



领袖视角

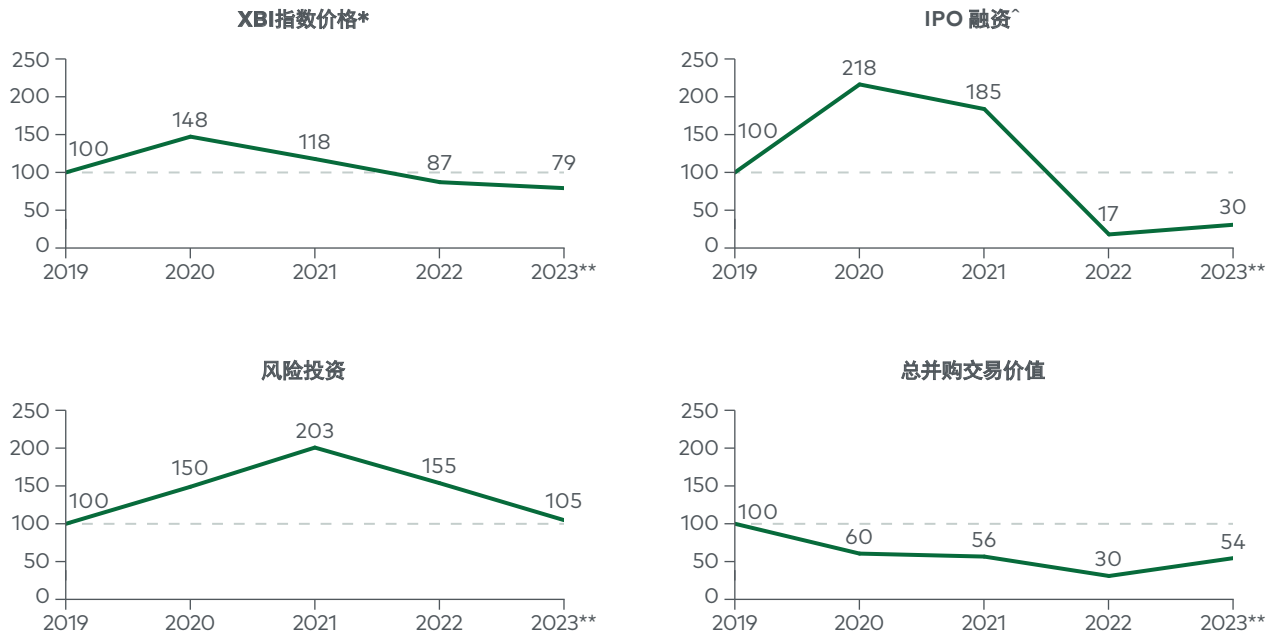
生物制药行业展望2024

2024年的生物制药行业将处于过渡期。新冠疫情过去整整一年后，市场萎缩仍在持续。由于专利到期以及美国近期针对Medicare最成功的药物的定价限制，企业也在准备应对销售收入的断崖式下降。尽管存在上述不利因素，生物制药行业的风险投资已经恢复至新冠疫情暴发前的水平。许多创新也即将崭露头角，例如，研发管线中的创新治疗药物、生成式人工智能在药物发现中的应用、利用全渠道模式增强传统交互等。本期领袖视角中，L.E.K.美国的生物制药业务团队对2024年进行了展望，并对五个发展趋势展开了讨论。

1. 生物制药市场的调整将持续影响融资和并购

2024年伊始，生物技术公司仍然需要应对市场萎缩的挑战。自2022年低谷以来，融资渠道似乎已基本趋于稳定（图1），资本成本仍然较高。大型生物制药企业正在寻找有吸引力的交易机会，然而此类机会明显少于之前的年份。以下是我们关注的主要融资和并购主题：

图1
与2019年相比，美国生物制药行业的融资和并购情况



*2023年之前的XBI指数价格截至年底
 **2023年风险投资价值于2023年12月15日更新（来自Pitchbook），其他指标则于2023年11月30日更新（来自Capital IQ），因此可能会低估最终年度融资价值
 ^2023年不包括Kenvue IPO，筹资总额约为38亿美元
 注释：IPO=首次公开募股；VC=风险投资；XBI=SPDR标普生物科技；美国IPO和并购交易包括Capital IQ中从行业分类中选择的已宣布和已完成的交易，这些行业分类包括制药、生物技术和生命科学、生物技术、制药、医药产品、药品研究与开发；PitchBook数据未经PitchBook分析师审核
 资料来源：PitchBook（风险投资）；Capital IQ（XBI指数价格、IPO融资、并购总交易价值）

- **生物技术领域的资本市场从2024年开始将进入重大调整期，这一阶段会持续多久尚未可知。企业估值大幅下降：**自2021年达到峰值以来，标普生物科技精选行业指数(XBI)下跌超过**55%**，而覆盖范围更广的标普500指数(SPY)上涨超过**15%**¹。根据历史经验，生物制药行业可能需要多年时间才能从经济衰退中恢复：例如，2001年达到局部峰值后，纳斯达克生物科技指数(NBI)在接下来的四个季度内下跌了约**60%**，并花费了近10年时间才得以恢复。基于短期复苏的不确定性，生物制药企业应为持续衰退做好准备²。
- **拥有令人信服的临床数据的生物技术企业仍能获得融资，虽然其估值水平可能低于2020-2021年。风险投资仍然强劲，2023年的资金水平虽低于新冠疫情期间的峰值，但仍高于新冠疫情前的水平³，尽管疫情后的融资轮次相比前几年历时更长且对于数据要求更高⁴。**

私募股权投资也通过和风险投资合作，更积极地试水生物技术领域，最近KKR对于Catalio Capital Management的投资便是一个典型案例，这也是另一个私募资金来源⁵。生物技术企业的IPO数量及融资额在2022年至2023年前三个季度保持着较为稳定的水平，但仍远低于疫情前的水平⁶。投资者对临床数据的期望较之前的年份更高，而估值仍然远低于以往的峰值⁷。尽管高利率使得债务融资的吸引力降低，无法获得首选融资形式的公司可能需要寻求其它替代形式（例如，PIPE、债务融资、特许权变

现)。最终,许多生物技术企业可能会将目光投向并购市场,寻找下一个增值契机。

- **尽管针对小型生物技术企业的收购条件合适,但是可供选择的目标却较少。**截至2023年11月,排名前16的生物制药企业的并购交易价值超过5000亿美元(基于保持一定的净债务与EBITDA比率)⁸。许多行业玩家对并购交易非常感兴趣,希望借此抵消未来因失去市场独占权和《通货膨胀削减法案》(IRA)对中期收入增长产生的影响,但鉴于最近的收购浪潮,合适的并购标的较为有限。与2020-21年相比,有吸引力的并购目标数量较少。
- **在未来几年,生物制药企业可能会通过规模较大、具有倍增效应的并购来应对专利失效和《通胀削减法案》的影响。**许多大型制药企业在未来几年面临着显著的收入缺口,前15家制药企业中最大和最小市值之间的差距超过了历史正常水平,使得一些企业更难以在规模上竞争。这些因素可能引发行业内一波整合浪潮。

基于这些主题,无论是大型或小型的生物制药企业,今年可能都需要探索创新的融资和并购战略,以解锁下一阶段的价值创造机会。

2. 新的药品定价法规的影响将持续

2024年可能会持续受到新的药品定价法规的冲击,我们将密切关注《通胀削减法案》(IRA)的落地实施及其影响、制药行业针对IRA提起的众多诉讼、总统选举以及药品福利管理(PBM)改革的强劲势头。以下是2024年值得关注的药品定价政策和立法:

- **2024年9月1日,纳入Medicare价格谈判的前十种药物的最高公平价格(MFP)将对外公布,行业将对药品降价幅度有更深入的了解。**MFP的上限未必代表药品相比现在将有大幅降价,但行业内最担心的是降价没有“下限”,这使得医疗保险和医疗补助服务中心(CMS)可能会酌情实施更严重的折扣。行业参与者将密切关注第三季度发布的最高公平价格,以了解CMS将在多大程度上谈判并实施高于规定的折扣。CMS计划在2025年3月之前发布关于最高公平定价的具体逻辑和分析,但生物制药企业本身可能会在2024年底之前洞察到相关驱动因素。
- **正在进行的法律诉讼和总统选举也可能影响未来的IRA药品定价条款。**一些药企和美国药品研究与制造商协会(PhRMA)已提起诉讼,质疑IRA的《Medicare价格谈判》条款的合法性。鉴于以前从未有过定价谈判,这些案件可能会面临多层司法审查和上诉,甚至包括最高法院的审查。在2024年底之前达成最终司法决议的可能性微乎其微,并且预计近期不会发布停止价格谈判的禁令,因为最高公平价格要到2026年才会生效。

药品定价和IRA定价谈判的相关立法可能会成为2024年总统选举期间争论的重要领域。在民主党保住总统和参议院席位的情况下,IRA在2024年不太可能出现立法修正。而共和党人在2022年曾一致投票反对通过IRA,如果他们在2025年控制了国会,可能会废除部分或全部药品定价相关条款⁹。然而,共和党中领跑的总统候选人特朗普,在2016年竞选期间对降低药品价格态度十分强硬,并十分支持医疗保险价格谈判,因此即使是共和党人当选总统,IRA是否会被废除仍有待观察。^{10,11}

- **即将推出的PBM法规中,增加管理透明度的提议得到了两党的支持。**旨在降低药品价格的一个关键政

策即PBM改革。PBM改革相关议题已经过多年讨论，2023年针对这一话题的立法讨论尤为激烈。众议院和参议院已提出多项法案，呼吁在PBM报酬方面实现不同程度的透明，并针对价差定价、转手回扣以及药房追回款施加限制。众议院已经通过了“Lower Costs, More Transparency Act”法案，该法案可能会根据参议院投票前提出的类似法案进行修改。

总体而言，我们预计如果禁止价差定价或使PBM报酬与价格谈判收益的大小脱钩，所提议的法规将会对毛利净额泡沫产生下行压力。增加PBM报酬透明度还应有助于更好地将PBM激励与降低医疗成本结合起来，尽管透明法案的条款对于以下两种情况存在不同规定：1) 药品价格减去回扣和其它折扣的全面公开的常规披露（众议院能源和商业委员会发布的 Lower Costs, More Transparency Act）¹²；2) 仅面向计划发起人和卫生与公众服务部的定期披露（参议院卫生、教育、劳工与养老委员会发布的 Modernizing and Ensuring PBM Accountability Act）¹³。

- 除了美国，生物制药企业还需尽早针对欧洲市场动态进行规划¹⁴。欧洲卫生技术评估网络（EUnetHTA21）法规规定，将从2025年开始强制对欧盟的先进疗法和肿瘤产品进行联合临床技术评估，并从2030年开始对所有其他药品进行评估。临床评估从国家层面向欧盟层面的转变将为制药企业带来短期负担，因为企业需要投入额外的市场准入资源。然而从长远来看，这也可能会带来机遇，因为临床评估的集中化意味着药企可以更早地启动与欧盟国家的定价和报销谈判。

3. 人工智能转型和运营改进的早期影响可能会得以实现

生成式人工智能在2024年可能会对药物研发带来变革式的影响，并以渐进的方式改善运营。人工智能的最新趋势包括（图2）。机器学习/大数据和生成式人工智能是最新的人工智能算法，能够基于训练数据和上下文提示生成新内容，这些工具将成为提高药物发现及其他领域效率的关键：

- 人工智能在药物发现领域的应用潜力将通过部分临床数据得到检验。生成式人工智能和机器学习将扩展潜在药物候选物的范围，并加速淘汰前景不太乐观的药物，从而加快临床试验进展。在这一特定领域，生成式人工智能很好地补充了当前高通量药物发现中演绎和归纳推理的循环，非常适合用于药物发现的早期应用。这方面的进步对于新兴生物技术企业而言尤其关键，因为其估值可能高度依赖一项或少数几项早期研发突破。2024年我们将看到几项高度依赖人工智能的管线的临床数据的披露，例如InSilico Medicine的INSO18_055在特发性肺纤维化的二期临床数据¹⁵、Relay Therapeutics的RLY-4008（不定肿瘤类型）的二期临床数据与监管政策更新¹⁶等。
- 除了药物发现，生物制药企业将越来越多地利用人工智能以渐进的方式改善运营（例如，优化临床试验设计和受试者招募、精简制造和供应链流程、简化竞争情报以及增强销售和营销物料的开发和协调）。百时美施贵宝已经将GPT-4应用于临床试验方案设计，而武田制药正在探索在患者监测方面应用人工智能和机器学习的可能性¹⁷。2024年生物制药领域可能会有更多运营改进和试点项目对外宣布。生成式人工智能对运营产生的影响可能较难观察和验证，但其对效率的影响将逐渐推动整个组织的不断改进。

图2
生成式人工智能计算在生物制药企业的潜在用例(非穷尽)



资料来源: 公司网站; 新闻报道

- 除了研发, 早期的人工智能应用可能会为数字化战略的制定以及数据管理流程与系统的优化带来启发。生成式AI的效用取决于其训练数据, 正如早期的大语言模型只能提供截止某个日期的信息一样。最强大的企业级人工智能系统将能够全面访问公共领域的互联网数据以及内部的专有数据。Moderna在人工智能应用方面是走在最前沿的公司之一, 它在ChatGPT公开后的几周内就在内部引入了可访问公司数据库的大语言模型¹⁸。2024年预计将有更多此类工具对外宣布, 试点验证生成式人工智能的效用。生物制药企业是否能有效应用人工智能将取决于其专有数据的丰富程度以及可及性。

4. 新技术将驱使企业继续朝着“数字化辅助”客户交互模式转变

生物制药企业的领导者近年来在数字化工具和数据方面进行了重大投资, 其中2024年的重点将在于提升团队技能并充分利用相关投入。线上交互模式预计将长期存在, 尽管如此, 销售代表与客户的线下交互已经恢复, 从2023年1月到9月, 线下交互占到了生物技术企业全球渠道组合的78%。¹⁹线下交互方式依然是与客户进行交互的重要方式(例如, 药品上市支持、新数据发布和产品生命周期更新等)。这些动态表明, 对于未来的客户交互模式, 企业将更倾向于将数字化技术视为辅助工具, 而不是优先工具。持续的数字化进程在以下三个领域体现最为明显:

- 当前的一线销售代表必须精通数字化技能, 且能根据客户偏好协调线下和线上渠道的交互活动。销售代表的角色正在不断演变, 同时也越来越需要增强各方面技能和能力, 其中包括: 数字化专业知识、识别最佳互动渠道的能力以及基于数据和分析调整面对面交互方式的能力。销售代表必须根据现场的

提示、对于可用数据的评估以及Salesforce和Veeva等决策工具来现场调整他们的互动方法。

一些有前瞻性的企业正在开发医生以及关键客户的数字化档案，其它的企业也需尽快效仿，以便为客户提供足够的价值，并避免在未根据客户偏好进行调整的大规模营销模型上过度支出。在医药行业，不仅大型生物制药企业需要提升员工的数字技能，一些领先的罕见病生物技术公司也正在致力于将数字化渠道相关的专业知识纳入销售代表的培训和发展中。未来的培训将着重于指导员工在各种情况下采取最佳行动，以及有效利用自动生成的数据，以改善客户体验。

- **个性化营销以及其他新技术正在缩短品牌和内容的规划周期。**这主要归功于企业越来越注重提升内部团队的数据与分析能力以及单一客户视图（SCVs，即根据每个医生对优先话题、必要背景以及渠道的偏好来定制营销信息）。新技术使得企业能够更好地倾听客户的声音，并提供针对性的沟通。例如，“Next Best Action”市场营销能够利用单一客户视图数据和预测性分析，推断客户互动和销售的下一步最佳行动；零方数据与分析可对客户自愿分享的信息进行分析；生成式人工智能同样能为客户交互提供针对性支持。

制药行业的领头羊之一诺华，采用了SCV来为其营销决策提供支撑，即针对目标受众建立详细资料，并基于模块化资产，针对特定渠道制定营销策略。²⁰企业领导者需要慎重地将这些新的工具和营销策略，与分散的客户群体和销售代表整合起来。

- **更有针对性的销售和市场营销活动可能有助于提高销售和管理支出的效率。**这样的方式能够让企业摆脱以往的大众营销策略，迈入精准营销时代。单一客户视图被整合到客户原型中以后，企业即可通过定制的信息和渠道，更加精准地针对医院和消费者开展营销活动，以满足他们的需求。相较于传统的面向大众的电视广告，这种定制化的营销方式可能更具有经济效益。传统电视广告通常会触及大范围的受众，但却只有很小一部分是真正的目标受众。

为了更好地把握数字化工具带来的机会，生物制药企业应该进行内部评估，了解自身在数字化转型方面的准备程度。所需的关键能力包括：

- 提高商业洞察和分析能力，以获取、清理和整合大量数据，并从中得出结论
- 优化医学-法律-监管审查流程，加快审查速度，有效管理更多营销内容
- 使用现场决策支持工具

在客户体验、个性化内容制定和下一步最佳行动模型方面进行了大量投资的企业，正在对其内部能力进行升级，包括员工技能的提升和流程的优化。领先的生物制药企业正在摒弃传统的卓越中心模式，开始在内部建设协同的跨职能开发和交付团队，以充分利用现有的数字平台功能。事实证明，通过敏捷团队试点项目进行测试和学习，是一种有效的组织转型方式，同时还能保证正常的品牌运营。通过树立“数字化辅助”的理念，生物制药企业及其面向客户的团队能够在正确的时间，通过客户偏好的渠道和客户感兴趣的话题，来与他们进行沟通。

5. 创新药物管线将面临重要的临床和商业化里程碑

随着创新药物管线的扩大以及上市产品数量的增加，生物制药领域预计将出现许多重大的临床和商业化进展。

- **针对肿瘤及其他领域的细胞疗法即将取得新进展。**在实体瘤领域，关键的TCR-T²¹和NK细胞疗法²²都将在今年上半年发布二期临床数据；CD22正在被用于治疗患有大B细胞淋巴瘤且对CD19导向的CAR-T细胞疗法产生耐药性的患者²³；

在同种异体疗法领域，预计Allovir公司的Posoleucel²⁴在异基因造血干细胞移植后，将提供三期临床顶线数据，以评估其在恢复T细胞免疫方面的效果；此外，Imugene和Allogene预计都有治疗大B细胞淋巴瘤的CAR-T资产进入注册试验^{25,26}。在免疫治疗领域，Cabaletta Bio（预计将在上半年获得一期和二期临床顶线数据）、诺华（预计将在下半年更新二期临床数据）、百时美施贵宝等公司可能会出现更多有关CAR-T治疗自身免疫性疾病的相关数据，30多家公司正在该领域寻求发展。²⁷在进行CD19或B细胞分化抗原（BCMA）的CAR-T细胞治疗后，初步报告显示有次级T细胞恶性病变的情况。这可能会对该疗法的风险和效益情况产生影响，尤其是在免疫治疗领域，具体取决于这些次级病变的发生频率。²⁸自体CAR-T治疗可能导致次级恶性肿瘤的问题，因此需要新技术以减少在治疗时对基因的随机插入。

- **在拓展到免疫治疗等新治疗领域之前，细胞疗法的生产和供应的瓶颈仍然是一个关键问题。**目前，患者单采三周以后，中心才会开始进行自体CAR-T的生产，另外还要两到四周的时间才能发出产品。²⁹未来能够帮助改善自体CAR-T产品的生产效率的方法包括完全闭环自动化系统（例如，Lonza的Cocoon）、一体化生产和洁净室解决方案（例如，Cellares的CellShuttle），以及Umoja Biopharma、Orna Therapeutics等公司正在探索的新型体内CAR-T细胞制备方法。
- **尽管基因疗法领域的科学创新取得了令人瞩目的进展，但相关公司仍需证明他们能够将科学研究转化为成功的商业化产品。**然而迄今为止，基因疗法的市场表现一直难以达到预期，美国市场上有9种基因疗法，只有一种（Zolgensma）全球年销售额超过5亿美元。³⁰

截至目前，尚未有临床数据能够充分验证，基因疗法能够长期使患者达到无需药物干预的疾病缓解状态，约三分之一的脊髓性肌萎缩症患者在接受Zolgensma治疗后，仍需继续接受其他治疗。³¹尽管商业化应用面临挑战，但基因治疗产品管线预计将不断扩张，输血依赖性β地中海贫血（Vertex和CRISPR Therapeutics的基因编辑疗法Exa-cel，《处方药使用费法案》日期为2024年3月30日）³²、A型血友病（辉瑞和Sangamo Therapeutics的基因疗法Giroctocogene fitelparvovec预计将于2024年中期发布三期临床数据）³³和B型血友病（辉瑞和Spark的Fidanacogene elaparvovec，《处方药使用费法案》日期在第二季度）³⁴等疾病领域的产品管线预计将在2024年到达关键里程碑。最近推出的基因疗法（例如，lovo-cel、Roctavian、Hemgenix、Vyjuvek、Elevidys）也需要通过可靠的真实世界数据和积极的消费者反馈来证明其价值和效果，从而为其高定价提供合理的基础。

- **基因编辑、肿瘤领域的mRNA疗法以及抗体药物偶联物（ADC）等多项研发里程碑同样令人期待。**在体内基因编辑领域，Intellia预计将在第三季度启动NTLA-2002治疗遗传性血管性水肿的二期临床

试验，³⁵最近还启动了用于治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变性的NTLA-2001三期试验。³⁶在mRNA肿瘤治疗领域，Moderna和默克正在个体化mRNA癌症疫苗V940与Keytruda联合治疗高危黑色素瘤的早期临床成功的基础上，继续推进三期临床试验。³⁷此外，ADC同样取得了令人期待的进展：默克和第一三共最近签署了价值220亿美元的ADC研发协议；³⁸去年阿斯利康和第一三共合作研发的Enhertu（治疗低HER2乳腺癌）的试验结果，³⁹以及阿斯泰来和Seagen的Padcev与Keytruda联合治疗晚期膀胱癌的临床试验结果同样备受瞩目。⁴⁰

这种势头可能会在2024年引发一波ADC和检查点抑制剂交易浪潮，但相关企业应该全面评估是否存在first-in-class和first-in-indication的研发机会。最后，放射性药物和双特异性抗体这两个领域在2023年获得了大量投资，预计将出现新的发展，例如，礼来以1.4亿美元收购了Point Biopharma，BioNTech与Biotheus也达成了价值高达10亿美元的交易。^{41,42}

图3
2024年创新药物管线的临床开发里程碑（非穷尽）

细胞疗法

公司	类别	资产	适应症	临床一期	临床二期	临床三期	申请	里程碑
百时美施贵宝	CD19 CAR T, auto.	Breyanzi	CLL or SLL, R/R (3L+)					PDUFA: 3月14日
强生	BCMA CAR T, auto.	Carvykti	Multiple Myeloma, R/R, (2L+)					PDUFA: 3月14日
Allovir	MVS T cell, allo.	Posoleucel	AdV; BKV; CMV; EBV; HHV-6; JCV					顶线数据: 第三至四季度
Artiva	NK cell with innate cell engager	AB-101 with AFM13	Classical Hodgkin Lymphoma					顶线数据: 第三至四季度
Adaptimmune	TCR-T	ADP-A2M4CD8	Ovarian cancer, Platinum-resistant					顶线数据: 2024年

基因疗法

公司	类别	资产	适应症	临床一期	临床二期	临床三期	申请	里程碑
Orchard Therapeutics	LVV-transduced CD34+ enriched stem cells	Libmeldy (atidarsagene autotemcel)	Metachromatic leukodystrophy					PDUFA: 3月18日
Rocket Pharmaceuticals	LVV-transduced stem cells	Marnetegrane autotemcel	LAD-I					PDUFA: 3月31日
Vertex/CRISPR Therapeutics	CRISPR-CAS9 autologous CD34+	Exa-cel	Transfusion-Dependent Beta Thalassemia					PDUFA: 3月30日
辉瑞/Spark Therapeutics	Bioengineered AAV vector (AAV-Spark100)	Fidanacogene elaparovec	Hemophilia B					PDUFA: 第二季度
辉瑞	AAV6 vector	Giroctocogene fitelparovec	Hemophilia A					顶线数据: 第二至三季度

其他

公司	类别	资产	适应症	临床一期	临床二期	临床三期	申请	里程碑
Geron Corporation	Oligonucleotide (Telomerase inhibitor)	Imetelstat	Lower risk myelodysplastic syndrome					PDUFA: 6月16日
阿斯利康/第一三共	ADC (Humanized anti-HER2 IgG1 mAb+ topoisomerase inhibitor + tetrapeptide linker)	Enhertu	Breast cancer, HER2+ (3L+); Others*					PDUFA: 第三至四季度
Ionis Pharmaceuticals	LICA (PKK inhibitor)	Donidalorsen	HAE					顶线数据: 第一至二季度
Arrowhead Pharmaceuticals	RNAi (APOC3 Inhibitor)	ARO-APOC3	Familial chylomicronemia syndrome					顶线数据: 第一至二季度

注释: 里程碑仅包括美国PDUFA日期和顶线试验数据。
 AAV=腺相关病毒; ADC=抗体-药物偶联物; APOC3=载脂蛋白C-III; AdV=腺病毒; BCMA=B细胞成熟抗原; BKV=BK病毒; CAR=嵌合抗原受体; CLL=慢性淋巴细胞白血病; CMV=巨细胞病毒; CRISPR-Cas9=成簇的规律间隔的短回文重复序列和CRISPR 相关蛋白9; EBV=Epstein-Barr病毒; HAE=遗传性血管性水肿; HER2=人表皮生长因子受体2; HHV-6=人类疱疹病毒6; JCV=JC病毒; LAD-I=I型白细胞粘附缺陷; LICA=配体共轭反义; LVV=慢病毒载体; NK=自然杀伤细胞; PKK=前激肽释放酶; PDUFA=处方药使用者付费法案; RNAi=核糖核酸干扰; R/R=复发或难治性; SLL=小淋巴细胞淋巴瘤; sBLA=补充生物制剂应用; TCR-T=细胞受体工程化T细胞。
 *2024年还包括许多其他里程碑, 包括以下三期临床试验顶线结果: 第一季度的HR(+), HER2(-)化疗初治乳腺癌患者, 第二季度及以后的HER2(+)/1L乳腺癌, HER2突变体, NSCLC 1L, HER2(+)-乳腺癌作为新辅助治疗, 新辅助治疗后仍然存在高风险的HER2阳性乳腺癌。
 资料来源: Citeline Biomedtracker; American Society of Cell and Gene Therapy, "Gene, Cell, + RNA Therapy Landscape Report: Q3 2023 Quarterly Data Report."
<https://asgct.org/global/documents/asgct-citeline-q3-2023-report.aspx>

尽管存在融资和立法等多方面阻力，生物制药行业仍在继续发展，2024年预计将出现更多创新和重大进展。我们期待在未来帮助我们的客户抓住行业新风口，并更好地应对持续变化的市场化境与挑战！

本期《领袖视角》由L.E.K.咨询生物制药业务团队撰写，特别感谢L.E.K.副董事Jenny Mackey和顾问Jeff Pike对本文做出的贡献。

如欲了解更多信息，请联系 apac.healthcare@lek.com。

尾注

- 1 As of 11/30/2023 compared with date of peak XBI price (2/8/2021).
- 2 Lek.com, "Cash Preservation in the Biopharmaceutical Industry: Navigating Uncertainty." <https://www.lek.com/insights/hea/us/ei/cash-preservation-biopharmaceutical-industry-navigating-uncertainty>
- 3 Jefferies, "October Biotech Funding."
- 4 Biopharma Dive, "Lessons from a biotech downturn: Funding challenges, an IPO dry spell and what to expect in 2024." <https://www.biopharmadive.com/news/biotech-startup-financing-ipo-downturn-lessons/697855/>
- 5 New York Times, "KKR Buys Minority Stake in Life Sciences Investor Catalio Capital." <https://www.wsj.com/articles/kkr-buys-minority-stake-in-life-sciences-investor-catalio-capital-e4ee84e>
- 6 Biopharma Dive, "After a record run, fewer biotechs are going public. Here's how they're performing." <https://www.biopharmadive.com/news/biotech-ipo-performance-tracker/587604/>
- 7 Biospace, "5 Life Sciences IPOs in 2023 — and the Future Forecast." <https://www.biospace.com/article/5-life-sciences-ipo-in-2023-and-the-future-forecast/>
- 8 Stifel.
- 9 NY Times, "Biden Makes Lower Drug Prices a Centerpiece of His 2024 Campaign." https://www.nytimes.com/2023/08/30/us/politics/biden-medicare-drug-prices-2024-campaign.html?unlocked_article_code=1.7Ew.ApOi.jTXwQDDVtSrO&smid=url-share
- 10 Positions of other Republican presidential candidates on repealing drug pricing provisions of the Inflation Reduction Act are not yet fully clear.
- 11 Associated Press, "Trump makes late-term bid to lower prescription drug costs." <https://apnews.com/article/donald-trump-medication-prescription-drug-costs-medicare-prescription-drugs-e171198402445755b920842ded293b59>
- 12 Congress.gov, "HR 5378." <https://www.congress.gov/bill/118th-congress/house-bill/5378/text#toc-H3EB5C78AAFDE4912BE147826E4A93E9F>
- 13 Congress.gov, "Modernizing and Ensuring PBM Accountability Act." https://www.finance.senate.gov/imo/media/doc/092823_mepa_legislative_text.pdf
- 14 Lek.com, "EUnetHTA 21 — Transition to EU-wide HTAs: Implications for Pharma." <https://www.lek.com/insights/hea/eu/ei/eunethta-21-transition-eu-wide-htas-implications-pharma#:~:text=The%20EU%20HTA%20regulation%20formulated,key%20for%20a%20successful%20JCA>.
- 15 CNBC, "The first fully A.I.-generated drug enters clinical trials in human patients." <https://www.cnbc.com/2023/06/29/ai-generated-drug-begins-clinical-trials-in-human-patients.html>
- 16 Relay Therapeutics, "Corporate Presentation." <https://ir.relaytx.com/static-files/d5fd1def-064f-4347-83a5-032d7727dc44>
- 17 Bio IT World, "Big Pharma, Moderna on An AI-Empowered Era of Drug Discovery." <https://www.bio-itworld.com/news/2023/11/08/big-pharma-moderna-on-an-ai-empowered-era-of-drug-discovery>
- 18 Bio IT World, "Big Pharma, Moderna on An AI-Empowered Era of Drug Discovery." <https://www.bio-itworld.com/news/2023/11/08/big-pharma-moderna-on-an-ai-empowered-era-of-drug-discovery>
- 19 Veeva, "Veeva Pulse Field Trends Report." <https://www.veeva.com/resources/veeva-pulse-field-trends-report/>

- 20 Tealium, "How to Create Real-Time, Personalized Experiences in Pharma." <https://tealium.com/blog/customer-experience/how-to-create-real-time-personalized-experiences-in-pharma/>
- 21 Barclays, "3Q23: Afami-cel BLA Submission on Track for 4Q23; Lete-cel Program Update in Early 2024."
- 22 Press release, "Affimed Announces IND Clearance for a Phase 2 Clinical Trial Investigating AFM13 and AB-101 Combination Therapy." <https://www.globenewswire.com/en/news-release/2023/05/23/2674077/0/en/Affimed-Announces-IND-Clearance-for-a-Phase-2-Clinical-Trial-Investigating-AFM13-and-AB-101-Combination-Therapy.html>
- 23 ClinicalTrials.gov, "A Phase 2 Study of CRG-022 in Patients With Relapsed/Refractory Large B-cell Lymphoma." <https://classic.clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT05972720>
- 24 Press release, "AlloVir Announces Plans to Complete Enrollment in Three Phase 3 Posoleucel Studies in 2023." <https://ir.allovir.com/news-releases/news-release-details/allovir-announces-plans-complete-enrollment-three-phase-3>
- 25 Pharmaceutical Technology, "Imugene licenses potential first-to-market allogeneic CAR T for blood cancers." <https://www.pharmaceutical-technology.com/analyst-comment/imugene-allogeneic-car-t-blood-cancer/>
- 26 Press release, "Allogene Therapeutics Reports Fourth Quarter and Full Year 2022 Financial Results and Provides Business Update." <https://ir.allogene.com/news-releases/news-release-details/allogene-therapeutics-reports-fourth-quarter-and-full-year-2022>
- 27 William Blair, "CELLect Horizons: The Hammer Finds a Bigger Nail: Cell Therapy for Autoimmune Disorders."
- 28 Food and Drug Administration, "FDA Investigating Serious Risk of T-cell Malignancy Following BCMA-Directed or CD19-Directed Autologous Chimeric Antigen Receptor (CAR) T cell Immunotherapies." <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/safety-availability-biologics/fda-investigating-serious-risk-t-cell-malignancy-following-bcma-directed-or-cd19-directed-autologous>
- 29 Manan Shah et al., "Promises and challenges of a decentralized CAR T-cell manufacturing model." <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/frtra.2023.1238535/full>
- 30 EvaluatePharma
- 31 Reuters, "Insight: What happens when a \$2 million gene therapy is not enough." <https://www.reuters.com/business/healthcare-pharmaceuticals/what-happens-when-2-million-gene-therapy-is-not-enough-2023-08-12/>
- 32 Press release, "CRISPR Therapeutics Announces Completion of FDA Advisory Committee Meeting for Exagamglogene Autotemcel (exa-cel) for Severe Sickle Cell Disease." <https://crisprtx.com/about-us/press-releases-and-presentations/crispr-therapeutics-announces-completion-of-fda-advisory-committee-meeting-for-exagamglogene-autotemcel-exa-cel-for-severe-sickle-cell-disease>
- 33 Press release, "Sangamo Therapeutics Reports Recent Business Highlights and Second Quarter 2023 Financial Results." <https://investor.sangamo.com/news-releases/news-release-details/sangamo-therapeutics-reports-recent-business-highlights-and-6>
- 34 Press release, "FDA Accepts Pfizer's Application for Hemophilia B Gene Therapy Fidanacogene Elaparvovec." <https://www.businesswire.com/news/home/20230627431780/en>
- 35 Press release, "Intellia Therapeutics Announces Second Quarter 2023 Financial Results and Highlights Recent Company Progress." <https://ir.intelliatx.com/news-releases/news-release-details/intellia-therapeutics-announces-second-quarter-2023-financial>
- 36 Press release, "Intellia Therapeutics Announces FDA Clearance of Investigational New Drug (IND) Application to Initiate a Pivotal Phase 3 Trial of NTLA-2001 for the Treatment of Transthyretin (ATTR) Amyloidosis with Cardiomyopathy." <https://ir.intelliatx.com/news-releases/news-release-details/intellia-therapeutics-announces-fda-clearance-investigational-0>
- 37 Press release, "Merck and Moderna Initiate Phase 3 Study Evaluating V940 (mRNA-4157) in Combination with KEYTRUDA® (pembrolizumab) for Adjuvant Treatment of Patients with Resected High-Risk (Stage IIB-IV) Melanoma." <https://www.merck.com/news/merck-and-moderna-initiate-phase-3-study-evaluating-v940-mrna-4157-in-combination-with-keytruda-pembrolizumab-for-adjuvant-treatment-of-patients-with-resected-high-riskstage-iib-iv-melanom/>
- 38 Reuters, "Merck signs \$5.5 billion deal with Daiichi for cancer therapy development." <https://www.reuters.com/business/healthcare-pharmaceuticals/daiichi-sankyo-merck-team-up-22-bln-collaboration-sankyos-antibody-drug-2023-10-19/>
- 39 Fierce Pharma, "AZ, Daiichi's Enhertu posts trial win in numerous cancer types. Is a tumor-agnostic approval next?" <https://www.fiercepharma.com/pharma/az-daiichis-enhertu-fights-various-cancers-tumor-agnostic-approval-next>
- 40 Press release, "PADCEV® (enfortumab vedotin-ejfv) and KEYTRUDA® (pembrolizumab) Significantly Improve Overall Survival and Progression-Free Survival in Patients With Previously Untreated Advanced Bladder Cancer in Pivotal Phase 3 EV-302 Trial." <https://investor.seagen.com/press-releases/news-details/2023/PADCEV-enfortumab-vedotin-ejfv-and-KEYTRUDA-pembrolizumab-Significantly-Improve-Overall-Survival-and-Progression-Free-Survival-in-Patients-With-Previously-Untreated-Advanced-Bladder-Cancer-in-Pivotal-Phase-3-EV-302-Trial/default.aspx>

41 Press release, "Lilly to Acquire POINT Biopharma to Expand Oncology Capabilities into Next-Generation Radioligand Therapies." <https://investor.lilly.com/news-releases/news-release-details/lilly-acquire-point-biopharma-expand-oncology-capabilities-next>

42 Press release, "Biotheus Enters Into Strategic Partnership with BioNTech to Develop and Commercialize Bispecific Antibody Candidate Targeting PD-L1 and VEGF in Multiple Solid Tumor Indications." <https://www.prnewswire.com/news-releases/biotheus-enters-into-strategic-partnership-with-biontech-to-develop-and-commercialize-bispecific-antibody-candidate-targeting-pd-l1-and-vegf-in-multiple-solid-tumor-indications-301978246.html>

关于L.E.K.咨询

我们是L.E.K.咨询，一家全球性的战略咨询公司，致力于帮助业务领导者把握竞争优势，获取持续增长。我们的深刻洞见能够帮助客户重塑业务发展轨迹，发掘机遇，并为其赋能，以把握每一个关键时刻。自1983年创立以来，我们遍布全球的团队在跨越美洲、亚太和欧洲的区域，与来自各个行业的跨国企业、创业企业以及私募股权投资者展开合作，为其提供战略咨询服务。如欲了解更多信息，请访问 lek.com。

L.E.K. Consulting是L.E.K. Consulting LLC的注册商标。本文中提及的所有其他产品和品牌均为其各自所有者的财产。
© 2023 L.E.K. Consulting