

## 院校合作+科研服务+产业化支持，成为国内领先的基因治疗研究 CRO 服务的整体解决方案提供商

2017 年 7 月 31 日

### 事项：

灿土研究院百家新三板企业调研活动于 2017 年 7 月 18 日调研走访了和元生物技术（上海）股份有限公司（839702.00），现整理纪要以供参考。

### 主要财务数据（万元）

项目	2016	2015	2014
营业收入	2015.67	1379.41	754.67
同比（%）	46.12	82.79	--
归母净利润	-664.36	-99.06	-356.03
同比（%）	-570.66	72.18	--
扣非净利润	-629.4	-198.68	-403.93
销售费用	608.28	323.47	276.92
管理费用	1937.49	824.22	618.86
财务费用	-13.8	23.78	12.77
三项费用率（%）	0.80	1.18	0.83
销售毛利率（%）	69.46	70.78	72.84
销售净利率（%）	-32.96	-7.18	-47.19
ROE（摊薄）（%）	-11.06	-5.17	--
经营现金流量净额	-221.2	158.87	29.24
资产总计	7799.27	2810.37	795.01
每股净资产（元）	3.05	1.06	-3.93
应收账款	460.93	145.99	72.31
营业收入/应收账款	4.37	9.45	10.44
资产负债率（%）	22.95	31.80	149.41

### 各项业务表现（万元）

项目分类	2016	2016 占比	2015	2015 占比
定制病毒	999.33	49.58	580.05	42.05
商品销售	31.56	1.57	11.09	0.8
预制病毒	645.65	32.03	460.83	33.41
肿瘤服务	339.13	16.82	327.44	23.74
合计	2,015.67	100%	1,379.41	100%

资料来源：Wind，灿土研究院整理

# 和元上海：基础研究+基因治疗药物研发+临床级病毒产业化

## 行业概况

生物医药行业一直是国家产业政策大力支持的行业，是国家重点鼓励发展的方向。2013年国务院颁布《生物产业发展规划》，也明确指出“努力培育生物产业延伸服务，发展健康管理、转化医学、细胞治疗、基因治疗、临床检验社会化、个体化医疗等新业态”。2015年中国精准医学战略专家组成立，经科技部和卫计委专题讨论，于2016年正式发布了《科技部关于发布国家重点研发计划精准医学研究等重点专项2016年度项目申报指南的通知》，通知指出：“以我国常见高发、危害重大的疾病及若干流行率相对较高的罕见病为切入点，实施精准医学研究的全创新链协同攻关”、“突破新一代生命组学临床应用技术和生物医学大数据分析技术，建立创新性的大规模研发疾病预警、诊断、治疗与疗效评价的生物标志物、靶标、制剂的实验和分析技术体系”。这充分表明，精准医学将作为医疗健康的主要战略列入我国“十三五”发展纲要，预计总投资规模600亿元人民币，其中国家投入200亿元，医院及医药企业筹资400亿元。

**基因治疗的应用前景广阔，发展空间巨大。**2015年1月20日，美国总统奥巴马宣布精准医学初步规划启动，标志着医学发展进入了新的历史时期，生物医学基础研究、药物开发和临床治疗都将集中力量并协同发展，以最终实现“个性化”治疗。基因治疗是当代生物医药技术中最有潜力的热点之一。至今全世界已有约2,000多个基因治疗方案，广泛用于各种罕见病、遗传病、肿瘤和神经系统疾病等的临床试验研究，其中500余种采用腺相关病毒(AAV)作为载体。众多的跨国制药公司和基因治疗专业公司纷纷斥巨资加大研发力度，抢占二十一世纪生命科学的制高点。

**基因治疗行业特点：企业规模较小，研究技术参差不齐，行业集中度较低。**基因治疗在全世界都属于新兴产业，大多还处于临床前的基础研究阶段，尚未形成一定规模，且由于政策法规不够完善，行业内呈现企业规模较小、研发技术参差不齐、行业集中度较低的特点。在国内整个基因治疗技术服务业，绝大多数的企业规模较小，在国内目前还没有形成稳定且层次较为分明的市场竞争格局，并且缺乏权威、详细的行业研究数据。公司所处行业为基因治疗技术服务业，主要为国内基础、临床和工业客户的基因治疗药物研究提供有效的病毒载体和相关技术支持服务。

## 公司概况

和元生物技术(上海)股份有限公司,公司成立于2013年3月,股份有限公司成立于2015年12月,于2016年12月成功挂牌新三板,协议转让,公司实际控制人、控股股东潘讴东,公司先后融资金额近1亿元。目前,员工人数达170多人,博士17人,硕士以上学历31.8%。

公司通过“院校合作+科研服务+产业化支持”的商业模式，专注于向国内的科研院所、医疗机构、医药企业等提供基因治疗研究 CRO 服务的整体解决方案；同时基于几年积累和研发，公司已构筑成熟的基因治疗技术研发平台，并于 2015 年末正式进入基因治疗药物开发领域，明确了基础研究、基因治疗药物研发和临床级病毒产业化制备三大发展方向，同时为基因治疗药物 CMO 业务打下扎实的基础。

**财务数据简析：**2016 年公司实现营业收入 2015.7 万元，同比增长 46.12%；实现归母净利润-664.3 万元，近三年公司年均销售收入以超过 50%的平均速度递增，但尚未实现盈利，主要原因有：（1）公司加大研发投入力度，不断扩大人员规模，2016 年公司研发支出 501.32 万元，占同期营业收入的 24.87%，为公司后续发展提供了保障；（2）研发生产综合平台及病毒载体 GMP 生产平台的建设，投入大量资金，同时实行股权激励政策确认股份支付 532.25 万元。

## 业务概况

**业务模式：**①目前业务支柱：科研服务的病毒载体包装服务，②技术研发基础：院校合作的基因治疗药物研发，③未来发展发现：产业化支持的临床病毒生产服务。

公司以病毒载体包装服务业务为主，年内继续发挥行业优势，定制病毒业务收入占比较去年有所增加，主要由于服务客户数增加以及合同订单量增加所致。2016 年定制病毒业务销售收入为 999.33 万元，较上年同期增了 7.53%；预制病毒业务销售收入为 645.65 万元，收入占比基本保持稳定；肿瘤服务业务销售收入为 339.13 万元，同比去年减少了 7.46%；同时，商品销售及其他销售收入为 31.56 万元，相比去年有所增加。

**公司主营业务分为六大类：基因研究、技术支持、技术服务、工艺研发、药物开发、专业培训。**技术支持：病毒定向遗传改造、特异性启动子构建、载体设计与构建；技术服务：病毒载体包装生产 CRO、基因药物研发生产 CMO。

**基础研究：**已开展 AAV 载体优化、组成型强启动子设计及优化、基因组编辑技术研究等含子项目 50 多项，其中 8 项达到预期目标并提供市场应用，更好为客户提供更高效技术服务。

**药物开发：**公司正在开展 AAV 介导的靶向肿瘤治疗药物、抗体及抗体偶联抗肿瘤药物、CAR-T 治疗用重组病毒载体、Zap CAR-T 免疫治疗药物等项目，其中 AAV-TRAIL 基因治疗药物研发已进入临床批文申报阶段。

**工艺研发：**公司有序推动了 AAV 中试化生产关键技术、293 细胞悬浮培养技术、层析纯化技术等开发，于 2016 年与全球最大的生物制药技术和设备供应商通用电气医疗集团（GE 医疗）开展基因治疗全方位战略合作，计划投资 1.1 亿元，于 2017 年一季度开始在建设国内首个基于一次性技术近 5000m<sup>2</sup> 的 GMP 级重组病毒生产车间，为进一步拓展国际重组病毒服务市场打下坚实基础。

**专业培训：**公司为推动基因治疗行业发展，于 2017 年 3 月与上海市张江生物医药职业技能培训中心联合成立了约 1400m<sup>2</sup> 的“前沿生物医药实验技能人才培养实训基地”，为高校、研究所、医院和生物医药企业输送了优秀的技能型人才近百人。

## 基因治疗研发及生产

公司药物研发项目包括：AAV-TRAIL 肿瘤基因治疗药物、Zaptuzumab 抗体基因治疗药物。基因治疗药物适用症如下：头颈癌、肺癌、肝癌、卵巢癌、白血病、胰腺癌、肿瘤个性化医疗等。

**AAV-TRAIL 的部分应用案例：**抑制人淋巴瘤肝转移癌的生长延长荷瘤小鼠寿命、AAV-TRAIL 治疗肺癌(原位移植瘤)、AAV-TRAIL 口服治疗肝癌。 Zaptuzumab 用于治疗肝癌、Zaptuzumab 与卡铂联用治疗卵巢癌。

## 核心竞争力

- **研发优势：技术优势明显。**作为技术导向的高新技术企业，公司提供的技术服务可以满足绝大多数的生物医学基础研发和基因治疗药物开发需要，在行业内拥有明显的技术优势。公司已构建分子克隆、病毒包装、细胞功能等集商务、科研、生产为一体的综合平台，拥有病毒包装生产、CRISPR/Cas9 等最新基因编辑、细胞微载体悬浮培养、脑部立体定位注射及裸鼠成瘤模型建立等核心技术；拥有中、美、日、欧、澳等国际、国内 11 项授权发明专利、1 项授权实用新型专利、3 项实审发明专利；拥有 15000 多个人类表达基因 cDNA 库、8000 多种病毒载体库、400 多种人类肿瘤及正常细胞系；在病毒载体技术方面，通过内部研发和外埠合作，积极发展组织/细胞特异性表达技术，RNAi 技术，基因组编辑技术，细胞工程化放大培养工艺技术，大规模病毒分离纯化工艺和病毒靶向给药技术的发展。在基因治疗药物开发领域，公司首席科学家郑德先教授在肿瘤细胞凋亡调控、免疫逃逸与肿瘤基因信号转导等方面取得了卓越的研发成就，在他的带领和指导下，公司已组建了一支稳定的具有高技术、高学历的研发团队，从而确保公司具有持续研发创新能力，并在相关领域始终保持领先地位和先发优势。
- **资源优势：客户资源丰富。**公司通过“院校合作+科研服务+产业化支持”的商业模式，且公司是国内较早开展腺相关病毒技术服务的公司之一，并依靠这一特色技术服务在细分市场的神经科学领域积累了优势客户资源。公司在国内率先开展腺相关病毒技术在基础研究中的应用，积累了大量国内一流研究机构客户，如中科院上海生命科学院，复旦大学和军医大学等。目前拥有 2500 多家稳定客户，随着新型应用从局部向全国范围普及，公司扩大市场布局，在全国建立了上海、北京、重庆、武汉、广州、西安等 6 个办事处，完善了客户服务体系。通过有效的服务布局、市场推广和业务团队建设，使公司市场占有率和营业收入进一步提升。
- **资源整合优势：综合实力迅速提升。**公司先后与阿斯利康、药明康德、中国医学科学院基础医学研究所（北京协和医学院基础学院）等知名单位签订合作协议，并与国内 AAV 领先品牌纽恩生物实现战略整合，成为国内病毒种类最丰富的包装中心之一，综合实力明显提升，也为新药研发打下扎实的基础。2015 年末，公司整合了中国医学科学院基础医学研究所在基因治疗药物研发方面的专利，标志着公司正式迈进基因治疗药物研发这一热门领域。随着病毒载体技术的不断进步，公司加强研发，完善产品布局，成功地将应用领域拓宽到循环系统、肝脏、心脏疾病和肿瘤研究中。在国内 AAV 包装服务领域公司已处于科研服务行业第一位，在国内科研服务市场占有率上已进入细分行业的前三名。

## 提问环节

### 提问 1：公司的业务模式？

(1) 公司作为基因治疗领域科研服务供应商，目前主要面向国内的科研院校、医疗机构、医药企业等提供病毒载体构建和包装、肿瘤细胞资源供给及肿瘤基因功能研究等科研服务，虽然公司尚未盈利，主要由于加大了研发投入以及引进技术人员所致，由于公司拥有大量稳定的客户资源，随着公司市场影响力和客户认可度的不断提升，公司经营规模将迅速扩大，规模效应已开始显现，在可预见的将来将实现盈利；

(2) 随着基因治疗药物的逐步上市，基因治疗研究的 CRO 服务将在国内兴起。基于多年的技术积累以及已构筑成熟的基因治疗技术研发平台，具有一定的先发优势和客户基础，公司正积极准备迎接这个巨大的市场，基因治疗研究的 CRO 和 CMO 服务在可预见的将来或将成为公司利润增长的又一个爆发点；

(3) 公司在基因药物研发方面继续进行研发投入，若基因靶向治疗药物研发在可预见的将来能取得突破性进展，将为公司带来可观的回报。可见公司已围绕基础研究、基因靶向治疗药物研发和临床级病毒产业化制备三大发展方向制定了切实可行的业务模式。

### 提问 2：公司未来发展战略？

公司以“打造一个平台、研发数个药物、服务一批客户，推动整个基因治疗行业”为发展战略，坚持以基因治疗重组病毒研发及生产为核心，专注于为生物医药领域提供优质的产品和服务，致力于发展为国内领先辐射全球的重组病毒药物生产 CRO 服务中心和基因药物生产 CMO 基地，同时开发基因治疗药物，力争成为基因治疗行业内的标杆企业。

公司致力于发展成为辐射全球的病毒载体研发生产、CRO 中心及基因药物 CMO 基地，将继续以病毒载体技术为核心，重点发展基因治疗药物开发技术及应用，同时在基础研究领域不断吸纳和尝试的技术，推动基因治疗技术的创新和迭代。针对肿瘤基因药物开发，公司将重点布局肿瘤靶向给药、肿瘤特异性杀伤、免疫细胞治疗载体技术等方面研发和应用；针对基因缺陷引起的罕见病药物开发，公司将重点利用基因组编辑技术、病毒载体定向 工程技术及灵长类疾病模型技术，快速开发能应用临床的基因治疗方案；同时，公司还将与广大基础研究 客户合作开发新型病毒载体和疾病模型，推动基因治疗行业发展，让基因治疗造福人类。



### 灿土研究院

---

灿土研究院系上海灿土金融信息服务有限公司发起的独立研究品牌，以客观、中立、专业为原则，研究新三板挂牌企业。

### 联系方式

---

赵江波	联系人	136-0103-0711	zhaojiangbo@cantujinfu.com
郭慧梓	联系人	152-1673-9284	guohuizi@cantujinfu.com

### 免责声明

---

本研究报告（含调研纪要等）中所提供的信息仅供参考。报告根据国际和行业通行的准则，以合法渠道取得这些信息，尽可能保证可靠、准确和完整，但并不保证报告所述信息的准确性和完整性。本报告不能作为投资研究决策的依据，不能作为道义的、责任的和法律的依据或者凭证，无论是否已经明示或暗示。在任何情况下，报告中的信息或所表达的意见并不构成所述证券买卖的出价或询价，亦不构成任何投资建议。市场有风险，投资需谨慎。在任何情况下，本公司不对任何人因使用本报告中的任何内容所引致的任何损失负任何责任。

除非另有书面显示，否则本报告中的所有材料的版权均属本公司。本公司对本报告保留一切权利。未经本公司事先书面授权，本报告的任何部分均不得以任何方式制作任何形式的拷贝、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。未经授权的转载，本公司不承担任何转载责任。