

短报告_2022年中国AAV(腺相关病毒) 基因治疗挑战与机遇：纽福斯、信念医药、北海康城——基因治疗时代大放异彩

China AAV (Adeno-associated Virus) Gene Therapy Industry
中国 AAV (アデノ随伴ウイルス) 遺伝子治療法産業

报告标签：腺相关病毒、rAAV、AdV

主笔人：吴静

SCANNING

报告提供的任何内容（包括但不限于数据、文字、图表、图像等）均系头豹研究院独有的高度机密性文件（在报告中另行标明出处者除外）。未经头豹研究院事先书面许可，任何人不得以任何方式擅自复制、再造、传播、出版、引用、改编、汇编本报告内容，若有违反上述约定的行为发生，头豹研究院保留采取法律措施、追究相关人员责任的权利。头豹研究院开展的所有商业活动均使用“头豹研究院”或“头豹”的商号、商标，头豹研究院无任何前述名称之外的其他分支机构，也未授权或聘用其他任何第三方代表头豹研究院开展商业活动。

摘要

AAV（腺相关病毒）最早是在20世纪60年代中期从实验室AdV（腺病毒）制剂中发现的，并且很快就在人体组织中发现。

AAV在基因治疗方面的发展势头逐渐显现，越来越多的临床试验将其应用于各种治疗、人们目前的研究重点集中在工程化的AAV当中，通过对其衣壳进行分子修饰、与小分子和聚合物偶联和络合以及包装在各种人工和天然载体（如：囊泡、水凝胶和聚合物）中，用于提高安全性、疗效和多模式治疗。现如今，rAAV（重组腺相关病毒）已经成为体内基因治疗递送的主要平台。

报告提供的任何内容（包括但不限于数据、文字、图表、图像等）均系头豹研究院独有的高度机密性文件（在报告中另行标明出处者除外）。未经头豹研究院事先书面许可，任何人不得以任何方式擅自复制、再造、传播、出版、引用、改编、汇编本报告内容，若有违反上述约定的行为发生，头豹研究院保留采取法律措施、追究相关人员责任的权利。头豹研究院开展的所有商业活动均使用“头豹研究院”或“头豹”的商号、商标，头豹研究院无任何前述名称之外的其他分支机构，也未授权或聘用其他任何第三方代表头豹研究院开展商业活动。

■ AAV载体是基因治疗领域最常使用的病毒载体之一

腺相关病毒载体可将健康的基因拷贝运送到患者的细胞中，其应用潜力已经得到了大量的验证。AAV属于细小病毒科，是一个由直径约26nm的无包膜二十面体蛋白质衣壳和约4.7kb的单链DNA基因组组成。野生型AAV基因组包含Rep、Cap和aap三个基因

■ 全球基因疗法发展历史悠久，但AAV基因治疗仍然处于较新的赛道，国内企业近年来大量涌入

AAV基因疗法在罕见病领域展现出的良好应用前景，目前该领域已吸引了一大批药企入局，包括Spark、Regenxbio、uniQure、BioMarin、信致医药、至善唯新等。全球AAV基因治疗已有三个上市药物，全球200+件临床申请，国内有多款AAV药物获批进入临床

■ 中国AAV基因治疗市场百家争鸣，行业加速发展已是大势所趋

中国AAV基因治疗行业无论从上市产品和在研管线等维度均相较于海外其他国家起步晚。但整体而言已经呈现“百家争鸣”的大趋势。2010年至今，中国本土AAV基因治疗企业如雨后春笋般拔地而起，AAV基因治疗行业的发展已是大势所趋。

目录

- ◆ 中国AAV基因治疗行业综述
 - AAV基因治疗定义与优势
 - AAV基因治疗申报时间线
 - 产业链图谱
 - AAV基因治疗载体和适应症分布
 - AAV基因治疗热门靶点
- ◆ 中国AAV基因治疗行业政策分析
 - AAV基因治疗政策
- ◆ 中国AAV基因治疗行业市场格局
 - AAV基因治疗已上市产品
 - AAV基因治疗拟上市产品
 - AAV基因治疗企业气泡图
- ◆ 中国AAV基因治疗行业企业图谱
 - 纽福斯
 - 信念医药
 - 北海康成
- ◆ 方法论
- ◆ 法律声明

Contents

- ◆ **China AAV Gene Therapy Industry Overview**
 - AAV Gene Therapy Definition And Advantages
 - AAV Gene Therapy Timeline
 - Industry Chain Map
 - AAV Gene Therapy Carriers & Indications
 - AAV Gene Therapy Popular Targets
- ◆ **China AAV Gene Therapy Industry Policy**
 - AAV Gene Therapy Policy
- ◆ **China AAV Gene Therapy Industry Market Landscape**
 - AAV Gene Therapy Approved Marketed Drug
 - AAV Gene Therapy Proposed Listing Drug
- ◆ **China AAV Gene Therapy Industry Enterprise Map**
- ◆ **Methodology**
- ◆ **Legal Statement**

01

中国AAV基因治疗行业综述

- AAV基因治疗定义与优势
- AAV基因治疗申报时间线
- 产业链图谱
- AAV基因治疗载体和适应症分布
- AAV基因治疗热门靶点

中国AAV基因治疗行业综述——定义与优势

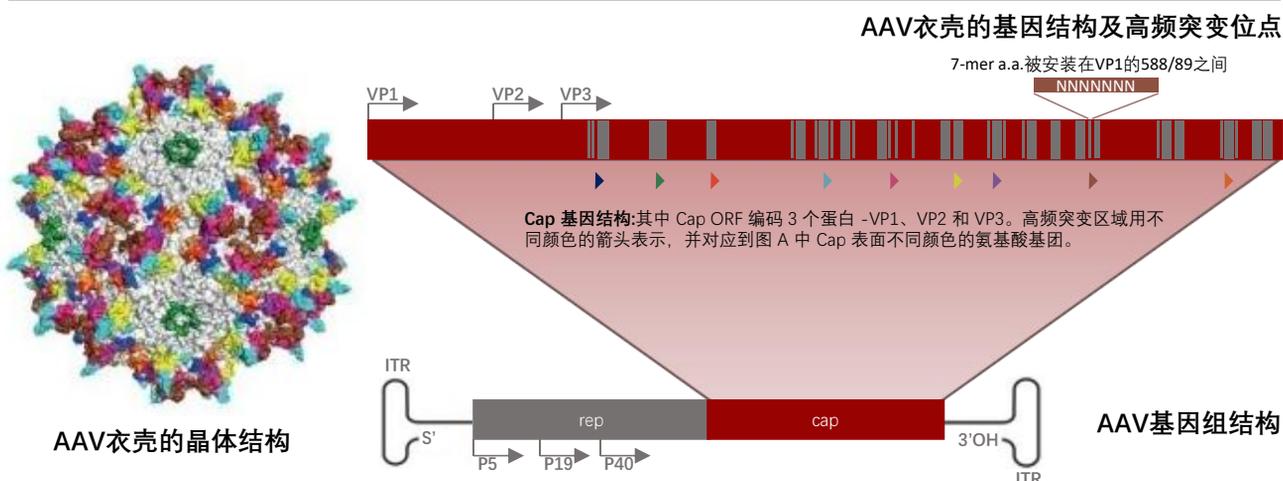
AAV载体是基因治疗领域最常使用的病毒载体之一，具有不导致人类疾病、免疫原性低和单次治疗长期疗效三个方面的优势

AAV（腺相关病毒）定义

■ AAV载体是基因治疗领域最常使用的病毒载体之一

腺相关病毒载体可将健康的基因拷贝运送到患者的细胞中，其应用潜力已经得到了大量的验证。AAV属于细小病毒科，是一个由直径约26nm的无包膜二十面体蛋白质衣壳和约4.7kb的单链DNA基因组组成。野生型AAV基因组包含Rep、Cap和aap三个基因。其中，Rep基因编码病毒基因组复制和包装所需的四种蛋白（Rep78、Rep68、Rep52和Rep40），Cap表达产生病毒衣壳蛋白（VP1/VP2/VP3）。在AAV基因组两端还有两个“T”型反向末端重复序列（ITR）。AAV颗粒可通过一个多步骤的过程感染分裂和未分裂细胞（图1）：AAV与宿主细胞表面受体结合，形成内涵体，胞质运输，转运至细胞核，病毒脱壳，单链DNA复制为具有转录活性的双链DNA，通过ITR重组形成可在细胞核内长期存在的环状DNA。

AAV基因组结构与Capsid (Cap) 高频突变点位示意图



AAV作为基因治疗载体的优势

优势	描述
不导致任何人类疾病，主要以附加体形式存在	许多有害疾病患者已采用了AAV基因治疗，但未观察到重大不良事件，这凸显了这些治疗的安全性。特别是“基因替代”策略在单基因疾病病例中显示出很高的成功率。通过生产更安全（慢病毒）载体，插入诱变的风险已经降低或规避。目前尚不知道野生型AAV在体内引起疾病，并且在去除大多数AAV基因组元素后，可以确保重组AAV基因在体内递送的进一步安全性。
免疫原性低（安全）	AAV载体的基因治疗已在靶器官的一系列试验中证明了安全性和长期疗效。通过使用辅助免疫调节药物降低了免疫应答的风险。AAV在体内引起非常温和的免疫反应，进一步支持其在基因递送过程中明显缺乏致病性。
单次治疗、稳定表达、长期疗效	AAV介导的蛋白质治疗基因递送提供了持久的药理作用，可能允许整个治疗的单剂量给药。这对于可能需要多次剂量的神经系统和眼部疾病尤其重要。已有证据表明使用AAV载体治疗多种CNS疾病和脊髓性肌萎缩。AAV已成为蛋白质治疗基因递送的有前途的平台从基因SMN1的功能拷贝开始，该基因进入到AAV9载体，通过静脉注射给药，整合到脊髓运动神经元的基因组中，治疗性SMN1的转录导致SMN蛋白的表达，减缓疾病进展。

来源：头豹研究院

中国AAV基因治疗行业综述——产业链图谱

AAV基因治疗行业产业链自上而下拆分为病毒载体生产商；基因增补和编辑处理的基因治疗企业；下游患者主要集中于罕见病、眼科疾病等

AAV基因治疗产业链图谱



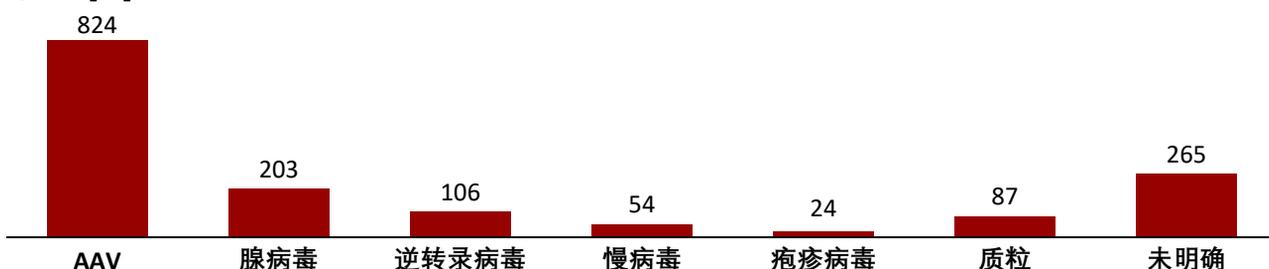
来源：动脉医药，头豹研究院

中国AAV基因治疗行业综述——载体和适应症分布

AAV各个病毒载体在基因治疗中的应用广泛，AAV基因治疗适应症布局亦覆盖多领域疾病，具有优质的前景

AAV基因治疗在研药物，截至2022年9月30日

单位：[项]



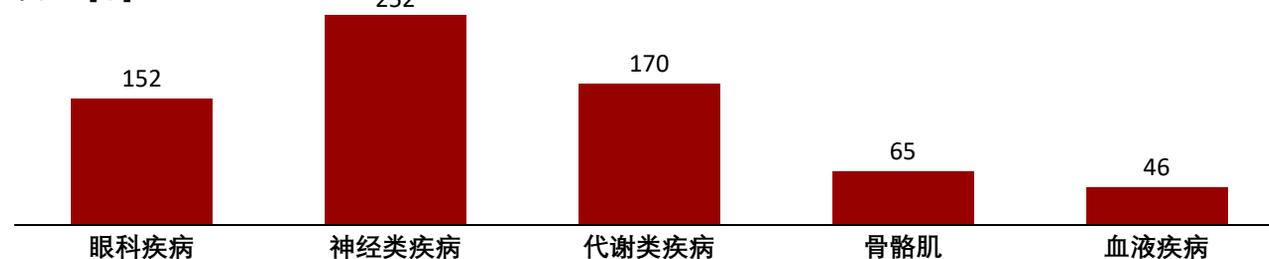
AAV载体在基因疗法中高频使用，具有优质前景

目前基因疗法使用的病毒载体包括AAV、腺病毒、逆转录病毒、慢病毒、疱疹病毒。根据Cortellis 2022年数据，共1563个使用病毒和质粒载体，其中，有824个AAV载体在研和已上市药物，203个腺病毒载体在研和已上市药物，106个逆转录病毒，54个慢病毒，24个疱疹病毒，87个质粒，其余为unspecified。可以看出，AAV载体为目前基因疗法开发利用的载体序列里最高频使用的一个载体，显著高于第二高频使用的腺病毒载体。

AAV载体的弊端主要为两方面，一是载体容量比较小，二是感染到表达的时间比较长。但这些缺点目前还没有制约到AAV载体的产业应用，且AAV作为基因治疗的载体具有多种不可替代的优势：第一，主要以附加体（非整合性环状表体）形式存在，不整合到宿主基因组中。第二，免疫原性低、安全。第三，单次治疗、稳定表达、长期有效。第四，血清型多，可选择性靶向不同的细胞、组织和器官。第五，可转染分裂期以及静止期细胞。

AAV基因治疗适应症领域分布，截至2022年9月30日

单位：[个]



AAV基因疗法在多领域应用广泛

根据Cortellis2022数据，目前所有在研针对眼科疾病的AAV疗法有152个，252款针对神经类疾病，170款针对代谢类疾病，65款针对骨骼肌，46款针对血液疾病。

从Cortellis2022年数据来看，包括辉瑞、罗氏、诺华、杨森、艾伯维等在内的大型跨国药企均布局了AAV基因疗法。神经、代谢和眼科领域均有超过100支管线，为AAV载体疗法重点应用的领域。已上市的两款药物中，一款是针对神经领域疾病，一款是针对眼科疾病。

来源：Cortellis，头豹研究院

中国AAV基因治疗行业——热门靶点

AAV基因治疗中全球在研和上市阶段主要靶点具有多样性，临床进展最快的主要有Fidanacogene Elaparvovec、Valoctocogene Roxaparvovec、PR001

■ AAV基因治疗药物全球获批上市情况持续向好

AAV全球热门靶点主要包括F9、F8、GBA、CFTR、RHO、SMN1、PAH、FXN、GAA、Dystrophin、RPE65等，本报告主要针对F9、F8、GBA这3个靶点进行相关AAV专利分析，考虑到这三个靶点涉及药物较多，故选取最具代表性的、也即临床进展最快的AAV药物：Fidanacogene Elaparvovec、Valoctocogene Roxaparvovec、PR001进行专利布局分析。

血友病是一种遗传性凝血功能障碍的出血性疾病，包括A型血友病和B型血友病，B型血友病主要是由于缺乏F9因子引起的，A型血友病则主要是缺乏F8因子。AAV载体递送凝血因子（如F8、F9）的基因疗法能够使患者体内持续产生内源性的凝血因子，这为临床上患者需频繁输注凝血因子提供了更好的治疗手段。

目前AAV递送F9治疗B型血友病的基因疗法临床进展最快的产品是Fidanacogene Elaparvovec，已是临床III期，有望成为全球首款获批治疗血友病B的基因治疗产品。在研公司辉瑞目前还未有该产品的相关专利申请，相关专利均在原研Spark Therapeutics、费城儿童医院手中，不乏AAV载体的平台类专利，还需高度关注。

Fidanacogene Elaparvovec相关专利

专利公开号	专利权人	技术方案	优先权日	法律状态
WO2018017956	Spark Therapeutics	高回收率或高浓度产生重组腺相关病毒（rAAV）载体颗粒的方法	2016-07-21	中美欧同族在审
WO2019126222	Spark Therapeutics	使用脂质纳米颗粒（LNP）包被AAV载体	2017-12-18	美国同族在审，未进入中欧日
WO2019210267	Spark Therapeutics	修饰的腺相关病毒（AAV）衣壳蛋白，所述修饰包括在RXXL位点或（L/P）PXY位点存在氨基酸取代	2018-04-27	美欧同族在审，暂未见中日同族公开
WO1998041240	费城儿童医院	AAV-FIX治疗血友病的用途	1997-03-14	美欧日同族届满失效
WO2011094198	费城儿童医院等	AAV载体颗粒纯化和制备方法	2010-01-28	美欧日同族授权、中国同组再审，尚有美国分案再审
WO2011094198	费城儿童医院	AAV载体颗粒纯化工艺	2010-01-28	美欧日同族授权，中国同族在审
WO2013158879	费城儿童医院	含衣壳蛋白修饰的AAV载体，编码基因可以是F9、F8	2012-04-18	中美欧日同族授权
WO2014144486	费城儿童医院	含有填充者/填充物多核苷酸序列的AAV载体以及制备方法	2013-03-15	中美欧同族在审，日本同族驳回
WO2018022844	费城儿童医院	涉及一种变体因子IX及编码其的核苷酸序列	2016-07-27	中美欧同族在审，日本驳回
WO2016210170	费城儿童医院	修饰的序列因子IX编码序列、表达盒、AAV载体，以及基因转移方法和用途	2015-06-23	美日同族的授权或再审，中欧同族再审

来源：智慧芽，头豹研究院



02

中国AAV基因治疗行业政策分析

□ AAV基因治疗政策

中国AAV基因治疗行业发展机遇——AAV基因治疗政策

2020年，中国出台多项细胞与基因技术的监管政策，涉及免疫细胞治疗、基因治疗等多个领域，有助于其上游AAV基因治疗共同发展

中国AAV基因治疗行业相关政策，2015-2022

政策名称	颁发时间	颁布主体	主要内容
《体内基因治疗产品药学研究与评价技术指导原则（试行）》	2022.05	CDE	体内基因治疗产品的活性成分和作用机制具有特殊性。对产品的研发、生产、使用和废弃处理应同时符合生物安全相关法规的要求
《关于深圳建设中国特色社会主义先行示范区放宽市场准入若干特别措施的意见》	2022.01	国家发展改革委	提升深圳人类遗传资源审批服务能力，探索设立人类遗传资源审批管理平台，支持干细胞治疗、免疫治疗、基因治疗等新型医疗产品
《中华人民共和国国民经济和社会发展第十四个五年规划和2035年远景目标纲要》	2021.03	全国人大常委会	加强基因组学研究应用、生物药等技术创新
《基因转导与修饰系统药学研究与评价技术指导原则》	2020.09	CDE	对基因转导与修饰系统的药学研究提出一般性技术要求
《上海市建设具有全球影响力的科技创新中心“十四五”规划》	2021.09	上海市政府	建立从实验室到临床阶段的细胞治疗据基因治疗关键技术体系，覆盖载体研发
《产业结构调整指导目录（2019年本）》	2019.11	国家发展改革委	将基因治疗药物和细胞治疗药物写入指导目录
《生物医学新技术临床应用管理条例》	2019.02	国家卫生健康委	基因编辑拟由国家卫健委进行行政审批、卫生行政部门对临床研究的审批包括学术审查和伦理审查，由此明确了开展临床应用的各方职责、技术准入门槛等
《知识产权重点支持产业目录（2018年本）》	2019	国家知识产权局	将干细胞与再生医学、免疫治疗、细胞治疗、基因治疗规划为国家重点发展知识产权支持的重点产业之一
《战略性新兴产业重点产品和服务指导目录（2016版）》	2017	国家科技部	生物技术药物中提到了“针对恶性肿瘤等难治性疾病的细胞治疗产品和基因药物”
《“十三五”国家科技创新规划》	2016	国家发展改革委	发展先进高效生物技术，开展重大疫苗、抗体研制、免疫治疗、基因治疗、细胞治疗、干细胞与再生医学、人体微生物组解析及调控等关键技术研究，构建具有国际竞争力的医药生物技术产业体系

■ 细胞与基因治疗技术获政策大力支持，其监管日益完善

2016年以来，国家各级部门陆续出台产业鼓励政策支持基因治疗整体产业发展。基因治疗规划为国家重点发展知识产权支持的重点产业之一，指导性和鼓励性政策成为了2021年以来AAV行业快速发展的先决作用。

来源：CDE, NMPA, 卫计委, 卫健委, 发改委, 头豹研究院

04

中国AAV基因治疗行业市场格局

- 已上市产品
- 拟上市产品
- 企业气泡图

中国AAV基因治疗行业市场格局——已上市产品

全球范围内已上市的AAV基因治疗产品目前只有3个，且均为在中国大陆地区市场获批上市，其中FDA批准了2款产品

全球已上市AAV基因治疗产品

给药途径	产品名称	厂商企业	获批事件(机构)	上市地区	适应症	递送基因片段	病毒载体
体内	Glybera	uniQure	2012-11 (EMA)	欧洲	脂蛋白脂肪酶缺乏症 (LPLD)	LPLD	AAV1
	Luxturna	罗氏/Spark	2017-12 (FDA) 2019 (EMA)	美国、欧洲、澳大利亚、加拿大	双等位RPE65基因突变导致的2型先天性黑蒙症 (LCA)	RPE65	AAV2
	Zolgensma	诺华/AveXis	2019-05 (FDA) 2020 (EMA)	美国、欧洲、日本、澳大利亚、加拿大、以色列、中国台湾、韩国	2岁以下的脊髓性肌肉萎缩症 (SMA)	SMN1	AAV9

■ AAV基因治疗药物全球获批上市产品仅有3款，且暂未在中国大陆地区获批上市

FDA批准了2款基于AAV载体的体内疗法。2017年批准Spark的Luxturna，治疗双等位RPE65基因突变导致的2型先天性黑蒙症LCA，以及2019年批准的Zolgensma，治疗2岁以下的脊髓性肌肉萎缩症SMA。

Luxturna（通用名voretigene neparvovec），是全球第二款获批、FDA首款获批上市的AAV基因治疗药物，最初由费城儿童医院和宾夕法尼亚大学合作开发，后来又由Spark Therapeutics（罗氏的全资子公司）和被许可人诺华公司联合开发，并于2017年12月获得FDA批准。

Zolgensma®（通用名onasemnogene abeparvovec），是全球第三款获批的AAV基因治疗药物，由Novartis Gene Therapies（前身AveXis，是Novartis全资子公司），于2019年5月获得FDA批准，在中国已进入临床III期。

EMA额外批准了1款产品。2012年批准uniQure的Glybera，基于AAV载体，是EMA批准的首款产品，治疗脂蛋白脂肪酶缺乏症LPLD，但由于销售堪忧，被迫于2017年10月退市。

UniQure公司对Glybera的专利布局涉及AAV病毒体及其制备方法、获批适应症、其他适应症/用途，其中除了AAV病毒体及其制备方法仍有效外，其余专利均失效或撤回。此外，UniQure公司还获得了多个公司的涉及Glybera的相关专利许可，涉及编码LPL的rAAV病毒载体、AAV1载体及序列、RNA输出元件及其用法、成肌细胞AAV转导。核心专利布局了涉及Glybera获批适应症以及涉及编码LPL的rAAV病毒载体的专利。

来源：动脉新医药，头豹研究院

中国AAV基因治疗行业市场格局——拟上市产品

AAV基因治疗技术在研管线丰富，海外不少产品已进入拟上市的阶段或临床后期阶段；中国市场管线整体进展较慢适应症集中于眼科疾病及血友病

全球拟上市AAV基因治疗产品（部分）

给药途径	产品名称	厂商企业	管线进度	适应症	递送基因片段	病毒载体	注射方式
体内	AMT-061	uniQure/C SL Behring	拟提交BLA (2022年上半年)	中重度至重度B型血友病	FIX Padua	AAV5	静脉注射
	BMN270	BioMarin Pharmaceutical	重新提交BLA	A型血友病	凝血因子FVIII	AAV5	静脉注射
	PTC-AADC	PTC Therapeutics	拟提交BLA (2022年第二季度)	芳香族L-氨基酸脱羧酶缺乏症 (AADC)	人类多巴脱羧酶 (DDC) 基因	AAV2	脑内注射
	NR082	纽福斯	临床1期	ND4突变引起的Leber遗传性视神经病变 (ND1-LHON)	ND4	AAV2	玻璃体腔注射
	NFS-02	纽福斯	Rre-IND	ND1突变引起的Leber遗传性视神经病变 (ND4-LHON)	ND1	AAV2	玻璃体腔注射
	BBM-H901	信念医药	临床1期	B型血友病	FIX	AAV	静脉注射
	VGB-R04	天泽云泰	临床1期	B型血友病	FIX	AAV	静脉注射
	LX101	朗信生物	临床1期	双等位RPE65基因突变导致的2型先天性黑蒙症 (LCA)	RPE65	AAV	眼内注射
	ZVS101e	北京中因	Pre-IND	CYP4V2突变导致的结晶样视网膜变性BCD	CYP4V2	AAV	视网膜下注射
	ZS801			B型血友病	FIX	AAV8	/
	HG-004	辉大基因	临床前	2型先天性黑蒙症LCA	RPE65	AAV9	视网膜下注射
BD211	本导基因	临床前 (ST)	地中海贫血	B珠蛋白基因	LV	静脉注射	

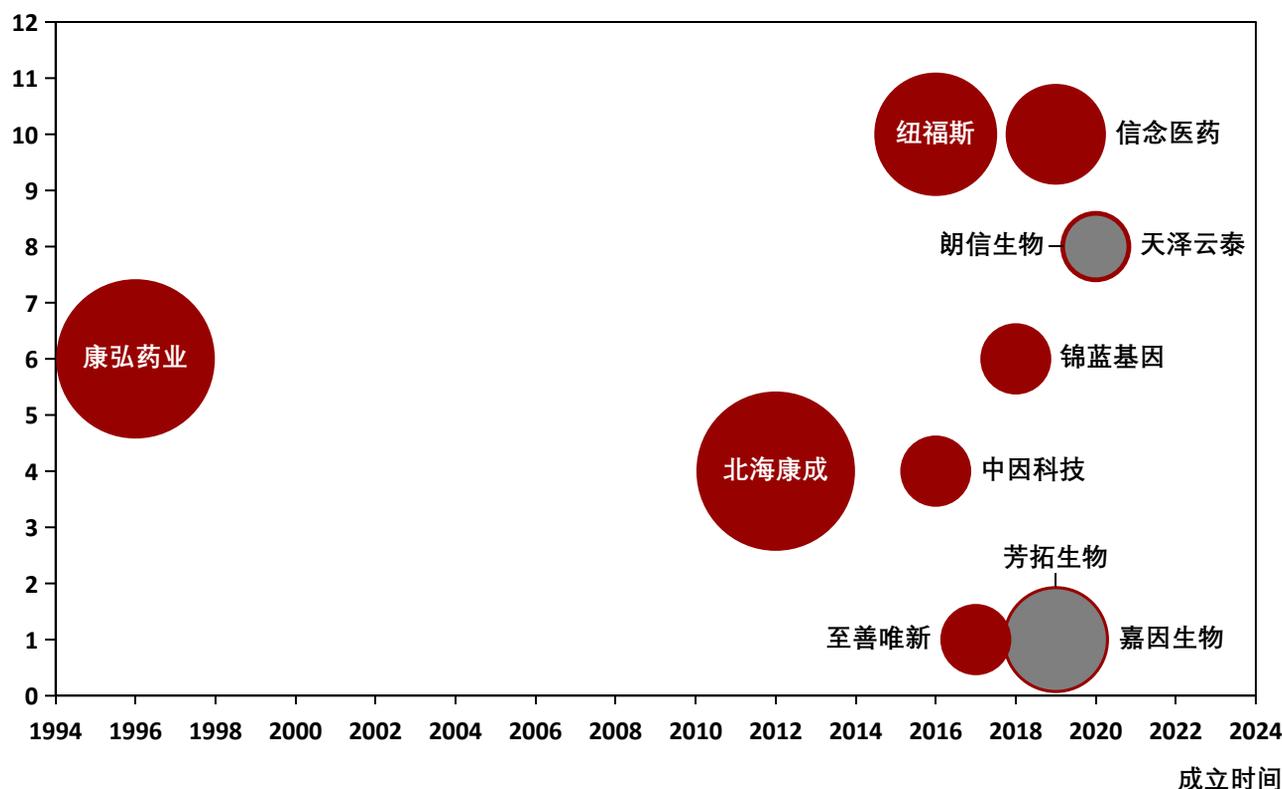
来源：动脉新医药，头豹研究院

中国AAV基因治疗行业市场格局——中国企业气泡图

在中国，AAV基因治疗行业尚处于百家争鸣的整体局面，未来一段时间或将成为AAV基因治疗行业市场格局定型的关键时期

AAV基因治疗中国企业气泡图

产品管线



*注：图中企业气泡图颜色无实意义，仅用于区分重叠部分的多家企业。

中国AAV基因治疗市场百家争鸣，行业加速发展已是大势所趋

中国AAV基因治疗行业无论从上市产品和在研管线等维度均相较于海外其他国家起步晚。但整体而言已经呈现“百家争鸣”的大趋势，AAV基因治疗行业的发展已是大势所趋。

气泡图中主要选取的维度分别为：X轴——企业成立时间，在图中直接以年份显示。Y轴——企业现阶段产品管线数量。

2010年至今，中国本土AAV基因治疗企业如雨后春笋般拔地而起。在所选取的本土企业中，仅康弘药业一家布局了AAV基因治疗的企业成立时间早于2010年。从气泡图中不难看出，布局AAV基因治疗稍早的企业在一定程度上融资进程也相较于其他企业偏向后期，部分企业已完成IPO。

产品管线数量方面纽福斯、信念医药等成为行业的领军企业。未来一段时间是诸多AAV企业竞争的关键时期，率先获批临床、率先上市无疑将会成为企业在AAV基因治疗这一新“黄金赛道”崭露头角的重中之重。行业竞争格局也会伴随上述因素出现变动。

来源：企业官网，头豹研究院



05

中国AAV基因治疗行业企业图谱

- 纽福斯
- 信念医药
- 北海康成

中国AAV基因治疗行业企业图谱——纽福斯

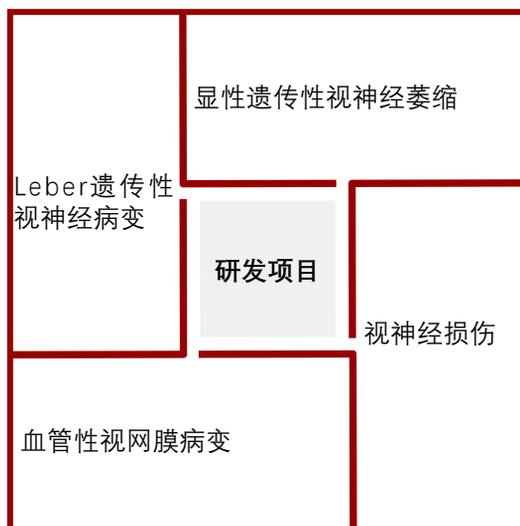
纽福斯生物专注于眼科疾病的体内基因治疗行业，作为一家临床阶段的研发企业，致力于为全球眼科疾病患者探索和开发新的疗法

Neurophth

网址：<https://www.neurophth.com/index.html>

纽福斯成立于2016年，是李斌教授团队于华中科技大学同济医学院附属同济医院自2008年起十几年来对眼科基因治疗技术探索和积累的成果。作为一名眼科医生和视网膜疾病专家，李教授带领团队成功完成了从实验室到临床应用的转化研究，通过一系列国内和国际多中心临床试验证实了腺相关病毒（AAV）载体技术在眼科基因治疗的应用价值。

纽福斯生物研发项目



■ 作为一家临床阶段的研发企业，研发项目集中于眼科疾病

李斌教授带领团队成功完成了从实验室到临床应用的转化研究，通过一系列国内和国际多中心临床试验证实了腺相关病毒载体技术在眼科基因治疗应用价值。借助于成熟的AAV基因治疗技术平台，纽福斯已建立丰富的产品管线，包含针对视神经损伤疾病、血管性视网膜病变等多种眼科疾病的10余个在研项目。

2021年3月30日，纽福斯生物宣布其自主研发的NR082眼用注射液获得国家药品监督管理局颁发的注册性药物临床试验许可，将在中国开展临床试验。NR082是国内首个获得临床试验许可的眼科体内基因治疗药物，并已于2020年9月获得美国FDA孤儿药认定，为该产品加速国际化开发奠定了基础。

纽福斯生物核心竞争力

产品管线

- 对眼科疾病基因治疗的深入理解
- 丰富产品管线涵盖眼科罕见病和常见病
- 扩展至眼科以外其它疾病领域的潜力

平台技术

- 基因治疗平台：优化的AAV载体适用于玻璃体内注射；经结构改造的AAV衣壳以克服基因治疗局限性
- CMC生产平台：打造符合国际标准的稳定AAV工艺平台和供应链体系

人才

- 具有丰富基因治疗和药物开发行业经验的核心管理团队（~70%管理层拥有海外经验）
- 240+ 全职员工（~57%拥有博士或硕士学位），分布在武汉、上海、苏州和美国

来源：公司官网，头豹研究院

中国AAV基因治疗行业企业图谱——信念医药

信念医药研发了数百种AAV载体关键技术，拥有数十项全球领先的专利技术，并建立了国内首个临床级AAV基因治疗药物商业化生产平台



网址：www.wuxiapptec.com.cn

信念医药集团成立于2018年5月，是一家业内领先的，集基因治疗产品研发、生产和临床应用为一体的高科技企业，致力于通过安全高效的腺相关病毒(Adeno-associated Virus, AAV) 载体技术为基因缺陷遗传病、神经退行性疾病、年龄相关退行性疾病以及一些重大恶性疾病提供更加有效的创新性基因疗法。集团总部位于上海，并在中国北京、苏州、香港及美国北卡罗莱纳州设立了办公室或研发生产中心。

信念医药集团研发项目（部分，截至2022年10月31日）

适应症	早期研发	专利申报	临床前	GMP	IND	临床试验	BLA
血友病B							
血友病A							
神经退行性疾病							
骨关节炎							
癌症							
代谢类疾病							
眼科疾病							
肌肉骨骼疾病							
遗传性肌肉疾病							
溶酶体贮积疾病							
信念医药集团核心竞争力							

研发技术

- AAV载体是领先的体内基因传递平台，与其他载体相比，AAV具有非致病性、低免疫应答、高转导效率、提高组织/细胞特异性和长期转基因表达活性等优点。

生产平台

- 5000平方米的设施囊括质粒生产纯化、细胞扩增、规模化生产、病毒纯化、成品灌装、质量控制等功能，所有这些功能都以完全一体化的生产方式设计。

疾病领域

- 丰富的疾病研发领域，覆盖血友病、帕金森病、溶酶体贮积症、遗传性神经肌肉疾病、眼科及老年退行性疾病等多种重大、未被满足临床需求的疾病。

来源：公司官网，豹研究院

中国AAV基因治疗行业企业图谱——北海康成

北海康成专注于罕见疾病的全球领先生物制药公司，致力于研究、开发和商业化变革性疗法



网址: www.porton.cn

北海康成成立于2012年，是一家专注于罕见疾病的全球领先生物制药公司，致力于研究、开发和商业化变革性疗法。截至到2021年6月21日，北海康成已经打造了一个由13个具有巨大市场潜力的药物资产组成的全面和差异化的管线，针对部分最普遍的罕见疾病和罕见肿瘤适应症，包括三个上市产品、三个处于临床阶段的候选药物、两个处于IND启用阶段、两个处于临床前阶段，另外三个基因治疗项目处于先导识别阶段。

北海康成研发项目

产品板块	罕见肿瘤	CAN008是一种糖基化融合蛋白，可通过与CD95配体结合来阻止CD95受体与其同源配体CD95L之间的相互作用。 适应症：胶质母细胞瘤。
	罕见病药物	已上市产品：海芮思®Hunterase®（艾杜糖醛酸酶-2-硫酸酯酶）在12个国家/地区销售，于2020年9月获准在中国进行市场营销。 适应症：粘多糖贮积症II型（MPS II）或亨特综合征。
	基因治疗	四个产品均处于临床前，适应症分别为法布雷氏病、庞贝氏病、神经肌肉疾病、杜氏综合症。
	其他肿瘤	2个已上市产品：Caphosol™:口腔黏膜炎；Nerlynx® 奈拉替尼：HER2+ 乳腺癌、HER2+ 转移性乳腺癌。

北海康成核心竞争力

罕见病领域布局

- 有七种生物制剂和小分子产品和候选产品，用于治疗亨特综合征和其他溶酶体贮积症、补体介导的疾病、血友病A、代谢性疾病和罕见的胆汁淤积肝包括Alagille综合征等疾病。

AAV递送平台

- 北海康成与UMass 合作开展赞助研究计划，以开发神经肌肉疾病的基因治疗解决方案。正在内部开发针对不同组织的腺相关病毒（AAV）递送平台，例如中枢神经系统（CNS）和肌肉。

产品转化进程

- 13个具有巨大市场潜力的管线，包括三个上市产品、三个处于临床阶段的候选药物、两个处于IND启用阶段、两个处于临床前阶段，另外三个基因治疗项目处于先导识别阶段。

来源：公司官网，头豹研究院

方法论

- ◆ 头豹研究院布局中国市场，深入研究10大行业，54个垂直行业的市场变化，已经积累了近50万行业研究样本，完成近10,000多个独立的研究咨询项目。
- ◆ 研究院依托中国活跃的经济环境，研究内容覆盖整个行业的发展周期，伴随着行业中企业的创立，发展，扩张，到企业走向上市及上市后的成熟期，研究院的各行业研究员探索和评估行业中多变的产业模式，企业的商业模式和运营模式，以专业的视野解读行业的沿革。
- ◆ 研究院融合传统与新型的研究方法，采用自主研发的算法，结合行业交叉的大数据，以多元化的调研方法，挖掘定量数据背后的逻辑，分析定性内容背后的观点，客观和真实地阐述行业的现状，前瞻性地预测行业未来的发展趋势，在研究院的每一份研究报告中，完整地呈现行业的过去，现在和未来。
- ◆ 研究院密切关注行业发展最新动向，报告内容及数据会随着行业发展、技术革新、竞争格局变化、政策法规颁布、市场调研深入，保持不断更新与优化。
- ◆ 研究院秉承匠心研究，砥砺前行的宗旨，从战略的角度分析行业，从执行的层面阅读行业，为每一个行业的报告阅读者提供值得品鉴的研究报告。

法律声明

- ◆ 本报告著作权归头豹所有，未经书面许可，任何机构或个人不得以任何形式翻版、复刻、发表或引用。若征得头豹同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“头豹研究院”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节或修改。
- ◆ 本报告分析师具有专业研究能力，保证报告数据均来自合法合规渠道，观点产出及数据分析基于分析师对行业的客观理解，本报告不受任何第三方授意或影响。
- ◆ 本报告所涉及的观点或信息仅供参考，不构成任何证券或基金投资建议。本报告仅在相关法律许可的情况下发放，并仅为提供信息而发放，概不构成任何广告或证券研究报告。在法律许可的情况下，头豹可能会为报告中提及的企业提供或争取提供投融资或咨询等相关服务。
- ◆ 本报告的部分信息来源于公开资料，头豹对该等信息的准确性、完整性或可靠性不做任何保证。本报告所载的资料、意见及推测仅反映头豹于发布本报告当日的判断，过往报告中的描述不应作为日后的表现依据。在不同时期，头豹可发出与本报告所载资料、意见及推测不一致的报告或文章。头豹均不保证本报告所含信息保持在最新状态。同时，头豹对本报告所含信息可在不发出通知的情形下做出修改，读者应当自行关注相应的更新或修改。任何机构或个人应对其利用本报告的数据、分析、研究、部分或者全部内容所进行的一切活动负责并承担该等活动所导致的任何损失或伤害。

更多精彩研报 正在进行中

若您期待看到完整版报告或报告课题有独到见解，头豹欢迎您加入到此篇报告的研究中。相关咨询，欢迎联系头豹研究院医疗行业研究团队。

邮箱：

lamber.hao@frostchina.com

欲了解更多医疗领域系列课题，登陆头豹研究院官网 www.leadleo.com 搜索查阅：



2022年中国中成药行业概览未来五十年展望：肿瘤及罕见病治疗的发展策略



医美产业链系列之2022年中国玻尿酸行业概览：掘金赛道，市场潜力无限



行业概览：2022年中美IVD(体外诊断)行业对比，国产替代路在何方？



2022年中国再生医学行业概览：中国再生医学、正海生物、诺普医学搭乘上“永生”行驶船舶



2022年中国医用水凝胶行业概览：瑞凝生物、华阳医疗、长春吉原竞争新一代敷料“候选人”



医美产业链系列之2022年中国肉毒素行业概览：爱美客，四环生物，兰州生物纷纷布局与玻尿酸并驾齐驱的掘金赛道

头豹研究院简介

- ◆ 头豹是中国领先的原创行企研究内容平台和新型企业服务提供商。围绕“协助企业加速资本价值的挖掘、提升、传播”这一核心目标，头豹打造了一系列产品及解决方案，包括：**报告/数据库服务、行企研报定制服务、微估值及微尽调自动化产品、财务顾问服务、PR及IR服务**，以及其他以企业为基础，利用大数据、区块链和人工智能等技术，围绕产业焦点、热点问题，基于丰富案例和海量数据，通过开放合作的增长咨询服务等
- ◆ 头豹致力于以优质商业资源共享研究平台，汇集各界智慧，推动产业健康、有序、可持续发展



备注：数据截止2022.6

四大核心服务

企业服务

为企业提供定制化报告服务、管理咨询、战略调整等服务

云研究院服务

提供行业分析师外派驻场服务，平台数据库、报告库及内部研究团队提供技术支持服务

行业排名、展会宣传

行业峰会策划、奖项评选、行业白皮书等服务

园区规划、产业规划

地方产业规划，园区企业孵化服务