

2026年5月13日

瑞博生物—B (6938.HK)

SDICSI

公司深度报告

证券研究报告

中国小核酸领军者，全球竞争力持续兑现

瑞博生物成立于2007年，是一家专注于小核酸药物研发的制药企业，已构建起领先的siRNA药物管线。公司已将七款自主研发的siRNA药物推进到临床试验阶段，覆盖心血管、代谢类、肾脏等多种适应症，其中四款已处于II期临床试验阶段。此外，公司凭借重磅技术平台授权与清晰的商业化合作路径，充分验证了自身的全球竞争力——2026年，瑞博生物与全球MASH领域领军企业Madrigal达成全球独家许可协议，总价值达44亿美元。2023年，瑞博生物分别与勃林格殷格翰及齐鲁制药达成合作协议，总交易价值超20亿美元。当前小核酸赛道正加速发展，作为该领域全球第一梯队的生物制药企业，瑞博生物凭借领先的开发进度，有望充分享受行业增长红利，未来成长空间十分广阔。

报告摘要

小核酸赛道正步入黄金发展期，中国企业加速布局这片蓝海市场。作为继小分子药物、抗体药物之后的“第三波”创新浪潮，小核酸药物具备靶点覆盖广、研发迭代空间大、作用效果持久、耐药风险低等显著优势。在各类小核酸药物中，siRNA药物凭借更优的安全性与长效性，已成为国内制药企业的核心布局方向。根据弗若斯特沙利文测算，全球小核酸药物市场增长强劲且持续——从2019年的27亿美元增长至2024年的57亿美元，复合年增长率达16.2%。随着技术持续迭代、上市批准与临床验证不断推进、适应症持续拓展、政策大力支持等多重因素共振，预计全球小核酸药物市场将加速扩容，2034年市场规模有望达到549亿美元。其中，siRNA药物占比已从2019年的6.2%提升至2024年的44.5%，未来有望继续保持强劲增长势头。

瑞博生物是中国siRNA药物开发领域的领军企业，已构建起覆盖肝病、心血管、代谢等多个治疗领域的丰富管线。公司四款核心项目已进入关键的II期临床试验阶段，同时储备了20余项其他临床前资产——包括依托自主研发的靶向肝外器官及组织（如肾脏、中枢神经系统、脂肪细胞、肌肉等代谢相关组织）的技术平台RiboPepSTAR™所产生的多款siRNA候选药物。此外，瑞博生物通过重磅技术平台授权与清晰的商业化合作路径，充分验证了自身的全球竞争力。在核心适应症布局上，心血管及代谢疾病领域的Vortosiran（RBD4059，靶向FXI的siRNA）与RBD5044（靶向APOC3的siRNA）预计于2031年上市，RBD7022（靶向PCSK9的siRNA）预计于2030年上市；肝病领域的RBD1016预计于2032年上市。

瑞博生物与多家海内外知名药企的重磅BD合作，充分彰显其强劲研发实力。2026年公司与Madrigal达成合作，最高可获得44亿美元款项及合作产品全球净销售额特许权使用费；2023年与勃林格殷格翰、齐鲁制药达成合作，总交易价值超20亿美元。一系列合作在盘活公司早期MASH管线的同时，也体现了全球头部药企对其技术实力的高度认可，以及公司出色的BD执行与前瞻布局能力。

当前小核酸赛道正加速发展，瑞博生物作为深耕该领域、开发进度位居全球第一梯队的生物制药企业，有望充分享受行业增长红利，未来成长动能充足。根据DCF估值法测算，公司估值约112亿港元，对应股价66港元，首次覆盖，给予“增持”评级。

风险提示：行业竞争加剧风险、研发进展不及预期、产品商业化不及预期、政策风险等。

盈利预测

	2025A	2026E	2027E	2028E
营业收入(千元)	148,510	350,000	300,000	300,000
增长率(%)	4.1%	135.7%	-14.3%	0%
归母净利润(千元)	-278,059	-424,606	-593,372	-812,303
增长率(%)	-	-	-	-

数据来源：国投证券国际预测

医药

投资评级：

增持

6个月目标价

66港元

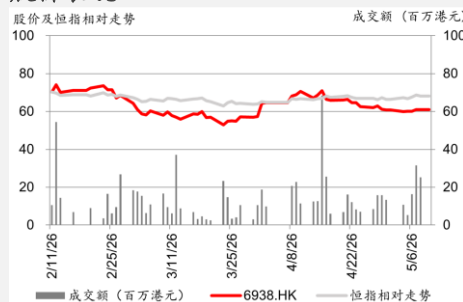
股价 2026-5-12

57.35港元

总市值(亿港元)	97.81
总股本(亿股)	1.71
12个月低/高(港元)	52.95/86.80
平均成交(百万港元)	14.59

股东结构

一致行动人	24%
其他	76%
总共	100.0%

股价表现


%	一个月	三个月	十二个月
相对收益	-20.52	-13.81	-45.36
绝对收益	-18.77	-16.88	-30.15

数据来源：Wind、港交所、公司

 谢欣茹 医药行业分析师
 xiexinru@sdicsi.com.hk



目录

1. 公司介绍	5
1.1. 公司概况	5
1.2. 股权结构	5
1.3. 管理层简介	6
1.4. 财务概况	6
2. 行业概况	8
2.1. 小核酸药物	8
2.2. siRNA 药物	9
2.3. 血栓性疾病	10
2.4. 血脂异常	11
2.5. 肝病——慢性乙型肝炎 (CHB)	14
2.6. 肝病——慢性丁型肝炎 (CHD)	15
3. 技术平台领先, 研发进展位列第一梯队	17
3.1. 技术平台	17
3.2. 研发管线	17
3.3. 核心产品——RBD4059 (Vortosiran)	18
3.4. 重点产品——RBD5044	20
3.5. 重点产品——RBD7022	21
3.6. 重点产品——RBD1016	22
4. 合作模式	24
4.1. 与 Madrigal 的合作	24
4.2. 与齐鲁制药的合作	24
4.3. 与勃林格殷格翰 (BI) 的合作	24
5. 盈利预测及估值	25
6. 风险提示	26
财务报表预测	27

图表索引

图 1: 发展历程	5
图 2: 股权结构图 (截至 2026 年 2 月)	5
图 3: 2023-2025 年公司营业收入情况 (亿元)	7
图 4: 2025 年公司收入拆分	7
图 5: 2023-2025 年公司净利润情况 (亿元)	7
图 6: 2023-2025 年公司研发支出情况 (亿元)	7
图 7: 小核酸赛道发展历程 (截至 12 月 21 日)	8
图 8: siRNA、ASO 和适配体对比	8
图 9: 2019-2034E 全球小核酸药物市场规模 (亿美元)	9
图 10: 2024 年按药物类型划分全球小核酸市场明细	9
图 11: RNAi 作用机制	9
图 12: 血栓性疾病治疗范式	10
图 13: 2019-2034E 全球抗血栓药物市场规模 (亿美元)	11
图 14: 血脂异常治疗范式	12
图 15: 2019-2034E 全球调脂药物市场规模 (亿美元)	12
图 16: 2019-2034E 全球抗 HBV 药物市场规模 (亿美元)	14
图 17: 2019-2034E 全球抗 HDV 药物市场规模 (亿美元)	16
图 18: GalNac 偶联 siRNA 在肝脏中的作用机制	17
图 19: 产品管线 (截至 2025 年 12 月 31 日)	18
图 20: RBD4059 作用机制	19
图 21: FXI 抗原相对于基线的百分比变化平均值 (\pm 标准差)	19
图 22: FXI 活性的百分比变化平均值 (\pm 标准差)	19
图 23: RBD5044 作用机制	21
图 24: RBD7022 作用机制	22
图 25: RBD1016 作用机制	23
图 26: 2026E-2034E 公司收入预测 (亿元)	25
图 27: 公司自由现金流折让估值模型	25



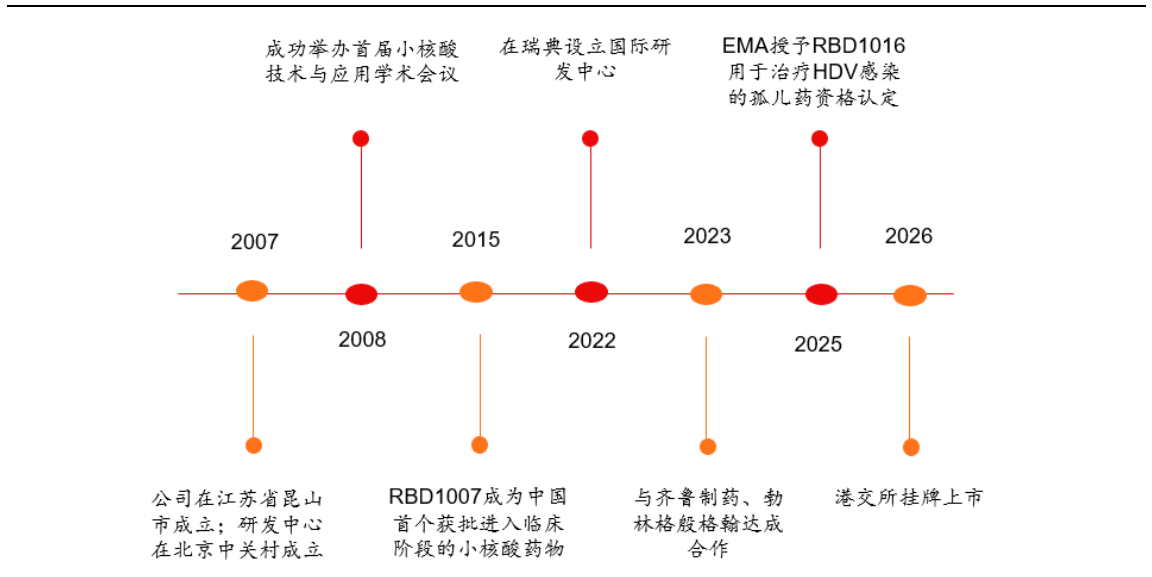
表 1: 全球 siRNA 藥物格局的主要參與者 (截至 2025 年 12 月 21 日)	10
表 2: 全球用於治療血栓性疾病的臨床中靶向 FXI 的 siRNA 藥物 (截至 2025 年 12 月 21 日)	11
表 3: 全球用於治療 HTG 的臨床中靶向 APOC3 的 siRNA 候選藥物 (截至 2025 年 12 月 21 日)	13
表 4: 全球已上市的靶向 PCSK9 治療 HC 的 siRNA 藥物 (截至 2025 年 12 月 21 日)	13
表 5: 全球用於治療 HC 的臨床中靶向 PCSK9 siRNA 藥物 (截至 2025 年 12 月 21 日)	14
表 6: 全球用於治療 CHB 的臨床開發中的抗 HBV siRNA 候選藥物 (II 期或以上) (截至 2025 年 12 月 21 日)	15
表 7: 全球用於治療 CHD 的臨床中抗 HDV siRNA 藥物 (截至 2025 年 12 月 21 日)	16

1. 公司介绍

1.1. 公司概况

苏州瑞博生物（简称“公司”）成立于2007年，是一家专注于研发小核酸药物的制药企业，尤其是siRNA疗法。公司已创建全球最大的siRNA药物管线之一，其中七款自研药物资产已处于临床试验阶段，涉及心血管、代谢类、肾脏和肝脏疾病等八种适应症，其中四款处于II期临床试验。

图 1：发展历程

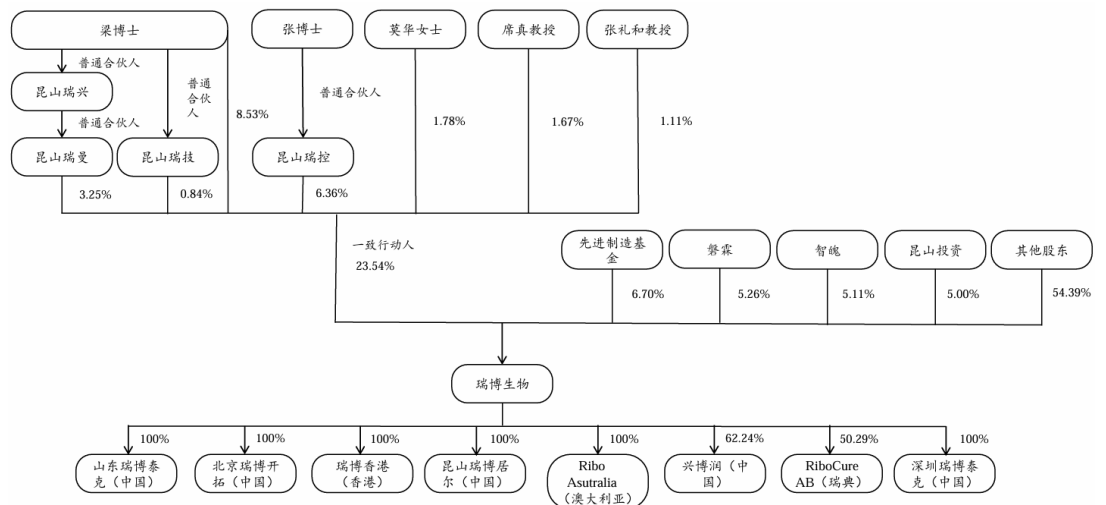


数据来源：招股书、国投证券国际

1.2. 股权结构

截至2026年2月，梁子才博士、张鸿雁博士、莫华女士、席真教授与张礼和教授及公司持股平台为一致行动人，合计持有公司约24%的股权。公司其他重要机构股东包括Ionis Pharmaceuticals, Inc. (IONS.US)、国投创新、中金启德、华润创投等。

图 2：股权结构图（截至 2026 年 2 月）



数据来源：招股书、国投证券国际

1.3. 管理层简介

公司管理层均拥有海外背景且行业经验丰富。

公司创始人、董事长、执行董事兼首席执行官梁子才博士在生命科学、生物技术和制药产业研发和管理方面积累了超过 35 年的丰富经验，获得南开大学动物学学士学位和昆虫学硕士学位，以及瑞典乌普萨拉大学生理真菌学博士学位，并在美国耶鲁大学分子生物物理与生物化学系担任研究员。2006 年 1 月至 2017 年 8 月梁博士在北京大学分子医学研究所工作，历任研究室主任、教授、博士生导师、长聘教授；同期亦兼任该研究所教育委员会主任、学术委员会副主任，和北京大学生命科学学位委员会委员。梁博士曾在多家生物技术公司、教育机构及研究机构担任多个兼职职位，包括 A 股上市公司贝瑞基因。

公司执行董事、联席首席执行官、全球研发总裁兼首席医学官甘黎明博士拥有超过 20 年的制药经验。获得瑞典哥德堡大学医学学士学位和心血管研究和临床生理学博士学位。他于 2000 年 9 月自萨尔格伦斯卡大学医院获得行医执照。自 2008 年起，他在瑞典哥德堡大学担任转化科学和药物开发副教授。加入公司前，在瑞典阿斯利康工作。

公司执行董事兼总裁张鸿雁博士 1988 年 7 月毕业于南开大学，获动物学学士学位；1996 年 6 月取得瑞典乌普萨拉大学动物生理学博士学位。1998 年 11 月前，他任职于美国耶鲁大学分子生物物理与生物化学系，担任研究员。此外，他于 2003 年获瑞典 Stiftelsen Skapa 基金会颁发的 Skapa 证书，2010 年获评江苏省科技厅授予的江苏省双创团队核心成员。

公司执行副总裁童成博士主要负责确保公司研发战略的实施及目标的实现，包括 CMC（化学、生产和质量控制）管理。其在兰州大学获得石油化学学士学位和分析化学硕士学位，在美国佐治亚理工学院获得化学博士学位。加入公司前，曾于 CytRx Corporation 担任高级科学家，于 Solvay Pharmaceuticals, Inc. 担任研究科学家，于 Pfizer Inc. 担任高级总监。

公司高级副总裁兼首席科学官高山博士在河北医科大学（前称河北医学院）获得口腔医学学士学位和中南大学湘雅医学院（前称湖南医科大学）获得口腔医学硕士学位，并于 2004 年获得丹麦哥本哈根大学生命科学博士学位。高山博士加入公司前曾在天津医科大学口腔医院、丹麦奥胡斯大学分子生物学研究所和纳米研究中心就职。

公司首席财务官、董事会秘书兼联席公司秘书张颺获得复旦大学国际商务经济学学士学位，巴黎高等商学院（HEC School of Management）工商管理硕士学位和伦敦政治经济学院会计及金融专业理学硕士学位。其在金融行业拥有超过 20 年经验，加入公司前曾在上海普华永道、香港渣打银行、招商证券（香港）、亚盛医药等公司就职。

公司首席医学官 Anders Gabrielsen 博士获得丹麦哥本哈根大学医学博士学位，随后在卡罗林斯卡医学院担任玛丽·居里访问博士后研究员。其专门研究心力衰竭，在心脏病学和内科各个方面的核心临床团队中发挥关键作用，尤其专注于转化心血管科学，在心血管、肾脏和代谢治疗领域拥有超过 20 年的经验。Gabrielsen 博士的工作涵盖多种作用机制、适应症和产品发布，拥有拜耳、诺华和阿斯利康等领先跨国公司的全球行业经验。

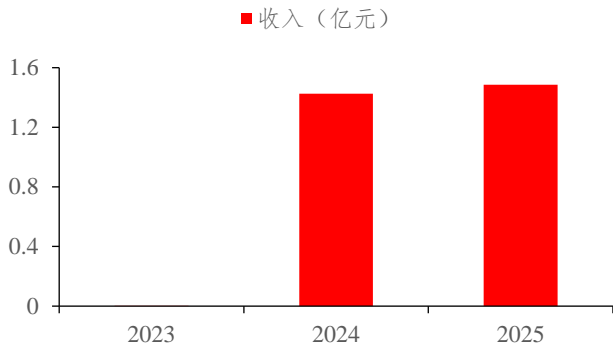
公司首席商务官 John Taylor 博士获得英国布里斯托大学生物化学博士学位，具有 DNA-蛋白质识别和生物化学方面的学术背景，在全球生物制药行业拥有超过 25 年的经验。Taylor 博士曾在阿斯利康业务发展部门任职，主导探索和评估以及执行大量交易。他亦曾在辉瑞全球研发部门工作，担任项目负责人负责执行创新研发。

1.4. 财务概况

2023-2025 年公司实现收入分别为 4 万元、1.4 亿元和 1.5 亿元。2024 年及 2025 年收入大幅增长的原因系公司有合作收入、向齐鲁制药供应药物分子用于研发用途以及销售亚磷酸胺及核苷产品（合成核苷酸链的关键原料）的收入，其中合作收入是公司收入的主要来源，即根据与勃林格殷格翰及齐鲁制药的许可及合作协议而收取的首付款及里程碑付款。

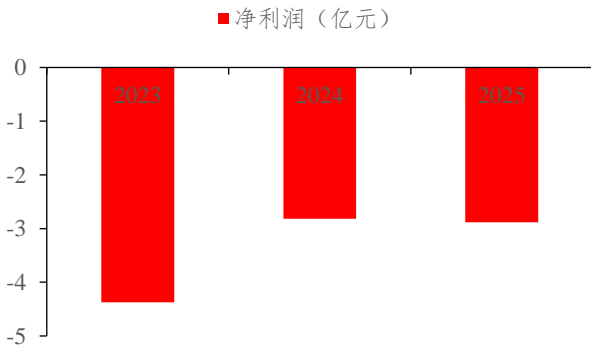
由于公司是一家 biotech 企业，会产生大量的研发开支及与持续运营相关的其他开支，故公司在 2023 年、2024 年及 2025 年净亏损分别为 4.4 亿元、2.8 亿元和 2.9 亿元，研发开支分别为 3.2 亿元、2.8 亿元和 2.8 亿元，行政开支分别为 8,111 万元、9,251 万元和 1.2 亿元。

图 3：2023-2025 年公司营业收入情况（亿元）



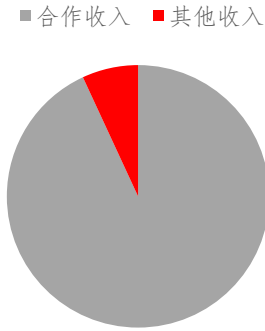
数据来源：WIND、国投证券国际

图 5：2023-2025 年公司净利润情况（亿元）



数据来源：WIND、国投证券国际

图 4：2025 年公司收入拆分



数据来源：WIND、国投证券国际

图 6：2023-2025 年公司研发支出情况（亿元）



数据来源：WIND、国投证券国际

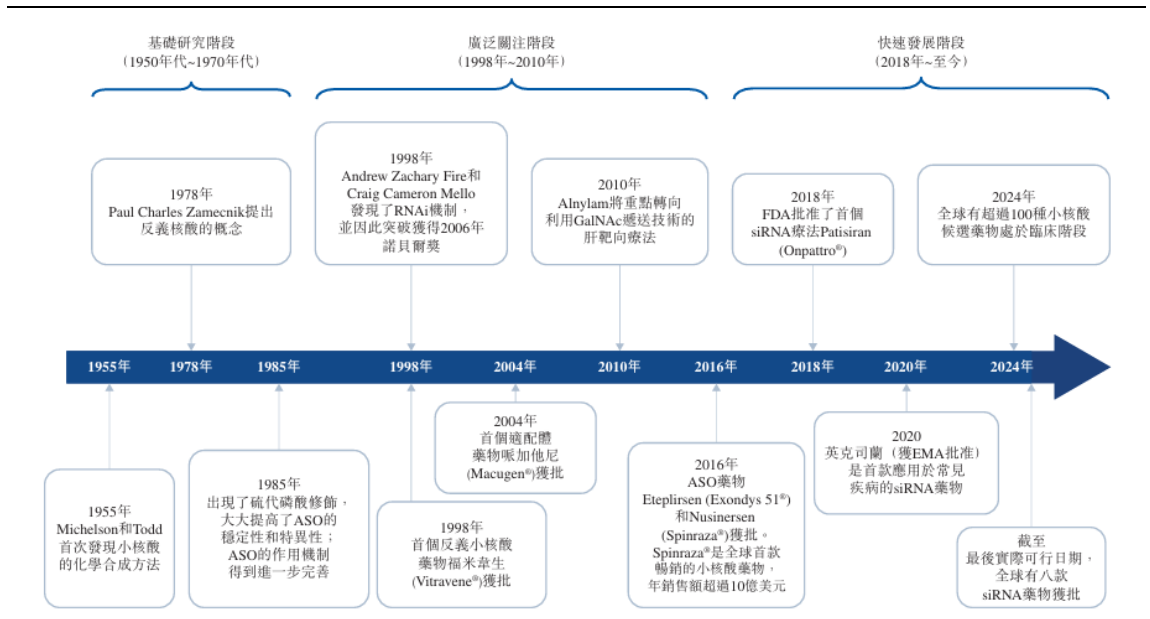
2. 行业概况

2.1. 小核酸药物

小核酸是一种化学合成的、长度约在 15-25 个核苷酸的短链核酸序列，可调节基因表达水平。其主要类型包括小干扰 RNA(siRNA)、反义小核酸(ASO)和适配体，通过不同作用机制调节基因表达和蛋白质水平，进而调控相应的蛋白质功能。

自 1998 年首款 ASO 药物获批上市，小核酸药物已历经多代技术迭代。根据招股说明书资料，早期 ASO 疗法存在生物利用度低、脱靶效应等问题，临床应用受限。1998 年 RNAi 机制的发现及后续 siRNA 技术的发展，为该领域带来重大治疗突破。

图 7：小核酸赛道发展历程（截至 12 月 21 日）



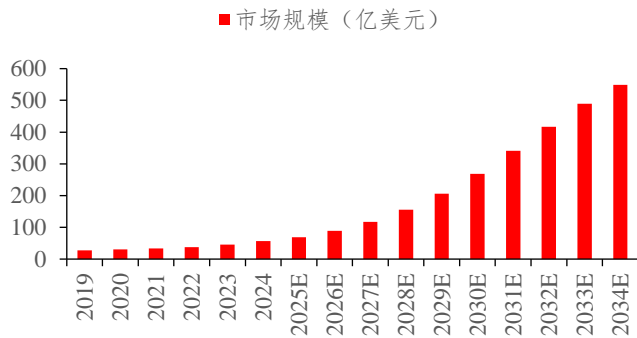
数据来源：招股书、国投证券国际

全球小核酸药物市场增长势头强劲。根据弗若斯特沙利文统计，市场规模从 2019 年的 27 亿美元增长至 2024 年的 57 亿美元，CAGR 为 16.2%。在技术迭代、上市批准及临床验证积累、适应症拓展、政策支持等因素的推动下，预计市场规模将加速扩容，于 2034 年将达到 549 亿美元。其中，siRNA 药物占比显著提升，由 2019 年的 6.2% 提升至 2024 年的 44.5%。

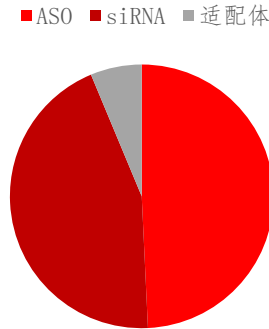
图 8：siRNA、ASO 和适配体对比

	siRNA	ASO	适配体
結構	雙鏈，通常為20-25個核苷酸	單鏈，通常為15-30個核苷酸	單鏈，通常為20-80個核苷酸，折疊成特定的三維結構
靶點 作用機制	<ul style="list-style-type: none"> mRNA 加載到RNA誘導沉默複合體(RISC)識別並切割靶點mRNA 	<ul style="list-style-type: none"> 主要是mRNA 通過mRNA結合和降解抑制基因表達，或空間位阻阻斷基因轉錄 	<ul style="list-style-type: none"> 蛋白質，小分子 蛋白質結合和調節
優勢	<ul style="list-style-type: none"> 低濃度下的高效能 更好的穩定性 長期療效 相對更容易獲得強效siRNA 	<ul style="list-style-type: none"> 更容易的體內遞送和無載體要求 簡單的化學修飾 	<ul style="list-style-type: none"> 高親和力和特异性 強大的抑制潛力 低免疫原性
挑戰	<ul style="list-style-type: none"> 需要組織特异性遞送技術 	<ul style="list-style-type: none"> 毒性一般高於siRNA 活性和長效性通常弱於siRNA 	<ul style="list-style-type: none"> 複雜的篩選路徑 半衰期短

数据来源：弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

图 9：2019-2034E 全球小核酸药物市场规模（亿美元）


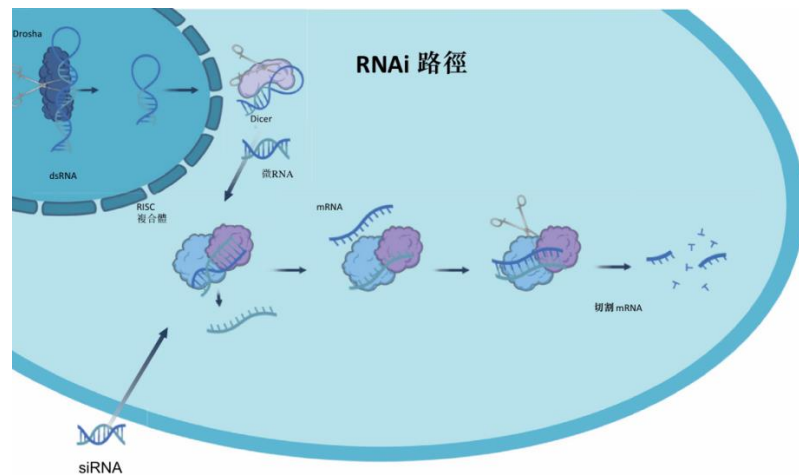
数据来源：弗若斯特沙利文、招股说明书、国投证券国际

图 10：2024 年按药物类型划分全球小核酸市场明细


数据来源：弗若斯特沙利文、招股说明书、国投证券国际

2.2.siRNA 药物

siRNA 疗法的生物学机制是荣获诺贝尔奖的 RNAi 机制，这是广泛存在于人类及哺乳动物在内的天然基因调控机制。siRNA 疗法是人工合成的短双链 RNA 分子，利用 RNAi 机制在人类和动物中沉默基因。这些 siRNA 分子经过设计，以高特异性、高效、持久地沉默序列相同的基因。

图 11：RNAi 作用机制


数据来源：弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

siRNA 疗法主要依赖几大核心技术：高效递送、精准化学修饰及合成筛选技术。

递送技术：肝靶向主流递送技术为 N-乙酰半乳糖胺(GalNAc)偶联物、脂质纳米颗粒(LNP)，以及基于聚合物的载体。其中，GalNAc 偶联物已成为临床上成功用于 siRNA 疗法的肝靶向递送系统，其利用去唾液酸糖蛋白受体(ASGPR)在肝细胞上的高表达，实现了受体介导的内吞作用，具有高效、安全性好、效果持久等优势。

化学修饰技术：通过糖修饰（2' -O-甲基和 2' -氟）、主链修饰（硫代磷酸酯键）和末端修饰（3' 和 5' 端）的修饰，可在保持基因沉默活性的同时，抑制免疫刺激效应，增强核酸酶抗性，降低脱靶毒性，保障药物稳定性和安全性。

siRNA 合成与筛选技术：临床及临床前开发阶段产品多采用固相化学合成，而液相以及酶促合成已取得初步成功。筛选过程结合细胞内检测、动物检测和计算工具，以验证其有效性、特异性、持久性以及潜在的脱靶效应。

竞争格局方面,全球 siRNA 疗法市场的龙头是 Alnylam Pharms,前五名中有两家中国药企。

表 1: 全球 siRNA 药物格局的主要参与者 (截至 2025 年 12 月 21 日)

公司	处于 II 期临床或以上的产品数量	siRNA 上市数量	适应症覆盖范围
Alnylam Pharms	8	6	肝病、神经系统疾病、高血压、肾脏疾病
Arrowhead	5	1	脂质紊乱、心血管疾病、肝病、罕见病
翱生制药	5	0	肝病、脂质紊乱、罕见病、高血压
诺和诺德	3	1	罕见病、肝病
瑞博生物	4	0	血栓性疾病、高脂血症、肾脏疾病、肝病

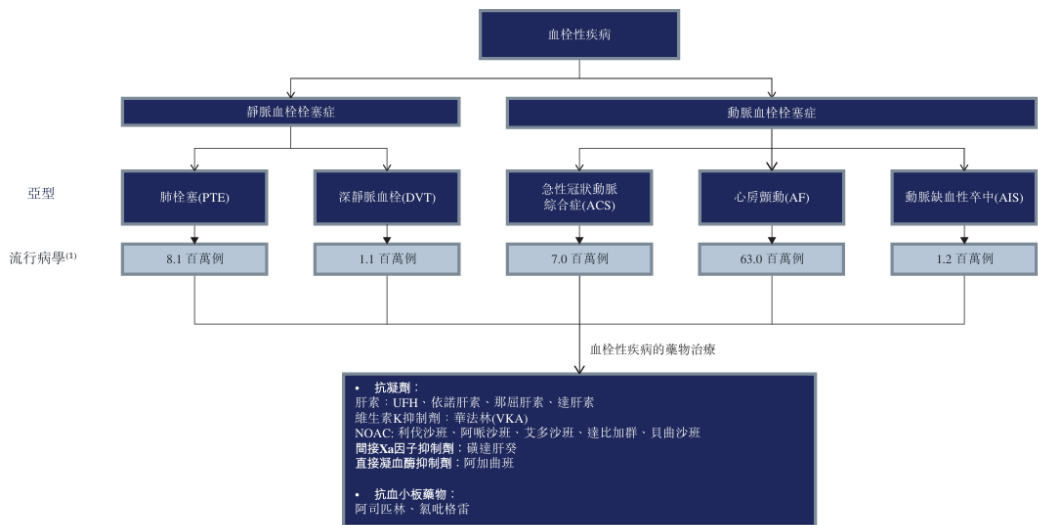
数据来源: FDA、CDE、招股说明书、国投证券国际

2.3. 血栓性疾病

血栓性疾病是动脉或静脉血管内病理性血凝块形成(血栓形成)的一类疾病,已成为全球主要死亡原因之一,每年与全球四分之一的死亡案例相关。根据招股说明书资料,2024 年全球血栓性疾病的发病人数约 2.7 亿人(中国为 700 万人),预计于 2034 年将达到 2.9 亿人(中国为 1,240 万人)。高龄、肥胖、缺乏运动、大手术及代谢紊乱、心房颤动和癌症等因素均为高危因素。

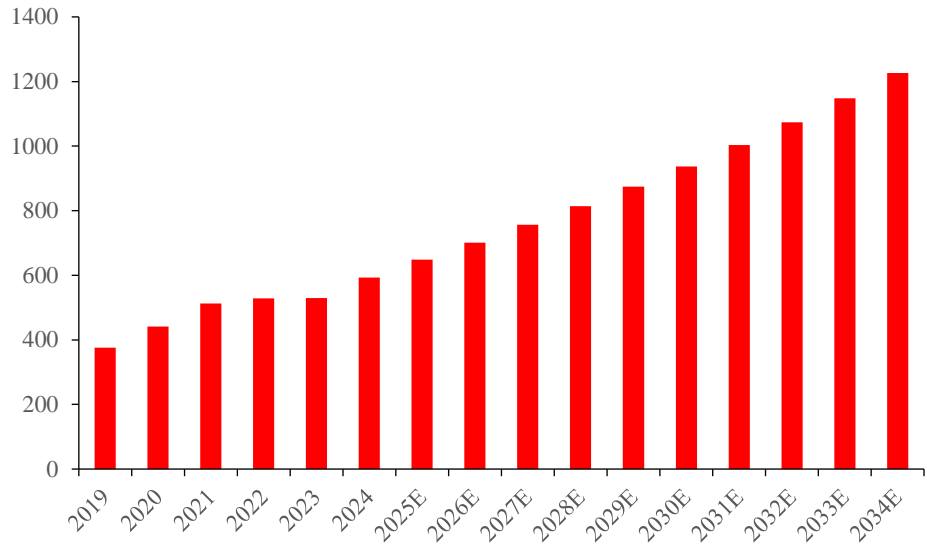
生活方式干预虽是重要的预防措施和辅助治疗方法,但对高危及重症患者效果有限。目前主流药物治疗是抗凝剂(华法林、肝素、直接口服抗凝剂等),动脉血栓则使用抗血小板药物(阿司匹林、P2Y12 抑制剂)。这类药物既影响凝血的内源性途径,也影响外源性途径以及共同下游途径,可能会干扰正常止血功能,增加消化道出血、颅内出血等风险,且需频繁监测或复杂的剂量调整,患者依从性不佳。

图 12: 血栓性疾病治疗范式



数据来源: 弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

根据弗若斯特沙利文统计,全球抗血栓药物市场规模从 2019 年的 376 亿美元增长至 2024 年的 593 亿美元,CAGR 为 9.5%,预计于 2034 年将达到 1,226 亿美元。

图 13：2019-2034E 全球抗血栓药物市场规模（亿美元）


数据来源：弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

XI 因子(FXI)是血液凝固与止血过程中的关键蛋白。靶向 FXI 疗法可特异性阻断内源性凝血途径中的 FXI，通过保留正常止血所必需的外源性途径，既能预防血栓，也能降低出血风险。siRNA 药物通过直接肝脏靶向实现选择性血栓形成抑制，适合长期预防，有望成为下一代抗血栓药物的方向。

靶向 FXI 的 siRNA 疗法优势：1、相比需每日给药的小分子药物，靶向 FXI 的 siRNA 疗法可延长给药间隔、持续降低 FXI，提升患者依从性并降低整体治疗成本。2、与抗体相比，siRNA 药物的合成性质和肝脏特异性递送降低免疫原性及抗药性抗体(ADA)产生风险。

截至 2025 年 12 月 21 日，全球尚无靶向 FXI 的 siRNA 药物被批准用于治疗血栓性疾病，仅四款相关候选药物处于临床阶段。

表 2：全球用于治疗血栓性疾病的临床中靶向 FXI 的 siRNA 药物（截至 2025 年 12 月 21 日）

产品	公司	技术	适应症	阶段
RBD4059	瑞博生物	siRNA (GalNAc)	稳定的冠状动脉疾病	II
		siRNA (GalNAc)	健康受试者	I
STP122G	圣诺医药	siRNA (GalNAc)	健康受试者	I
SRSD107	靖因药业	siRNA (GalNAc)	血栓形成	II
ADX-626	ADARx Pharmaceuticals	siRNA (GalNAc)	健康受试者	I

数据来源：招股说明书、ClinicalTrials、国投证券国际

2.4.血脂异常

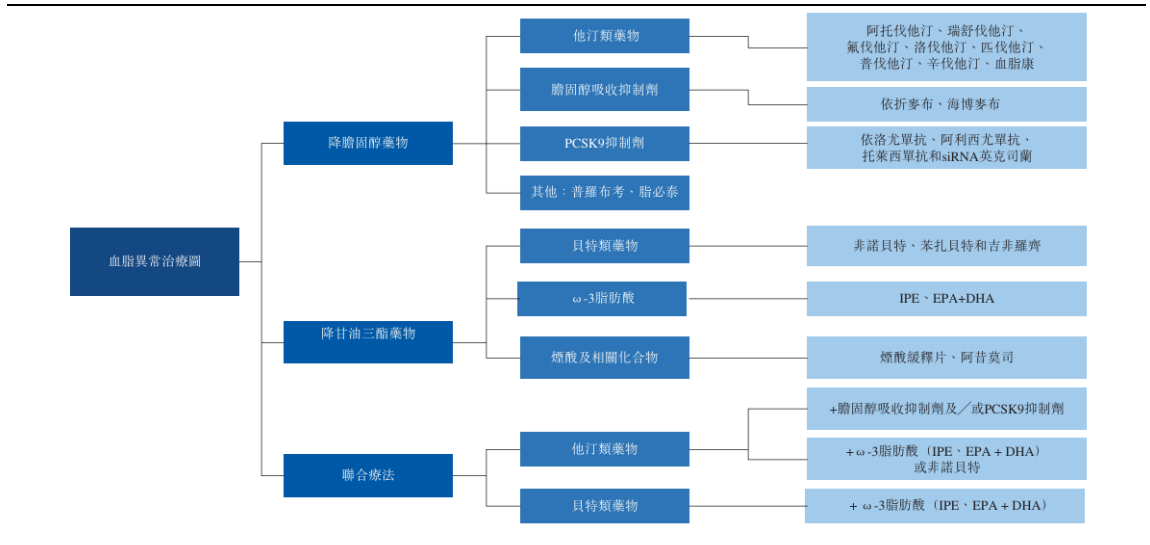
根据招股说明书资料，血脂异常表现以血液中甘油三酯、胆固醇、磷脂等脂质或脂蛋白水平异常，全球成人血脂异常的患病率约 40%，每年影响约 30 亿人。

高胆固醇血症 (HC) 是最主要类型，占全球血脂异常病例 27.4%。2024 年全球 HC 患者人数约 9.4 亿人，预计 2034 年达 10.1 亿人；欧盟及中国分别有 1.7 亿人及 1.2 亿人，预计

2034 年将分别达 1.7 亿人及 1.2 亿人。HC 以 LDL-C 升高为特征，多由不良饮食、缺乏运动、肥胖和遗传易感性等因素引起，是心血管疾病重要危险因素。根据弗若斯特沙利文资料，早发性心血管疾病的患者中 33.8%至 44.3%患有 HC。疗法方面，生活方式干预是治疗和预防的基础，但通常难以达标。他汀类药物是一线用药，其他用药多用于联合治疗，目前仅三分之一的患者 LDL-C 控制达标，且用药依从性不高，仍需更有效、耐受性更好的新疗法。

HTG（高甘油三酯症）占血脂异常病例约 25%。2024 年全球 HTG 患者人数约 8.5 亿人，预计 2034 年将增至 9.1 亿人；欧盟及中国分别有 1.7 亿人及 2.2 亿人，预计 2034 年将分别达 1.7 亿人及 2.2 亿人。HTG 与心血管疾病、急性胰腺炎等疾病密切相关，约 35%至 50% 相关患者受到 HTG 的影响。轻症以生活方式干预为主，重症则需药物治疗，其中贝特类药物为首选。现有药物疗效有限，16.2%至 26.2%的患者，尤其是重度 HTG 患者对贝特类和 omega-3 脂肪酸的反应不理想，且在依从性差、安全性风险等问题，新疗法迫在眉睫。

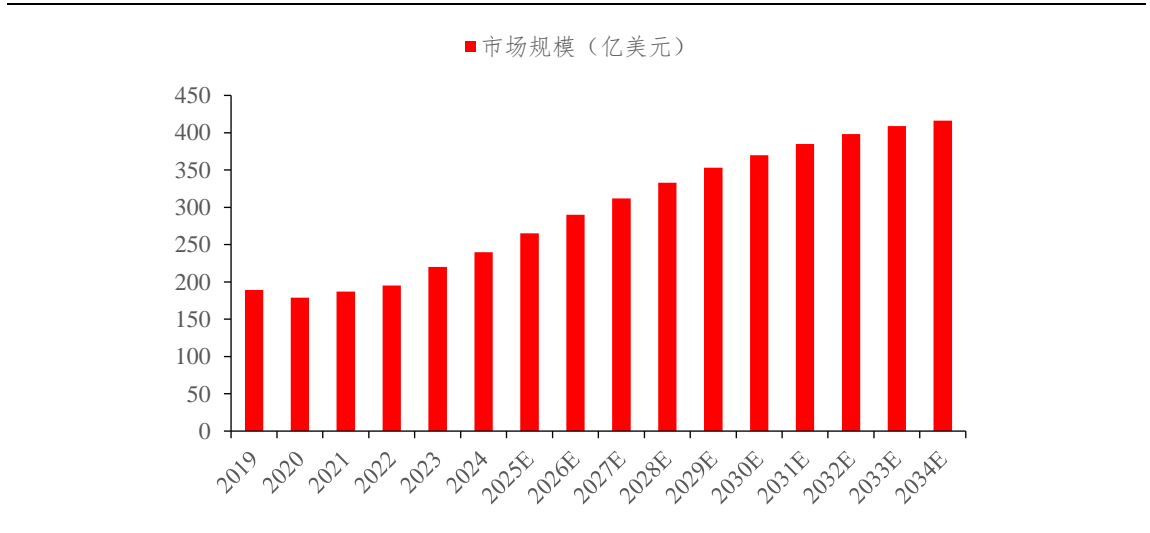
图 14：血脂异常治疗范式



数据来源：弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

根据弗若斯特沙利文资料，2024 年全球血脂异常患病人数达 32.2 亿人，预计 2034 年将增至 3.7 亿人，庞大的患者群体催生血脂管理治疗需求。全球调脂药物市场规模从 2019 年的 189 亿美元增长至 2024 年的 240 亿美元，CAGR 为 4.9%，预计到 2034 年将达 416 亿美元。

图 15：2019-2034E 全球调脂药物市场规模（亿美元）



数据来源：弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

靶向 APOC3 疗法能显著增强富含甘油三酯 (TG) 的脂蛋白及残余胆固醇的血液清除, 相较于以低密度脂蛋白 (LDL) 为核心的常规治疗, 能更精准、高效地控制甘油三酯与残余胆固醇相关心血管风险。靶向 APOC3 的 siRNA 疗法通过特异性靶向 APOC3 mRNA, 降低 APOC3 蛋白水平, 消除其对脂蛋白脂肪酶等关键代谢酶的抑制作用, 并提高富含 TG 的脂蛋白的清除率。

截至 2025 年 12 月 21 日, 仅有三款靶向 APOC3 的小核酸药物, 适应症为家族性乳糜微粒血症综合征 (罕见的遗传性严重 HTG)。其中 volanesorsen 及 olezarsen 均为 ASO 药物, 普乐司兰钠为 siRNA 药物。同期, 共有四种靶向 APOC3 治疗 HTG 的 siRNA 候选药物处于临床阶段。

表 3: 全球用于治疗 HTG 的临床中靶向 APOC3 的 siRNA 候选药物 (截至 2025 年 12 月 21 日)

产品	公司	技术	适应症	阶段
普乐司兰钠	Arrowhead	siRNA (GalNAc)	HTG	III
	Pharma、维亚臻	siRNA (GalNAc)	严重 HTG	III
		siRNA (GalNAc)	存在高危急性胰腺炎的严重 HTG	III
RBD5044	瑞博生物	siRNA (GalNAc)	混合型血脂异常	II
		siRNA (GalNAc)	健康受试者	I
ALN-APOC3	再生元	siRNA (GalNAc)	血脂异常	I/II
RN0361	大睿生物	siRNA (GalNAc)	TC 升高	I

数据来源: 招股说明书、ClinicalTrials、国投证券国际

靶向 PCSK9 的 siRNA 药物通过在 mRNA 水平上减少 PCSK9 蛋白合成, 是 HC 治疗的创新方法。与和循环 PCSK9 结合的单克隆抗体不同, siRNA 药物阻止肝细胞中 PCSK9 的产生, 导致 LDL 受体表达增加和 LDL-C 清除率增强。靶向 PCSK9 的 siRNA 药物的临床试验表明, 与抗体疗法所需的双周或每月给药相比, 每年两次给药可持久降低 LDL-C。这种机制和减少的给药频率为长期的 HC 管理提供了独特的治疗选择。

截至 2025 年 12 月 21 日, 全球有一款靶向 PCSK9 的 siRNA 药物英克司兰获批用于治疗 HC, 有 6 种用于治疗 HC 的 siRNA 候选药物处于临床阶段。

表 4: 全球已上市的靶向 PCSK9 治疗 HC 的 siRNA 药物 (截至 2025 年 12 月 21 日)

产品	公司	适应症	批准地区	2024 年每名患者治疗费用
英克司兰	诺华、Alnylam	杂合子型家族性高胆固醇血症或临床动脉粥样硬化性心血管疾病、混合型高脂血症	欧盟、美国、中国、日本、韩国	美国: 6,746.8 美元 中国: 19,976 元
	Pharma、The Medicines Company			

数据来源: 招股说明书、ClinicalTrials、国投证券国际

表 5:全球用于治疗 HC 的临床中靶向 PCSK9 siRNA 药物(截至 2025 年 12 月 21 日)

产品	公司	技术	适应症	阶段
SYH2053	石药集团	siRNA (GalNAc)	原发性 HC 或混合型高脂血症伴 LDL-C 升高	II
RBD7022	瑞博生物/齐鲁制药	siRNA (GalNAc)	原发性 HC 或混合型高脂血症伴 LDL-C 升高	II
		siRNA (GalNAc)	LDL-C 正常或升高	I
SGB-3403	圣因生物	siRNA (GalNAc)	复合子型家族性高胆固醇血症或临床动脉粥样硬化性心血管疾病	I
RN0191	大睿生物	siRNA (GalNAc)	LDL-C 升高	I
SRSD101	靖因药业	siRNA (GalNAc)	LDL-C 正常或升高	I
COR-1004	Corsera Health	siRNA (GalNAc)	LDL-C 正常或升高	I

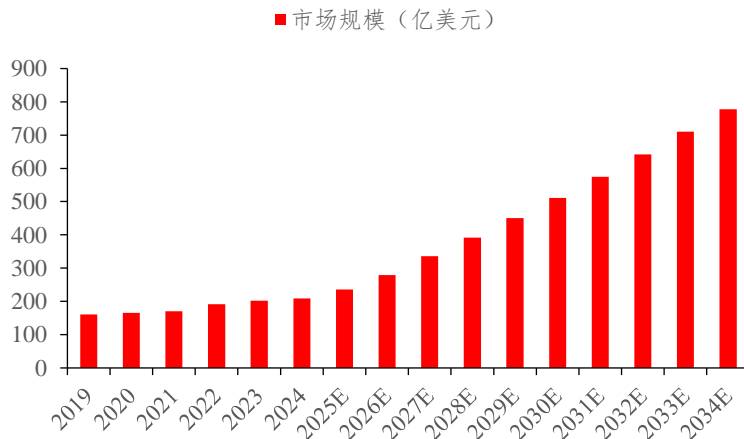
数据来源: 招股说明书、ClinicalTrials、国投证券国际

2.5.肝病——慢性乙型肝炎 (CHB)

慢性乙型肝炎(CHB)由乙型肝炎病毒(HBV)持续感染所致,以血清乙肝表面抗原(HBsAg)阳性持续至少六个月为特征,主要经血液、体液及母婴、无保护性行为等途径传播。根据弗若斯特沙利文的资料,80%至90%的一岁婴儿和30%至50%的六岁及六岁以下儿童感染HBV后会发展为CHB,这可能导致肝硬化、肝衰竭等潜在的致命并发症。在未经治疗的CHB患者中20%至30%可能会转化为肝硬化和肝癌。尽管有HBV疫苗,但未来十年全球每年仍有至少2.6亿人感染CHB,在中国,2024年6.8亿人患有CHB。

目前尚无针对CHB的有效功能性治愈方法,标准治疗推荐核苷(酸)类似物(NAs)或聚乙二醇化干扰素-α (PegIFN-α)。NAs,如恩替卡韦、替诺福韦和拉米夫定,耐受性好,口服便捷,是大多数CHB患者首选的一线治疗方法。但其需长期用药,仅1%-5%的CHB患者能实现功能性治愈。以干扰素为基础的疗法,特别是聚乙二醇化干扰素-α,兼具抗病毒与免疫调节作用,对低HBsAg基线患者清除率更高,但需注射给药、疗程受限且不良反应更显著。故现有疗法难以降低肝癌等远期风险,新型治疗方案存在巨大未满足需求。

根据弗若斯特沙利文统计,全球抗HBV药物市场规模从2019年的161亿美元增长至2024年的209亿美元,CAGR为5.4%,预计到2034年将达到778亿美元。

图 16: 2019-2034E 全球抗 HBV 药物市场规模 (亿美元)


数据来源: 弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

抗 HBV siRNA 药物是针对 CHB 的创新治疗方法。与常规治疗不同, siRNA 药物通过与 HBV RNA 转录物的序列特异性结合来抑制 HBsAg、HBV DNA 和 HBeAg 的产生, 实现对 HBsAg 的清除。与现有疗法相比, siRNA 药物能够延长半衰期, 给药频率可降至每月或季度; 临床试验中 HBsAg 水平降低 >2 log10 的持续治疗效果, 且安全性良好。此外, 抗 HBV siRNA 药物也适合联合用药, 与 NA 的近乎终生的治疗相比, 可能会在有限疗程中提供更好的治疗结果和预后。

截至 2025 年 12 月 21 日, 尚无抗 HBV siRNA 药物被批准用于治疗 CHB。

表 6: 全球用于治疗 CHB 的临床开发中的抗 HBV siRNA 候选药物 (II 期或以上) (截至 2025 年 12 月 21 日)

产品	公司	技术	适应症	阶段
Elebsiran (BR11-835)	Alnylam Pharma、腾盛博药、VIR Biotechnology	siRNA (GalNAc)	CHB	II
Imdusiran (AB-729)	Arbutus Biopharma、齐鲁制药、Barinthus Biotherapeutics、Antios Therapeutics	siRNA (GalNAc)	CHB	II
RBD1016	瑞博生物	siRNA (GalNAc)	CHB	II
HRS-5635	盛迪医药	siRNA	CHB	II
GSK5637608 (JNJ3989)	GSK	siRNA	CHB	II
HT-101	星曜坤泽生物	siRNA	CHB	II
BW-20507	舶望制药	siRNA	CHB	II

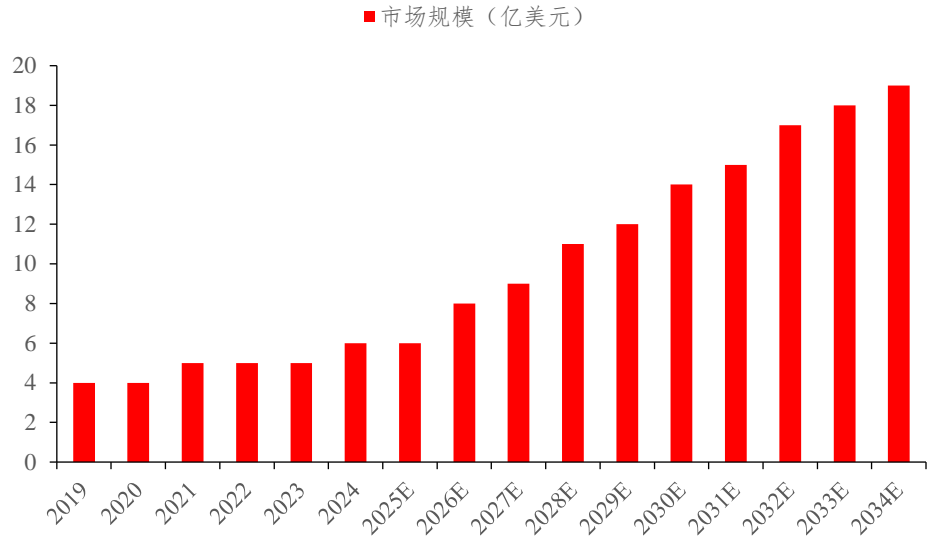
数据来源: 招股说明书、ClinicalTrials、国投证券国际

2.6.肝病——慢性丁型肝炎 (CHD)

CHD 是由丁型肝炎病毒(HDV)引起的一种肝脏重复感染, 全球近 5% 的 CHB 患者感染了 HDV。CHD 是最严重的病毒性肝炎形式, 相较单独患 CHB, 更易进展为肝纤维化、肝硬化等肝脏并发症。根据招股说明书资料, 截至 2024 年, 全球 CHD 患者达 1,230 万人, 其中中国 200 万人。

目前 CHD 的治疗选择有限。PegIFN- α 是全球普遍疗法, 但不良反应明显。在欧盟, NTCP 抑制剂 bulevirtide 已获批用于该适应症, 但对 HBsAg 的效果有限。虽然 NAs 被推荐用于控制不符合 PegIFN- α 治疗条件的患者的 HBV 复制, 但无法降低 HBsAg 或 HBV RNA。

根据弗若斯特沙利文统计, 全球抗 HDV 药物市场规模从 2019 年的 4 亿美元增长至 2024 年的 6 亿美元, CAGR 为 6.0%, 预计到 2034 年将达 19 亿美元。

图 17: 2019-2034E 全球抗 HDV 药物市场规模 (亿美元)


数据来源: 弗若斯特沙利文、招股书、国投证券国际

鉴于 HDV 对 HBsAg 病毒组装和传播的依赖性, 抗 HBV siRNA 药物可抑制 HBsAg 水平, 其治疗潜力是治疗 CHD 的极具潜力的新方法。

截至 2025 年 12 月 21 日, 全球尚无 siRNA 药物被批准用于治疗 CHB, 仅有三种用于治疗 CHD 的 siRNA 候选药物处于临床阶段。

表 7: 全球用于治疗 CHD 的临床中抗 HDV siRNA 药物 (截至 2025 年 12 月 21 日)

产品	公司	技术	适应症	阶段
Elebsiran (BR11-835)	Alnylam Pharma、 腾盛博药、VIR Biotechnology	siRNA (GalNAc)	CHD	III
		siRNA (GalNAc)	CHD	II
RBD1016	瑞博生物	siRNA (GalNAc)	CHD	II
		siRNA (GalNAc)	健康受试者	I
JNJ3989	Janssen Research & Development, LLC	siRNA (GalNAc)	CHD	II

数据来源: 招股说明书、ClinicalTrials、国投证券国际

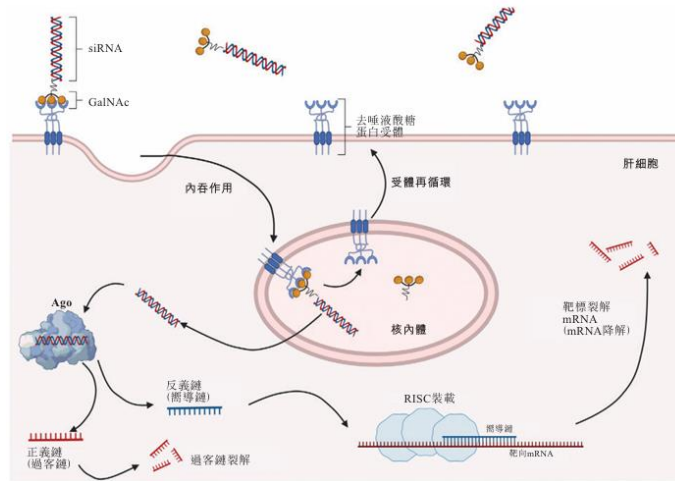
3. 技术平台领先，研发进展位列第一梯队

3.1. 技术平台

公司是全球开发小核酸药物的领军企业之一，拥有自主知识产权的、经过临床验证的肝靶向 GalNac 递送技术。公司技术平台涵盖小核酸药物开发的所有关键环节，从药物递送、化学修饰、多靶点药物设计到模型引导的药物开发和药学研究与生产，实现从早期研究到商业化的全生命周期支持。

肝外递送代表小核酸疗法的下一个前沿领域。以 RiboGalSTAR™ 为基础，公司正在开发一系列靶向肝外器官及组织的递送技术，包括实体瘤、肾脏、CNS 和脂肪细胞及肌肉等代谢组织。公司开发出的 RiboOncoSTAR™ 是一个利用缀合递送技术的领先肿瘤靶向平台，以支持开发多种潜在同类首创的肿瘤治疗方法。除了肿瘤靶向外，公司亦在开发靶向其他关键组织和器官的 RiboPepSTAR™ 技术。

图 18: GalNac 偶联 siRNA 在肝脏中的作用机制



数据来源：招股书、国投证券国际

公司在化学修饰方面的领先地位与公司的递送技术相辅相成，成为其核心竞争优势。化学修饰可保护核酸免于降解，同时最大限度地减少脱靶效应和免疫原性，对于开发有效的小核酸疗法至关重要。公司自主研发的 RSC（瑞博稳定化修饰平台）平台增强靶点特异性，实现了有效、持续的基因抑制，显著提高了药物的安全性和可开发性。RSC 修饰和 RiboGalSTAR™ 递送技术之间的协同作用体现在 RBD4059 和其他临床产品的良好的安全性和长效作用。公司不断迭代这项技术，赋予更广泛的序列兼容性和减少脱靶效应的独特策略，以及人工智能赋能策略。

3.2. 研发管线

公司处于小核酸药物创新的前沿，截至 2025 年 12 月 31 日，有七款自研的 siRNA 候选药物推进至临床阶段，专注于心血管、代谢类和肝脏疾病以及其他治疗领域，其中四款产品已处于 II 期临床阶段。

在心血管、代谢类和肾脏疾病领域，公司正开发针对治疗血栓形成和血脂异常丰富的 siRNA 药物管线，处于 II 期临床试验阶段的核心产品是 Vortosiran (RBD4059, 靶向 FXI 的 siRNA) 和 RBD5044 (靶向 APOC3 的 siRNA)，RBD7022 (靶向 PCSK9 的 siRNA) 即将启动 III 期临床试验。

在肝病领域，公司在研的 RBD1016 是全球临床开发中前景良好的 siRNA 候选药物，用于治疗慢性乙型肝炎病毒感染患者，包括丁型肝炎病毒合并感染患者，其中丁型肝炎适应症于 2025 年 10 月获得 EMA 孤儿药资格认定。对于 MASH，公司专注于晚期疾病阶段通过与跨国药企勃林格殷格翰和 Madrigal 的合作，锁定该领域内多个靶点的早期创新分子，在 MASH

领域内率先设置了极高的进入壁垒。

在其他领域，公司亦有积极的布局：公司产品管线中目前有超 20 项其他临床前资产，包括自主研发的靶向肝外器官及组织（如肾脏、心脏、中枢神经系统和脂肪细胞及肌肉等代谢组织）的技术平台 RiboPepSTAR™ 所产生的多款 siRNA 候选药物，其中首款肾靶向产品已进入临床前研究阶段。

图 19：产品管线（截至 2025 年 12 月 31 日）

治療領域	化合物	靶點	適應症	技術平台	臨床前	臨床前申報 試驗階段	I期	II期	III期	商業權利
心血管、代謝和 腎臟疾病	RBD4059	FXI	血栓性疾病	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD5044	APOC3	高甘油三酯血症	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD7022	PCSK9	高膽固醇血症	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球（除中國地區外） ²
	RBD7007	C5	腎病 ³	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD2080	C3	腎病 ³	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD1119	血栓相關因子	血栓性疾病	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD3103	抗腎損傷	腎病	RiboPepSTAR™	■	■	■	■		全球
	SR122	雙靶點	血脂異常	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	SR126	雙靶點	血脂異常	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD6096	血栓相關因子	血栓性疾病	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
肝病	SR118	未披露	代謝疾病	RiboPepSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD1016	HBV-X	CHB CHD	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	RBD3133	未披露	體重減輕	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		全球
	SR111	未披露	MASH ⁴	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		與勃林格殷格翰的全局合作
	SR112/SR113	未披露	MASH ⁴	RiboGalSTAR™	■	■	■	■		與勃林格殷格翰的全局合作
其他治療領域	RBD8088	偶聯抗腫瘤藥物	神經膠質瘤	RiboOncoSTAR™	■	■	■	■		全球
	SR131	CNS	中樞神經系統疾病	RiboPepSTAR™	■	■	■	■		全球

数据来源：公司公告、国投证券国际

3.3. 核心产品——RBD4059 (Vortosiran)

根据 Frost & Sullivan 的资料，RBD4059 是全球首款且临床开发进展最快的用于治疗血栓性疾病的 siRNA 药物。公司于 2024 年 10 月在澳大利亚完成了 RBD4059 在健康受试者中的 I 期试验，并于 2024 年 5 月获得 EMA 的 CTA 批准。公司于 2024 年 8 月在瑞典启动 RBD4059 的 IIa 期临床试验，目前试验已完成，预计将在 2026 年的欧洲心脏病学会 (ESC) 大会作为最新突破性研究披露。2026 年 4 月公司已向 EMA 成功递交针对心房颤动患者卒中预防 (SPAF) 的 IIb 期 CTA。

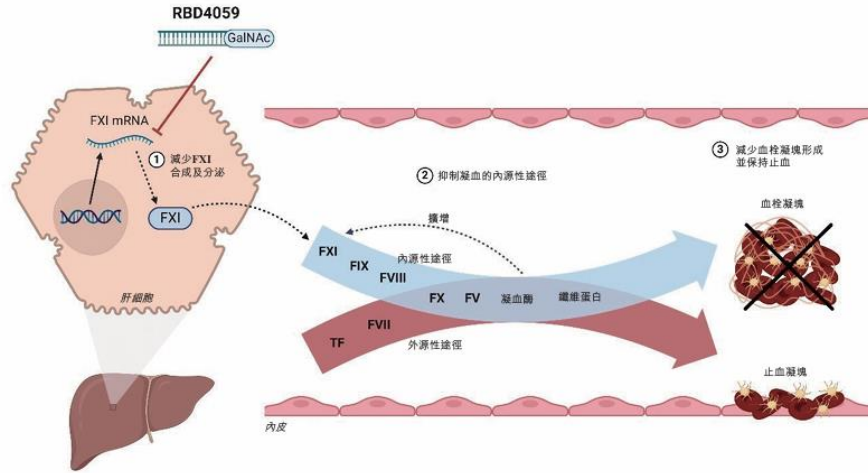
另外，公司已邀请强生 XI 因子小分子项目的全球牵头研究者等权威专家加入公司临床团队，目标是把 RBD4059 打造成 Blockbuster。

作用机制：

RBD4059 作为 GalNAc 偶联 siRNA 药物，为预防血栓形成提供可行策略。先天性 FXI 缺乏症患者表现出对血栓形成事件的抵抗力，同时维持足够的止血功能，该治疗方法模拟从中观察到的自然保护机理。通过选择性沉默肝细胞 FXI 基因，RBD4059 降低血中 FXI 水平，从而可能预防病理性血栓形成，而不会影响正常出血控制所需的基本凝血功能。

RBD4059 的 GalNAc 偶联确保靶向递送至主要产生 FXI 的肝脏，从而最大限度地提高药物的有效性，同时减少脱靶效应。此外，RBD4059 被肝脏细胞摄取后组装进入 RNA 诱导沉默复合体 (RISC)，持续降解多个 FXI mRNA 转录本，从而实现基因沉默持久的疗效。长效性减少给药频率，提高患者的依从性，相比需要每天给药的传统抗凝剂，存在较大的改善。

图 20: RBD4059 作用机制



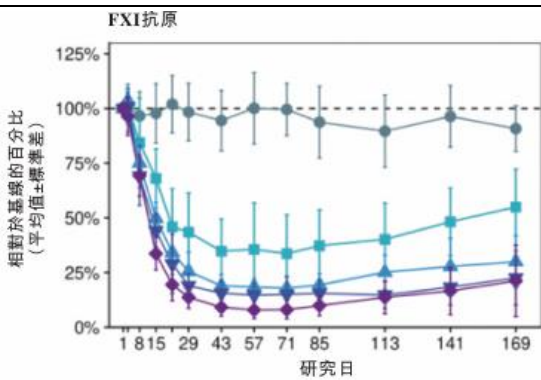
数据来源: 招股书、国投证券国际

最新临床数据:

公司于 2026 年 2 月在《Blood Advances》发表 Vortosiran 首次人体研究的 I 期数据。结果显示, Vortosiran 可强效、呈剂量依赖性且持久地抑制 FXI 活性, 抑制率超过 90%。此外, Vortosiran 可维持长达六个月及以上具有临床意义的持续 FXI 抑制作用, 凸显其有望显著改善长期抗凝治疗的患者依从性。

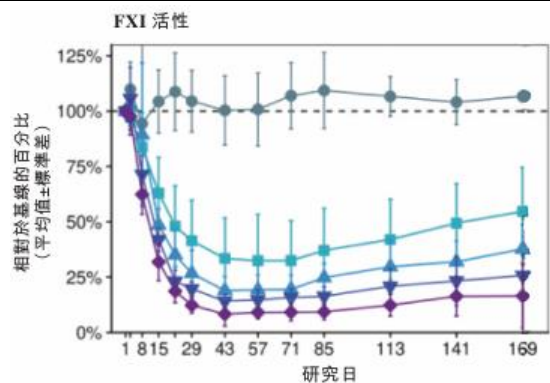
就药理作用而言, FXI 抗原和 FXI 活性均呈现相似、持久且呈剂量依赖性的降低。五组受试者的 FXI 活性相对于基线的平均最大百分比变化如下: 50mg、150mg、400mg 及 600mg 剂量组的活性抑制率分别为 67.5%、81.0%、85.8% 及 91.6%。该疗效持续至第 169 天, 展示出持久疗效。在第 169 天, 活性降幅分别为 45.3%、62.3%、74.3% 及 83.5%。

图 21: FXI 抗原相对于基线的百分比变化平均值 (±标准差)



数据来源: 《Blood Advances》、公司公告、国投证券国际

图 22: FXI 活性的百分比变化平均值 (±标准差)



数据来源: 《Blood Advances》、公司公告、国投证券国际

市场规模及竞争格局:

每年全球死亡人数的四分之一死于血栓性疾病, 因此靶向 FXI 的药物有巨大的市场机遇。抗凝剂市场具有巨大的商业潜力, 2024 年 BMS/辉瑞的 DOAC 阿哌沙班实现 206 亿美元的销售额即为例证。根据弗若斯特沙利文的资料, 2024 年全球大约有 38.6 百万人患有血栓性疾病, 预计 2034 年达到 41.6 百万人。

华法林及肝素等传统抗凝剂会影响凝血的内源性、外源性及共同的下游途径。这种广泛的作用会增加出血并发症的可能性，包括胃肠道出血和颅内出血。FXI 靶向治疗通过特异性抑制内源性凝血途径中的 FXI，为治疗血栓性疾病提供巨大优势。此法防止有害血凝块形成，但不会增加出血的风险，而出血风险是传统抗凝剂的普遍问题。过去十年，FXI 靶向小分子抑制剂、抗体及 ASO 显示出巨大潜力。

截至 2025 年 12 月 21 日，全球没有批准任何治疗血栓性疾病的靶向 FXI 的 siRNA 药物，有四个治疗血栓性疾病的靶向 FXI 的 siRNA 候选药物正在临床开发中。

RBD4059 竞争优势：

1) RBD4059 为潜在治疗血栓性疾病的同类首创 siRNA 候选药物，亦是全球首款且研发进度最快的同类品种。其在抑制 FXI 方面优于小分子与抗体药物：1、可数月给药一次实现持续降 FXI，且无需专用解毒剂；2、化学合成与肝靶向递送特性，降低了产生免疫反应和抗药抗体(ADA)的风险。

2) RBD4059 显示出广泛的 FXI 抑制水平，满足不同血栓栓塞适应症的抗凝疗效需求。I 期临床显示其疗效显著，50-600mg 剂量组 FXI 活性较基线最大百分比变化分别为 67.5%、81.0%、85.8% 及 91.6%，并在第 169 天治疗观察到持续效果。

3) RBD4059 结合 FXI 靶向与 siRNA 技术，相较标准治疗出血风险更低，强效且安全性突出。常规抗凝治疗易引发出血、药物相互作用、肝肾损伤及过敏等不良反应，而 RBD4059 I 期临床在测试剂量内未出现不良安全信号，仅 16.7% 的药物相关治疗期不良事件 (TEAE) 为注射部位反应，无 3 级及以上 TEAE 或药物相关严重不良事件 (SAE)。即便 FXI 抑制超 90% 也未增加出血风险，彰显其作为低出血风险新型抗血栓药物的潜力。

4) RBD4059 依托 RiboGalSTAR™ 肝靶向递送平台实现长效抗凝，相较标准治疗需高频给药的模式，可每 3-6 个月给药一次，有望显著提升慢性血栓性疾病患者的用药依从性。

3.4. 重点产品——RBD5044

RBD5044 是全球第二个进入临床开发的靶向 APOC3 的 siRNA 药物。公司已在澳大利亚完成了 RBD5044 的 I 期试验，并于 2024 年 5 月获得 EMA 的 CTA 批准。该 II 期试验目前正在瑞典的混合型血脂异常患者中进行。2026 年 1 月，公司获得国家药监局批准启动 RBD5044 的 II 期临床试验默示许可，并于 2 月启动该临床研究。

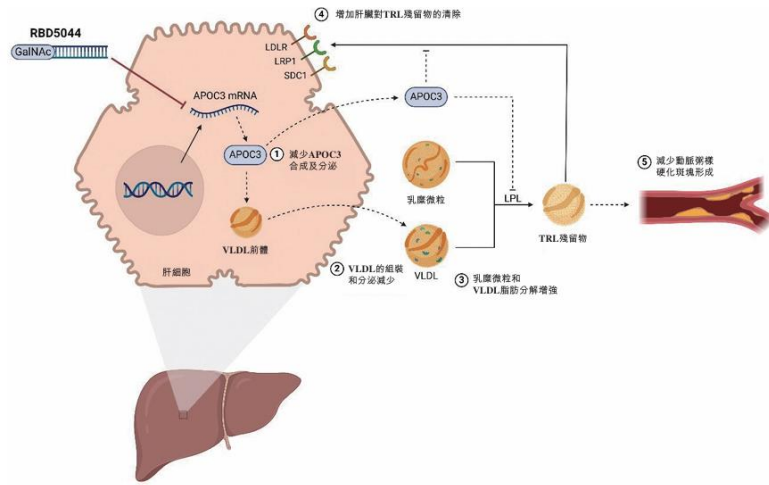
作用机制：

APOC3 是一种几乎只在肝脏中合成的蛋白质，通过抑制脂蛋白脂肪酶在脂质代谢中起关键作用，而脂蛋白脂肪酶是清除血液中 TG 所必需的酶。APOC3 水平升高与甘油三酯水平升高有关，从而增加患心血管疾病的风险。RBD5044 通过 RNA 干扰机制可以抑制 APOC3 从而降低血浆甘油三酯 (TG) 水平，且具有长效和高效作用。

RBD5044 设计为靶向肝脏中的 APOC3 mRNA。作为 GalNAc 偶联和化学修饰的 siRNA，RBD5044 可以有效到达肝细胞，选择性地被肝细胞摄取。一旦进入细胞，RBD5044 就会激活 RNA 干扰，从而导致 APOC3 mRNA 降解。通过降低 APOC3 的水平，RBD5044 减轻了对脂蛋白脂肪酶等参与脂质代谢的关键酶的抑制作用，并在一定程度上减轻对肝脂肪酶的抑制作用，从而有效清除血液中的脂质。

APOC3 的降低最终促使甘油三酯和相关脂质的分解并从血液中清除，从而降低血浆甘油三酯水平及改善血脂异常情况。通过这项靶向机制，RBD5044 不仅有助于降低血脂水平，还可以解决与 HTG 相关的并发症，有望成为管理血脂紊乱的治疗选择。

图 23: RBD5044 作用机制



数据来源: 招股书、国投证券国际

市场规模及竞争格局:

在全球范围内,成人血脂异常的患病率估计约为 40%,每年影响约 30 亿人,其中 HTG (包括混合型血脂异常) 约占所有病例的 25%。根据弗若斯特沙利文的资料,2024 年全球约有 8.5 亿人患有 HTG,预计 2034 年将达到 9.1 亿人。

截至 2025 年 12 月 21 日,全球并无批准任何靶向 APOC3 治疗 HTG 的 siRNA 药物,有四款靶向 APOC3 治疗 HTG 的 siRNA 候选药物正在临床开发中。

RBD5044 竞争优势:

RBD5044 是全球一线靶向 APOC3 的 siRNA 候选药物,也是全球第二款进入临床的同类产品。其经独特设计,兼具强效 APOC3 抑制与长效降脂特点,临床前研究显示降低甘油三酯的功效与其他靶向 APOC3 的 siRNA 候选药物相当,且作用更强更持久。

强效和长效的降脂作用。公司在 2025 年 ESC 年会上展示了在澳大利亚进行的 I 期临床试验,数据显示,单次注射可使 APOC3 大幅降低最高 84%、同时将 TG 降低最高 70%,同时随访 6 个月仍维持显著降脂效果,并可改善残余胆固醇、ApoB 及 HDL 水平,给药间隔可长达三个月,大幅提升患者依从性。

更高的安全性。RBD5044 的 I 期试验安全性数据显示出良好的安全性,其中最高 150mg 剂量未出现剂量限制性毒性,治疗窗宽广。

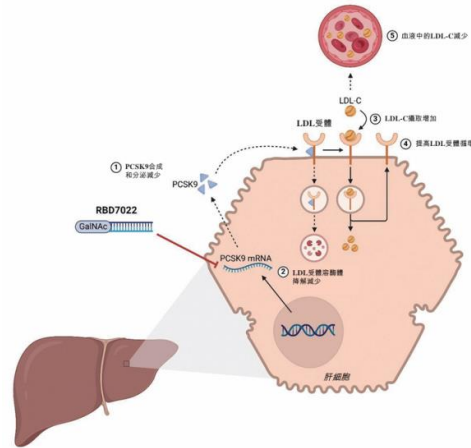
3.5. 重点产品——RBD7022

RBD7022 是全球第二个进入临床开发的靶向 PCSK9 的 siRNA 药物,采用 RNA 干扰技术来精确调节胆固醇代谢。2023 年 12 月,公司授予齐鲁制药在中国内地、香港和澳门开发、生产和商业化 RBD7022 的独家权利。截至 2026 年 3 月,RBD7022 在中国 II 期临床试验已完成末例患者末次给药,III 期临床试验即将由齐鲁制药在中国启动。

作用机制:

RBD7022 是一种 GalNAc 偶联 siRNA,用于靶向和抑制 PCSK9 的表达。RBD7022 特异性靶向肝细胞中的 PCSK9 mRNA,通过 RNA 干扰机制有效减少 PCSK9 蛋白的产生。PCSK9 水平的降低,减少了 LDL 受体的分解,令肝细胞表面可用的 LDL 受体数量大幅增加。这种受体增加增强了肝脏从血液中清除 LDL-C 的能力,从而降低了 LDL 及整体胆固醇水平。这种机制使 RBD7022 成为有望治疗高胆固醇血症患者的选择,旨在降低与高胆固醇水平相关的心血管疾病风险。

图 24: RBD7022 作用机制



数据来源: 招股书、国投证券国际

市场规模及竞争格局:

高胆固醇血症 (HC) 为最常见高脂血症, 占全球血脂异常的 27.4%, 是心血管疾病重要危险因素。根据弗若斯特沙利文的资料, 早发性心血管病患者中 33.8%~44.3% 合并 HC, 且 2024 年全球患者约 9.4 亿人, 预计 2034 年增至 10.1 亿人。

PCSK9 抑制剂降脂效果显著优于他汀类药物 (20%-50%) 及依折麦布 (15%-20%), 可降低 LDL-C 50%~70%。其中 siRNA 类药物长效优势突出, 在初次给药方案后仅需每年注射两次, 相较于每 2-4 周注射一次的单克隆抗体大幅提升患者依从性和便利性。

截至 2025 年 12 月 21 日, Inclisiran 是全球唯一获准治疗高胆固醇血症的靶向 PCSK9 的 siRNA 药物, 2024 年全球销售额 7.5 亿美元, 另有六个治疗高胆固醇血症的 siRNA 候选药物处于临床开发阶段。

RBD7022 竞争优势:

- 1) RBD7022 是全球第二个进入临床开发的靶向 PCSK9 的 siRNA 候选药物, 采用先进的 RNA 干扰技术来精确调节胆固醇代谢。RBD7022 通过特异性抑制肝脏中 PCSK9 的表达, 增加肝细胞的 LDL 受体 (LDL-R) 密度, 增强人体从循环中清除 LDL-C 的效能。截至 2025 年 12 月 21 日, 全球已批准一个靶向 PCSK9 治疗高胆固醇血症的 siRNA 药物 Inclisiran。
- 2) 强大的降低 LDL-C 效果。公司在 2025 年 ESC 年会上展示了在中国进行的 RBD7022 的 I 期临床试验结果, 数据显示, 其 LDL-C 降低效果与 Inclisiran 相当, 具备每 6 个月给药一次的潜力。以 PCSK9 水平作为靶点结合的标志, RBD7022 在使用或未使用他汀类药物的患者中, 其 PCSK9 水平的最大降幅可达 75%, 且在六个月的随访中仍维持在这一抑制水平。
- 3) 与齐鲁制药达成战略合作。齐鲁制药获得 RBD7022 在中港澳的独家开发、生产及商业化权利, 双方优势互补, 加速其国内外上市进程。

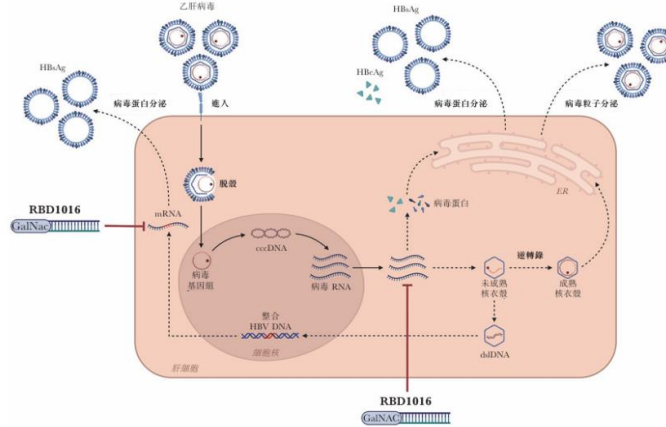
3.6. 重点产品——RBD1016

RBD1016 是全球临床开发进度最快的 siRNA 药物之一, 用于治疗慢性乙型肝炎病毒 (HBV) 感染患者, 包括丁型肝炎病毒 (HDV) 合并感染患者。公司已在瑞典和香港完成治疗慢性乙型肝炎 (CHB) 的 II 期全球 MRCT, 目前正在最终完善数据分析。于 2025 年 10 月, EMA 授予 RBD1016 用于治疗 HDV 感染的孤儿药资格认定。公司于 2024 年 8 月在瑞典启动治疗慢性丁型肝炎 (CHD) 的 IIa 期试验, 预计 2026 年底前完成。

作用机制：

RBD1016 的设计目标是实现对 CHB 和 CHD 的功能性治愈。RBD1016 是一种 siRNA 药物，由 siRNA 单元和 GalNAc 递送单元组成，具有高度的肝靶向特异性。GalNAc 基团与肝细胞表面的 ASGPR 特异性结合，通过内吞进入细胞中。在细胞内 siRNA 被释放，然后装载入 RISC 复合体，与 mRNA 结合，通过 Ago2 蛋白触发 RNA 干扰(RNAi)降解靶 mRNA。RBD1016 中的活性 siRNA 靶向 HBV 的 X 基因保守区，通过 RNA 干扰机制降解所有四种 HBV mRNA。这不仅能阻止 HBV DNA 复制，还能长期显著降低 HBsAg 和 HBeAg 等病毒蛋白的水平，从而产生强效、持续的抗 HBV 作用。

图 25: RBD1016 作用机制



数据来源：招股书、国投证券国际

市场规模及竞争格局：

CHB。CHB 是全球最常见的肝脏感染，2024 年全球感染者约 2.8 亿人，对全球构成重大公共卫生挑战。根据招股说明书资料，80%至 90%一岁婴儿和 30%至 50%六岁及以下儿童感染 HBV 后会发展为 CHB，可能会导致严重甚至致命的并发症，包括肝硬化、肝衰竭和肝癌。20%-30%未经治疗的 CHB 患者可能进展为肝硬化和肝癌等并发症。过去 20 年 CHB 治疗没有任何重大突破。目前干扰素及核苷类似物疗法作用有限，无法实现功能性治愈。

siRNA 凭借其不同于上述药物的细胞内作用机制，可单药或联合用药发挥多重抗病毒作用，特别是抑制 HBsAg（已知可引起 CHB 相关不良肝脏并发症的关键因素），是实现 CHB 功能性治愈的治疗方式。

截至 2025 年 10 月 20 日，全球尚未批准任何 siRNA 药物用于治疗 CHB，仅 6 种治疗 CHB 的 siRNA 候选药物处于 II 期或以上临床开发阶段。

CHD。CHD 是由 HDV 引起的严重肝脏重复感染，2024 年影响全球 1,230 万人。HDV 被称为卫星病毒，只影响 HBV 感染者。CHD 是病毒性肝炎中最具有侵袭性的，会加速肝纤维化、肝硬化等并发症，同时与单纯的 HBV 感染相比，显著增加肝癌及死亡风险。

目前 CHD 尚无治愈方案：PegIFN-α 是目前全球通常推荐用于 CHD 患者的治疗方法，但副作用大。在欧盟获批的 NTCP 抑制剂 bulevirtide 对 HBsAg 影响有限。对于一些不符合 PegIFN-α 治疗条件的患者，推荐使用 NAs 恩替卡韦 (ETV) 或泰诺福韦，但它们对降低 HBsAg 或 HBV RNA 水平无效。意味着临床需求迫切。靶向 HBV 的 siRNA 凭借其差异化的细胞内机制，可能发挥多重抗病毒作用，尤其是抑制 HBsAg 作用，为 CHD 治疗提供新方向。

截至 2025 年 12 月 21 日，全球尚未批准任何 siRNA 药物用于治疗 CHD，仅三种治疗 CHD 的 siRNA 候选药物处于临床开发阶段。

4. 合作模式

一系列合作在盘活公司早期 MASH 管线的同时，也体现了全球头部药企对其技术实力的高度认可，以及公司出色的 BD 执行与前瞻布局能力。2026 年公司与 Madrigal 达成合作，最高可获得 44 亿美元款项及合作产品全球净销售额特许权使用费。2023 年与勃林格殷格翰、齐鲁制药达成合作，总交易价值超 20 亿美元。

4.1. 与 Madrigal 的合作

Madrigal Pharmaceuticals, Inc. 是一家专注代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）疗法的生物制药公司。其核心产品 Rezdiffra (resmetirom) 为每日一次、口服、肝脏定向的 THR-β 激动剂，是首个也是唯一一个获得美国食品药品监督管理局（FDA）和欧洲委员会批准用于治疗伴有中度至重度纤维化（F2 至 F3）的 MASH 药物。目前正在开展 F4c 期代偿期肝硬化 MASH 的 III 期研究。

2026 年 2 月 11 日，瑞博生物及子公司 Ribocure Pharmaceuticals AB 与 Madrigal 达成全球独家许可协议，合作开发六款基于瑞博生物 RiboGalSTAR™ 肝靶向平台的 MASH siRNA 疗法。根据协议条款，瑞博生物将授予 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，最高可获得累计 44 亿美元包含首付款和里程碑在内的款项，并享有合作产品全球净销售额分成。

4.2. 与齐鲁制药的合作

齐鲁制药是一家领先的中国制药公司，专注于创新药物的研发、生产及分销。

2023 年 12 月 15 日，公司与齐鲁制药订立了许可及合作协议（2024 年 6 月 12 日签署补充约定），授予其在中国大陆、香港及澳门地区开发、生产及商业化 RBD7022，与公司拥有或控制的 RBD7022 和包含 RBD7022 的医药产品相关的若干专利及专有技术项下的独家、付特许权使用费、可再许可、可转让许可，以及 RiboGalSTAR™ 及 RSC 平台技术的若干专利及专有技术项下的非独家、付特许权使用费、可再许可、可转让许可。公司保留该区域外的所有权利。

目前齐鲁制药已支付三期首付款合计 4,000 万元及一期里程碑款项。达成特定开发、监管及商业化里程碑后，公司最高可获 7.4 亿元里程碑付款。待产品上市后，齐鲁制药将就区域内年净销售额按个位数至两位数分级向公司支付特许权使用费。

4.3. 与勃林格殷格翰（BI）的合作

勃林格殷格翰是一家总部位于德国的全球知名制药公司，专注于研究、开发和生产人类和动物使用的创新药物。

2023 年 12 月 22 日，公司与 BI 签订合作及许可协议，BI 将依托公司自主研发的 RiboGalSTAR™ 技术及 GalNAc 偶联 siRNA 领域的行业领先专业知识来开发数个化合物。

勃林格殷格翰已支付 2,500 万欧元的首付款及两期里程碑款项。达到特定的研究、开发、监管和商业化里程碑后，公司最高可获 23.6 亿欧元里程碑付款。

5. 盈利预测及估值

由于公司尚未盈利，故采用绝对估值法自由现金流折让估值模型对公司进行估值。关键假设如下：

- 1) 其他品种处于临床前期，因此仅对重点品种 RBD4059、RBD5044、RBD7022 及 RBD1016 开展盈利预测。鉴于上述产品处于不同临床研发阶段，我们预计其将分别于 2031 年、2031 年、2030 年和 2032 年获批上市。
- 2) 重点产品研发成功率均假设为 70%。
- 3) 公司已与 Madrigal、勃林格殷格翰和齐鲁制药达成战略合作，累计总交易金额最高可获 64 亿美元。首付款及里程碑计入其他收入。
- 4) 预计公司毛利率维持在 90%。
- 5) 假设 WACC=10%，永续增长率=2%。

图 26：2026E-2034E 公司收入预测（亿元）

时间	2026E	2027E	2028E	2029E	2030E	2031E	2032E	2033E	2034E
收入	3.5	3.0	3.0	3.0	3.9	11.5	17.8	27.8	42.0
YOY	135.7%	-14.3%	0.0%	0.0%	29.5%	195.5%	54.7%	56.6%	51.0%
RBD4059						2.4	5.1	11.0	20.5
YOY							114.2%	113.8%	86.9%
RBD5044						4.6	5.7	6.9	8.0
YOY							24.1%	19.9%	16.2%
RBD7022					0.9	1.5	2.3	3.1	4.0
YOY						66.5%	55.1%	37.0%	27.1%
RBD1016(HBV)							1.5	3.4	5.6
YOY								121.2%	64.4%
RBD1016(HDV)							0.1	0.4	0.9
YOY								429.4%	111.1%
其他	3.5	3	3	3	3	3	3	3	3
YOY	135.7%	-14.3%	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%

数据来源：弗若斯特沙利文、公司财报、国投证券国际预测

现金流折现估值法：

综合以上假设，我们采用 DCF 模型对公司进行估值，预计公司估值约 98 亿元（112 亿港元），对应股价为 66 港元。

图 27：公司自由现金流折让估值模型

(年结31/12; RMB 000)	FY 2026 预测	FY 2027 预测	FY 2028 预测	FY 2029 预测	FY 2030 预测	FY 2031 预测	FY 2032 预测	FY 2033 预测	FY 2034 预测
EBIT	-423,236	-599,087	-827,209	-930,672	-753,403	15,565	653,495	1,461,901	2,558,756
增长率%	78.8%	41.5%	38.1%	12.5%	-19.0%	-102.1%	4098.6%	123.7%	75.0%
EBIT率%	-285.0%	-171.2%	-275.7%	17.5%	17.5%	17.5%	17.5%	17.5%	17.5%
有效税率%	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%	0.0%	15.0%	15.0%	15.0%	15.0%
EBIT x (1-有效税率)	-423,236	-599,087	-827,209	-930,672	-753,403	13,230	555,471	1,242,616	2,174,942
+ 折旧	35,572	39,130	43,043	47,347	52,082	57,290	63,019	69,321	76,253
+ 摊销	15,367	15,830	16,247	22,622	30,360	37,324	33,592	30,233	24,186
+ 营运资金变动	-4,876	-5,364	-5,900	-6,490	-7,139	-7,853	-8,638	-9,502	-10,453
- 资本支出	-60,000	-72,000	-86,400	-103,680	-129,600	-162,000	-210,600	-273,780	-342,225
自由现金流, FCF	-437,173	-621,491	-860,219	-970,873	-807,701	-62,009	432,843	1,058,887	1,922,704
折现年份	0	1	2	3	4	5	6	7	8
折现因子	1.0000	0.9091	0.8264	0.7513	0.6830	0.6209	0.5645	0.5132	0.4665
FCF现值	-437,173	-564,992	-710,925	-729,431	-551,670	-38,503	244,329	543,376	896,955
FY2026-34 FCF现值总额	-1,348,033								
永续期价值现值	11,436,181.42								
企业价值	10,088,148								
- 净负债	-180,963								
- 少数股东权益	-102,887								
DCF估值	9,804,298								
假设:									
WACC	10%								
永续增长率	2%								

数据来源：招股书、国投证券国际预测

6. 风险提示

- 1) 行业竞争加剧风险；
- 2) 研发进展不及预期；
- 3) 产品商业化不及预期；
- 4) 政策风险等。

财务报表预测

利润表					资产负债表				
(千元)	2025A	2026E	2027E	2028E	(千元)	2025A	2026E	2027E	2028E
收入	148,510	350,000	300,000	300,000	现金及现金等价物	406,746	424,730	440,246	420,745
销售成本	-13,476	-35,000	-30,000	-30,000	应收账款	5,458	6,004	6,604	7,265
毛利	135,034	315,000	270,000	270,000	其他应收	49,917	54,909	60,400	66,440
研发费用	-280,461	-617,014	-740,417	-962,542	存货	54,929	60,422	66,464	73,110
销售费用	-1,055	-1,108	-1,163	-1,221	流动资产总额	517,050	546,064	573,714	567,560
管理费用	-118,404	-124,324	-130,540	-137,067	固定资产	177,862	195,648	215,213	236,734
税前盈利	-284,556	-442,431	-618,282	-846,404	无形资产	76,834	79,151	81,236	113,112
所得税	-3,898	-	-	-	其他非流动资产	68,063	68,063	68,063	68,063
净利润	-288,454	-442,431	-618,282	-846,404	非流动资产总额	322,759	342,862	364,512	417,909
归母净利润	-278,059	-424,606	-593,372	-812,303	总资产	839,809	888,926	938,226	985,469
少数股东权益	-10,395	-17,825	-24,910	-34,101					
					应付账款	11,625	12,788	14,066	15,473
同比增长率					其他应付	138,966	152,863	168,149	184,964
收入	4.1%	135.7%	-14.3%	0.0%	短期银行贷款	373,033	410,336	451,370	496,507
净利润	-	-	-	-	其他流动负债	76,349	76,349	76,349	76,349
					流动负债总额	601,408	653,770	711,369	774,728
财务指标					长期银行贷款	149,381	164,319	180,751	198,826
盈利能力					其他非流动负债	29,365	32,746	31,056	31,901
毛利率	90.9%	90.0%	90.0%	90.0%	非流动负债总额	211,627	226,207	242,818	260,803
净利率	-	-	-	-	总负债	813,035	879,977	954,187	1,035,531
营运能力					现金流量表				
销售费用率	0.7%	0.3%	0.4%	0.4%	经营活动现金流	-280,690	-260,935	-422,078	-634,114
研发费用率	188.8%	176.3%	246.8%	320.8%	投资活动现金流	287	-52,998	-64,998	-79,398
管理费用率	79.7%	35.5%	43.5%	45.7%	融资活动现金流	522,035	1,841,677	202,303	208,708
					现金净增加额	241,632	1,527,744	-284,773	-504,803
资本结构					期初持有现金	167,867	406,746	1,932,874	1,645,917
资产负债率	97%	99%	102%	105%	期末持有现金	406,746	1,932,874	1,645,917	1,139,213

注：因公司报表调整，故现金流量表的期末现金与流动资产的现金及现金等价物有一定差异
 数据来源：招股书、国投证券国际预测

客户服务热线

香港：2213 1888

国内：40086 95517

免责声明

此报告只提供给阁下作参考用途，并非作为或被视为出售或购买或认购证券的邀请或向任何特定人士作出邀请。此报告内所提到的证券可能在某些地区不能出售。此报告所载的资料由国投证券(香港)有限公司(国投证券国际)编写。此报告所载资料的来源皆被国投证券国际认为可靠。此报告所载的见解，分析，预测，推断和期望都是以这些可靠数据为基础，只是代表观点的表达。国投证券国际，其母公司和/或附属公司或任何个人不能担保其准确性或完整性。此报告所载的资料、意见及推测反映国投证券国际于最初发此报告日期当日的判断，可随时更改而毋须另行通知。国投证券国际，其母公司或任何其附属公司不会对因使用此报告内之材料而引致任何人士的直接或间接或相关之损失负上任何责任。

此报告内所提到的任何投资都可能涉及相当大的风险，若干投资可能不易变卖，而且也可能不适合所有的投资者。此报告中所提到的投资价值或从中获得的收入可能会受汇率影响而波动。过去的表现不能代表未来的业绩。此报告没有把任何投资者的投资目标，财务状况或特殊需求考虑进去。投资者不应仅依靠此报告，而应按照自己的判断作出投资决定。投资者依据此报告的建议而作出任何投资行动前，应咨询专业意见。

国投证券国际及其高级职员、董事、员工，可能不时地，在相关的法律、规则或规定的许可下 (1)持有或买卖此报告中所提到的公司的证券，(2)进行与此报告内容相异的仓盘买卖，(3)与此报告所提到的任何公司存在顾问，投资银行，或其他金融服务业务关系，(4)又或可能已经向此报告所提到的公司提供了大量的建议或投资服务。投资银行或资产管理可能作出与此报告相反投资决定或持有与此报告不同或相反意见。此报告的意见亦可能与销售人员、交易员或其他集团成员专业人员的意见不同或相反。国投证券国际，其母公司和/或附属公司的一位或多位董事，高级职员和/或员工可能是此报告提到的证券发行人的董事或高级人员。(5)可能涉及此报告所提到的公司的证券进行自营或庄家活动。

此报告对于收件人来说是完全机密的文件。此报告的全部或任何部分均严禁以任何方式再分发予任何人士，尤其(但不限于)此报告及其任何副本均不可被带往或传送至日本、加拿大或美国，或直接或间接分发至美国或任何美国人士(根据1933年美国证券法S规则的解释)，国投证券国际也没有任何意图派发此报告给那些居住在法律或政策不允许派发或发布此报告的地方的人。

收件人应注意国投证券国际可能会与本报告所提及的股票发行人进行业务往来或不时自行及/或代表其客户持有该等股票的权益。因此，投资者应注意国投证券国际可能存在影响本报告客观性的利益冲突，而国投证券国际将不会因此而负上任何责任。

此报告受到版权和资料全面保护。除非获得国投证券国际的授权，任何人不得以任何目的复制，派发或出版此报告。国投证券国际保留一切权利。

规范性披露

- 本研究报告的分析员或其有联系者(参照证监会持牌人守则中的定义)并未担任此报告提到的上市公司的董事或高级职员。
- 本研究报告的分析员或其有联系者(参照证监会持牌人守则中的定义)并未拥有此报告提到的上市公司有关的任何财务权益。
- 国投证券国际拥有此报告提到的上市公司的财务权益少于1%或完全不拥有该上市公司的财务权益。

公司评级体系

收益评级：

- 买入 — 预期未来6个月的投资收益率为15%以上；
- 增持 — 预期未来6个月的投资收益率为5%至15%；
- 中性 — 预期未来6个月的投资收益率为-5%至5%；
- 减持 — 预期未来6个月的投资收益率为-5%至-15%；
- 卖出 — 预期未来6个月的投资收益率为-15%以下。

国投证券(香港)有限公司

地址：香港中环交易广场第一座三十九楼

电话：+852-2213 1000

传真：+852-2213 1010