

医药
行业快报

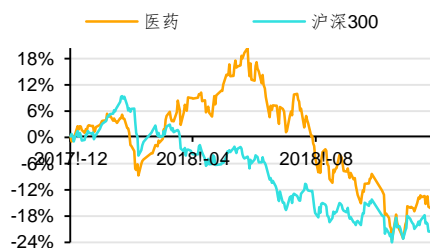
基因编辑药物 EDIT-101 获批临床：潘多拉魔盒的正确打开方式

投资要点

- ◆ **事件：**近日，美国基因组编辑公司 Editas Medicine 宣布，其基因编辑产品 EDIT-101 的临床试验申请获得 FDA 批准，目标适应症为 Leber 先天性黑朦 10 型 (LCA10) 眼病。
- ◆ **基因治疗有望攻克先天性黑朦：**先天性黑朦 (LCA) 是一类由基因突变引起的遗传性视网膜退行性病变，患者的视力一般在 1 岁以内就会受到严重影响，此后持续下降甚至可能失明，目前传统的药物和治疗方案对 LCA 尚无能为力。根据维基百科的数据，全球每年新生儿童中 LCA 的发病率约为 1/40000。目前已经发现了 LCA 的 18 个亚型，分别由不同的基因突变引起。本次 EDIT-101 临床试验获批的适应症即其中的一种——10 型 LCA，约占 LCA 患者总数的 20-30%。2017 年，FDA 批准了 Spark Therapeutics 的基因疗法 Luxturna 上市销售，该药物主要用于 2 型 LCA 的治疗。
- ◆ **EDIT-101 的临床前安全性已充分评估：**该试验是一项 1/2 期开放标签、剂量递增临床试验，预计招募 10-20 名患者，以评估 EDIT-101 的安全性、耐受性和疗效。EDIT-101 采用的是目前全球领先的 CRISPR/CAS9 基因编辑技术，以腺相关病毒 (AAV5) 为载体，将携带 CRISPR 工作元件的 AAV5 直接注射到患者视网膜下的感光细胞附近，再利用 AAV5 把 CRISPR 系统传递到感光细胞中，CRISPR 系统继而对患者异常的基因进行修正，达到治疗的效果。考虑到基因编辑技术的不确定性，为了尽可能地降低副作用，Editas 对 EDIT-101 进行了大量的临床前研究，包括检验其在感光细胞中的表达效率、Cas9 和 AAV5 病毒载体系统的免疫原性以及 CRISPR 基因编辑系统的脱靶效应等。充分的临床前研究是该项目得以顺利进入临床阶段的关键因素。
- ◆ **EDIT-101 只是起点，技术平台更具战略意义：**张锋作为 CRISPR 技术的发明人之一，其创立的 Editas Medicine 公司一直引领着基因编辑行业的发展。该临床试验是 Editas 启动的第一个临床试验，其获得批准意味着 FDA 对 EDIT-101 临床前研究、伦理以及安全性等数据的认可，是基因编辑正式从科研迈向临床应用极为关键的一步，也是基因编辑和基因治疗行业发展的里程碑事件。对比 EDIT-101 和 Luxturna，二者均用于 LCA 的治疗，使用的载体也都属于腺相关病毒大类，但在技术路径上存在较大差异。Luxturna 采用的是转基因技术，工作原理是向患者体内补充外源基因；EDIT-101 采用的是基因编辑技术，能实现患者自身基因的修复、剔除、补充等。因此基因编辑技术的应用前景要远远大于转基因技术。我们认为 EDIT-101 只是 CRISPR 基因编辑技术临床应用的开端，基因编辑技术的平台意义要远远大于 EDIT-101 产品本身的收益。待其技术路径打通以后，在这套基因编辑系统中更换靶标基因是相对容易的事，故而成熟的

投资评级

同步大市-B 维持

一年行业表现


资料来源：贝格数据

升幅%	1M	3M	12M
相对收益	3.68	-3.74	4.53
绝对收益	0.10	-8.60	-16.12

分析师

王冯

 SAC 执业证书编号：S0910516120001
 wangfeng@huajinsc.cn
 021-20377089

报告联系人

李伟

 liwei@huajinsc.cn
 021-20377053

相关报告

- 医药：基因编辑婴儿诞生，先进技术的使用需谨慎 2018-11-27
- 医药：分娩镇痛试点开展，麻醉药物将收获增量市场 2018-11-25
- 医药：药明系列一：医药合同外包所谓几何 2018-11-20
- 医药：“带量采购”正式出台，医药行业即将迎来后仿制药时代 2018-11-18
- 医药：审评制度改革逐步落地，行业调整后重新出发 2018-11-11

基因编辑技术平台将源源不断地产生新型基因药物，有望首先在传统药物无能为力的重大遗传疾病领域取得突破，这将快速推动基因治疗行业的发展，也会对未来医药行业的市场格局产生根本性的影响。

◆ **风险提示：** 研发风险，伦理风险，政策风险

行业评级体系

收益评级：

领先大市—未来 6 个月的投资收益率领先沪深 300 指数 10%以上；

同步大市—未来 6 个月的投资收益率与沪深 300 指数的变动幅度相差-10%至 10%；

落后大市—未来 6 个月的投资收益率落后沪深 300 指数 10%以上；

风险评级：

A —正常风险，未来 6 个月投资收益率的波动小于等于沪深 300 指数波动；

B —较高风险，未来 6 个月投资收益率的波动大于沪深 300 指数波动；

分析师声明

王冯声明，本人具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格，勤勉尽责、诚实守信。本人对本报告的内容和观点负责，保证信息来源合法合规、研究方法专业审慎、研究观点独立公正、分析结论具有合理依据，特此声明。

本公司具备证券投资咨询业务资格的说明

华金证券股份有限公司（以下简称“本公司”）经中国证券监督管理委员会核准，取得证券投资咨询业务许可。本公司及其投资咨询人员可以为证券投资人或客户提供证券投资分析、预测或者建议等直接或间接的有偿咨询服务。发布证券研究报告，是证券投资咨询业务的一种基本形式，本公司可以对证券及证券相关产品的价值、市场走势或者相关影响因素进行分析，形成证券估值、投资评级等投资分析意见，制作证券研究报告，并向本公司的客户发布。

免责声明：

本报告仅供华金证券股份有限公司（以下简称“本公司”）的客户使用。本公司不会因为任何机构或个人接收到本报告而视其为本公司的当然客户。

本报告基于已公开的资料或信息撰写，但本公司不保证该等信息及资料的完整性、准确性。本报告所载的信息、资料、建议及推测仅反映本公司于本报告发布当日的判断，本报告中的证券或投资标的价格、价值及投资带来的收入可能会波动。在不同时期，本公司可能撰写并发布与本报告所载资料、建议及推测不一致的报告。本公司不保证本报告所含信息及资料保持在最新状态，本公司将随时补充、更新和修订有关信息及资料，但不保证及时公开发布。同时，本公司有权对本报告所含信息在不发出通知的情形下做出修改，投资者应当自行关注相应的更新或修改。任何有关本报告的摘要或节选都不代表本报告正式完整的观点，一切须以本公司向客户发布的本报告完整版本为准，如有需要，客户可以向本公司投资顾问进一步咨询。

在法律许可的情况下，本公司及所属关联机构可能会持有报告中提到的公司所发行的证券或期权并进行证券或期权交易，也可能为这些公司提供或者争取提供投资银行、财务顾问或者金融产品等相关服务，提请客户充分注意。客户不应将本报告为作出其投资决策的惟一参考因素，亦不应认为本报告可以取代客户自身的投资判断与决策。在任何情况下，本报告中的信息或所表述的意见均不构成对任何人的投资建议，无论是否已经明示或暗示，本报告不能作为道义的、责任的和法律的依据或者凭证。在任何情况下，本公司亦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。

本报告版权仅为本公司所有，未经事先书面许可，任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制、发表、转发、篡改或引用本报告的任何部分。如征得本公司同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“华金证券股份有限公司研究所”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节和修改。

华金证券股份有限公司对本声明条款具有惟一修改权和最终解释权。

风险提示：

报告中的内容和意见仅供参考，并不构成对所述证券买卖的出价或询价。投资者对其投资行为负完全责任，我公司及其雇员对使用本报告及其内容所引发的任何直接或间接损失概不负责。

华金证券股份有限公司

地址：上海市浦东新区锦康路 258 号（陆家嘴世纪金融广场）13 层

电话：021-20655588

网址：www.huajinsec.com