

2021



2021 易凯资本中国健康产业白皮书

医药与生物科技篇

2021.5

重要声明

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) 本报告中所表述的任何观点均准确地反映了其个人对于行业及公司的看法；(2) 分析师无论在过去、现在及将来，均不会因本报告中所表达的观点或建议收取任何报酬。

一般性声明

本研究报告仅供我们的客户与合作伙伴使用。除了与易凯资本相关的披露，本研究报告是基于我们认为可靠的目前已公开的信息，但我们不保证该信息的准确性和完整性，客户也不应该依赖该信息是准确和完整的。我们在可能的情况下会适时地更新我们的研究。除了一些定期出版的行业报告之外，绝大多数报告是在分析师认为适当的时候不定期地出版。

我们的投行人员、销售人员和其他专业人员可能会向我们的客户提供与本研究报告中的观点截然相反的口头或书面市场评论或交易战略。我们的资产管理部门可能会做出与本报告的提议或表达的意见不一致的投资决策。

本报告不构成明示或暗示的投资建议，也没有考虑到个别客户特殊的投资目标、财务状况或需求。客户应考虑本报告中的任何意见或建议是否符合其特定状况，以及(若有必要)寻求专家的意见，包括税务意见。

我们的部分研究报告会以电子出版物的形式刊登在我们的内部客户网或微信阅读号上并向所有客户和合作伙伴同步提供。并非所有研究内容都转发给我们的客户或者向第三方整合者提供，我们也并不对由第三方整合者转发的我们研究报告承担任何责任。

易凯资本不承诺不在过去、现在或未来与报告中提及的公司发生业务关系或寻求与它们有关的业务机会。

本报告版权为易凯资本所有。未经易凯资本公司事先书面同意，本材料的任何部分均不得(i)以任何方式制作成任何形式的拷贝、复印件或复制品，或(ii)以盈利为目的再次分发。

医药与生物科技篇

本篇主要内容预览：

1. 2020 年发生了哪些重要变化？
2. 2021 年最重要的投资主题及市场预判
3. 2021 年投资热点预测
4. 20 家值得关注的公司

核心观点：

1. 国内创新药经过多年的发展，在 fast-follow 上已非常成熟，可在 2-3 年的时间差内做出 me-too 甚至 me-better 的分子。但一个不可忽视的问题便是同靶点竞争异常激烈，如近期 claudin 18.2 靶点已有 20 多家企业在研。做药最终需要回归到商业本质——一家药企能否合理设计临床实现最优获批路线、海内外能否快速完成临床、有无商业化经验及管线管理能力在目前中国资本市场尚未向 FIC 敞开大门的背景下甚至更重于靶点或机制的创新。

2. 随着带量采购政策倒逼成熟药企转型以及第一批生物科技企业迈入商业化阶段，围绕具体产品的合作交易未来会更加频繁，并且会呈现多种多样的形式和路径，（如授权、并购、JV、CSO 等）。目前进入合作视线的热门资产仍集中于临床晚期接近商业化的产品，但三期产品稀缺且价格昂贵、选择少，未来产品的合作将逐步向早期转移，甚至早至与高校的合作。这个趋势背后的支撑是行业发展下企业研发投入的不断增加提高了对失败率的容忍度，以及大量从跨国药企回流的人才提升行业对于机制、药物转化等科学及数据的理解。

3. 创新药市场竞争加剧导致药企传统研发路径下的回报率逐年走低，创新药研发效率提升成为全行业一个迫在眉睫的问题，这为 AI 对制药行业的渗透和重塑提供了一个极其广阔的舞台。随着 AI 技术的日臻成熟以及创新药数据的大量积累，众多跨国药企和互联网巨头纷纷涉足 AI+制药领域。

Schrodinger 和 Relay Therapeutics 两家 AI+制药公司先后上市，数个 AI 驱动研发的候选药物进入临床或 IND-enabling 的阶段，这些都让 AI+制药领域受到空前的关注。创新药是一个链条极长的复杂领域，各家 AI+制药公司的技术与应用场景各异，但大家的目的一致，即利用 AI 技术提高制药行业的效率。AI 虽然短期内无法彻底变革创新药研发流程，但对于万亿级的、事关人类福祉的创新药行业来说，任何一个小的环节的革新，都会产生巨大的经济效益与社会价值。

4. 2021 年资本重点关注赛道：

基因疗法
RNA 疗法
细胞免疫疗法
小分子靶向药物技术 (Protac)
ADC
AI+ 药物研发

一、2020 年发生了哪些重要变化？

1 中国制药与生物技术行业市场保持高速发展

根据弗若斯特沙利文分析，2020 年我国医药市场规模将达 1.71 万亿元人民币，同比增长 5.0%。其中，生物药市场规模增速最快，同比增长 18.5%，2020 年预计可达 3,697 亿元人民币，并以 19.1% 的 5 年复合增长率大幅领先化学药和中药市场。

同时，根据国家统计局的数据显示，2020 年 1-12 月我国医药制造业规模以上工业增加值同比增长 5.9%，医药制造业投资同比增长 28.4%，显示出非常强的市场热度。

从专利药和仿制药的维度拆分来看，2020 年专利药市场规模可达 9,639 亿元人民币，同比增长 6.0%，占整个市场的比重将达 54.6%；仿制药市场规模 7,508 亿元，同比增长 3.7%，市场比重将达 45.4%。

相信随着创新药物相关政策利好、医药企业研发支出增加、创新药投资热度增加等，创新药市场仍会实现较快增长，且未来在中国医药市场的占比还将进一步提高。

➤ 国产创新药赶超全球研发进度，多个药物获得 FDA 认证

在过去的 3 年间，选择在海外开展新药临床试验已逐渐成为当前中国创新药公司进行国际化布局的一大常态，诸多公司实现从追随全球热门靶点药物到在某些领域抢占 First-In-Class / Best-In-Class 的转变。

2019 年 11 月，百济神州的 BTK 抑制剂泽布替尼 (zanubrutinib) 获 FDA 批准用于治疗经治的成年套细胞淋巴瘤，成为首个获得 FDA 突破性疗法认定和首个在美国获批的中国自主研发抗癌创新药，具有里程碑意义。目前，跟随泽布替尼的脚步，多款国产创新药已在美国处于临床后期，有望扩展中国创新药在全球市场的版图。

在未被满足的临床需求领域，部分国产创新药也获得了 FDA 的认可。2020 年，中国创新药在 FDA 审批收获颇丰，十余款药物获得审评审批加速、突破性疗法和孤儿药认证，国内第一批出海创新药已初具全球竞争力。

中国创新药FDA认证统计			
认证类别	时间	药品	企业
快速通道	2020年4月	泰他西 (BLySxAPRIL)	荣昌生物
	2020年4月	索凡替尼 (mTKI)	和黄医药
	2020年5月	HQP1351 (BCR-ABL)	亚盛医药
	2020年6月	Elunate (VEGFR)	和黄医药
	2020年7月	DB102 (PKCβ)	索元生物
突破性疗法	2020年9月	拓益 (PD-1)	君实生物
	2020年9月	舒格玛单抗 (PD-L1)	基石药业
加速审批	2020年6月	HMPL-012 (mTKI)	和黄医药
孤儿药认定	2020年1月	KN035 (PD-L1)	康宁杰瑞
	2020年2月	HBM9167 (PD-L1)	和铂医药
	2020年2月	NIP292(ROCK)	华润医药
	2020年3月	拓益 (PD-1)	君实生物
	2020年4月	达伯舒 (PD-1)	信达生物
	2020年5月	HQP1351 (BCR-ABL)	亚盛医药
	2020年7月	CS1003 (PD-1)	基石药业
	2020年9月	KNO46 (PD-1/CTLA-4)	康宁杰瑞
	2020年9月	APG-2575 (Bcl-2)	亚盛医药

➤ Lisence-In&Out 均实现大爆发，国际化合作日益频繁

国产创新药的升级同时也体现在国际化的合作上。以往中国药企更多是从海外早期或中期 Biotech 企业引进产品以丰富管线，但以百济神州与 Amgen 达成多个产品的战略合作为例，2020 年中国药企无论是在 license-in 或 license-out 都加速了与跨国大药企的合作，且在交易金额上也位列世界前列。

License-in 方面，2020 年，中国制药企达成的 license-in 产品交易超 35 个，合作模式涵盖单个产品至技术平台引进，是当之无愧的 lisence-in 大年。在这其中，值得关注的交易有：

- 信达生物与罗氏达成 20 亿美元合作，以开发通用 CAR-T 疗法和 TCB 双抗。
- 君实生物与 Revitope 达成合作协议，引进后者开发的双抗原导向 T 细胞嵌合活化专利技术平台，开发 5 款 CD3 双抗。
- 百济神州引入 BioAtla 的肿瘤微环境条件活化抗体技术，以解决 CTLA-4 抗体的毒性问题。思路迪药业花费 4 亿美元引进针对 WT1 的肿瘤免疫疫苗 GPS 和通过抑制 GAS6-AXL 信号通路传导而调节肿瘤微环境的 AVB-500。

License-out 方面，相比往年每年只有 1-2 个对外授权的案例，2020 年国内药企对外授

权案例数量超 15 个,从产品到技术,多个项目首付款过亿美元,实现了量和质的双重突破。从对外授权的火爆程度看,中国药企的研发能力已初步得到了海外市场的认可。值得关注的交易有:

- 天境生物的 CD47 单抗 lemparlimab, Abbvie 以总金额近 30 亿美元获得其在大中华区以外的权益,创下 2020 年交易金额纪录。
- 礼来 2020 年从中国获得了 3 个新药的授权,除了与信达继续扩大基于信迪利单抗在全球的合作之外,还从君实收获了新冠中和抗体的海外开发权并从复星医药获得了 BCL-2 抑制剂在海外的权益。
- 在热门靶点 SHP2 上,加科思完成其两款抑制剂的对外授权。
- 和铂医药、药明康德和天演药业的生物抗体、ADC 等技术平台也达成了多个对外授权交易。

授权方	引进方	药物	治疗领域	交易金额 (亿美元)
天境生物	艾伯维	Lemparlimab	肿瘤	30.0
基石药业	EQRx	舒格利单抗 (PD-L1) 及 CS1003 (PD-1)	肿瘤	13.0
信达生物	礼来	信迪利单抗 (PD-1)	肿瘤	10.0
北京加科思	艾伯维	JAB-3068 (SHP2抑制剂)	肿瘤	8.1
复宏汉霖	Binacea Pharma	HLX35 (EGFR/4-1BB双抗)	肿瘤	7.6
华领医药	拜耳	dorzagliatin	糖尿病	6.1
合一生技、上海中天生物	LEO Pharma	FB825 (抗IgE抗体)	特应性皮炎和哮喘	5.7
复创医药	礼来	FCN-338 (BCL-2抑制剂)	血液瘤	4.4
药捷安康	LG Chen	TT-01025	非酒精性脂肪肝	3.5
天境生物	Kalbe Genexine	TJD5 (CD73 抗体)	肿瘤	3.4
勤浩医药	沪亚生物	GH21 (SHP2抑制剂)	肿瘤	2.8
君实生物	礼来	JS016 (ACE2中和抗体)	新冠中和抗体	2.6
上海原能细胞医学	未披露	双抗产品	肿瘤	1.4
恒瑞医药	韩国东亚	SHR-1701 (PD-L1/TGF-βRII双抗)	肿瘤	1.4
恒瑞医药	HLB Life Science	吡咯替尼 (EGFR抑制剂)	肿瘤	1.1
恒瑞医药	Crystal Genomics	卡瑞利珠单抗 (PD-1)	肿瘤	0.9
信达生物	Coherus	IBI305 (贝伐珠单抗生物类似药)	肿瘤	0.5
复宏汉霖	Mabxience	HLX02 (EGFR/4-1BB双抗)	肿瘤	0.0075
康宁杰瑞	赛诺菲	KN026 (HER2单抗)	肿瘤	未披露
成都先导	田边三菱制药	小分子化合物	未披露	未披露

2 疫情推动生物科技领域投融资热度空前

回首 2020,新冠疫情于年初时爆发,1-2 月蔓延至全国,后迅速扩大至全球。在疫情和政策两大因素的交互影响下,国内医药行业整体呈现先抑后扬的表现,全球生物制药行业也

出现空前的热度。

疫情对医药行业的利好很大程度上体现在了资本层面。一方面，疫情让更多的人关注并重视医药行业，市场关注和热情大幅提高。另一方面，疫情导致经济下行，全球各国政府应对疫情均采取了部分逆周期的政策和手段，利好生物科技类高风险资产；我国当前货币政策较为宽松，且财政政策也支持生物医药类国家重大战略新兴产业的发展。因此整体而言，疫情在资金层面为创新药企业提供了非常积极的资本环境。

海外生物科技市场持续火热，2020 年美国生物科技领域一级市场融资数量上升至近 200 件，融资规模增加 68% 达到 128 亿美元，下半年融资数量上升，三季度融资数目和总金额全年最高。



中国生物科技领域一级市场融资于 2020 年出现爆发式增长，全年融资数量增长超过 200%，融资规模增加近 300%，达到近 40 亿美元。疫情期间一级市场表现火爆，二季度单季融资总金额占全年 40%，前三个季度融资数目逐步增加，四季度有所放缓但融资金额仍较高。

➤ 科创板和港股退出机制明确，二级市场表现超预期

科创板自设立以来，医药及生物科技公司 IPO 数量及发行总市值迅速走高，2020 年上半年受疫情影响略有下滑，但三季度迅速回升，IPO 数量及金额创历史新高。

就符合科创板第五套标准的研发型企业而言，大多发行市值集中于 100-150 亿元，治疗领域聚焦肿瘤，且均有创新管线，但整体处于临床后期研发阶段，在符合创新概念的同时降低了监管机构非常关注的研发风险。

作为创新型药企上市的另一个重要渠道，自 2017 年开始，港股医药与生物科技公司 IPO 数量逐年增长，2020 年医药与生物科技公司赴港股上市热情高涨，IPO 发行总市值增速达 65%，IPO 数量创下新高。

同时，2020 年下半年港股 18A 迎来爆发，IPO 数量与发行总市值均创历史新高。2020 年上市的 16 家医药与生物科技公司中，14 家为 18A，未盈利企业上市已成为常态。

3 监管及政策环境助生物科技行业迈入“快车道”

➤ 审评审批提速，准入通道通畅

2020年3月30日，新版《药品注册管理办法》正式出台，并于7月1日起正式施行。在新版《药品注册管理办法》中，“设立突破性治疗药物、附条件批准、优先审评审批、特别审批四个加快通道”的修改为创新药的加速审批打开了新的路径。如今政策导向已经从大方向上鼓励创新，逐步升级到细化至临床价值和临床需求。

这一演变亦与国际趋势同步。FDA多年来一直在使用这些加快药物开发与审评的工具，2011至2018年间，FDA批准的367种新型药物和生物制品中，200个（54%）至少使用了一种加快开发的审评工具，其中44个（12%）为加速批准。

新版管理办法发布后，2020年8月CDE官网公布首个拟突破性疗法，南京传奇生物的LCAR-B38M CAR-T拔得头筹，率先纳入优先审评的新药包括恒瑞医药的TPO-R激动剂海曲泊帕乙醇胺、基石药业的KIT/PDGFRα突变激酶抑制剂阿泊替尼、君实生物的PD-1抗体特瑞普利单抗、百济神州的PARP抑制剂帕米帕利胶囊、以及和黄医药的MET抑制剂沃利替尼。

2020年CDE受理的1类新药IND数量快速增长并再创新高，超过20个国产创新药提交了上市申请，国产新药获批数量超两位数。随着近年来IND数量的爆发式增长，结合审评审批通道的升级，预计未来国产新药每年获批的数量将保持持续增长。

➤ 医保谈判成常态化，品类持续放大，创新仍为主旋律

2015年2月9日，国务院发布《关于完善公立医院药品集中采购工作的指导意见》，首次在顶层设计层面提出分类采购的新思路，要求对部分专利药品、独家生产药品建立公开透明、多方参与的药品价格谈判机制。2015年10月，经国务院批准，原国家卫计委等16个部委建立起部门协调机制，组织开展了首批国家药品价格谈判试点工作。

自2016年第一轮医保药品的准入谈判起，至今已完成共五轮医保谈判。其中谈判品种自第一次的替诺福韦酯、埃克替尼和吉非替尼三个品种上升至第五轮的162个，平均降幅维持在40-60%之间，疾病领域涵盖肿瘤、肝炎、心脑血管、糖尿病、风湿免疫等多个重大疾病种。

在最新一轮的医保谈判中，谈判后有66个品种调入医保目录内，30个为本土企业生产，其中PD-(L)1领域恒瑞、君实、百济尽数入围，而默沙东、BMS、阿斯利康、罗氏等跨国药企的PD-(L)1均未被纳入，更多的本土药企预计将通过谈判实现以价换量，获取更大的市场份额。

2016至2020年，五轮医保目录谈判情况

	一轮谈判 2016	二轮谈判 2017	三轮谈判 2018	四轮谈判 2019	五轮谈判 2020
主导部门	卫计委	人社部	医保局	医保局	医保局
拟谈判数量	3	44	18	119	162
谈判成功数量	3	36	17	70	119
成功率	100.0%	81.8%	94.4%	58.8%	73.5%
平均降价幅度	55.3%	44.0%	56.7%	60.7%	50.6%
最高降价幅度	67.0%	70.0%	70.0%	98.2%	85.0%

除医保谈判外，带量采购也已进行三次，第四次即将启动。2018年11月国家医保局在上海阳光医药采购网正式发布公布《4+7城市药品集中采购文件》，第一批目录共31个品类，试点范围为北京、天津、上海、重庆、沈阳、大连、厦门、广州、深圳、成都和西安共11个城市，共25个品种中选，其中原研药仅3个共占比12%，国产替代效应明显。

此后，带量采购规则进一步完善，允许多家企业中标，允许同一药品不同企业中选价格存在一定差异，逐步建立起常态化、规范化、全国覆盖化的长效机制。目前，带量采购已扩展至全国，品种上升至90个，采购前市场规模持续增加，剂型范围不断扩大。



2020年医保资金在疫情方面投入较大，疫情过后医保控费力度可能会加大，对支付端造成进一步压力。随着医保谈判和集采政策逐渐向常态化发展，未来更多药企将在支付压力下倒逼由仿制向创新转型，从长期角度看，创新仍会是不变的主旋律。

➤ DRGs元年联合DIP，深度优化医保支付方式

我国过去的医保主要以按项目付费（FFS）支付和总额预付为主。

按项目付费支付是指根据诊疗过程中发生的具体项目和数量给予事后付费，多做项目多赚钱，因此容易导致过度诊疗；总额预付是指现行医保总额预付制度主要是把区域基金分配

到各家医院，不考虑医院业务量变化，按照历年水平进行调整，一定程度上导致医院不接危重症等难治病例的现象。

欧美和日本自 80 年代起已开始探索 DRGs 付费方式，即按疾病诊断相关分组付费。DRGs 根据病人的年龄、性别、住院天数、主要诊断、病症、手术处置、疾病严重程度及合并症、并发症等因素，将临床特征相近的病人分入一组，以组为单位确定打包的医保支付标准，各地医疗保险机构以此标准对医疗机构进行预先支付。医院在收治参加医疗保险的病人时，医疗保险机构按照该病种的预付费标准向医院支付费用。

2019 年国家医保局、财政部、国家卫生健康委、国家中医药局联合印发《关于按疾病诊断相关分组付费国家试点城市名单的通知》，确定了北京、天津、河北邯郸等 30 个城市作为 DRGs 付费国家试点城市。经过 3 年的正式酝酿，各试点城市 2020 年下半年模拟运行，2021 年启动实际付费，成为我国 DRGs 元年。

在 DRGs 试行半年后，我国同时又引入了 DIP 分值付费体系，2020 年 11 月公布的试点城市达 71 个。DIP 则不再细化医疗机构的总额控制指标，而是将项目、病种、床日等付费单元转化为一定点数，年底根据各医疗机构所提供服务的总点数以及地区医保基金支出预算指标，得出每个点的实际价值，按照医疗机构实际点数付费。在 DIP 制度下，医疗机构若想获得更多的分配额度，则需要更高的点数，促进医院提供更多高效并经济的医疗服务。

无论是 DRGs 分组付费还是 DIP 分值付费，两者都是针对住院病人的分类，本质均是控制医疗费用的不合理增长。DRGs/DIP 导入后，医保部门可更好地控制医保支付总额，而医院则需控制单次住院费用，迫使医院提升效率降低服务成本，抑制过度检查、过度治疗，同时提高诊疗质量以期获取更高的点数。

当然，每一个全新制度的导入都伴随潜在问题，如夸大患者病情套用重症费用标准、为节省成本而减少必要的诊疗项目、资源向三级医疗机构倾斜等。未来 DRGs 和 DIP 是二选一或共存尚未确定，实际的效应仍有待验证及完善，但我国多元化控费的大方向已非常明确，药企及医院降价控费的压力将长期存在。

商业保险初露头角，个人支付能力持续提升

如果说医保是基本医疗资源的公平分配，那么商业医疗保险则是差异化的个体选购。目前来看，商业保险的发展环境相对健全，政府一方面支持私立医院的开设与运营，另一方面出台相关个人所得税优惠政策，直接或间接刺激并鼓励商业医疗保险的发展。

相比美国发展成熟的商保体系，我国的商业健康保险仍处于初步发展阶段，地域发展不均衡、产品形式有限、保障条款不规范等问题亟待解决。但随着居民健康意识与可支配收入的提升，个人或企业加入商业保险的行为越来越常见，我国健康险近年来整体发展快速，保费收入保持增长态势，相应私立医院已多达上万家，预期未来将成为医保基金支付以外的另一大支撑。



4 前沿技术大放异彩，众多技术值得关注

➤ mRNA 技术领衔新冠疫苗研发，必将改写疫苗行业大格局

传统疫苗通常需要 8 年或更长时间才能从实验室推向市场，这一过程包括设计、开发、临床前测试、临床试验和法规审查。而由于 mRNA 疫苗具有设计快、生产快的技术优势，在新冠疫苗研发竞赛的一开始就迅速成为首批上市新冠疫苗的最有力竞争者。

事实也是如此，全球第一个被批准大范围使用的新冠疫苗为 BioNTech 与辉瑞合作生产的 mRNA 新冠疫苗，不仅安全性佳，其三期临床试验数据显示保护效力达 90%，另一款来自 Moderna 公司的 mRNA 疫苗的保护效力也达到了 94%，表现优异。

据统计，mRNA 疫苗是目前全球范围内接种人数最多的新冠疫苗，其保护效果和安全性目前得到了真实世界数据的支持。这些数据预示着 mRNA 技术具有抵御未来传染病爆发的潜力，利用 mRNA 技术开发疫苗，已经不再是纯粹的科学挑战，而更像是一个工程问题。

有理由相信，整个疫苗行业大格局都将随着 mRNA 技术的应用而改写。同时，基于 mRNA 疫苗的技术机理和作用路径，人们对利用 mRNA 疫苗攻克肿瘤同样充满期待。

➤ AI+药物研发成为新药研发新路径

一般而言，创新药物的研发、上市过程需要耗费数十年，并花费数十亿美元，且失败率达 90% 以上。

2020 年，FDA 共批准 53 款新药上市，其中 35 种是小分子药物，而且这些药物大部分都是根据已知分子靶点设计出来的，发现能够作用于广泛适应症新靶点的新分子极其罕见。而伴随着药物研发数据的高速累积和数字化转型、人工智能技术 (AI) 的加速发展，AI 在新药发现的应用日益增多。

相对于传统的方法，原则上，AI 可以更快、更低成本并能做出更好的决策，尤其是在合适的数据或模拟允许的情况下。从药物靶点发现、虚拟筛选、药物合成，ADME-T (吸收、分

布、代谢、排泄和毒性）性质预测和理化性质（如晶型）预测，药物重定位，到药物临床试验管理、患者招募，再到药物警戒应用和真实世界证据生成，AI 与药物研发全流程的融合在探索中前进。

5 产业变革下新玩家涌入，但基于创新的价值追求不变

➤ 不同角色的新玩家聚焦中国创新，重构医药产业

在中国创新药行业的不断发展和变革之下，越来越多的新玩家开始加入到这一赛道中。

一方面，传统医药企业逐步重视并拓展创新药业务，同时持续提升的行业热度也吸引了众多科学家着手创业加入其中。另一方面，在国内产业巨头布局医药投资的同时，海外药企也在中国设立投资据点，美元基金在中国市场的投资越发活跃，中国创新已进入全球玩家的视野。

除了恒瑞医药、中国生物制药等国内传统药企转型创新药企的成功典范外，国内仍有数以千家的传统药企，目前他们也在进行着自我创新和业务迭代，成为创新药行业的新玩家。特别是在其中有很多上市公司，他们中的一部分已经在谋求将其创新药等业务板块独立拆分，以加速推动创新药管线的业务进展。

部分知名药企的创新药进展汇总				
企业	产品	靶点	适应症	进度
丽珠集团	艾普拉唑	PPI	抗胃酸	上市
四环生物	德谷胰岛素		糖尿病	III期
	加格列净	SGLT-2i	糖尿病	III期
罗欣药业	特戈拉赞	P-CAB	抗胃酸	pre-NDA
	普卡那肽	GCC	便秘	III期
信立泰	阿里沙坦酯	ARB	高血压	上市
	恩纳司他	HIF-PH	肾贫	引进
	复格列汀	DPP-4	糖尿病	III期
京新药业	EVT201	GABAa	失眠	III期
冠昊生物	本维莫德	TAMA	银屑病	上市
海特生物	CPT	rmhTRAIL	多发性骨髓瘤	pre-NDA

随着国内创新药行业的不断发展，越来越多的新玩家也陆续参与到生物医药的投融资市场：

- 地产领域的巨头碧桂园在 2019 年成立碧桂园创投，在健康领域已完成迈博斯生物等多笔投资。
- 阿斯利康与中金资本联合成立的全球医疗健康产业基金已经完成 10 亿美元募资。该基金是阿斯利康在全球募集的首个、迄今为止规模最大的医疗健康产业基金，也是阿斯利康产融结合在中国嫁接的首次实践。
- 多家美元基金在 2020 年参与中国生物医药企业的融资。康乃德、云顶新耀、荣昌生物、益方生物、北海康成等数家企业的投资人中出现 RA Capital、Janchor

Partners、Cormorant 等机构的身影。

未来中国生物医药行业在企业百花齐放、玩家多样化的背景下，管线评估与估值判断等投融资体系将得到不断完善。

➤ 后疫情时代价值回归，企业唯拥有持续创新能力才能长期获得认可

进入 2021 年后，在疫苗接种普及、防疫成为常态的背景下，疫情带来的影响预期将会逐渐淡化，行业或将更加侧重中长期逻辑的演绎，管线产品的创新性、临床数据、团队执行力等真正体现产品价值的各项维度预期将成为市场定价的首要标准，这对产业玩家也提出了新的要求。

2020 年科创板生物医药标的供给增加，审核已略微收紧，泽生科技与亿腾景昂终止上市，7 家第五套标准上市公司中已有 2 家破发，估值回归明显。科创属性认定中的隐性要求与退市规则的明确也体现了审核的不断收紧。

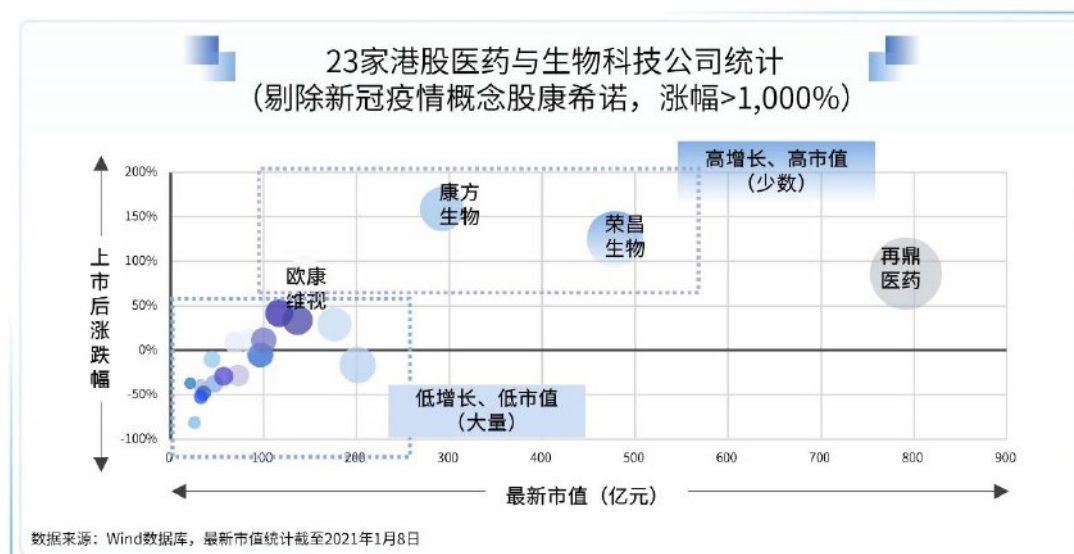
其中，科创属性要求形成主营业务收入的发明专利 5 项以上，最近三年研发投入占营业收入比例 5% 以上，或最近三年研发投入金额累计在 6,000 万元以上，因此纯 license-in 模式公司在科创板需谨慎对待。

退市规则则申明第五套标准上市公司在第 4 个会计年度如果同时满足净利润为负且营业收入低于 1 亿元，则发出退市警示，鉴于创新药三期临床到上市销售一般需要 3-5 年时间，反推可得拟第五套标准上市公司至少需要有进入临床 3 期或注册临床的管线。

港股 2020 年则两极分化严重，扎实的基本面方能支撑较高估值。和铂医药、先声药业、药明巨诺接连破发，永泰生物 IPO 之后的第 20 天破发，7 家赴港上市药企曾经破发。

总结来看，股价不尽如人意的企业主要聚集在拥挤赛道，产品的临床价值从市场空间及后续的研发潜力受到质疑；而表现优异的医药与生物科技公司则具备市场前景、创新研发、管线布局三大成功要素。

未来管线是否丰富平衡且层次分明、自研产品是否具有 First-In-Class 或 Best-In-Class 潜力、License-in 产品是否拥有相匹配的临床推进能力、赛道是否着眼肿瘤及自免等大市场或高潜力专科领域等将成为估值差异的原因。



此外，在资本市场热情一片高涨的环境下，药物研发的风险可能被短暂的繁华所掩盖，但多家上市药企接连终止临床的公告仍为投资人敲响了警钟。可能在很近的未来，创新药企的股价振幅将持续大幅波动。比如：

- 百奥泰 2 月 8 日发布公告，公司自主研发的 HER2-ADC BAT8001 三期临床试验未达到相比对照组（拉帕替尼联合卡培他滨）的预设优效终点，2.26 亿元研发费用可能付诸东流，股价应声下跌 18.73%，成为科创板发行企业产品线中终止临床的第一个品种。
- 和铂医药的合作方 Immunovant 出于安全性问题终止 MVT-1401 在海外的临床试验，消息发布当天和铂医药股价大跌 11.49%。
- 开拓药业的核心产品普克鲁胺因未达到临床 3 期的第一个主要终点股价连续下挫接近腰斩，后因普克鲁胺在新冠治疗上取得重大突破股价收复失地。

此次生物医药的上市潮与破发潮相继出现，与其说是生物医药行业泡沫出现并破裂，实则更多的是中国生物医药行业在十多年资金和人才的持续投入下，产业链和发展逻辑重构的写照，生物医药行业开始走向正轨，逐步迈入技术积累与研发突破期。

药物研发的风险一直存在，未来自主研发能力、BD 与临床执行能力、本土商业化的能力将成为价值回归的中心，资本市场的投资也将趋于理性。

二、2021 年最重要的投资主题及市场预判

1 肿瘤领域扎堆布局，眼科等专科等成为重要赛道

相比肿瘤日渐白热化的竞争，眼科目前仍是一片蓝海市场。

近年来，随着我国人口老龄化、生活方式转变、工作强度增大、过敏源增加、用眼不当等各类因素的影响，眼感染、角结膜炎、干眼症、角膜损伤、视网膜病变、白内障、青光眼等各种眼疾罹患率逐年增高，眼科市场增长较快。据统计，我国干眼症患者达 7500 万，AMD 患者 5100 万，青光眼患者 600 万，患者基数巨大。

眼科领域的布局在过去 1、2 年已陆续启动，抗 VEGF 是目前国内最基础的眼科用药研发方向，欧康维视、齐鲁药业、珠海亿胜等均有布局。对于近视老花等患病人数最多的领域，李氏大药厂旗下兆科眼科宣布与 Nevakar 达成产品引进协议，取得低浓度阿托品的独家商业化权利；极目生物也从 Eyenovia 公司引进了采用 Optejet 微量药物递送平台的 MicroPine。干眼症方面，恒瑞医药自 Novaliq 引进两款药物，计划攻略治疗方案有限的干眼症赛道。

我国眼科患者基数大，但对于疾病的认知却远低于欧美，葡萄膜炎、视网膜病变等领域研发仍多为空白。反观美国，眼科的治疗已跳出抗 VEGF 疗法，新兴的治疗手段如基因疗法、细胞疗法、补体疗法等均已在临床上取得喜人的进展。眼科作为下一个重要赛道，无论从深度或广度，仍有众多机会等待挖掘。

2 小分子领域重获热度，新靶点新机制得到验证

与化疗相比，小分子靶向药物作用机理明确、副作用小，与大分子相比，小分子药物可口服因而患者依从性更好、且生产成本更低。过去几年随着免疫疗法的逐渐普及，大分子药物曾一度占据了主要视线，但随着曾经不可成药的靶点 KRAS 完成临床验证，预计小分子将重获研发热度。

2020 年小分子领域共有三大进展。

首先，KRAS 靶点上 Amgen 已提交 Sotorasib 的 NDA，该药物获得 FDA 突破性疗法认证；Mirati 的 KRAS G12C 抑制剂 Adagrasib 在临床 1/2 期中，对特定突变的 NSCLC 患者 DCR 高达 96%；相关通路上 SOS1、SHP2 等靶点药物陆续进入临床。

其次，小分子进入一直被生物制剂占领的自免领域，Abbvie 的 Upadacitinib 在特应性皮炎 3 期临床达到临床终点；瑞石生物自主研发的高选择性 JAK1 抑制剂 SHR0302 在针对特应性皮炎的 2 期临床中达到临床终点。

最后，PROTAC 技术获得重大突破，Arvinas 发布 ARV-110 和 ARV-471 分别针对前列腺癌和乳腺癌患者的积极疗效数据，当日股价上涨 95%，市值达到 23.67 亿美元；Nurix Therapeutics 相继完成多起交易，包括与吉利德达成总金额达 23.45 亿美元的全球战略合作，与赛诺菲达成总金额达 25 亿美元的战略合作。

3 新冠疫情下，新冠疫苗研发的全球竞赛

2020 年，新冠疫情催生的医疗投资领域最热点的投资主题，非新冠疫苗莫属。

基于多种不同的疫苗接种方法，全球正在开发 200 多种 COVID-19 候选疫苗。而在这场新冠疫苗研发竞速比拼中，mRNA 技术再次站到了历史舞台前。

去年 12 月 2 日，来自国际上“mRNA 三巨头”之一的 BioNTech 与辉瑞合作生产的 mRNA 新冠疫苗获得英国 MHRA 授予的“紧急使用临时授权”，成为全球第一个被批准大范围使用的新冠疫苗，特别这是一款根据 III 期临床试验的结果批准的新冠疫苗，意义重大。紧随其后的 12 月 18 日，来自 Moderna 的 mRNA 新冠疫苗也在美国获得了紧急使用授权（EUA），并且在英国和加拿大也得到了授权。

借助着疫情期间的热度，mRNA 技术从 30 年前的“无人问津”到如今的“门庭若市”，成为生物制药领域的新晋宠儿，也成为了各大制药公司积极布局的重要赛道。

2020年海内外完成融资的新冠疫苗企业及其研发进展

地区	公司	融资情况	疫苗研发进展
中国	三叶草	2020年完成3轮数亿元融资，2021年完成2.3亿美元融资，引入前海母基金、高瓴创投、德奥维兰、淡马锡等知名机构	S-三聚体新冠疫苗I期临床已完成，正在推进全球II/III期临床试验
	康希诺	2020年8月科创板IPO，募集资金52亿元	2021年2月新冠疫苗有条件批准，是首家获批的国产腺病毒载体新冠病毒疫苗
	艾棣维欣	2020年完成3轮数亿元融资，其中B轮融资超过2亿元	DNA疫苗；2021年1月已完成II期临床试验
	斯微生物	2020年完成2轮融资	与西藏药业合作，2021年1月国内获批开展临床
	艾博生物	2020年完成3轮亿元融资，A轮规模达1.5亿元，国投创业领投	与沃森生物、军科院合作，是国内首个获批临床新冠mRNA疫苗，I期临床阶段，预计2021年下半年实现产品上市
海外	CureVac	2020年完成3次融资，累计获得德国复兴信贷银行、欧洲投资银行、GSK等3.75亿欧元+1.3亿英镑投资，并于2020年8月在NASDAQ上市，公开募集2.13亿美元	CureVac AG成立于2000年，是第一家成功将mRNA应用到医疗领域的公司，2020年底开始其新冠疫苗III期临床试验
	ImmunityBio	2020年12月以换股形式与自然杀伤细胞疗法公司NantKwest合并，ImmunityBio股东将拥有合并后公司约72%的股份，交易披露当天股价涨幅达56.1%，截至2021年3月8号，市值达31亿美元	人类腺病毒（hAd5）载体疫苗；正在开展II期临床，同时FDA批准其开展扩展试验验证常规皮下+口服/舌下给药的组合方案
	eTheRNA	2020年6月获得3400万欧元投资，投资人包括远大医药和沂景资本；2020年11月与远大医药就mRNA技术的研发和生产达成独家战略合作及授权协议	eTheRNA正在开发的mRNA新冠疫苗能够使患者的细胞在病毒的表面和内部都产生SARS-CoV-2抗原的混合物。除了使免疫系统产生抗体外，疫苗还激活T细胞。预计2021年初进入I期试验

4 AI+药物研发有望成为新药研发的“基础设施”

2020年，“人工智能发现分子”入选《麻省理工科技评论》发布的“全球十大突破性技术”榜单。可以想象，当人工智能与药物工业这两个万亿级产业相互碰撞时，将有望爆发出巨大的潜力。

资本市场也对此青睐有加，2020年共有17家AI+药物研发相关公司完成了20余轮次融资金额在1000万美元以上的融资，总融资金额达30亿美元左右。

2020年融资额在1,000万美元以上的AI+药物发现项目融资情况

企业	时间	金额	轮次
Schrodinger	2/11/2020	2.323亿美元	公开募资
OWKIN	5/8/2020	2500万美元	A轮
Insitro	5/26/2020	1.43亿美元	B轮
Exscientia	5/26/2020	6000万美元	C轮
Cyclica	6/24/2020	2300万加元	B轮
OWKIN	6/30/2020	1800万美元	A轮
Recursion	7/15/2020	1.21亿美元	C轮
Relay Therapeutics	7/16/2020	4亿美元	公开募资
Atomwise	8/11/2020	1.23亿美元	B轮
Schrodinger	8/13/2020	3.1375亿元	增发
Recursion	9/9/2020	2.39亿美元	D轮
Totient	9/10/2020	1000万美元	种子轮
晶泰科技	9/28/2020	3.188亿美元	C轮
LabGenius	10/30/2020	1500万美元	A轮
费米子科技	11/12/2020	上亿元人民币	A轮
Genesis Therapeutics	12/2/2020	5200万美元	A轮
METIS剂泰医药	12/3/2020	上亿元人民币	天使+轮和Pre-A轮
冰洲石	12/8/2020	数千万美元	不详
宇道生物	12/14/2020	近亿元	Pre-A轮
AbCellera	12/15/2020	5.555亿美元	公开募资
星药科技	12/29/2020	数千万美元	战略投资

作为此领域首家上市的企业，Schrodinger 于 2020 年 2 月登陆纳斯达克，目前市值达 56.6 亿美元。Schrodinger 的发展历程为行业其他企业提供了可以参考借鉴的发展途径。公司的核心技术平台为物理计算平台，为新药研发过程中的预测模型、数据分析、合作等提供整合差异化解决方案。

根据公司最新年报，2020 年，TOP20 的制药公司均采用了 Schrodinger 的解决方案，并贡献约 3200 万美金的业务收入，占软件总收入的 34%。年合同价值（ACV）超过 100,000 美元的客户数量也不断增加，从 2018 年的 122 个增长至去年的 153 个。同时，截止 2020 年公司 ACV 超过 100,000 美元的客户的保留率是 99%，创历年新高。这些都说明了 Schrodinger 所提供的解决方案越来越受到客户的认可。

此外，公司深入参与到制药企业的合作研发中，去年与制药企业合作开展了超过 25 个新药项目的研发，这些项目将为 Schrodinger 带来包括预付款、研究经费支付以及里程碑付款，并且有可能产生额外的里程碑付款、期权费和特许权使用费。

如 2020 年 11 月，公司与百时美施贵宝（BMS）签订了一项独家的全球合作和许可协议，以发现、研究和开发用于肿瘤学、神经病学和免疫学治疗领域的靶向药。根据该协议的条款，公司将从 BMS 收到 5,500 万美元的预付款，并且有资格从 BMS 收到总计最高可达 27 亿美元

的潜在收入。

这种合作既可提前实现一定规模的收入，同时也积累了更广泛的数据，并获得 TOP MNC 的品牌背书，非常有利于公司的业务发展。除了销售及外部合作外，Schrodinger 从 2018 年中开始开展以发现 FIC 或 BIC 药物为目标的自有研发项目，预计将在 2022 年提交 3 个 IND 申请，并预计在 2022 年中得到首个 IND 项目的临床数据。

另一家在 2020 年上市的企业 Relay Therapeutics 相对来说业务就非常聚焦，基于整合了新的实验技术（如室温晶体学、冷冻电镜）和计算技术（如分子动力学和机器学习）的 Dynamo 平台，并使用定制的超级计算机 Anton 3，Relay 致力于开发针对蛋白具有更高特异性和效力的靶向药物。

Dynamo 的 AI 能够搜索数以百万计的潜在化合物，以找到提供最大效能、选择性和生物利用度的化合物，从而最大程度地开发出临床和潜在商业化阶段的药物。公司目前的管线包括 2 个处于临床 I 期的产品 RLY-1971（SHP2 抑制剂）和 RLY-4008（FGFR2 抑制剂），及一个 Pre-IND 的产品 RLY-PI3K1047（PI3K α 抑制剂）。

海外已成功上市 AI 公司的发展为国内企业的发展提供了可参考的范本，虽然国内 AI+药物研发细分赛道过去几年略显沉静，但自去年晶泰科技等多家企业完成融资后，这一赛道已开始明显加速。随着不同类别 AI+药物研发企业业务的快速推进，以及在资本的助力下涌现的更多 AI+药物研发企业的成长，AI 将势不可挡地成为新药研发的新驱动力，有望成为新药研发的新一代基础设施。

当然在这个过程中，仍存在着不小的挑战，比如原有研发系统的数据对接、标准化和整合等问题，而这也为包括国内 AI+药物研发企业在内的所有行业玩家留下了机会。

5 基因治疗赛道热度持续

2020 年的诺贝尔化学奖颁发给了在基因编辑方面作出卓越贡献的法籍微生物学家 Emmanuelle Charpentier 博士和美国国家科学院院士 Jennifer A. Doudna 博士，这让基因编辑乃至整个基因治疗领域都大为振奋。

西方国家第一个基因治疗产品是于 2012 年由欧洲药品管理局（EMA）批准的 UniQure 公司基因治疗药物 Glybera。虽然该药在 2014 年正式上市后的商业化道路上并不成功，并于 2017 年退出市场，但其上市彻底打开了基因疗法的大门。

随后多年，多个基因疗法或相关技术产品相继涌入市场：2016 年，葛兰素史克的 Strimvelis 在欧洲获批上市；2017 年，诺华和吉利德分别在美国获批上市的 CAR-T 疗法 Kymriah、Yescarta，以及 Spark Therapeutics 公司一款基于 AAV 载体的基因疗法药物 Luxturna，等等。

海外资本市场上，2020 年基因治疗领域企业 IPO 呈现爆发态势，全年共有 7 家企业上市，募集资金 12 亿美金。在我国，除了首款基因治疗产品今又生和第二个上市的安柯瑞外，针对基因疗法领域正在进行的临床试验多达 20 余项，针对的适应症有 A/B 型血友病、 β -地中海贫血、转移性非小细胞肺癌、食道癌、Leber 遗传性视神经病变（LHON）、自身免疫性缺陷疾病以及各种实体瘤。

与基因治疗临床试验火热开展相同的是，2020 年国内基因治疗领域投资热度也非常高，据不完全统计，国内去年已有多家基因治疗领域相关企业完成了融资，其中有不少企业完成了 2 轮或 2 轮以上的融资。

2020年国内主要基因治疗领域企业融资情况

公司名称	时间	轮次	金额	投资方
和元上海	2020-03-10	B+轮	未透露	倚锋资本,华睿投资,金浦投资
	2020-07-07	Pre-C轮	2亿人民币	丰航投资,乔贝创投,倚锋资本,复容投资,张江科投,正心谷创新资本,浦东科创,盛山资产,金浦投资
	2020-09-23	C轮	3亿人民币	
	2020-12-07	C+轮	未透露	腾讯投资
普瑞金	2020-01-18	股权融资	未透露	天津致远投资
	2020-09-21	股权转让	1.33亿人民币	华邦健康等
	2020-11-16	B轮	1.4亿人民币	海尔医疗,华邦健康,高新创投,国科嘉和
博雅辑因	2020-09-14	股权融资	未透露	红杉资本中国,雅惠投资,昆仑资本
	2020-10-13	B轮	4.5亿人民币	三正健康,红杉资本中国,雅惠投资,昆仑资本,IDG资本,礼来亚洲基金,华盖资本,松禾资本
瑞风生物	2020-01-19	天使轮	未透露	联想控股
	2020-11-02	A轮	近亿元人民币	雅惠投资,联想之星,苇渡投资
威斯克生物	2020-07-14	股权融资	未透露	
	2020-11-17	战略融资	3亿人民币	上海医药,四川发展
克睿基因	2020-04-03	股权融资	未透露	元禾控股,聚明创投
	2020-11-23	股权融资	未透露	岚湖投资
礼新医药	2020-04-28	Pre-A轮	未透露	盈科资本
	2020-07-07	战略融资	未透露	泰福资本,诺曜生物技术有限公司,盈科资本,领承创投
本导基因	2020-03-09	股权融资	未透露	凯旋易细天使投资
	2020-06-22	Pre-A轮	未透露	凯旋创投
Exegenesis Bio	2020-08-03	B轮	数千万美元	凯泰资本,博远资本,君联资本,泰福资本,险峰旗云
安龙生物	2020-07-08	A轮	4,000万人民币	盈科资本
安诺柏德	2020-05-27	股权融资	未透露	
百奥赛图	2020-09-15	D+轮	9.7亿人民币	同创伟业,国寿股权投资,国投创业,招银国际资本,本草资本,百富资本
和度生物	2020-11-17	股权融资	未透露	张江科投
吉凯基因	2020-04-02	C轮	4亿人民币	人福药业,创源InnoSpring,张江科投,潜龙投资,联创永宣,自贸区基金,谱润投资
锦蓝基因	2020-08-03	战略融资	未透露	众合瑞民
晶准生物	2020-03-13	Pre-A轮	未透露	动平衡资本
纽福斯	2020-04-08	A轮	1.3亿人民币	北极光创投,复星同浩,红杉资本中国
希诺谷生物	2020-06-23	B轮	数千万人民币	希诺恒通,顺澄资本
新芽基因	2020-12-22	天使轮	数千万人民币	丹麓资本
宜明细胞	2020-12-16	A轮	1.2亿人民币	中关村发展启航产业投资基金,华盖资本,同创伟业,方富资本,聚明创投

6 CXO/医药外包组织打造优势、规模化发展

进入 21 世纪的第三个十年，CXO/医药外包组织已经贯穿到药品生命周期的全流程，作为医药产业的重要部门，医药外包行业的景气度与医药产业的发展密切相关。

过去十几年，借助医药产业的快速发展，国内医药外包行业也经历了飞速发展并涌现出药明康德、康龙化成等多家平台型头部企业，而药明生物、泰格医药、凯莱英等则在细分领域赛道深耕产业发展，进行横向业务延展。

CXO 行业市场规模主要受下游研发投入和渗透率的影响，如今新药研发市场竞争日趋激烈，新药研发的投入持续增长，药企对于新药研发效率和质量要求也在不断提高，再加上鼓励创新、MAH 制度等政策利好，长期来看未来 CXO 渗透率将持续提升，各细分赛道的头部公司在持续积累下规模和产业链上的优势不断加强，形成长期成长趋势。

2020 年国内 CXO 领域的融资也非常火热，特别是泰格医药登陆港股公开募集逾 107 亿港元，行业影响力进一步提升，CRO 行业进入双巨头时代。可以看到，在医疗领域投资热情较高的市场环境下，细分赛道具有明显技术优势或规模优势的企业受到投资人的认可和追捧。

2020 年国内 CXO 领域融资情况（部分）

企业	细分赛道	轮次	时间	金额
和元上海	基因治疗及细胞治疗 CRO+CDMO	C+轮	2020.12.07	未披露
		C轮	2020.09.23	超3亿人民币
		Pre-C轮	2020.07.07	2亿人民币
		B+轮	2020.03.10	亿级人民币
澳斯康	生物药CDMO+培养基	B轮	2020.07.23	4.5亿人民币
		股权融资	2020.06.19	未披露
赛赋医药	临床前+临床CRO	B+轮	2020.12.29	未披露
		股权融资	2020.12.07	未披露
		B轮	2020.10.11	近2亿人民币
药研社	临床CRO	D轮	2020.08.10	超6亿人民币
		C+轮	2020.08.09	未披露
Bellen(宁远)	高端API CRO+CMDO	D+轮	2020.08.19	未披露
		D轮	2020.06.30	数亿人民币
博志研新	药物研发CRO/CDMO	股权融资	2020.12.28	未披露
		B轮	2020.09.30	过亿人民币
铭研医药	医药研发CRO	Pre-A轮	2020.12.25	未披露
宜明细胞	基因药物CDMO	A轮	2020.12.16	1.2亿人民币
有临医药	肿瘤领域临床CRO	A轮	2020.10.31	超亿元人民币
佰翱得	结构生物学CRO	A轮	2020.10.09	超亿元人民币
臻格生物	大分子生物药 CRO+CDMO+培养基	A轮	2020.03.30	5100万美元
海金格	临床CRO	B轮	2020.04.27	未披露
泰格医药	临床CRO	IPO上市	2020.08.07	107.07亿港元
成都先导	药物研发CRO	IPO上市	2020.04.16	8.35亿人民币

CXO 行业的热度目前还在一直持续，即使 2021 年才刚刚过去 3 个月，作为 CDMO 领域的知名企业，澳斯康在去年连续完成 2 轮融资的前提下，已在今年 3 月初完成了新一轮近 5 亿元的 C 轮融资，显示投资者依然看好细分赛道头部企业的成长前景。

三、2021 年投资热点预测

1 基因疗法相关技术

➤ 腺相关病毒（AAV）递送技术

从 20 世纪 70 年代起，基因工程技术的发明带动了基因传输、获取和编辑等与基因疗法密切相关的关键技术的开发，一些重要的基因工程技术如基因载体技术、基因克隆技术、基因编辑技术等给现代基因疗法技术带来了深刻的影响。

目前，基因疗法领域最热门的技术可以说是腺相关病毒 AAV 载体递送技术、CRISPR 基因编辑技术、单/双碱基编辑技术以及溶瘤病毒基因改造技术等。

腺相关病毒（AAV）最早于在 20 世纪 60 年代中期从实验室腺病毒（AdV）制剂中发现，随后很快就在人体组织中被发现。它具有无致病性、高效的长期基、表达、易于基因操作以及免疫反应低(或在许多情况下缺乏)的特点，这一系列特性使其成为基因递送的重要工具。由于不同 AAV 分型具有不同组织富集效应，科学家也在研究通过 AAV 载体实现靶向治疗的目的。

至今为止，全球已有三款以重组 AAV 为载体的基因治疗药物获批上市，另外还有 AAV 基因治疗药物已提交了上市申请。可以看出 AAV 基因疗法的潜力是巨大的。除了 AAV 病毒，在临床上还在应用的病毒载体包括有腺病毒（AdV）、慢病毒（LV）以及逆转录病毒（RV）。

➤ CRISPR 基因编辑技术及单/双碱基编辑技术

作为基因编辑工具，CRISPR 已经成为生物医学领域的最热门技术。目前，CRISPR 技术发展的相当成熟，2020 年更是荣获诺贝尔化学奖，有望帮助各类遗传性基因疾病患者获得新的治疗途径。

在 CRISPR 技术广泛运用于基因疗法领域的同时，诸如基于 CRISPR-Cas13 家族的 RNA 编辑等技术，可对 RNA 进行编辑、敲除、检测、追踪及成像等，值得业界关注。

另一类值得关注的进展是单/双碱基编辑技术，由于许多基因组突变发生在单个碱基中，这对基因编辑提出了更加精确的要求，针对此，CRISPR 系统的单碱基基因编辑技术应运而生。但单碱基编辑系统存在严重的脱靶效应，同时会诱导大量基因突变，另外还存在着编辑窗口单一、编辑转化效率不高等缺点，故而一种能够搜索和替换（碱基）的基因编辑器先导编辑器（Prime Editor, PE）被开发出来，可在不依赖 DSB 和供体 DNA 的条件下便可有效实现所有 12 种碱基转换并有效实现多碱基的精准插入。

➤ 溶瘤病毒基因改造技术

溶瘤病毒（Oncolytic Virus, OV）是一类能选择性感感染和杀伤肿瘤细胞的病毒，具有

特异性复制能力，并能激发机体产生抗肿瘤免疫反应。通过对自然界存在的一些致病力较弱的病毒进行基因改造造成特殊的溶瘤病毒，利用靶细胞中抑癌基因的失活或缺陷从而选择性地感染肿瘤细胞，在其内大量复制并最终摧毁肿瘤细胞。

随着重组病毒基因组改造技术的逐渐成熟，溶瘤病毒疗法技术已广泛运用于实践。近几年，溶瘤病毒基因改造技术重新回归到大家的视野中，成为国内外基因疗法研发领域的星星之火，值得期待。

2 RNA 疗法

RNA 疗法，指以 RNA 为基础的药物或疫苗，主要分为寡核苷酸、mRNA 和 RNA 相关小分子三种不同的类别。2020 年，基于 mRNA 技术新冠疫苗的快速、高效开发和获批应用，为 RNA 疗法吸引了更多的关注。

随着去年 8 月第一个获批的靶向 RNA 的小分子 Evrysdi (risdiplam) 上市销售，第三季度累计销售额达 890 万美元，去年 12 月 BioNTech 和 Moderna 的 mRNA 疫苗也相继获批，有理由相信 RNA 疗法这股热度在 2021 年乃至未来多年内，将持续升温。

目前 RNA 疗法的头部企业大部分为中小型生物科技公司，大型跨国药企主要通过和少数几家头部 RNA 生物技术企业深度合作参与其中。根据 2020 年 Nature Reviews Drug Discovery 上综述文章 RNA therapeutics on the rise 的报道，共有包含 mRNA 疫苗在内的四百多个 RNA 靶向药物开发项目处于临床研究的各个阶段，可以预见未来将有多项 RNA 疗法获批上市。

而与全球管线相比，本土企业在 RNA 领域跟进较慢，以小型生物技术公司和 CRO 公司为主，大型药企布局较少。且现有项目主要布局 siRNA 和 mRNA 技术领域，阶段较为早期，竞争尚不激烈。建议投资者关注在核酸水平修饰、递送系统等方面拥有创新技术，以及在不同疾病领域拥有管线布局的创新生物医药企业。

3 细胞免疫治疗

FDA 在 2017 年先后批准了诺华的 Kymriah (淋巴瘤) 与吉利德的 Yescarta (白血病) 这两个 CAR-T 细胞免疫疗法的上市，使得过去几年大量的企业在资本的加持下涌入免疫细胞治疗赛道。尤其是血液肿瘤这个本就不大的赛道上，挤入了几十家企业，这种竞争局面和 PD-1/PD-L1 领域非常类似。

我们认为，CAR-T 以及在血液瘤领域能够证明自己具有商业化能力（研发报证、规模化生产、销售体系）的公司才具备投资价值，而对于其他处在商业化前期阶段的企业，必须要有过硬产品（更确切的疗效、更好的安全性、更低的成本）来证明自己。

相对来讲，像 TILs、U-CART、CAR-NK、TCR-T 等处在发展中的技术或可针对实体瘤的 CAR-T 疗法，可能具有更多投资机会。但这类技术面临着同样的问题，就是还没有成功上市的产品作参考案例，这对于投资者来讲是巨大的挑战。

➤ TILs 免疫疗法

TILs 疗法的免疫细胞来源于浸润肿瘤组织，通常要确定患者体内的特定突变，利用突变信息找到能够有效瞄准这些突变进行打击的 T 细胞，然后提取 T 细胞。这些 T 细胞可精准识别癌细胞，经体外培养扩增等一系列操作后，重新输入患者体内，发挥抗肿瘤作用。TILs 免疫疗法目前还只处于临床试验阶段。

作为一种高度差异化、定制化和靶向性的免疫疗法，TILs 疗法在有效性、安全性和可及性方面仍存在一定的局限性：如从浸润肿瘤组织中分离出特异性 T 细胞的操作难度大，尚无统一规范，以及 T 细胞会被肿瘤微环境抑制等。

➤ 通用型 CART (U-CART) 疗法

通用型 CART 作为一种新一代免疫治疗产品，具有可工业化生产、质量稳定、成本低、适用更多病人、周期短等无可比拟的优势。

但一直以来，FDA 对进入临床研究的同种异体疗法的安全性问题都保持高度警惕。尤其过去几年，曾发生多次 U-CART 相关临床研究被叫停的事件。这主要是因为异体型 T 细胞上的抗原受体 TCR 可能会识别接受者体内的异体抗原，从而引发移植物抗宿主病 (GVHD)。

此外，异体 T 细胞上的 HLA 表达也会迅速地引起宿主免疫细胞排斥反应。而如何最大限度减少或者避免安全性问题的出现是这类技术成功的关键。

➤ CAR-NK 疗法

自然杀伤细胞 (NK) 是一组独特的抗肿瘤效应细胞，具有不受 MHC 限制的细胞毒性、产生细胞因子和免疫记忆等功能，使其成为先天性和适应性免疫反应系统中的关键角色。与 CAR-T 细胞相比，CAR-NK 细胞具有自己独特的优点，如更安全、更小的机体毒性，对同种异体 NK 细胞的良好耐受性，除了通过单链抗体识别肿瘤表面抗原来抑制癌细胞外，NK 细胞还可以通过多种受体识别各种配体来抑制癌细胞。同时 NK 细胞的来源丰富，在适当的培养条件下容易扩大，以进行广泛的临床应用。

目前，有几种针对血液恶性肿瘤以及实体恶性肿瘤治疗的 CAR-NK 细胞临床试验正在进行中。

➤ TCR-T 疗法

TCR-T 是给 T 细胞转入一个人工 T 细胞受体 (TCR) 基因，这个人工 TCR 是某种能识别患者肿瘤的 TCR 序列，从而代替天然 TCR 行使识别靶细胞的功能。TCR-T 可以靶向任何一种“非己”的蛋白，有着更广泛的适用人群，其机制也更接近 T 细胞的天然机制 (依赖 TCR)，毒副作用相对较低。

3 RNA 疗法

RNA 疗法，指以 RNA 为基础的药物或疫苗，主要分为寡核苷酸、mRNA 和 RNA 相关小分

子三种不同的类别。2020 年，基于 mRNA 技术新冠疫苗的快速、高效开发和获批应用，为 RNA 疗法吸引了更多的关注。

随着去年 8 月第一个获批的靶向 RNA 的小分子 Evrysdi (risdiplam) 上市销售，第三季度累计销售额达 890 万美元，去年 12 月 BioNTech 和 Moderna 的 mRNA 疫苗也相继获批，有理由相信 RNA 疗法这股热度在 2021 年乃至未来多年内，将持续升温。

目前 RNA 疗法的头部企业大部分为中小型生物科技公司，大型跨国药企主要通过和少数几家头部 RNA 生物技术企业深度合作参与其中。根据 2020 年 Nature Reviews Drug Discovery 上综述文章 RNA therapeutics on the rise 的报道，共有包含 mRNA 疫苗在内的四百多个 RNA 靶向药物开发项目处于临床研究的各个阶段，可以预见未来将有多项 RNA 疗法获批上市。

而与全球管线相比，本土企业在 RNA 领域跟进较慢，以小型生物技术公司和 CRO 公司为主，大型药企布局较少。且现有项目主要布局 siRNA 和 mRNA 技术领域，阶段较为早期，竞争尚不激烈。建议投资者关注在核酸水平修饰、递送系统等方面拥有创新技术，以及在不同疾病领域拥有管线布局的创新生物医药企业。

4 小分子靶向药物技术 PROTAC

靶向蛋白降解嵌合体 (PROTAC) 不同于传统的小分子抑制剂，采用事件驱动 (event-driven) 的药理学作用模式，即靶蛋白降解，而非传统的小分子占据驱动模式 (occupancy-driven)，即通过结合使靶蛋白失活。

目前的 PROTAC 分子多使用基于结合 E3 的小分子，共包括三部分，一端靶向目标蛋白，另一端与泛素 E3 连接酶结合，中间通过 linker 连接。PROTAC 可拉近靶蛋白与 E3 连接酶从而促进靶蛋白的泛素化，使其进入泛素-蛋白酶体降解途径，达到降解靶蛋白的目的。

目前仅有 10% 的蛋白可通过小分子调控，10% 的蛋白位于胞外可通过大分子调控剩余的 80% 则被认为不可成药。对比来看，传统的靶向药需要与目标蛋白牢固结合，而 PROTAC 仅需与目标蛋白弱结合便可对其进行特异性标记，因此 PROTAC 可靶向目前被认为不可成药的蛋白。

迄今为止，KRAS、BRD4、RIPK2、ERR α 、BRD9、TBK1、Sirt2、CDK9、p38 α 、Pirin、c-Met、EGFR、FAK、FLT3 等蛋白已先后被报道可利用 PROTAC 技术进行降解。

除作用靶点广，PROTAC 因直接起到靶蛋白降解的催化作用，选择性更高，且可避免因突变等产生的耐药问题，同时只需较低的化合物浓度便可以达到很高的降解效率，可潜在降低用药毒性。

目前 PROTAC 领域内 Arvinas 是进展最快的公司，用于治疗前列腺癌的雄激素受体 (AR) 降解剂 ARV-110 已进入临床 1 期，后续还有针对雌激素受体 ER 和针对 τ 蛋白的降解剂。Kymera 公司靶向 IRAK4 的蛋白降解剂预计在 2021 年开展临床试验。行业内其他玩家包括 C4 therapeutics、Captor therapeutics、Nutrix、Celllida、Vividion、Cullgen 等。

PROTAC 整体尚处于研发早期阶段，还有诸多难点亟待攻克，例如分子量大、三联复合物成药性差、E3 泛素连接酶数量有限、脱靶毒性等。目前 PROTAC 领域的探索仍以验证较多

的靶点为主，如 AR、KRAS 等，未来能够降解以往“不可成药”靶点的产品才会更有希望成为下一个重磅药物。

5 精准导向的“生物导弹”ADC

ADC 药物是一类由抗体、Linker 和细胞毒性药物组成的靶向生物药剂，其中抗体部分与肿瘤细胞表面的抗原结合后，ADC 被肿瘤细胞内吞并在溶酶体中分解，释放出活性毒素，破坏 DNA 或阻止肿瘤细胞分裂，起到杀死肿瘤细胞的作用。

ADC 兼具抗体的特异性以及小分子的杀伤力，和传统的抗体相比，ADC 因为能在肿瘤组织内释放高活性的细胞毒素从而理论上疗效更高，相比化疗全身性副作用小、拥有更大的治疗窗口。

目前全球共有 10 款 ADC 获批上市，其中 anti-CD30 的 Adcetris 和 anti-HER2 的 Kadcyla 和已在中国获批，2020 年 Adcetris 全球销售收入达 10.6 亿美元，Kadcyla 销售收入 17.45 亿瑞士法郎。目前，根据公开数据的检索，全球共有 119 款 ADC 产品处于临床阶段，主要靶点为 HER2、EGFR、TROP-2、PSMA 和 CD19。

在 ADC 药物的研发过程中，三个部件的选择都至关重要。靶点的选择和抗体的质量决定了 ADC 对肿瘤细胞的亲和力，Linker 的类型决定了药物的稳定性，毒素的选择决定了药物的杀伤力和副作用。ADC 到目前已发展了第三代。

第一代药物以 Mylotarg 为代表，Mylotarg 因选择不稳定的腙键作为 Linker 导致药物在血清中过多解离产生脱靶效应且有效性减弱。

第二代的 Adcetris 和 Kadcyla 对抗体、Linker 和毒素部分都进行了优化，例如 Kadcyla 曾头对头打败过曲妥珠单抗，但第二代 ADC 仍是化学方式偶联，抗体偶联比（DAR）均一性差，影响药代动力学且容易产生毒副作用。

第三代 ADC 得益于定点偶联技术的发展，包括 Thiomab 技术、ThioBridge 技术、引入非天然氨基酸法和酶催化法等，使得 ADC 拥有均质单一性在体内更加稳定，用药窗口得以提升。

目前新的偶联技术已为 ADC 打开了更广阔的空间，同时新型的毒素如 PBD、SN-38 等也被逐渐用于药物研发，ADC 赛道已渐入佳境。未来使用不同靶向蛋白或有效杀伤药物的广义 ADC 也值得期待。

6 肠道菌群相关微生物药物

肠道微生物是近年来的研究热点，但过去十年都未曾给出确定性的结果。

2020 年三项微生物药物临床试验的成功再次激发了人们对于调节肠道微生物治疗疾病的关注。

Finch Therapeutics 在 6 月份公布的 II 期试验数据表明其产品能够带来统计学意义上显著的临床获益：在 206 例患者临床二期试验（PRISM3）中，接受 CP101 单次给药的复发性

CDI 患者中 74.5% 在第 8 周达到了持续的临床治愈，与对照组患者的 61.5% 相比，改善具有统计学意义 ($p < 0.05$)。Seres Therapeutics 公司在去年 8 月报告称其 SER-109 (粪便细菌纯化制剂) 在 III 期临床试验中达到了主要临床终点。与安慰剂相比，SER-109 治疗能够使艰难梭菌相关性肠炎的发生率下降超过 30%，Seres Therapeutics 将会以此为基础提交 BLA 申请。

上述临床研究成功推动了资本市场的热情，Finch Therapeutics 也在公布 II 期实验数据后的第 3 个月宣布完成了高达 9000 万美金的 D 轮融资。而在 Seres 公司公布其临床试验结果的当天，公司股价飙升了 389.22%。

除了利用肠道微生物治疗复发性艰难杆菌感染、溃疡性结肠炎、炎症性肠病等病症外，还有很多适应症处于早期临床阶段，如哮喘、类风湿性关节炎、神经退行性疾病、NASH 等。此外，研究发现部分微生物的作用是诱发而非稳定免疫反应，这一特点可能有助于增强免疫肿瘤学 (IO) 药物的疗效。为此百时美施贵宝 (BMS) 投资了微生物企业 Vedanta 并开展微生物-药物 (Opdivo) 组合的 I 期试验。默沙东也与 4D Pharma 和 Evelo Biosciences 合作，评估选定的微生物物种是否可以加强其药物可瑞达 (Keytruda) 的效果。

特别是肠道菌群背后是一个庞大的菌群库且充满各种潜在的药效机制，一旦在此领域有产品获批上市，就意味着一个巨大的市场即将开启。

日期	微生物组公司	合作公司	交易概况
2020年6月	Debiopharma	武田制药	Debiopharma与武田合作开发肠道微生物疗法治疗炎症性肠炎 (IBD) 及其他肠道疾病
2020年4月	Second Genome	吉利德	Second Genome将与吉利的合作, 共同明确吉利德公司备选IBD临床药物及靶点 (5个) 相关的生物学指标。吉利德将向Second Genome支付3800万美元的预付款。
2020年2月	Enterome	BIOASTER	Enterome与BIOASTER合作探索基于微生物组的肿瘤免疫治疗机制
2019年11月	Finch Therapeutics	武田制药	Finch将扩大与武田的合作, 利用其Human-Fist Discovery平台开发微生物组学药物
2019年10月	4D Pharma	MSD	4D Pharma与默沙东签署研究协议开发活体生物疫苗, 交易金额高达3.475亿美元
2019年3月	Seres Therapeutics	阿斯利康	Seres Therapeutics宣布与阿斯利康合作评估肠道微生物在增强肿瘤免疫治疗方面的价值
2018年11月	Vedanta Biosciences	杨森	Vedanta Biosciences与杨森公司签署合约开展I期试验评估VE2020治疗IBD的效果, 该交易的后续里程碑款项为1200万美元
2018年10月	Enterome	武田制药	Enterome与武田签署授权许可及共同开发协议, 包括5000万美元的预付款和最高4.6亿美元的里程碑款项, 用于开发EB8018治疗克罗恩病
2018年6月	Microbiotica	基因泰克	Microbiotica与基因泰克签署价值5.34亿的合约, 利用其精准宏基因组学微生物组平台开发新的IBD相关生物学指标、治疗靶点以及治疗方法
2018年4月	Rebiotix	辉凌医药	辉凌医药收购了Rebiotix及其旗下的微生物种群恢复性治疗平台和正在开发中的可用于治疗艰难梭菌感染的候选药物RBX-2260

四、20 家值得关注的公司

1 具有优势的创新药企业

➤ 维昇药业

维昇药业成立于 2018 年，致力于成为内分泌相关治疗领域的专家，将全球领先的治疗方法 & 药品引入中国，期望让更多的中国患者更早地受惠于全球先进可靠的治疗方案。维昇自 Ascendis 获得其旗下内分泌治疗方案的独家授权，将在大中华区（中国大陆及港澳台等）开发并推广该项治疗方案。

➤ 嘉因生物

嘉因生物成立于 2019 年，是一家在基因治疗领域具有丰富 GMP 规模化生产能力的制药公司。自成立以来嘉因生物经过快速发展，在研发、工艺和生产等环节构建了中国基因治疗公司少有的完整并且有实际操作经验的核心团队，公司拥有深度的技术储备，有望成为国际上有创新能力和影响力的基因治疗公司。公司的愿景是为人类攻克难治疾病，提供划时代的、一次性治愈的、安全有效的、病人支付得起的基因治疗药物。

➤ 斯微生物

斯微生物于 2016 年在上海张江成立，是国内 mRNA 药物及高端纳米制剂平台的领军企业，公司拥有独特创新的 mRNA 合成平台和 LPP 纳米递送平台，其 COVID-19 疫苗有望于 2021 年年内问世。

➤ 凌科药业

凌科药业成立于 2017 年，致力于发现和开发用于治疗癌症以及免疫和炎症性疾病的新药。凌科药业由来自辉瑞(Pfizer)、默克(Merck)和强生(Johnson&Johnson)的资深药物研发专家 and 高管共同创立，他们在药物发现领域共拥有累计超过 70 年的丰富经验。凌科药业成功开发出多个自主研发的一类新药，2020 年已完成 3 个临床申报并成功获得中美临床实验许可。

➤ 科越医药

科越医药成立于 2017 年，致力于开发治疗免疫介导疾病的补体靶向疗法。公司已开发药物发现平台 LOGIC，具有独特的补体基因人源化小鼠模型，可利用临床前疾病模型进行先导药物优化，以确定最佳靶点，能够克服补体药物发现过程中的各种挑战，并且能够以慎密的创新方法调节补体系统，以此彻底改善补体介导疾病患者的生活。

➤ 瓊黎药业

瓊黎药业是一家专注于血液瘤、实体瘤与肾病治疗研发的创新药公司，拥有一支具有国际视野与资源的资深管理团队，凭借对药化设计与转化医学的深入理解，打造高度源头创新与高度成熟的 FIC 与 BIC 小分子药物。瓊黎药业共有三个候选药物处于临床阶段，多个候选药物将于 1-2 年内进入临床，其中 PI3K δ 抑制剂在同靶点中有效性及安全性均具有优势，

已获得 FDA 与 NMPA 多项认证，目前该产品在中国与恒瑞达成合作并获得恒瑞 2000 万美元的股权投资。

➤ 百力司康

百力司康于 2017 年 12 月在浙江省杭州市成立，是一家由多位留美海归博士共同创建，拥有自主知识产权的生物医药研发型临床阶段企业，专注于抗肿瘤的生物创新药研发和产业化。公司核心团队拥有在这一领域多个产品研发和产业化的成功经验，以及多种产品技术平台。秉承着“集百家之力，司大众之康”的公司核心价值理念，百力司康与国内外生物医药公司密切合作，推进具有国际竞争力的 FIC/BIC 生物创新药。

➤ 爱科诺

爱科诺生物医药是一家专注于 FIC 或 BIC 的创新药企业。公司的研究方向是“细胞死亡-炎症”回路，其主攻方向之一是调节性细胞死亡在疾病中的作用机制和关联靶点的成药性，目前已拥有丰富的自主研发产品管线，并有多项专利在中国和美国获批。

➤ 葆元医药

葆元医药成立于 2018 年，是一家国际化、专注于肿瘤领域的临床阶段生物制药公司，在中国和美国都有运营。目前，葆元医药正在开发三个处于临床阶段的、肿瘤领域的药品。其中进度最快的 Talatrectinib (ROS1/NTRK) 目前正在中国及全球开展 2 期单臂注册临床试验。

➤ 劲方医药

劲方医药由资深海归药物开发专家于 2017 年成立，以未满足临床需求为出发点，以疾病生物学机理和临床转化医学为核心，深入研究肿瘤信号通路、肿瘤免疫微环境及免疫调节等领域的最新生物学机制，致力于原创型“全球新”药物开发。

2 细分领域潜在行业龙头

➤ 极目生物

极目生物致力于成为中国领先的眼科企业，专注于开发具有高商业价值的突破性眼科新药，布局例如基因治疗、罕见病等高科技领域，以解决眼科疾病中尚未满足的临床治疗需求，引领中国眼科治疗市场。

➤ 长风药业

长风药业是一家专注吸入给药技术开发的集研发、生产、销售为一体的高科技创新型制药企业，研发产品涉及哮喘、慢性阻塞性肺病 (COPD)、过敏性鼻炎等多个临床需求大的治疗领域。

➤ 澳斯康

澳斯康是一家以培养基和 CDMO 为主导的全球性生物制药研发、生产服务企业，罗顺博士带领的国际化团队具备二十年以上跨国药企的实战经验，目前已服务了超过 100 家海内外客户。

➤ 曙方医药

曙方医药是中国罕见病药物的先行者，专注于神经免疫、肺循环、血液系统、遗传代谢四大罕见病领域，致力于打造中国罕见病药物治疗领域的领先企业，为中国罕见病患者提供具有临床可及性的产品，为罕见病治疗药物提供具有成功前景的商业解决方案。

➤ 剂泰医药

杭州剂泰医药是全球首家以人工智能驱动药物制剂开发的新创公司，团队结合了高通量制剂平台及人工智能计算等技术，为药企提供快速、精确的智能化制剂研发。杭州剂泰医药是由美国工程学院院士及多位麻省理工(MIT)科学家组成的跨中美顶尖团队，除了具备高端制剂研发技术，也拥有临床试验、FDA 批准的独特经验。公司致力在癌症、传染性等疾病等开发制剂新药，为患者带来优质高效的药物。

➤ 和誉生物

和誉生物是一家小分子靶向药物研发商，主要研究用于治疗肿瘤、感染、肝病及中枢神经类等多种疾病的创新型药物，同时拥有数种药物在中国和全球的分销权，已与阿斯利康和 X4 Pharmaceuticals Inc 等制药公司达成合作。

➤ 和元生物

和元生物是一家集基因功能基础研究服务、细胞和基因治疗药物孵化、临床级细胞和基因治疗药物商业生产服务三大发展方向于一体的高新技术企业。打造了中国第一家完全满足欧美 GMP 标准的病毒生产平台，为国内唯一一家同时具备基因治疗用 AAV 载体、细胞治疗所需慢病毒载体及多种溶瘤病毒从小试、中试到临床和商业化规模 GMP 生产能力的 CRO/CDMO/CMO 全链条服务公司。2020 年，为满足爆发性增长的基因治疗药物 CDMO 服务需求，公司在中国（上海）自由贸易试验区临港新片区启动建设近 8 万平米的和元智造精准医疗产业基地，争取两年内建设完成基因和细胞治疗临床及商业化药物 CMO 生产基地，服务全球客户。

➤ 华大吉诺因

华大吉诺因是领先的 AI 驱动个性化肿瘤免疫治疗公司。公司依托华大的领先数据积累，基于团队顶尖的深度学习、生信与肿瘤免疫经验，利用 AI 预测肿瘤新抗原并开发个体化肿瘤免疫疗法。

➤ 博雅辑因

博雅辑因致力于通过国际前沿的基因组编辑技术，为多种遗传疾病和癌症加速药物研究

并开发创新疗法。公司针对输血依赖型 β 地中海贫血的 CRISPR/Cas9 基因编辑疗法产品 ET-01 的临床试验申请已获 NMPA 批准，获得国内首个基因编辑疗法的 IND 批件。

➤ 先通医药

先通医药是一家专业从事放射性药物创新型医药企业，是国内放射性药物领域的领军企业，已完成产业链上下游的初步布局。公司依托全球领先的放射性药物和单克隆抗体药物领域的研发资源，在肿瘤、神经退行性疾病和心血管领域布局了多款靶向治疗和精准诊断放射性药物，目前公司管线已有四个诊断药品和两个治疗药品进入临床试验阶段。

作者 | 张骁 何西 刘慎翔 卜佩璇

编辑 | 郭邦晖 吴靖

制图 | 李鑫 赵毅