

# 合成生物学周报：合成生物研究院与药研机构深度合作，微生物被膜加速活体材料新应用

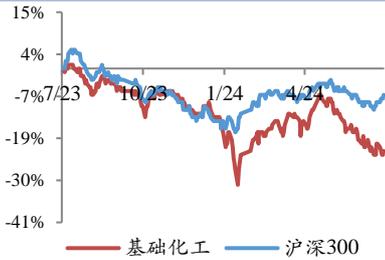
行业评级：增持

主要观点：

报告日期：2024-07-21

华安证券化工团队发表的《合成生物学周报》是一份面向一级市场、二级市场，汇总国内外合成生物学相关领域企业信息的行业周报。

## 行业指数与沪深300走势比较



目前生命科学基础前沿研究持续活跃，生物技术革命浪潮席卷全球并加速融入经济社会发展，为人类应对生命健康、气候变化、资源能源安全、粮食安全等重大挑战提供了崭新的解决方案。国家发改委印发《“十四五”生物经济发展规划》，生物经济万亿赛道呼之欲出。

合成生物学指数是华安证券研究所根据上市公司公告等汇总整理由58家业务涉及合成生物学及其相关技术应用的上市公司构成并以2020年10月6日为基准1000点，指数涵盖化工、医药、工业、食品、生物医药等多领域公司。本周（2024/07/15-2024/07/19）华安合成生物学指数上涨2.52个百分点。上证综指上涨0.37%，创业板指上涨2.49%，华安合成生物学指数跑赢上证综指2.15个百分点，跑赢创业板指0.04个百分点。

分析师：王强峰

执业证书号：S0010522110002

电话：13621792701

邮箱：wangqf@hazq.com

联系人：刘天其

执业证书号：S0010122080046

电话：17321190296

邮箱：liutq@hazq.com

图表1 合成生物学指数图表



资料来源：同花顺 iFind，华安证券研究所

## 相关报告

- 新和成投资百亿尼龙新材料项目，聚合MDI、制冷剂R134a价格上涨 2024-07-21
- 合成生物学周报：华恒生物与东华大学共研PDO-PTT新材料，国内首家可持续航空燃料

### 第三届合成生物学与绿色生物制造大会即将召开

第三届合成生物学与绿色生物制造大会（SynBioCon 2024）将于2024年8月21-23日在宁波举行。大会特别关注可以从0到1到100的创新创业性技术成果，聚焦核心产品技术、产业布局与科技成果转化。对此，大会聚焦绿色化工、功能营养和美妆个护、未来农业、AI+生物制造四个重要领域，同时邀请行业顶尖专家、上下游代表性企业来深度思考，剖析市场，寻找伙伴，赋能于行动。（资料来源：第三届合成生物学与绿色生物制造大会，华安证券研究所）

### 天津大学合成生物前沿研究院与药研机构形成战略合作

5月14日，天津大学合成生物前沿研究院与天津药物研究院有限公司（以下简称“天津药研院”）战略合作协议签约仪式在天津大学顺利举行。甲乙双方签署了一份具有深远影响的战略合作协议，旨在通过深度合作，充分发挥各自在生物制造及合成生物领域的核心优势，以更高的视野和战略定位，共同应对国家和行业的重大挑战。双方决心携手共建高端创新平台，全力培育领军人才，以高效的科技成果转化机制，推动重大项目研发取得突破。此举不仅将促进医药、健康等产业的全面优化升级，更将引领新质生产力的蓬勃发展，为国家的科技进步和产业升级贡献重要力量。同时，双方还决定共同打造科技成果转化平台，加强在科研项目上的紧密合作，实现全方位的资源共享，并建立稳固的日常工作联系机制，为长期稳定的合作关系奠定坚实基础。（资料来源：天津大学，华安证券研究所）

- **诺合新生物获千万元天使轮融资，聚焦植物合成生物研发及商业化**  
近日，诺合新生物宣布获得了逾千万元天使轮融资。本轮融资将用于扩充研发管线和扩建近1000平生产基地。自2022年公司正式运营以来，诺合新生物便以科技创新为核心，专注于植物合成生物学相关产品与服务的研发和生产。始终坚持先进的研发技术与规范的产业平台双轮驱动，优质产品的供应与全生命周期的技术服务并重。公司凭借持续的技术革新与产业升级，在植物源医药美妆原料、蛋白定制和植物遗传转化服务等领域已构筑了丰富的产品管线及技术服务，成为细分市场的优质企业。截至目前，诺合新生物已顺利完成两轮融资逾千万元，充分证明了市场对公司实力和发展潜力的高度认可。此次融资的成功，将进一步推动公司加速相关产品的研发进程和客户交付。本轮融资将用于扩充研发管线和扩建近1000平生产基地。诺合新生物获得资本市场的青睐与客户支持，为公司的长远发展奠定了坚实基础，进一步巩固了公司在植物合成生物学领域的领先地位。（资料来源：诺合新生物，华安证券研究所）
- **共形贴附导电微生物生物被膜开发活体能源材料新应用**  
2024年6月12日，中国科学院深圳先进技术研究院合成生物学研究所、深圳合成生物学创新研究院钟超团队与上海科技大学物质科学与技术学院马贵军团队在Science子刊Science Advances上合作发表了题为“Conformal and conductive biofilm-bridged artificial Z-scheme system for visible light-driven overall water splitting”的研究成果。该研究通过在大肠杆菌生物被膜进行聚吡咯的原位聚合，实现了共形贴附的导电生物被膜构建。通过滴涂法实现光催化剂涂层制备，并在其表面原位生长导电生物被膜，就可以实现半人工光合体系的构建，实现光催化全解水，产物中氢气和氧气的比例稳定维持在2:1。该体系拥有100 h的长时间运行稳定性以及对于不同背景压力的耐受性，并且具有规模化生产潜力。本研究实现了活体能源材料在可持续清洁能源方面的应用，并且对于生物整合相关的系统设计也有非常好的参考意义。（资料来源：中国科学院深圳先进技术研究院，华安证券研究所）
- **亚洲首个应用造血干细胞基因治疗青少年型异染性脑白质营养不良患者的研究完成近10年随访**

2024年6月25日，深圳理工大学/中国科学院深圳先进技术研究院教授连祺周团队联合广州医科大学附属妇女儿童医疗中心、深圳市第二人民医院、深圳市儿童医院及香港大学等医疗机构，在 *Protein & Cell* 杂志在线发表了题为“Lentivirus-modified hematopoietic stem cell gene therapy for advanced symptomatic juvenile metachromatic leukodystrophy: A long-term follow-up pilot study”的最新研究成果，报告了一项自体造血干细胞基因治疗已发病的青少年型异染性脑白质营养不良（MLD）患者将近 10 年的安全性和有效性随访研究。（资料来源：深圳理工大学/中国科学院深圳先进技术研究院，华安证券研究所）

#### 风险提示

政策扰动；技术扩散；新技术突破；全球知识产权争端；全球贸易争端；碳排放趋严带来抢上产能风险；原材料大幅下跌风险；经济大幅下滑风险。

## 正文目录

1 合成生物学市场动态.....	5
1.1 二级市场表现.....	5
1.2 公司业务进展.....	6
1.3 行业融资跟踪.....	8
1.4 公司研发方向.....	11
1.5 行业科研动态.....	12
2 周度公司研究:BLUEBIRD BIO—在基因疗法的前沿飞翔.....	13
3 重点事件分析:亚洲首个应用造血干细胞基因治疗青少年型异染性脑白质营养不良患者的研究完成近 10 年随访... 14	14
4 风险提示.....	15

## 图表目录

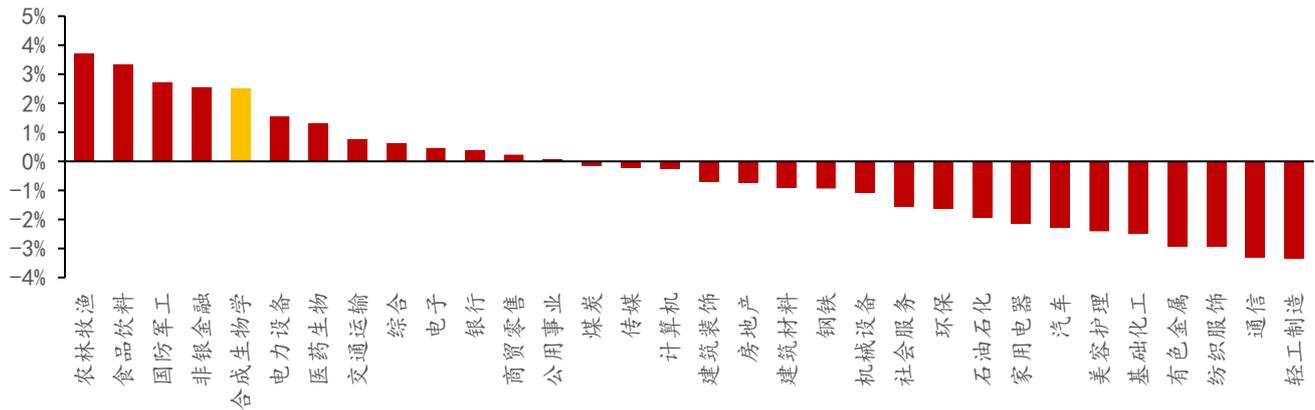
图表 1 合成生物学指数图表.....	1
图表 2 合成生物学市场表现.....	5
图表 3 行业个股周度涨幅前列.....	5
图表 4 行业个股周度跌幅前十.....	5
图表 5 行业相关公司市场表现.....	7
图表 6 2024 年行业公司融资动态.....	9
图表 7 行业科研进展汇总.....	12
图表 8 BLUEBIRD BIO 独有的慢病毒载体技术用于基因治疗.....	13
图表 9 造血干细胞基因治疗发病后青少年型 MLD 患者的疗法概念图.....	15

# 1 合成生物学市场动态

## 1.1 二级市场表现

本周（2024/07/15-2024/07/19）合成生物学领域个股整体表现较好，上涨2.52%，排名第5。

图表2 合成生物学市场表现



资料来源：同花顺 iFind，华安证券研究所

本周（2024/07/15-2024/07/19）合成生物学领域，涨幅前列的公司分别是嘉必优（+9%）、浙江医药（+7%）、爱博医疗（+8%）、双塔食品（+7%）。跌幅前列的公司2家来自医药，2家来自食品、生物医药。

图表3 行业个股周度涨幅前列

公司所处行业	公司名称	市值	本周	PE	PB	7日	30日	120日
		(亿元)	收盘价	(TTM)	(MRQ)	涨跌幅	涨跌幅	涨跌幅
食品、生物医药	嘉必优	25	14.85	24.65	1.67	12%	6%	-2%
医药	浙江医药	121	12.58	28.42	1.24	10%	30%	33%
医药	爱博医疗	142	74.87	43.20	6.41	8%	2%	2%
食品、生物医药	双塔食品	53	4.30	27.14	2.03	7%	3%	-1%

资料来源：同花顺 iFind，华安证券研究所

本周（2024/07/15-2024/07/19）合成生物学领域，跌幅前列的公司分别是平潭发展（-5%）、美盈森（-5%）。跌幅前列的公司1家来自工业，1家来自食品、生物医药。

图表4 行业个股周度跌幅前列

公司所处行业	公司名称	市值	本周	PE	PB	7日	30日	120日
		(亿元)	收盘价	(TTM)	(MRQ)	涨跌幅	涨跌幅	涨跌幅
工业	平潭发展	26	1.33	-8.41	1.25	-5%	-13%	-41%
食品、生物医药	美盈森	36	2.33	15.69	0.69	-5%	-5%	-21%
化工	金丹科技	26	13.82	29.65	1.60	-4%	-10%	-20%
化工	凯赛生物	240	41.09	57.85	2.13	-4%	-13%	-8%
化工、食品	山东赫达	38	11.09	18.85	1.84	-4%	-14%	-28%

敬请参阅末页重要声明及评级说明

食品、生物医药	东方集团	34	0.93	-2.30	0.20	-4%	-24%	-45%
化工、生物医药	巨子生物	393	39.90	25.7796	8.5796	-4%	-17%	-6%
化工	富祥药业	47	8.53	-27.73	1.89	-4%	-10%	-10%
医药	金城医药	55	14.41	26.66	1.48	-4%	-7%	-13%
食品、生物医药	祖名股份	17	13.53	41.35	1.61	-3%	-11%	-22%

资料来源：同花顺 iFind，华安证券研究所

## 1.2 公司业务进展

### 国内公司

#### (1) 酶有科技推进酶促 DNA 合成研发

近日，酶有科技已完成数千万人民币天使轮融资，由线性资本领投，奇绩创坛和旦恩资本跟投。本轮融资将主要用于酶促 DNA 合成相关的实验推进、仪器研发及团队搭建。酶有科技创办于 2023 年 3 月，致力于通过建立蛋白质-核酸相互作用算法，设计酶分子机器高效合成 DNA，可以低成本、大规模地从头合成基因，从而大量获得高质量的生物大分子数据，连接大模型与微观分子世界。（资料来源：公司官网，华安证券研究所）

### 国外公司

#### (2) BillionToOne 通过精密诊断降低临床风险

近日，领先的分子诊断公司 BillionToOne 宣布在 D 轮融资中筹集了 1.3 亿美元，估值超过 10 亿美元。由 Premji Invest 领投了此次融资，新投资者 Neuberger Berman 参与其中。Adam Street Partners、Baillie Gifford、Hummingbird Ventures、Civilization Ventures、Libertus Capital 和 Fifty Years 等现有投资者也参与了投资。这笔资金将用于扩大和扩展 BillionToOne 的产前筛查和肿瘤诊断业务。BillionToOne 成立于 2016 年，是一家精密诊断公司，其使命是让每一位孕妇可以接受更安全更低价的产前检查。目前羊膜腔穿刺技术弊端明显，有 0.5~1% 的概率导致孕妇流产，BillionToOne 的技术可以完美规避此风险，通过提取母体的血液对胎儿基因进行检测，更高效安全的预判出多种先天性疾病。BillionToOne 的 Quantitative Counting Templates™ (QCTs™) 技术能够以单个碱基对的精度计数 DNA 分子，已为 50 万多名患者提供了检测服务，公司年经常性收入在约 4 年内增长到 1.25 亿美元。其 UNITY Fetal Risk™ Screen 和 Northstar 系列肿瘤液体活检产品提供了独特的诊断能力。（资料来源：公司官网，生命资本，华安证券研究所）

#### (3) Rarity Bioscience 进一步开发 DNA 检测技术

近日，瑞典分子诊断初创公司 Rarity Bioscience 宣布，已完成由 Navigare Ventures 领投、Novalis Biotech 和乌普萨拉大学投资部门 UU Invest，以及现有投资者 Ulf Landegren 和其他外部战略投资者联合投资的 650 万欧元（约 5063 万人民币）融资。计划利用这笔资金进一步开发其 SuperRCA 细胞游离和基因组 DNA 检测技术，增强其运营能力，并推进其商业化和营销战略。Rarity Bioscience 成立于 2021 年，其核心技术平台 SuperRCA 通过连续滚环扩增反应实现组织和血液样本中超低水平细胞游离和基因组 DNA 的检测。（资料来源：公司官网，华安证券研究所）

图表 5 行业相关公司市场表现

公司所处行业	公司名称	市值	本周	PE	PB	7日	30日	120日
		(亿元)	收盘价	(TTM)	(MRQ)	涨跌幅	涨跌幅	涨跌幅
工业	平潭发展	26	1.33	-8.41	1.25	-5%	-13%	-41%
工业	溢多利	29	5.96	129.49	1.11	-3%	-8%	5%
工业	楚天科技	42	7.16	25.96	0.90	1%	-9%	-28%
工业、医药	蔚蓝生物	31	12.15	37.10	1.78	-3%	-13%	10%
化工	星湖科技	92	5.52	11.34	1.17	-6%	-4%	32%
化工	金丹科技	26	13.82	29.65	1.60	-4%	-10%	-20%
化工	凯赛生物	240	41.09	57.85	2.13	-4%	-13%	-8%
化工	富祥药业	47	8.53	-27.73	1.89	-4%	-10%	-10%
化工	华峰化学	371	7.48	14.67	1.45	-3%	4%	13%
化工	华恒生物	102	44.05	22.49	5.37	-3%	-24%	-42%
化工	圣泉集团	165	19.50	20.67	1.63	-3%	-7%	-4%
化工	雅本化学	49	5.13	-27.29	2.19	-2%	-10%	-17%
化工	元利科技	29	13.74	11.86	0.89	-2%	-5%	-15%
化工	苏州龙杰	16	7.48	40.76	1.29	-2%	-2%	-9%
化工	亚香股份	20	24.57	25.66	1.27	-1%	-5%	-15%
化工	中粮科技	93	5.01	-16.16	0.90	-1%	-6%	-16%
化工	联泓新科	184	13.78	52.52	2.56	-1%	-7%	-22%
化工	东方盛虹	545	8.25	241.04	1.57	3%	2%	-19%
化工、生物医药	巨子生物	393	39.90	25.7796	8.5796	-4%	-17%	-6%
化工、生物医药	锦波生物	148	167.10	41.30	14.02	-1%	9%	-4%
化工、食品	山东赫达	38	11.09	18.85	1.84	-4%	-14%	-28%
生物医药	贝瑞基因	26	7.37	-6.54	1.39	-2%	-1%	-38%
生物医药	诺禾致源	44	10.51	23.92	1.80	-2%	-9%	-35%
生物医药	莱茵生物	52	6.95	57.71	1.66	-2%	-1%	2%
生物医药	诺唯赞	82	20.40	-539.82	2.04	0%	1%	-17%
生物医药	华大基因	149	35.81	232.34	1.50	1%	-3%	-20%
生物医药	特宝生物	232	57.13	38.73	11.59	1%	0%	-13%
生物医药	康龙化成	321	20.01	24.11	2.85	2%	3%	-10%
生物医药	新和成	652	21.08	22.23	2.54	3%	10%	26%
生物医药	百济神州	1210	128.48	-28.61	7.33	5%	4%	-7%
食品、生物医药	美盈森	36	2.33	15.69	0.69	-5%	-5%	-21%
食品、生物医药	东方集团	34	0.93	-2.30	0.20	-4%	-24%	-45%
食品、生物医药	祖名股份	17	13.53	41.35	1.61	-3%	-11%	-22%
食品、生物医药	莲花健康	62	3.45	39.12	3.90	-3%	-5%	-32%
食品、生物医药	东宝生物	28	4.65	24.06	1.66	-3%	-7%	-10%
食品、生物医药	金字火腿	47	3.91	110.46	1.81	-2%	1%	-25%
食品、生物医药	保龄宝	23	6.19	38.09	1.17	0%	10%	-2%
食品、生物医药	华熙生物	291	60.50	45.86	4.11	0%	3%	1%
食品、生物医药	梅花生物	297	10.42	9.49	2.00	0%	2%	5%
食品、生物医药	安琪酵母	256	29.46	20.69	2.52	1%	1%	1%
食品、生物医药	双汇发展	838	24.19	17.33	3.79	2%	-3%	-13%
食品、生物医药	双塔食品	53	4.30	27.14	2.03	7%	3%	-1%

食品、生物医药	嘉必优	25	14.85	24.65	1.67	12%	6%	-2%
医药	康弘药业	193	21.04	16.99	2.37	-7%	-6%	21%
医药	翰宇药业	85	9.65	-15.59	11.40	-6%	-18%	-25%
医药	金城医药	55	14.41	26.66	1.48	-4%	-7%	-13%
医药	亿帆医药	150	12.20	-31.84	1.78	-2%	-4%	2%
医药	浙江震元	24	7.06	28.65	1.19	-1%	-4%	-13%
医药	科伦药业	513	32.03	19.23	2.30	-1%	2%	8%
医药	鲁抗医药	63	7.05	23.62	1.72	0%	-5%	10%
医药	健康元	198	10.58	13.97	1.39	0%	-12%	-7%
医药	丽珠集团	291	36.11	16.90	2.29	0%	-5%	-1%
医药	华北制药	78	4.55	442.99	1.46	1%	6%	-8%
医药	广济药业	18	5.11	-12.32	1.38	2%	0%	-17%
医药	普洛药业	163	13.97	15.41	2.53	3%	-3%	6%
医药	苑东生物	58	32.80	24.07	2.20	4%	-10%	-9%
医药	华东医药	517	29.48	17.56	2.36	6%	-1%	-9%
医药	爱博医疗	142	74.87	43.20	6.41	8%	2%	2%

注：收盘价截止日期为 2024 年 7 月 19 日

资料来源：同花顺 iFind，华安证券研究所

### 1.3 行业融资跟踪

合成生物学公司融资加速，泰楚生物、中博瑞康等陆续完成多轮融资。2024 年伊始，国内外已有近百家企业完成了新的融资。

近日，上海信级医药研发集团(简称“信级医药”)成功获得了美国高盛资本(Goldman Sachs)的 3500 万美元 Pre-A 轮融资。这次融资将为上海信级医药研发集团的发展提供强大的资金支持和战略合作伙伴。此次合作也表明了高盛资本对于上海信级医药研发集团在医药领域前景与潜力的认可。此前，上海生物研究院也对信级医药进行 1500 万美元天使轮注资。上海信级医药研发集团为上海生物研究院直属单位。此次注资将进一步加强上海信级医药研发集团在生物医药领域的研发实力和技术水平。上海生物研究院作为国内领先的生物科技研究机构成立上海信级医药研发集团为推动医药科技创新做出重要贡献。(资料来源：生命资本，华安证券研究所)

6 月 6 日，GSK 宣布以高达 5000 万美元（约 3900 万英镑）的价格收购了 Elsie Biotechnologies。此次收购使 GSK 整合了 Elsie 的寡核苷酸发现、合成和递送技术，以增强自身平台的研发能力。在此之前，GSK 曾于 2023 年 7 月与 Elsie 达成过研究合作。基于 Elsie 平台生成的数据，再结合 GSK 在人工智能和机器学习方面的专业知识，将支持未来寡核苷酸药物设计预测模型的开发。寡核苷酸具有调节基因表达的独特能力，使其成为解决传统小分子或生物制剂无法解决的很大一部分治疗靶点的有吸引力的方式。(资料来源：生命资本，华安证券研究所)

图表 6 2024 年行业公司融资动态

公司名称	融资时间	融资形式	融资规模	投资机构	公司简介
法伯新天	2024.5.11	A 轮	亿级人民币	鑿昊资本,财通资本	法伯新天成立于 2016 年,是一家专注于分子影像诊断及放射性药物治疗的创新型药物研发公司,同时拥有 PharmadaX® I 高效靶分子筛选和定点放射标记平台,及全球领先的近端治疗和免疫治疗相结合的 PharmadaX® II 平台,基于此建立了极具竞争力的差异化研发管线,产品覆盖诊断用药和治疗用药。
瑞初医药	2024.5.8	Pre-A 轮	1 亿人民币	龙磐投资,德联资本,鼎心资本	瑞初医药创立于 2021 年 6 月,围绕未被满足的临床需求,以独特的视角致力于开发靶向衰老机制“First-in-class”药物,预防、治疗和逆转衰老及衰老相关疾病。公司创始团队拥有十年以上衰老领域研究经验,数十年美中工业界新药研发管理经验,具备科学方向决策、快速推进研发及产品转化的核心能力。
君合盟	2024.5.8	B 轮	1 亿人民币	通化东宝	君合盟是一家专注于重组蛋白创新药物及合成生物学领域创新产品开发的,凭借多年的重组蛋白药物研发及产业化经验,实现了覆盖产品开发全流程的核心技术、平台、及人才的积淀,形成了一套完整的技术及产品开发体系。
爱思益普	2024.05.14	B++ 轮	未披露	亦庄国投、雅惠投资	北京爱思益普生物科技股份有限公司 2010 年成立,专注于从靶点发现验证、先导化合物筛选、优化到临床前候选分子阶段的创新药一体化生物学服务平台,在肿瘤,免疫,心血管,中枢神经系统等疾病领域的生物学和药理学研究技术,打造创新型 CRO+ 的探索者。

领博生物	2024.05.14	A+轮	未披露	天士力控股集团	再生修复材料与再生人工器官研发平台 致力于成为全球领先的组织再生修复与再生人工器官研发与制造的平台型企业。
全和诚	2024.05.13	Pre-B 轮	超亿人民币	聚能创投	天津全和诚科技有限责任公司成立于 2010 年 10 月，总部位于天津市滨海新区，现已发展成一家集基因检测核心原料和基因药物核心原料的研发、生产及技术服务一体化的国家级高新技术企业
品峰医疗	2024.05.10	B 轮	未披露	江阴高新金投、新国联集团	上海品峰医疗科技有限公司是一家定位于向国内外体外诊断市场提供优质智慧检验以及精准诊断解决方案，集自主研发、制造、营销和服务为一体的平台型公司，致力于以高品质的、具有前瞻性的产品解决当下诊断的痛点和难点。
优圣康	2024.06.25	A 轮	未披露	稳正资产	深圳市优圣康生物科技有限公司创立于 2015 年，是由中美科学家和企业家团队共同创办的生物高新技术企业。专注于体外分子诊断，集产品的研发、生产、营销和服务为一体，已建成分子诊断领域的完整产业链。已申报发明和实用新型专利 42 项，授权 28 项。主营业务包括体外诊断试剂、医疗检验分析仪、医学检测服务三大领域。公司体外诊断试剂产品基于基因检测、免疫检测和细胞学三大技术平台，涵盖肿瘤早期筛查、肿瘤个体化诊断、心血管和代谢疾病等领域。
微远生物	2024.06.27	天使轮	数千万人民币	未披露	杭州微远生物科技有限公司，是一家以酶的定向进化为技术基石，以多酶级联为技术特色，酶促反应和化学合成深度融合的合成生物学公司。致力于打造第一梯队的酶库银行，提供极具价格

					和品质优势的手性化合物、天然产物提取物和功能原料。
酶有科技	2024.06.28	天使轮	数千万人民币	线性资本、奇绩创坛、旦恩资本	<p>酶有科技创办于2023年3月，致力于通过建立蛋白质-核酸相互作用算法，设计酶分子机器高效合成DNA，可以低成本、大规模地从头合成基因，从而大量获得高质量的生物大分子数据，连接大模型与微观分子世界。目前全球市场上的酶法DNA合成公司主要是通过TdT酶主导的DNA合成方法，但居高不下的合成原料成本（如修饰核苷酸所用花费）成为了影响其商业化的重要原因。与现在主流酶法DNA合成公司不同的是，酶有科技通过运用AI技术从头设计全新的DNA合成酶，可以催化低成本的未修饰核苷酸，有望大幅降低DNA合成成本。酶法DNA合成不仅要解决合成方法的问题，也需要研发设备适配酶的反应体系，是一个很有挑战也很有壁垒的领域。</p>

资料来源：iFind，公司公告，公司网站，华安证券研究所

## 1.4 公司研发方向

### 国内公司

#### (1) 迦进生物加速抗体-小核酸偶联药物研发

迦进生物专注于药物偶联和递送技术，在国内率先开发抗体-小核酸偶联药物，填补了核酸药物肝外递送的空白，为一直以来“缺医少药”的神经肌肉疾病患者带来希望。此外，迦进生物的入脑多肽-Brainferry平台，有机会辅助包括小核酸在内的大分子药物突破血脑屏障，为更广泛的神经退行性疾病，如阿尔茨海默症，帕金森病的治疗带来变革。

（资料来源：公司公告，华安证券研究所）

### 国外公司

#### (2) SwanBio Therapeutics 推动 SBT101 的临床开发

近日，SwanBio Therapeutics 公司宣布完成 5600 万美元的 B 轮融资。融资获得基金将用于支持其主打在研基因疗法 SBT101 的临床开发，用于治疗肾上腺髓质神经病（AMN）。预计 SBT101 的 1/2 期临床试验将在今年下半年启动。此外，该公司还将继续开发针对脊髓相关疾病的基因疗法。AMN 是一种渐进性神经退行性疾病，由于 ABCD1 基因的突变导致脊髓细胞和其它组织的功能异常。患者症状包括成人活动能力丧失、疼痛、失禁和性功能障碍。目前没有获批治疗这一疾病的疗法，标准治疗局限于缓解症状。

（资料来源：公司公告，华安证券研究所）

### 1.5 行业科研动态

图表 7 行业科研进展汇总

涉及领域	日期	论文题目	作者	发布期刊	核心内容
免疫与肿瘤	2024/4/23	Immune-tumor interaction dictates spatially directed evolution of esophageal squamous cell carcinoma	詹启敏等	《National Science Review》	该研究基于多组学技术系统刻画了 ESCC 的空间异质性图谱，基于环境（饮酒）-微环境（免疫）-空间克隆进化（肿瘤）三者之间的交互作用，提出了肿瘤空间定向进化的新模式，同时鉴定到了一个新的食管鳞癌相关基因 PREX2，为阐明食管鳞癌的发病机制提供了新的见解。  （资料来源：National Science Review，华安证券研究所）
合成生物学	2024/6/22	Soma-Germline Communication Drives Sex Maintenance in the Drosophila Testis	马晴等	《National Science Review》	该研究利用果蝇精巢干细胞性别转变导致的雄性特异的生殖系统肿瘤模型，联合应用 scRNA-Seq 和 CUT&Tag 技术表明了成年果蝇体干细胞（Somatic cyst stem cells, CySCs）的性别维持（Sex maintenance）通过 Chinmo 蛋白的非编码突变介导的保守性别决定信号通路（Sex determination pathway）和胰岛素信号通路（Insulin signaling pathway）调控。该研究在单细胞水平解析了“性别开关”Chinmo 的非编码突变导致的果蝇精巢体干细胞雌性化的分子特征，揭示了体细胞-生殖细胞间通讯异常导致生殖细胞性别紊乱和肿瘤化的信号传导机制。该研究强调了干细胞性别不稳定性作为导致生殖系统肿瘤发生的新机制的潜在重要性，并为理解肿瘤发生和不孕症背后的复杂机制提供了新见解。

(资料来源: National Science Review, 华安证券研究所)

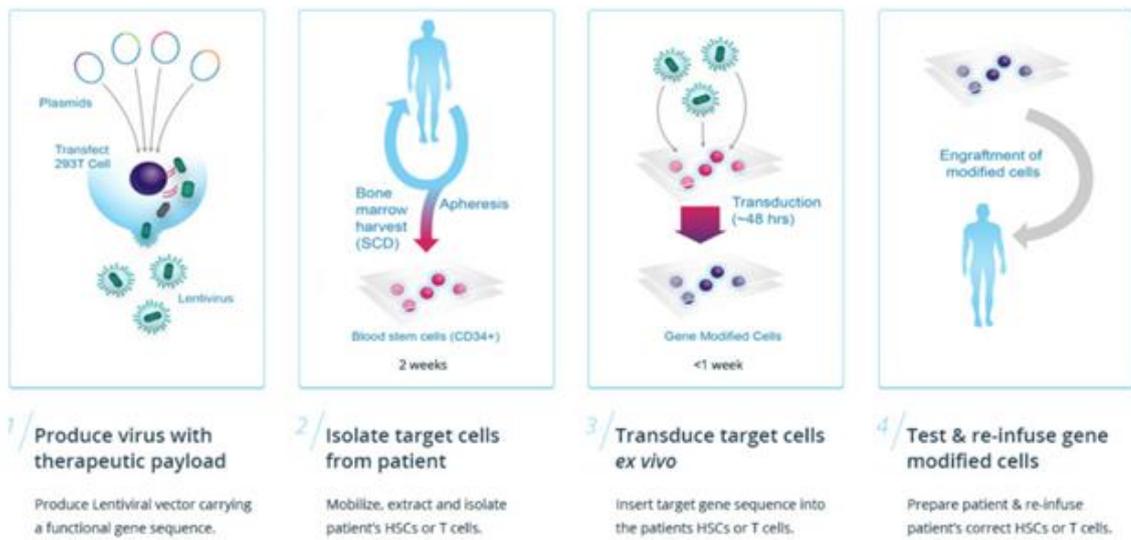
资料来源: Advanced Science, Nature, ACS, 华安证券研究所

## 2 周度公司研究:Bluebird Bio—在基因疗法的前沿飞翔

**Bluebird Bio** 是一家革命性的生物技术公司, 专注于开发基因疗法。美国 Bluebird Bio 公司 (简称 Bluebird), 总部位于马萨诸塞州剑桥, 成立于 2009 年, 是基因治疗领域的先驱, 也是罕见和严重遗传性疾病治疗的领导者。Bluebird 通过其先进的基因工程和载体技术, 为遗传性疾病和癌症的治疗提供了创新的解决方案。

**Bluebird Bio 独有的慢病毒载体技术是其核心竞争力。** 该技术能够有效地将校正或替换遗传缺陷的基因输送到患者的细胞中, 这在传统治疗方法中是极具挑战性的。利用专有的载体设计, **Bluebird** 能够在体内或体外进行高效的基因传递, 显著提高了治疗效果并减少了副作用。这种技术不仅推动了新产品的开发, 也促进了新疗法和新材料的发现。

图表 8 Bluebird Bio 独有的慢病毒载体技术用于基因治疗



资料来源: Bluebird Bio 官网, 华安证券研究所

**Bluebird Bio 依托其基因治疗平台, 开发了多种基因疗法应用。** 该公司的应用研究主要分为四大部分, 第一部分是针对遗传性血液疾病如  $\beta$ -地中海贫血和镰状细胞病的基因疗法; 第二部分是针对免疫缺陷疾病的治疗; 第三

部分是在肿瘤免疫疗法中的应用，例如通过基因疗法增强患者对抗癌症的能力；第四部分是神经肌肉疾病的治疗研发。

**Bluebird Bio 具有全球化的研发合作网络，同时保持了严格的科学研究和临床试验标准。**作为全球基因治疗领域的先锋之一，Bluebird 在欧洲、美国和亚洲设有多个研究基地和合作伙伴，每年投入大量资源用于基因疗法的创新和安全性评估。Bluebird 采用的先进基因载体技术确保了其治疗产品的高质量标准，每个基因疗法项目都经过详尽的临床前研究和多阶段临床试验。Bluebird Bio 已宣布成功完成多项国际合作和技术突破。最近一次的里程碑是与一家全球领先的生物制药公司合作，利用 Bluebird 的基因载体技术开发新型的体内基因编辑疗法。Bluebird Bio 旨在利用其革命性的基因治疗平台推动医疗保健领域的大跨步前进。

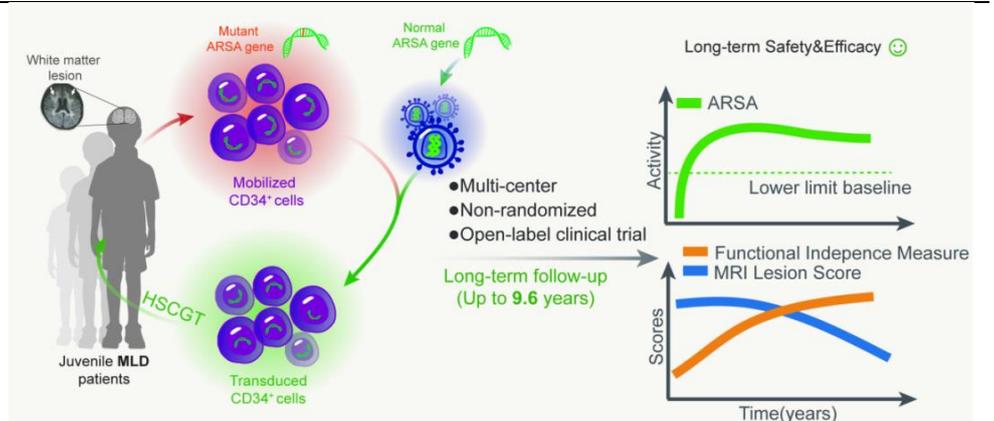
**Bluebird Bio 于 2014 年 7 月 1 日以 1.399 亿美元收购了 Pregenen。**Bluebird Bio 共获得六轮融资，筹集了 1.5 亿美元。

### 3 重点事件分析:亚洲首个应用造血干细胞基因治疗青少年型异染性脑白质营养不良患者的研究完成近 10 年随访

早在 2014 年，连祺周团队开创了亚洲首个造血干细胞基因疗法应用于有症状的青少年型 MLD 患者，并进行了一项多中心、单臂、开放临床试验（ClinicalTrials.gov ID: NCT02559830），通过分析治疗后短期和长期随访期间发生的不良事件以评估该疗法的长期安全性，通过 ARSA 活性检测、MRI 评分及神经功能评分等评估临床获益。

该项研究已经筛选了 6 例患者，并在持续开放入组。研究论文报道了入组前 3 名患者的临床特征以及分别随访了 4.5、6.9 及 9.6 年的安全性及有效性数据。安全性数据分析结果显示，患者接受治疗后的两个月内发生的不良事件主要为中性粒细胞减少症，与化疗清髓有关，经常规治疗在短期内好转。在长期随访中没有观察到 HSCGT 相关的不良事件，安全性良好。另外基因组整合效率评估结果显示，患者的造血干细胞以及外周血单个核细胞中均已整合正常功能的 ARSA 基因。研究团队特别关注了因慢病毒载体随机插入而诱发的突变以及致癌基因激活的风险。通过全基因组分析以及 PCR 检测，所有 890 个插入位点均分布在染色体上，没有聚集插入倾向，且大部分插入位点分布在基因内含子序列，只有 12 个插入位点分布在外显子、启动子以及 3'UTR 区域，致癌基因上没有发现任何插入位点。

图表 9 造血干细胞基因治疗发病后青少年型 MLD 患者的疗法概念图



资料来源：《Lentivirus-modified hematopoietic stem cell gene therapy for advanced symptomatic juvenile metachromatic leukodystrophy: A long-term follow-up pilot study》，华安证券研究所

有效性评估显示患者血清 ARSA 酶活性在接受 HSCGT 后明显提升并维持高于正常水平；与未接受 HSCGT 患者的自然病程相比，该研究患者在接受 HSCGT 后，颅脑核磁共振（MRI）评分有所改善且持续稳定，提示神经退行性变疾病的进展得以缓解；神经功能评分 GMFC-MLD 及 FIM 评分在治疗后得到改善，提示 HSCGT 治疗可改善患者日常生活自理能力。该项研究数据显示，研究团队采取的 HSCGT 疗法可提高已发病青少年型 MLD 患者的 ARSA 酶活性，缓解神经退行性疾病进展，提高患者日常生活自理能力，且安全性良好。该项研究在基因治疗遗传代谢性脑病领域实现了一个重要的里程碑，有力推动了我国细胞治疗和基因治疗技术的临床转化。

## 4 风险提示

政策扰动，技术扩散，新技术突破，全球知识产权争端，全球贸易争端，碳排放趋严带来抢上产能风险，原材料大幅下跌风险，经济大幅下滑风险。

## 重要声明

### 分析师声明

本报告署名分析师具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格，以勤勉的执业态度、专业审慎的研究方法，使用合法合规的信息，独立、客观地出具本报告，本报告所采用的数据和信息均来自市场公开信息，本人对这些信息的准确性或完整性不做任何保证，也不保证所包含的信息和建议不会发生任何变更。报告中的信息和意见仅供参考。本人过去不曾与、现在不与、未来也将不会因本报告中的具体推荐意见或观点而直接或间接接收任何形式的补偿，分析结论不受任何第三方的授意或影响，特此声明。

### 免责声明

华安证券股份有限公司经中国证券监督管理委员会批准，已具备证券投资咨询业务资格。本报告由华安证券股份有限公司在中华人民共和国（不包括香港、澳门、台湾）提供。本报告中的信息均来源于合规渠道，华安证券研究所力求准确、可靠，但对这些信息的准确性及完整性均不做任何保证。在任何情况下，本报告中的信息或表述的意见均不构成对任何人的投资建议。在任何情况下，本公司、本公司员工或者关联机构不承诺投资者一定获利，不与投资者分享投资收益，也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。投资者务必注意，其据此做出的任何投资决策与本公司、本公司员工或者关联机构无关。华安证券及其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并进行交易，还可能为这些公司提供投资银行服务或其他服务。

本报告仅向特定客户传送，未经华安证券研究所书面授权，本研究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。如欲引用或转载本文内容，务必联络华安证券研究所并获得许可，并需注明出处为华安证券研究所，且不得对本文进行有悖原意的引用和删改。如未经本公司授权，私自转载或者转发本报告，所引起的一切后果及法律责任由私自转载或转发者承担。本公司并保留追究其法律责任的权利。

## 投资评级说明

以本报告发布之日起 6 个月内，证券（或行业指数）相对于同期相关证券市场代表性指数的涨跌幅作为基准，A 股以沪深 300 指数为基准；新三板市场以三板成指（针对协议转让标的）或三板做市指数（针对做市转让标的）为基准；香港市场以恒生指数为基准；美国市场以纳斯达克指数或标普 500 指数为基准。定义如下：

### 行业评级体系

- 增持—未来 6 个月的投资收益率领先市场基准指数 5% 以上；
- 中性—未来 6 个月的投资收益率与市场基准指数的变动幅度相差 -5% 至 5%；
- 减持—未来 6 个月的投资收益率落后市场基准指数 5% 以上；

### 公司评级体系

- 买入—未来 6-12 个月的投资收益率领先市场基准指数 15% 以上；
- 增持—未来 6-12 个月的投资收益率领先市场基准指数 5% 至 15%；
- 中性—未来 6-12 个月的投资收益率与市场基准指数的变动幅度相差 -5% 至 5%；
- 减持—未来 6-12 个月的投资收益率落后市场基准指数 5% 至 15%；
- 卖出—未来 6-12 个月的投资收益率落后市场基准指数 15% 以上；
- 无评级—因无法获取必要的资料，或者公司面临无法预见结果的重大不确定性事件，或者其他原因，致使无法给出明确的投资评级。