

创新药专题

# In vivo CAR-T浪潮已至，行远自迩

西南证券研究院  
2026年6月

分析师：杜向阳  
执业证号：S1250520030002  
电话：021-68416017  
邮箱：duxu@swsc.com.cn

分析师：汤泰萌  
执业证号：S1250522120001  
邮箱：ttm@swsc.com.cn

# 核心观点

## ◆ 体内CAR-T发展如何？

- 2025年，全球CAR-T全球市场规模约61.2亿美元，同比增长32.9%。然而，受制于CAR-T可及性瓶颈，大批患者目前无法获得治疗。这些未满足的市场需要大幅刺激了体内CAR-T的研发进程，据不完全统计，全球CAR-T在研及上市管线总数超1500条，管线储备体量庞大，研发热情持续高涨。

## ◆ 体内CAR-T的机制创新？

- **体内CAR-T(In Vivo CAR-T)** 是下一代CAR-T的目标形态，其同样通过特异性改造T细胞获得靶向杀伤，区别于传统自体CAR-T和通用型CAR-T的是，体内CAR-T直接在患者体内完成对T细胞的改造，因此无需成本高昂的T细胞离体改造、扩增、运输等流程，大幅降低制备成本。从目标基因递送的技术来讲，体内CAR-T主要通过慢病毒递送基因片段或通过脂质体递送mRNA：

**(1) 慢病毒递送：**类似于传统体外CAR-T，使用搭载CAR基因片段的慢病毒作为载体，该CAR基因会整合到T细胞的基因中，带来持续、长久的蛋白表达和杀伤；

**(2) 脂质体递送：**类似于mRNA疫苗，采用化学合成的脂质体包裹能表达CAR蛋白的mRNA进行递送，由于mRNA不整合到基因中且易降解，CAR-T细胞一般只存在3-7天。

## ◆ 体内CAR-T与传统CAR-T的疗效对比？

- 目前，只有少数体内CAR-T获得了少量临床数据，我们选取针对多发性骨髓瘤的BCMA靶向体内和体外CAR-T产品进行初步对比。总的来看，体内CAR-T显示出可靠的缓解能力，ESO-T01的CR达50%，KLN-1010的MRD阴性率达100%；但不同产品的毒性谱差异明显，KLN-1010的CRS控制优异（均<3级），而ESO-T01的三级CRS发生率高达60%。就早期数据而言，体内CAR-T疗效和安全性各异，仍需更多的临床数据支持。

# 核心观点

## ◆ 体内CAR-T研发格局？

**(1) 国内外医药交易频繁。**近两年来，国内外企业开始加速布局体内CAR-T。2024年以来，海外已达成十项交易行为，礼来与Orna的交易为In vivo CAR-T领域最高金额的交易，交易金额达24亿美元。

**(2) 靶点分布相对平衡。**目前体内CAR-T的适应症主要集中在血液肿瘤和自免疾病，而针对实体瘤的管线均处于临床前。

## ◆ 体内CAR-T的投资逻辑？

体内CAR-T作为下一代CAR-T，以其易于规模化生产标准化药物吸引广大投资者的关注。对于体内CAR-T的投资，我们建议把握三个维度，包括研发、商业化和出海逻辑。

**(1) 研发：**一方面，体内CAR-T优异临床数据的披露有望推动股票价格快速攀升，由于目前全球管线最高进展仅为临床I/II期，建议关注进一步临床数据的披露，以及把握全球肿瘤大会的投资机会，如ASCO、CSCO、ESMO、SABCS等。

**(2) 商业化：**长期来看，体内CAR-T有望补充传统CAR-T临床未被满足的部分。建议从两个维度把握体内CAR-T商业化的考量，**一是商业化超预期**，体内CAR-T凭借更低的价格和相当的疗效、安全性优势，有望替代传统CAR-T；**二是体内CAR-T以合适的价格纳入医保**，开辟院内市场，拓宽销售渠道。

**(3) 出海：**近年体内CAR-T药物交易火热，国内外企业加速布局体内CAR-T，企业间交易频次较高。我们认为，体内CAR-T的自主出海和License out有望加速行业发展，并成为股价的重要催化剂。

**风险提示：**创新药研发的不确定性风险、研发进展不及预期风险、商业化进展不及预期风险、药品降价风险，医药行业政策风险等。

# 目 录

---

## 1 体内CAR-T是下一代CAR-T的发展方向

## 2 体内CAR-T疗法的递送及作用机制

## 3 体内CAR-T初步疗效和安全性优异

## 4 国内上市公司体内CAR-T疗法的在研现状

## 5 风险提示

# 1.1 体内CAR-T是下一代CAR-T的发展方向

- 2025年，国家医保局将5款国产CAR-T疗法纳入“商保创新药目录”，细胞治疗药物可及性有望得到提升。



药品名称	商品名	研发公司	治疗靶点	商保获批适应症
阿基仑赛注射液	奕凯达	复星凯瑞	CD19	大B细胞淋巴瘤
瑞基奥仑赛注射液	倍诺达	药明巨诺	CD19	大B细胞淋巴瘤、滤泡性淋巴瘤、套细胞淋巴瘤
纳基奥仑赛注射液	源瑞达	合源生物	CD19	B细胞急性淋巴细胞白血病，大B细胞淋巴瘤
伊基奥仑赛注射液	福可苏	驯鹿生物	BCMA	多发性骨髓瘤
泽沃基奥仑赛注射液	赛恺泽	恺兴生命	BCMA	多发性骨髓瘤

## 1.2 体外与体内CAR-T的区别

相较体外CAR-T，体内CAR-T主要存在三大优势，包括：

- (1) **即用型药物，缩短治疗周期。**省去了体外CAR-T所需的细胞采集、运输、改造和扩增等复杂流程，直接将载体注射体内完成改造，大幅降低制备成本。
- (2) **无需清淋化疗，降低毒性风险。**避免了体外CAR-T必需的清淋预处理，减少骨髓抑制和感染风险。
- (3) **体内自然编程，增强实体瘤疗效。**T细胞在人体生理环境中被改造，能更好维持干性、避免耗竭，从而拥有更持久的抗肿瘤活性；部分设计可直接改造肿瘤内的浸润T细胞，利用其归巢能力突破实体瘤微环境。

	体外 CAR-T 疗法	体内 CAR-T 疗法
生产方式	T细胞分离→体外基因编辑→扩增→回输	注射载体递送CAR基因或mRNA→靶向T细胞体内转导
递送工具	使用病毒载体在体外进行基因递送和T细胞改造	使用病毒载体或脂质体工具将基因或mRNA直接递送至体内T细胞
制备流程	<b>复杂</b> ：T细胞提取、基因改造、体外扩增、回输	<b>简单</b> ：直接递送CAR基因或mRNA至体内T细胞
制备周期	<b>慢</b> ：数周以收集、改造和扩增T细胞	<b>快</b> ：省去了在体外培养和扩增步骤，生产过程更快
成本	<b>高</b> ：个体化GMP设施，几十万元/人	<b>低</b> ：规模化生产，有望降低至传统疗法的1/10
安全性	<b>一般</b> ：需清淋治疗，细胞污染风险	<b>高</b> ：不清淋，免疫系统完整
适用症	<b>窄</b> ：以血液瘤为主，实体瘤效果有限	<b>广</b> ：血液瘤、实体瘤、自免
产业现状	已有10余款产品上市	全球尚无获批产品，处于临床早期

## 1.3 国内外医药交易

- **国内体外CAR-T交易频繁，国内企业合作、出海、引入布局产业。** 2024年以来，国内已达成7项交易行为，国内普瑞金生物与吉利德子公司Kite Pharma就体内CAR-T疗法达成合作开发协议，可获最高15.2亿美元的里程碑付款。

时间	转让方	受让方	交易类型	药物/技术	靶点	总金额 (亿美元)
2026-02	晶泰科技	尧唐生物	合作	AI+mRNA CAR-T平台	-	-
2025-10	普瑞金	Kite	合作	-	-	\$15.2
2025-09	天泽云泰	沙砾生物	授权	ViLNP Ab-tLNP技术	-	-
2025-08	楷拓生物	思路迪	合作	tLNP+mRNA体内CAR-T/NK	-	-
2025-05	原启生物	Umoja	合作	体内CAR-T技术平台	-	-
2025-01	Orna	先博生物	授权	BCMA体内CAR-T技术	BCMA	-
2024-09	诺纳生物	Umoja	合作	HCAb平台体内CAR-T	-	-
2023-12	楷拓生物	博生吉	合作	mRNA-LNP体内CAR-T	CD19	-
2023-01	Orna Therapeutics	先博生物	授权/许可	ORN-328	-	-

# 目 录

---

1 体内CAR-T是下一代CAR-T的发展方向

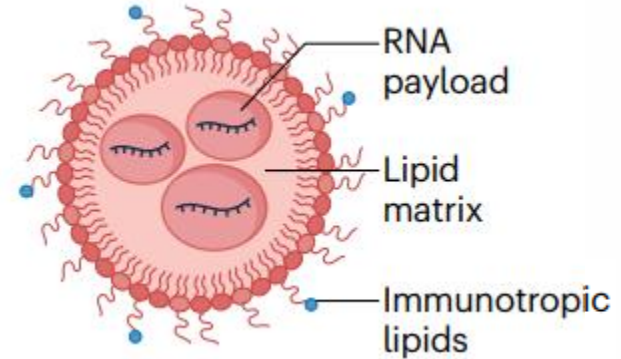
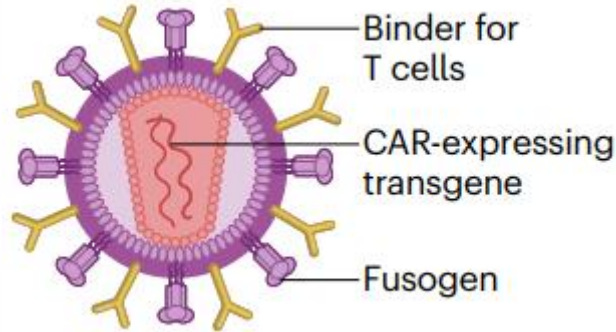
**2 体内CAR-T疗法的递送及作用机制**

3 体内CAR-T初步疗效和安全性优异

4 国内上市公司体内CAR-T疗法的在研现状

5 风险提示

## 2.1 主流递送方式



### 慢病毒载体

**原理:** 基因整合至宿主基因组，类似于传统体外CAR-T转导，长期表达

#### 靶向策略:

- CD3靶向: 泛T细胞工程
- CD8靶向: 细胞毒性T细胞特异性
- CD5靶向: 减少CAR-T自相残杀

#### 代表产品:

- Umoja VivoVec (CD19/CD22, 血液瘤, 自身免疫疾病)
- Interius INT-2104 (CD20, 血液瘤)
- Legend LVIVO-TaVec (CD19/CD20, 血液瘤)

**优势:** 持久性表达、单次给药潜力

**挑战:** 插入突变风险、免疫原性

### 脂质纳米颗粒

**原理:** mRNA翻译表达，无基因整合，表达时间短

#### 靶向策略:

- CD3/CD5抗体修饰
- 组织趋向性脂质配方
- 新型离子化脂质(L829)

#### 代表产品:

- Capstan CPTX-2309 (CD19, 自身免疫疾病)
- Myeloid MT-302/303 (TROP2/GPC3, 实体瘤)

**优势:** 制造简单、更安全

**挑战:** 表达时间短(3-7天)、需重复给药

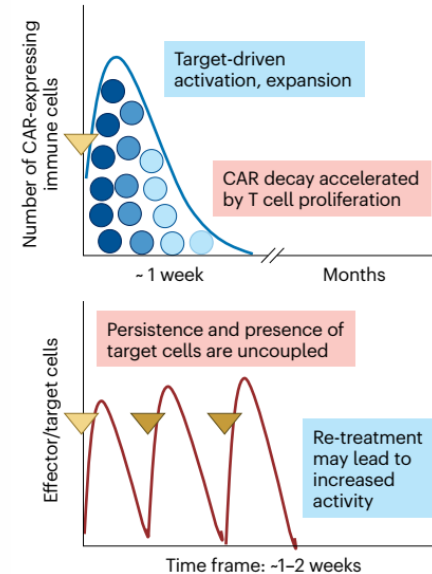
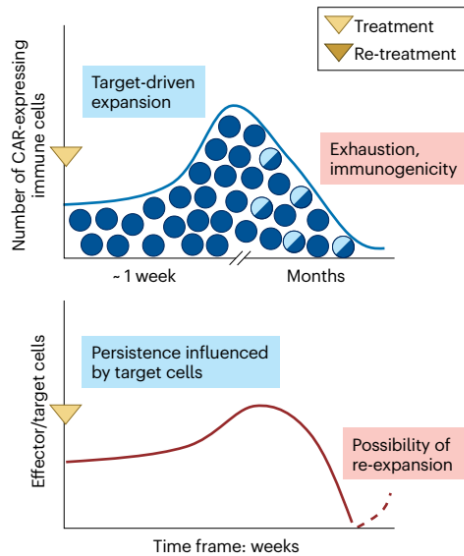
## 2.1 主流递送方式

病毒载体是目前体外CAR-T及多数体内CAR-T的主流选择，其优势在于基因整合能力强、可实现长期稳定表达，使CAR-T细胞在体内持久存在并可能形成记忆细胞，从而获得持续的抗肿瘤效果。但这一技术路径也伴随着插入突变风险、免疫原性导致的重复给药受限、以及规模化生产中复杂的生物工艺和批次间变异，直接推高了**制造成本和质量控制难度**。

相比之下，**脂质体递送依托于mRNA疫苗的研发平台**，则定位于解决病毒载体的核心痛点。由于不整合至宿主基因组，非病毒载体无插入突变风险，安全性更高；同时，其采用化学合成方式生产，规模化路径更简单、可标准化，**成本显著降低**。但代价是表达持续时间短（数天至数周），CAR-T细胞无法长期存活，通常需重复给药以维持疗效，这对患者的依从性和给药方案设计提出了新要求。

比较维度	病毒载体	脂质体
基因整合	整合至宿主基因组	无整合(翻译表达)
表达持续时间	长期(数周至数年)	短期(数天至数周)
CAR-T持久性	持久，可能形成记忆	需重复给药维持
制造方式	生物生产(细胞培养)	化学合成
可重复给药	受限(免疫原性)	可行
安全性	插入突变风险	无整合风险，炎症可控
规模化	复杂，批次间变异	更简单，可标准化
成本	高(生物生产)	较低(化学合成)
适应症	肿瘤	自免

## 2.2 作用过程



### 慢病毒载体作用流程

1. 系统注射 → 病毒颗粒与T细胞表面受体结合
2. 内吞 → 内体酸化触发膜融合
3. 逆转录RNA基因组为DNA
4. 病毒DNA整合入宿主基因组
5. 持久CAR表达 → CAR-T细胞扩增杀伤靶细胞

### 持久性 vs 可控性 权衡

慢病毒/DNA整合型 → 持久性强但可控性弱 → 适合高肿瘤负荷、需持久免疫监视的适应症（如肿瘤适应症）  
 LNP-mRNA/RNA型 → 可控性强但持久性弱 → 适合需要“免疫重置”而非持久清除的适应症（如自身免疫病）

### LNP-mRNA作用流程

1. 系统注射 → LNP通过抗体靶向结合T细胞
2. 内吞 → 可电离脂质在内体酸性环境中质子化
3. 内体逃逸 → mRNA释放至胞质
4. 核糖体翻译 → CAR蛋白表达于细胞膜
5. 瞬时CAR表达（mRNA降解后停止）→ 杀伤靶细胞

## 2.3 挑战与创新方向

### 安全性挑战

#### 细胞因子释放综合征(CRS):

- 全身炎症反应
- 需要分级管理策略

#### 神经毒性(ICANS):

- 免疫效应细胞相关
- 神经功能障碍

#### 脱靶效应:

- 非肿瘤组织识别
- 组织损伤风险

#### 病毒载体相关:

- 插入突变风险
- 载体免疫原性
- 预存免疫中和

### 有效性挑战

#### 持久性平衡:

- 长期vs瞬时表达权衡
- 记忆T细胞形成

#### 肿瘤微环境:

- 免疫抑制因子
- 缺氧、低pH
- 物理屏障

#### T细胞耗竭:

- 持续抗原刺激
- 功能失调状态
- 表观遗传改变

#### 抗原逃逸:

- 肿瘤抗原下调
- 谱系转换
- 异质性挑战

### 递送挑战

#### 肝脏积聚问题:

- 静脉给药后主要被肝摄取
- 肝毒性风险
- 靶器官到达率低

#### 靶向效率:

- 血液循环中的稀释
- 非特异性结合
- 靶细胞可及性

#### 内体逃逸:

- 溶酶体降解风险
- 胞质递送效率低

### 制造与监管挑战

#### 规模化生产:

- GMP级载体大规模制备
- 批次间一致性
- 质量控制复杂性

#### 监测方法:

- 实时CAR表达检测
- 体内细胞追踪
- 长期安全性监测

#### 监管框架:

- 基因治疗产品分类
- 非临床评价标准
- 人体试验设计

### 解决方案概览

- 靶向优化: 新型抗体片段、组织特异性脂质、蛋白冠工程、内体逃逸优化脂质
- 免疫调节: 共刺激配体、检查点阻断联合、表观遗传调节
- 表达调控: 环状RNA技术、可诱导安全开关、药物依赖性CAR
- 监管创新: 生物标志物指导的剂量递增、实时监测技术、适应性临床试验设计

# 目 录

---

1 体内CAR-T是下一代CAR-T的发展方向

2 体内CAR-T疗法的递送及作用机制

**3 体内CAR-T初步疗效和安全性优异**

4 国内上市公司体内CAR-T疗法的在研现状

5 风险提示

## 3.1 传奇生物：LB2501

- LB2501 是传奇生物 ( Legend Biotech ) 在研的体内 CD19/CD20 双靶点 CAR-T 细胞疗法，用于治疗复发或难治性 B 细胞非霍奇金淋巴瘤 ( R/R B-NHL )，基于其 TaVec™ 慢病毒载体平台开发，旨在通过单次静脉输注在患者体内直接生成 CAR-T 细胞，无需体外制造。
- 机制：全球首创的“体内 CAR-T” ( in vivo CAR-T )，无需采集患者 T 细胞、无需淋巴细胞清除化疗，直接静脉注射携带 CAR 基因的慢病毒载体，在体内重编程 T 细胞靶向 CD19 和 CD20。
- 最新进展：2026 年 6 月 2 日，传奇生物宣布其 I 期初步数据显示，12 例既往治疗线数中位 3 线受试者，中位年龄 58.5 岁，58.3% 的患者对最后一线治疗难治，DL1 剂量组 6 例、DL2 剂量组 6 例。在 R/R B-NHL 的第 2 剂量组 ( n=6，中位随访 2.2 个月 ) 中，客观缓解率 ( ORR ) 100% ( 6/6 )，完全缓解率 ( CR ) 83.3% ( 5/6 )，安全性良好 ( 无剂量限制性毒性、无 ≥3 级 CRS/ICANS )。

疗效指标	总体 n=12	DL2 n=6
ORR (客观缓解率)	50.0% (6/12)	100% (6/6)
CR (完全缓解率)	41.7% (5/12)	83.3% (5/6)
缓解持续性	所有缓解仍在持续	所有缓解仍在持续
CAR-T 扩增比例	DL1 83%，DL2 100%	100%
外周血最长检出	116 天	—

安全性指标	结果
剂量限制性毒性 (DLT)	未报告
严重不良事件 (SAE)	未报告
致死病例	未报告
ICANS (神经毒性)	未观察到
CRS (细胞因子释放综合征)	8/12 (66.7%)，全部 ≤2 级
CRS 中位缓解时间	2.0 天
托珠单抗/激素使用	未使用
输注相关反应	9/12 (75.0%)，全部 1/2 级

## 3.1 传奇生物：LB2501

疗法	技术路线	ORR	CR	证据成熟度
Axi-cel (ZUMA-1)	体外自体CD19 CAR -T	72—82%	51—54%	百例级注册，长期随访成熟
Liso-cel (TRANSCELLIND)	体外自体CD19 CAR -T	约73%	约53%	中位DOR 17—23个月
Tisa-cel (JULIETT)	体外自体CD19 CAR -T	约50%	约32%	注册级
<b>LB2501 DL2</b>	<b>体内慢病毒 CD19/CD20</b>	<b>100%</b>	<b>83.3%</b>	<b>n=6，随访2.2个月</b>

## 3.2 阿斯利康：ESO-T01治疗多发性骨髓瘤

- 2025年7月2日，《柳叶刀》期刊发表题为「In-vivo B-cell maturation antigen CAR T-cell therapy for relapsed or refractory multiple myeloma」的研究，首次报告了 EsoBiotec（2025年3月被阿斯利康以10亿美元收购）与普瑞金生物联合开发的 in-vivo CAR-T 疗法 ESO-T01 在 4 例复发/难治性多发性骨髓瘤（RRMM）患者中的完整临床数据，为慢病毒介导的 in-vivo CAR-T 技术临床转化提供了关键验证。
- 患者 1 在 2 个月时达到严格完全缓解（sCR），髓内及髓外病灶完全消退；患者 2 在 28 日达到 sCR，病灶完全消退；患者 3、4 获得部分缓解（PR），28 日时肿瘤负荷缩小，骨髓微小残留病灶（MRD）阴性。2 个月随访时，患者 3 血清蛋白电泳及游离轻链浓度恢复正常，患者 4 指标进一步下降。
- 作为全球首个报告 in-vivo CAR-T 治疗多发性骨髓瘤的临床研究，**ESO-T01 展现了显著的短期疗效和良好的安全性特征**，其起始剂量（ $2 \times 10^8$  TU）远低于非人灵长类耐受剂量（ $7.5 \times 10^9$  TU/kg），且药代动力学参数（最大浓度、0-28 日曲线下面积）与已上市 CAR-T 产品（如 idecabtagene vicleucel 和 ciltacabtagene autoleucel）相当，提示其可能具备更优的临床转化潜力。
- 安全性方面，所有患者在输注当日均出现急性炎症反应：首先寒战，3小时内发热，持续6-18小时。所有患者均发生细胞因子释放综合征（CRS），患者1、2和4为3级，患者3为1级。患者1、2和4出现低血压，患者1和4还出现低氧血症，其中患者1还出现轻度意识障碍和上肢震颤，头部CT未见异常；经地塞米松（10 mg）及免疫球蛋白治疗后，症状48小时内缓解。患者3出现头痛及腿部酸痛，经对症处理后缓解。

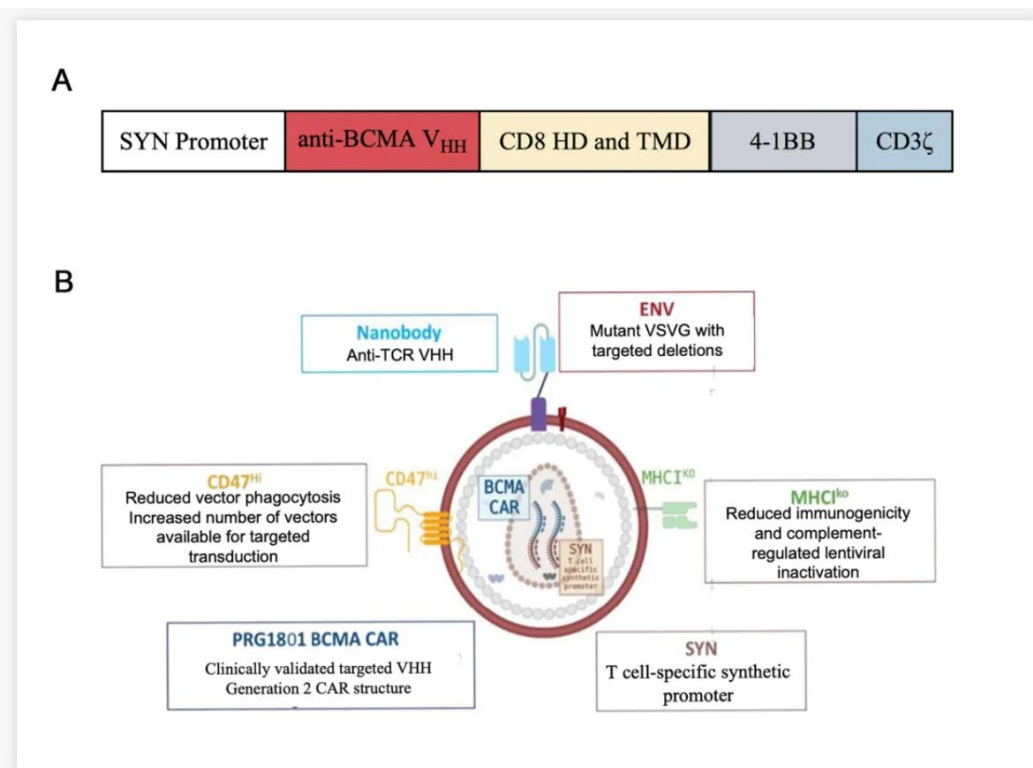


Figure S1: CAR construct and design mechanisms

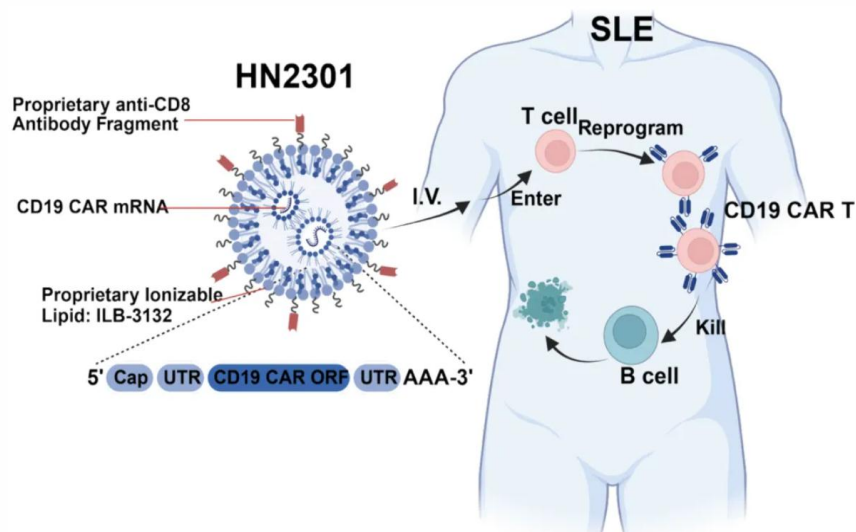
(A) CAR construct of ESO-T01. (B) Design mechanisms of ESO-T01.

## 3.3 Kelonia : 2025 ASH 披露 in vivo CAR T 临床试验数据

- 2025年11月24日，Kelonia官宣，其研发的KLN-1010 管线1期首批临床结果，将以口头报告形式在2025年美国血液学会（ASH）年会上公布。作为一款体内CAR-T 疗法，KLN-1010无需单采制备流程，可在人体内部直接生成抗 B 细胞成熟抗原（BCMA）的CAR-T细胞，专门用于治疗复发和难治性多发性骨髓瘤（RRMM）。该临床试验名为inMMycAR（试验编号NCT07075185），于2025年8月19日完成首例患者给药，仅时隔三个多月便迎来首批临床结果的正式披露。
- 其披露的摘要聚焦首批3名受试患者的疗效和安全性，整体表现亮眼。治疗后1个月，所有患者均达到微小残留病灶（MRD）阴性标准，检测灵敏度达  $10^{-5}$  或  $10^{-6}$ ；其中随访时间最长的首例患者，该MRD阴性状态（ $10^{-6}$ 灵敏度）持续至治疗后3个月。依据IMWG评估标准，**3名患者治疗1个月时均实现部分缓解**，且截至结果披露时均维持缓解状态，无复发情况出现。
- **安全性表现**
  - 3名患者在治疗过程中均出现了治疗相关不良事件，这类不良事件主要集中在药物输注阶段和CAR-T细胞扩增阶段。输注相关反应方面，2名患者在输注后30-60分钟内出现症状，且均在6-48小时内缓解；鉴于首例患者出现该反应，后续2名患者均预防性使用托珠单抗，有效保障了治疗安全。在CAR-T细胞扩增期间，2名患者出现2级细胞因子释放综合征（CRS），但未观察到免疫效应细胞相关神经毒性综合征，也无帕金森病、颅神经麻痹等迟发性神经毒性反应。血液学毒性方面，仅1名患者在治疗第15天出现持续1天的3级贫血，另1名患者在第1天和第15天出现3-4级中性粒细胞减少；整个治疗首月，无患者出现≥3级血小板减少、≥3级血液毒性及治疗引发的感染，安全性整体可控。
  - **该疗法的一大突破在于无需进行预处理化疗**，仍实现了CAR-T细胞的高效扩增。3名患者的绝对淋巴细胞计数（ALC）峰值出现在治疗第13-18天，数值分别为  $2.3 \times 10^9/L$ 、 $7.37 \times 10^9/L$  和  $43.1 \times 10^9/L$ 。治疗第15天检测显示，CAR阳性细胞占 CD3+淋巴细胞的比例分别为35%、22%和72%，其中两个样本的基因组DNA载体转导拷贝数更是达到51647拷贝/ $\mu g$  和 65873拷贝/ $\mu g$ 。

### 3.4 虹信生物：in vivo CAR-T治疗系统性红斑狼疮展示出安全、可重复的免疫重启能力

- 2025年9月，虹信生物（MagicRNA）在新英格兰医学杂志（The New England Journal of Medicine）上全球首次公布了基于mRNA-LNP的In vivo CAR T候选药物HN2301在系统性红斑狼疮(SLE)病人的临床试验研究数据，观察到了良好的安全性以及初步的临床疗效。该论文的发表宣告mRNA-LNP路径的In vivo CAR T正式进入临床研究阶段，并且在人体上首次获得了临床验证。
- 在这项研究中，共有5名多线治疗无效的系统性红斑狼疮（SLE）患者入组，接受2mg或4mg的HN2301治疗。在首次接受HN2301治疗前一周内，所有患者均停用了免疫抑制药物。输注后6小时，外周血中即可检测到CD8<sup>+</sup>CD19 CAR-T细胞。CAR-T细胞及其mRNA水平均在每次输注后约6小时达到峰值，并在2-3天内恢复至基线水平。伴随体内CAR-T达峰，外周血B细胞数量出现显著下降：接受2 mg剂量的患者（1、2号）出现明显减少，而接受4 mg剂量的患者（3、4、5号）则实现了完全清除（<1个B细胞/ $\mu$ L），这一效应可持续约7-10天。
- 与药代药动匹配的，是疗效的持续时间。部分患者(特别是Pt 4, 5)出现抗核小体抗体与抗双链DNA抗体水平下降，其余患者下降不明显。且所有的5例患者均没有出现持久的下降和维持。在治疗3个月内的SLE疾病活动评分（SLEDAI-2000）随访中，4号受试者的疾病缓解最明显，也最持久，其余4例患者的改善较为轻微。
- 值得注意的是，在5例难治性SLE患者的临床试验中，HN2301通过快速清除B细胞，显著改善了关节炎（Arthritis）、血管炎（Vasculitis）等症状，但对狼疮肾炎所致的蛋白尿改善不明显。
- 整体趋势来看，可以看出疗效和剂量呈一定的正相关，4mg组可以缓解症状降低疾病活动度，而低剂量组疗效有限。
- 在安全性方面，未观察到3级或4级的细胞因子释放综合征（CRS），也未出现任何免疫效应细胞相关神经毒性综合征（ICANS）。
- 自体CAR-T治疗后，所有患者的SLE评分都降低到0，实现无药缓解，而且可以长期维持。通用型CAR-T也能达到多数患者评分降到0，和部分患者实现无药缓解。显然本项研究在疗效方面相比仍有较大的差距。



## 3.5 嘉晨西海：in vivo CAR-T实现深度组织 B 细胞清除

- 2026年4月10日，嘉晨西海公布其创新型 in vivo CAR-T 候选药物 JCXH213 的最新临床数据：在第一例系统性硬化症 (SSc) 患者中实现外周血与淋巴结组织的彻底B细胞清除。据公司新闻稿，这是全球首次报道 in vivo CAR-T 技术实现深度组织 B 细胞清除。
- JCXH-213采用公司自主研发的主动靶向tLCNP，通过化学偶联公司独有的CD8纳米抗体，实现对 CD8<sup>+</sup>T 细胞的高效特异性转染。此外，tLCNP表现出良好的脾脏趋向性，并可高效转染初始态T细胞。
- 首例 SSc 患者接受低剂量 JCXH-213 单次给药后，外周血 B 细胞计数即降至检测不到水平，并在两周的给药期内以及停药后至少15天内维持完全阴性（截至发稿时，观察仍持续进行中）。病人给药结束当日的自身抗体水平亦开始呈现出下降趋势。
- 尤为关键的是，组织活检结果证实，淋巴结组织（自身反应性 B 细胞的重要储存库）实现彻底B细胞清除，表明公司主动靶向 tLCNP 平台可高效将编码CAR分子的mRNA递送至 T 细胞，使被转染后的阳性T细胞主动寻找靶目标并清除外周血以及深层组织和器官内的 B 细胞。

# 目 录

---

1 体内CAR-T是下一代CAR-T的发展方向

2 体内CAR-T疗法的递送及作用机制

3 体内CAR-T初步疗效和安全性优异

**4 国内上市公司体内CAR-T疗法的在研现状**

5 风险提示



## 4.1 传奇生物

- LVIVO-TaVec100在2025年5月首次获批临床I期，是一种靶向CD19/CD20的双特异性体内CAR-T生成制剂。双特异性靶向可扩大对B细胞肿瘤的覆盖范围，降低肿瘤细胞因单一抗原丢失或下调而导致的免疫逃逸风险，增强抗肿瘤效果，该技术在体内CAR-T管线具有差异化。

药物	载体	靶点	适应症	临床阶段	最新进展
LVIVO-TaVec100	体内CAR-T (慢病毒)	CD19   CD20	慢性淋巴细胞白血病、惰性淋巴瘤、大B细胞淋巴瘤、套细胞淋巴瘤	临床I期	NCT07002112首次登记/公示信息
LVIVO-TaVec400	体内CAR-T (慢病毒)	-	多发性骨髓瘤	临床I期	NCT07399444首次登记/公示信息

## 4.2 石药集团

- 石药控股集团有限公司组建于1997年，深耕成药、原料药、功能食品等三大板块。SYS6055是石药集团研发的一款靶向CD19 *Invivo* CAR-T产品，2026年1月，SYS6055获批IND，用于治疗复发/难治侵袭性B细胞淋巴瘤。

药物	载体	靶点	适应症	临床阶段	最新进展
SYS6020	体外CAR-T (脂质体)	BCMA	多发性骨髓瘤, 系统性红斑狼疮, 重症肌无力	临床I期	NCT06688435首次登记/公示信息
SYS6063	体外CAR-T	CD19/BCMA	多发性骨髓瘤	临床前	
SYS6055	体内CAR-T (慢病毒)	CD19	复发/难治性侵袭性B细胞淋巴瘤	临床 I/II期	NCT07476066首次登记/公示信息

## 4.3 云顶新耀

- 云顶新耀是一家专注于创新药研发、临床开发、制造和商业化的生物制药公司，并以拥有全球权益的自研 mRNA 平台为基础，持续推进mRNA in vivo CAR-T 与 mRNA 肿瘤疫苗等现有管线。**EVM18**是云顶新耀基于AI+mRNA技术平台开发，基于脂质体递送的体内CAR-T药物，适应症为肿瘤和自免，目前处于临床前阶段。

NDA/BLA 批准	分子 (疗法)	合作方	商业权益	适应症	云顶新耀研发进展						全球研发进展
					临床前	1期临床	2期临床	3期临床	BLA/NDA 申请	批准	
2023	NEFECON® (耐赋康®)	AsahiKASEI 旭化成	大中华区, 新加坡, 韩国	IgA肾病	中国大陆、澳门、香港、台湾及韩国、新加坡已获批						美国, 欧盟已获批
	依嘉®(依拉环素)	INNOVIVA TETRAPHASE	大中华区, 韩国, 东南亚	复杂性腹腔内感染	中国大陆、香港、台湾及新加坡已获批						美国, 欧盟, 英国已获批
2024-26	维连平™ (艾曲莫德)	Pfizer	大中华区, 韩国, 新加坡	溃疡性结肠炎	中国澳门、香港及新加坡已获						美国, 欧盟已获批
	头孢吡肟-他尼硼巴坦 (Cefepime-taniborbactam)	Venatorx	大中华区, 韩国, 东南亚	复杂性尿路感染	中国大陆获优先审评						美国获优先审评
2027及未来	Zetomipzomib (泽托佐米)	KEZAR	大中华区, 韩国, 东南亚	自免性肝炎							2a期
	EVER001 (XNW1011)	EVOPONTIS SERUMAB	全球	膜性肾病							1b/2a期
	EVER206 (SPR206)	SPER® THERAPEUTICS	大中华区, 韩国, 东南亚	革兰阴性菌感染							1期
自研平台	个性化肿瘤疫苗	自主研发	全球	肿瘤							Slide Sorter 已启动
	肿瘤相关抗原疫苗	自主研发	全球	肿瘤							美国IND获批
	<b>免疫调节肿瘤疫苗</b>	自主研发	全球	肿瘤							临床前
	自体生成CAR-T	自主研发	全球	肿瘤&自免							临床前

## 4.4 科济药业

- 科济药业是一家生物制药公司，专注于开发创新CAR-T细胞疗法，公司现拥有12款CAR-T管线产品，包含4款自体CAR-T，7款通用型CAR-T，以及1款体内CAR-T，均为自主研发且拥有全球权益。其中，全人源BCMA自体CAR-T细胞产品赛恺泽已在中国获批上市。公司的Claudin18.2自体人源化CAR-T产品舒瑞基奥仑赛注射液是全球首款进入NDA阶段的用于治疗实体瘤的CAR-T产品。其针对B细胞肿瘤的双靶点CD19/CD20体内CAR-T药物KJ-C2529目前处于临床前阶段，该药物是基于慢病毒递送。

候选产品 <sup>1</sup>	靶点	适应症	临床前	I期	II期/III期 <sup>2</sup>	BLA/NDA
<a href="#">赛恺泽® (CT053)<sup>3</sup></a>	BCMA	复发/难治性多发性骨髓瘤 (4L+) 复发/难治性多发性骨髓瘤	LUMMICAR 1 (中国)			已上市
			LUMMICAR 2 (美国, 加拿大)			
<a href="#">舒瑞基奥仑赛注射液 (CT041)</a>	Claudin18.2	胃癌 (3L+) 胃癌、胰腺癌 胰腺癌 (辅助) 胃癌、胰腺癌等 胃癌 (辅助) 胃癌 (一线序贯)	ST-01 (中国)			
			ST-02 (美国, 加拿大)			
			ST-05 (中国)			
			IIT (中国)			
			IIT (中国)			
			IIT (中国)			
<a href="#">CT071</a>	GPRC5D	复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病 复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病 新诊断的多发性骨髓瘤	(美国)			
			IIT (中国)			
			IIT (中国)			
<a href="#">CT011</a>	GPC3	肝细胞瘤 (辅助)	(中国)			
<a href="#">CT0590</a>	BCMA	复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病	IIT (中国)			
<a href="#">CT0596</a>	BCMA	复发/难治性多发性骨髓瘤、 浆细胞白血病	IIT (中国)			
<a href="#">CT1190B (KJ-C2219)</a>	CD19/CD20	B细胞肿瘤 系统性红斑狼疮和系统性硬化症	IIT (中国)			
			IIT (中国)			
<a href="#">KJ-C2320</a>	CD38	急性髓系白血病	IIT (中国)			
<a href="#">KJ-C2526</a>	NKG2DL	急性髓系白血病、其他恶性肿瘤、抗衰老				
<a href="#">KJ-C2527</a>	Claudin18.2	胃癌				
<a href="#">CT1390B</a>	CLL1	急性髓系白血病				
<a href="#">KJ-C2529</a>	CD19/CD20	B细胞肿瘤				

# 风险提示

---

- ◆ 创新药研发的不确定性风险；
- ◆ 研发进展不及预期风险；
- ◆ 商业化进展不及预期风险；
- ◆ 药品降价风险；
- ◆ 医药行业政策风险。

## 西南证券投资评级说明

报告中投资建议所涉及的评级分为公司评级和行业评级（另有说明的除外）。评级标准为报告发布日后6个月内的相对市场表现，即：以报告发布日后6个月内公司股价（或行业指数）相对同期相关证券市场代表性指数的涨跌幅作为基准。其中：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；美国市场以纳斯达克综合指数或标普500指数为基准。

公司 评级	买入：未来6个月内，个股相对同期相关证券市场代表性指数涨幅在20%以上 持有：未来6个月内，个股相对同期相关证券市场代表性指数涨幅介于10%与20%之间 中性：未来6个月内，个股相对同期相关证券市场代表性指数涨幅介于-10%与10%之间 回避：未来6个月内，个股相对同期相关证券市场代表性指数涨幅介于-20%与-10%之间 卖出：未来6个月内，个股相对同期相关证券市场代表性指数涨幅在-20%以下
行业 评级	强于大市：未来6个月内，行业整体回报高于同期相关证券市场代表性指数5%以上 跟随大市：未来6个月内，行业整体回报介于同期相关证券市场代表性指数-5%与5%之间 弱于大市：未来6个月内，行业整体回报低于同期相关证券市场代表性指数-5%以下

## 分析师承诺

报告署名分析师具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格并注册为证券分析师，报告所采用的数据均来自合法合规渠道，分析逻辑基于分析师的职业理解，通过合理判断得出结论，独立、客观地出具本报告。分析师承诺不曾因，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获取任何形式的补偿。

## 重要声明

西南证券股份有限公司（以下简称“本公司”）具有中国证券监督管理委员会核准的证券投资咨询业务资格。

本公司与作者在自身所知知情范围内，与本报告中所评价或推荐的证券不存在法律法规要求披露或采取限制、静默措施的利益冲突。

《证券期货投资者适当性管理办法》于2017年7月1日起正式实施，本报告仅供本公司签约客户使用，若您并非本公司签约客户，为控制投资风险，请取消接收、订阅或使用本报告中的任何信息。本公司也不会因接收人收到、阅读或关注自媒体推送本报告中的内容而视其为客户。本公司或关联机构可能会持有报告中提到的公司所发行的证券并进行交易，还可能为这些公司提供或争取提供投资银行或财务顾问服务。

本报告中的信息均来源于公开资料，本公司对这些信息的准确性、完整性或可靠性不作任何保证。本报告所载的资料、意见及推测仅反映本公司于发布本报告当日的判断，本报告所指的证券或投资标的的价格、价值及投资收入可升可跌，过往表现不应作为日后的表现依据。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，本公司不保证本报告所含信息保持在最新状态。同时，本公司对本报告所含信息可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。

本报告仅供参考之用，不构成出售或购买证券或其他投资标的的要约或邀请。在任何情况下，本报告中的信息和意见均不构成对任何个人的投资建议。投资者应结合自己的投资目标和财务状况自行判断是否采用本报告所载内容和信息并自行承担风险，本公司及雇员对投资者使用本报告及其内容而造成的一切后果不承担任何法律责任。

本报告及附录版权为西南证券所有，任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制和发布。如引用须注明出处为“西南证券”，且不得对本报告及附录进行有悖原意的引用、删节和修改。未经授权刊载或者转发本报告及附录的，本公司将保留向其追究法律责任的权利。



# 西南证券研究院

## 西南证券研究院

### 上海

地址：上海市浦东新区陆家嘴21世纪大厦10楼

邮编：200120

### 北京

地址：北京市西城区金融大街35号国际企业大厦A座8楼

邮编：100033

### 深圳

地址：深圳市福田区益田路6001号太平金融大厦22楼

邮编：518038

### 重庆

地址：重庆市江北区金沙门路32号西南证券总部大楼21楼

邮编：400025

## 西南证券机构销售团队

区域	姓名	职务	手机	邮箱	姓名	职务	手机	邮箱
上海	崔露文	销售岗	15642960315	clw@swsc.com.cn	叶佳缘	销售岗	15800609605	yejy@swsc.com.cn
	李煜	销售岗	18801732511	yfliyu@swsc.com.cn	贾文婷	销售岗	13621609568	jiawent@swsc.com.cn
	汪艺	销售岗	13127920536	wyyf@swsc.com.cn	张嘉诚	销售岗	18656199319	zhangjc@swsc.com.cn
	戴剑箫	销售岗	13524484975	daijx@swsc.com.cn	毛玮琳	销售岗	18721786793	mwl@swsc.com.cn
	张方毅	销售岗	15821376156	zfyi@swsc.com.cn	张大炜	销售岗	13163027178	zhangdaw@swsc.com.cn
	李嘉隆	销售岗	15800507223	ljlong@swsc.com.cn				
北京	李杨	北京销售主管兼销售岗	18601139362	yfly@swsc.com.cn	王宇飞	销售岗	18500981866	wangyuf@swsc.com.cn
	张岚	销售岗	18601241803	zhanglan@swsc.com.cn	王一菲	销售岗	18040060359	wyf@swsc.com.cn
	姚航	销售岗	15652026677	yhang@swsc.com.cn	马冰竹	销售岗	13126590325	mbz@swsc.com.cn
	杨薇	销售岗	15652285702	yangwei@swsc.com.cn	刘艳	销售岗	18456565475	liuyanyj@swsc.com.cn
广深	高欣	广深销售主管兼销售岗	13923418464	gaoxin@swsc.com.cn	林哲睿	销售岗	15602268757	lzh@swsc.com.cn
	龚之涵	销售岗	15808001926	gongzh@swsc.com.cn	黄诗洁	销售岗	18817316880	hsj@swsc.com.cn
	文柳茜	销售岗	13750028702	wlq@swsc.com.cn				