

迎接治愈的曙光

On the Cusp of a Cure

精准医学新纪元：亚太地区能否把握治愈革命？



迎接治愈的曙光

On the Cusp of a Cure

精准医学新纪元：亚太地区能否把握治愈革命？

致谢

L.E.K. Consulting（L.E.K.咨询）感谢所有咨询委员会成员为本报告编写所贡献的重要见解。他们为评估精准医学在应用过程中所面临的阻碍及其解决方案提供了指导。

姓名	职务	组织
澳大利亚		
David Thomas	首席科学官	Omico
Jaala Pulford	董事会主席	MTPConnect
Christine Cockburn	首席执行官	澳洲罕见癌症协会

中国		
于保荣	教授，市场准入关键意见领袖	对外经济贸易大学
莫俊业	中国区负责人	Guardant Health
黄如方	创始人，主任	蔻德罕见病中心 (CORD)
周彩存	教授，肺癌领域关键意见领袖	同济大学医学院

日本		
Teruyuki Katori	代表理事教授 特任教授	一般社团法人未来研究所卧龙 兵库县立大学，社会科学研究科
Daisuke Sato	教授	藤田医科大学
Manabu Muto	教授	京都大学大学院医学研究科
Masahiro Miyake	教授	京都大学医学部附属病院
Naomi Sakurai	创始人兼首席执行官	Cancer Solutions
Keisuke Shimizu	负责人	肺癌HER2“HER HER”

韩国		
Paul Lee	前总经理	吉利德科学公司（韩国）
Jin-Ah Kim	罕见疾病治疗倡导者	首尔大学医院基因组医学部、罕见病中心
Jeonghoon Ahn	健康融合系教授	梨花女子大学

本报告由Johnson & Johnson赞助。本报告的研究与撰写为独立完成，旨在呈现作者客观、公正的分析与结论。

免责声明

本报告仅提供信息和说明之用。因此，本报告仅可用于其指定场景和目的。任何接收者都不能完全依赖本报告行事。

接受本报告即代表您同意L.E.K. Consulting Pte Ltd及其关联方、成员、董事、管理层、雇员和代理（统称为“L.E.K.”）不对您或任何第三方承担任何义务或责任，无论是在合同、侵权（包括过失）、违反法定义务或其他任何方面，无论该等义务或责任是在使用本报告过程中发生、与本报告相关、由本报告产生或以其他方式产生。

L.E.K.对您或任何第三方因依赖或使用本报告所导致的任何性质的损失、损害或费用不承担任何责任，您或第三方同意自行承担因接受本报告可能产生的相关风险。

目录

摘要	4
1.0 简介	11
1.1 医疗发展史	12
1.2 精准医学发展的驱动因素	14
1.3 精准医学的定义	16
1.4 报告方法论	21
2.0 中国区域报告	23
2.1 精准医学在中国	24
2.2 精准医学的益处	25
2.3 可及性障碍	33
2.4 解决举措	37
3.0 附录	39
参考文献	46

摘要

未来十年，随着诊断技术、大数据和人工智能(AI)领域不断取得技术突破，疾病治疗以及医疗方案的实施方式将发生巨大变化。诸如基因组测序等前沿技术的进步正在重塑我们对疾病成因的认识，使研究人员能够更准确地预测不同治疗方法对患者的适用性及其治疗效果。

这些进展推动着医学领域迈入一个变革性的阶段——“精准医学时代”。在精准医学时代，药物治疗方式正在走出以非个性化处方与用药为主的传统模式，例如主要用于缓解症状、需长期服用以控制慢性疾病的小分子药物治疗。当前的治疗正逐步由根据患者个体特征高度定制的方式所取代，其能够为特定疾病提供具有潜在治愈可能。我们将这一新兴的创新疾病治疗方式称为“精准医学”。

诸如基因组测序等前沿技术的进步正在重塑我们对疾病成因的认识，使研究人员能够更准确地预测不同治疗方法对患者的适用性及其治疗效果。

在技术持续进步的推动下，精准医学有望在未来十年迎来快速发展。这些治疗方式目前已不再是遥远的概念，反而已在多个国家和地区惠及患者。预计在未来五年内，将有大量新型精准医学药物陆续获批上市。以细胞和基因疗法为例，目前全球已有近四千个相关治疗项目处于研发阶段¹。值得注意的是，精准医学的范畴远不止于细胞和基因疗法。在本报告中，我们将以下几类代表性的技术纳入到精准医学的范畴中：

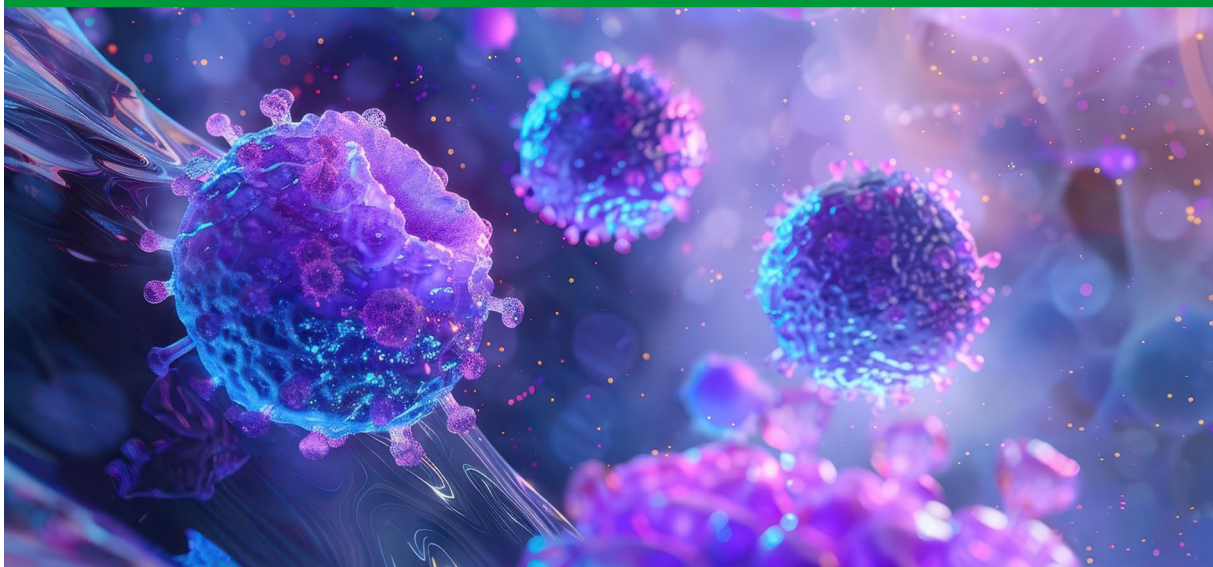
- **细胞疗法**：通过向患者体内引入或移植经修饰的人体细胞以治疗疾病；
- **基因疗法**：通过纠正患者体内导致疾病的DNA突变来治疗或预防疾病；
- **靶向抗体疗法**：针对特定靶点对癌症、自身免疫疾病等多种疾病实施精准治疗，通常与全面基因组测序(CGP)等创新诊断技术配合使用；
- **药械联合疗法**：改进了传统治疗与给药方式，将药物直接递送至肿瘤细胞，从而有效降低药物剂量、副作用及对健康细胞的损伤；
- **伴随诊断技术**(如全面基因组测序)：用于识别适合接受基因疗法及靶向抗体疗法的特定患者群体。

上述各类技术之所以被归入“精准医学时代”的范畴是因为它们以更为个性化的治疗方式提升患者的健康获益，体现了对传统医疗模式的转变，并已成为当前全球研发与产业投资的重点布局方向。预计未来5至10年，将有一大批精准医学疗法陆续问世。随着近年来精准医学的迅速发展，许多专家认为，我们正处于一个取得医疗突破的关键时刻，有望攻克一些长期被视为不治之症的疾病(如多种癌症和遗传性疾病)。

精准医学不仅为患者带来希望，也为他们的家人、照护者、医疗卫生系统和更广泛的经济体系带来了巨大的益处。本报告首次对这些广泛效益进行了系统性评估和深入阐述。然而，正如其他重大创新一样，精准医学价值的全面实现有赖于整个医疗生态系统的协同变革，这包括筹资模式、基础设施建设、医务人员能力、患者服务流程等多方面的系统性调整。



案例研究



精准医学在肺癌等实体瘤治疗领域取得了突破，特别是用于治疗中国最常见的癌症之一：肺癌。在中国，肺癌的发病率和死亡率均居恶性肿瘤之首，晚期患者的总体5年生存率仅约为20%²。从2025年到2035年，中国预计将有约1,500万人被诊断为肺癌。

患者Z是一名67岁的退休人员，一直与家人一起享受着平静的生活，却不幸被确诊为肺癌晚期。诊断结果给他带来了毁灭性的打击，他的肿瘤已经很大，而且已转移到肝脏。随着病情迅速恶化，他彻夜难眠，考虑到自己年事已高，经济能力有限，他甚至怀疑自己是否应该继续接受治疗。就在这时，Z的医生向他说明了参加靶向抗体治疗临床试验的可能性，并详细介绍了治疗方案和潜在获益。经过深思熟虑后，

Z决定勇敢尝试一回，参加试验。两年后，Z的故事变成了希望和新生的见证。曾经威胁他生命的肺部病灶已经完全消失，肝脏转移灶也明显缩小。Z喜极而泣，表达了由衷的感谢：“多亏了我的医生和这种突破性疗法，我才获得了第二次生命。现在的每一天我都不忘感恩。”

随着生物标志物驱动的靶向抗体治疗的普及，并将其纳入早期治疗阶段，患者所获得的总寿命年数增益能够显著改变生活。精准医学有望为各类肿瘤患者带来新的希望和巨大的益处。按技术类型划分，与治疗标准(SoC)相比，靶向抗体和药械联合治疗在延长寿命年数中所占的贡献比例最大(约730万年)，其次是细胞疗法(约170万年)和基因疗法(约20万年)。

¹ Australian Government Department of Health and Aged Care, 2024. Minister for Health and Aged Care press conference – 28 August 2024. [online] Available at: <https://www.health.gov.au/ministers/the-hon-mark-butler-mp/media/minister-for-health-and-aged-care-press-conference-28-august-2024>

² 中华医学会肿瘤学分会. 2024. 中华医学会肺癌临床诊疗指南(2024版). [online] Available at: <https://rs.yiigle.com/cmaid/1512963>

本报告还识别了当前精准医学在应用推广过程中所面临的关键阻碍，并提出了切实可行的政策建议，以帮助精准医学更广泛地造福患者群体与社会大众。

我们通过对逾1,000项关键技术相关临床试验数据的系统研究与建模发现，这些医疗技术不仅能够直接造福患者，还将带来广泛的社会和经济效益，包括降低医疗费用，促进研发活动，改善医疗基础设施，并提升医务人员专业水平。与此同时，这些变化也将给医疗领域带来更多投资，从而提升生产力。随着行业推动创新并创造高技能工作岗位，精准医学的影响将进一步拓展至更广泛的经济领域。

通过系统研究与建模发现，这些医疗技术不仅能够直接造福患者，还将带来广泛的社会和经济效益。

除了直接益处外，提高精准医学的可及性也将间接产生乘数效应。乘数效应是指初始投资的影响可渗透至不同行业并刺激额外的经济活动，从而带来更大幅度的经济产出和就业增长。

然而，精准医学也面临着一些阻碍，这些阻碍限制了患者获得这些创新治疗方法的机会，并牵掣了上述诸多益处的实现。鉴于精准医学的潜在价值，L.E.K.咨询采取了系统化方法来评估当前精准医学的阻碍以及针对这些阻碍的解决举措³。

通过深入咨询患者权益倡导、医疗行业、政府与经济政策方面的独立专家，我们对亚太地区 (APAC) 的四个主要市场 (澳大利亚、中国、日本和韩国) 进行了评估。

如下所示，精准医学在改善民众健康水平和促进经济发展方面具有显著潜力。要充分释放其潜在价值，仍需产业界、政府部门、临床与公共卫生专业人员、科研人员及投资者等多方的协同努力。

中国

获益（10年累计结果）



1,050万例患者

超过1,050万例患者的治疗效果和健康结果得到改善，包括提高精准医学、支持性诊断和临床试验的可及性

1.45万亿元人民币

投资于研发、诊断和生产领域
支持发展新技术与专业知识

超过2,000亿元人民币

通过治愈以往无法医治的疾病而节省医疗费用

可能创造8万亿元人民币投资

和850,000个工作岗位，并通过投资的乘数效应让更多广泛社区中的患者获益

³ Jackson, Stuart and Trakhtenberg, Ilya, 2025, Predictable Winners, Stanford University Press

中国

解决方案



营造促进创新的支持环境

- 完善监管审批框架
- 健全精准医学的定价、医保报销、筹资等制度机制



完善精准医学的基础设施

- 加大精准医学基础设施投资



重视精准医学的相关教育

- 制定临床指南，并为医患提供进一步教育
- 支持患者倡导组织的成立与发展

地区视角

从地区层面来看，未来10年，研发、诊断和生产领域的经济投资潜力巨大，同时有望显著节约医疗成本。更重要的是，数百万患者将从中获益。

本报告首次系统性地评估了精准医学在亚太地区的整体效益，重点关注澳大利亚、中国、日本和韩国四个市场，主要获益包括：

- 未来十年内，四个市场在精准医学领域的累计经济投资预计将达约4,500亿美元；
- 并有望创造近120万个就业岗位；
- 通过对相关产业的带动作用，进一步产生连锁反应。行业经济活动的乘数效应预计可带来高达1.615万亿美元的经济效益；

- 随着患者健康状况改善，超过2,400万名患者及其照护者将实现更高的劳动力参与率。

由于本报告采用了较为保守的患者数量预测及治疗模式假设，随着未来更多创新疗法的推出，以及这些疗法在患者治疗路径中的应用时间进一步提前，其实际影响极可能超过本报告的预测。

未来10年，研发、诊断和生产领域的经济投资潜力巨大，并有望同时显著节约医疗成本。



精准医学的预计益处（10年累计结果）

	澳大利亚	中国	日本	韩国
治疗结果改善	25万例患者	1,050万例患者	150万例患者	40万例患者
研发、诊断和生产投资	超过500亿澳元 (320亿美元)	超过1.45万亿人民币 (2,000亿美元)	超过17万亿日元 (1,100亿美元)	超过61万亿韩元 (440亿美元)
节省医疗费用	26亿澳元 (17亿美元)	2,160亿人民币 (300亿美元)	8,600亿日元 (57亿美元)	2.2万亿韩元 (16亿美元)

本报告评估的四个市场在实现精准医学方面均面临挑战。在我们研究的四个亚太地区（APAC）市场中，普遍存在以下三大共性阻碍：

阻碍

解决举措

1 缺乏明确且适用的监管与准入路径，导致无法合理评估这些颠覆性的精准医学技术。

其影响包括：患者的诊疗时机被贻误，新型诊断及新型疗法的报销比例较低，导致患者自付费用较高、患者负担能力受到限制。

为精准医学制定精简且适用性强的监管与准入路径，充分体现精准医学对患者、照护者、患者家庭、以及整个社会经济所带来的广泛益处。

包括更及时地为患者提供诊断和治疗，通过定价、报销或保险计划提高患者对治疗和诊断的负担能力。

2 患者及医务人员对新型疗法及其对患者、患者家庭以及整个社会所带来的益处认知不足。

其影响包括：可能贻误诊疗时机；主治医生对新型疗法的推荐意愿不足；患者难以接触新型疗法且缺乏正确的指引和帮助。

加大对医务人员、患者和广大公众宣传精准医学的力度。

为医务人员提供有关精准医学的临床指南和医疗信息，并协助医务人员和患者倡导组织理清精准医学治疗的复杂路径。

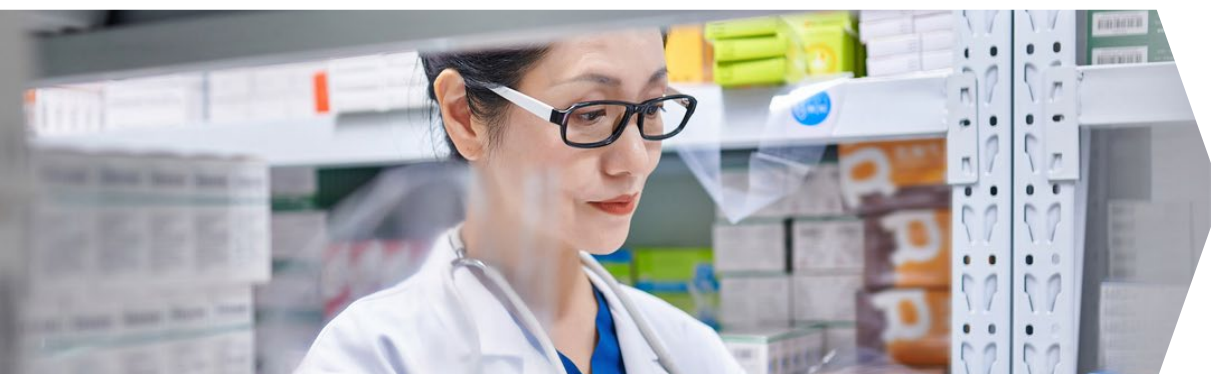
3 缺少支持患者使用这些医疗技术的关键医疗基础设施和投资。

例如：改善本地患者参与临床试验的途径，增加患者可参与试验的数量；将分子谱分析纳入标准治疗；为患者提供关于新型疗法的信息；利用基因组数据进行研发并积累知识，支持创新和研发，以持续推动精准医学的发展。

鼓励公共部门与行业之间开展跨界合作，促进创新以及创新药物的普及。

支持产业界继续投资于新型疗法与诊断工具，以改善国内创新药物的可及性并开发本地资源与人才。

本报告中的建议需要抓紧落实，以使上述四个市场（澳大利亚、中国、日本和韩国）从精准医学所带来的众多优势中显著获益。政府、行业、医疗专业人士和患者倡导组织必须通力合作，以确保精准医学的潜力得到充分发挥。



1.0 简介

1.1 医疗发展史

20世纪的大部分时间，医疗创新的重点主要集中在症状管理。尽管青霉素等重大突破挽救了大量生命，但大多数创新仍停留在延长寿命，而非实现治愈。过去三四十年来，随着技术进步及人类基因组研究的深入，医学发展呈现加速态势。20世纪末，大分子生物制剂研制成功，使疾病症状管理更为高效。

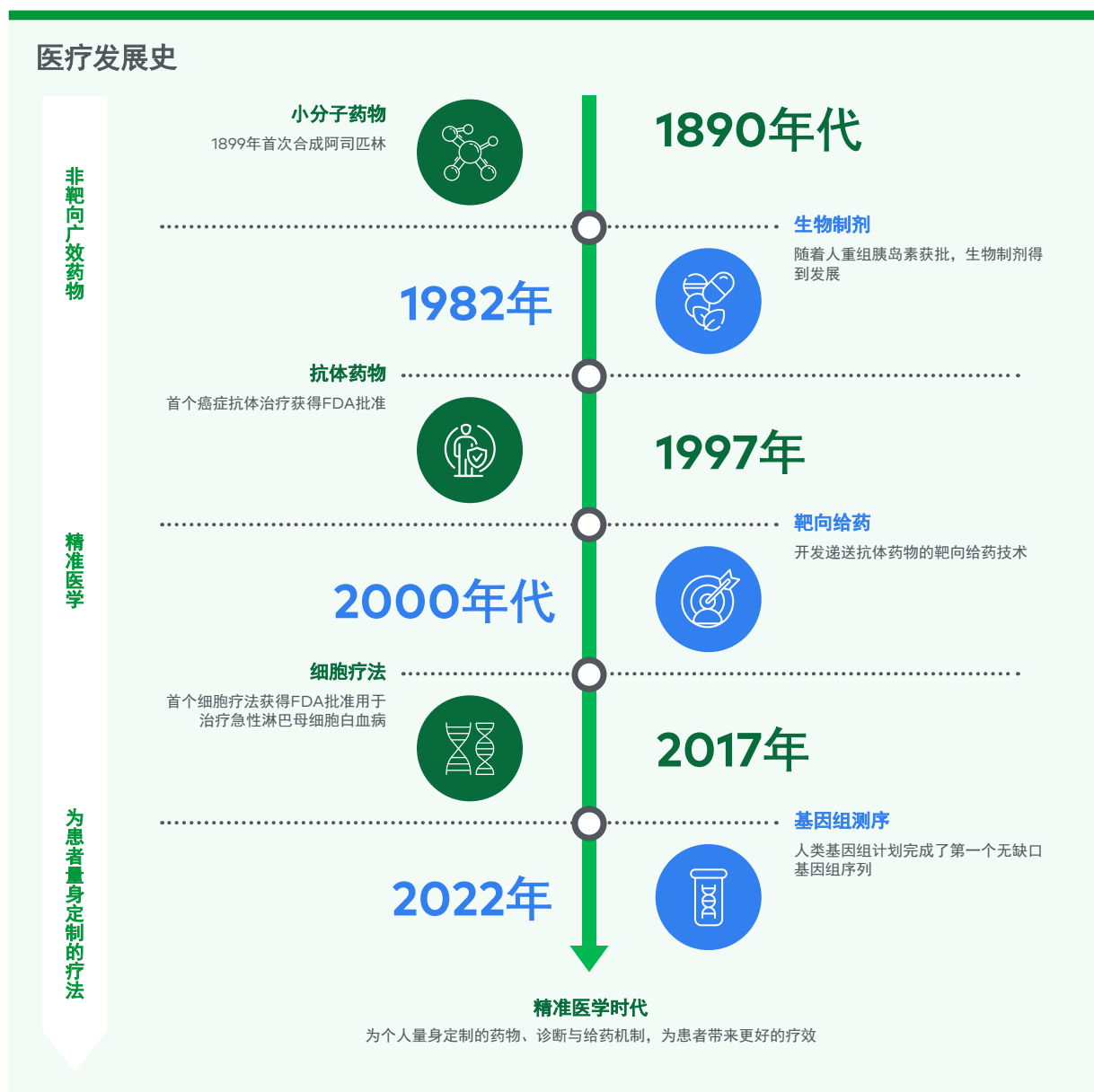
在世纪之交，免疫治疗(例如抗体治疗)兴起，通过调动人体免疫系统主动对抗疾病。

进入21世纪后，靶向药物递送技术进一步增强了抗体治疗的有效性，减少了副作用，为患者提供了传统治疗以外的更多选择。

过去五年的技术进步，包括识别和编辑致病突变的工具出现以及首个完整基因组序列的完成，标志着医学和医疗加速发展进程中的关键转折点。

这些突破正在引发一场患者治疗方式的革命。与传统疗法相比，新一代癌症疗法日益依托个体的基因组信息及相关数据，实现高度个性化的治疗方案，并为那些曾被视为无法治愈的疾病带来潜在治愈可能。这一进展使临床医生能够为患者匹配最有效的治疗方案，推动治疗迈向“精准医学时代”⁴。

过去五年的技术进步标志着医学与医疗加速发展进程中的关键转折点。



⁴ National Institutes of Health (NIH), 2022. Researchers generate the first complete, gapless sequence of a human genome. [online] Available at: <https://www.nih.gov/news-events/news-releases/researchers-generate-first-complete-gapless-sequence-human-genome>

在疾病负担日益加重的环境下，这一创新意义重大。精准医学正逐渐成为个性化治疗的黄金标准，迄今为止，其主要目标是治疗癌症——亚太地区乃至全球的主要死因之一⁵。2024年，全球有超过2,000万人确诊癌症，超过1,000万人死于该疾病，这反映了癌症患病率急剧持续上升⁶。

展望未来，治疗方式可能不再依赖持续或定期用药，而是借助个性化细胞和基因疗法，实现一次性治疗，从而延缓、阻止甚至治愈疾病。

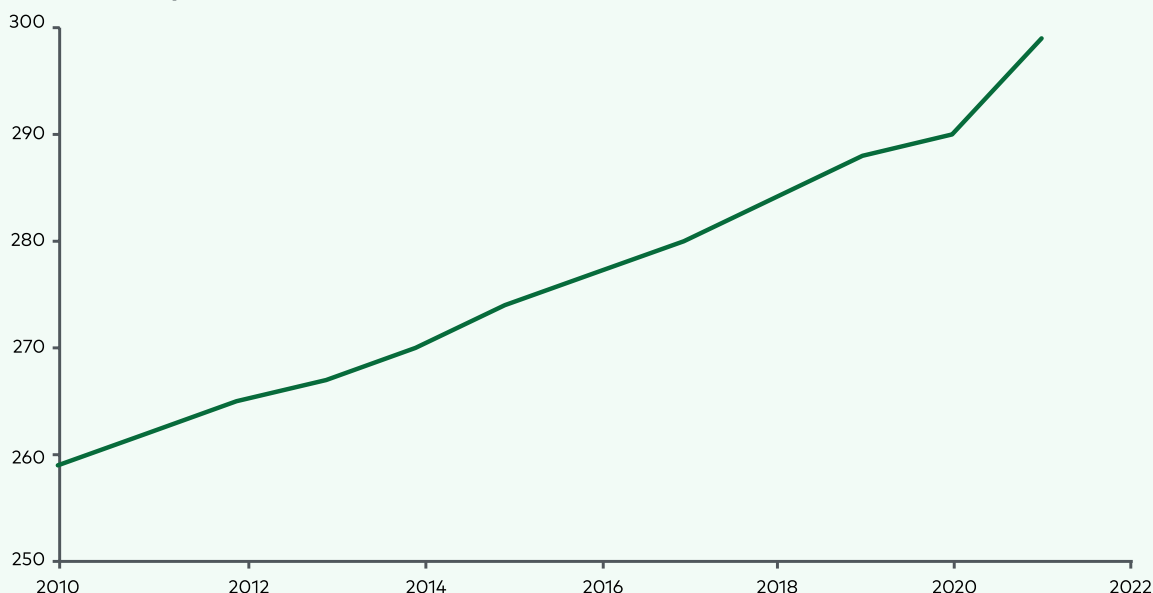
未来5到10年，制药和生物技术行业有望掀起一股精准医学热潮，尤其是在肿瘤学、免疫学和神经学领域。仅在细胞和基因疗法方面，目前全球就有近4,000种疗法正在研发中⁷。

除癌症外，精准医学还可用于治疗罕见的、通常缺乏资金支持的遗传性疾病。尽管单一罕见病的患病率可能不到万分之五，但它们总共影响着全球约8%的人口⁸。这些疾病往往是渐进的且无法治愈，影响着患者的生活质量和预期寿命。

精准医学通过显著提高治疗标准和提供更多治疗方案，为这些既往无法治愈的疾病带来了希望。

展望未来，治疗方式可能不再依赖持续或定期用药，而是借助个性化细胞和基因疗法，实现一次性治疗，从而延缓、阻止甚至治愈疾病。

全球癌症发病率 (2011-2021年)
病例数/100,000人



来源: Global Burden of Disease; L.E.K.分析

⁵ Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME), 2024. Global Burden of Disease (GBD) Data. [online] Available at: <https://www.healthdata.org/research-analysis/gbd-data>

⁶ Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME), 2024. Global Burden of Disease (GBD) Results. [online] Available at: <https://vizhub.healthdata.org/gbd-results/>

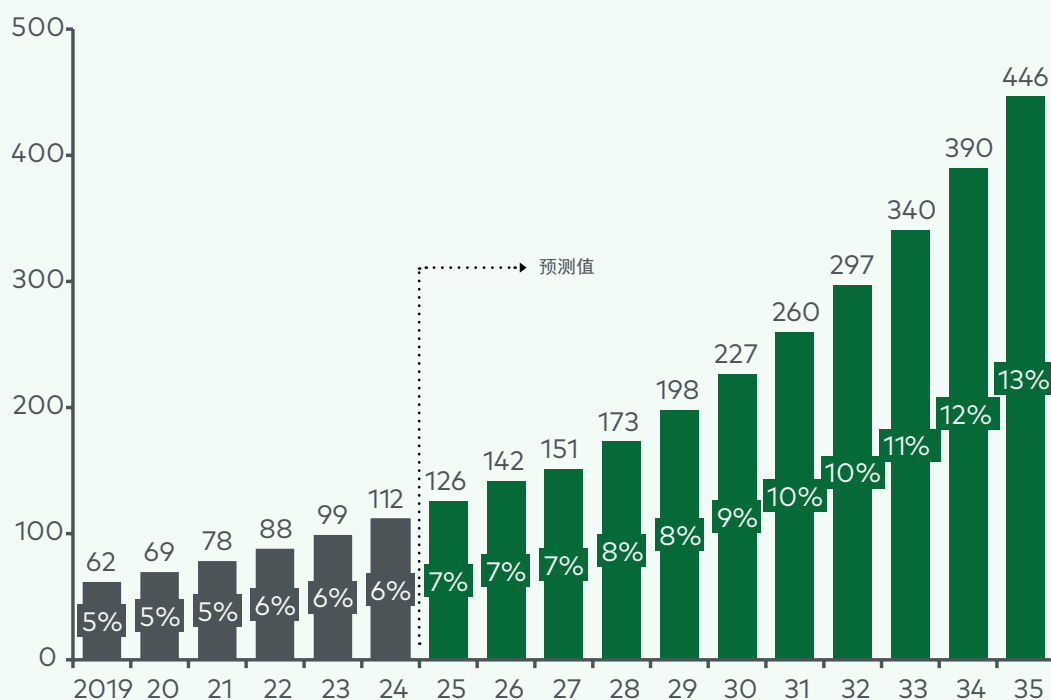
⁷ Australian Government Department of Health and Aged Care, 2024. Minister for Health and Aged Care press conference – 28 August 2024. [online] Available at: <https://www.health.gov.au/ministers/the-hon-mark-butler-mp/media/minister-for-health-and-aged-care-press-conference-28-august-2024>

⁸ European Commission, 2024. Rare diseases. [online] Available at: https://health.ec.europa.eu/rare-diseases-and-european-reference-networks/rare-diseases_en

1.2 精准医学发展的驱动因素

精准医学预计将以每年14.5%的速度增长，到2035年全球市场规模将达到4,460亿美元，远超整体医药市场6.6%的增长率^{9, 10}。

全球精准医学市场规模（2019-35F）
十亿美元（占制药市场的百分比）



来源：Statista, The Global Use of Medicines 2024: Outlook to 2028; L.E.K.分析

⁹ Statista, 2024. Global spending on precision medicine treatments from 2020 to 2027. [online] Available at: <https://www.statista.com/statistics/1420946/spending-on-precision-medicine-treatments-globally/>

¹⁰ IQVIA, 2024. The global use of medicines 2024: Outlook to 2028. [online] Available at: <https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/the-global-use-of-medicines-2024-outlook-to-2028>

诸多因素推动着精准医学的迅速发展：



未满足的医疗需求

- 仍有许多罕见病，虽然遗传原因已查明，但其病理生理学机制复杂或尚不明确
- 目前使用化疗的肿瘤学标准治疗的缓解率较低



生物医学研究

- 在有望改善患者治疗结果的驱动下，对探索生物标志物和开发精准医学的研发投资不断增加



诊断技术进步

- 先进的诊断技术(例如高通量测序 NGS)有助于进行基于生物标志物的检测
- 扩展精准诊断的应用场景(例如，肿瘤分子检测从仅限于在晚期治疗提供指导到全面融入从筛查到治疗后监测的整个过程)



大数据和AI

- 利用大数据为医学发现提供信息并预测疾病和治疗结果



政策发展

- 越来越多的人认识到需要改善检测手段的可及性以利用精准医学的益处
- 指南覆盖范围不断扩大，使精准医学能够用于越来越多的适应症

为了跟上这些发展的步伐，医疗卫生系统需要进行调整，以更好地支持患者获得相关治疗。

- **主治医生**需要接受有关何时以及如何采取这些疗法的培训，护士和其他医务人员需要学习如何为接受治疗的患者提供支持；

- **监管机构**需要探索并制定新方法评估这些疗法的安全性和疗效，因为传统的评估模型可能并不适用；
- **政策制定方**还需要与业界合作，探索并建立新的报销模式，确保患者能够负担得起这些对其生命至关重要的治疗方法。

1.3 精准医学的定义

根据所包含疗法的范围，精准医学有着若干种定义。广义的精准医学可包括第一代生物制剂，这些生物制剂只需通过简单的单一生物标志物检测，即可判断患者是否适用。在过去十年间，这些药物已被广泛应用。

本报告聚焦于一组具有代表性的“精准医学”疗法，这些疗法旨在提供定制化程度更高的诊断和治疗——一些专家认为，就治疗和治愈患者的潜力来看，这些疗法有望实现医疗突破，做到真正治愈疾病。

本报告评估了四种新型技术，即细胞疗法、基因疗法、靶向抗体疗法和药械联合疗法（概述见后文）。伴随诊断检测可与这些技术和治疗类型配合使用，以更准确地识别可能从治疗中获益的患者。

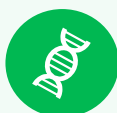
精准医学旨在提供定制化程度更高的诊断和治疗——一些专家认为，就治疗和治愈患者的潜力来看，这些疗法有望实现医疗突破，做到真正治愈疾病。

为本报告目的评估的技术类型



细胞疗法

细胞疗法涉及对患者自身的细胞进行基因修饰，利用细胞的再生和免疫激活特性来治疗疾病



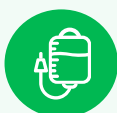
基因疗法

基因疗法通过纠正患者体内导致疾病的DNA突变来治疗或预防疾病



靶向抗体疗法

抗体治疗可以靶向特定细胞，并利用人体的免疫应答或递送对抗疾病的药物，导致癌细胞死亡。与基因组测序结合使用时，还可以根据患者的生物标志物确定哪些患者能从中获益，从而避免对无法获益的患者进行不必要的治疗



药械联合疗法

药械联合治疗利用新型器械或技术将治疗药物递送至患病部位，改进了各种疾病现有疗法的给药机制



伴随诊断检测

精准医学还可以扩展到诊断工具，例如全面基因组测序（CGP），在确定适合接受基因和靶向抗体疗法的人群时特别需要使用该技术

1.3.1 细胞疗法

细胞疗法通过将修饰后的人体细胞添加或移植到患者体内来治疗疾病。这些细胞通常在患者体外进行修饰后再重新输入至患者体内，细胞来源可以是患者自身，也可以来自其他捐献者。

细胞疗法市场主要由嵌合抗原受体T细胞（CAR-T）疗法的发展所推动，该疗法利用来自患者的基因工程免疫细胞靶向摧毁肿瘤细胞，尤其在血液肿瘤（如多发性骨髓瘤和淋巴瘤）领域表现突出。

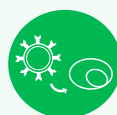
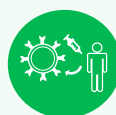
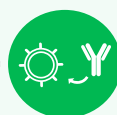
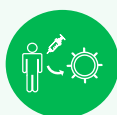
目前还有一种新兴的CAR-T技术被称为非个性化或“通用型”疗法——通过健康供体细胞替代患者自身的细胞。经改造的合格供体细胞可适用于多名患者，克服了为每位患者单独制备细胞疗法的局限性¹²。

用于消灭癌细胞的CAR-T技术¹¹

从患者体内采集健康的免疫T细胞

生产经修饰的CAR-T细胞，生长出数百万个CAR-T细胞

CAR-T细胞靶向肿瘤细胞并将其杀灭



用工程抗原（CAR）修饰T细胞，以增强其识别癌细胞的能力

将CAR-T细胞输入患者体内



¹¹ Cancer Gene Therapy, 2024. CAR T therapies in multiple myeloma: unleashing the future. [online] Available at: <https://www.nature.com/articles/s41417-024-00750-2>

¹² Memorial Sloan Kettering Cancer Center, 2024. Off-the-shelf CAR cell therapy for multiple myeloma shows promise. [online] Available at: <https://www.mskcc.org/news/shelf-car-cell-therapy-multiple-myeloma-shows-promise>

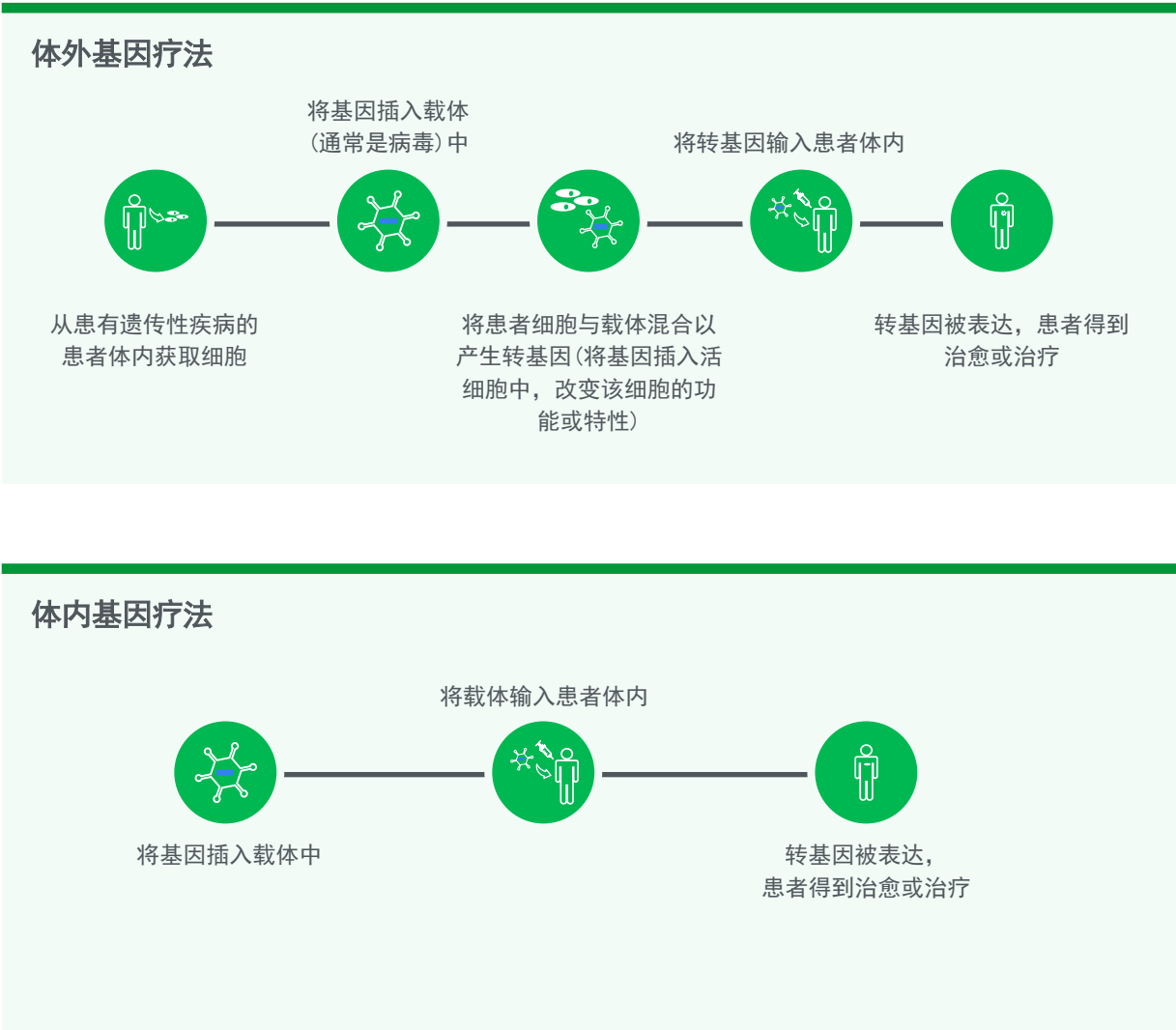
1.3.2 基因疗法

细胞中的大多数关键功能由蛋白质根据DNA提供的信息执行。而DNA突变可能导致这些细胞功能部分或完全丧失，这就是遗传性疾病的根源。

基因疗法通过使用载体（通常是病毒）纠正DNA突变来治疗或预防疾病，载体作为一种“运载工具”，可将治疗性遗传物质（例如功能正常的基因）直接递送到细胞中¹³。

基因疗法的实施方式包括：在体外改造患者基因，将患者基因与载体混合，然后将其重新注入患者体内；或将基因连同载体直接递送到患者体内。

目前可采用基因疗法的疾病包括遗传性视网膜疾病、脊髓性肌萎缩症、杜氏肌营养不良症和血友病等。



¹³ American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT), 2024. Vectors 101. [online] Available at: <https://patienteducation.asgct.org/gene-therapy-101/vectors-101>

1.3.3 抗体治疗

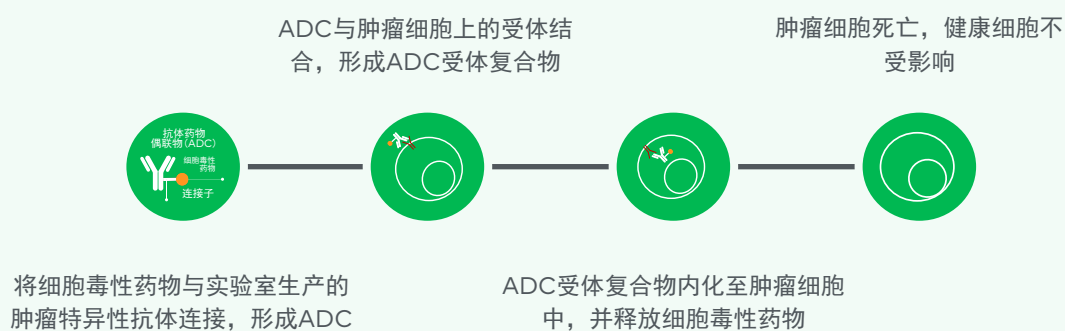
抗体治疗可以靶向治疗从癌症到自身免疫性疾病等多种疾病。抗体治疗通常用于治疗肺癌、结直肠癌和黑色素瘤等一系列实体瘤癌症。

在癌症治疗中，抗体治疗通过递送能识别并靶向特定肿瘤细胞的抗体来发挥作用。与肿瘤细胞结合后，抗体可以“标记”这些细胞，使其被患者自身免疫系统摧毁。

抗体治疗也可以在抗体与靶向受体结合后释放特定药物，这种疗法被称为抗体药物偶联物 (ADC)，通过将抗体与毒性物质结合发挥作用。当抗体与肿瘤细胞结合时，就会释放毒性物质摧毁肿瘤细胞。

抗体治疗最新的进展包括放射配体疗法的开发，即将放射性同位素附着在与肿瘤细胞特异性结合的分子 (称为配体) 上。附着后，它们就会直接向肿瘤部位输送靶向放射性物质。

抗体药物偶联物治疗



1.3.4 药械联合治疗

药械联合治疗用于治疗各种疾病和病症。近来，药械联合治疗技术的进步主要体现在用于治疗实体瘤癌症的小分子药物（例如化疗药物）给药方式的创新。

这些技术改进了传统的治疗和给药方式，将药物直接送达肿瘤细胞，减少了药物剂量、降低了副作用和对健康细胞的损害。

许多此类药械组合产品是可植入的，这也能缩短给药时间，减少给药频率。

此类治疗方法用于治疗一系列实体瘤癌症，包括膀胱癌、恶性上皮肿瘤、前列腺癌、乳腺癌和胰腺癌等。

靶向给药机制示例



通过导管将化疗药物直接递送至膀胱



通过注射递送封装型缓释激素植入剂，抑制肿瘤生长



通过手术将含有缓释化疗药物的晶片植入患者体内

1.3.5 伴随诊断检测

伴随诊断检测是指根据患者的独特基因组图谱确定特定疗法是否适合患者的检测方式。例如，全面基因组测序就是一种伴随诊断检测，可揭示遗传变异，并提供用于指导治疗方案的重要信息。

全面基因组测序



从患者体内采集肿瘤组织或血液样本



使用高通量测序 (NGS) 技术分析样本中的遗传物质



解读基因组数据，确定遗传突变以及与之相关的特定疗法，然后对患者进行治疗

1.4 报告方法论

在本文中，我们概述了这些医疗创新给患者、照护者、患者家庭以及更多社会群体带来的广泛益处。我们还针对目前获得这些治疗所面临的阻碍，为亚太地区四个主要医疗市场（澳大利亚、中国、日本和韩国）提供了建议。之所以选择这些市场，是因为它们拥有该地区最大、最成熟的经济规模和医疗系统。

摘要提供了地区概览，并确定了本研究中四个市场需要考量的关键主题。随后摘要还介绍了精准医学的定义、相关技术与疗法，并概述了其作用机制，这些内容在四个市场中是普遍适用的。

本报告的其余部分围绕以下三个方面介绍中国的情况：

- 1 **精准医学的益处：**从经济贡献、节省的医疗费用和延长患者寿命等方面展开论述；
- 2 **精准医学面临的阻碍：**目前影响人们获得并更广泛地应用精准医学的阻碍；
- 3 **推进精准医学的建议：**针对中国的具体需求，提出推进精准医学的建议。

1.4.1 获益评估框架

我们采用了一个获益评估框架（如下页所示）来定性和定量评估精准医学的益处。这些医疗技术已被证明可延长预期寿命并显著改善患者的生活质量。然而，这些医疗技术的益处远不止于患者层面，还包括医疗系统的获益、经济活动的增加，以及乘数效应。获益分析由L.E.K.咨询基于现有的案例研究和评估结果以及一组稳健的经济和临床数据完成。

我们根据目前精准医学为患者提供的疗法和治疗模式，并利用现有的临床数据，以较为保守的方式构建评估模型。

报告中用于获益测算所选取的技术及其在不同疾病中的应用并未全面覆盖现今精准医学的全部潜力。我们所适用的例子仅代表在撰写本报告时存在的最大、最适用的已证实的患者用例。

如果患者在更早阶段使用此类疗法，其实际获益可能会更大。不仅将有更多患者受益，而且由于治疗时机的提前，每位患者所获得的健康改善和生活质量提升也将更为显著。

有关计算步骤和数值的更多详细信息，请参见附录。

- **患者和社会效益**通过审查每种技术类型并选择与现有精准医学最相关的疾病类别（例如与细胞疗法最相关的是血液肿瘤）来确定。基于已公布的临床试

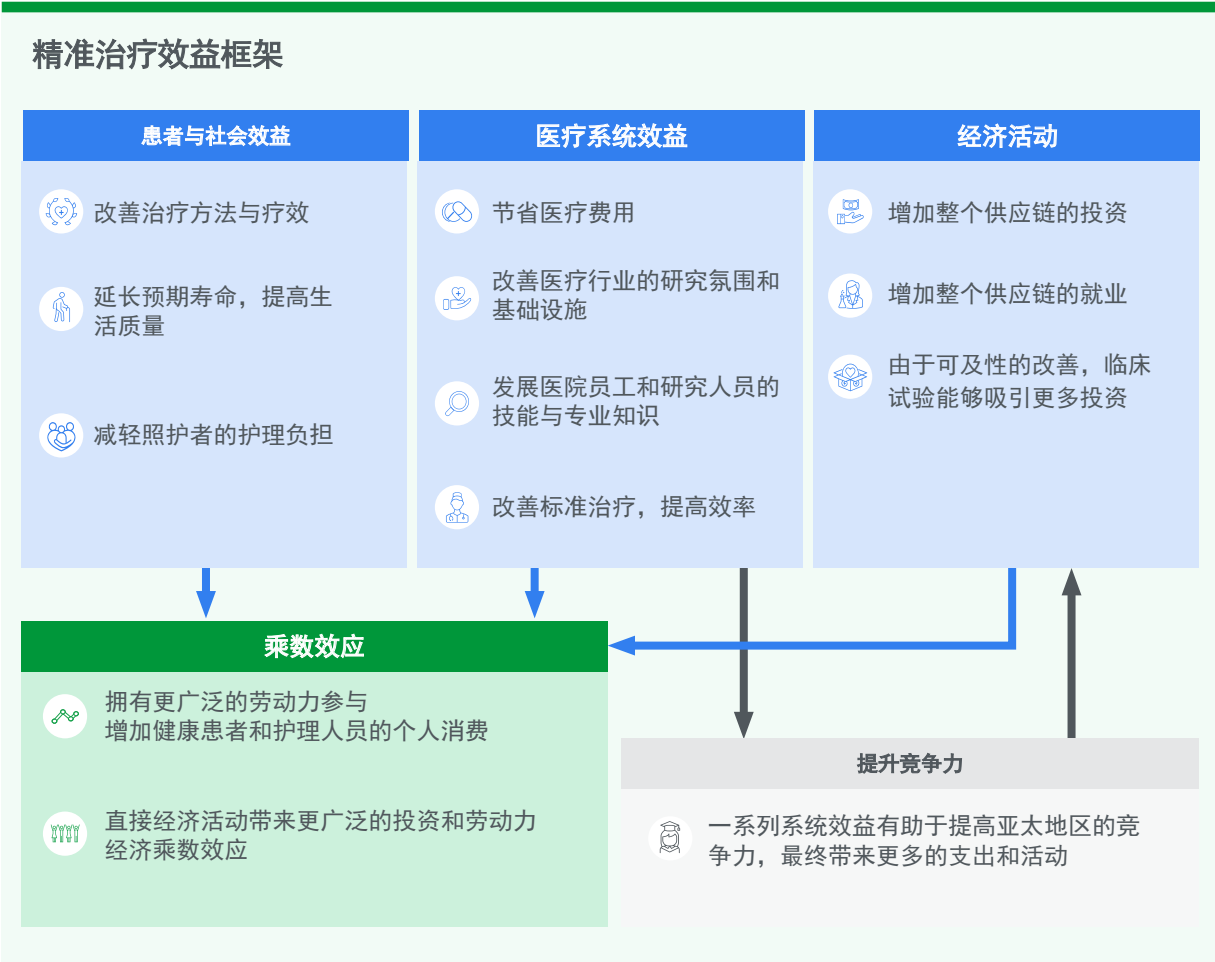
验和真实世界研究结果，来确定精准医学与现有治疗标准（SoC）相比在延长预期寿命方面的额外贡献，并将其延展至每个国家可能符合治疗条件的整个患者群体。随着更多疗法被开发并应用于其他类别的疾病的治疗，以及现有疗法在更早的治疗阶段显示出疗效（例如在一线治疗中使用，而不是在使用现有的其它疗法失败后才使用），这方面的获益将显著增加；

- **医疗系统效益**基于延长的预期寿命，按照现有治疗标准每增加一年治疗需要的费用，计算出由精准医学带来的隐性费用节省（或称为“节省的医疗费用”）。治疗标准费用基于每个国家公布的数据集计算得出；
- **经济活动效益**主要考虑国内外机构为支持本地精准医学基础设施的发展，在制药、医疗器械和诊断供应链方面进行的财务投资和创造的新就业机会。在对效益进行量化时，我们参考了从已公布的数据集中观察到的制药业投资和就业情况，并根据未来10年预计将与精准医学相关的治疗比例进行了调整。
- **乘数效应**根据两个方面进行计算：
 - » 康复人群对社会和职场贡献度的提升——康复患者及其照护者通过提高劳动力参与率和个人消费推动经济发展；
 - » 在更广泛的生态系统中，精准医学为经济活动带来的衍生效益，例如创造的新工作岗位所带来的税收增长；
 - » 我们通过引用可靠的第三方数据验证了乘数效应的潜在规模，确保计算的可靠性。

在分析市场潜力时，我们使用了现有的临床试验数据：

- 围绕简介中总结的治疗领域（靶向抗体疗法、基因疗法、细胞疗法），筛选相应治疗领域中基于精准医学的可用数据；
- 总共涵盖了来自四个国家的900-1,100项临床试验（澳大利亚：130-190项，中国：500-620项；日本：120-160项，韩国：110-150项[请注意该数据每年都会有些许变化]）；
- 入选疗法依据美国食品药品监督管理局（FDA）的批准及其在各个地区的可用性进行筛选。

我们基于当前可用于患者的精准医学治疗模式，结合已有临床数据，采用相对审慎的假设进行建模评估。



1.4.2 阻碍与建议

我们针对每个国家设立了独立咨询委员会，这些咨询委员会由关键意见领袖、医务人员、患者及患者权益倡导团体代表、以及现任或前任行业代表等组成。根据这些咨询委员会的意见，我们分析了精准医学所面临的阻碍并提供了有针对性的建议。在2-3个月的时间里，我们在每个国家举办了一系列会议，以收集并提炼关键信息。

之所以采取这种方法，是为了确保本文反映每个国家当前的具体需求，并为政府和行业组织提供可行性建议。



2.0 中国区域报告

2.1 精准医学在中国

中国拥有超过14亿人口，是全球最大的经济体之一。作为全球第二大制药市场，其地位举足轻重。中国对医疗基础设施和技术的大量投资极大地提高了全国医疗服务的可及性和公平性¹⁴。

中国的医疗体系以公立医疗机构为基础，辅以不断发展壮大的私立医疗部门，全国医疗卫生机构超过100万家。经过几十年的全面改革，中国政府成功实现了全民医疗保险的普及，使超过95%的人口能够获得基本医疗保险，并覆盖了大部分医疗费用¹⁵。

2015年，中国推出了精准医学计划，政府承诺到2030年投入600亿元人民币（约83亿美元）用于推进这一重要领域的研发工作¹⁶。随后，政府于2016年又出台了《健康中国2030》战略政策，强调加强精准医学等关键技术突破，推动医学科技进步。

2024年，国务院批准了《全链条支持创新药发展实施方案》，这是一项旨在推动创新疗法进步的重大举措。该综合性方案为从研发、评估到审批、支付和融资的整个药物开发链条提供了政策支持¹⁷。此外，上海、

尽管精准治疗在提升医疗服务水平方面取得了积极进展，但当前其可及路径主要仍通过临床试验实现，尚未系统性纳入常规医疗服务体系。

北京和杭州等城市的地方政府也出台了相关政策，着力加强对生物制药行业的支持，尤其是细胞和基因治疗领域¹⁸。

2025年，国务院办公厅发布了《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》，提出优化药品注册检验，将单批次用量由原来的全项检验用量的三倍减至两倍，提升了创新药物的可及性¹⁹。北京等地也同步出台了相应支持措施，助力医药创新发展²⁰。

公平可及是中国医疗体系的重要原则。在创新治疗手段引入过程中，兼顾不同地区和疾病类型，有助于进一步提升医疗服务的可及性和公平性。

中国制药企业越来越重视新型疗法的开发。这一进步得益于强大的生产能力、高素质的生物技术和数据分析人才队伍以及近期政府在简化监管方面的改进。

尽管拥有强大的创新生态系统，中国在确保精准医学的公平可及性方面面临着独特的挑战，尤其是由于其人口庞大，医疗资源及其分配存在较大差异。为了实现未来创新的潜力，建立强有力的治理框架和高效的监管流程对于支持行业的可持续发展至关重要。

¹⁴ Fidelity, 2024. Growth medicine: China's burgeoning healthcare sector. [online] Available at: <https://www.fidelity.com.au/insights/investment-articles/growth-medicine-chinas-burgeoning-healthcare-sector/>

¹⁵ 新华社, 2024. 约13.34亿人！我国医保参保率稳定在95%以上. [online] Available at: https://www.gov.cn/lianbo/bumen/202404/content_6944652.htm

¹⁶ 人民政协报, 2015. 精准医疗下的医学变革. [online] Available at: <http://www.cppcc.people.com.cn/n/2015/0708/c34948-27268546.html>

¹⁷ 健康界, 2024. 重大利好！国常会审议通过《全链条支持创新药发展实施方案》 [online] Available at: <https://mp.weixin.qq.com/s/y91xsxwFKCSo9AbCVqIEAA>

¹⁸ 上海市人民政府, 2024. 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 [online] Available at: <https://www.shanghai.gov.cn/nw12344/20240730/Ofc29fc2246e4b478757dee3a01ccd08.html>

¹⁹ 国务院办公厅, 2025. 国务院办公厅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. [online] Available at: https://www.gov.cn/zhengce/content/202501/content_6996115.htm

²⁰ 北京市医疗保障局, 2025. 北京市医疗保障局等九部门关于印发《北京市支持创新医药高质量发展若干措施（2025年）》的通知. [online] Available at: <https://yj.j.beijing.gov.cn/yjj/zwgk20/zcwj91/743583391/index.html>

2.2 精准医学的益处

随着疾病负担的日益加重，精准医学为患者以及社会、经济和医疗行业带来了巨大的益处。这些益处也在更广泛的经济活动中产生连锁反应，发挥出更大的乘数效应。

下文提出的益处涵盖了多个方面，将对患者、患者社群以及更广泛的制药、诊断和医疗行业产生深远的影响。

患者和社会效益包括因接受精准医学治疗而使患者及其照护者的生活质量得到提升。医疗卫生系统效益涉

及医疗费用节省和医疗系统能力的提高。最后，经济效益和乘数效应体现为财务投资，以及通过增加基础设施直接投资和整个制药与诊断价值链中的就业机会所产生的附加价值。

重要的是，下文概述和量化的获益只涉及最新一代的精准医学治疗和本报告重点关注的四个技术领域。如果应用广义的精准医学定义，这些获益将成倍增加。

精准医学的累计益处(2025-2035年)



患者与社会效益

- 改善约1,050万例患者的治疗效果
- 患者寿命累计延长约920万年
- 患者接受治疗后，减轻950万至1,050万照护者的护理负担



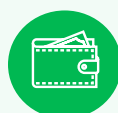
医疗系统效益

- 通过对可治疗患者人群进行治疗，节省约2,160亿元人民币(300亿美元)的医疗费用
- 改善医疗行业的研究文化和基础设施
- 发展医院员工和研究人员的专业知识与技能
- 改善标准治疗，提高效率



经济活动

- 在整个制药价值链投资约1.45万亿元人民币(2,000亿美元)，在诊断价值链投资约1,460亿元人民币(200亿美元)
- 在制药价值链中创造多达约142,000个高技能工作岗位，并在诊断行业和医疗系统中提供更多工作岗位
- 临床试验活动创造100亿-142亿元人民币(14亿-19亿美元)的经济效益，为患者提供通常免费的治疗机会，并提高医护人员的技能



乘数效应

- 通过使约1,000万患者恢复健康并解放950万至1,000万患者的照护者，提高劳动力参与率和增加个人消费
- 经济活动产生1-6倍的经济乘数效应，创造1.5-8.7万亿元人民币(0.2-1.2万亿美元)的经济效益，并提供142,000-850,000个工作岗位

2.2.1 患者和社会效益

2025年至2035年间，精准医学有望显著改善至少1,050万中国患者的健康状况。这些改善由若干关键因素推动：

- 1. 更好的疗效，更持久的治疗效果；
- 2. 为以往无法治愈的疾病提供治疗；
- 3. 通过定制化程度更高的精确疗法提高安全性。

未来十年，这些医疗手段有可能使潜在适用患者人群的寿命累计延长920万年。

随着现有疗法获批适用范围的扩大，以及在患者治疗过程中更早地使用，精准医学预计将取得更多进展。目前，这些疗法多数被用作三线或四线治疗，因为它们尚未作为早期干预措施被广泛试验²¹。随着更多的数据被收集，精准医学在早期阶段的疗效将得到验证，预计

患者的人均寿命将进一步延长。此外，随着创新的推进，这些疗法适用的疾病范围不断扩大，将有更多患者可以从精准医学中获益²²。

除了寿命年数延长模型目前考虑到的患者群体外，随着这些疗法的可及性提升并被应用于更多发病人群中，预计获益将会更加显著。例如，2025年，将有约2,400人罹患先天性视网膜色素变性(RP)，这是一种影响视力的遗传性眼部疾病，其中有不到8%的患者具有适合接受基因疗法的遗传突变^{24,25,26}。然而根据估算，中国患有该疾病的总人数约为372,000人，根据年龄和基因组图谱，有超过13,000人可能适合接受基因疗法。随着这些疗法的引入，短期影响可能远高于最初的预测²⁷。

除了延长预期寿命外，精准医学还为患者、照护者和更广大的社会群体带来了巨大的社会效益。

2025年至2035年间，精准医学有望显著改善至少1,050万中国患者的健康状况。



通过改善疗效，精准医学有助于减轻与严重疾病相关的长期照护负担，进而减轻癌症患者及其照护者的心理和经济负担。鉴于精准医学所治疗疾病的严重性，超过90%的患者需要照护支持。随着这些疗法的可及性和有效性提高，患者对照护的需求将会减少，预计有950万至1,050万照护者因此减轻负担²⁸。

随着这些疗法的可及性和有效性提高，患者对照护的需求将会减少，预计有950万至1,050万照护者因此减轻负担。

精准医学对患者家庭及照护者的影响



副作用更少，治疗后恢复期更短，疾病复发风险更低



能够体验人生中的重要时刻，参与社区活动



减轻身患不治之症或绝症患者的心理负担



增强身体、认知、情绪和社会功能

²¹ Cappell, K.M. and Kochenderfer, J.N., 2023. Long-term outcomes following CAR T cell therapy: what we know so far. Nature Reviews Clinical Oncology, 20, pp. 359-371.网址: <https://www.nature.com/articles/s41571-023-00754-1>

²² AstraZeneca, 2024. Precision Medicine. [online] Available at: <https://www.astrazeneca.com/r-d/precision-medicine.html>

²⁴ Cure Blindness Australia, 2024. Retinitis. [online] Available at: <https://www.cureblindnessaustralia.org.au/retinitis>

²⁵ Wongchaisuwat, N., Amato, A., Lamborn, A. E., Yang, P., Everett, L., & Pennesi, M. E., 2023. Retinitis pigmentosa GTPase regulator-related retinopathy and gene therapy. Saudi journal of ophthalmology: official journal of the Saudi Ophthalmological Society, 37(4), 276-286. 网址: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC1075227/>

²⁶ Sun, Y., Li, J. K., He, W., Wang, Z. S., Bai, J. Y., Xu, L., Xing, B., Zhang, J. G., Wang, L., Li, W., & Chen, F., 2020. Genetic and clinical analysis in Chinese patients with retinitis pigmentosa caused by EYS mutations. Molecular genetics & genomic medicine, 8(3), e1117. 网址: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7057104/>

²⁷ Hu D. N., 1987. Prevalence and mode of inheritance of major genetic eye diseases in China. Journal of medical genetics, 24(10), 584-588. 网址: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC1050283/>

²⁸ Bedaso, A., Dejenu, G., & Dukou, B., 2022. Depression among caregivers of cancer patients: Updated systematic review and meta-analysis. Psychooncology, 31(11), 1809-1820. 网址: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC9828427/>

2.2.2 医疗系统效益

精准医学可以为医疗卫生系统带来四个关键益处——节省医疗费用、改善行业研究氛围、提升医护人员的技能以及改进治疗标准。

2.2.2.1 节省医疗费用

精准医学有望为中国医疗卫生系统节省大量开支。据估计，2025年至2035年间，这些治疗可节省约2,160亿元人民币(300亿美元)的医疗费用，累计使约1,050万患者获益。节省的这些费用相当于1,500多万中国人的平均医疗支出总额。

得益于精准医学可以延缓疾病进展，患者可以减少住院时长、药物用量、专家约诊、后续治疗等，从而节省治疗费用。在各种技术中，基因疗法预计将为患者带来最大的人均开支节约，因为该疗法可显著延长预期寿命，特别是对于患有终末期罕见病的患者。然而，值得注意的是，这些疗法刚刚上市不久，因此其长期疗效仍在评估中。

随着精准医学越来越多地在治疗过程的早期阶段得到使用，预计将带来更多的成本节约。随着更多的患者在更早的阶段接受精准医学治疗，并避免接受多轮低效治疗，治疗效率将会提升，从而进一步降低医疗支出。

节省的医疗费用

	新发可治疗患者人数 (2025-2035年)	每例患者平均节省的 医疗费用	节省的医疗费用总额 (2025-2035年)
细胞疗法 	371,924例 血液肿瘤患者	144,320元人民币 (20,000美元)	总共节省约 540亿元人民币 (约74亿美元)
基因疗法 	24,845例 罕见遗传性疾病患者	759,110元人民币 (105,220美元)	总共节省约 190亿元人民币 (约26亿美元)
靶向抗体和药械联合治疗 	1,013万例 实体瘤癌症患者	14,180元人民币 (1,970美元)	总共节省约 1,440亿元人民币 (约200亿美元)

来源：L.E.K.研究与分析；参考文献详见附录

2.2.2.2 改善医疗行业的研究氛围和医疗基础设施

精准医学的兴起推动了中国对尖端研究基础设施的重大投资，包括开发先进的生物样本库，以促进基因组研究和产业应用。2016年，中国政府战略性地将精准医学纳入《中华人民共和国国民经济和社会发展第十三个五年规划纲要》，投入大量资金促进该领域的创新和产业化²⁹。作为举措的一部分，科学技术部在“国家重点研发计划”下启动了“精准医学研究”重点专项研究。

2016年至2018年间，科学技术部为100多个项目分配了近13亿元人民币（1.8亿美元），其中包括基于人群的大型队列研究³⁰。其中突出的例子是中国慢性病前瞻性研究（China Kadoorie Biobank），该研究是世界上最大的前瞻性研究之一，涉及近500万份生物样本和丰富的生物信息数据。该生物样本库可帮助科学家识别新的生物通路，将特定风险因素与多种疾病联系起来，从而推动新型治疗方法的研发^{31, 32}。

2.2.2.3 提高医务人员的技能和专业知识

精准医学的发展要求对医务人员进行专业化培训，以确保他们掌握提供这些创新治疗所需的技能。在中国，医院和医药生物技术协会支持的许多人才培养项目可以为医生提供精准医学方面的前沿知识和实践性的临床见解³³。

中国每年开展逾750项由企业资助的精准医学临床试验，为医务人员提供了宝贵的实践机会，有助于提升其提供全面、有效医疗服务的水平，并增强其临床决策的科学性与准确性。

此外，中国每年开展超过750项由行业资助的精准医学临床试验，可为医务人员提供实践经验。这些经验提高了他们提供全面有效的医疗服务的能力，使其能够做出更准确的治疗决策，从而提升了精准医学的整体治疗标准³⁴。

²⁹ 新华社, 2016. 中华人民共和国国民经济和社会发展第十三个五年规划纲要. [online] Available at: https://www.gov.cn/xinwen/2016-03/17/content_5054992.htm

³⁰ 自然中国, 2017. 从孤独症到慢性病：精准医学在中国 | “自然聚焦-中国精准医疗”增刊. [online] Available at: <http://www.naturechina.com/articles/nature-spotlight-precision-medicine-2022>

³¹ Chinese Academy of Medical Sciences, 2016. Building a large Chinese population cohort to promote the era of Precision Medicine. Chinese Journal of Epidemiology, 37(9): 1319-1319. 网址: <http://html.rhhz.net/zhlxbs/20160926.htm>

³² China Kadoorie Biobank, 2024. China Kadoorie Biobank. [online] Available at: <https://www.ckbiobank.org/>

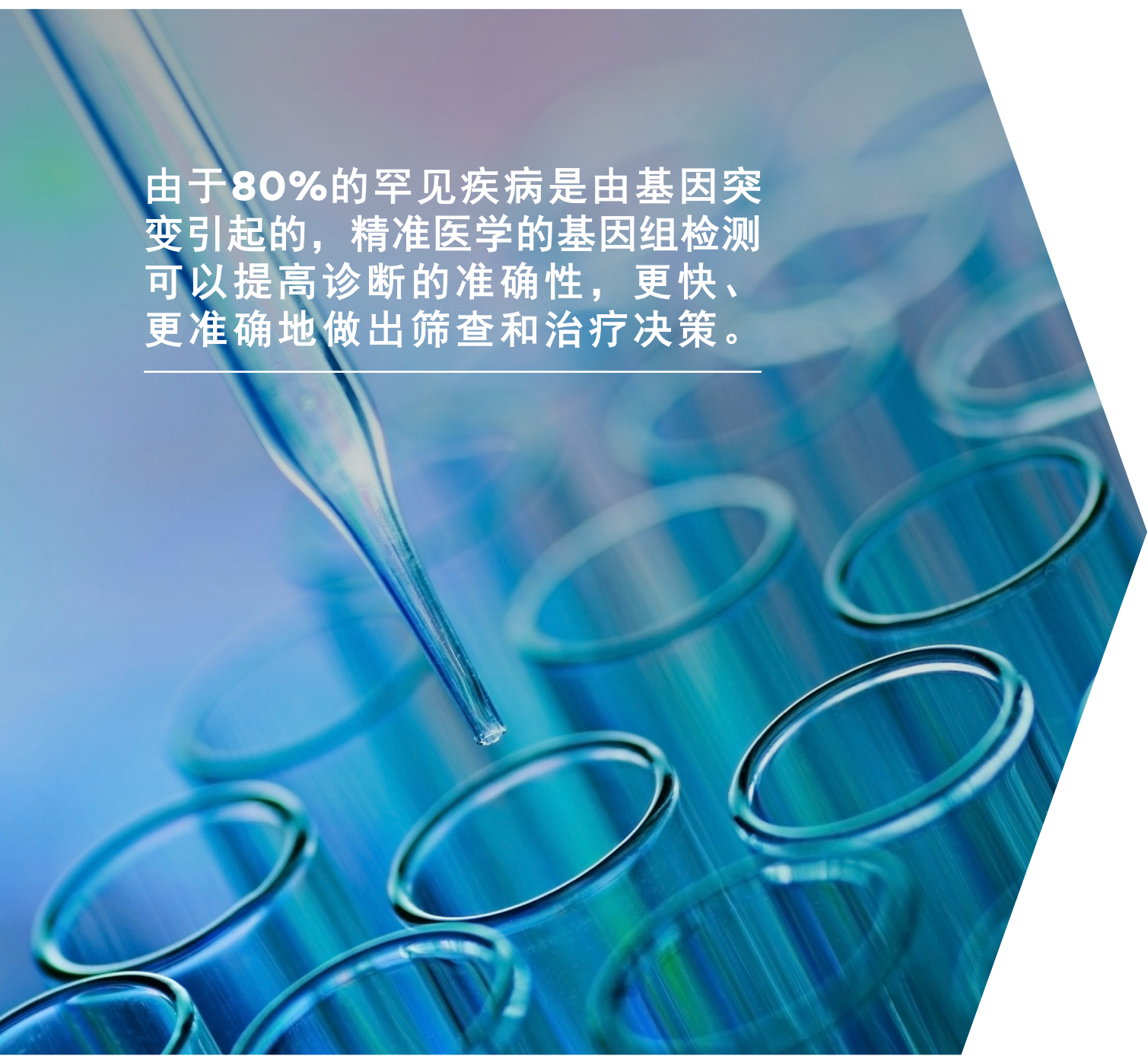
³³ 澎湃, 2020. 精准医学人才培训班开班，助力临床精准医学人才培养和人才储备. [online] Available at: https://www.thepaper.cn/newsDetail_forward_8063863

³⁴ Citeline, 2024. Clinical Intelligence. [online] Available at: <https://clinicalintelligence.citeline.com/>

2.2.2.4 改进治疗标准并提高效率

精准医学通过缩短治疗时长来提高治疗效率。例如，伦敦经济学院的一项研究发现，接受精准医学治疗的癌症患者平均住院时间为3到4天，而接受化疗的患者平均住院时间为7天³⁵。

中国在罕见疾病诊断方面面临着巨大挑战，58%的患者最初被误诊³⁶。由于80%的罕见疾病是由基因突变引起的，精准医学的基因组检测可以提高诊断的准确性，从而更快、更准确地做出筛查和治疗决策³⁷。



由于80%的罕见疾病是由基因突变引起的，精准医学的基因组检测可以提高诊断的准确性，更快、更准确地做出筛查和治疗决策。

³⁵ Gill, J., Fontrier, A.-M., Miracolo, A. & Kanavos, P., 2020. Access to personalised oncology in Europe. [pdf]网址: <https://www.efpia.eu/media/580518/access-to-personalised-oncology-in-europe.pdf>

³⁶ Zhang S., 2019. Diagnosis and treatment of rare diseases in China. Clinical Focus, 34(3), 197-200. 网址: <https://huicui.hebmu.edu.cn/CN/10.3969/j.issn.1004-583X.2019.03.001>

³⁷ Rare Diseases Society Singapore (RDSS), 2024. Rare Facts. [online] Available at: <https://www.rdss.org.sg/rarefacts/>

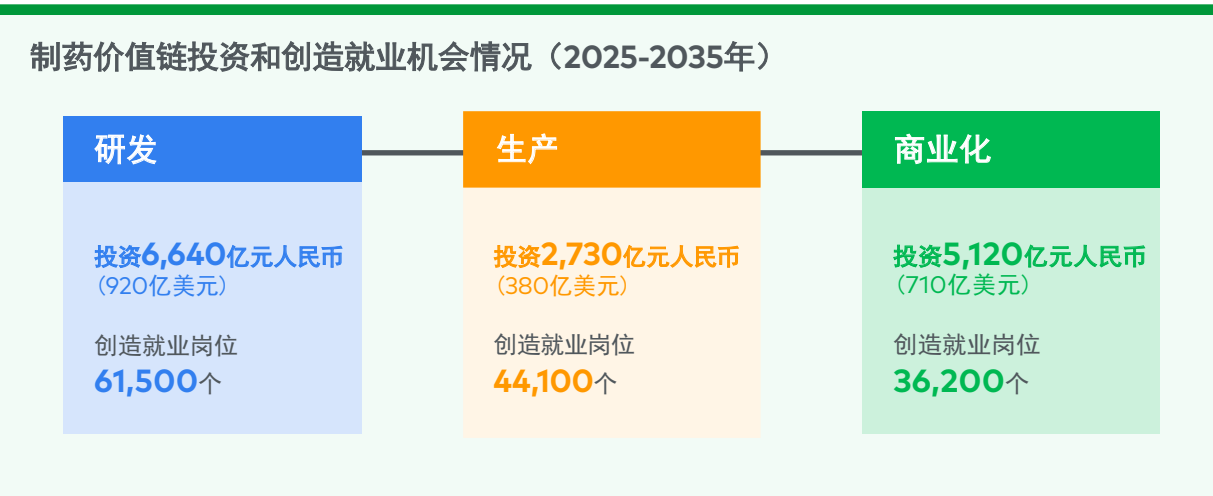
2.2.3 精准医学行业的经济效益

提高精准医学的可及性有助于带来三大经济效益——国内外企业在整个制药价值链的投资增长、就业岗位增加以及研发投入（尤其是临床试验投资）增加。

精准医学领域快速的医药创新正在推动中国经济活动显著增长，开发、生产和销售这些疗法需要对所需的基础设施进行投资，并同时创造新的就业机会。2025年至2035年间，国内外行业投资预计将达到约1.5万亿元人民币（2,000亿美元），为整个制药供应链创造约142,000个高技能工作岗位。这相当于中国目前的制药从业人员规模增长7%³⁸。

此外，为促进精准医学的应用，预计需要为伴随诊断检测投入1,460亿元人民币（200亿美元）³⁹。国内研发投入也将随着国内临床试验活动的增加而增长，从而促进市场扩张，到2035年，此类投资预计将达到100亿至142亿元人民币（14亿至19亿美元）。这不仅会使患者获益（他们通常可通过临床试验获得免费药物），还将提高该领域医护人员的技能。

整个制药供应链预计将创造约142,000个高技能工作岗位，这相当于中国目前的制药从业人员规模增长7%。



³⁸ FESCO, 2023. 2023年医药制造行业趋势一览. [online] Available at: <https://www.fesco.com.cn/newsDetails.html?id=105980>

³⁹ Statista, 2024. In Vitro Diagnostics – Worldwide. [online] Available at: <https://www.statista.com/outlook/hmo/medical-technology/in-vitro-diagnostics>

2.2.4 乘数效应

精准医学对中国经济影响深远，产生的连锁反应将提振各行各业的经济活动。

2.2.4.1 行业经济活动的乘数效应

精准医学带来的行业经济活动的增加及其益处远超制药行业本身，产生的连锁反应会放大其对整体经济的影响。2025年至2035年间，对精准医学的直接投资可产生1.5万亿至8.7万亿元人民币（2,000亿至1.2万亿美元）的经济效益，并支持创造142,000至850,000个就业岗位。

这些估计值是根据对以往制药行业投资所产生的间接经济乘数的研究得出的^{40, 41, 42, 43}。这些乘数反映了创造就业机会带来的工资增加、消费支出增加和税收增加，以及与精准医学价值链相关行业的就业率增长。

2025年至2035年间，精准医学带来的国内外行业投资预计将达到约1.5万亿元人民币（2,000亿美元）。

2.2.4.2 更广泛的经济乘数效应

除了这些间接经济收益外，约1,000万例患者在接受精准医学治疗后将恢复健康或改善健康状况，从而能够更快重返工作岗位，并延长其劳动力市场参与时间。这将推动未来十年内生产力的提升以及税收可持续的增长，并促进个人对商品和服务的消费增长。

同样，随着患者健康状况得到改善，950万至1,000万照护者将实现更高的劳动力参与率，并提升个人消费。

约1,000万例患者在接受精准医学治疗后将恢复健康或改善健康状况，从而能够更快重返工作岗位，并延长其劳动力市场参与时间。

精准医学还可为原本无法治愈的疾病提供潜在的治愈疗法，使患者能够从长期治疗过渡到治愈状态。他们将不再依赖持续的医疗福利和社会福利，而是能够通过缴纳保险费为医疗卫生系统做出经济贡献。这将有助于减轻社会福利系统的压力。

鉴于上述预测基于晚期患者的治疗效果，患者重返就业岗位所带来的总体经济效益可能比目前估计的更为可观。如果能在疾病进展的早期阶段引入精准医学，将进一步提高患者重返工作岗位并为社会做出贡献的能力。

⁴⁰ Medicines Australia, 2020. Economic contribution of the innovative pharmaceutical industry in Australia. [online] Available at: <https://www.medicinesaustralia.com.au/wp-content/uploads/sites/65/2020/11/Economic-Contribution-Innovative-Pharma-industry-Australia.pdf>
⁴¹ Or Clinical Research, 2017. The Economic Impact of the U.S. Biopharmaceutical Industry: 2015 National and State Estimates. [online] Available at: <http://orclinicalresearch.com/wp-content/uploads/2018/12/teconomy-partners-2017-study.pdf>
⁴² Australian Commission on Safety and Quality in Health Care, 2024. Economic evaluation of investigator-initiated clinical trials conducted by networks. [online] Available at: <https://www.safetyandquality.gov.au/sites/default/files/migrated/Economic-evaluation-of-investigator-initiated-clinical-trials-conducted-by-networks.pdf>
⁴³ Rare Cancers Australia, 2024. The true value of investing in cancer treatment. [online] Available at: <https://www.rarecancers.org.au/news/483/the-true-value-of-investing-in-cancer-treatment>

2.3 可及性障碍

精准医学针对个体独特的基因特征制定个性化治疗方案，为医疗转型带来了巨大的希望。然而，尽管其有

效性已得到证实，但要充分发挥其潜力并确保患者获得治疗，还必须解决若干挑战。主要阻碍概述如下：



2.3.1 监管审批程序复杂

复杂的审批程序

- 目前对药械组合与伴随诊断产品的审批程序较复杂，存在双重审批途径，缺乏明确、统一的指导方针。不同的监管机构，如国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）和医疗器械技术审评中心（CMDE）通常独立运行，导致审批延迟；
- 缺乏针对药物-器械组合产品的统一框架，目前这些产品对每个组成部分有不同的监管要求，增加了复杂性。这种不连贯的流程也增加了行政负担，延长了患者获得治疗的时间。此外，药物与器械或伴随诊断产品打包开展临床试验的研究数量有限，这在一定程度上形成了阻碍。

进口产品检测要求严格

- 进口疗法，尤其是基因治疗等前沿疗法，由于检测要求不适合其独特性而面临巨大阻碍。例如，相关法规要求企业提供两倍于标准数量的检测样本，这可能会延误患者获得这些疗法，特别是考虑到涉及的患者人数有限且疗法费用高昂。



2.3.2 经济负担

各省保险覆盖范围的差异

- 针对伴随诊断的报销尚未在全国普及，患者获得这些伴随诊断检测的机会因地区而异。目前仅有少数地区(如北京、福建)为高通量测序(NGS)提供报销，其他城市的大多数患者需要自费，限制了高通量测序的可及性。

精准医学药物报销比例低

- 精准医学药物的报销比例较低，精准治疗和精准诊断的报销范围存在一定差异，且患者也面临报销限额问题；

- 尽管部分罕见病疗法已被纳入《国家医保药品目录》(NRDL)，但高成本疗法仍然受限。医保政策注重价格与数量的权衡，优先考虑降低价格与换取更大的患者覆盖面。医保谈判时常常会设定价格上限以满足大量患者的需求，但这也意味着针对罕见病的精准医学药物即使治疗成本很高但总预算较低，也难以获得政策倾斜。这给患者造成了巨大的经济负担，使他们难以获得这些创新疗法。



2.3.3 数据基础设施不完善

数据基础设施不完善

- 中国的精准医学数据基础设施尚处于初级阶段，需要大量资金投入以建成体系(如癌症数据库、大型队列研究等)；
- 医疗机构间缺乏数据共享通路，阻碍了研究和患者治疗，增加了提供有效治疗的难度，并减缓了本地研发速度。

2.3.4 医患对精准医学的关注不足

医疗从业人员接受专业精准医学教育的机会少且有限

- 尽管“精准医学”这一术语早已为医学界所熟知，但医生对于其实际应用以及如何应用相关药物的关注度依然有待提升；
- 许多医疗服务提供者缺乏足够的专业精准医学的相关培训，导致患者错过了获得准确诊断和治疗的机会；
- 医生通常基于成本效益和患者经济承受能力提供治疗选择建议，限制了患者获得临床效果可能更好的更新的治疗选择。解决这一知识差距对于确保更多患者（特别是罕见病患者）受益于精准医学至关重要。

患者认识不足

- 公众对精准医学的认识不足，限制了患者在治疗中倡导使用这些疗法的能力，也在一定程度上降低了公众对提高精准医学可及性相关政策的支持力度。此外，患者对部分精准医治疗法的疗效与安全性的担忧也构成了阻碍，尤其是在2016年魏则西事件后，公众对干细胞治疗的担忧尤为显著。弥合这些认识上的差距对于赋予患者权利以及为精准治疗的应用营造支持性环境至关重要。

A photograph of two scientists, a man and a woman, in a laboratory setting. They are both wearing white lab coats and are focused on their work. The woman, on the left, is wearing glasses and is looking through a microscope. The man, on the right, is also wearing glasses and is looking through a microscope. They are both wearing blue gloves. The background is a laboratory with various pieces of equipment and shelves. A green triangle is visible on the left side of the image.

要充分发挥精准医学的潜力，需要政府制定完善的政策以及所有利益相关方的通力合作。

2.4 解决举措

要充分发挥精准医学的潜力，需要政府制定完善的政策以及所有利益相关方的通力合作。政府通过其监管框架和财政支持，在推动合作、支持创新和确保可及性方面发挥着关键作用。本文概述了三项重要政策建议：

1 营造促进创新的支持环境

2 完善精准医学的基础设施

3 重视精准医学的相关教育



建议

2.4.1 营造促进创新的支持环境

1a. 完善监管审批框架

- 推进新药物、器械和诊断方法的研究，并改进医疗创新的审批与评估体系；
- 基于现行的药品审批程序或成立专门的工作组，为药械组合疗法与伴随诊断产品建立单独、简化的监管审批路径；
- 简化创新的、临床亟需的生物疗法的进口检验要求，加快注册流程，使患者能更快地获得这些疗法。

1b. 健全精准医学药物的定价、医保报销、筹资等制度机制

- 完善医保目录谈判框架，更明确地纳入公平性、疾病严重程度、生活质量改善、预期寿命、药品成本等因素的考量；
- 推动开展多年期评估，以增加对高疗效、高不可替代性的治疗方案的支持；
- 鼓励建立标准化医疗器械与诊断产品目录，推动完善医疗器械在省一级的采购流程与报销标准；
- 推动建立医疗器械和伴随诊断产品的价值评估框架，全面综合评估产品价值；
- 创新医保支付方式，针对精准医学探索按疗效付费等创新付费方式；
- 强调商业保险作为补充支付方式的作用，探索扩大惠民保等险种的覆盖范围，并鼓励个人、雇主及其他人群购买商业保险。



建议

2.4.2 完善精准医学的基础设施

2a. 加大精准医学基础设施投资

- 提供战略性激励措施，促进对基因库、生物样本库、癌症数据库、大型人群队列资源和人工智能数据分析平台等重要精准医学基础设施的投资，并使这些激励措施与法律框架保持一致，以确保创新治疗融入医疗卫生系统，促进科学进步和更高标准的患者护理。



建议

2.4.3 重视精准医学的相关教育

3a. 制定临床指南，并为医患提供进一步教育

- 就精准医学在治疗途径中的作用制定明确的临床指南和专家共识，帮助医疗服务提供者了解何时以及如何患者在治疗计划中使用精准医学；
- 通过工作坊、研讨会、在线学习等方式，向医疗服务提供者提供有关精准医学的全面准确的医疗信息，提升他们将精准医学纳入临床实践的能力，并让其了解最新进展；
- 推动医学学会等机构编写患者友好且便于患者理解的疾病共识与指南，并通过自治组织、志愿者和药企等开展宣传，帮助患者更好地认识疾病。同时，加大大众媒体的疾病科普与宣传力度，让广大患者和公众对疾病有更加深入的理解与认知。

3b. 支持患者倡导组织的成立与发展

- 鼓励患者成立患者倡导组织，提高公众对精准医学的认知。通过患者倡导组织促进患者教育与对话、倡导完善政策以加强精准治疗的可及性；通过将患者的经验共享，赋能患者并影响公众更广泛地支持采用精准医学。

3.0 附录

本附录详细说明了定量效益测算的建模方法。模型输入数据来源广泛，涵盖政府数据库、行业数据库、公开报告、市场研究资料及企业财务报表。我们在文中对这些数据的使用方法进行了概括性说明，具体数据来源列于参考文献部分。专家咨询委员会对模型方法进行了审阅并参与了结果展示的讨论，但未对模型输出结果进行独立验证。

3.1 建模方法

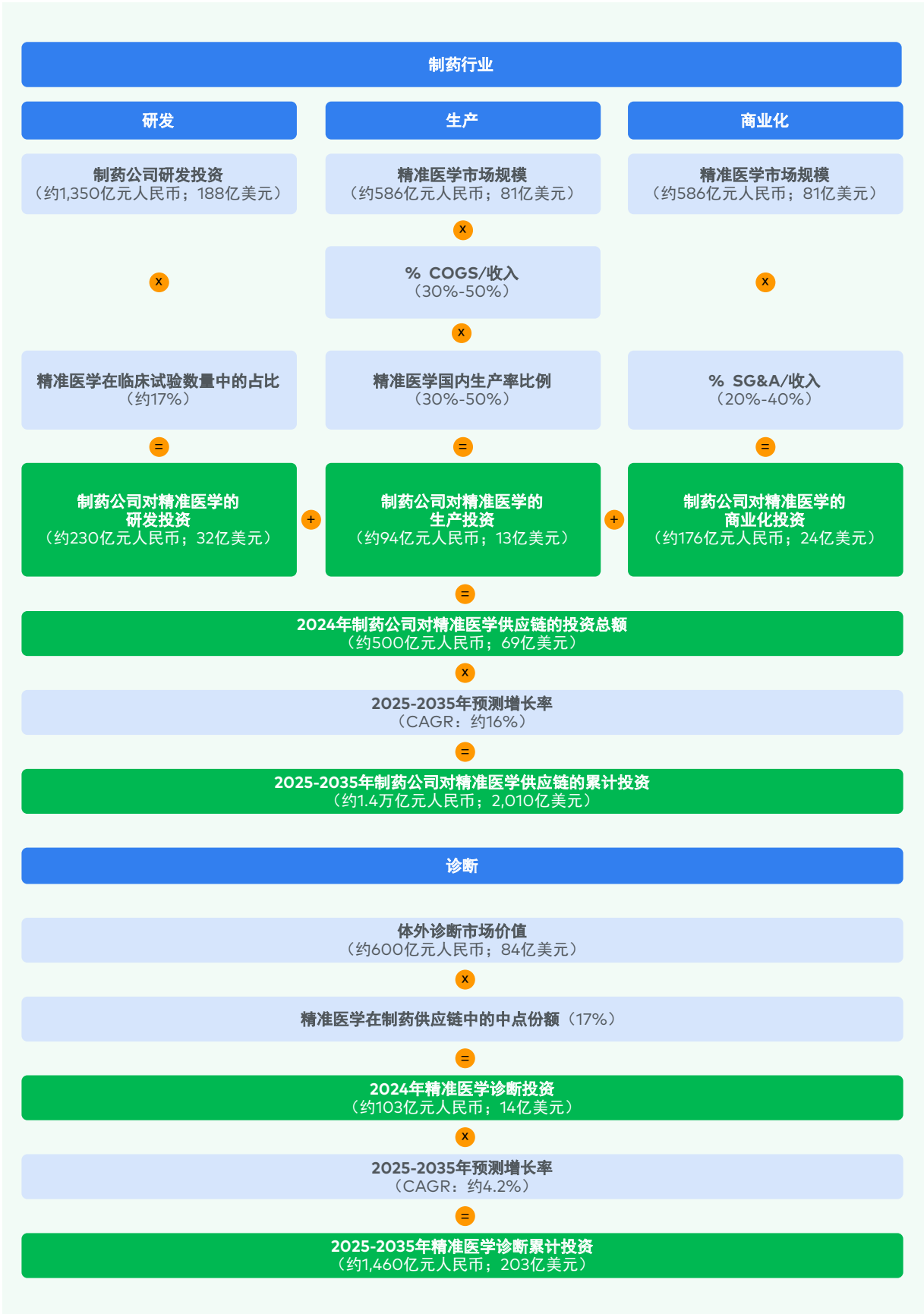
3.1.1 延长的总寿命年数



3.1.2 节省的医疗费用



3.1.3 行业经济投资



- 精准医学的总经济投资通过参考2024年在研发、生产、商业化(例如销售与营销、市场准入等)方面的投资进行估算;
- 研发投资的估算方法: 将2024年药企的研发投资总额乘以用于“精准医学”的投资比例(根据Pharmaprojects的数据, 以2020-2023年间被归类为“精准医学”的临床试验占临床试验总数的比例作为替代值);
- 生产投资的估算方法: 将2024年的“精准医学”总市场规模乘以生产支出的估算比例(参考财务报表, 通过对标中国以“精准医学”为重点业务的上市药企的销货成本百分比[%COGS]进行估算)乘以“精准医学”国内生产比例(参考DXY数据库, 通过对标单克隆抗体的国内生产率进行估算);
- 商业化投资的估算方法: 将2024年的“精准医学”总市场规模乘以销售、一般和管理费用(SG&A)支出比例(通过对标中国以“精准医学”和肿瘤学为重点业务的上市药企进行估计);
- 诊断供应链投资是根据体外诊断总市场价值(基于市场报告)并应用“精准医学”在制药供应链中的比例加权平均份额估算的;
- 年度投资总额包括对供应链和全职员工当量(FTE)的投资。

3.1.4 全职工当量（FTE）





参考文献

作者和机构	标题	年份
AIHW	Australia Cancer Incidence and Mortality Books 2017	2017
American Society of Gene & Cell Therapy	Vectors 101	2024
Australian Clinical Trials Alliance	Economic evaluation of investigator—initiated clinical trials conducted by networks	2017
Australian Government Department of Health and Aged Care	Minister for Health and Aged Care press conference	2024
Bai, L., et al.; Frontiers in pharmacology	Health Care Utilization and Costs of Patients With Prostate Cancer in China Based on National Health Insurance Database From 2015 to 2017	2020
Bedaso, A. et al.; Psychooncology	Depression among caregivers of cancer patients: Updated systematic review and meta-analysis	2022
CADTH; Canadian Journal of Health Technologies	CADTH Reimbursement Recommendation on Enhertu, Yescarta, Luxturna, Hemgenix, and Zolgensma	2021, 2023, 2024
Cappell, K.M. and Kochenderfer, J.N.; Nature Reviews Clinical Oncology	Long-term outcomes following CAR T cell therapy: what we know so far	2023
Cheng, T. F., et al.; BMC cancer	Cost-utility analysis of adjuvant goserelin (Zoladex) and adjuvant chemotherapy in premenopausal women with breast cancer	2012
China Pharmaceutical Enterprise Association	China Pharmaceutical Industry Economic Operation Report 2019	2020
Chinese Academy of Medical Sciences; Chinese Journal of Epidemiology	Building a large Chinese population cohort to promote the era of Precision Medicine	2016
Chung, B. et al.; Journal of child neurology	Prevalence of neuromuscular diseases in Chinese children: a study in southern China	2003
Colombo, N. et al.; The New England journal of medicine	Pembrolizumab for Persistent, Recurrent, or Metastatic Cervical Cancer	2021

作者和机构	标题	年份
DHAC (AUS)	Minister for Health and Aged Care press conference	2024
European Commission	Rare diseases	2024
Grand View Research	China Clinical Trials Market Size & Outlook, 2023-2030	2023
Guan, X. et al.; BMJ open	Burden of visual impairment associated with eye diseases: exploratory survey of 298 Chinese patients	2019
Hu D. N.; Journal of medical genetics	Prevalence and mode of inheritance of major genetic eye diseases in China	1987
Huang, C. W.; BMC cancer	The prognostic values of EGFR expression and KRAS mutation in patients with synchronous or metachronous metastatic colorectal cancer	2013
Huang, Y.; Frontiers in pharmacology	Cost-effectiveness analysis of zolbetuximab plus mFOLFOX6 as the first-line treatment for CLDN18.2-positive, HER2-negative advanced gastric or Gastroesophageal Adenocarcinoma	2023
Huang, Y.; Frontiers in public health	Current status of treatment and disease burden of a cohort of hemophilia B in China	2024
ICER	Spinraza® and Zolgensma® for Spinal Muscular Atrophy: Effectiveness and Value	2019
ICER	Gene Therapy for Hemophilia B and An Update on Gene Therapy for Hemophilia A: Effectiveness and Value	2022
Insight Partners	Global & Australia Biopharmaceuticals Market to 2028	2024
Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME)	Global Burden of Disease (GBD) Data	2024
Iqbal, N., & Iqbal, N.; Molecular biology international	Human Epidermal Growth Factor Receptor 2 (HER2) in Cancers: Overexpression and Therapeutic Implications	2014
Jackson, S. & Trakhtenberg, I.; Standford University Press	Predictable Winners	2025
Jia, Y. et al.; Current oncology	Cost Drivers and Financial Burden for Cancer-Affected Families in China: A Systematic Review	2023

作者和机构	标题	年份
Kamdar, M., et al. Lancet	Lisocabtagene maraleucel versus standard of care with salvage chemotherapy followed by autologous stem cell transplantation as second-line treatment in patients with relapsed or refractory large B-cell lymphoma (TRANSFORM): results from an interim analysis of an open-label, randomised, phase 3 trial	2022
Kesireddy, M., & Lunning, M.; Oncology	Relapsed or Refractory Diffuse Large B-Cell Lymphoma: "Dazed and Confused"	2022
Klimchak, A. C. et al.; Journal of market access & health policy	Assessing the value of delandistrogene moxeparvovec (SRP-9001) gene therapy in patients with Duchenne muscular dystrophy in the United States	2023
Lin, Y. et al.; Frontiers in genetics	Newborn Screening for Spinal Muscular Atrophy in China Using DNA Mass Spectrometry	2019
Lu, B. et al.; Cancer medicine	Cost-effectiveness of second-line ipilimumab for metastatic melanoma: A real-world population-based cohort study of resource utilization	2023
Medicines Australia	The economic contribution of the innovative pharmaceutical industry to Australia	2018
Mina, R., et al.; Blood	Patient-Reported Outcomes in the Phase 3 CARTITUDE-4 Study of Ciltacabtagene Autoleucel Vs Standard of Care in Patients with Lenalidomide-Refractory Multiple Myeloma after 1-3 Lines of Therapy	2023
MTPConnect	Australia's Clinical Trials Sector Report	2021
National Bureau of Statistics, Ministry of Science and Technology	Statistical Yearbook on Science and Technology (2017-2023)	2017-2023
National Health Commission	China's Health Statistics Yearbook 2022	2023
Oncology Society of Chinese Medical Association; National Medicine Journal of China	Chinese Medical Association guideline for clinical diagnosis and treatment of lung cancer (2023 edition)	2023
Penson, R. T. et al.; Journal of clinical oncology	Olaparib Versus Nonplatinum Chemotherapy in Patients With Platinum-Sensitive Relapsed Ovarian Cancer and a Germline BRCA1/2 Mutation (SOLO3): A Randomized Phase III Trial	2020

作者和机构	标题	年份
Pharma GoBoldy	The Economic Impact of the U.S. Biopharmaceutical Industry: 2015 National and State Estimates	2017
Pharmcube	Human Resource Analysis of Chinese Pharmaceutical Listed Companies	2018
Qu, Y. et al.; The Southeast Asian journal of tropical medicine and public health	The prevalence of hemophilia in mainland China: a systematic review and meta-analysis	2014
Reck, M. et al.; The New England journal of medicine	Pembrolizumab versus Chemotherapy for PD-L1-Positive Non-Small-Cell Lung Cancer	2016
Ruarus, A. et al.; Cancers	Locally Advanced Pancreatic Cancer: A Review of Local Ablative Therapies	2018
Sheykhhasan M. et al.; Nature	CAR-T therapies in multiple myeloma: unleashing the future	2024
Statista	In Vitro Diagnostics: Market data & analysis	2024
Sun, Y. et al.; Molecular genetics & genomic medicine	Genetic and clinical analysis in Chinese patients with retinitis pigmentosa caused by EYS mutations	2020
Tang, K., et al.; Journal of Clinical Oncology	Amivantamab plus chemotherapy vs chemotherapy as first-line treatment among patients with EGFR exon 20 insertion —mutated advanced non-small cell lung cancer (NSCLC): PAPILLON Chinese subgroup analysis	2024
Taylor, C. W., et al.; Journal of Clinical Oncology	Multicenter randomized clinical trial of goserelin versus surgical ovariectomy in premenopausal patients with receptor-positive metastatic breast cancer: an intergroup study	1998
Thrombosis and Hemostasis Group, Hematology Society of Chinese Medical Association. Hemophilia Treatment Center Collaborative Network of China; Chinese Journal of Hematology	Consensus of Chinese expert on the diagnosis and treatment of hemophilia (version 2017)	2016
Tong, Y. R. et al.; Frontiers in neurology	A Comprehensive Analysis of 2013 Dystrophinopathies in China: A Report From National Rare Disease Center	2020

作者和机构	标题	年份
UBS research	APAC Focus: China ADC drugs — a rising force in cancer treatment	2023
Verhaart, I. E. C. et al.; Orphanet journal of rare diseases	Prevalence, incidence and carrier frequency of 5q-linked spinal muscular atrophy — a literature review	2017
Wang, H. et al.; BMJ open	Cost-effectiveness analysis of cetuximab combined with chemotherapy as a first-line treatment for patients with RAS wild-type metastatic colorectal cancer based on the TAILOR trial	2020
Whittington, M. D. et al.; JAMA	Long-term Survival and Cost-effectiveness Associated With Axicabtagene Ciloleucel vs Chemotherapy for Treatment of B-Cell Lymphoma	2019
Wongchaisuwat, N. et al.; Saudi journal of ophthalmology	Retinitis pigmentosa GTPase regulator-related retinopathy and gene therapy	2023
World Bank	GDP/Health expenditure/Currency/CPI	2024
World Federation of Hemophilia	World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2021	2022
Wu, W. et al.; Journal of medical economics	Cost effectiveness analysis of CAR-T cell therapy for patients with relapsed/refractory multiple myeloma in China	2023
Yang Y.; Chinese journal of cancer research	Comments on National guidelines for diagnosis and treatment of prostate cancer 2022 in China	2022
Zhang S. Clinical Focus	Diagnosis and treatment of rare diseases in China	2019
Zimmermann, M. et al.; Value in Health	Cost Utility of Voretigene Neparvovec for Biallelic RPE65-Mediated Inherited Retinal Disease	2018

合作伙伴简介



Helen Chen

陈玮女士现为L.E.K.主管合伙人, 也是L.E.K.全球生命科学业务负责人, 拥有丰富的行业及项目经验, 范围覆盖生物医药及医疗器械全产业链。此外, 陈玮女士同时担任公司亚太区生命科学创新智库的负责人, 并于2019年被《咨询杂志》(Consulting Magazine) 评为全球咨询业领袖之一。



Yuta Inokuchi

井口雄大 (Yuta Inokuchi) 是L.E.K.合伙人、日本地区负责人, 他专注于医疗健康与生命科学行业, 在增长战略制定、并购交易等一系列关键战略问题上为生物制药、生物技术、医疗器械、诊断、医药外包服务、生命科学工具等广泛的医疗行业企业客户提供建议。



Stephanie Newey

Stephanie Newey是L.E.K.澳大利亚地区负责人, 同时也是澳大利亚医疗健康业务的联合负责人。Stephanie拥有20余年战略和咨询经验, 在生物制药、生命科学、医疗器械和数字健康等领域具有深厚的专业能力。



Manoj Sridhar

Manoj Sridhar专注于医疗健康和生命科学业务。他在战略制定、绩效提升和组织设计方面拥有深厚的专业知识, 并曾为澳大利亚的制药、医疗器械以及政府客户就各类战略和并购项目提供咨询建议。



Tara Naguleswaran

Tara Naguleswaran是澳大利亚医疗健康团队成员。Tara为企业和私募股权客户在战略制定、组织与绩效提升以及并购等方面提供咨询服务。

