公司代码:688238　　公司简称:和元生物

上海和元生物技术(集团)股份有限公司 2025 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 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,公司细胞和基因治疗业务总体收入有所增长,但 CDMO 业务继续受下游投融资需求等因素影响,执行订单价格仍处于较低水平,同时临港基地运行规模大,折旧摊销、能耗以及日常维护等刚性运营成本较高,导致 CDMO 业务毛利率有所回升但仍为负值,公司整体处于亏损状态,但整体亏损面呈收窄态势。

细胞和基因治疗是生物医药行业未来的重点发展方向,国家和地方不同层级产业政策持续给予大力支持,随着国内外投融资环境改善、行业调整逐步完成以及公司临港产业基地产能爬坡释放,公司通过 AI+ 技术提升研发效率、“1+N”多中心策略加快再生医学布局、推动重点客户项目商业化进程等积极措施,发挥业务全面性、技术多样化、项目成功经验丰富及大规模产能等优势,为更多元的客户提供从实验室研究到商业化生产的“一站式”服务,不断提升自身竞争力和盈利能力,以实现企业可持续发展目标。

3、本公司董事会及董事、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 2026 年 4 月 17 日召开第四届董事会第七次会议,审议通过了《关于(2025 年度利润分配方案)的议案》,由于公司 2025 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,2025 年度公司拟不派发现金股利,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会审议通过。

母公司存在未弥补亏损

√适用 □不适用

截至报告期末,公司母公司财务报表中存在累计未弥补亏损人民币 134,968,799.35 元。

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

1.1 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	上海证券交易所创板	和元生物	688238	不适用

1.2 公司存托凭证简况

□适用 √不适用

1.3 联系人和联系方式

	董事会秘书	证券事务代表
姓名	徐艳媛	赵雯
联系地址	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
传真	021-55230688	021-55230688
电子信箱	zhengquanbu@obiosh.com	zhengquanbu@obiosh.com

2、报告期公司主要业务简介

2.1 主要业务、主要产品或服务情况

公司聚焦并深耕细胞和基因治疗技术服务领域多年,专注于为细胞和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;为细胞和基因治疗药物的研发提供工艺开发及测试、IND-CMC 药学研究、临床样品及商业化产品的 GMP 生产等 CDMO 服务;为再生医学及抗衰领域提供细胞制备、重组蛋白/外泌体等细胞衍生物生产、细胞存储等技术服务。此外,公司还从事生物原料、生物制剂、试剂及其他产品的生产与销售。

公司具备丰富的腺病毒相关病毒、溶瘤病毒、细胞治疗等领域主流细胞和基因治疗的载体技术、工艺和 GMP 生产经验;拥有近 5,000 平方米研发中心及 77,000 平方米临港新片区和元智造精准医疗产业基地(简称“临港产业基地”);公司基于自主搭建的分子生物学平台、实验级病毒载体包装平台、细胞功能研究平台、SPF 级动物实验平台、临床级基因治疗载体和细胞治疗工艺开发平台、质控技术研究平台及细胞存储平台等全面的技术平台,围绕细胞和基因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,持续为科研院所、新药研发企业、医疗机构等客户提供全方位细胞和基因治疗 CRO/CDMO 服务,贯穿药物发现、临床前药学研究、临床及商业化生产各阶段及其他健康领域的应用。

图 1、公司主营业务示意图

公司提供的细胞和基因治疗相关服务及产品情况如下:

业务类别	服务/产品类型		具体服务/产品说明
细胞和基因治疗 CRO 业务	基因治疗载体研制服务		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
	基因功能研究服务		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
	基因检测服务		提供基因组、转录组、蛋白组、代谢组以及单细胞和空间组学等测序服务、生物信息分析及其他检测服务
细胞和基因治疗 CDMO 业务	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、细胞成毒株三级建库服务、制剂罐装服务、稳定性研究服务、AAV 血清型筛选服务等临床新药研究配套服务
	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、工艺验证、制剂灌装等临床及商业化生产配套服务
再生医学服务业务	再生医学制备服务	细胞制备服务	提供再生医学领域细胞的工艺开发和制备服务,包括外类干细胞、目体/异体免疫细胞等的生产及检测等服务
		细胞衍生物制备服务	提供再生医学领域细胞的外泌体等细胞衍生物的生产及检测等服务
	细胞存储及配套服务		包括干细胞、免疫细胞等存储及相关配套服务
生物制剂、试剂及其他	生物原料、生物制剂产品		用于科研、药物研发的质粒、病毒、外泌体等目制生物原料、生物制剂产品
	试剂、试剂盒及其他产品		目纤研发用于开展基因功能研究、病毒辅助感染、质粒转染等试剂及试剂盒,以及各类细胞生物学、分子生物学、免疫学和生物化学相关的实验试剂及试剂盒、化妆品等其他产品销售

2.2 主要经营模式

2.2.1 商业模式

公司采取了“院校及机构合作+细胞基因治疗先导研究+细胞基因治疗产业化”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、细胞和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,并通过与医疗机构、政府等多方位合作,深入了解市场需求并扩大业务应用场景;2)通过覆盖先导研究,从细胞和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)通过提供细胞、各类载体制备工艺开发和 GMP 生产服务,在助力细胞和基因治疗药物、再生医学产品等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Know-how,不断提高核心技术竞争力。

该商业模式下,公司可提供从细胞和基因治疗先导研究到药物及再生医学产品商业化的全方位服务,产生业务协同效应,不断巩固技术研发基础,持续提升市场竞争力。

2.2.2 研发模式

公司高度重视研发效率,采用自行研发模式,不断形成自有知识产权。

公司的研发需求主要来源:1)根据市场需求趋势发起的新型或改良型基因治疗载体及细胞技术开发;2)根据细胞和基因治疗行业技术趋势发起的新型载体及细胞技术开发;3)项目运行过程中产生的产品、技术及工艺研发需求。公司围绕研发需求持续开展基因治疗载体、细胞技术的研发和大规模生产技术研究,形成公司两大核心技术集群,可以持续强化基础底层技术水平及产业化细胞和基因治疗开发服务能力。

2.2.3 采购模式

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。

公司制定并不断完善相关采购管理制度,明确各方管理职责、采购流程规范及不同物料的管控标准;落地实施一系列标准化采购操作程序,规范采购相关行为,确保采购决策合规透明。公司采用合格供应商机制,对潜在供应商的基本概况、经营状况、质量管理体系、商业信誉等方面进行审查,确保纳入采购范围的均为合格供应商,所需物料均在合格范围内采购。

2.2.4 销售模式

由于细胞和基因治疗 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,辅助经销代理。在直销模式下,1)面向科研类客户:公司主要通过拜访科研单位的课题组、召开技术研讨会、学术交流会等方式,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)面向新药研发企业及医疗机构: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,明确技术服务内容后,由公司技术人员提供定制化的详细技术方案和报价,经公司质量部门、GMP 生产部门和财务部门等确认,最终与客户达成一致后,签订商务合同,形成订单。在经销代理模式下,公司选取具备丰富技术服务经验和业务资源的合作方,与合作方签订经销或代理协议,由合作方与终端客户确定具体服务或产品需求后,向公司下达订单。

2.3 所处行业情况

2.3.1 行业的发展阶段、基本特点、主要技术门槛

公司主要从事细胞和基因治疗 CRO/CDMO 业务,在不断积累的核心技术集群加持下,持续为行业发展及细胞和基因治疗药物发现、再生医学应用提供全方位支持。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”。

2.3.1.1 细胞和基因治疗行业发展情况

细胞和基因治疗是一类通过基因修饰或基因替换完成疾病治疗的先进疗法,是继小分子、大分子靶向治疗之后的新一代精准疗法,为肿瘤、神经系统疾病、基因遗传病、感染性疾病、糖尿病等危害人民健康的疾病提供了新的治疗理念和手段,其靶向基因的原理为疾病根治提供了可能性,引领着生物医药领域新的变革,根据《Gene,Cell,&RNA Therapy Landscape:Q4 2025 Quarterly Data Report》行业报告,截至 2025 年末,全球总计超过 40 款细胞和基因治疗产品(不含非经基因修饰的细胞疗法及 RNA 疗法)陆续获批上市,行业呈现快速发展的趋势。

仍处于成长期的细胞和基因治疗有着明确的广阔发展前景,但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,呈现多元化格局。中小型及初创公司占比高的同时,大型成熟企业积极布局相关管线及产品,其资金实力、技术水平、运营能力、产品管线存在较大差异,必然导致行业的出清及再发展,表现为高成长性行业发展的典型特征。近些年来,细胞和基因治疗与再生医学领域的技术突破形成协同创新,产业转化及应用拓展表现积极,同时也面临跨领域技术整合与产业化标准建立的挑战。

1)细胞和基因治疗相关技术多元化发展并快速迭代

随着 AI 技术的飞速发展,AI 深度赋能细胞和基因治疗药物及载体研发,基因编辑技术及递送技术创新的持续优化,推动 CGT 发展与突破。近年来①通过 AI 技术融合更高效地提升了基因编辑技术研究进展;②病毒载体(如腺相关病毒 AAV、慢病毒)优化大幅提高了基因传递的效率和安全性;③非病毒载体(如脂质纳米颗粒)的进步则降低了免疫反应风险及载体靶向性并提升了大规模生产的可行性。技术融合(如基因编辑 +AI)与国际化合作成为实现多疾病领域扩展(如心血管、神经退行性疾病)的核心驱动力,产业技术呈现多维度及快速迭代发展的趋势,为行业带来了前所未有的机遇。

多维度技术突破与融合催生出了更多创新的细胞和基因治疗方式,例如在体内 CAR-T 方面,Umoja Biopharma 的 VivoVec?平台利用慢病毒载体在体内生成 CAR-T 细胞,其首个产品 UB-VV111 在 2026 年 2 月公布的 I 期数据中,对复发难治 B 细胞非霍奇金淋巴瘤显示了积极的临床效果;在干细胞方面,德国 Catalent 杜塞尔多夫团队于 2025 年在《Scientific Reports》报道其开发出完全符合 GMP 标准的 iPSC 基因编辑新流程,大幅提高靶向敲入率;北京大学邓宏魁团队优化的化学重编程的小分子组合将诱导周期从 50 天缩短至 16-30 天,效率最高达 31%。这些研究成果都为 iPSC 未来的临床应用转化提供了标准化、低毒化、规模化的核心技术支撑,加速了通用型现货细胞疗法(如 iPSC 衍生心肌细胞、胰岛细胞疗法)从实验室走向临床应用。

此外,结合行业全产业链条的技术升级,如自动化封闭式生产工艺、新型生物反应器技术及先进的培养、修饰、扩增体系,逐步解决细胞和基因治疗药物生产工艺复杂,成本高,周期长等技术瓶颈,从而更好地提升细胞和基因治疗产品的安全性、有效性及可及性。

2)细胞和基因治疗产品开发与商业化进程持续加速

细胞和基因治疗领域的相关临床管线持续向中后期推进。据最新的《Gene,Cell,&RNA Therapy Landscape:Q4 2025 Quarterly Data Report》报告显示,截至 2025 年末,全球已拥有累计超过 4,164 条基因治疗(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,较 2024 年增长 15%,其中在 2,040 条基因治疗管线中,416 个项目处于 II 期临床及之后,占比提升至 20%。临床前管线向临床转化效率显著提高,将拉动临床后期及商业化阶段相关服务需求增长。新的关注市场包括心血管、神经系统、血液学及自身免疫性疾病领域。

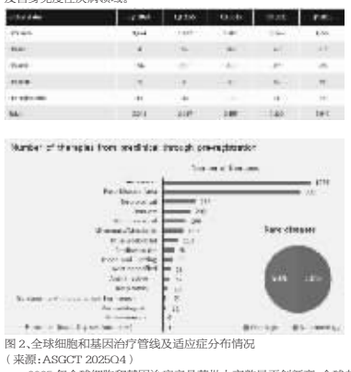


图 2、全球细胞和基因治疗管线及适应症分布情况

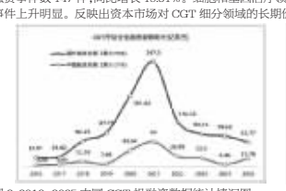
(来源:ASGCT 2025Q4)

2025 年全球细胞和基因治疗产品获批上市数量再创新高,全球共 11 款产品获批(不含小核酸药物),其中中国上市药物 4 款均为细胞治疗类药物。

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
2025年 1 月	艾米迈托赛注射液	睿能生	能生卓越	中国	激素治疗失效的急性移植物抗宿主病	中国首款 MSC 治疗药物
2025年 3 月	revakinagene taroretcel-lwoy	Encelto	Neurotech	美国	成人特发性 2 型黄斑毛细血管扩张症	FDA 批准的首个专门治疗这种疾病的药物
2025年 4 月	prademagene zamikeracel	zevaskyn	Abeona	美国	隐性营养不良型大疱性表皮松解症(RDEB)	全球首款用于治疗 RDEB 的基于细胞的基因疗法
2025年 4 月	波顺达可基注射液	信达爱	信念医药	中国	中重度血友病 B 成年患者	中国首款 AAV 基因治疗药物
2025年 5 月	mRNA-1283	mNEXSPIKE	Moderna Therapeutics	美国	COVID-19 感染	FDA 新冠疫苗审批框架下的首次批准(Full Approval)
2025年 7 月	雷尼基奥仑赛注射液	恒凯莫	恒润达生	中国	复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤	中国首款自主研发的针对复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤 CD19 CAR-T
2025年 8 月	UM171 细胞疗法	Zemcelpro	ExCellThera Inc	欧盟	血液系统恶性肿瘤	欧盟有条件上市许可
2025年 8 月	COMIRNATY LP.8.1	COMIRNATY? LP.8.1	辉瑞制药 BioNTech	美国 加拿大	COVID-19 感染	针对新冠病毒 Omicron 变异株(LP.8.1 亚型)开发的特异性 mRNA 疫苗
2025年 8 月	Zopapogene imadenovec-drbn	Papzimeos	Precigen	美国	复发性呼吸道乳头瘤病(RRP)	首个获批上市成人复发性呼吸道乳头瘤病治疗药物
2025年 11 月	普基奥仑赛注射液	普利得凯	重庆精准	中国	B 细胞急性淋巴细胞白血病(r/r B-ALL)	中国首款用于治疗儿童及青少年难治性或复发性 B 胞急性淋巴细胞白血病的 CAR-T 药物,填补了国内临床空白,并打破了国外技术垄断

3)海外创新药投融资仍阶段性承压,国内细胞治疗领域有所回暖

作为生物医药未来发展趋势的细胞和基因治疗行业,其发展需要大量的资金投入,宏观层面投融资环境的变化成为行业发展表现的重要影响因素。据医药魔方《2025 医疗健康领域投融资年度盘点》报告显示,2025 年海外融资事件 484 起,同比下降 18.93%,海外融资总金额 252.10 亿美元,同比下降 20.51%,海外创新药资本市场表现较去年同期有所下降,但国内创新药资本市场出现回暖,尤其在细分领域呈现显著分化。2025 年中国创新药共发生融资事件 468 起,同比上升 13.87%,融资总金额 92.34 亿美元,同比上涨 93.35%;根据医药魔方数据库数据显示,在中国细胞和基因治疗领域,2025 年融资总额约 21.78 亿美元,同比增长 237.15%,融资总额激增;融资事件数 147 件,同比增长 19.51%。细胞和基因治疗领域的投融资活动呈现上升趋势,尤其是细胞疗法投资事件上升明显。反映出资本市场对 CGT 细分领域的长期价值保持认可。



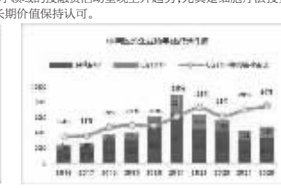


图 3、2016-2025 中国 CGT 投融资数据统计情况图

(来源:医药魔方 MedAlpha?数据库数据,数据截取时间至 2026 年 1 月 3 日,图表经整理)

在细胞和基因治疗市场活跃度增加的趋势下,对 CRO/CDMO 企业迎来了更多的增长机遇,然而由于细胞和基因治疗研发和生产存在难度大、周期长、成本高等特点,这使得新药企业投融资和研发管线复苏和扩张后,需要时间才能转化为 CRO/CDMO 的业务收入,因此 CRO/CDMO 企业在短期内较难以实现快速收入增长。此外,细胞和基因治疗 CRO/CDMO 行业的竞争在短期内仍将保持较为激烈的态势,研究及生产外包订单的市场价格竞争修复仍需时间。对于领先的细胞和基因治疗 CDMO 企业而言,在阶段性承受压力的同时,依然具备长期发展的机会。

4)干细胞技术与再生医学深度融合,市场规模持续扩容

2025 年,细胞治疗在再生医学领域的技术突破持续涌现,应用场景不断拓展,与公司再生医学业务布局形成良好呼应。干细胞治疗方面,中国研究团队在《Nature Medicine》发表研究成果,利用 iPSC 来源的心肌细胞成功修复心肌梗死患者的心肌损伤,术后患者心功能恢复率达 68%,为心血管疾病治疗提供了全新方案;海军军医大学团队进一步证实脐带间充质细胞(UC-MSCs)对膝骨关节炎的 5 年长期疗效,相关疗法已进入 III 期临床。随着干细胞再生医学技术的突破和市场的成熟,干细胞治疗的临床应用有望进一步推广,尤其是在组织修复、器官再生以及疾病治疗等方面,展现出广阔的前景,也为干细胞治疗的商业化和市场拓展奠定了坚实基础。持续性市场规模扩容也将直接拉动干细胞研究、制备、工艺开发、生产及检测等第三方服务需求。

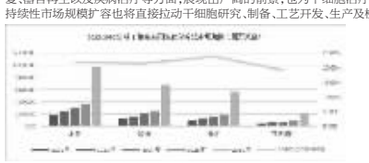


图 4、2022-2030 年全球干细胞产业市场规模

(来源:BCC《Stem Cell and Regenerative Therapy: Global Markets》)

在技术突破的推动下,全球干细胞产业均呈现高速增长态势。据 BCC Research 发布的《Stem Cell and Regenerative Therapy:Global Markets》报告显示,2024 年全球干细胞与再生疗法市场规模已达 139 亿美元,2025 年进一步增长至 166.8 亿美元,预计 2030 年将突破 438 亿美元,2025-2030 年复合年增长率高达 21.3%。其中,亚太地区成为增长最快的区域,2025-2030 年 CAGR 达 23.2%,而中国作为亚太地区核心市场,凭借庞大的患者基数、持续的研发投入及政策支持,成为全球干细胞产业的重要增长极。

据 BCC Research 数据,2024 年中国干细胞相关市场规模(含治疗、工具试剂、细胞存储)约为 29.19 亿美元(折合人民币约 210 亿元),2025 年预计增至 35.48 亿美元(折合人民币约 255 亿元),增速显著高于全球平均水平。细分领域中,干细胞治疗服务市场受益于适应症拓宽(如糖尿病足、帕金森病、脊髓损伤等),2025 年同比增长 23.7%;干细胞采集、制备及存储领域市场规模 2025 年突破 180 亿元,较 2024 年增长 28%以上,其中成人干细胞存储业务增速尤为突出,值得注意的是,当前中国整体干细胞存储率仍仅为 1%-4.2%,与发达国家 15%-20%的存储率相比存在巨大提升空间。随着高净值人群健康管理意识升级、存储技术成本下降及 iPSC 等新型存储技术的临床价值逐步验证,在国家政策支持与技术持续迭代发展的驱动下,市场潜力将持续释放。

5)多层次政策法规出台,持续推动国内细胞和基因治疗行业发展

2025 年,国家和各地产业发展持续加大对基因和细胞治疗的支持力度,陆续出台推动细胞和基因治疗领域的政策及行动计划:“十五五”规划更是将细胞治疗、基因技术与再生医学列为生物医药重点发展方向,从顶层设计层面为行业中长期发展锚定战略目标,为行业发展指出明确方向,提供了政策源动力和持续发展的动能。同时,监管部门出台的一系列指南对于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。医保支付端政策方面,以国家与地方多维度推动创新药发展,形成“医保 + 商保 + 专项基金”的多元化支付格局,目前国家医保局已将 5 款符合条件的细胞和基因治疗药物首次纳入《商业健康保险创新药品目录(2025 年)》,通过谈判降价扩大患者覆盖面,以提升创新药可及性。

2025 年,国家、地方及监管部门等多维度出台并实施部分促进细胞和基因治疗产业发展、医保支付端优化等政策及指引性文件,有助于提升创新药企业研发热情和商业化动力,主要包括:

发布时间??	??区域	??政策名称/内容??	??核心内容??
??2025 年 1 月??	??国家??	《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》	优先审评审批急需的细胞与基因治疗药物,缩短审批时间,支持国际多中心试验和全球同步研发。
2025年 1 月	国家	《细胞治疗产品生产检查指南》	旨在加强细胞治疗产品的生产质量管理,确保产品的安全性与有效性,并进一步推动我国细胞治疗产业的健康发展。
2025年 2 月	国家	《地中海贫血基因治疗产品临床试验技术指导原则(试行)》	指导和规范地中海贫血基因治疗产品的临床试验设计。
??2025 年 2 月??	??天津市??	《天津市全链条支持生物医药创新发展的若干措施》	推动药品注册审评同步双轨改革试点落地,将药品补充申请审评时限压缩至 60 个工作日以内;提升细胞和基因治疗类药物检测能力等。
2025年 2 月??	郑州航空港经济综合实验区	《郑州航空港经济综合实验区促进中原医学科学城肝细胞和基因治疗产业高质量集聚发展若干措施》	关于支持中原医学科学城开展细胞、免疫和基因治疗技术等医学创新技术规范化先行先试的重大举措。
??2025 年 3 月??	??国家	2025年两会《政府工作报告》	将细胞治疗列为国家战略颠覆未来产业,与基因治疗共同作为生物经济引擎,推动规范化、规模化发展。
2025年 3 月	上海市	《上海市药品和医疗器械管理条例》	旨在加强药品和医疗器械管理,保证药品和医疗器械质量,促进药品和医疗器械创新发展。
2025年 4 月	北京市	《北京市支持创新医药高质量发展若干措施(2025 年)》	高质量建设国际医药创新园区,启动建设北京临床研究中心,聚焦医学人工智能、细胞和基因治疗、合成生物等前沿领域开展全球领先的临床研究和技术转化。
2025年 4 月	深圳市	《深圳市金融条支持医药和医疗器械发展若干措施》	聚焦研发创新、人工智能应用、临床试验、注册审批、生产制造、推广应用、企业出海、人才与金融赋能,投资促进等 9 大方面,提出 32 条具体措施。
2025年 4 月	国家	《重组腺相关病毒载体类体内基因治疗产品申报上市药学共性问题与解答(征求意见稿)》	提高企业研发和申报的规范性,建立科学规范的审评技术标准,助力国内 rAAV 产品的注册上市及产业高质量快速发展,进一步推动细胞和基因治疗产品的监管评价体系建设。
2025年 5 月	国家	《国家重点研发计划颠覆性技术创新研究重点专项 2025 年度(细胞与基因治疗)领域项目申报指引》	采取开放式支持双和颠覆类式布局全产业链关键核心技术,开展技术路线,开辟新赛道,实现弯道分别。
2025年 6 月	国家	《先进治疗药品的范围、归类和释义(征求意见稿)》	细胞治疗药品(CTMPs):如干细胞、免疫细胞疗法(含 CAR-T);基因治疗药品(GTMPs):包括病毒类、病毒载体类、基因编辑类(单独列出)等;其他基于微生物、细胞、基因或组织工程等创新技术生产的药品。
2025年 6 月	国家	《支持创新药高质量发展的若干措施》	旨在全链条支持创新药发展,推动创新药高质量发展,满足人民群众多元化就医用药需求。
2025年 7 月	湖南省	《湖南省细胞和基因产业促进条例》	全国首个省级 CGT 条例,全链条规范,基金支持,伦理先行,为危重患者拓展用药,加速创新转化。
2025年 8 月	国家	《基因治疗载体生产技术指导原则》	规范 AAV、慢病毒等基因治疗载体的生产工艺、质量标准及申报要求,推动载体生产标准化、规范化,提升国内基因治疗载体研发与生产水平,保障产业供应链安全。
2025年 9 月	国家	《细胞治疗产品生产质量管理规范》	首次明确细胞治疗产品全生命周期质量管理要求,对生产过程、质量控制、留样、追溯、复动等全流程进行规范,强化企业主体责任,提升细胞治疗产品质量与安全可控性。
2025年 9 月	国家	国务院令第 818 号《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》	为生物医学新技术临床研究与转化划定清晰合规路径,也为能承接行业需求的专业服务主体提供了广阔空间。《条例》推动行业规范化转型,合规辅导、技术制备、资源衔接等需求持续攀升。
2025年 10 月	浙江省	《杭州市细胞与基因治疗产业扶持办法》	对获批上市的 CGT 创新药给予最高 1 亿元奖励,支持企业建设 GMP 生产基地,提供场地租金补贴、研发费用加计扣除、人才激励等全方位政策支持,打造区域 CGT 产业高地。
2025年 11 月	国家	《2025 年国家医药品目录调整工作方案》	首次设立“商业健康保险创新药目录”,纳入 19 种高价创新药,作为基本医保目录的补充,其中 5 款符合条件的细胞和基因治疗药物纳入谈目录,建立创新药医保准入与支付协商机制,探索按疗效付费等多元化支付模式,提升创新药可及性。
2025年 12 月	上海市	《上海国际生物医药产业园区发展规划》	打造全球领先的 CGT 产业创新高地,建设 10 个临床研究与转化平台,高化跨境临床试验审批流程,利好和港新片区 CGT 企业发展,利健集团发,生产、应用于一体的产业生态。
2026年 1 月	国家	国务院令第 828 号《中华人民共和国药品管理法实施条例》(修订版)	构建药品全生命周期监管体系,明确药品上市许可持有人(MAH)主体责任,支持创新设立市场独占期和试验数据保护期,并细化研制注册、生产经营、网络销售及中药管理等制度
2026年 1 月	国家	《细胞治疗药品再药学变更研究与评价技术指导原则(试行)》	指导细胞治疗药品再药学变更研究的开展,规范细胞治疗药品全生命周期的研究与管理,建立科学规范的审评技术标准。

其中,2025 年 9 月国务院公布第 818 号《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》(以下简称“《条例》”或“818 号令”),为生物医学新技术临床研究与转化划定清晰合规路径,也为能承接行业需求的专业服务主体提供了广阔空间。《条例》推动行业规范化转型,合规辅导、技术制备、资源衔接等需求持续攀升。2026 年 1 月 16 日,国务院发布修订后的《中华人民共和国药品管理法实施条例》,两份条例形成“技术转化 + 药品全生命周期”双轨监管协同,进一步完善从技术准入、临床研究到注册上市、生产流通的全链条制度体系。在 818 号令明确三甲医院核心地位的导向下,据不完全统计,全国已有超过 40 家三甲医院成立了细胞治疗与再生医学中心。同时,以海南博鳌为首的先行先试区已落地 28 项细胞和基因治疗相关生物医学新技术项目,既让患者受益,也凸显出优质服务主体对技术规模化推广的重要赋能作用。

2.3.1.2 细胞和基因治疗行业基本特点

1)细胞和基因治疗技术多元发展,涉及适应症范围及应用场景不断扩展

细胞和基因治疗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、经基因修饰及非基因修饰的免疫细胞/干细胞等细胞治疗、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、外泌体等非病毒载体、再生医学等新技术的不断涌现,细胞和基因治疗产品的种类不断丰富,并向更多更广泛的适应症拓展,除肿瘤以外,还应用于神经系统、代谢系统、血液、肌肉、心血管、自体免疫及与衰老相关的退行性疾病等治疗领域,为人类健康带来更多希望。此外,除了单一类型产品的发展,还出现了先进疗法的联合治疗,更有效地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。

2)细胞和基因治疗核心技术发展依托基础研究,中小型创业企业和高等院校是重要力量,技术创新与转化生态逐步完善

细胞和基因治疗的核心技术大多源自基础科学研究。例如,基因编辑技术(如 CRISPR-Cas9)、腺相关病毒(AAV)载体的开发与优化,以及 CAR-T 细胞疗法的早期研究,最初均由学术研究团队发现并开发。这些基础研究成果为细胞和基因治疗的临床应用奠定了坚实的技术基础。

与此同时,中小型初创生物技术公司和高等院校在细胞和基因治疗领域扮演了重要角色。它们不仅是基础研究的推动者,也是技术创新的引领者。根据麦肯锡的数据分析,全球前 20 的药企仅发起了 2%的细胞和基因治疗临床前研究和 5%的临床试验,并且仅拥有 4%和 13%的细胞和基因治疗资产。相比之下,其余管线主要由中小型初创生物技术公司或高等院校引领。

此外,为加速技术转化,国内产学研协同机制不断完善。高校、科研院所与企业共建联合实验室、技术转化中心等合作载体,形成了“基础研究 - 技术开发 - 临床转化 - 商业化生产”的全链条创新生态,有效缩短了技术转化周期。

3)CRO/CDMO 公司是推动细胞和基因治疗行业发展的中坚力量

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。

细胞和基因治疗药物开发及生产主要有三大技术门槛:一是需完备的基础底层技术,如基因治疗依赖腺相关病毒载体等,细胞治疗需高效基因转导载体等,关键技术创新是企业核心竞争力;二是生产工艺开发门槛高,基因治疗面临大规模培养、纯化等挑战,细胞治疗生产复杂且质控严,需长期投入和项目积累,新进入者壁垒高。三是 GMP 生产体系壁垒,大规模、高灵活性的 GMP 平台是重要竞争力,其建设需大额资金及对多领域的深刻理解,新进入者因缺乏积累面临高壁垒。因此细胞和基因治疗产品开发须依托于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、规模化生产能力及丰富的开发及商业化经验。此外,相较传统药物开发,细胞和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,目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,而研发和生产外包服务(CRO/CDMO)组织则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,逐步成为制药产业链的关键环节推动行业发展。

根据 Frost&Sullivan《2025 年中国医药 CDMO 行业发展洞察蓝皮书》显示,2023 年中国医药研发投入外包率为 46.6%,美国外包率为 55.8%,随着研发专业化分工、供应链多元化需求的不断增加,外包率有进一步提升的空间;而细胞和基因治疗因技术门槛远高于传统医药,表现出更高的外包渗透率,据 J.P.Morgan 统计,全球基因治疗外包渗透率超过 65%;从长期来看,随着细胞和基因治疗行业的不断发展以及外包需求的持续增长,CDMO 企业有望通过技术创新、优化服务和提升效率来增强自身的竞争力,从而在市场中占据更重要的位置。

2.3.1.3 细胞和基因治疗主要技术门槛

1)完备的基础底层技术是关键

细胞和基因治疗适应症广泛,但不同治疗方式需要依赖于不同的递送载体、基因编辑工具及细胞制备技术等关键技术,持续研发与创新这些关键技术能够加速细胞和基因治疗行业发展。以基因治疗为例,新型递送载体的开发(如靶向性 AAV 衣壳、高效非病毒载体)、基因编辑工具的优化(如高特异性碱基编辑器、Prime Editing)等,直接决定了治疗效果和安全性。细胞治疗领域同样面临相应技术挑战,例如自体 CAR-T 领域,研究者们持续关注在 FastCAR-T 等快速制备工艺发展及载体的优化等方面的技术突破;体内 CAR-T 细胞疗法靶向递送系统的精准性与安全性平衡、内源性 T 细胞的高效激活与增殖调控、脱靶效应及免疫相关不良反应的精准管控等,是突破现有疗法临床应用局限的关键技术挑战。无论是基因治疗还是细胞治疗关键技术的创新突破都是行业的刚性需求,更是企业核心竞争力的关键所在。

2)生产工艺开发技术门槛高

细胞和基因治疗作为前沿的精准医疗手段,其生产工艺和技术研发面临诸多挑战:对于基因治疗病毒载体生产工艺,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