

CGT 产业新纪元：广东政策红利与中国市场商业化加速

强于大市 (维持)

——医药生物行业跟踪报告

2026 年 04 月 27 日

行业核心观点：

近日，美国食品药品监督管理局 (FDA) 已加速批准 Otarmeni™ (lunsotogene parvec-cwha) 药物上市，该药物获批用于治疗中重度至重度及极重度与耳蜗外耳道畸形 (OTOF) 相关的听力损失，这是首个获 FDA 批准、能将神经感觉功能恢复至正常水平的基因疗法。同期，广东省工业和信息化厅牵头起草了《广东省细胞与基因治疗产业高质量发展实施方案（征求意见稿）》，抢抓细胞与基因治疗产业发展机遇。

投资要点：

Otarmeni 获 FDA 批准上市： 4 月 23 日，美国食品药品监督管理局 (FDA) 已加速批准 Otarmeni™ (lunsotogene parvec-cwha) 药物上市，这是 FDA 国家优先审评 (Commissioner's National Priority Voucher) 下首个基因疗法及第二个新分子实体。该药物获批用于治疗中重度至重度及极重度与耳蜗外耳道畸形 (OTOF) 相关的听力损失，这是首个获 FDA 批准、能将神经感觉功能恢复至正常水平的基因疗法。美国食品药品监督管理局 (FDA) 批准 Otarmeni 标志着遗传性听力损失治疗进入了一个新时代，现如今已能够帮助患者恢复全天候的自然听力。

《广东省细胞与基因治疗产业高质量发展实施方案（征求意见稿）》发布： 4 月 21 日，广东省工业和信息化厅牵头起草了《广东省细胞与基因治疗产业高质量发展实施方案（征求意见稿）》（以下简称《实施方案》）。《实施方案》围绕产业高质量发展关键环节，提出五个方面 25 条具体措施。一是强化关键技术攻关与数据要素赋能。二是夯实创新基础与平台支撑体系。三是优化产业布局与精准招商引资。四是畅通临床研究转化与审评监管机制。五是完善支付保障并拓展国内国际市场。

CGT 药物上市加速态势明显： 截至 2026 年 4 月，国内共有 10 款细胞和基因治疗药物获批上市，从上市时间来看，2021 年、2023 年、2024 年各上市 2 款，2025 年上市 4 款；其中 5 款 CD19 CAR-T，主要用于血液瘤治疗；3 款 BCMA CAR-T，针对多发性骨髓瘤；1 款干细胞治疗（艾米迈托赛注射液，2025 年 1 月获批）；1 款基因治疗（波派达可基注射液，2025 年 4 月获批，治疗血友病 B）。随着《商业健康保险创新药品目录》政策的实施，将进一步推动细胞和基因治疗药物的商业化进程。

投资建议： 建议关注：（1）拥有通用型 CAR-T、AAV 载体和基因编辑等核心技术平台的龙头企业；（2）差异化布局实体瘤、罕见病等未满足需求适应症的创新 Biotech；（3）产业链上游 CDMO 与

行业相对沪深 300 指数表现



数据来源：聚源，万联证券研究所

相关研究

健全药品价格形成机制，支持高水平创新药加快建设分级诊疗体系，推动医疗卫生服务资源高效配置
投融资与出海双轮驱动，CXO 迎来景气度修复与全球化新周期

分析师：

宣潇君

执业证书编号：S0270522020002

电话：15121028961

邮箱：xuanxj@wlzq.com.cn

研究助理：

张源木

电话：19311516624

邮箱：zhangym1@wlzq.com.cn

设备供应商。

风险因素：政策与监管变动风险，药品商业化不及预期风险，技术路线失败风险等。

正文目录

1 Otarmeni 获 FDA 批准上市4

 1.1 获批适应症4

 1.2 临床试验数据亮眼4

2 《广东省细胞与基因治疗产业高质量发展实施方案（征求意见稿）》发布5

 2.1 总体要求5

 2.2 重点任务5

 2.3 健全统筹推进与要素保障机制5

3 国内细胞和基因治疗进展5

 3.1 针对 OTOF 先天性耳聋的基因治疗研究5

 3.2 CGT 药物上市加速态势明显6

4 投资建议7

5 风险提示8

图表 1: 治疗有效患者的 ABR、ASSR 及行为测听阈值(从给药前至随访 2.5 年).....6

图表 2: 国内获批上市的细胞和基因治疗药物7

1 Otarmeni 获 FDA 批准上市

4月23日，美国食品药品监督管理局（FDA）已加速批准Otarmeni™（lunsotogene parvec-cwha）药物，这是FDA国家优先审评（Commissioner's National Priority Voucher）下首个基因疗法及第二个新分子实体。该药物获批用于治疗中重度至重度及极重度与耳蜗外耳道畸形（OTOF）相关的听力损失，这是首个获FDA批准、能将神经感觉功能恢复至正常水平的基因疗法。

1.1 获批适应症

Otarmeni是一种基于腺相关病毒载体的基因疗法，适用于治疗因OTOF基因经分子学确认的双等位基因突变、外毛细胞功能完好且同侧耳未曾接受过人工耳蜗植入，从而导致中重度至重度及极重度感音神经性听力损失（任何频率听力水平>90分贝[dB HL]）的儿童及成人患者。

与OTOF相关的听力损失是一种极其罕见的疾病，在美国每年约有50名新生儿受其影响。尽管耳内所有结构均完好无损，但OTOF基因的变异导致缺乏具有功能的耳蜗蛋白（otoferrin），而该蛋白对于内耳感觉细胞与听神经之间的信息传递至关重要。历史上，遗传性OTOF相关听力损失被认为是永久性的，通常通过终身使用助听设备进行管理。虽然这些设备能够放大声音以改善不同程度听力损失患者的听力，但目前尚无法还原完整的声音频谱。

美国食品药品监督管理局（FDA）批准Otarmeni标志着遗传性听力损失治疗进入了一个新时代，现如今已能够帮助患者恢复全天候的自然听力。

1.2 临床试验数据亮眼

此次FDA批准基于关键性CHORD试验的结果。CHORD试验是一项正在进行的、注册期的1/2期多中心开放标签试验，旨在评估Otarmeni在患有OTOF相关听力损失的婴儿、儿童和青少年中的安全性、耐受性和疗效。该试验中，20名受试者（年龄10个月至16岁）通过耳蜗内输注接受单次Otarmeni给药，其中包括单侧（单耳；n=10）和双侧（双耳；n=10）两种给药方式。试验结果显示：

- 根据纯音听力测定结果，80%（20名受试者中的16名）在第24周时听力阈值≤70分贝（HL），达到了试验的主要终点；另有1名受试者第48周时达到了该阈值。该阈值符合临床标准，可实现自然听力，通常无需进行人工耳蜗植入手术。
- 70%（20名受试者中的14名）在第24周时显示出≤90分贝的听觉脑干反应（ABR），达到了该试验的关键次要终点。ABR是通过记录大脑对声音产生的电信号来测量的，是听力功能的客观验证。
- 在随访至第48周的受试者中，所有先前对治疗有反应的患者均维持了治疗反应，且42%的受试者（12人中的5人）听力恢复至正常水平，包括能听清耳语（≤25 dB HL）。

在CHORD研究的安全性观察人群（n=24）中，与Otarmeni相关的最常见不良反应（≥5%）包括中耳炎、呕吐、恶心、头晕、手术疼痛、步态异常和眼球震颤。

2 《广东省细胞与基因治疗产业高质量发展实施方案（征求意见稿）》发布

4月21日，为深入实施《关于进一步推动广东生物医药产业高质量发展的行动方案》，抢抓细胞与基因治疗产业发展机遇，进一步打通基础研究、技术攻关、临床研究、审评审批、生产制造、转化应用、支付保障、国际合作等关键环节，加快培育形成具有国际影响力的产业发展高地，广东省工业和信息化厅牵头起草了《广东省细胞与基因治疗产业高质量发展实施方案（征求意见稿）》（以下简称《实施方案》）。

《实施方案》共分为三个部分，总体要求、重点任务和健全统筹推进与要素保障机制。

2.1 总体要求

主要明确了指导思想、发展定位和阶段性目标，提出以临床需求与应用为导向，围绕基础研究、技术和产品开发、伦理审查、临床试验、审评审批、检验检测、标准制定、安全评价、生产制造、转化应用、入院应用、医保支持、数据共享和安全等全链条，全面统筹推进科技、金融、人才、服务等营商环境和产业生态优化。发展目标方面，提出到2028年产业协同效能不断提升，新增相关生物医学新技术临床备案30项，形成临床转化应用医学新技术5项；到2030年，推动10家企业达到上市条件，形成2个以上在国内外具有较强影响力的细胞与基因治疗产业集聚区。

2.2 重点任务

围绕产业高质量发展关键环节，提出五个方面25条具体措施。一是**强化关键技术攻关与数据要素赋能**。重点围绕省重点领域研发计划专项布局、关键设备和原材料攻关、人工智能赋能研发生产和审评监管、全产业链数据共享开放体系建设、真实世界数据积累和开发利用等提出具体举措。二是**夯实创新基础与平台支撑体系**。重点围绕重大科技基础设施建设、高水平科研创新平台体系建设、省级区域细胞制备中心和产业公共服务平台建设、知识产权运营转化等提出具体举措。三是**优化产业布局与精准招商引资**。重点围绕产业集群布局、重点企业和项目招引、项目清单化管理和跟踪服务等提出具体举措。四是**畅通临床研究转化与审评监管机制**。重点围绕临床医学研究中心建设、临床研究备案和转化应用、伦理审查结果互认、数智化审评监管、创新产品入院应用、科技成果转化、质量技术标准体系建设等提出具体举措。五是**完善支付保障并拓展国内国际市场**。重点围绕医保和商业保险支持、干细胞治疗先行试点、港澳药械通拓展、跨境监管协作、国际市场开拓、国际注册和知识产权服务等提出具体举措。

2.3 健全统筹推进与要素保障机制

重点从完善统筹协调工作机制、推进产业立法、加大资金支持、强化金融保险助力、支持人才引育、强化人才激励等方面，提出保障措施，推动形成部门协同、上下联动、要素集聚、政策集成的工作格局，为细胞与基因治疗产业高质量发展提供有力支撑。

3 国内细胞和基因治疗进展

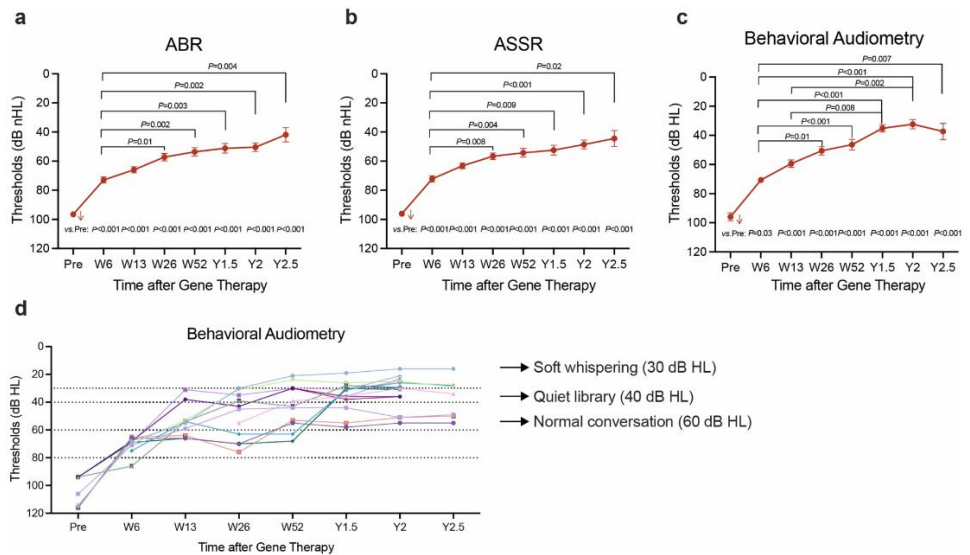
3.1 针对 OTOF 先天性耳聋的基因治疗研究

4月22日，复旦大学附属眼耳鼻喉科医院舒易来、李华伟领衔的先天性耳聋基因治疗

多中心临床研究团队，于国际知名期刊 Nature 发表题为“Multicentre gene therapy for OTOF-related deafness followed up to 2.5 years”的论文。该研究针对 OTOF 先天性耳聋的基因治疗，发布了长达 2.5 年的结果，并发现预判临床疗效的核心生物标志物。这不仅是耳聋基因治疗领域全球开展最早、纳入患者最多、随访时间最长的临床研究，更覆盖目前全球报道中最小至最大年龄（9 个月-32 岁）的患者，为先天性耳聋的治疗打开全新局面，是我国从创新研发到临床应用的典范。

临床数据显示，90% 的患者在治疗后成功恢复听力，并且听力水平呈现持续、稳定的提升趋势。患者听觉脑干反应 (ABR) 的平均阈值从给药前的 >97 dB nHL 逐步改善至治疗后 2.5 年时的 42 dB nHL，多频稳态诱发电位 (ASSR) 阈值从给药前的 >96 dB nHL 改善至 2.5 年时的 44 dB nHL，行为测听阈值从给药前的 >96 dB HL 改善至 2.5 年时的 37 dB HL。长期随访达 2.5 年的患者中，100% 有效患者的听力水平恢复到能听清日常交谈，57% 可识别图书馆级别的轻微背景音，43% 能听见耳语。

图表1: 治疗有效患者的 ABR、ASSR 及行为测听阈值(从给药前至随访 2.5 年)



资料来源: Jiang, L., Cheng, X., Lv, J. et al. Multicentre gene therapy for OTOF-related deafness followed up to 2.5 years. Nature (2026)., 万联证券研究所

尤为令人振奋的是，这项治疗对成年先天性耳聋患者同样有效。3 名 20 岁以上的成人患者中，2 人听力明显改善：32 岁患者在接受基因治疗后，在 1 年随访时 ABR 听力阈值相比给药前改善了 27 dB nHL；20 岁患者在 13 周随访时，ABR 阈值相比给药前改善了 20 dB nHL，证实了基因治疗对成年耳聋患者的价值。

同时，这项基因治疗还表现出良好的长期安全性。患者均未出现剂量限制性毒性以及严重不良事件，为下一步临床普及应用筑牢了安全底线。

3.2 CGT 药物上市加速态势明显

截至 2026 年 4 月，国内共有 10 款细胞和基因治疗药物获批上市，从上市时间来看，2021 年、2023 年、2024 年各上市 2 款，2025 年上市 4 款；其中 5 款 CD19 CAR-T，主要用于血液瘤治疗；3 款 BCMA CAR-T，针对多发性骨髓瘤；1 款干细胞治疗（艾米迈托赛注射液，2025 年 1 月获批）；1 款基因治疗（波派达可基注射液，2025 年 4 月获批，治疗血友病 B）。随着《商业健康保险创新药品目录》政策的实施，将进一步推动细胞和基因治疗药物的商业化进程。

图表2: 国内获批上市的细胞和基因治疗药物

产品	类型	日期	适应症
阿基仑赛注射液	CD19	2021/6/22	一线免疫化疗无效或在一线免疫化疗后 12 个月内复发的成人 B 细胞淋巴瘤 (r/r LBCL)。
	CAR-T	2023/6/21	既往接受二线或以上系统性治疗后复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤成人患者。
瑞基奥仑赛注射液	CD19	2021/9/1	经过二线或以上系统性治疗后成人患者的复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤 (r/r LBCL)。
		2022/9/30	经过二线或以上系统性治疗的成人难治性或 24 个月内复发的滤泡性淋巴瘤, 包括组织学分级为 1、2、3a 级的滤泡性淋巴瘤。
	CAR-T	2024/8/20	经过包括布鲁顿酪氨酸激酶抑制剂治疗在内的二线及以上系统性治疗的成人复发或难治性套细胞淋巴瘤。
伊基奥仑赛注射液	BCMA CAR-T	2023/6/30	既往经过至少 3 线治疗后进展 (至少使用过一种蛋白酶体抑制剂及免疫调节剂) 的复发/难治性多发性骨髓瘤 (R/RMM) 成人患者。
纳基奥仑赛注射液	CD19 CAR-T	2023/11/7	成人复发或难治性 B 细胞急性淋巴细胞白血病 (r/r B-ALL)。
泽沃基奥仑赛注射液	BCMA CAR-T	2024/2/23	复发或难治性多发性骨髓瘤成人患者, 既往经过至少 3 线治疗后进展 (至少使用过一种蛋白酶体抑制剂及免疫调节剂)。
西达基奥仑赛注射液	BCMA CAR-T	2024/8/20	复发或难治性多发性骨髓瘤 (既往接受过 1 种免疫调节剂+1 种蛋白酶体抑制剂) 的治疗。
艾米迈托赛注射液	干细胞	2025/1/2	14 岁以上、以消化道受累为主的激素治疗失败的急性移植物抗宿主病 (aGVHD)。
波派达可基注射液	基因治疗	2025/4/8	中重度血友病 B (先天性凝血因子 IX 缺乏症) 成年患者。
雷尼基奥仑赛注射液	CD19 CAR-T	2025/7/29	经过二线或以上系统性治疗后成人复发或难治性大 B 细胞淋巴瘤, 包括弥漫性大 B 细胞淋巴瘤非特指型、滤泡性淋巴瘤转化的弥漫性大 B 细胞淋巴瘤、伴 MYC 和 BCL2 重排的高级别 B 细胞淋巴瘤、高级别 B 细胞淋巴瘤非特指型。
普基奥仑赛注射液	CD19 CAR-T	2025/11/4	3-21 岁 CD19 阳性的难治或复发 (首次缓解 12 个月后复发需经挽救化疗) 的急性 B 淋巴细胞白血病患儿。

资料来源: Nature Reviews Drug Discovery 24, 656-657 (2025), 各公司官网, 万联证券研究所

4 投资建议

建议关注: (1) 拥有通用型 CAR-T、AAV 载体和基因编辑等核心技术平台的龙头企业; (2) 差异化布局实体瘤、罕见病等未满足需求适应症的创新 Biotech; (3) 产业链上游 CDMO 与设备供应商。

5 风险提示

政策与监管变动风险，药品商业化不及预期风险，技术路线失败风险等。

行业投资评级

强于大市：未来6个月内行业指数相对大盘涨幅10%以上；

同步大市：未来6个月内行业指数相对大盘涨幅10%至-10%之间；

弱于大市：未来6个月内行业指数相对大盘跌幅10%以上。

公司投资评级

买入：未来6个月内公司相对大盘涨幅15%以上；

增持：未来6个月内公司相对大盘涨幅5%至15%；

观望：未来6个月内公司相对大盘涨幅-5%至5%；

卖出：未来6个月内公司相对大盘跌幅5%以上。

基准指数：沪深300指数

风险提示

我们在此提醒您，不同证券研究机构采用不同的评级术语及评级标准。我们采用的是相对评级体系，表示投资的相对比重建议；投资者买入或者卖出证券的决定取决于个人的实际情况，比如当前的持仓结构以及其他需要考虑的因素。投资者应阅读整篇报告，以获取比较完整的观点与信息，不应仅仅依靠投资评级来推断结论。

证券分析师承诺

本人具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格并登记为证券分析师，以勤勉的执业态度，独立、客观地出具本报告。本报告清晰准确地反映了本人的研究观点。本人不曾因，不因，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收到任何形式的补偿。

免责声明

万联证券股份有限公司（以下简称“本公司”）是一家覆盖证券经纪、投资银行、投资管理和证券咨询等多项业务的全国性综合类证券公司。本公司具有中国证监会许可的证券投资咨询业务资格。

本报告仅供本公司的客户使用。本公司不会因接收人收到本报告而视其为客户。在任何情况下，本报告中的信息或所表述的意见并不构成对任何人的投资建议。本报告中的信息或所表述的意见并未考虑到个别投资者的具体投资目的、财务状况以及特定需求。客户应自主作出投资决策并自行承担投资风险。本公司不对任何人因使用本报告中的内容所导致的损失负任何责任。在法律许可情况下，本公司或其关联机构可能会持有报告中提到的公司所发行的证券头寸并进行交易，还可能为这些公司提供或争取提供投资银行、财务顾问或类似的金融服务。

市场有风险，投资需谨慎。本报告是基于本公司认为可靠且已公开的信息撰写，本公司力求但不保证这些信息的准确性及完整性，也不保证文中的观点或陈述不会发生任何变更。在不同时期，本公司可发出与本报告所载资料、意见及推测不一致的报告。分析师任何形式的分享证券投资收益或者分担证券投资损失的书面或口头承诺均为无效。

本报告的版权仅为本公司所有，未经书面许可任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制、刊登、发表和引用。未经我方许可而引用、刊发或转载的引起法律后果和造成我公司经济损失的概由对方承担，我公司保留追究的权利。

万联证券股份有限公司 研究所

上海浦东新区世纪大道1528号陆家嘴基金大厦

北京西城区平安里西大街28号中海国际中心

深圳福田区深南大道2007号金地中心

广州天河区珠江东路11号高德置地广场