



2025 年核酸药物品牌推荐

技术迭代浪潮下的创新领航者

目录

一、市场背景.....	2
1.1 摘要.....	2
1.2 核酸药物定义.....	2
1.3 市场演变.....	2
二、市场现状.....	3
2.1 市场规模.....	3
2.2 市场供需.....	3
三、市场竞争.....	4
3.1 市场评估维度.....	4
3.2 市场竞争格局.....	5
3.3 十大品牌推荐.....	5
四、发展趋势.....	7
4.1 技术突破驱动：肝外递送与 AI 设计引领创新浪潮.....	7
4.2 商业化加速：License-out 与医保支付共促市场扩容.....	7
4.3 政策与资本双轮驱动：全链条支持构建产业生态.....	7
4.4 适应症拓展：从罕见病向慢性病与肿瘤领域渗透.....	8

2025 年核酸药物品牌推荐

一、市场背景

1.1 摘要

核酸药物作为新兴治疗手段，通过调控基因表达治疗疾病，展现高效低毒优势，尤其在罕见病领域取得突破，正拓展至常见病。全球核酸药物市场快速增长，受适应症扩大、政策支持及研发合作驱动。预计未来，随着技术创新与资本投入增加，核酸药物行业将持续扩容，有望成为第三大类药物类别，推动医疗健康领域革新。

1.2 核酸药物定义

核酸是所有生命体遗传信息的载体，包括脱氧核糖核酸（DNA）和核糖核酸（RNA）两大类。随着分子生物学的发展，研究人员发现除编码蛋白质的核酸序列外，还存在大量非编码序列对人体生命活动发挥着重要的调控作用，如启动子、增强子、核酶、miRNA 等。利用核酸分子的翻译或调控功能，作为干预疾病的药物，即为核酸药物。核酸药物能从源头进行干预，抑制疾病相关基因表达为病理性蛋白，或引入能够表达正常蛋白的基因弥补功能蛋白的不足。此外，核酸药物具有治疗效率高、药物毒性低、特异性强等优点，目前在治疗代谢性疾病、遗传疾病、癌症、预防感染性疾病等领域具有巨大的潜力。

1.3 市场演变

核酸药物领域的探索始于 1978 年，当时 ASO 概念首次被提出并得以发表。此概念的提出标志着核酸药物研究的起始点，引起了学术界的广泛关注。经历了长达二十年的科研探索，该领域终于迎来了第一款商品化的成果——全球首款 ASO 药物 Vitravene 在 1998 年上市，用于治疗艾滋病患者的眼部 CMV 病毒感染。这标志着核酸药物实际应用的开始，并为后续产品的开发奠定了基础。

随着全球首款 ASO 药物 Vitravene 的上市，为核酸药物治疗带来了实践机会，并引起了产业界更广泛的关注。该阶段内，各类核酸药物开始被开发，并逐步实现从实验室到市场的转变。虽然商业化步伐尚显谨慎，但已开始迈入规模化生产和临床应用阶段。

2018 年，全球第一款 siRNA 药物 Patisiran 获批，推动了整个行业向广角度治疗领域扩张。仅在 2018 至 2020 年间，就有 4 款 siRNA 药物和 3 款 ASO 药物获得批准上市。2020 年 mRNA-1273 进入临床试验，在全球公共卫生事件下 mRNA 疫苗研发和使用爆发性增长。同时，中国内地核酸药物领域投融资事件显著增加至 29 起。此外，对适体

等相关课题进行论坛讨论、小核酸药物 CMC 至 NDA 关键环节解析、以及精准递送技术突破等动态连续出现。随着科学技术的不断进步和临床需求的不断增加，核酸药物有望在更多疾病治疗领域发挥重要作用并成为未来药物研发的重要方向之一。

二、市场现状

2.1 市场规模

2019 年—2023 年，全球核酸药物行业市场规模由 188.16 亿人民币元增长至 1,558.28 亿人民币元，期间年复合增长率 69.64%。预计 2024 年—2028 年，全球核酸药物行业市场规模由 1,373.56 亿人民币元回落至 1,175.45 亿人民币元，期间年复合增长率-3.82%。

适应症范围扩大，推动核酸药物市场增长。自 1998 年首个 ASO RNA 治疗药物获批以来，与 RNA 治疗相关的应用开发迅速增加，RNA 疗法的应用主要集中在肝、心血管、癌症等治疗领域。已上市的核酸药物中主要集中于罕见病的治疗，其中最畅销的是来自 Lonis/Biogen 的 Nusinersen，用于治疗脊髓型肌萎缩症，2023 年销售额达 1,741.7 百万美元。但随着人口老龄化进程加速、生活方式的改变，心血管疾病的发病率持续走高。根据国家卫健委，中国成人血脂异常患病率约 18.6%，其中高胆固醇血症约 2.9%，高甘油三酯血症约 11.9%，低高密度脂蛋白血症约 7.4%。现阶段有多款针对血脂异常的小核酸药物在研，且已有药品上市。全球已上市的治疗血脂异常的小核酸药物为 Alnylam 的 Inclisiran，2023 年销售额达 355.0 百万美元。同时，还有多个小核酸药物的三期临床数据均显示出了良好的降血脂效果。

资本投入进一步为核酸药物行业发展提供资金支持，推动市场扩容。据不完全统计，自 2024 年起核酸领域出现 23 起融资事件，融资金额总额近 30 亿元。其中，昂拓生物于 4 月 8 日宣布已于近期完成了超过 5000 万美元的 A 轮融资，用于加速该公司药物管线的深度布局，临床试验快速推进，以及中国公司的落地运营。剂泰医药于 6 月 21 日完成 1 亿美元 C 轮融资，主要用于继续推进 AI+ 药物递送平台建设和自研管线的发展，助力剂泰医药在药物递送领域持续创新。迈科康生物于 7 月 2 日宣布获超 3 亿元 C+轮融资，主要用于支持重组带状疱疹疫苗 III 期临床试验、重组呼吸道合胞病毒疫苗临床 I 期和 II 期的研究，后续多个创新疫苗管线临床前研发和国际合作。资金的投入有利于推动中国核酸药物开发企业的研发能力的提升，未来有望逐步进入差异化创新和突破性创新阶段，将推动核酸药物市场快速发展。

2.2 市场供需

2.2.1 市场供给情况

mRNA 药物的上游包括质粒生产、mRNA 体外转录与修饰、mRNA-LNP 包封、设备与

耗材供应等，原料上游市场接近 100 亿美元，其中 mRNA 转录与修饰占成本 56%、设备与耗材占成本 24%、质粒生产占成本 9%、LNP 所需原料占成本 8%。mRNA 药物核心生产以海外为主，国内部分公司如金斯瑞在质粒生产领域、恺休生物、近岸蛋白、诺维赞等在加帽酶领域、兆维科技、糖智药业在修饰核苷酸领域、迈安纳在 LNP 生产设备领域已经取得领先地位。

2.2.2 市场需求情况

核酸药物治疗领域主要集中于罕见病，正逐步扩展至常见病。全球目前已知的罕见病超过 7,000 种，在以患病率来定义的 5,304 种罕见病中，有 84.5% 低于百万分之一。据保守的循证数据估计，罕见病在人群中的患病率约为 3.5%-5.9%，全球受罕见病影响的人数有 2.6-4.5 亿。根据公开文献记载，中国已知的罕见病数量约为 1,400 余种，而由于罕见病确诊困难，大量罕见病被当作普通疾病治疗或尚未发现，存在大量治疗空白，需求紧迫。

三、市场竞争

3.1 市场评估维度

根据头豹研究院发现，十大代表企业（瑞博生物、沃森生物、圣诺生物、安天圣施、维亚臻、浩博医药、迈科康生物、剂泰医药、赫吉亚生物、安龙生物）的评选遵循多维度量化评估模型，核心指标包括以下三大维度：

(1) 技术创新能力

技术创新能力是衡量企业核心竞争力的首要指标，需考察企业是否掌握核酸药物开发的关键技术，如小核酸化学修饰、递送系统设计、靶向修饰等。技术创新能力强的企业，往往能更快推出创新产品，占据市场先机。

(2) 产品管线丰富度与临床进展

产品管线的丰富度和临床进展速度直接反映企业的研发实力和市场布局。需关注企业是否拥有多元化的产品管线，覆盖肿瘤、代谢性疾病、感染性疾病等多个治疗领域，以及核心产品是否处于临床早期、中期或晚期阶段。产品管线丰富且临床进展顺利的企业，更具市场潜力。

(3) 研发成果与专利布局

研发成果和专利布局是企业技术实力的直接体现，需考察企业是否拥有自主知识产权的核心技术，以及专利数量和质量。拥有丰富研发成果和专利布局的企业，更具技术壁垒和市场竞争能力。

3.2 市场竞争格局

核酸药物行业呈现以下梯队情况：第一梯队公司有圣诺医药、赫吉亚生物等；第二梯队公司为瑞博生物、浩博医药等；第三梯队有安龙生物、剂泰医药等。

随着研发技术的更新迭代，小核酸药物有望成为小分子药物、抗体药物后的第三大类药物，市场前景广阔，吸引众多药企入局。与小分子药物、抗体药物相比，小核酸药物具有更广泛的靶点选择范围，成药效率更高。传统的小分子药物的主要局限性在于其只针对某些特定的蛋白质，即使为特异性结合的单抗，亦为靶向细胞表面手提。但 siRNA 和 miRNA 理论上可调控所有的转录过程中设计的 RNA，为疾病治疗提供全新的治疗方法。虽然核酸药物的开发由于核酸的不稳定性、生物利用度低、递送困难等导致发展缓慢，但随着新的化学修饰和新型递送系统的创新发展极大的改善了核酸性质的不稳定性，可成药性得到极大的提高，推动核酸药物的发展，吸引众多药企入局核酸药物产业链。如成都先导的子公司先东制药提供商业化小核酸原料药 CDMO 服务，满足临床 I 到 III 期的百科级及商业早期的百克至公斤级需求；先衍生物聚焦核酸新药管线的开发，A24110He 注射液的临床试验申请获得药监局受理，是全球首个靶向 ANGPTL4 的临床新药。

在研管线丰富，随着新药的获批上市或将改变行业格局。全球小核酸药物进入临床管线的共有近 195 个，其中约有 11% 进入了 III 期临床，大多数集中在 I 期和 II 期临床。在药物类型上，ASO 和 siRNA 是当前临床研发数量最多的小核酸药物。其中 ASO 仍是当前研发热点，占比 38%；siRNA 发展快速，占比已达到 32%，其余小核酸药物研发相对还处在早期阶段，整体数量较少。未来随着在研产品的获批上市，或将改变市场用药格局。

3.3 十大品牌推荐

1. 瑞博生物

瑞博生物是国内小核酸药物领域的开拓者，拥有“全球最大 siRNA 药物管线之一”的称号，涵盖心血管、代谢、肾病等多个领域，6 款药物进入临床，20 余项处于临床前。其自主研发的 GalNAc 小核酸药物递送技术平台 RIBO-GalSTARTM，为小核酸药物研发提供关键技术支持。不过，公司面临资源分散、推进缓慢等问题，需收缩非核心管线，加速核心产品临床进展。

2. 沃森生物

沃森生物作为国内疫苗领域的龙头企业，在核酸药物领域也有布局。其 mRNA 技术平台突破显著，联合研发的新型冠状病毒 mRNA 疫苗已获批紧急使用，并建成年产 2 亿剂的模块化厂房。此外，公司 RSVmRNA 疫苗获临床批准、冻干带状疱疹 mRNA 疫苗临床申请获受理，跻身国内 mRNA 预防性疫苗第一梯队。

3 . 圣诺生物

圣诺生物是全球首家以 RNAi 疗法在肿瘤学领域取得积极 IIa 期临床结果的药企，聚焦肿瘤、癌症、病毒感染、纤维化和代谢性疾病等领域。公司拥有 18 款在研候选药物，核心产品 STP705 和 STP707 均为针对 TGF- β 1 和 COX-2 的双靶向 siRNA 疗法，且 STP705 已取得 3 项适应症在美获得 FDA 的孤儿药认证。

4 . 安天圣施

安天圣施专注于反义核酸药物研发，致力于研发以 RNA 为靶点的反义寡核苷酸药物。这类药物能通过作用于 RNA 前体的剪接信号序列，改变基因剪接方向，进而改变蛋白产物，为治疗由突变导致 RNA 剪接错误的疾病等提供新的可能。公司已完成 A 轮融资，将进一步拓展其 RNA 为靶点的反义寡核苷酸药物研发项目。

5 . 维亚臻

维亚臻生物在小核酸药物领域进展迅速，其 VSA003 已经推进到临床 III 期阶段。VSA003 是一款靶向 ANGPTL3 的创新 siRNA 药物，可通过 LDLR 非依赖性及依赖性双重降脂机制，有效降低 HoFH 患者 LDL-C 水平，有望成为全球首个针对 ANGPTL3 靶点的获批小核酸药物。

6 . 浩博医药

浩博医药在小核酸药物领域也有布局，其 AHB137 药物与思合基因的 SDC12 在乙肝治疗领域形成竞争。浩博医药通过不断创新和研发，致力于为患者提供更有效的治疗药物。

7 . 迈科康生物

迈科康生物建立了 mRNA 平台，具备非复制 mRNA 技术，实现了核酸+递送的一体化。这一技术平台为公司在核酸药物领域的研发提供了有力支持，有助于推动公司在该领域的创新和发展。

8 . 剂泰医药

剂泰医药是全球首个 AI 药物递送平台，利用人工智能驱动精准靶向药物递送和药物发现。公司自主研发了三大 AI+核心技术平台，包括 AI 驱动核酸递送系统设计平台 (AiLNP)、AI 驱动 mRNA 序列设计平台 (AiRNA) 等，实现了高效的药物递送和药物发现。在肝靶向领域，剂泰医药达到了 best-in-class 全球最佳，递送效率已超越行业巨头 20 倍以上。

9 . 赫吉亚生物

赫吉亚生物致力于构建全面的 siRNA 递送技术平台，建立了从靶点发现到临床概念验证 (POC) 的完整端到端 siRNA 药物开发平台。公司拥有多个完全自主知识产权的

siRNA 递送技术平台，如 MVIP 递送平台已通过临床验证，表现出高效的递送能力、优越的稳定性。此外，DDP 递送平台也在助力公司针对复杂疾病领域的多个病症提供解决方案。

10 . 安龙生物

安龙生物专注于基因治疗和 RNA 技术创新，致力于开发基于 siRNA、mRNA 等前沿技术的创新药物。公司以解决未被满足的临床需求为目标，重点布局慢性病、罕见病及肿瘤等领域的治疗。安龙生物拥有先进的 RNA 技术平台和强大的研发团队，在 siRNA 药物的设计、开发及商业化方面具备显著优势。

四、发展趋势

第四部分主要描述中国核酸药物行业的发展趋势，可以从技术、商业化、政策、适应症等多个角度进行分析。

4.1 技术突破驱动：肝外递送与 AI 设计引领创新浪潮

中国核酸药物行业正通过肝外递送技术和 AI 辅助设计实现技术跃迁。肝外递送技术突破，如血脑屏障穿透、靶向肌肉组织，显著扩展了小核酸药物的应用边界，例如针对神经退行性疾病和肌肉疾病的研发管线加速推进。AI 技术则通过加速药物设计、优化递送载体结构，缩短研发周期并提升成功率。例如，剂泰医药利用 AI 驱动的 AiLNP 和 AiRNA 平台，实现高效药物递送与精准靶向；蔚程医药通过 AI 设计非肝靶向平台，攻克递送系统技术瓶颈。技术迭代推动行业从“跟随创新”向“源头创新”转型，预计 2030 年肝外递送技术将覆盖 50%以上在研管线。

4.2 商业化加速：License-out 与医保支付共促市场扩容

中国核酸药物企业通过 License-out 模式加速全球化布局，同时国内医保支付改革提升药物可及性。2024 年以来，本土企业达成多笔重磅海外授权交易：舶望制药与诺华签订总额 41.65 亿美元的合作协议，瑞博生物与勃林格殷格翰合作开发肝病药物交易额超 20 亿美元，圣因生物与礼来达成全球研发合作。商业化方面，医保支付体系改革（如丙类目录、商保直付）降低患者负担，推动药物快速放量。例如，诺华的 Leqvio（首款用于高血脂的 siRNA 药物）凭借季度给药方案提升患者依从性，2024 年销售额达 7.54 亿美元，预计国产同类药物上市后将进一步扩大市场份额。

4.3 政策与资本双轮驱动：全链条支持构建产业生态

政策端，中国通过《“十四五”生物经济发展规划》《全链条支持创新药发展实施方案》等文件，从研发、审评、产业化到支付端构建全链条保障体系。例如，国家药监局加速核酸药物审评审批，启辰生生物的 LNP 递送系统通过 CDE 技术审评，推动临床转化

提速。资本端，超亿元融资频现：海昶生物完成数亿元融资用于 mRNA 药物研发，蔚程医药获千万美元投资攻坚非肝靶向平台。政策与资本协同发力下，天津核酸医药产业园等集群效应凸显，形成从上游原料，如亚磷酰胺单体国产化，到下游 CDMO 服务的完整产业链。

4.4 适应症拓展：从罕见病向慢性病与肿瘤领域渗透

小核酸药物适应症从遗传罕见病向心血管代谢疾病、神经退行性疾病等慢性病及肿瘤领域加速延伸。全球范围内，肿瘤和遗传病占在研管线的前两位，而慢性病领域，如 NASH、乙肝、高血脂的研发占比快速提升。例如，Alnylam 的 Zilebesiran（用于高血压治疗）在 II 期临床中显示季度给药潜力，迦进生物的 CGB3002（针对阿尔茨海默病）和舶望制药的 BW-01（针对心血管疾病）均已进入临床阶段。中国企业在肿瘤领域布局广泛，浩博医药的乙肝治疗药物与思合基因的 SDC12 形成竞争，预计未来三年将迎来国产小核酸药物上市潮，推动行业规模突破百亿人民币。