

# NDA 落地在即， CXO 待飞； Wave、Kymera 一柱擎天， 小核酸、PROTAC 爆燃



## 分析师及联系人

分析师：赵海春

SAC: S1130514100001  
zhaohc@gjzq.com.cn

分析师：甘坛焕

SAC: S1130525060003  
gantanhuan@gjzq.com.cn

## 核心要点

### 产业前沿

(1) 前沿动向: CNS 新突破, Praxis T 型钙离子通道抑制剂 pre-NDA。12 月 4 日 Praxis 确认计划于 2026 年初提交用于治疗特发性震颤的药物 Ulixacaltamide (乌利沙卡胺) 的新药申请。(2) 监管动态: 中国医保新纪元, 首个商保创新药目录落地, 19 种药品被纳入。(3) 产业链: NDAA (国防授权法案) 落地, 未见生物技术关注公司 (BCC) 名单。地缘风险趋缓, CXO 待飞。

### 资本风向

(1) 核酸惊艳: INHBE 靶点数据惊艳, WAVE 暴涨 147%。12 月 8 日, Wave 发布了其 WVE-007 的首次人体试验 INLIGHT 中期数据的积极结果。这是一种采用 Wave 专有 SpiNA 设计的在研 INHBE GalNAc-siRNA (N-乙酰半乳糖胺缀合小干扰核糖核酸)。(2) PROTAC 崭露头角: STAT6 疗效堪比 Dupixent, Kymera 单日飞升 42%。12 月 8 日, Kymera 宣布其口服 STAT6 PROTAC 降解剂 KT-621 在治疗中至重度 AD 的 1b 期临床试验中取得积极结果。(3) 三靶齐发: 信达生物 IBI3003 亮相 ASH 2025, 进军 MM (多发性骨髓瘤) 市场。其双肿瘤靶向与 TCE (T 细胞衔接器) 创新结构, 被业内视为有潜力破解当前 MM 抗原逃逸与耐药难题, 可能为 MM 治疗带来新选项。

### 本周观点

新分子迭出, 广义竞品多维度角逐; NDAA 落地, CXO 上行确定。我们认为, 未来医药创新的竞争, 同种适应症领域, 创新药企将面临不同靶点、完全不同作用机制的诸多新一代广义竞品的竞争。正如, 信达生物的三抗分子已踏入与小分子、CAR-T (嵌合抗原受体 T 细胞) 等逐鹿的多发性骨髓瘤市场; 减肥领域, 已经从 Glp-1 (胰高血糖素样肽-1) 的单靶、多靶, 进入到与 ArtII (激活素 II 型受体)、INHBE 等完全不同靶点与机制创新分子的厮杀。同时, 由于地缘风险趋缓和创新需求暴增, CXO 行业的上行态势较为确定。

## 内容目录

一、产业前沿.....	3
前沿动向：CNS 新突破，Praxis T 型钙离子通道抑制剂 pre-NDA.....	3
监管动态：中国医保新纪元，首个商保创新药目录落地.....	6
产业链：NDAA 落地在即，地缘风险趋缓，CXO 待飞.....	7
二、资本风向.....	7
核酸再爆：INHBE 靶点再验证，数据惊艳，WAVE 暴涨 147%.....	7
PROTAC 崭露头角：STAT6 疗效堪比 Dupixent, Kymera 单日飞升 42% ....	12
三靶齐发：信达生物 IBI3003 亮相 ASH 2025，进军 MM 市场.....	12
三、本周观点.....	16
新分子迭出，广义竞品多维度角逐；NDAA 落地，CXO 上行确定.....	16
四、产业链数据更新.....	17
BD 交易持续，3 季度已达 34 起；辉瑞偏头痛新药，上市申请获受理.....	16
风险提示.....	20

## 图表目录

图表 1: Praxis 的 2 大平台和主要管线 .....	4
图表 2: 乌利沙卡胺治疗 ET 的作用机制.....	5
图表 3: 商业健康保险创新药品目录 (2025 年) .....	8
图表 4: WVE-007 INLIGHT 临床试验与司美和 Bima 的减脂数据对比 .....	12
图表 5: 沉默 INHBE 产生减脂保肌效果的作用机制.....	13
图表 6: 在 2 型炎症反应中 STAT6 与 IL4 等的作用机制 .....	15
图表 7: 信达生物 IBI3003 分子结构、作用机制及早期数据 .....	17
图表 8: 10-12 月国内新药申报上市情况 (截至 2015/12/5) .....	20
图表 9: 10-12 月医药跨国交易情况 (截至 2025/12/5) .....	20
图表 10: 10-12 月医药跨国交易情况 (截至 2025/12/5) .....	21

## 一、产业前沿

### 前沿动向： CNS 新突破，Praxis T 型钙离子通道抑制剂 pre-NDA

2025 年 12 月 4 日 Praxis 精准医药公司官网宣布，确认计划于 2026 年初提交用于治疗特发性震颤的药物 Ulixacaltamide（乌利沙卡胺）的新药申请。公司已成功完成与 FDA（美国食品药品监督管理局）的 pre-NDA（新药申请前）会议，并收到了 FDA 的书面反馈意见，同时还举行了面对面会议。Praxis 已就 NDA 的内容与 FDA 达成一致，预计将于 2026 年初完成 NDA 的提交。

■ Praxis 是一家临床阶段的 CNS（中枢神经系统）疾病的临床阶段生物制药公司，CNS 疾病的特征是神经元兴奋-抑制失衡。

✚ Praxis 有 2 个特色平台，小分子平台 Cerebrum™ 和 ASO（反义寡核苷酸）平台 Solidus™，结合对大脑中共同生物靶点和回路的理解，将遗传学见解应用于罕见病和常见神经系统疾病的发现和治疗方案的开发。公司已建立起多元化的多模式中枢神经系统产品组合，涵盖运动障碍和癫痫等多个项目，目前有四个处于临床阶段的候选产品（3 个治疗癫痫 1 个治疗特发性震颤，见下图）。

图表1: Praxis 的 2 大平台和主要管线

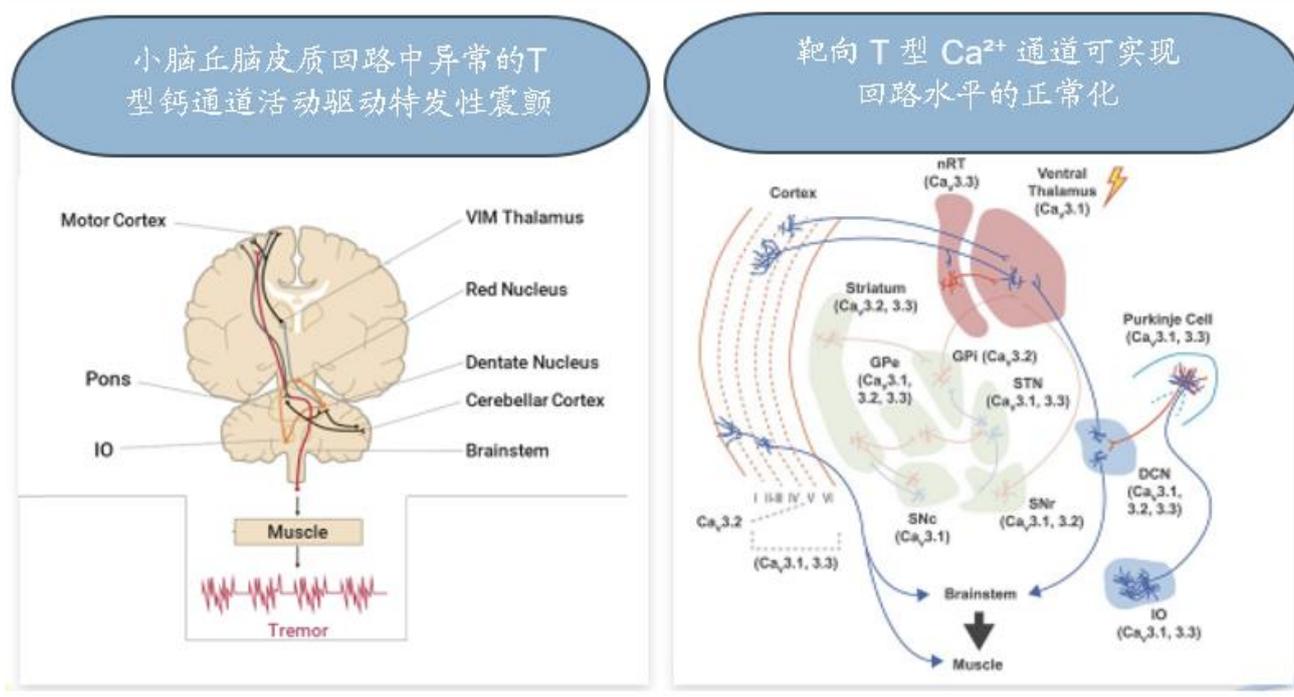
	PROGRAM	PRE CLINICAL	PHASE ONE	PHASE TWO	PHASE THREE	UPCOMING CATALYST
Cerebrum™ SMALL MOLECULE PLATFORM	<b>Vormatrigine Focal Onset Seizures &amp; Generalized Epilepsy</b>					
	EMPOWER observational study					Ongoing
	RADIANT Phase 2					Additional study results Q4 2025
	POWER1 Phase 2/3 registrational					Topline results in 1H 2026
	POWER2 Phase 3 registrational					Complete enrollment 2H 2026
	POWERS Monotherapy					Initiate 1H 2026
	<b>Relutrigine DEEs</b>					
	EMBOLD Cohort 2 SCN2A GoF and SCN8A					Interim analysis Q4 2025; 2026 NDA
	EMERALD Broad DEEs					Complete in 2H 2026
	PRAX-020 KCNT1*					
Solidus™ ASO PLATFORM	<b>Ulixacaltamide Essential Tremor</b>					
	ESSENTIAL3 Study 1 placebo controlled					Pre-NDA meeting with FDA Q4 2025
	ESSENTIAL3 Study 2 randomized withdrawal					
	<b>Elsunersen SCN2A GoF</b>					
	EMBRAVE Phase 1/2					Topline results in 1H 2026
	EMBRAVE3 registrational					Complete in 2026
PRAX-080 PCDH19					Candidate declaration 1H 2026	
PRAX-090 SYNGAP1					Candidate declaration 1H 2026	
PRAX-100 SCN2A LoF					Candidate declaration 1H 2026	

来源: Praxis 官网, 国金证券研究所

- 特发性震颤（也称原发性震颤）是最常见的运动障碍，仅在美国就有约 700 万人受其影响，这代表着数十亿美元的商业机会。原发性震颤的特征是上肢出现不自主的节律性运动，其他身体部位（如头部、声带或腿部）也可能出现震颤。这些震颤会严重影响日常生活，并且会逐渐加重，随着病程的进展，震颤的严重程度和幅度通常会增加。普萘洛尔是一种  $\beta$  受体阻滞剂，是目前唯一获批用于治疗原发性震颤的药物，但其疗效有限、耐受性差，并且对于相当一部分原发性震颤患者合并的其他疾病也是禁忌的。其他  $\beta$  受体阻滞剂和抗惊厥药物虽然也被用于治疗特发性震颤，但疗效和耐受性同样有限。绝大多数患者目前尚无有效的治疗方案，据估计，至少有 200 万患者正在寻求治疗。一项患者调查显示，高达 77% 的患者认为他们的特发性震颤（ET）症状控制不佳，高达 50% 的患者未接受治疗。同样，接受调查的美国神经科医生表示，他们接诊的患者中有 85% 是寻求治疗的，而 40% 的患者未接受任何治疗。

- 乌利沙卡胺是一种差异化且高选择性的 T 型钙通道小分子抑制剂，旨在阻断小脑-丘脑-皮质（CTC）回路中与震颤活动相关的异常神经元爆发性放电。乌利沙卡胺是 Praxis 公司 Cerebrum™ 小分子平台中进展最快的项目。

图表2：乌利沙卡胺治疗 ET 的作用机制



来源：Praxis 官网，国金证券研究所

- ✚ 2025 年 11 月 5 日公司官网发布季报业绩及管线进展，再次阐述了乌利沙卡胺 3 期临床（10 月首次发布）Essential 3 项目的积极结果和其他主要管线的进展。
- ✚ Essential 3 是首个获得 ET 药物三期临床试验阳性结果的项目。该试验于 2023 年 11 月启动招募阶段，超过 20 万名患者表示有兴趣参与研究，这凸显了该领域尚未满足的医疗需求以及巨大的市场潜力。
- ✚ 研究 1（安慰剂对照、平行组）达到了其主要终点和所有次要终点：

在研究 1 中，接受乌利沙卡胺治疗的患者在第 8 周时，改良日常生活活动 11 (mADL11) 评分较基线平均改善了 4.3 分

( $p < 0.0001$ )，这是预先设定的主要终点。mADL11 的改善最早在第 2 周就已观察到，并持续到第 12 周。所有关键次要终点均已达到，包括疾病改善率、PGI-C 和 CGI-S 在第 8 周显示，与安慰剂相比，乌利沙卡胺有统计学意义上的显著改善 ( $p < 0.001$ )。

✚ 研究 2 (随机研究) 达到了其主要终点和第一个次要终点：主要终点是维持疗效的患者百分比，乌利沙卡胺组有 55% 的患者维持了疗效，而安慰剂组有 33% 的患者维持了疗效 ( $p = 0.037$ )。在随机撤药期间，疾病改善率这一主要次要终点也显示，服用乌利沙卡胺的患者比服用安慰剂的患者疗效更佳 ( $p = 0.0042$ )。

✚ 此外，公司还有 3 个重要临床管线。Vormatrigine，用于 FOS (由即早基因 immediate-early gene 编码的一种核蛋白) 和全身性癫痫旨，这是一款钠通道调节剂，旨在精确靶向成人常见癫痫中钠通道的过度兴奋状态。Relutrigine (瑞鲁曲嗪)，用于治疗发育性和癫痫性脑病 (DEE)，这是公司的第二种钠通道调节剂。Elsunersen，是 Solidus™ 反义寡核苷酸 (ASO) 平台的一款产品，用于治疗早发性 SCN2A DEE。SCN2A GoF-DEE 是一种罕见的遗传性癫痫，其特征是早发性癫痫发作，并对发育造成严重影响。Elsunersen 目前正在两项注册研究中进行评估。EMBRAVE A 部分 1/2 期研究有望在 2026 年上半年公布主要结果。针对 SCN2A GoF-DEE 的

EMBRAVE 3 注册研究正在招募患者，预计将于 2026 年完成。

## 监管动态：中国医保新纪元，首个商保创新药目录落地

2025 年 12 月 7 日，国家医保局、人力资源社会保障部公布《国家基本医疗保险、生育保险和工伤保险药品目录（2025 年）》和《商业健康保险创新药品目录（2025 年）》，将于 2026 年 1 月 1 日起在全国范围内正式实施。

- 新版国家医保药品目录新增 114 种药品，其中 50 种 1 类创新药，调出了 29 种临床没有供应或可被其他药物更好替代的药品。调整后，目录内药品总数增至 3253 种，其中西药 1857 种、中成药 1396 种，肿瘤、慢性病、精神疾病、罕见病、儿童用药等重点领域的保障水平得到明显提升。
- 首版商保创新药目录共纳入 19 种药品，与基本医保形成较好的互补衔接，也为推动商保与基本医保错位发展、建立多层次医疗保障体系奠定基础。
  - 创新品类众多，角逐激烈。本次商保申报的品种总数高达 121 个，最终进入谈判环节的仅有 24 个，被成功纳入商保目录的有 19 个，涉及 18 家企业。该目录不仅包含神经母细胞瘤、戈谢病等罕见病治疗方案，还覆盖了临床需求亟需满足的阿尔茨海默病、多发性骨髓瘤、肝癌、短肠综合征等疾病领域的创新药。

图表3: 商业健康保险创新药品目录 (2025年)

序号	药品名称	企业	适应症	靶点	技术类型	国产/进口
1	纳基奥仑赛注射液	合源生物	复发或难治性 B 细胞急性淋巴细胞白血病	CD19	CAR-T	国产
2	伊基奥仑赛注射液	驯鹿生物	复发或难治性多发性骨髓瘤	BCMA	CAR-T	国产
3	泽沃基奥仑赛注射液	恺兴生命科技	复发或难治性多发性骨髓瘤	BCMA	CAR-T	国产
4	阿基仑赛注射液	复星凯瑞	成人 B 细胞淋巴瘤	CD19	CAR-T	国产
5	瑞基奥仑赛注射液	药明巨诺	复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤, 滤泡性淋巴瘤, 复发或难治性套细胞淋巴瘤	CD19	CAR-T	国产
6	多奈单抗注射液	礼来制药	阿尔茨海默病	pE3Aβ	单抗	进口
7	仑卡奈单抗注射液	卫材药业	阿尔茨海默病	Aβ	单抗	进口
8	伊匹木单抗注射液	百时美施贵宝制药	肝细胞癌, 结直肠癌, 恶性胸膜间皮瘤	CTLA4	单抗	进口
9	那西妥单抗注射液	赛生药业/Y-mAbs	复发性或难治性高危神经母细胞瘤的儿童或成人	GD2	单抗	进口
10	达妥昔单抗 β 注射液	百济神州 / Recordati Netherlands B.V.	≥ 12 月龄的高危神经母细胞瘤患者, 复发性或难治性神经母细胞瘤	GD2	单抗	进口
11	注射用替度格鲁肽	武田	短肠综合征, 成人和 1 岁及以上儿童	GLP2R	多肽	进口
12	甲苯磺酰胺注射液	天津红日健达康	中央型非小细胞肺癌	-	化药	国产
13	氢溴酸他泽司他片	和记黄埔 / Epizyme,	EZH2 突变阳性复发或难治性滤泡性淋巴瘤	EZH2	化药	进口
14	盐酸沙丙蝶呤片	山东新时代	高苯丙氨酸血症, 成人及 4 岁以上儿童	PAH	化药	国产
15	注射用芦比替定	绿叶制药 / PharmaMar AG	转移性小细胞肺癌	DNA minor groove	化药	进口
16	注射用维拉昔酶 β	北海康成	12 岁及以上青少年和成人 I 型和 III 型戈谢病患者	GBA	酶	国产
17	塔奎妥单抗注射液	强生	复发或难治性多发性骨髓瘤	CD3, GPRC5D	双抗	进口
18	注射用泽尼达妥单抗	百济神州	晚期或转移性胆道癌	HER2	双抗	国产
19	埃纳妥单抗注射液	辉瑞制药	复发或难治性多发性骨髓瘤	BCMA, CD3	双抗	进口

来源: 国家医保局官网, Insight, 国金证券研究所

从药物类型来看, 进口药和国产药相当, 分别有 10 款和 9 款, 其中他泽司他、芦比替定、那西妥单抗、达妥昔单抗 β 分别是和记黄埔、绿叶制药、赛生药业和百济神州从海外引进的。

从技术类型来看, 此次被纳入商保目录的有 5 款 CAR-T、5 款单抗、4 款化药、3 款双抗、1 款多肽和 1 款重组酶。前沿创新技术类的 CAR-T 疗法, 根据 insight 数据显示, 据此前挂网价, 这 5 款 CAR-T 每针的价格在 99 万-129 万之间 (此次降价幅度尚未公布)。我们认为,

纳入商保后，更多前沿创新疗法将有望提升其市场渗透率，同时促进创新药产业加速发展。

## 产业链：NDAA 落地，地缘风险趋缓，CXO 待飞

时事变迁，地缘趋暖。2025 年 12 月 9 日，美国政府/国会公布该年度 NDAA（国防授权法案）最终协商文本，并对外发布。最终文本中，并未在正文中列出任何具体公司名单，而是设立由国防部 (DoD) 与预算管理办公室(OMB) 后续认定“生物技术关注公司 (BCC)”的机制。公开文档里目前没有任何公司（包括 WuXi AppTec / WuXi Biologics）被确认列入该名单，因此暂时不构成对这些公司的联邦合同 / 采购禁令。回顾近年来美国生物安全法案历史，我们可以明确看到 CXO（医药研发/生产服务外包）行业地缘风险趋缓的态势。我们认为，随着包括中国在内的全球医药创新需求的爆发，CXO 行业及赛道龙头的成长确定性将获进一步夯实。

- 2024 年 5 月，美国众议院曾推动一项单独法案 Biosecure Act (H.R.8333 / H.R.7085 等版本)，拟对包括 WuXi AppTec（药明康德）、WuXi Biologics、BGI Group / MGI Tech、Complete Genomics 等中国生物技术 / CRO / CDMO 公司列入“关注公司名单 (biotechnology companies of concern, BCC)”，并禁止美国联邦机构及其承包商采购或使用这些公司的生物技术设备或服务。该法案在 2024 年 9 月 9 日众议院表决通过（306 票支持，81 票反对）。
  - 但到 2024 年底，当议会尝试将 Biosecure Act “搭便车”加入当年的 National Defense Authorization Act for Fiscal Year 2025 (2025 NDAA)

时，该附案最终未被参议院采纳。换言之，2025 年 NDAA 的最终协议文本中没有包含对 Biosecure Act 的任何条款。

- 2025 年 7 月 31 日，参议员联合提出修订版 Biosecure Act 作为 S.2296 的修正案 (即 “S.Amdt.3236”)。该修正案被写入 2026 财年 National Defense Authorization Act for Fiscal Year 2026 (2026 NDAA) 的参议院版本。
  - 2025 年 10 月 9 日，美国参议院以 77-20 投票通过 S.2296，将包含生物技术限制条款 (即修正案 S.Amdt.3841, prohibit contracting with certain biotechnology providers) 纳入 FY2026 NDAA。
  - 关键变化是：与 2024 年版本不同，最新版 (2025 提交 / 2026 NDAA 中) 的 Biosecure 修正案不再在法案中 “直接点名” 任何公司，相反，它设立了一套行政认定机制来决定哪些公司属于 BCC。风险格局发生了显著变化。

## 二、资本风向

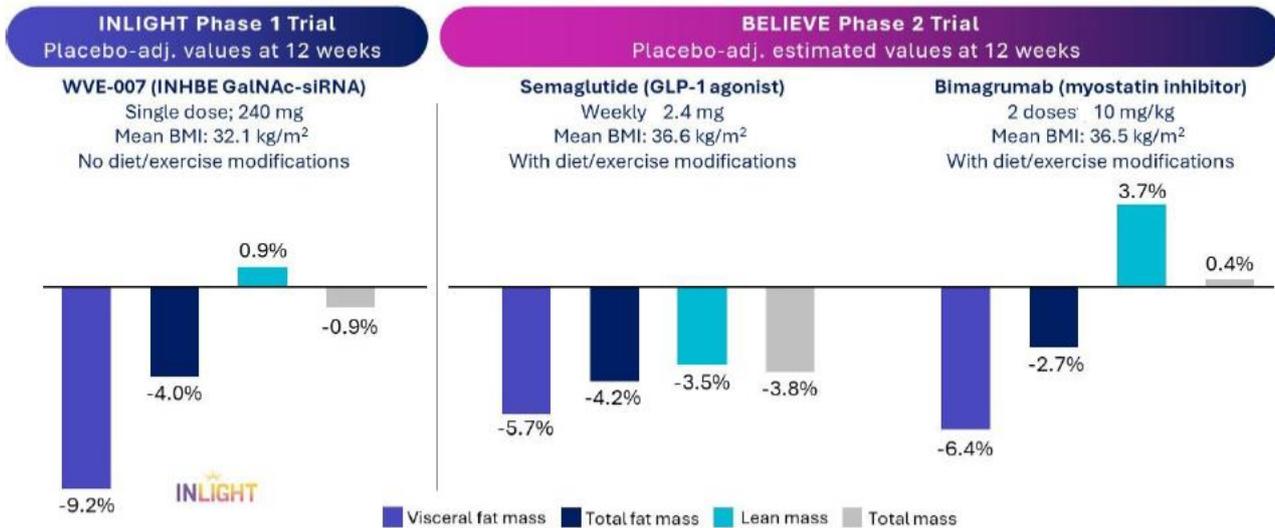
### 核酸再爆，INHBE 靶点数据惊艳，WAVE 暴涨 147%

2025 年 12 月 8 日，Wave 生命科学公司在官网发布了其正在进行的首次人体试验 INLIGHT 中期数据的积极结果。这项临床试验用以评估 WVE-007 治疗肥胖症的疗效，这是一种采用 Wave 专有 SpiNA (立体纯干扰核酸) 设计的在研 INHBE (抑素  $\beta$ -E) GalNAc-siRNA (N-乙酰半乳糖胺缀合小干扰核糖核酸)。由于该临床试验的减脂保肌效果惊艳，公司股价 (纳斯达克股票代码 WVE.O) 当日暴涨 147%。

- 根据公司官网新闻稿，此次中期数据显示，单次 240 毫克剂量的 WVE-007 可改善受试者的身体成分，表现为三个月时总脂肪量和内脏脂肪量减少，以及瘦体重增加。此外，该药物还具有良好的安全性，并能持久降低血清激活素 E 水平，支持每年一次或两次给药方案。
- INLIGHT 临床试验是一项随机、安慰剂对照（3:1）的 I 期研究，受试者为超重或肥胖的健康个体，其体重指数 (BMI) 介于 28 至 35 kg/m<sup>2</sup> 之间，糖化血红蛋白 (HbA1c) 低于 5.9%。该研究不涉及任何饮食或运动方面的调整。截至数据截止日期，INLIGHT 已招募超过 100 名受试者。本次更新的数据包括 32 名受试者（平均基线 BMI 约为 32 kg/m<sup>2</sup>）接受单次皮下注射 240 mg 剂量治疗后的三个月随访结果。报告的结果来自预先设定的统计分析计划。数据显示，单次 240 mg 皮下注射后，三个月（约 12 周）内受试者内脏脂肪 (visceral fat) 减少约 9.4%，总体脂肪 (total body fat) 减少约 4.5%，瘦体重 (lean mass) 升高约 3.2%。
- ✚ 下图展示了 WVE-007 与司美格鲁肽和 Bimagrumab 的非头对头数据显示，前者 12 周减脂效果与后者相近而瘦体重减少却胜出较多。与基线相比，单次注射 WVE-007 可改善身体成分，在第 85 天通过双能 X 射线吸收法 (DEXA) 扫描测得，内脏脂肪减少了 9.4% (p = 0.02)，全身脂肪减少了 4.5% (3.5 磅; p=0.07)，瘦体重增加了 3.2% (4.0 磅; p=0.01)。安慰剂组的这些参数与基线相比未观察到统计学意义上的显著变化（内脏脂肪减少了 0.2%，全身脂肪减少了 0.5%，瘦体重增加了 2.3%）。从体重（或总体重）变化的角度来看，在本研究人群的中期评估中，全身脂肪的减少被瘦体重（主要由肌肉组成）的增

加所抵消。在调整安慰剂后，单剂量 WVE-007 可使内脏脂肪减少 9.2%，总脂肪量减少 4.0%，瘦体重增加 0.9%，总质量较基线下降 0.9%（通过 DEXA 测量）。

图表 4: WVE-007 INLIGHT 临床试验与司美和 Bima 的减脂数据对比



来源: Wave 官网, 国金证券研究所 注: 此处的 9.2% 可能有误, 公司发布的 INLIGHT 临床数据文字和其他 PPT 的图表显示减少 9.4%

图表 2: WVE-007 INLIGHT 临床试验与司美和 Bima 的减脂数据对比



来源: Wave 官网, 国金证券研究所

✚ 在所有受试者中均观察到血清激活素 E 水平持续稳定降低, 这支持了 WVE-007 每年一次或两次给药的潜力。单次服用 240 毫克后 43 天, 血清激活素 E 水平最大降低幅度达 78%。平均降低幅度超过 75% 的

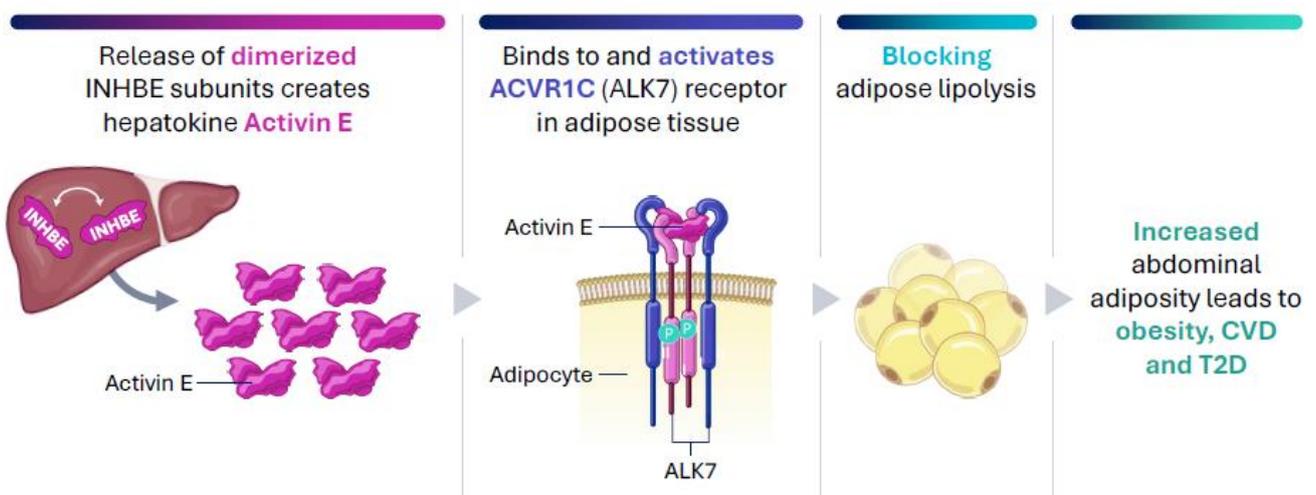
现象至少持续到第 85 天，即当前数据截止日。

- 截至公司公告日，WVE-007 的总体安全性和耐受性良好，剂量最高达 600 mg。未发生停药，也未出现严重或危及生命的治疗期间出现的不良事件 (TEAE)。所有 TEAE 均为轻度或中度，所有治疗相关不良事件均为轻度。临床实验室指标（包括血脂谱和肝功能检查）均未出现具有临床意义的变化。

这些结果进一步丰富了支持沉默 INHBE 及其下游蛋白产物（激活素 E）作为肥胖症治疗方法的数据，并得到了来自人类遗传学的有力证据支持。携带 INHBE 基因一个拷贝中保护性功能缺失变异的个体，其身体成分和心血管代谢状况更健康，包括内脏脂肪较少，以及罹患 2 型糖尿病和心血管疾病的风险较低。值得注意的是，内脏脂肪本身与多种疾病密切相关，包括心血管代谢紊乱。

下图展示了 INHBE 靶点被沉默后起到降脂保肌过程的作用机制。

图表 5: 沉默 INHBE 产生减脂保肌效果的作用机制



来源: Wave 官网, 国金证券研究所

- 公司官网引用其总裁兼首席执行官保罗·博尔诺医学博士的话，WVE-007

在改变肥胖症治疗模式方面的巨大潜力，它解决了 GLP-1 类药物最大的几个缺点：以牺牲肌肉为代价的脂肪减少、耐受性差（包括胃肠道和其他副作用）以及频繁给药。在仅使用最低单次治疗剂量 WVE-007 三个月后，可以观察到的脂肪减少效果超出预期，与 GLP-1 类药物相当，但是没有 GLP-1 类药物常见的肌肉流失，同时还展现出令人信服的安全性和耐受性。它可以为超过 10 亿肥胖症患者提供有意义的治疗，可作为每年一次或两次的单药疗法、肠促胰素的附加疗法或肠促胰素治疗后的维持疗法，目前正在计划在 these 情况下开展 2 期试验。”

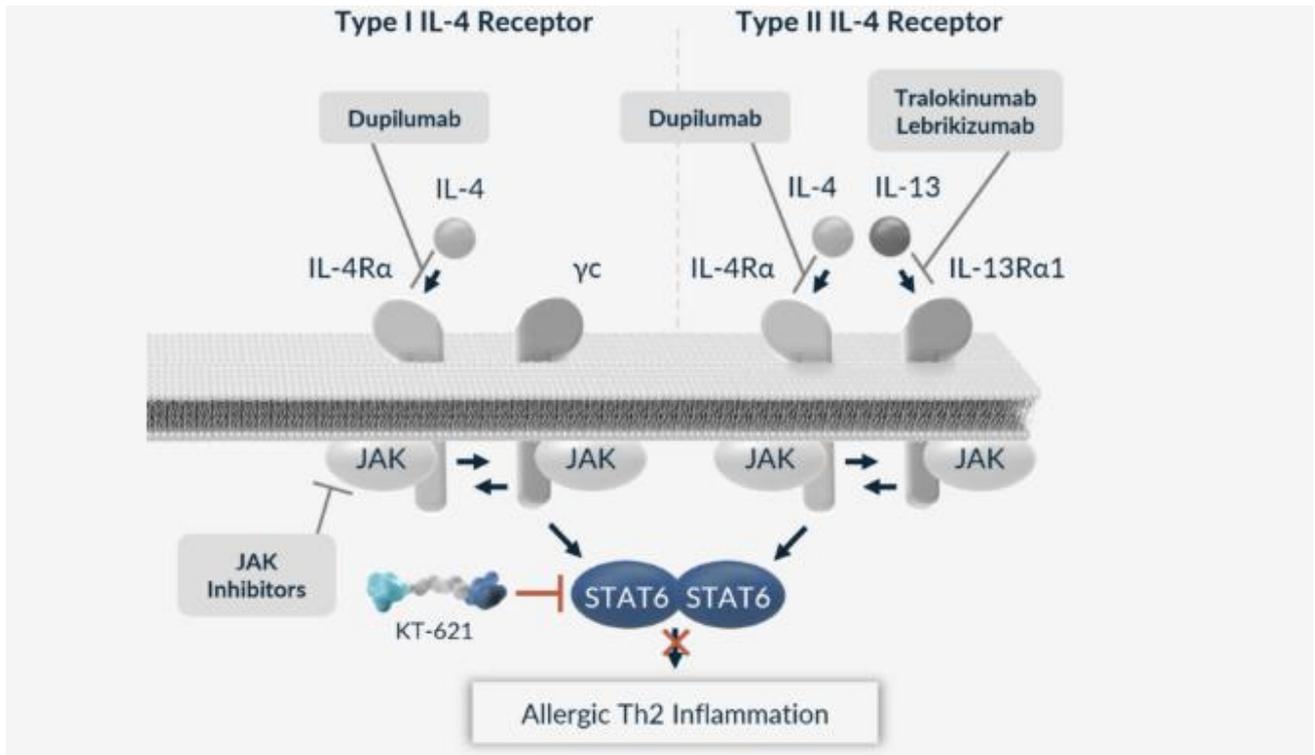
## PROTAC 崭露头角：STAT6 疗效堪比 Dupixent, Kymera 单日飞升 42%

2025 年 12 月 8 日，Kymera Therapeutics 在其官网宣布，其口服 STAT6（信号转导子和转录激活子 6）降解剂 KT-621 在治疗中至重度 AD（特应性皮炎）的 1b 期 (BroADen) 临床试验中取得积极结果。由于这一结果既展示了 PROTAC（蛋白降解靶向嵌合体）技术在人体中对 STAT6 的深度靶向与降解能力，也意味着一种每日一次口服、可替代注射生物药（如 Dupilumab）的潜力。消息公布当日，Kymera 股价飞涨 42%。

- KT-621 的 BroADen 1b 期临床试验是一项开放标签、单臂研究，纳入了 22 名中重度特应性皮炎（AD）患者，分为两个剂量组（分两个连续队列入组），剂量选择基于 KT-621 1a 期健康志愿者研究的结果。10 名受试者每日一次接受 100 mg KT-621 治疗，12 名受试者每日一次接受 200 mg KT-621 治疗，疗程 28 天，随后进行 14 天的随访。该研究的主要目标是评估 KT-621 的安全性和耐受性，并证明 KT-621 能够显著降解血液和皮肤中的

STAT6，从而在给药 4 周后，使循环系统中多种 2 型炎症生物标志物以及活动性 AD 皮损的转录组水平达到与 Dupixent（度普利尤单抗）类似的降低效果。该研究还探讨了 KT-621 对临床活动度和疾病负担终点的影响。

图表 6：在 2 型炎症反应中 STAT6 与 IL4 等的作用机制



来源：Kymera 官网，国金证券研究所

- 在所测试的 100 mg 与 200 mg 剂量组，28 天给药后皮肤中 STAT6 水平中位降幅达 94%，血液中降幅达 98%，伴随典型炎症与免疫标志物（如 TARC）显著下降；EASI 评分（湿疹面积和严重程度指数）平均下降约 63%，瘙痒（pruritus）评分也大幅改善，且未见严重不良事件。
- KT-621 显著降低了血液中与疾病相关的 2 型生物标志物，包括 TARC（基线 TARC 水平与度普利尤单抗 AD 研究相当的患者中位降低 74%）、嗜酸性粒细胞趋化因子-3、IL-31、IgE，以及皮肤病变中与 2 型炎症和 AD 疾病相关的核心基因集。

- ✚ 在所有测量的疾病终点指标中均观察到显著的临床疗效，包括所有患者 EASI 评分平均降低 63%，以及瘙痒峰值 NRS 评分平均降低 40%。
- ✚ 合并哮喘的患者呼出气一氧化氮（FeNO）水平中位数降低了 56%，哮喘控制情况显著改善；合并过敏性鼻炎的患者症状和生活质量均得到显著改善。
- ✚ KT-621 耐受性良好，未发生严重不良事件、治疗相关不良事件，未报告结膜炎病例，生命体征、实验室检查或心电图也未出现具有临床意义的变化。
- ✚ KT-621 BROADEN2 针对中重度特应性皮炎的 IIb 期试验正在进行中，预计将于 2027 年年中获得数据；针对中重度哮喘患者的 IIb 期 BREADTH 试验按计划将于 2026 年第一季度启动。

### 三靶齐发：信达生物 IBI3003 亮相 ASH 2025，进军 MM 市场

2025 年 12 月 8 日，第 67 届 ASH（美国血液病学会年会）上，信达生物公布了其自主研发的新型三特异性抗体 IBI3003 用于复发或难治性多发性骨髓瘤（R/R MM）的首次人体（Phase 1）试验初步数据。IBI3003 既展现出可控安全性，也在高危患者及既往接受过 BCMA 或 GPRC5D 靶向治疗者中均观察到明确的肿瘤响应信号。这一三靶加 T 细胞重定向（T-cell engager）的创新设计，被业内视为有潜力破解当前 MM 抗原逃逸与耐药难题，可能为 MM 治疗带来新选项。

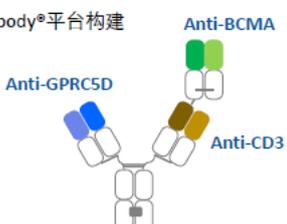
■ IBI3003 是一种新型三特异性抗体，可同时靶向 GPRC5D（G 蛋白偶联受体 C 类 5 成员 D）、BCMA（B 细胞成熟抗原）和 CD3（分化抗原 3，是 T 细胞受体的重要组成部分）。其针对 BCMA 和 GPRC5D 的双靶点设计旨在克服多发性骨髓瘤（MM）的单抗原逃逸。在临床前研究中，IBI3003 在小鼠模型中展现出优于已上市的基准双特异性抗体的体内抗肿瘤活性，尤其在 BCMA 和 GPRC5D 低表达的体外细胞模型中表现出显著的肿瘤杀伤效果。目前，信达生物正在中国和澳大利亚开展 IBI3003 的 I/II 期临床试验（NCT06083207），以评估其在复发/难治性多发性骨髓瘤（R/R MM）患者中的安全性、耐受性和有效性。

图表 7：信达生物 IBI3003 分子结构、作用机制及早期数据

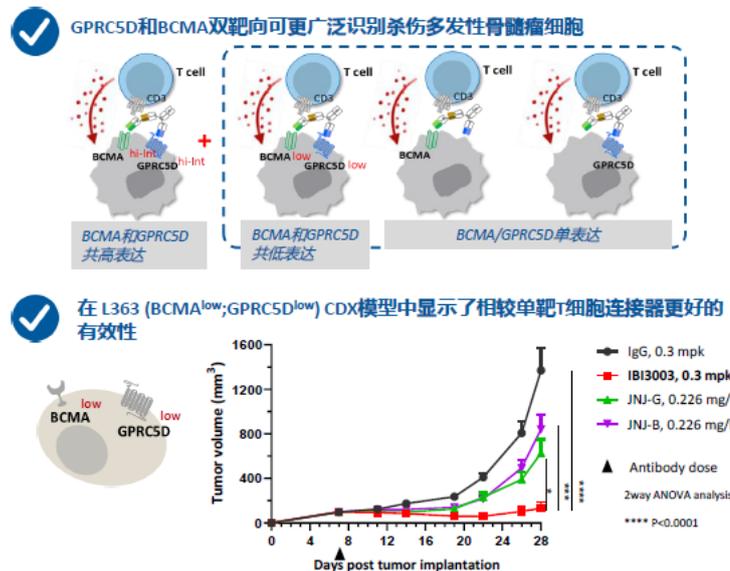
### IBI3003 (GPRC5D/BCMA/CD3) 潜在同类最优三抗针对复发难治多发性骨髓瘤

I/O

IBI3003  
自有 Sanbody® 平台构建



- 同时靶向 GPRC5D 和 BCMA 两个多发性骨髓瘤相关抗原以达到更好响应
- 可潜在克服抗原逃逸与低表达
- IBI3003 与 Talquetamab (GPRC5DxCD3) 或 Teclistamab (BCMAxCD3) 相比，在 CDX 模型中耐受性可比，但疗效更强
- 1 期临床剂量递增正在进行中



来源：信达生物官网，国金证券研究所

■ 该研究的第一阶段纳入了符合条件的复发/难治性多发性骨髓瘤（R/R MM）患者，这些患者此前接受过至少两线抗骨髓瘤治疗失败，且至少接受过一种蛋白酶体抑制剂（PI）、一种免疫调节药物（IMiD）和一种

抗 CD38 单克隆抗体 (mAb) 治疗；并且必须对最后一次抗骨髓瘤治疗方案复发或耐药。允许患者既往接受过 BCMA 或 GPRC5D 靶向治疗。

- IBI3003 每周皮下注射一次 (QW)。对于接受连续治疗  $\geq 6$  个月且达到部分缓解 (PR) 或更佳疗效  $\geq 2$  个月的患者，可改为每两周一次 (Q2W) 维持治疗。为降低细胞因子释放综合征 (CRS) 的风险，研究方案中包含 1 至 3 次启动剂量。
- 本阶段研究在中国和澳大利亚共纳入 39 例患者，剂量范围为 0.1  $\mu\text{g}/\text{kg}$  至 800  $\mu\text{g}/\text{kg}$ 。患者中位年龄为 62 岁 (范围：40-79 岁)，其中 64.1% 的患者根据 mSMART 标准被归类为高危人群，46.2% 的患者存在  $\geq 1$  个 EMD。既往治疗方案的中位数为 4 线 (范围：1-10 线)。所有患者均接受过至少三类药物 (蛋白酶体抑制剂、免疫调节剂和抗 CD38 抗体) 治疗，51.3% 的患者接受过至少五类药物治疗 (至少 2 种蛋白酶体抑制剂、2 种免疫调节剂和 1 种抗 CD38 抗体)，41% 的患者既往接受过抗 BCMA 和/或抗 GPRC5D 治疗，76.9% 的患者对末次治疗无效。截至 2025 年 11 月 7 日的数据截止日期，中位随访时间为 3.25 个月 (范围：0.4-7.4 个月)，中位治疗时间为 12.14 周 (范围：1.0-33.0 周)。

### 三、本周观点

**新分子迭出，广义竞品多维度角逐；NDAA 落地，CXO 上行确定**

综上全球产业动态与资本市场表现，我们认为，未来医药创新的竞争，不局限在

同靶点同类分子的最优与速度的比拼；同种适应症领域，创新药企将面临不同靶点、完全不同作用机制的诸多新一代广义竞品的竞争。正如，以抗肿瘤创新崛起的信达生物，其创新三抗分子已踏入与小分子、CAR-T（嵌合抗原受体 T 细胞）等逐鹿的多发性骨髓瘤市场；减肥领域，已经从 Glp-1（胰高血糖素样肽-1）的单靶、双靶、多靶再到皮下与口服的竞争，进入到与 ArtII（激活素 II 型受体）、INHBE 等完全不同靶点与机制创新分子的厮杀。因此，企业立项与资本布局的切入点，将不只局限于临床可见的管线格局，还将基于其对适应症领域科技进展的趋势预判。同时，我们认为，由于地缘风险趋缓和创新需求暴增，CXO 行业的上行态势较为确定。

#### 四、产业链数据更新

##### BD 交易持续，3 季度已达 34 起；辉瑞偏头痛新药，上市申请获受理

2025/10/01-2025/12/05 期间，共计 11 款新药获 CDE（国家药监局药审中心）批准上市，其中 6 款为国产药物，5 款进口药物。同时，共有 16 款创新药申报 NDA（新药上市申请），其中 10 款为国产药物，6 款为进口药物。

- 根据 Insight 数据库统计，10 月以来，共 34 个创新药相关跨国交易，涵盖授权/许可、合作、期权等不同形式。
- 2025 年 12 月 4 日，CDE 官网显示，辉瑞的扎维吉泮鼻喷雾剂上市申请获受理，用于治疗成人偏头痛。
  - 根据辉瑞官网，Zavegepant 是一种第三代高亲和力、选择性和结构独特的 CGRP 受体小分子拮抗剂，也是目前唯一一种同时具有鼻内和口服制剂的临床开发中的 CGRP（降钙素基因相关肽）受体拮抗剂。

- 在关键性 3 期临床研究中，ZAVZPRET 在给药后两小时的疼痛缓解和最困扰症状缓解这两个共同主要终点方面，均显著优于安慰剂。该关键性研究还显示，在预设的次要终点方面，ZAVZPRET 在给药后 15 分钟即可达到镇痛效果。
- 根据辉瑞官网数据，美国约有 4000 万人患有偏头痛，世界卫生组织将偏头痛列为全球第二大致残原因。偏头痛的特征是持续 4 至 72 小时的剧烈发作，伴有多种症状，包括中度至重度搏动性头痛，常伴有恶心或呕吐，和/或畏声（恐声）和畏光（畏光）。

图表 8: 10-12 月国内新药获批上市情况 (截至 2025/12/5)

通用名	靶点	厂家	适应症 (按项目) 国内状态	国产/进口	获批日期	注册分类 (CDE)
博度曲妥珠单抗	HER2	科伦博泰	HER2阳性乳腺癌	国产	2025/10/14	1
瑞美吡啶	-	MediBeacon	肾脏病 (荧光造影)	国产	2025/10/14	1
那米司特	PDE4B	BI	特发性肺纤维化	进口	2025/10/21	1
维贝柯妥塔单抗	EGFR	乐普生物	鼻咽癌	国产	2025/10/28	1
镱[177Lu]-特昔维匹肽	PSMA	诺华	去势抵抗性前列腺癌	进口	2025/11/5	1
奥格特韦钠	3CLpro/CTSL	艾森药业	2019冠状病毒感染	进口	2025/11/5	1
普基仑赛	CD19	精准生物	B细胞急性淋巴细胞白血病	国产	2025/11/7	1
维派那肽	GLP1R	派格生物	2型糖尿病	国产	2025/11/12	1
马塔西单抗	TFPI	Pfizer	A/B型血友病	进口	2025/11/21	1
瑞米布替尼	BTK	Novartis	慢性自发性荨麻疹	进口	2025/11/25	1

来源: Insight, 国金证券研究所

**图表 9：10-12 月国内新药申报上市情况（截至 2015/12/5）**

通用名	厂家	靶点	CDE 承办时间	受理号适应症	注册分类	国产/进口
瑞西奇单抗注射液	华海药业	IL36R	2025-10-01	泛发性脓疱型银屑病	1	国产
注射用E型肉毒毒素	艾伯维	RHOB,SNAP25	2025-10-13	面部皱纹	1	进口
依达格鲁肽 $\alpha$ 注射液	石药集团	GLP1R	2025-10-14	肥胖	1	国产
德戈替尼乳膏	Leo Pharma	JAK	2025-10-16	慢性手部湿疹	5.1	进口
MY008211A片	启瑞药业	CFB	2025-10-18	阵发性睡眠性血红蛋白尿症	1	国产
索特替尼片	首药控股	RET	2025-10-22	非小细胞肺癌	1	国产
HS-10365胶囊	翰森制药	RET	2025-10-22	非小细胞肺癌	1	国产
柯美奇单抗注射液	麦济生物	IL-4R $\alpha$	2025-10-30	特应性皮炎	1	国产
阴道用卷曲乳杆菌活菌胶囊	欧赛微科生物	-	2025-11-01	抗感染药物,生殖系统药物和性	1	国产
氟[18F]贝他苯注射液	先通医药	A $\beta$	2025-11-04	医学影像学药物	1	国产
司拉德帕胶囊	吉利德	PPAR $\delta$	2025-11-12	原发性胆汁性胆管炎	5.1	进口
依那格列净片	大熊制药	SGLT2	2025-11-15	2型糖尿病	5.1	进口
盐酸伊可白滞素片	强生	IL23R	2025/11/19	斑块状银屑病	1	进口
注射用BL-B01D1	百利天恒	EGFR*HER3	2025/11/21	鼻咽癌	1	国产
扎维吉泮鼻喷雾剂	辉瑞制药	CGRPR	2025/12/4	偏头痛	5.1	进口
地尼法司他片	歌礼制药	FASN	2025/12/4	痤疮	1	国产

来源：Insight，国金证券研究所

图表 10: 10-12 月医药跨国交易情况 (截至 2025/12/5)

项目名称	靶点	交易时间	转让方	受让方	交易类型一	交易类型二	交易金额
UGX202	-	2025/10/9	明星优健生物	AviadoBio	期权	License out	交易总额400百万美元
奥布替尼/ICP-105043/ICP 330	BTK/IL17A/TYK2	2025/10/9	诺诚健华	泽纳仕生物医药	授权/许可	License out	交易总额2000百万美元; 首付款100百万美元, 700万zenas股权, 最高达百分之十几的分级特许权使用费
维派那肽	GPC3	2025/10/10	派格生物医药	PDC	授权/许可	License out	-
LBL-047	BDCA2、BAFF	2025/10/16	维立志博	Dianthus Therapeutics	授权/许可	License out	首付款: 20百万美元 里程碑付款: 18百万美元 特许权使用费: 大中华区以外地区净销售额的分级特许权使用费, 费率从中间位数至低双位数不等
原位编辑疗法(普瑞金)	-	2025/10/16	普瑞金生物	Kite Pharma	授权/许可	License out	首付款: 120百万美元 里程碑付款: 1520百万美元 特许权使用费: 基于未来产品净销售额的销售分成
GZR4、GZR102、PROTAC等	INSR、GLP1R	2025/10/16	甘李药业	Fiocruz	授权/许可	License out	-
ASKG712	VEGFA、ANGPT2	2025/10/16	蔼睦医疗	Visara, Inc.	转让/收购	License out	-
ASKG712	VEGFA、ANGPT2	2025/10/16	Visara, Inc.	云顶新耀	授权/许可	License in	-
ASKG712	VEGFA、ANGPT2	2025/10/16	AskGene Pharme	Visara, Inc.	授权/许可	License out	首付款: 7百万美元 里程碑付款: 89百万美元 特许权使用费: 在许可区域内的年度净销售额收取一定比例的特许权使用费
HS-20110	CDH17	2025/10/17	江苏豪森药业	罗氏制药	授权/许可	License out	首付款: 80百万美元 里程碑付款: 1450百万美元 特许权使用费: 未来潜在产品销售的分级特许权使用费
SRB5	CCR9	2025/10/20	unRock Biopharr	鼎康生物	合作	License in	-
TJ108	EGFR*HER3 ADC	2025/10/21	拓济医药	Samsung Bioepis	授权/许可	License out	-
干细胞疗法	干细胞疗法	2025/10/22	亿珂再生医学	Visionary Yike Stemcell Technologies	授权/许可	License out	-
帕洛诺司琼	5-HT3 receptor	2025/10/22	赫尔辛医药集团	复星医药	合作	License in	-
IBI363/IBI343/IBI3001	PD-1*IL2RA/B7-H3*EGFR/CLDN18.2	2025/10/22	信达生物	武田制药	授权/许可	License out	首付款1200百万美元, 里程碑付款10200百万美元, 其他交易额: 销售分成
雷珠单抗/布西珠单抗	VEGFA	2025/10/27	诺华制药	康哲药业	授权/许可	License in	-
QX031N	TSLP、IL33	2025/10/28	荃信生物	罗氏制药	授权/许可	License out	首付款: 75百万美元 里程碑付款: 995百万美元 特许权使用费: 潜在未来产品销售的梯度特许权使用费
伊基奥仑赛	BCMA	2025/10/29	驯鹿生物	GC LabCell	授权/许可	License out	-
BGB-B2033	GPC3、4-1BB	2025/10/29	InSysBio	百济神州	授权/许可	License in	-
JWTCR001	MAGEA4	2025/10/30	药明巨诺	再生元制药	授权/许可	License out	交易总额: 50百万美元
ASKG712	VEGFA、ANGPT2	2025/10/30	Visara	云顶新耀	授权/许可	License out	首付款: 7百万美元 里程碑付款: 89百万美元 特许权使用费: 按净销售额的潜在特许权使用费 其他交易额: 3.38百万美元
Obesity(Abalone)	GPCR	2025/10/30	Abalone Bio	四环医药	授权/许可	License in	-
MWN105	GLP1R、GIPR、F	2025/10/31	上海民为生物	Sidera Bio	授权/许可	License out	首付款35百万美元; 里程碑1010百万美元
TT-02332	NLRP3	2025/11/3	药捷安康	Neurocrine Biosciences	授权/许可	License out	交易总额881.5百万美元
白蛋白	Albumin	2025/11/4	CSL Behring	百洋医药	授权/许可	License in	-
GCC19CART	GUCY2C	2025/11/10	上海斯丹赛生物	Lyell Immunopharma	授权/许可	License out	首付款: 40百万美元 里程碑付款: 820百万美元
掩蔽型CD3 T细胞接	CD3	2025/11/13	天演药业	Third Arc Bio	授权/许可	License out	首付款: 5百万美元 里程碑付款: 840百万美元
CD-001	IL21R*PD-1	2025/11/16	乘典生物	BioCorteX	授权/许可	License out	-
法罗培南	FTSL*PBP	2025/11/17	Maruho	华润九新药业	授权/许可	License in	-
药物发现/AI技术	-	2025/11/24	BioCorteX	乘典生物	授权/许可	License in	-
GEB-200	Lp(a)	2025/11/24	引正基因	ToolGen	授权/许可	License out	-
博凡格鲁肽	GLP1R	2025/11/25	甘李药业	Laboratorios Carnot	授权/许可	License out	-
CR-001	VEGF/PD1	2025/12/4	Crescent Biopharma	科伦药业	授权/许可	License in	首付款: 20百万美元 里程碑付款: 30百万美元
SKB105	ITGB6	2025/12/4	科伦博泰	Crescent Biopharma	授权/许可	License out	首付款: 80百万美元 里程碑付款: 1250百万美元

来源: Insight, 国金证券研究所

## 风险提示

**汇兑风险：**部分公司海外业务占比高，人民币汇率的大幅波动可能会对公司利润产生明显影响。其程度依赖于汇率本身的波动，同时也取决于公司套期保值相关工具的使用和实施。

**国内外政策风险：**若海外贸易摩擦导致产品出口出现障碍或海外原材料采购价格提升，将可能对部分公司业绩增长产生影响。

**投融资周期波动风险：**医药行业投融资水平对部分公司有较大影响，若全球医药投融资市场不够活跃，将影响部分公司的业绩表现。

**并购整合不及预期的风险：**部分公司进行并购扩大业务布局，如并购整合不能顺利完成，可能影响公司整体业绩表现。

## 特别声明：

国金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。

本报告版权归“国金证券股份有限公司”（以下简称“国金证券”）所有，未经事先书面授权，任何机构和个人均不得以任何方式对本报告的任何部分制作任何形式的复制、转发、转载、引用、修改、仿制、刊发，或以任何侵犯本公司版权的其他方式使用。经过书面授权的引用、刊发，需注明出处为“国金证券股份有限公司”，且不得对本报告进行任何有悖原意的删节和修改。

本报告的产生基于国金证券及其研究人员认为可信的公开资料或实地调研资料，但国金证券及其研究人员对这些信息的准确性和完整性不作任何保证。本报告反映撰写研究人员的不同设想、见解及分析方法，故本报告所载观点可能与其他类似研究报告的观点及市场实际情况不一致，国金证券不对使用本报告所包含的材料产生的任何直接或间接损失或与此有关的其他任何损失承担任何责任。且本报告中的资料、意见、预测均反映报告初次公开发布时的判断，在不作事先通知的情况下，可能会随时调整，亦可因使用不同假设和标准、采用不同观点和分析方法而与国金证券其它业务部门、单位或附属机构在制作类似的其他材料时所给出的意见不同或者相反。

本报告仅为参考之用，在任何地区均不应被视为买卖任何证券、金融工具的要约或要约邀请。本报告提及的任何证券或金融工具均可能含有重大的风险，可能不易变卖以及不适合所有投资者。本报告所提及的证券或金融工具的价格、价值及收益可能会受汇率影响而波动。过往的业绩并不能代表未来的表现。

客户应当考虑到国金证券存在可能影响本报告客观性的利益冲突，而不应视本报告为作出投资决策的唯一因素。证券研究报告是用于服务具备专业知识的投资者和投资顾问的专业产品，使用时必须经专业人士进行解读。国金证券建议获取报告人员应考虑本报告的任何意见或建议是否符合其特定状况，以及（若有必要）咨询独立投资顾问。报告本身、报告中的信息或所表达意见也不构成投资、法律、会计或税务的最终操作建议，国金证券不就报告中的内容对最终操作建议做出任何担保，在任何时候均不构成对任何人的个人推荐。

在法律允许的情况下，国金证券的关联机构可能会持有报告中涉及的公司所发行的证券并进行交易，并可能为这些公司正在提供或争取提供多种金融服务。

本报告并非意图发送、发布给在当地法律或监管规则下不允许向其发送、发布该研究报告的人员。国金证券并不因收件人收到本报告而视其为国金证券的客户。本报告对于收件人而言属高度机密，只有符合条件的收件人才能使用。根据《证券期货投资者适当性管理办法》，本报告仅供国金证券股份有限公司客户中风险评级高于C3级（含C3级）的投资者使用；本报告所包含的观点及建议并未考虑个别客户的特殊状况、目标或需要，不应被视为对特定客户关于特定证券或金融工具的建议或策略。对于本报告中提及的任何证券或金融工具，本报告的收件人须保持自身的独立判断。使用国金证券研究报告进行投资，遭受任何损失，国金证券不承担相关法律责任。

若国金证券以外的任何机构或个人发送本报告，则由该机构或个人为此发送行为承担全部责任。本报告不构成国金证券向发送本报告机构或个人的收件人提供投资建议，国金证券不为此承担任何责任。此报告仅限于中国境内使用。国金证券版权所有，保留一切权利。