

## 小核酸药物：海内外抢滩技术高地

### 投资要点

- ◆ **技术优势与机制**：小核酸药物作为新一代基因治疗药物，通过调节基因表达靶向疾病根源，具有靶点广（突破蛋白质不可成药性限制）、给药频次低（适合慢性病管理）、开发成功率较高（尤其在罕见病领域）等优势。作用机制包括 siRNA 降解 mRNA、ASO 调节蛋白质表达等。
- ◆ **市场增长潜力**：全球小核酸药物市场持续扩容，规模从 2019 年的 27 亿美元增至 2023 年的 46 亿美元，年复合增长率（CAGR）达 14.3%。据弗若斯特沙利文数据，预计到 2033 年将增长至 467 亿美元，2023-2033 年 CAGR 为 26.1%。其中，siRNA 药物因效价高、持久性强，市场份额快速提升（从 2019 年的 6.2% 增至 2023 年的 36.7%），成为未来主导方向。
- ◆ **应用领域扩展**：小核酸药物从罕见遗传病（如脊髓性肌萎缩症 SMA、杜氏肌营养不良 DMD）向慢性病（如高血脂、高血压）和重大疾病（如心血管疾病、乙肝）拓展。代表性药物如 Inclisiran（降脂 siRNA）验证了其在慢病领域的潜力，实现“半年一针”的长效治疗。
- ◆ **递送系统是关键壁垒**：递送技术（如 GalNAc 偶联、LNP 脂质体）是小核酸成药的核心挑战，目前肝靶向技术（如 GalNAc）较为成熟，但肝外组织靶向仍待突破。企业如 Alnylam（siRNA 龙头）和 Ionis（ASO 龙头）通过平台化技术构建竞争壁垒。
- ◆ **投资建议**：小核酸领域是近年来的研发热点，其技术壁垒高、市场增长快，且正从罕见病向慢性病等重大疾病拓展。投资应聚焦于拥有核心技术平台（如高效递送系统）和前沿管线的企业。**建议关注**：1）拥有核心技术平台的企业：瑞博医药、前沿生物、中国生物制药等；2）具备差异化优势管线的企业：信达生物、石药集团、信立泰、必贝特等。
- ◆ **风险提示**：研发失败与进展不及预期风险；市场竞争加剧风险；政策与支付环境变化风险；数据披露不及预期风险；知识产权纠纷风险等。

投资评级

**领先大市(维持)**
**首选股票**
**评级**

### 一年行业表现



资料来源：聚源

升幅%	1M	3M	12M
相对收益	-2.04	-3.16	-7.34
绝对收益	-1.8	-0.53	9.26

分析师

刘颖然

 SAC 执业证书编号：S0910525060002  
 liuhaoran@huajinsec.com

### 相关报告

- 医药：KARS 抑制剂：肿瘤治疗的蓝海赛道 2026.1.6
- 药明康德：TIDES 爆发驱动业绩超预期，绑定创新药浪潮-华金证券-医药-公司快报-药明康德 2025.9.28
- 泰恩康：业绩短期承压，CKBA 潜在空间广阔 2025.8.27
- 京新药业：核心业务逐步稳健，创新管线突破在即 2025.8.27



## 内容目录

一、小核酸药物现状和展望 .....	3
(一) 小核酸药物的前世今生 .....	3
(二) 小核酸药物的研发现状 .....	5
(三) 递送系统是小核酸药物研发的核心壁垒 .....	9
(四) 小核酸药物领域的重点公司 .....	11
(五) 投资建议 .....	17
二、医药行业行情回顾 .....	17
三、医药周度要闻回顾 .....	19
四、风险提示 .....	19

## 图表目录

图表 1: 各类核酸药物的作用机制示意图 .....	3
图表 2: 小核酸药物的发展历程 .....	4
图表 3: 小核酸药物的主要类别及特点 .....	5
图表 4: 2019-2033E 全球小核酸药物市场规模 (十亿美元) .....	5
图表 5: 按药物类型划分的全球小核酸药物细分市场 .....	5
图表 6: 全球已获批的小核酸药物 (截至 2025 年 12 月) .....	6
图表 7: 全球小核酸药物作用靶点前 5 位 .....	7
图表 8: 我国处于临床阶段的主要小核酸药物 .....	8
图表 9: 不同临床阶段 Alnylam 研发成功率 .....	8
图表 10: 小核酸药物递送环节困难 .....	9
图表 11: 核酸药物递送系统的化学结构 .....	9
图表 12: 小核酸递送系统的优劣势 .....	10
图表 13: 已上市寡核苷酸药物的递送技术 .....	10
图表 14: 已上市寡核苷酸药物的递送系统统计 .....	10
图表 15: siRNA 当前前沿递送方式、机制和代表企业 .....	11
图表 16: 2025 年以来小核酸领域的代表性交易 .....	12
图表 17: GalNAc .....	13
图表 18: C16 偶联技术 .....	13
图表 19: Alnylam 在研管线 .....	13
图表 20: Arrowhead TRiM 平台的特点 .....	14
图表 21: TRiM 平台能够靶向的组织 .....	14
图表 22: Arrowhead 研发管线 .....	14
图表 23: 瑞博生物在研管线 .....	15
图表 24: 船望制药 RASD 平台 .....	16
图表 25: 圣因生物 LEAD™ 肝外递送平台 .....	16
图表 26: 申万一级行业指数周度涨跌幅 (2026.03.02-2026.03.13) .....	17
图表 27: 医药各细分行业指数区间涨跌幅 (2026.03.02-2026.03.13) .....	18
图表 28: 医药生物行业估值溢价水平 (截至 2026.03.13) .....	18
图表 29: 上两周医药行业新闻梳理 (截至 2026.03.13) .....	19

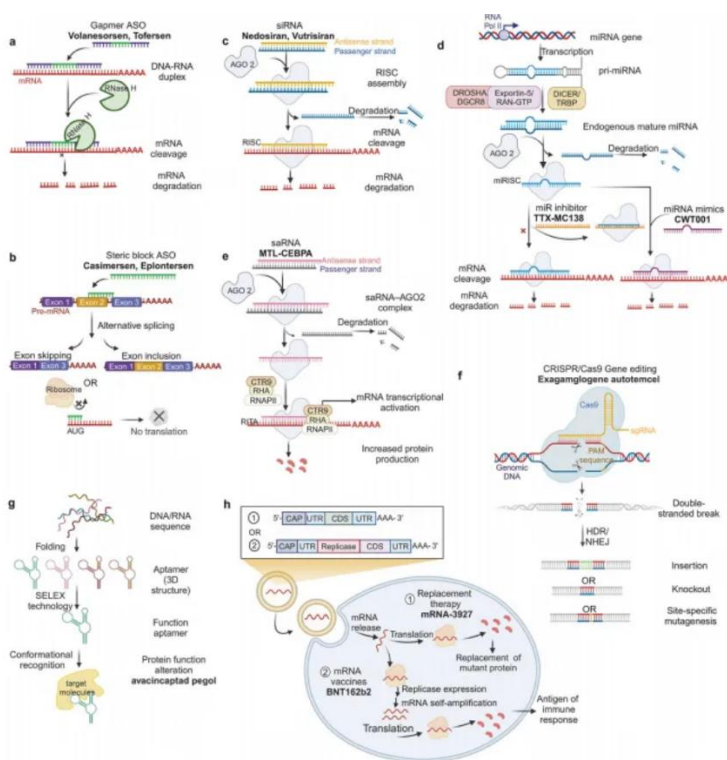
## 一、小核酸药物现状和展望

### (一) 小核酸药物的前世今生

核酸药物 (NADs) 是基于 DNA、RNA 或合成寡核苷酸类似物的新一代基因治疗药物, 在多种疾病治疗中展现出巨大潜力。目前, 临床上获批的高效、有选择性且能精准靶向细胞的治疗药物大多是小分子药物或蛋白质/抗体生物制剂, 而核酸药物 (NADs) 作为新一代基因编辑药物, 因其高效性成为新药研发的热点。

NADs 根据作用机制可大致分为三类: 1) 作用于核酸以调节蛋白表达的药物 (小核酸药物): 这类药物主要包括 ASO、siRNA、miRNA、小激活 RNA (saRNA) 和 CRISPR/Cas 系统。其中, ASO 直接作用于 pre-mRNA, 可提高或降低蛋白质表达; siRNA 间接作用于 mRNA 形成干扰, 降低蛋白质表达。2) 靶向蛋白质的核酸药物: 以适配体 (aptamer) 为主要代表, 直接作用于蛋白质。3) 表达蛋白质的核酸药物: 体外转录的 mRNA 属于此类, 它进入细胞后可表达特定蛋白质, 从而发挥生物学活性。

图表 1: 各类核酸药物的作用机制示意图



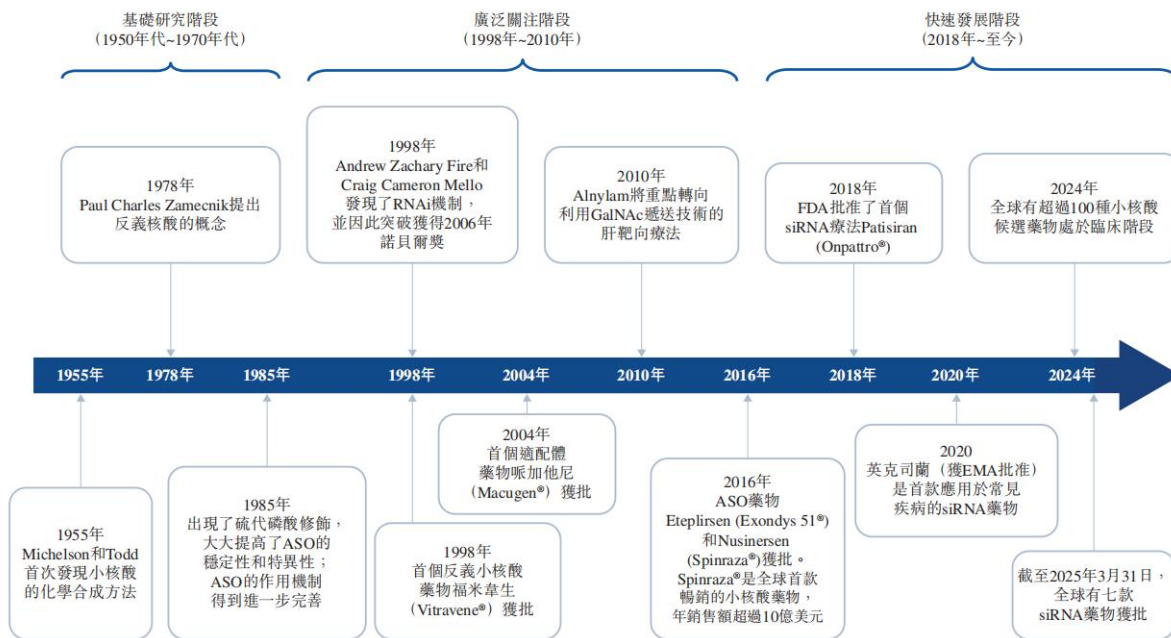
资料来源: 生物制品圈, 华金证券研究所

自 1978 年 Paul Charles Zamecnik 提出反义核酸 (ASO) 的概念以来, 小核酸药物的发展进入早期探索阶段。1998 年, Andrew Zachary Fire 和 Craig Cameron Mello 发现了 RNAi 机制, 因此获得了 2006 年的诺贝尔奖, RNAi 开始在基因研究领域广泛应用, 推动研发热潮。

2010 开始, 因 RNAi 的不稳定性, 递送技术难以突破, 临床开发受阻, 大型药企 (如罗氏、默沙东) 削减投入, 资本离场, 行业遭遇挑战进入低谷期。

2014年后，GalNac 递送技术出现，高效靶向肝脏，极大推动药物开发。2016年，ASO 药物 Eteplirsen 和 Nusinersen 获批，后者是全球首款畅销的小核酸药物，年销售额超 10 亿美元；2018年，FDA 批准了首个 siRNA 疗法 Patisiran，证明了临床可行性，适应症也逐渐从罕见病扩展至慢性病（如高血脂、高血压）；新冠 mRNA 疫苗成功也验证核酸技术的巨大潜力。

图表 2：小核酸药物的发展历程



资料来源：生物制品圈，华金证券研究所

小核酸药物主要包括小干扰 RNA (siRNA)、反义小核酸 (ASO) 和适配体，它们通过不同的机制发挥作用，调节基因表达和蛋白质水平，进而调控相应的蛋白质功能。

siRNA 是一类长度为 20-25 个核苷酸的双链 RNA 分子，当作为外源性治疗药物递送至细胞内时，可通过激活细胞内源性 RNA 干扰 (RNAi) 机制特异性降解靶标 mRNA，是小核酸药物研发的前沿领域。ASO 是一类化学合成的单链寡核苷酸分子，通常由 15-30 个核苷酸组成，可以与互补 mRNA 结合，通过多种机制调节蛋白质水平及功能。适配体是一类具有特定三级结构的单链短核苷酸分子，与其他小核酸药物不同，适配体不通过碱基配对，而是类似于抗体，依靠其三维结构特异性结合配体。

图表 3: 小核酸药物的主要类别及特点

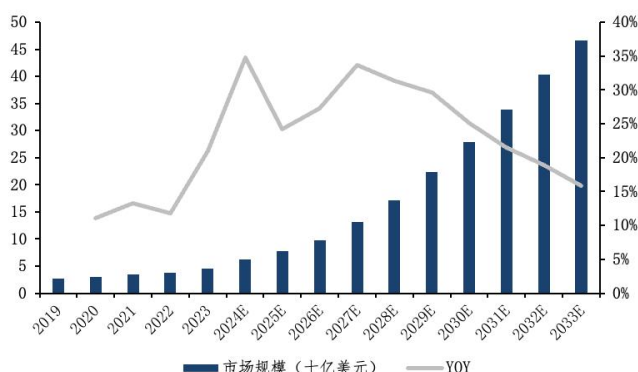
	siRNA	ASO	适配体
结构	双链，通常为20-25个核苷酸	单链，通常为15-30个核苷酸	单链，通常为20-80个核苷酸，折叠成特定的三维结构
靶点	mRNA	主要是mRNA	蛋白质，小分子
作用机制	加载到RNA诱导沉默复合体(RISC)识别并切割靶点mRNA	通过mRNA结合和降解抑制基因表达，或空间位阻阻断基因转录	蛋白质结合和调节
优势	1) 低浓度下的高效能; 2) 更好的稳定性; 3) 长期疗效; 4) 相对更容易获得强效siRNA	1) 更容易的体内递送和无载体要求; 2) 简单的化学修饰	1) 高亲和力和特异性; 2) 强大的抑制潜力; 3) 低免疫原性
挑战	需要组织特异性递送技术	1) 毒性一般高于siRNA; 2) 活性和长效性通常弱于siRNA	1) 复杂的筛选路径; 2) 半衰期短

资料来源: 瑞博生物招股书, 弗若斯特沙利文, 华金证券研究所

全球小核酸药物市场近年来持续扩容，市场规模从 2019 年的 27 亿美元增至 2023 年的 46 亿美元，2019-2023 的 CAGR 位 14.3%；随着技术持续进步、上市批准即临床验证的不断推动下，据弗若斯特沙利文数据，全球小核酸市场规模预计到 2033 年将增至 467 亿美元，2023-2033E 的 CAGR 为 26.1%。

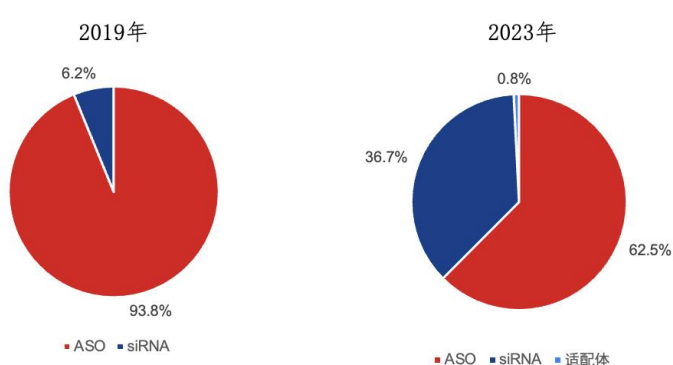
虽然 ASO 技术发展更早，上市药物数量也更多，但 siRNA 近年来展现出更强的爆发力和市场潜力，主要得益于：1) 更高的效价和持久性；2) 更优的成药性和安全平衡性；3) 清晰的机制和可预测性质。所以，尽管 ASO 在神经系统疾病等肝外靶点领域仍有独特优势，但在需要高效、长效沉默肝脏表达基因的慢病领域，siRNA 已然成为首选的技术路径。从细分市场规模看，siRNA 的市场规模占比已由 2019 年的 6.2% 激增至 2023 年的 36.7%，且预计将进一步抢占小核酸药物市场。

图表 4: 2019-2033E 全球小核酸药物市场规模 (十亿美元)



资料来源: 瑞博生物招股书, 弗若斯特沙利文, 华金证券研究所

图表 5: 按药物类型划分的全球小核酸药物细分市场



资料来源: 瑞博生物招股书, 弗若斯特沙利文, 华金证券研究所

## (二) 小核酸药物的研发现状

截至 2025 年 12 月，全球已有超过 20 款小核酸药物（包括 ASO、siRNA、适配体等）获批上市。其中，自 2018 年 siRNA 技术突破以来，上市步伐明显加快，显示出强劲的发展势头。

受益于平台积累，产品基本集中于几家头部公司。但单一药物受制于适应症，多数药物的销售模式均为高价低量模式。

从销售数据可以看出，Nusinersen (Spinraza) 作为早期获批的药物，凭借其在 SMA 领域的刚需和高昂定价，早已成为年销售额近 20 亿美元的重磅产品，证明了小核酸药物的商业价值。而 Alnylam 公司凭借其强大的 siRNA 平台，通过 Patisiran、Givosiran、Lumasiran、Vutrisiran 等一系列罕见病药物的成功上市，构建了稳固的商业基础。

Inclisiran (Leqvio) 凭借其慢病大适应症在 2024-2025 年呈现指数级增长，充分验证了 siRNA 技术在慢病管理领域的巨大潜力。2025 年底 Plozasiran 的获批，进一步巩固了这一趋势。

图表 6：全球已获批的小核酸药物（截至 2025 年 12 月）

药品名称（商品名）	公司	类型	首次获批年份	适应症	2024年全球销售额
Nusinersen (Spinraza)	Biogen/Ionis	ASO	2016	脊髓性肌萎缩症 (SMA)	约18亿美元
Eteplirsen (Exondys51)	Sarepta	ASO	2016	杜氏肌营养不良 (DMD)	约5-6亿美元
Patisiran (Onpattro)	Alnylam	siRNA	2018	hATTR 多发性神经病&心脏病	约8-9亿美元
Inotersen (Tegsedi)	Ionis/Sobi	ASO	2018	hATTR 多发性神经病	约2-3亿美元
Givosiran (Givlarri)	Alnylam	siRNA	2019	急性肝卟啉症 (AHP)	约2.5亿美元
Volanesorsen (Waylivra)	Ionis	ASO	2019	家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)	<1亿美元
Golodirsen (Vyondys53)	Sarepta	ASO	2019	杜氏肌营养不良 (DMD)	约2亿美元
Lumasiran (Oxlumo)	Alnylam	siRNA	2020	原发性高草酸尿症1型 (PH1)	约1.5亿美元
Vutrisiran (Amvuttra)	Alnylam	siRNA	2022	hATTR 多发性神经病&心脏病	约7-8亿美元
Inclisiran (Leqvio)	Novartis/Alnylam	siRNA	2021	原发性高胆固醇血症/混合性血脂异常	超10亿美元，快速增长
Tofersen (Qalsody)	Biogen/Ionis	ASO	2023	SOD1-肌萎缩侧索硬化症 (ALS)	快速增长中
Eplontersen (Wainua)	AstraZeneca/Ionis	ASO	2023	hATTR 多发性神经病	快速增长中
Olezarsen	Ionis	ASO	2024	家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)	刚上市
Donidalorsen	Ionis	ASO	2025	遗传性血管性水肿 (HAE)	刚上市
Plozasiran (Redempro)	Arrowhead/GSK	siRNA	2025	严重高甘油三酯血症 (SHTG)	刚上市

资料来源：RNA 前沿，华金证券研究所

目前，全球临床在研的小核酸药物中，针对 HBV 和 DMD 的靶点研究最为集中。此外，针对心血管疾病(如载脂蛋白和 AGT)以及代谢性疾病[如 PCSK9 和 patatin 样磷脂酶结构域蛋白 3(patatin-like phospholipase domain containing3, PNPLA3)]靶点也有多个药物正在进行临床研究。我国小核酸药物的靶点多集中于乙型肝炎和慢性病领域，较少涉及罕见病。

目前痛点：除去 Inclisiran 外，现有上市产品适应症均为罕见病中的遗传性疾病为主。

未来发展：实现从罕见病到慢病到 unmet medical need 的重大疾病的多点开花。

图表 7：全球小核酸药物作用靶点前 5 位

靶点	分类	药物名称	最高临床试验状态	适应症	公司
HBV	ASO	bepirovirsen	III期	乙肝	GSK、Ionis
	ASO	AHB-137	II期	乙肝	浩博医药
	siRNA	HRS-5635	II期	乙肝	恒瑞医药
	siRNA	RBD-1016	II期	乙肝	瑞博生物
	siRNA	imdusiran	II期	乙肝	Arbutus Biopharma
	siRNA	elebsiran	II期	乙肝	Alnylam、Vir Biotech-nology
	siRNA	ALN-HBV	I/II期	乙肝	Alnylam
	siRNA	BW-03	I期	乙肝	船望制药
	siRNA	HT-101	I期	乙肝	星曜坤泽
	siRNA	TQA-3038	I期	乙肝	正大天晴
siRNA	ALG-125755	I期	乙肝	Aligos Therapeutics	
DMD	ASO	vesleteplirsen	II期	杜氏肌营养不良症	Sarepta Therapeutics
	ASO	brogirdirsen	II期	杜氏肌营养不良症	National Center Neurology Psychiatry, Nipppn Shinyaku
	ASO	SQY-51	I/II期	杜氏肌营养不良症	Sqy therapeutics
	ASO	DYNE-251	I/II期	杜氏肌营养不良症	Dyne Therapeutics
	ASO	AOC-1044	II期	杜氏肌营养不良症	Avidity Bioscience
	ASO	BMN-351	I/II期	杜氏肌营养不良症	BioMarin
	ASO	WVE-N531	I/II期	杜氏肌营养不良症	Wave Life Sciences
	ASO	PGN-ED051	II期	杜氏肌营养不良症	PepGen Inc.
	ASO	ENTR-601044	I期	杜氏肌营养不良症	Entrada Therapeutics
sgRNA	CRD-TMH-001	I期	杜氏肌营养不良症	Cure Rare Disease	
TFRC	ASO	DYNE-251	I/II期	杜氏肌营养不良症	Dyne Therapeutics
	ASO	DYNE-101	I/II期	强直性肌营养不良	Dyne Therapeutics
	ASO	AOC-1044	II期	杜氏肌营养不良症	Avidity Bioscience
	siRNA	AOC-1001	III期	强直性肌营养不良	Avidity Bioscience
	siRNA	AOC-1020	II期	面肩胛臂肌营养不良	Aro Biotherapeutics
	siRNA	ABX-1100	I期	庞贝病	Novartis

靶点	分类	药物名称	最高临床试验状态	适应症	公司
APOA1、APOA2、APOA4、APOA5、Lp(a)	siRNA	AOC-1001	III期	强直性肌营养不良	Avidity Bioscience
	siRNA	AOC-1020	II期	面肩胛臂肌营养不良	Avidity Bioscience
	siRNA	ABX-1100	I期	庞贝病	Aro Biotherapeutics
	ASO	pelacarsen	III期	动脉粥样硬化	Novartis
	ASO	IONIS-APO(a)Rx	II期	动脉粥样硬化、脂质代谢紊乱	Ionis
	siRNA	lepodisiran	III期	动脉粥样硬化、脂质代谢紊乱	Lilly
	siRNA	zervasiran	II期	高脂血症、脂质代谢紊乱	Silence Therapeutics
	sgRNA	CTX-320	I期	心血管疾病	CRISPR Therapeutics
DMPK	ASO	DYNE-101	I/II期	强直性肌营养不良	Dyne Therapeutics
	ASO	ENTR-701	I/II期	强直性肌营养不良	Entrada Therapeutics、Vertex
	ASO	baliforsen	I/II期	强直性肌营养不良	Biogen、Ionis
	ASO	PGN-ED0DM1	II期	强直性肌营养不良	PepGen Inc.
	siRNA	AOC-1001	III期	强直性肌营养不良	Avidity Bioscience
PCSK9	ASO	CiVi-007	II期	高胆固醇血症	GiVi Biopharma
	siRNA	SGB-3403	I期	高胆固醇血症	圣因生物
	siRNA	RBD-7022	I期	家族性高胆固醇血症	瑞博生物
PNPLA3	sgRNA	VERVE-102	I期	冠状动脉疾病	Lilly、Verve Therapeutics
	sgRNA	VERVE-101	I期	家族性高胆固醇血症	Lilly、Verve Therapeutics
	ASO	AZD-2693	II期	非酒精性脂肪性肝炎	AstraZeneca
	siRNA	ALN-PNP	I期	非酒精性脂肪性肝炎	Regeneron
	siRNA	LY-3849891	I期	非酒精性脂肪性肝炎	Lilly
	siRNA	AMG-609	I期	非酒精性脂肪性肝炎	Amgen
	ASO	tonlamarsen	II期	非酒精性脂肪性肝炎	Arrowhead
AGT	ASO	tonlamarsen	II期	高血压	Ionis
	ASO	evazarsen	II期	心力衰竭、高血压	Ionis
	siRNA	SGB-3908	I期	高血压	信达生物、圣因生物
	siRNA	zilebesiran	II期	高血压	Alnylam

资料来源：迪易生命科学，杜慧、肖宇锋、张盼《全球小核酸药物的上市及临床研究现状分析》，华金证券研究所

我国有超 20 个小核酸药物处于临床研究状态，临床在研的小核酸药物适应证已逐渐从早期的遗传病拓展到肿瘤、心血管疾病、代谢疾病等慢性病领域，以 siRNA、同靶点跟随为主，但也适应中国国情选取了乙肝治疗这种适合中国国情的大适应症。

在这一趋势中，我国制药企业大多将布局重心放在慢性病领域，如信达生物公司的高血压治疗药物 SGB-3908、圣因生物公司的高血脂治疗药物 SGB-3403、船望制药公司的高血脂治疗药物 BW-01、瑞博生物公司的高血脂治疗药物 RBD-7022。

图表 8：我国处于临床阶段的主要小核酸药物

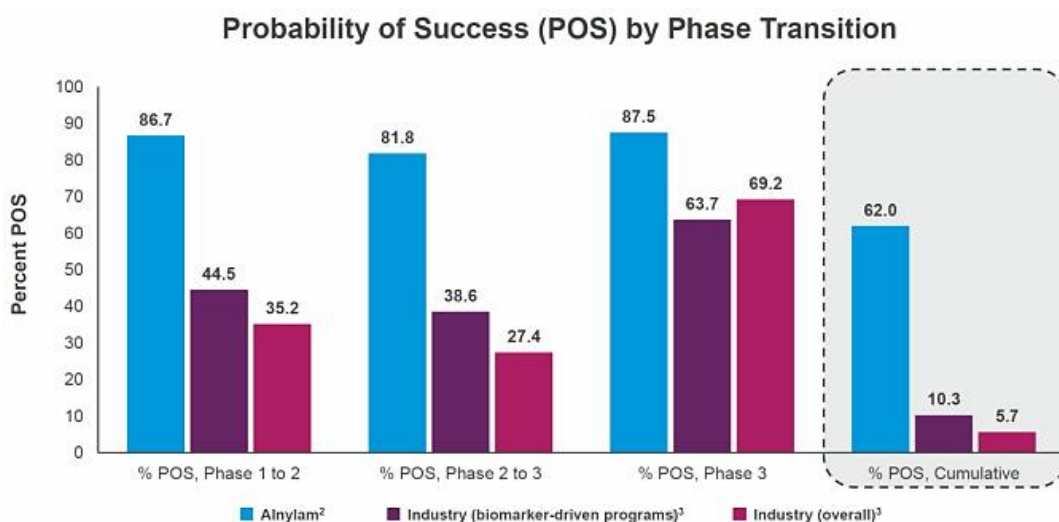
分类	药物名称	最高临床试验状态	靶点	适应症	研发机构
ASO	AHB-137	II期	HBVgp2、HBVgp4	乙肝	浩博医药
	WGI-0301	II期	AKT1	肝癌、实体肿瘤	海昶生物
siRNA	BW-01	II期	/	高三酰甘油血症	船望制药
	HRS-5635	II期	HBV	乙肝	恒瑞医药
	MBS-COV、SNS-812	II期	/	COVID-19	中天生物、合一生技
	RBD-1016	II期	HBV	乙肝	瑞博生物
	BW-03	I期	HBV	乙肝	船望制药
	HT-101	I期	HBV	乙肝	星曜坤泽
	SGB-9768	I期	补体C3	C3肾小球病、IgA肾病、免疫复合物介导的膜增生性肾小球肾炎	圣因生物
	SGB-3403	I期	PCSK9	高胆固醇血症	圣因生物
	IBI-3016、SGB-3908	I期	AGT	高血压	信达生物、圣因生物
	SRS-107	I期	F11	血栓	靖因药业
	TQA-3038	I期	HBV	乙肝	正大天晴
	RBD-7022	I期	PCSK9	家族性高胆固醇血症、动脉粥样硬化	瑞博生物
	ER-2001	I期	HTT	亨廷顿舞蹈症	艾码生物
	JS-401	I期	ANGPTL3	高血脂症	君实生物
	RAG-17	I期	SOD1	肌萎缩侧索硬化	中美瑞康
	适配体	68Ga-Sge8	I期	CXCR4	结直肠癌

资料来源：迪易生命科学，杜慧、肖宇锋、张盼《全球小核酸药物的上市及临床研究现状分析》，华金证券研究所

以 Alnylam 公司为例，在公司 RNAi 平台下靶向生物标志物的疗法中，I 期、II 期、III 期临床成功率都超过 80%，分别达到 86.7%，81.8% 以及 87.5%，新药开发的临床阶段综合成功率高达 62%。行业其余靶向生物标志物的疗法综合成功率仅 10.3%，而全行业综合成功率仅 5.7%。

主要原因是公司选取的多数是无药可治的罕见病：1) 适用小核酸药物的成药原理，相比于靶标散发的常见病，罕见病更多见基因靶标明确且具有显著遗传特性的疾病；2) 罕见病患者人群少，开展临床研究难度大，无药或仅有缓解症状的药物，适用小核酸药物开发快的特点；3) 许多国家对罕见病药物给予快速审批、研发资金等支持，审批时对有效性和安全性的要求较常见病更低、适合新技术。

图表 9：不同临床阶段 Alnylam 研发成功率



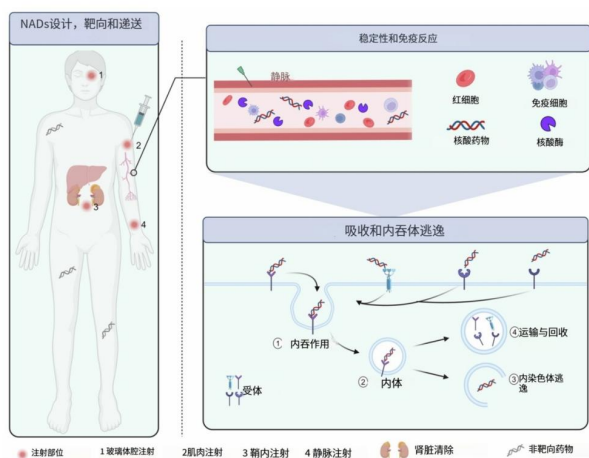
资料来源：氨基观察，Alnylam 官网，华金证券研究所

### （三）递送系统是小核酸药物研发的核心壁垒

小核酸药物通常不具备靶向性，由于其大尺寸、负电荷及亲水性质，导致这些分子难以自发穿透细胞膜，因此，药物的递送面临较大挑战，递送系统也是小核酸药物研发企业的核心壁垒。

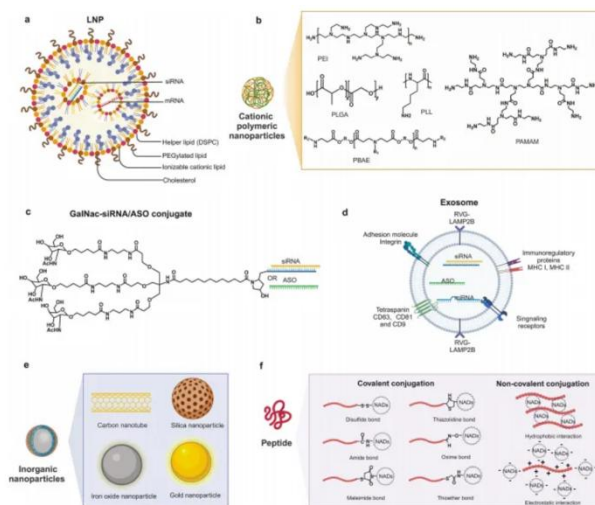
递送系统可以分为病毒载体和非病毒载体两大类。其中病毒载体多用于基因治疗，但存在病毒诱导的免疫原性、不必要的基因整合以及载体生产成本高昂等问题，也限制了其在核酸药物中的应用。非病毒载体提供了更安全的选择，包括裸露 RNA 修饰技术、脂质体纳米颗粒（Lipid Nanoparticles, LNP）、共轭连接/偶联递送系统（如 GalNAc、小分子配体、抗体等）以及其他新型递送平台（例如多聚体纳米粒和外泌体/细胞外囊泡）。

图表 10：小核酸药物递送环节困难



资料来源：Biologics CMC，华金证券研究所

图表 11：核酸药物递送系统的化学结构



资料来源：生物制品圈，华金证券研究所

在小核酸递送载体中，LNP 和 GalNAc（N-乙酰半乳糖胺）技术较为成熟。理想的递送系统应具有良好的生物相容性、长时间循环稳定性、强靶向能力、高细胞渗透性和有效的内体逃逸机制。目前市场上，siRNA 药物大多采用 GalNAc 进行递送，而反义寡核苷酸（ASO）则倾向于以裸 RNA 形式直接作用。但 LNP 和 GalNAc 技术都已被专利保护，突破专利具有较大的壁垒，而开发新的递送系统有很高的技术门槛，导致多数核酸药物厂商倾向于去取得已有递送系统的专利授权，或找专利漏洞进行轻微改良。

图表 12: 小核酸递送系统的优劣势

递送系统	机制	优点	缺点
裸RNA	通过化学修饰保持小核酸结构稳定。借助局部注射非特异性吸收和过滤到靶组织	不需要额外开发递送系统	容易降解、有免疫原性、难以进入细胞；半衰期短、某些化学修饰有毒性
脂质体纳米颗粒 (LNP)	使用脂质形成纳米颗粒，结构为由磷酸组成的囊泡，通过将核酸药物装载到LNP中，可保护被包裹的核酸药物免于降解和清除，并促进其跨细胞运输到目标靶位	半衰期延长、核酸酶抗性加强，有助于内吞效率、助力内含体逃逸	有细胞毒性，需使用类固醇等预处理
多聚体	与LNP的递送机制相似，聚合物也是利用基于纳米颗粒的递送常用材料		需引入赋形剂，可能导致毒性
细胞外囊泡	通过在邻近细胞间运送核酸及蛋白质来协助完成细胞间的交流活动，细胞外囊泡天然具有能够逃避吞噬作用，延长药剂体内半衰期以及降低免疫原性的属性		属于生物制剂，因此其活性物质面临一定程度的内在生物变异，开发难度较大，目前仍处探索阶段
共轭链接	主要通过直接共价结合不同成分来增强小核酸药物的特异性，并降低循环中的药物清除，目前使用较多的主要是GalNAc偶联	化学结构明确，能够靶向特定受体。毒性有限，相比脂质分子，偶联递送系统的分子量更小，且通过设计加强药物的内含体逃逸效率	目前主要靶向肝脏组织

资料来源: Biologics CMC, 华金证券研究所

截至 2025 年，全球已上市的寡核苷酸药物递送技术的主流，包括 GalNAc、PEG 和 Lipid，其中又以 G 核苷酸药物中共有 15 款药物应用了递送技术，如 GalNAc (N-乙酰半乳糖胺)、PEG (聚乙二醇)、Lipid (脂质) 和 LNP。从药物类型来看，应用于 ASO 药物的递送技术有 PEG、Lipid 和 GalNAc, siRNA 药物涉及的递送技术包括 LNP 和 GalNAc, 而 aptamer 药物仅包含 PEG。从时间线来看，近三年上市的寡核苷酸药物全都应用了递送技术。

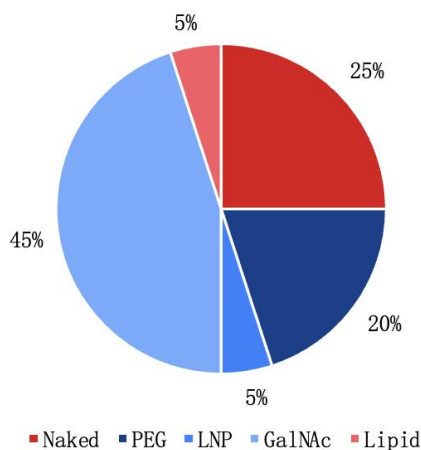
GalNAc 技术为主，占比高达 45%；而运送载体类递送技术较少，仅 1 款药物为 LNP 递送。

图表 13: 已上市寡核苷酸药物的递送技术

获批时间	药物名称	药物类型	递送技术
2016	Spinraze (nusinersen)	ASO	Naked
2016	Exondys 51 (eteplirsen)	ASO	PEG
2018	Onpattro (patisiran)	siRNA	LNP
2018	Tegsedi (inotersen)	ASO	Naked
2019	Givlaari (givosiran)	siRNA	GalNAc
2019	Vyondys 53 (golodirsen)	ASO	PEG
2019	Waylivra (volansorsen)	ASO	Naked
2020	Oxlumo (lumasiran)	siRNA	GalNAc
2020	Viltepso (viltolarsen)	ASO	Naked
2020	Leqio (inclisiran)	siRNA	GalNAc
2021	Amondys 45 (casimersen)	ASO	PEG
2021	Wainua (eplontersen)	ASO	GalNAc
2022	Amvuttra (vutrisiran)	siRNA	GalNAc
2023	Rivfloza (nedosiran)	siRNA	GalNAc
2023	Izervay (avacincaptad pegol)	aptamer	PEG
2023	Qalsody (tofersen)	ASO	Naked
2024	Tryngolaza (olezarsen)	ASO	GalNAc
2024	Rytelo (imetelstat)	ASO	Lipid
2025	Qfitlia (fitusiran)	siRNA	GalNAc
2025	Dawnzera (donidalorsen)	ASO	GalNAc

资料来源: 中国药学年鉴, 药物递送, 华金证券研究所

图表 14: 已上市寡核苷酸药物的递送系统统计



资料来源: 中国药学年鉴, 药物递送, 华金证券研究所

小核酸药物的递送技术正从“肝靶向”向“全组织靶向”演进，GalNAc 仍是商业化主力，而多肽/抗体偶联、改良 LNP 等肝外递送平台已成为前沿研发的核心。国内外企业在此赛道竞争激烈，技术突破将持续拓宽小核酸在心血管、代谢、神经、肿瘤等重大疾病领域的治疗边界。

图表 15: siRNA 当前前沿递送方式、机制和代表企业

递送方式	核心机制	代表企业
脂质纳米粒 (LNP)	由可电离脂质、磷脂、胆固醇等自组装成纳米颗粒，通过被动靶向 (EPR效应) 富集于肝脏或经表面工程化改造后靶向肝外组织，并介导内体逃逸	国际: Alnylam (Onpatro)、Moderna、BioNTech 国内: 瑞博生物、圣诺医药、键凯科技 (材料供应商)
GalNAc 偶联技术	通过三价 GalNAc 配体与肝细胞表面高表达的 ASGPR 受体特异性结合，经受体介导的内吞作用实现高效肝靶向	国际: Alnylam、Ionis、Arrowhead 国内: 瑞博生物 (RiboGalSTAR 平台)、船望制药、靖因生物、悦康药业 (新型核糖环 GalNAc)
抗体偶联技术 (AOC)	将特异性抗体 (如靶向 TFR1) 与小核酸共价偶联，借助抗体-受体结合实现精准的组织/细胞靶向 (如肌肉、CNS)	国际: Avidity Biosciences (AOC 平台)、Dyne Therapeutics 国内: 圣因生物 (与罗氏、礼来合作)
多肽偶联技术 (POC)	利用细胞穿透肽 (CPP) 或靶向肽 (如靶向 TFR1) 携带小核酸跨越生物屏障，促进细胞摄取和内体逃逸，实现肌肉、心脏、CNS 等肝外组织靶向	国际: Ionis (与 Bicycle 合作)、Alnylam (与 PeptiDream 合作)、Entrada、PepGen 国内: 必贝特 (肽-寡核苷酸偶联平台)、圣因生物
疏水脂质/烷基链偶联	在小核酸末端偶联长链烷基 (如 C16、C22)，通过疏水作用与血清白蛋白结合，被动富集于肝脏或脂肪等组织，是一种低成本、专利规避的路线	国际: Alnylam (C16 用于 CNS 递送) 国内: 先衍生物 (肝外递送平台)
聚合物纳米载体 (PNP)	使用阳离子聚合物或可降解聚合物 (如 PLGA) 通过静电作用包裹小核酸，形成纳米颗粒，可实现局部或全身递送，常用于肿瘤、皮肤等肝外靶向	国际: Arrowhead (TRiM 平台) 国内: 圣诺医药 (多肽纳米颗粒 PNP 平台)
外泌体载体	利用细胞分泌的天然纳米囊泡作为载体，生物相容性好、免疫原性低，能天然跨越血脑屏障，是 CNS 靶向的潜力平台	目前多处于临床前研究阶段，暂无上市产品，国内外多家生物技术公司布局
局部递送	直接注射至靶组织附近，绕开全身屏障	国际: Biogen (诺西那生)、Ionis 国内: 多家企业布局吸入制剂

资料来源: 公开资料整理, 华金证券研究所

## (四) 小核酸药物领域的重点公司

### (1) 小核酸 BD 热已然开启

2025 年，小核酸领域潜在交易额飙升至 364.73 亿元，包括诺华、礼来、赛诺菲、罗氏等跨国龙头药企纷纷入局。其中，诺华不仅以 120 亿美元收购了 Avidity Biosciences，获得其抗体寡核苷酸共轭物 (AOC) 平台及神经肌肉疾病管线；还先后花费 52 亿美元、22 亿美元和 17 亿美元引进船望制药、Arrowhead 及 Regulus 的多条管线，包括心血管、神经退行性疾病及肾脏疾病等多个领域。

整体来看，以 Alnylam、Ionis、Sarepta、Arrowhead 为代表的企业凭借技术平台占据先发优势，MNC 巨头则凭借资金优势疯狂补强，重构版图。国内企业博瑞生物、船望制药、圣因生物等已构筑研发平台聚焦新一代 siRNA 药物；正大天晴、恒瑞医药、石药集团等头部药企自建技术平台，推动国产 siRNA 管线进入临床阶段。

图表 16: 2025 年以来小核酸领域的代表性交易

时间	交易方	核心内容	技术/药物类型	针对领域	交易金额
2025年1月	Alloy→赛诺菲	利用AntiClastic平台开发CNS领域ASO药物	ASO	中枢神经系统 (CNS) 疾病	4.275亿美元 (2750亿美元首付款+4亿美元里程碑)
2025年2月	Olix→礼来	共同开发临床I期药物OLX702A (asiRNA)	siRNA	代谢障碍相关性脂肪肝病 (MASH) 及心脏代谢疾病	6.6亿美元
2025年2月	Stoke→渤健	转让ASO药物Zorevunersen (STK-001) 在美、加、墨以外地区的权益	ASO	Dravet综合症 (罕见癫痫)	5.4亿美元 (1.65亿美元首付款+3.85亿美元里程碑)
2025年3月	Ionis→小野制药	转让ASO药物Sapablursen的全球独家权益	siRNA	真性红细胞增多血症	近1亿美元 (估算)
2025年5月	靖因药业→CRISPR	共同开发siRNA药物SRSD107	siRNA	血栓及血栓栓塞性疾病	超8.95亿美元 (9500万美元首付+超8亿美元里程碑)
2025年8月	维亚臻→赛诺菲	转让siRNA药物Plozasiran的大中华区权益	siRNA	家族性乳糜微粒血症综合征、严重高甘油三酯血症	3.95亿美元 (1.3亿美元首付+2.65亿美元里程碑)
2025年9月	Arrowhead→诺华	转让siRNA药物ARO-SNCA的全球独家权益	siRNA	帕金森病等	22亿美元 (2亿美元预付款+最高20亿美元里程碑)
2025年9月	舶望制药→诺华	合作开发siRNA管线, 诺华获得两款早研药物及一款药物的优先谈判权	siRNA	重度高甘油三酯血症、混合型血脂异常	52亿美元 (1.6亿美元预付款+最高50.4亿美元里程碑)
2025年10月	诺华收购Avidity	整体收购, 获得其AOC平台及管线	AOC	神经肌肉疾病等	120亿美元 (收购总价)
2025年11月	圣因生物→礼来	基于LEAD平台合作开发代谢类siRNA新药	siRNA	代谢类疾病	超12亿美元
2026年2月	圣因生物→罗氏	圣因生物将负责该药物的早期研发, 罗氏将负责该药物后续所有的临床开发和商业化活动	siRNA	RNAi疗法	17亿美元 (2亿美元首付+最高15亿美元里程碑)
2026年2月	瑞博生物→Madrigal	联合开发六款针对MASH的创新siRNA疗法	siRNA	MASH	44亿美元 (0.6亿美元首付+43.4亿美元里程碑)

资料来源: 同写意, 各公司公告, 圣因生物, 瑞博生物, 华金证券研究所

### (1) 国际市场: Alnylam 领衔

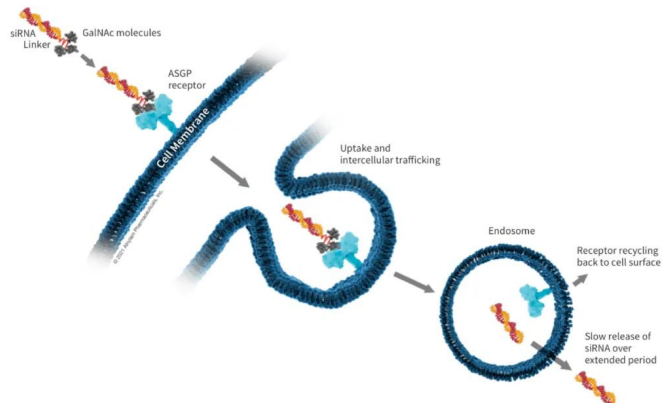
Alnylam 是 siRNA 领域的龙头企业, 成立于 2002 年, 已有 6 款 siRNA 新药成功获批上市。公司一直深耕 RNAi 治疗领域, 开发了 RNAi 递送的 GalNac 平台, 是 RNAi 药物递送领域的最重要的突破性技术 Alnylam 递送平台 RNAi 疗法采用不同方法将 siRNA 递送至靶向组织: LNP、GalNac、C16。通过不断改进和拓展新型递送系统, 并将其应用于新的器官和疾病。

N-乙酰半乳糖胺递送系统, 是一种糖分子, 能特异性识别细胞表面的一种蛋白——乙型球蛋白受体 (ASGPR), ASGPR 在肝细胞膜上大量表达。ASGPR 与 GalNac 配体之间相互作用的高亲和力, 从而提高了 siRNA 向肝脏递送效率。

2'-O-十六烷基 (C16) 是一种短的脂质链, 连接在 siRNA 上, 赋予其亲脂性, 以便与细胞膜或膜蛋白相互作用。与再生元 (Regeneron Pharmaceuticals) 共同合作开发的 ALN-APP

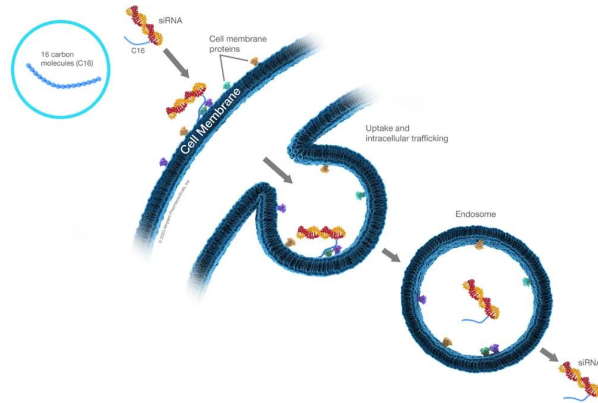
是针对淀粉样前体蛋白的 RNAi 治疗药物，处于 II 期，用于治疗阿尔茨海默病和脑淀粉样血管病，它采用了 C16 偶联技术。ALN-APP 通过鞘内注射的方式给药。

图表 17: GalNAc



资料来源: BioPlus, Alnylam, 华金证券研究所

图表 18: C16 偶联技术



资料来源: BioPlus, Alnylam, 华金证券研究所

Alnylam 的核心优势在于其 GalNAc 递送技术平台，该技术可高效将小核酸药物递送至肝脏细胞，解决了肝脏相关适应症的递送效率问题。这一技术不仅提升了药物的靶向性和疗效，还降低了给药频率。管线覆盖罕见病、心血管、代谢、神经系统等多个治疗领域，形成了丰富的梯队。包括新一代 TTR 产品 Nucresiran、高血压药物 Zilebesiran 等，覆盖了从罕见病到慢性病的广泛适应症，为未来增长提供了多元支撑。

图表 19: Alnylam 在研管线

### Robust and High-Value Pipeline of RNAi Therapeutics

		PHASE 1	PHASE 2	PHASE 3	APPROVED
TTR	ONPATTRO® (patisiran)	hATTR Amyloidosis with Polyneuropathy			
	AMVUTTRA® (vutrisiran)	ATTR Amyloidosis with Cardiomyopathy and hATTR Amyloidosis with Polyneuropathy			
	Nucresiran (ALN-TTRsc04)	ATTR Amyloidosis with Cardiomyopathy			
RARE	GIVLAARI® (givosiran)	Acute Hepatic Porphyria			
	OXLUMO® (lumasiran)	Primary Hyperoxaluria Type 1			
	Qfita™ (fitusiran) <sup>1</sup>	Hemophilia A or B			
	Cemdisiran <sup>1</sup>	Myasthenia Gravis			
	Cemdisiran <sup>1</sup>	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria			
	ALN-6400	Bleeding Disorders			
CARDIOVASCULAR	AG-238 (ALN-TMP) <sup>1</sup>	Polycythemia Vera			
	Leqvio® (inclisiran) <sup>1</sup>	Hypercholesterolemia			
	Zilebesiran <sup>2</sup>	Hypertension			
METABOLIC	Zilebesiran + REVERSIR <sup>2</sup>	Hypertension			
	Raprosiran (ALN-HSD) <sup>1</sup>	Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH)			
	ALN-4324	Type 2 Diabetes Mellitus			
	ALN-PNP <sup>3</sup>	Non-Alcoholic Fatty Liver Disease (NAFLD)			
	ALN-APOC3 <sup>1</sup>	Dyslipidemia			
NEUROLOGIC	ALN-CIDEB <sup>1</sup>	MASH			
	Mivelsiran <sup>4</sup>	Cerebral Amyloid Angiopathy			
	Mivelsiran <sup>4</sup>	Alzheimer's Disease			
	ALN-HTT02 <sup>5</sup>	Huntington's Disease			
OTHER	ALN-SOD <sup>3</sup>	SOD1 Amyloidosis/Lateral Sclerosis			
	Cemdisiran <sup>1</sup>	Geographic Atrophy			
	Elebsiran <sup>1</sup>	Hepatitis D Virus Infection			
	Elebsiran <sup>1</sup>	Hepatitis B Virus Infection			
	ALN-BCAT	Hepatocellular Carcinoma			
	ALN-ANG3 <sup>1</sup>	Healthy Volunteers			
	ALN-F1202 <sup>1</sup>	Healthy Volunteers			

<sup>1</sup> Out-licensed with milestones and/or royalties; <sup>2</sup> Partnered; Alnylam-led development with U.S. profit split and milestones/royalties ex-U.S.; <sup>3</sup> Partner-led with profit split; <sup>4</sup> Product developed as part of collaboration with Regeneron; <sup>5</sup> Partnered; Alnylam-led with profit split



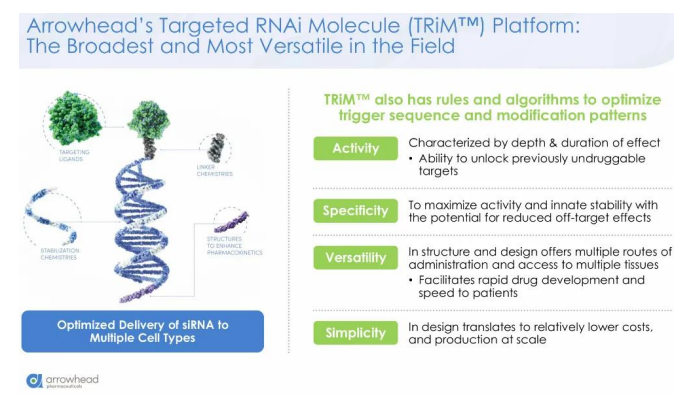
资料来源: BioPlus, Alnylam, 华金证券研究所

Arrowhead: TRIM 平台技术领先，实现组织特异性靶向

采用优化靶向化合物，实现组织特异性靶向，针对不同的候选药物优化以下组件：高亲和力和靶向配体、可调控的连接子、优化药代动力学特性以及经过化学修饰的 RNAi 触发分子。从而对 RNAi 疗法的稳定性，及靶向递送能力进行优化。

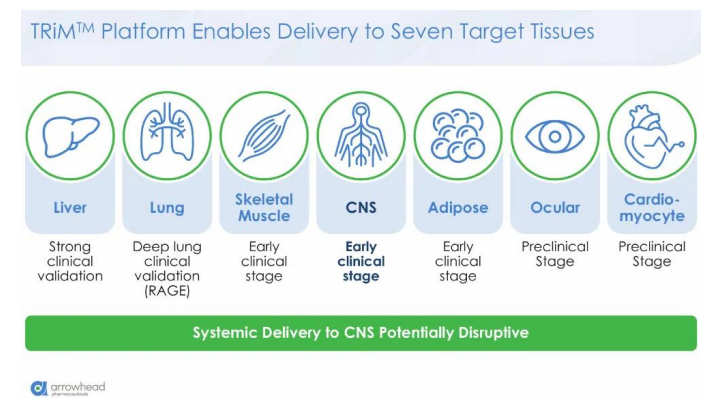
突破肝外递送：通过改变与 RNAi 分子偶联的靶向化合物，TRiM 平台期望将 RNAi 疗法有特异性地递送到不同的组织中，旨在克服传统 RNAi 疗法的递送瓶颈，实现肝外组织的精准靶向，将 RNAi 疗法拓展到脂肪组织、中枢神经系统（CNS）、肺部、肌肉等多个肝外组织。

图表 20: Arrowhead TRiM 平台的特点



资料来源: BioPlus, Arrowhead, 华金证券研究所

图表 21: TRiM 平台能够靶向的组织

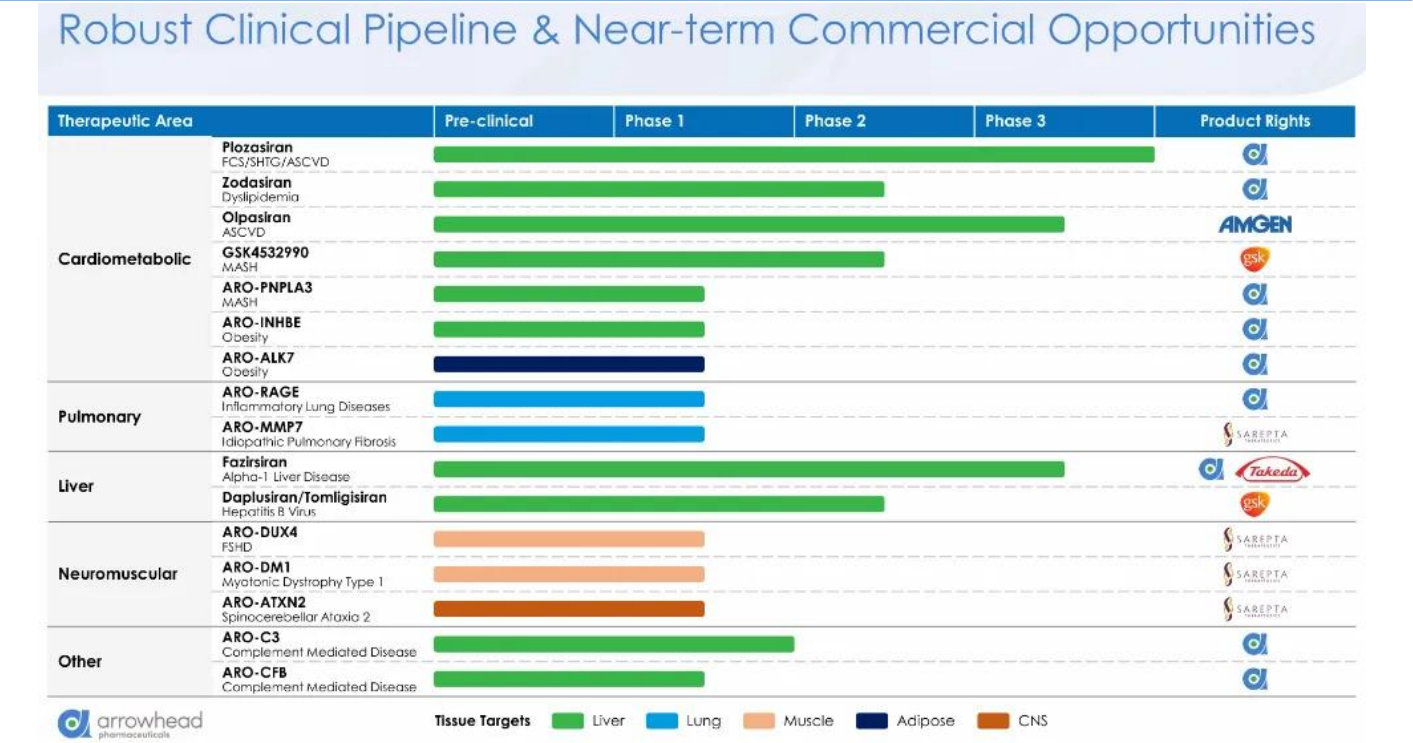


资料来源: BioPlus, Arrowhead, 华金证券研究所

目前 Arrowhead Pharmaceuticals 有 16 个临床阶段项目（8 个自研；8 个合作）涵盖了不同临床阶段的候选药物，包括 Plozasiran 等多个重点产品已进入临床三期。

总体看，目前代谢及 Obesity 是 Arrowhead 最重点的方向之一，其次是 BBB 递送作为快速推进的方向，实现弯道超车；补体 siRNA 和肺部靶向 siRNA 全球权益目前依然在手。

图表 22: Arrowhead 研发管线



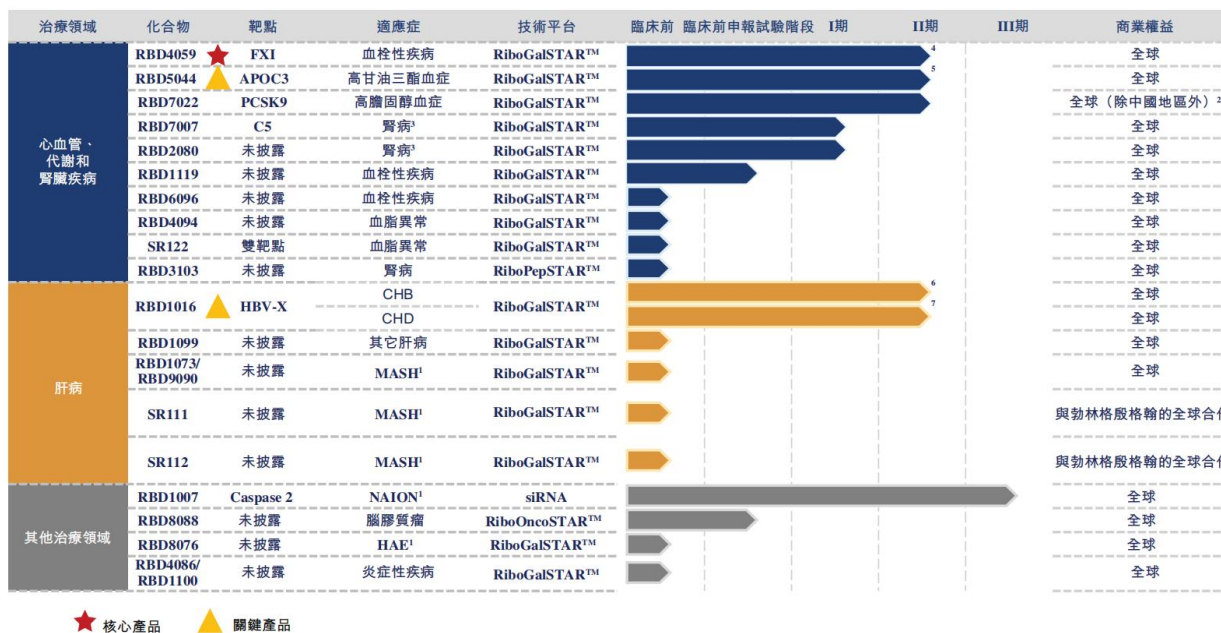
资料来源: BioPlus, Arrowhead, 华金证券研究所

(2) 国内市场：外部引进与自主创新结合

瑞博生物是全球为数不多拥有自主研发且经过临床验证的 **GaINAc** 递送技术的企业之一。**RiboGalSTAR** 是首个亦是唯一一个中国开发并已向一家全球跨国公司对外许可的 **RNAi** 技术平台。2023 年 12 月，瑞博生物与齐鲁药业达成协议，将一款治疗高血脂症的 **GaINAc-siRNA** 药物 **RBD7022** 大中华区权益授权给齐鲁制药，协议总交易金额超过 7 亿元。同月，瑞博生物与 **Boehringer Ingelheim** 达成合作，共同开发治疗非酒精性或代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（**NASH/MASH**）的小核酸创新疗法，根据双方合作条款，瑞博除了将收到一笔预付款外，在此次多靶点合作项目中，瑞博将有权获得基于开展临床研究、药物注册和商业成功等里程碑付款以及上市产品的阶梯式销售提成，总交易金额超过 20 亿美元，为中国第一个小核酸领域的 **license out** 授权。

2026 年 1 月 9 日，瑞博生物（06938.HK）正式登陆香港交易所主板，标志着中国药企在 **siRNA** 创新药赛道的资本化突破。2 月 11 日，公司将授予 **Madrigal** 多款 **MASH** 领域单靶点及双靶点临床前 **siRNA** 资产的全球独家研发、生产与商业化权利。瑞博生物将获得 6000 万美元首付款；在达成临床开发、监管审批及商业销售等一系列里程碑节点后，瑞博生物将有资格获得累计 44 亿美元包含首付款和里程碑在内的款项，同时可享受基于合作产品全球净销售额的特许权使用费。

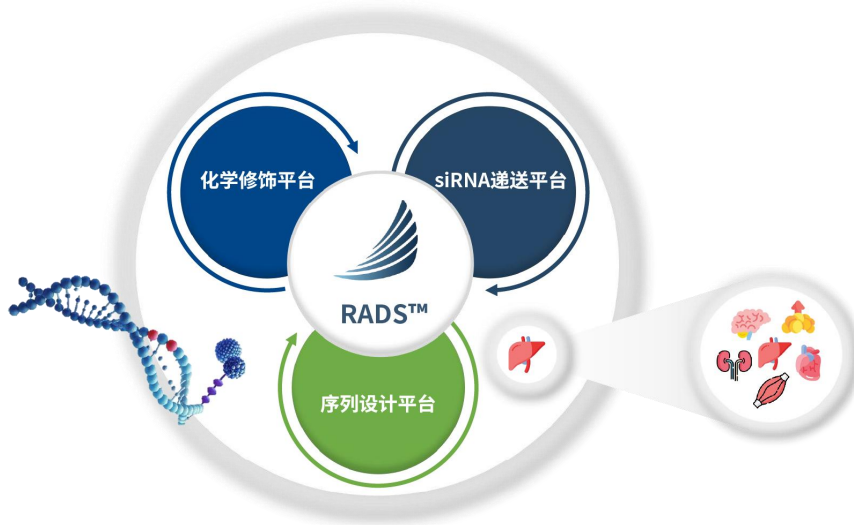
图表 23: 瑞博生物在研管线



资料来源：瑞博生物招股书，华金证券研究所

船望制药成立于 2021 年 4 月，致力于开发新一代 **siRNA** 药物，为患者提供更好的治疗手段。团队在核酸序列设计、化学修饰、**GaINAc** 递送技术、肝脏外递送技术、寡聚核酸合成、**CMC** 等 **RNAi** 药物开发的全流程环节拥有多年专业经验。船望制药与诺华于 2024 年 1 月、2025 年 9 月两度达成战略合作，聚焦心血管领域 **siRNA** 疗法。公司利用其行业领先的 **RADSTM** 平台技术（具有更强活性、持久性和安全性的 **RNA** 分子），建立了丰富且差异化的 **siRNA** 药物管线，旨在为患者带来具有深远意义的临床价值，并为部分适应症设定了“一年一针”的临床治疗目标。

图表 24: 船望制药 RASD 平台



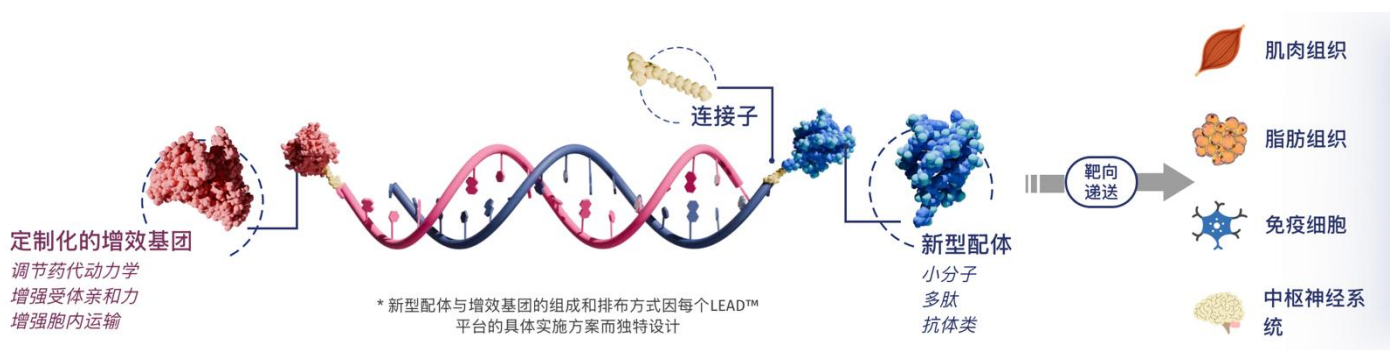
RADS (具有更强活性、持久性和安全性的RNA分子)

资料来源: BioPlus, 船望制药, 华金证券研究所

LEAD™ (Ligand and Enhancer Assisted Delivery, 新型配体与增效基团协同递送) 平台, 是圣因生物自主研发的一种组织选择性递送技术, 能够实现 RNAi 药物在肝外组织与细胞中的高效、特异性递送。基于该平台, 有望开发出每年仅需两次皮下给药的代谢性疾病突破性疗法。

2025 年 11 月 8 日, 圣因生物与礼来制药达成一项全球研发合作与许可协议, 双方将基于圣因生物专有的 LEAD™ 平台共同推动针对代谢性疾病的 RNAi 候选药物的开发。圣因生物将负责基于 LEAD™ 平台为双方合作项目筛选并确定最优 RNAi 活性分子, 礼来公司将负责后续药物的 IND 申报研究、临床开发和商业化。

图表 25: 圣因生物 LEAD™ 肝外递送平台



资料来源: 圣因生物官网, 华金证券研究所

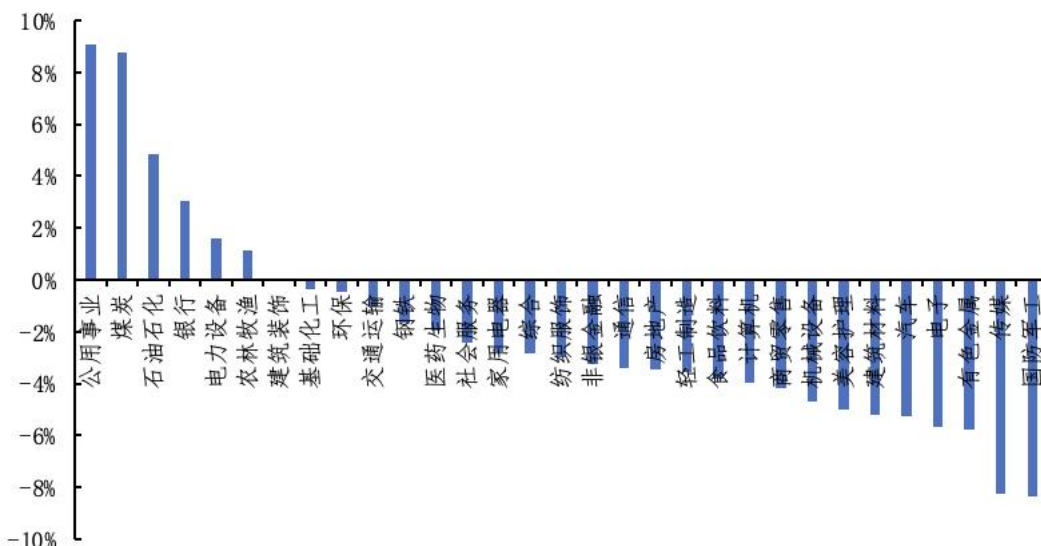
## （五）投资建议

小核酸领域是近年来的研发热点，其技术壁垒高、市场增长快，且正从罕见病向慢性病等重大疾病拓展。投资应聚焦于拥有核心技术平台（如高效递送系统）和前沿管线的企业。建议关注：1) 拥有核心技术平台的企业：瑞博医药、前沿生物、中国生物制药等；2) 具备差异化优势管线的企业：信达生物、石药集团、信立泰、必贝特等。

## 二、医药行业行情回顾

上两周（2026.03.02-2026.03.13）申万医药指数跌幅 1.98%，沪深 300 指数跌幅 0.77%，跑输沪深 300 指数 1.21%，在申万 31 个一级行业指数中排名第 12 位。

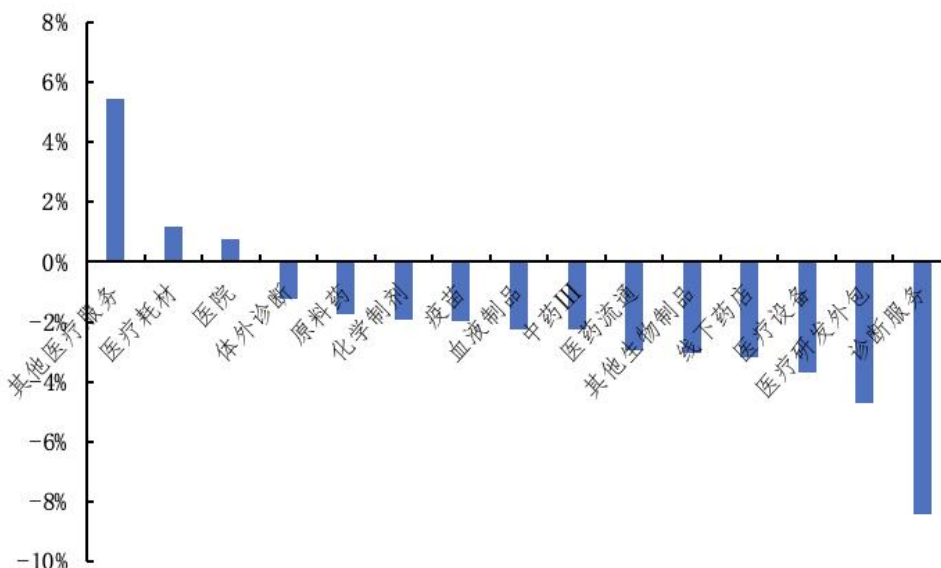
图表 26：申万一级行业指数周度涨跌幅（2026.03.02-2026.03.13）



资料来源：同花顺 iFind，华金证券研究所

根据申万三级行业划分，各子板块互有涨跌。上两周医药行业涨幅最大的子板块为其他医疗服务（5.45%），其次为医疗耗材（1.18%）和医院（0.76%）。

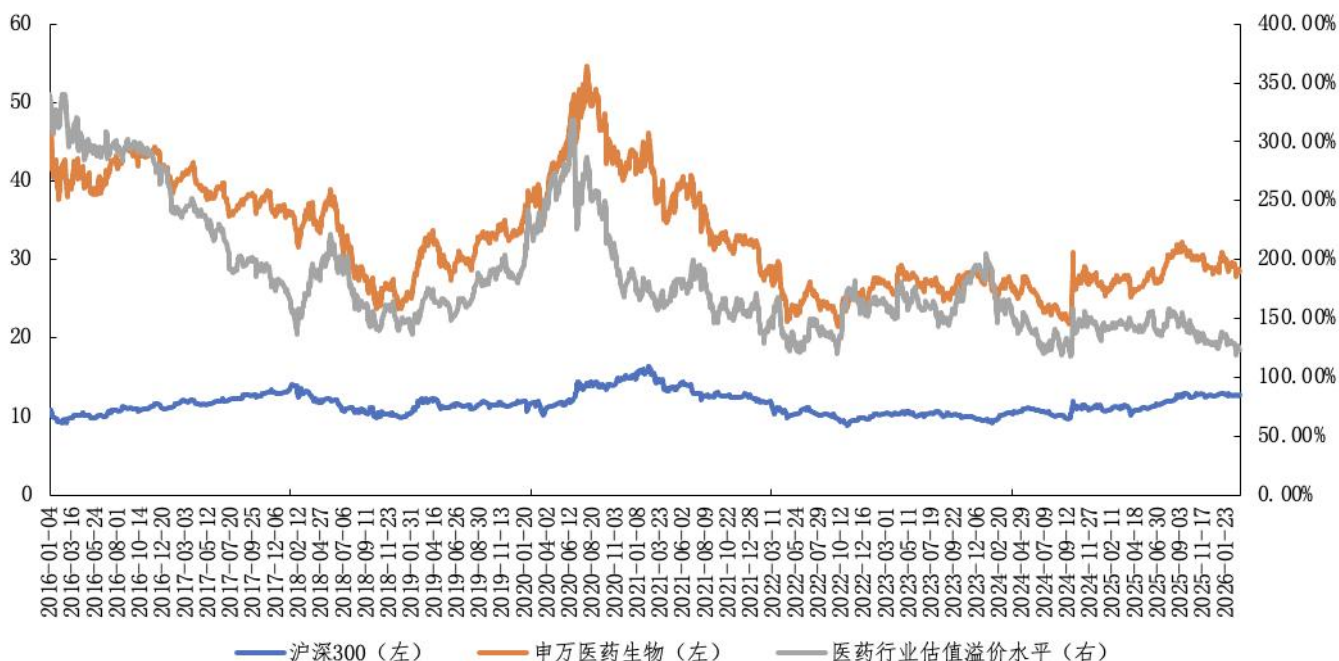
图表 27: 医药各细分行业指数区间涨跌幅 (2026.03.02-2026.03.13)



资料来源: 同花顺 iFind, 华金证券研究所

截至上周五 (2026.03.13) 医药生物行业指数 PE (TTM, 剔除负值) 为 28.56 倍, 沪深 300 指数 PE (TTM, 剔除负值) 为 12.80 倍, 医药生物行业相较于沪深 300 指数的估值溢价率为 123.20%, 仍处于历史低位。

图表 28: 医药生物行业估值溢价水平 (截至 2026.03.13)



资料来源: 同花顺 iFind, 华金证券研究所

### 三、医药周度要闻回顾

十四届全国人大四次会议在北京开幕，政府工作报告中指出，2025年，生物医药等研发应用走在世界前列，健全基本医保参保长效机制，优化医药集采措施，推出商保创新药目录，持续加强党风廉政建设和反腐败斗争。今年，继续健全医疗、医保、医药协同发展机制，加强基层用药衔接，优化医药集采和价格治理，推进中医药传承创新，加快发展商业健康保险，推动创新药高质量发展。

图表 29：上两周医药行业新闻梳理（截至 2026.03.13）

时间	新闻
3月3日	中国国家药监局药品审评中心（CDE）官网公示显示，礼来（Eli Lilly and Company）申报的3.1类新药来瑞奇珠单抗注射液上市申请获得受理。公开资料显示，来瑞奇珠单抗（lebrikizumab）是一款抗IL-13单抗，此前已经于2024年9月获美国FDA批准用于治疗中度至重度特应性皮炎成年和青少年患者，这些患者尽管使用局部药物治疗但病情仍无法得到控制。该产品能以每月一次的维持剂量为患者提供更便利的治疗。
3月3日	诺和诺德「司美格鲁肽注射液」新适应症在国内申报上市，并拟纳入优先审评，适应症为：用于治疗代谢相关脂肪性肝炎（MASH）伴中重度肝纤维化（符合 F2-F3 期纤维化）的非肝硬化成人患者。
3月5日	十四届全国人大四次会议在北京开幕，政府工作报告中指出，2025年，生物医药等研发应用走在世界前列，健全基本医保参保长效机制，优化医药集采措施，推出商保创新药目录，持续加强党风廉政建设和反腐败斗争。今年，继续健全医疗、医保、医药协同发展机制，加强基层用药衔接，优化医药集采和价格治理，推进中医药传承创新，加快发展商业健康保险，推动创新药高质量发展。
3月9日	君实生物宣布，该公司自主研发的抗PD-1单抗皮下制剂特瑞普利单抗注射液（皮下注射）（产品代号：JS001sc）用于肿瘤治疗的12项适应症上市申请于近日获得中国国家药品监督管理局（NMPA）受理。
3月10日	片仔癀（北京）大健康科技发展有限公司（以下简称“片仔癀大健康”）以8013万元成功竞得北京大兴一块工业用地，将用于片仔癀北方大健康智造项目。根据规划，该项目将于2026年10月开工建设，总投资约7.54亿元，预计2028年4月竣工。项目达产后，预估可实现年产值11.8亿元。
3月11日	礼来宣布，计划未来十年累计投资30亿美元全面扩展在华供应链产能，打造口服固体制剂本土生产与供应体系，着力布局首个申报注册的口服小分子 GLP-1 受体激动剂 orforglipron 的生产能力。此次投资是礼来深耕中国、助力本土医疗健康事业发展的又一重要举措。礼来中国已于2025年底向国家药品监督管理局提交orforglipron用于治疗2型糖尿病与肥胖症的上市申请。
3月11日	金赛药业宣布，其自主研发的GenSci128片已获得美国FDA授予的孤儿药资格（ODD），用于胰腺癌的治疗。
3月12日	正大天晴宣布，其自主研发的1类创新药IDH1抑制剂TQB3454片治疗伴IDH1突变晚期胆道癌的3期临床研究已完成方案预设的期中分析，独立数据监查委员会（IDMC）判定主要研究终点无进展生存期（PFS）、总生存期（OS）均达到方案预设的优效界值。公司已获得中国国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）书面同意，将于近期递交该适应症的上市申请。

资料来源：新浪医药，无锡市生物医药产业发展促进中心，泰伦仕管理咨询，赛柏蓝，各公司公告，华金证券研究所

### 四、风险提示

**研发失败与进展不及预期风险：**部分在研品种处于临床早期，疗效和安全性未充分验证，存在临床试验失败或结果不及预期的可能。

**市场竞争加剧风险：**靶点同质化（如 PCSK9 抑制剂赛道）可能导致价格压力；即使新兴靶点，多企业同步成功也会影响商业回报。

**政策与支付环境变化风险：**国内医保谈判、带量采购等政策可能影响定价和市场渗透；国际贸易政策变化或阻碍海外拓展。

**数据披露不及预期风险：**临床数据公开延迟或不足可能影响研发进度和市场信心。

**知识产权纠纷风险等：**技术平台（如递送系统）专利密集，潜在纠纷可能制约开发。

## 投资评级说明

公司投资评级：

买入 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数涨幅大于 15%；

增持 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数涨幅在 5%至 15%之间；

中性 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数涨幅在 -5%至 5%之间；

减持 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数跌幅在 5%至 15%之间；

卖出 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数跌幅大于 15%。

行业投资评级：

领先大市 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数领先 10%以上；

同步大市 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数涨跌幅介于 -10%至 10%；

落后大市 — 未来 6-12 个月内相对同期相关证券市场代表性指数落后 10%以上。

基准指数说明：A 股市场以沪深 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，美股市场以标普 500 指数为基准。

## 分析师声明

刘颖然声明，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。

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

办公地址：

上海市浦东新区杨高南路 759 号陆家嘴世纪金融广场 30 层

北京市朝阳区建国路 108 号横琴人寿大厦 17 层

深圳市福田区益田路 6001 号太平金融大厦 10 楼 05 单元

电话：021-20655588

网址：[www.huajinsec.cn](http://www.huajinsec.cn)