场预期。从产品本身看，一些创新生物药即使研发上市成功，但其生产工艺非常复杂，细微的差异将导致产品质量巨大偏差，直接影响药品商业化可行性。此外，创新药管线同质化情况较为突出，产品推出市场竞争激烈，在目前带量采购政策常态化实施背景下，对部分创新药产品进入医保后量价平衡选择提出挑战，产品收益不达预期，在前期高额的研发投入下，企业效益难以得到保证。

(3) 定价与支付压力

创新药定价机制在国际上各有不同，包括自由定价、成本利润控制、价值评估定价等。目前，我国创新药首发价格是政府管理下的企业自主定价，4-5 年“政策红利期”后面临医保谈判，创新药进入医保需通过严格的药物经济学评价，2023 年医保谈判中 67 个新增药品平均降价 61.7%，CAR-T 疗法、ADC 药物等高值药品仍难以突破医保支付天花板。在医保支付能力约束下，创新药的医保谈判价格降幅往往对企业经营效益产生较大的负面影响。此外近年来国内逐步推行 DRG/DIP 模式，创新药在定价之后还需要经历医院内严格的打包支付流程。整体看，我国创新药支付体系面临“价值认可不足、支付渠道单一、多方利益失衡”的复合型压力，既制约了创新药的可及性，也阻碍了医药创新的可持续发展，未来仍需进一步配套支付制度来支

持创新药发展。

3. 行业发展趋势

预计随着人口老龄化加剧和医疗需求不断增加，创新药市场需求将持续增长。未来，医疗技术不断进步和人们生活水平提高，人们对创新药的需求将更加多元化和个性化，有望促使行业在各医疗领域进一步实现从仿制创新药向首创创新药的战略升级。此外，生物科技、人工智能等技术不断发展，有望提升创新药研发的效率和质量，缩短研发周期，降低研发成本，推动创新药行业的良性发展。

预计中国创新药国际化在政策与资本双轮驱动下加速深化，政策端通过优化审评审批、医保动态调整等机制推动国产创新药全球同步申报，资本市场依托港股/美股上市及海外并购等打通国际融资通道。技术创新方面，我国创新药企业研发能力持续向全球标准看齐，通过合作研发、技术引进等方式，提升自身的技术水平和创新能力，以自主临床（如 PD-1 在美欧进入 III 期临床）、License-out 及高端产能输出（原料药、中药提取物、EMA 认证生物药）构建全球供应链体系，推动出口结构从低附加值原料药向高附加值产品升级。未来，随着技术授权、质量标准与国际认证协同推进，我国创新药行业从“产品出海”向“创新生态出海”转型，有望进一步加强国际竞争能力，强化创新药的话语权。

由于政策不断支持“医保+商保协同结算”模式发展，预计商业健康保险有望成为医保基金的有力补充。支付体系优化有望为创新药市

场带来新的增长点。未来，将有更多患者能够通过商业健康险获得创新药的治疗费用支持。除政策支持外，部分创新药企业正在构建起创新零售业态中的新销售模式，通过与保险企业的合作，通过互联网链接患者，与保险企业合作打通支付。创新药企业有望获得更多市场机遇，推动其加快研发进度和市场拓展。

随着医药改革政策持续加力，并购活动将继续保持活跃，行业集中度有望不断提升。“控费”仍将是医药行业政策主线，预计行业同质化竞争仍较严重，行业资源将不断向拥有完整产业链、较强规模效应、产品组合丰富、研发管线深厚、供销渠道稳定的大型创新药企业集中，行业企业信用质量将有所分化。

(二) 细胞与基因治疗

1. 行业发展特点及核心驱动要素

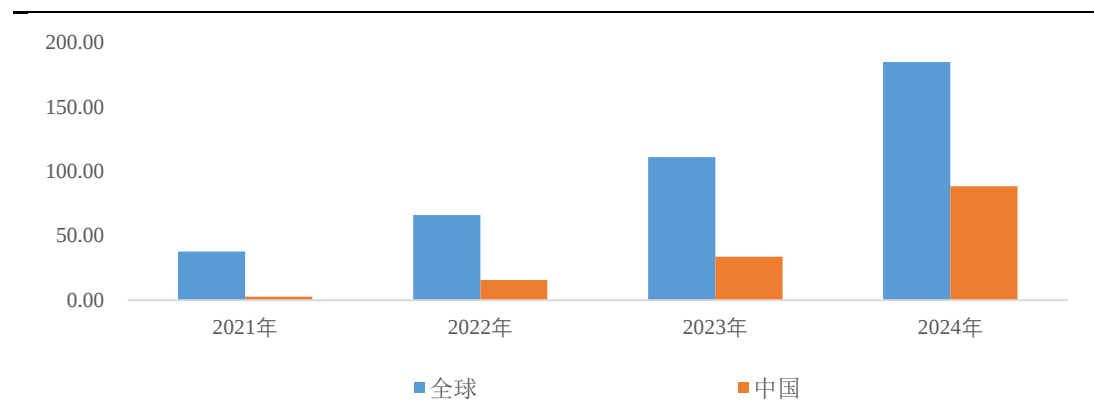
相较于化学药品以及小分子靶向药物和抗体药物，我国细胞与基因治疗行业起步较晚，属于新兴治疗领域，目前仍处于发展初期，相关企业规模普遍较小，市场竞争者相对有限，高端技术产品及设备仍依赖进口，但市场潜力巨大，发展空间广阔。近年来，在政策红利持续释放和技术创新不断突破的双重利好因素驱动下，我国细胞与基因治疗产业正快速发展，市场规模持续扩张，行业研发能力的快速提升，已在 CAR-T 疗法，基因编辑技术和干细胞研究等方面取得突破性进展。但由于国内资本市场延续谨慎态度，目前行业融资阶段性承压。行业融资以早期轮次为主，且融资企业多集中于北京、上海等一线城

市。

细胞与基因治疗作为继小分子药物和大分子靶向疗法之后的新一代精准疗法，正在为肿瘤、罕见病、神经系统疾病、慢性病及其他难治性疾病带来新的治疗理念与方式。这类疗法展现出传统药物难以实现的持久疗效和潜在治愈能力，为临床治疗开辟了新途径。自 2017 年司利弗明、路可视特纳、Zolgensma 等标志性产品获得 FDA 批准上市以来，该领域持续取得重大突破，其中，嵌合抗原受体 T 细胞（CAR-T）、T 细胞受体嵌合型 T 细胞（TCR-T）、间充质干细胞（MSC）等细胞疗法，以及溶瘤病毒和腺相关病毒（AAV）基因治疗产品的临床试验数量显著增长，细胞与基因治疗行业进入快速发展期，已成为全球医药领域最具前景的前沿方向之一。

根据中商产业研究院数据，全球细胞与基因治疗市场规模持续快速增长，由 2021 年的 37.80 亿美元增长至 2023 年的 111.10 亿美元，2024 年预计将增至 185.10 亿美元，在技术的不断创新和政策的扶持下，该行业在国内的发展亦持续升温，2023 年市场规模达到 33.80 亿美元，较上年增长 113.64%，预计 2024 年市场规模将增至 88.50 亿美元。

单位：亿美元



注：根据中商产业研究院数据整理绘制。

图 3. 细胞与基因治疗行业市场规模

产业链方面，细胞与基因治疗行业的上游主要涵盖细胞生产全流程所需的仪器、设备、试剂及耗材供应商。由于国内行业起步相对较晚，目前我国基因治疗企业约超过 90%集中在原料生产端，而基因编辑技术依赖于 Editas Medicine、Beam Therapeutics 等海外机构的授权，且在中高端设备和关键耗材领域仍以进口产品为主导，尤其是在细胞培养与开发工艺、离心提取、分选收集、洗涤浓缩等核心技术环节，国内企业与外资企业之间仍存在一定差距。中游环节主要包括药物研发公司以及研发和生产外包服务提供商（CRO/CDMO）。由于细胞与基因治疗药物的研发与生产对技术标准要求极高，且平台搭建与技术迭代需要大量的固定资产投入，因此无论是大型制药企业还是中小型科技公司，都更倾向于借助专业外包服务来降低成本和风险。这种趋势使得 CRO 和 CDMO 行业率先受益，并得以快速发展，成为推动细胞与基因治疗领域技术进步和产业化的重要力量。下游环节的核心实施主体是具备高水平医疗资源的三甲医院。

表 4. 我国细胞与基因治疗行业主要上市公司

产业链环节	证券代码	证券简称	公司简介
制药装备	688114.SH	华大智造	专注于生命科学与生物技术领域，为精准医疗、精准农业和精准健康等行业提供实时、全景、全生命周期的生命数字化设备和系统解决方案
	300358.SZ	楚天科济	国内领先的制药装备制造制造商，是我国替代进口制药装备产品的代表企业，水剂类制药装备产销量居国内行业前列
实验试剂	688179.SH	阿拉丁	集研发、生产及销售为一体的科研试剂制造商，业务涵盖高端化学、生命科学、分析色谱及材料科学四大领域
	688133.SH	泰坦科技	为科研工作者和质量控制人员提供一站式实验室产品与配套服务
基因检测	300676.SZ	华大基因	通过基因检测等手段，为医疗机构、科研机构、企事业单位等提供基因组学类的诊断和研究服务
	000710.SZ	贝瑞基因	致力于基因检测行业，聚焦生育健康、遗传病检测、科技服务、肿瘤检测等领域
	300009.SZ	安科生物	长期致力于基因工程、细胞工程、基因检测等生物技术产品的研究开发、生产、销售
	002030.SZ	达安基因	以分子诊断技术为主导的，集临床检验试剂、仪器和配套耗材的研发、生产、销售为一体的生物医药高新技术企业
CRO/CDMO	603259.SH	药明康德	制药以及医疗器械研发开放式能力和技术平台企业。服务范围贯穿从小分子药物发现到推向市场的全过程，以及细胞治疗和基因治疗从产品开发到商业化生产服务、医疗器械测试服务等
	688238.SH	和元生物	聚焦基因治疗领域的生物科技公司，专注于为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、药物靶点及药效研究等 CRO 服务，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 CDMO 服务
	300759.SZ	康龙化成	公司是国际领先的生命科学研究服务企业。自 2004 年成立以来，公司一直致力于其人才培养和设施建设，为包括小分子、大分子和细胞与基因治疗药物在内的多疗法药物研发打造了一个贯穿药物发现，临床前及临床开发全流程的研发生产服务体系
	1548.HK	金斯瑞生物科技	基因合成服务供货商，于合成生物学领域具备强大技术优势，并成功透过应用合成生物学技术开发若干项产品及服务
生物制药	688428.SH	诺诚健华-U	专注于肿瘤和自身免疫性疾病等存在巨大未满足临床需求的领域，开发具有突破性潜力的同类最佳

产业链环节	证券代码	证券简称	公司简介
			或同类首创药物
	2126.HK	药明巨诺-B	公司是全球领先的临床阶段细胞治疗平台公司
	2566.HK	九源基因	是中国将基因工程应用于医药行业的先行者，拥有逾 30 年研发、生产及商业化生物药品及医疗器械的经验。专注于骨科、代谢疾病、肿瘤及血液等领域
	430047.BJ	诺思兰德	专业从事基因治疗药物、重组蛋白质类药物和眼科用药的研发、生产与销售，主要产品为生物工程新药(基因治疗药物、重组蛋白质类药物)和眼科药物，并依托自身技术平台提供技术转让和技术服务
	2171.HK	科济药业-B	公司是一家在中国及美国营运的临床阶段的生物制药公司，专注于治疗实体瘤和血液恶性肿瘤的创新细胞疗法

注：新世纪评级整理。

我国通过国家战略支持、地方政策扶持和监管优化等多方面举措，为细胞与基因治疗行业的发展提供了强有力的政策保障。相关政策不仅推动了技术创新和产业化进程，还促进了行业的规范化发展，为我国细胞与基因治疗行业走向国际奠定了坚实基础。

2016 年，中共中央、国务院发布的《“健康中国 2030”规划纲要》中提出推动生物医药产业高质量发展，支持细胞与基因治疗等新兴技术的研发和应用，2021 年“十四五”规划中明确将“基因技术”作为国家重点发展的前沿生物技术领域，强调加快其技术创新和产业化进程，2024 年，生命科学、生物制造作为新质生产力核心内容被写入政府工作报告。此外，北京、上海、深圳、苏州等地纷纷出台专项政策，建设细胞与基因治疗产业园区，提供资金、人才和技术支持，吸引了大量企业和科研机构入驻，推动区域产业集群发展。

表 5. 我国细胞与基因治疗行业近年来主要政策

时间	部门	政策	相关内容
2016.10	中共中央、国务院	《“健康中国2030”规划纲要》	纲要提出要加强医学科技创新体系建设，推动精准医学、再生医学等前沿技术的研发和应用，要加快发展生物技术产业，推动新药研发和高端医疗装备的创新发展
2016.12	国家药监局	《细胞制品研究与评价技术指导原则（试行）》	规范细胞制品的研发、生产和评价，明确细胞治疗产品的监管框架和技术要求
2021.12	工信部、国家发改委、科学技术部等九部门	《“十四五”医药工业发展规划》	规划中明确提到了免疫细胞治疗、干细胞治疗和基因治疗产品，并将其作为生物医药领域的重点发展方向。
2022.05	国家发改委	《“十四五”生物经济发展规划》	发展基因诊疗、干细胞治疗、免疫细胞治疗等新技术，强化产学研用协同联动，加快相关产品转化和临床应用，推动形成再生医学和精准医学治疗新模式。
2022.10	国家药监局	《细胞治疗产品生产质量管理指南（试行）》	涵盖细胞治疗产品 GMP 管理的基本原则、人员、厂房、设施与设备、供者筛查与供者材料、物料与产品、生产管理、质量管理、产品追溯系统等内容。指南旨在为细胞治疗产品生产企业提供指导意见，也可作为监管机构开展各类现场检查的重要参考。
2023.03	中共中央、国务院	《关于进一步完善医疗卫生服务体系的意见》	提出提高医疗卫生技术水平。加强临床医学、公共卫生和医药器械研发体系与能力建设，发展组学技术、干细胞与再生医学、新型疫苗、生物治疗、精准医学等医学前沿技术。
2024.01	工信部等七部门	《关于推动未来产业创新发展的实施意见》	在细胞方面，意见明确提出要加快细胞和基因技术等前沿技术产业化，推动 5G/6G、元宇宙、人工智能等技术赋能新型医疗服务，研发融合数字孪生、脑机交互等先进技术的高端医疗装备和健康用品。
2024.11	国家药监局药品审评中心	《细胞治疗产品临床药理学研究技术指导原则（试行）》	旨在规范细胞治疗产品的临床药理学研究。主要内容包括：明确细胞治疗产品的药代动力学、药效动力学和免疫原性研究要求；强调根据产品特性设计非临床和临床研究方案；提供剂量选择、给药途径和安全性评价的技术指导；推动标准化研究，确保数据的科学性和可靠性，为细胞治疗产品的临床开发和审评提供依据。
2024.12	北京市科学技术委员会、中关村	《北京市加快细胞与基因治疗产业创新发展三年	旨在推动细胞与基因治疗产业高质量发展。方案明确支持免疫细胞治疗、干细胞治疗和基因治疗产品的研发与产业化，加强共性技术突破，

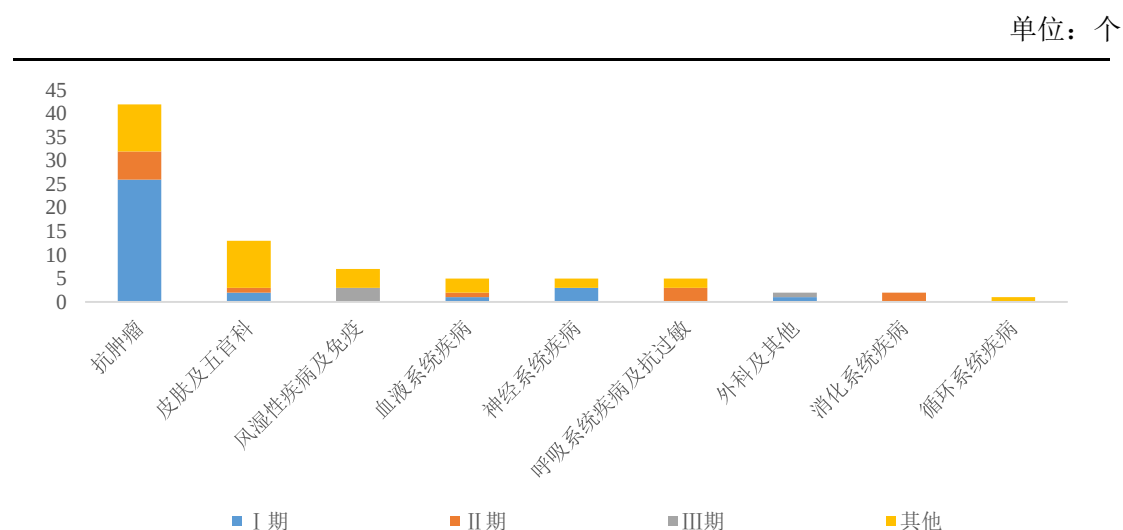
时间	部门	政策	相关内容
	科技园区管理委员会等 5 部门	行动方案》	建设产业集群，优化监管体系，推动国际合作，助力北京成为全球细胞与基因治疗创新高地。

注：新世纪评级整理。

近年来，我国在细胞与基因治疗技术的创新与研发能力快速提升，该技术的适应症范围正在快速扩展，在研管线数量较多，其中抗肿瘤药物仍为目前主要研究方向。产品方面，我国已在 CAR-T 疗法，基因编辑技术和干细胞研究等产品方面取得突破性进展，为多种难治性疾病提供了新的治疗手段。

近年来，细胞与基因治疗的适应症范围正在快速扩展，从最初的罕见病和血液系统恶性肿瘤逐步延伸到更广泛的疾病领域，包括实体瘤、遗传病、神经系统疾病、心血管疾病和自身免疫性疾病等。目前，多种产品进入临床研发阶段。根据国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）发布的《中国新药注册临床试验进展年度报告（2023 年）》，2023 年我国共登记了 81 项细胞与基因治疗相关临床试验，较 2022 年增长 76%。其中，国内临床试验占据主导地位，共计 76 项，占比高达 94%。从适应症分布来看，抗肿瘤药物仍是主要研究方向，相关试验达 42 项，占总数的 52%。在试验分期方面，I 期临床试验占比最高，达到 41%（33 项），而 III 期临床试验相对较少，仅占 5%（4 项），但罕见病领域的研发活力的不断增强，该领域临床试验数量呈现逐年上升趋势，2023 年同比增长 43%。此外，根据 CDE 信息，基因治疗临床试验的默示许可项目中，包括诺华制药开展的脊髓性肌萎缩症（SMA）基因治疗以及强生开展的针对 RPGR 致病性变异相关 X 连

锁型视网膜色素变性的基因治疗等国际领先项目。这些进展不仅体现了我国细胞与基因治疗领域的快速发展，也彰显了我国在全球基因治疗研发中的重要地位。



注：根据 CDE 数据整理绘制。

图 4. 2023 年细胞和基因治疗产品适应症及试验分期情况

产品方面，我国已在较多领域取得突破性进展。在 CAR-T 细胞治疗领域，2021 年起多款 CAR-T 产品逐步获批上市，如复星凯特的阿基仑赛注射液（奕凯达）和药明巨诺的瑞基奥仑赛注射液（倍诺达），传奇生物的西达基奥仑赛（Carvykti）和科济药业的 CT053（全人源抗 BCMA CAR-T）等；基因编辑技术产品也在精准性、效率 and 安全性方面得到提升，在高保真 Cas 变体方面，通过改造 Cas9 蛋白（如 eSpCas9、HiFi Cas9），降低了脱靶效应，提高了基因编辑的精准性，此外开发了单碱基编辑器（如 CBE 和 ABE），能够在不切断 DNA 双链的情况下实现精确的碱基替换（C→T 或 A→G），适用于点突变的修复。干细胞研究，在人脐带间充质干细胞注射液和诱导多能干细

胞（iPSC）等领域，我国科研机构和企业取得了多项突破性成果。

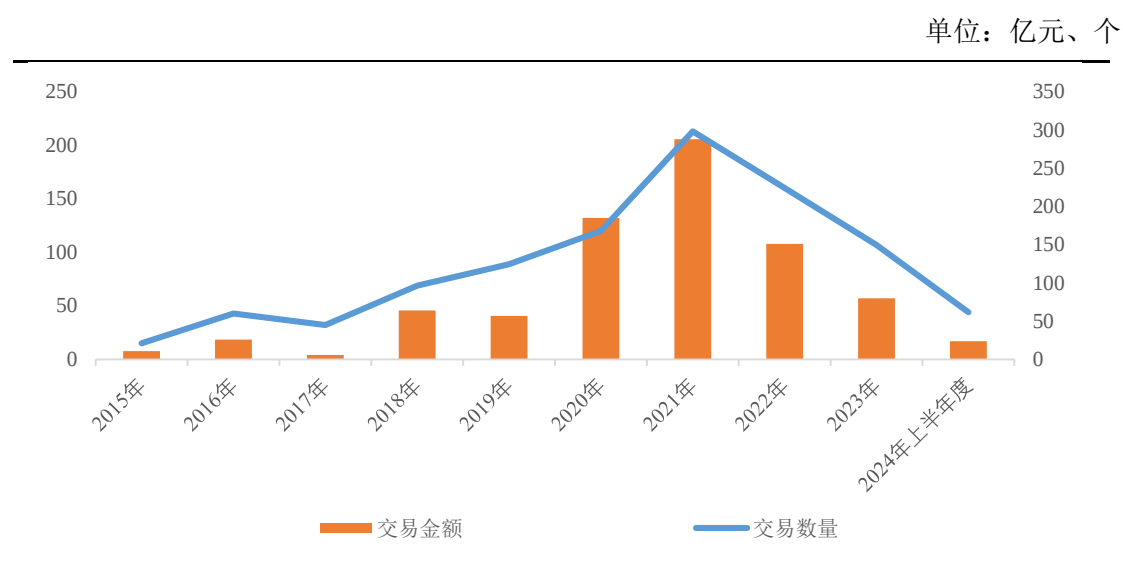
表 6. 我国细胞与基因治疗近年来主要研发产品

治疗领域	产品名称	研发企业	适应症	研发里程碑
CAR-T 细胞疗法	阿基仑赛注射液（奕凯达）	复星凯特	复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤（r/r LBCL）	2021 年 6 月获 NMPA 批准上市，成为国内首个商业化 CAR-T 产品
	瑞基奥仑赛注射液（倍诺达）	药明巨诺	复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤（r/r LBCL）	2021 年 9 月获 NMPA 批准上市，是国内第二款商业化 CAR-T 产品
	西达基奥仑赛（Carvykti）	传奇生物	复发或难治性多发性骨髓瘤（r/r MM）	2022 年 2 月获美国 FDA 批准上市，是国内首个获得 FDA 批准的 CAR-T 产品。
基因替代疗法	重组人凝血因子 VIII	信致医药	血友病 A	2022 年完成临床试验，是国内首个进入临床阶段的 AAV 基因治疗产品
	重组人凝血因子 IX	诺思兰德、信念医药	血友病 B	已完成临床试验，展现出显著的疗效和安全性
基因编辑疗法	CT053（全人源抗 BCMA CAR-T）	科济药业	复发或难治性多发性骨髓瘤（r/r MM）	2023 年向 NMPA 提交上市申请，并获得美国 FDA 再生医学先进疗法（RMAT）资格
	ET-01（地中海贫血基因编辑疗法）	博雅辑因	β-地中海贫血	2021 年完成临床试验，是国内首个基于 CRISPR-Cas9 的基因编辑疗法
干细胞疗法	人脐带间充质干细胞注射液	中源协和、汉氏联合等	膝骨关节炎、GVHD 等	多个产品已进入临床试验阶段，部分获得有条件批准。

注：新世纪评级整理。

投融资方面，国内资本市场延续谨慎态度，生物医药领域融资仍阶段性承压，行业发展处于“阵痛期”。目前，行业内融资以早期轮次为主，融资企业多集中于北京、上海。此外，地方政府基金成为重要投资方，外资参与度有所下降。

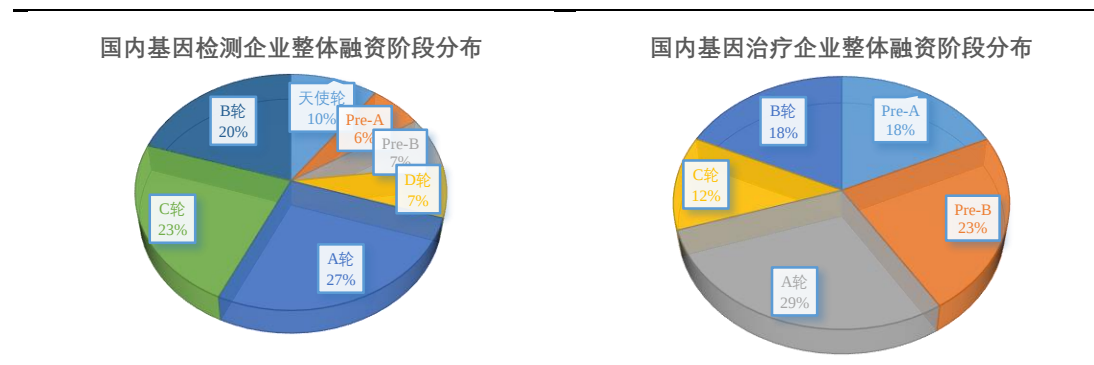
2024 年上半年，中国创新药投融资事件及投融资总额均较 2023 年有所下滑。根据医药魔方 MedAlpha®数据库的统计，2024 年上半年，中国创新药一级市场共发生 158 起投融资事件，同比下降 17.3%；融资金额总计 21.52 亿美元，同比下降 17.6%。其中，细胞与基因治疗领域，2024 年上半年该领域的融资金额为 23.8 亿元人民币，而 2023 年全年总投资和融资金额高达 79.9 亿元人民币，反映出国内资本市场在当前环境下仍趋于谨慎。作为生物医药领域未来发展的核心方向之一，细胞与基因治疗行业的发展高度依赖持续的资金投入。然而，近年来资本市场的观望情绪已对该领域新药研发企业的融资节奏和研发进展产生了较大影响。尤其是规模较小的初创型企业，因融资不畅，面临研发管线推进延后、停滞甚至资金链断裂的风险，行业整体发展正经历“阵痛期”。尽管如此，细胞与基因治疗行业的技术潜力和市场前景依然广阔。随着政策支持的进一步明确和资本市场信心的逐步恢复，行业有望在未来迎来新一轮的增长机遇。在这一过程中，如何优化融资环境、推动资本与创新的深度融合，将成为行业突破“阵痛期”、实现高质量发展的关键。



注：根据医药魔方 MedAlpha®数据库数据整理绘制。

图 5. 近年来国内细胞和基因治疗行业投融资数据情况

根据基因慧统计，2023 年从融资轮次上看，我国基因检测轮次集中在 A 轮（27%），C 轮（23%），基因治疗融资集中在 A 轮（29%）。在融资企业的总部的城市集中度方面，前十位的分别是北京、上海、苏州、杭州、深圳、广州、南京、常州、成都、青岛。此外，近年来地方政府基金在细胞与基因治疗投资领域参与度较高，外资参与度有所下降。2023 年国内基因企业公开融资中领投方约 30%来自地方政府的基金，如中央企业乡村产业投资基金股份有限公司以 3.61 亿元收购隆平生物 10.94%股权，中国石油集团昆仑资本有限公司领投北京微构工场生物技术有限公司 3.59 亿元 A+轮融资等。



注：根据基因慧数据整理绘制。

图 6. 2023 年国内基因检测、基因治疗企业整体融资阶段分布

细胞与基因治疗行业的发展，需各方协同发力。监管部门应进一步完善政策支持体系，优化审评审批流程，引导资本持续投入，为企业创新营造良好环境；行业内企业需加大研发力度，聚焦关键核心技术攻关，提升创新能力。同时，通过盘活临床资源、优化生产工艺、降低生产成本，进一步提高药物的可及性，让更多患者受益于这一前沿治疗技术。

具备强大研发实力和产品商业化能力的行业内企业能够显著提升市场竞争力和财务表现，推动收入增长、改善现金流并获得资本市场的青睐。

细胞与基因治疗行业内企业需要持续投入大量资金用于基础研究、临床试验和技术开发，研发阶段需要购买昂贵设备、支付高额人力成本，且从研发到产品上市通常需要多年时间，导致初期现金流压力大，企业在早期阶段难以实现盈利，但一旦产品成功上市并实现规模化，企业可能获得高毛利和强劲的收入增长，且更容易吸引资本市场的关注，通过多元化融资优化资本结构，从而有效降低财务风险。

金斯瑞生物科技与强生等国际制药巨头合作，加速了其在细胞治疗产品的研发和商业化进程，子公司传奇生物（Legend Biotech）2022 年在 CAR-T 细胞治疗领域取得突破，其 BCMA CAR-T 产品（如西达基奥仑赛）获得 FDA 批准并商业化，带来显著收入贡献，金斯瑞科技 2023 年收入和毛利分别为 59.60 亿元和 29.01 亿元，同比增长 36.17% 和 36.97%。

技术适配性强的企业能够通过工艺优化有效降低成本，维持盈利水平，从而确保偿债能力；而技术适配性较弱的企业则可能因成本高企和盈利不足，面临现金流断裂的风险。

细胞与基因治疗行业上游原材料（如质粒、病毒载体、细胞培养基）和设备（如生物反应器、基因编辑工具）价格昂贵，推高了研发成本，且许多关键技术和原材料依赖进口，增加了研发的不确定性和成本压力。上游成本高企压缩了企业的毛利率，增加了现金流压力，使其偿债能力下降。此外，上游成本高导致细胞与基因治疗产品定价居高不下，限制了患者可及性，影响了产品市场竞争力。因而，能够通过工艺改进、规模化生产、供应链优化等措施有效降低成本的企业，能够加速产品商业化进程，提升企业竞争力、改善盈利能力，从而为其债务偿付提供保障。

具备多元化融资能力的行业内企业可为其产品研发、业务拓展提供资金保障，提升抗风险能力，优化资本结构，从而有效降低其财务风险。

细胞与基因治疗行业属于资本密集型行业，从研发到产品上市通常需要多年时间，企业在早期阶段难以实现盈利，在盈利前，主要依赖风险投资、私募股权、IPO 或政府资助，拥有多元化融资能力的行业内企业能够为其产品研发和业务扩展提供稳定的资金支持，增强抗风险能力，降低财务风险。2015 年金斯瑞生物科技于香港交易所上市，募集资金 4.75 亿港元，且在 2021 年配售新股；下属子公司传奇生物 2020 年于美国上市，募集资金 4.87 亿美元，同时金斯瑞生物科技及其子公司在中国、美国和其他地区获得了多项政府资助和补贴，用于支持研发项目和技术创新。近年来，金斯瑞生物科技通过多地 IPO、增发股票等多种方式进行了融资，这些融资活动为其在细胞与基因治疗研发、生物药 CDMO 业务扩展和全球商业化布局方面的快速发展提供了坚实的资金保障，且有效降低了财务风险，其资产负债率由 2021 年末的 51.05% 降至 2023 年末的 39.65%。因而，具备多元化融资能力的行业内企业可为其产品研发、业务拓展提供资金保障，提升抗风险能力，优化资本结构，从而有效降低其财务风险。

人才是细胞与基因治疗行业的核心资源，对技术创新、研发效率、商业化能力和企业竞争力具有决定性影响。

高端科研人才（如分子生物学家、基因编辑专家）是细胞与基因治疗领域技术创新的核心力量，他们能够推动新疗法和新技术的开发，为行业带来突破性进展。资深科学家和研究人员凭借其深厚的专业知识，能够高效设计实验、优化研发流程，从而显著缩短研发周期。此外，高素质人才具备敏锐的风险识别和管理能力，能够有效降低研发

中的技术风险，提高项目成功率。与此同时，具有丰富经验的临床开发人才在临床试验的设计和管理方面发挥着关键作用，能够加速产品的上市进程，为企业赢得市场先机。这些人才的协同作用，共同推动了细胞与基因治疗行业的快速发展。如传奇生物 CAR-T 细胞治疗领域团队范晓虎博士和黄颖博士，成功开发了 BCMA CAR-T 产品西达基奥仑赛（Cilta-cel），并获得 FDA 批准上市；复星凯特专家团队核心成员黄海博士，推动 Yescarta（阿基仑赛注射液）在中国获批上市；药明巨诺专家团队核心成员李怡平博士，推动瑞基奥仑赛注射液（Relma-cel）获批等。行业内企业通过吸引全球顶尖科学家和行业领袖，加速了技术创新、产品的研发和商业化进程，从而提升企业竞争力。

2. 风险与挑战

细胞与基因治疗行业面临多重风险：技术层面，细胞来源多样性和复杂工艺可能导致产品质量不稳定，载体可能引发免疫反应或突变，质量控制难度大；市场层面，临床试验成本高、疗效不确定，高价疗法医保覆盖不足，规模化生产困难，影响企业经营效率和盈利能力，导致其信用质量下降；监管层面，政策不完善和国际标准不统一增加了全球化开发难度；财务层面，高研发投入、依赖外部融资及资本市场波动对企业资金链和债务负担构成压力。企业需平衡长期收益与短期财务压力，注重技术储备和成本控制。

(1) 技术层面的风险

细胞来源的多样性和质量差异可能导致产品批次间的不一致性，甚至引发安全性问题。同时，体外培养、基因编辑等操作步骤复杂，容易受到污染或操作失误的影响，进而导致产品质量不稳定。此外，载体（如病毒载体）可能引发免疫反应或插入突变，而基因修饰的精准性和安全性也存在不确定性。由于不同工艺环节的质量标准难以统一，进一步增加了质量控制的难度。

(2) 市场与商业化挑战

细胞与基因治疗的临床试验周期长、成本高，且存在疗效不确定性和潜在副作用。目前许多细胞与基因治疗产品的价格极高（如 CAR-T 疗法），限制了其可及性。许多国家的医保体系尚未完全覆盖这些高价疗法，患者负担较重，且个性化治疗和复杂工艺使得规模化生产难度加大，可能导致生产效率低下或成本过高，从而使得企业财务状况恶化。

(3) 监管与合规挑战

细胞与基因治疗属于前沿领域，许多国家的监管机构尚未建立完善的监管框架，导致审批流程不明确或滞后。不同国家的监管要求存在差异，增加了全球化开发和市场准入的难度。随着技术进步，监管政策需要不断更新，企业可能面临政策变动带来的不确定性。

(4) 财务风险

细胞与基因治疗行业的财务风险主要体现在以下几个方面：首先，产品研发投入高且失败风险大，加之临床试验和生产成本高昂，尤其

是个性化治疗难以实现规模化，这直接影响了企业短期的营收和现金流状况。其次，行业内企业普遍依赖外部融资，资本市场的波动可能对资金链造成冲击，进而对企业的财务杠杆和债务负担产生不利影响。作为评级机构，我们更关注企业的技术储备、研发管线的商业化潜力，以及通过技术手段实现的成本控制能力，而非短期的财务波动。然而，企业仍需在追求长期收益的同时，妥善应对短期财务压力，确保两者之间的平衡。

3. 行业发展趋势

预计随着老龄化社会进程的加快，恶性肿瘤等疾病的发病率持续上升，公众对健康管理的关注度日益提高，个性化诊疗和疾病预防需求的显著增长，将会扩大细胞与基因治疗的市场需求，促进行业市场规模提升。此外，未来行业竞争将围绕基因编辑工具优化、递送系统升级、通用型疗法开发、多靶点/多功能治疗等多方向展开，行业内或将形成差异化竞争，技术及创新能力强的企业或将快速提升其市场份额。

预计未来行业监管框架不断完善，对细胞与基因治疗行业临床试验、生产及上市的要求将更为明确，为行业规范化发展提供保障。政策端提供快速审评和审批支持，加快创新产品的上市进程，同时推进支付体系向多元化、可持续化方向发展，提升该行业治疗技术的可及性。加大对该行业的国家战略支持、地方政策扶持、监管优化力度等层面支持，从而推动这一前沿领域的规范化、产业化和国际化发展。

细胞与基因治疗行业正从罕见病和血液肿瘤向更广泛的疾病领域扩展，同时结合精准医学向高度个性化治疗演进。预计未来，该领域的发展将围绕适应症拓展、个体化治疗策略、早筛早治等方向展开，并逐步实现从“治疗”到“治愈”甚至“预防”的跨越。

免责声明：

本报告为新世纪评级基于公开及合法获取的信息进行分析所得的研究成果，版权归新世纪评级所有，新世纪评级保留一切与此相关的权利。未经许可，任何机构和个人不得以任何方式制作本报告任何形式的拷贝、复印件或复制品，或再次分发给任何其他人，或以任何侵犯本公司版权的其他方式使用本报告。经过授权的引用或转载，需注明出处为新世纪评级，且不得对内容进行有悖原意的引用、删节和修改。如未经新世纪评级授权进行私自转载或者转发，所引起的一切后果及法律责任由私自转载或转发者承担，新世纪评级将保留随时追究其法律责任的权利。

本报告的观点、结论和建议仅供参考，在任何情况下，本报告中的信息或所表述的意见并不构成对任何人的投资建议，对任何因直接或间接使用本报告内容或者据此进行投资所造成的一切后果或损失新世纪评级不承担任何法律责任。