

2026年中国小核酸药物黄金时代前夜： 瑞博生物斩获44亿美元合作，浩博医药决战III 期，中国药企如何冲刺80亿市场？（精华版）

China's Oligonucleotide Therapeutics Industry in 2026: On the Eve of a Golden Era

2026年中国オリゴヌクレオチド医薬品産業、黄金時代の前夜

报告标签：小核酸药物、siRNA、ASO、临床管线、BD出海、商业化

主笔人：许豫缘

报告提供的任何内容（包括但不限于数据、文字、图表、图像等）均系头豹研究院独有的高度机密性文件（在报告中另行标明出处者除外）。未经头豹研究院事先书面许可，任何人不得以任何方式擅自复制、再造、传播、出版、引用、改编、汇编本报告内容，若有违反上述约定的行为发生，头豹研究院保留采取法律措施、追究相关人员责任的权利。头豹研究院开展的所有商业活动均使用“头豹研究院”或“头豹”的商号、商标，头豹研究院无任何前述名称之外的其他分支机构，也未授权或聘用其他任何第三方代表头豹研究院开展商业活动。

摘要

小核酸药物主要包括反义寡核苷酸、短干扰RNA及核酸适配体等治疗性寡核苷酸，通过调控RNA表达或蛋白翻译过程发挥治疗作用。经过海外产品引入、医保准入和临床应用，中国小核酸药物市场已经形成初步的产品基础，本土企业研发资产逐步由早期安全性验证向Ⅱ期及Ⅲ期推进，适应症也由脊髓性肌萎缩症等罕见病向慢性乙型肝炎、血脂管理及肥胖等患者规模较大的疾病延伸。

从产业发展看，GalNAc偶联技术已经支持肝靶向siRNA形成较为清晰的开发路径，研发资源集中于慢性乙型肝炎、PCSK9、APOC3、AGT和ANGPTL3等靶点。中枢神经、脂肪、肌肉和肾脏等肝外递送方向开始进入人体研究，但整体仍处于早期临床验证阶段。企业发展模式则呈现平台授权、多资产开发、核心产品集中推进、引进资产开发和综合药企内部孵化等差异，行业评价标准正在由管线数量转向临床数据、资产权益、后期开发能力和商业化执行能力。

■ 中国小核酸药物行业正在由产品引入转向自主研发产品验证

海外原研产品的获批和医保准入已经验证中国市场的临床需求与支付路径。AHB-137等资产进入Ⅲ期，使行业判断重点由临床管线数量转向主要终点数据、长期安全性、CMC准备和注册申报效率。中国企业能否推出自主研发产品，将成为下一阶段行业发展水平的重要检验。

■ 企业竞争重点由资产数量转向平台变现与后期开发能力

瑞博生物通过企业间合作将递送平台和早期资产转化为首付款、里程碑及销售分成机会。浩博医药围绕AHB-137集中推进Ⅲ期开发，代表核心产品驱动的发展路径。两种模式分别考验平台持续产出能力和单一后期资产兑现能力，企业价值需要结合临床阶段、权益保留、合作收入确定性及后续资金需求综合判断。

■ 2026年至2028年将进入临床结果与商业化能力集中验证阶段

慢性乙型肝炎和血脂管理等中后期资产将陆续进入临床数据读出、申报准备和商业化决策阶段。Ⅲ期结果决定产品是否具备上市基础，生产一致性和注册执行影响获批时间，医保定价、医院覆盖和患者持续使用决定收入规模。肝外递送项目能否获得可重复的人体数据，则决定小核酸药物能否突破肝脏靶向限制并形成新的长期增长空间。

目录

◆ 中国小核酸药物行业发展与商业化进程

• 发展进程

• 产品获批与临床进展

• 临床管线结构

• 市场规模与代表性产品市场表现

• 融资与BD交易

• 商业化条件

• 主要风险与发展限制因素

◆ 中国小核酸药物企业发展分析

• 企业布局

• 企业临床资产进展

• 企业资产结构与权益安排

• 企业资金来源与发展模式

• 企业临床竞争力排名

• 企业商业化竞争力排名

• 核心企业发展路径对比

• 核心企业资金能力与出海能力

• 核心企业风险结构与关键节点

◆ 中国小核酸药物行业发展趋势研判

• 适应症赛道拓展

• 肝外递送系统突破

• 商业化路径与医保准入演变

• 关键窗口研判

◆ 方法论

◆ 法律声明

Content

- ◆ **China Small Nucleic Acid Drug Industry Development and Commercialization Progress**
 - Development Progress
 - Product Approvals and Clinical Progress
 - Clinical Pipeline Structure
 - Market Size and Performance of Representative Products
 - Financing and BD Transactions
 - Commercialization Conditions
 - Major Risks and Development Constraints
- ◆ **Analysis of China Small Nucleic Acid Drug Companies**
 - Company Portfolios / Layouts
 - Clinical Asset Progress of Companies
 - Asset Structure and Equity Arrangements
 - Funding Sources and Development Models
 - Clinical Competitiveness Ranking
 - Commercialization Competitiveness Ranking
 - Comparison of Core Companies' Development Paths
 - Core Companies' Financial Capability and Global Expansion Capability
 - Core Companies' Risk Structure and Key Milestones
- ◆ **China Small Nucleic Acid Drug Industry Development Trend Assessment**
 - Expansion of Indication Segments
 - Breakthroughs in Extrahepatic Delivery Systems
 - Commercialization Pathways and Evolution of Reimbursement Access
 - Assessment of Critical Windows
- ◆ **Methodology**
- ◆ **Legal Disclaimer**

Chapter 1

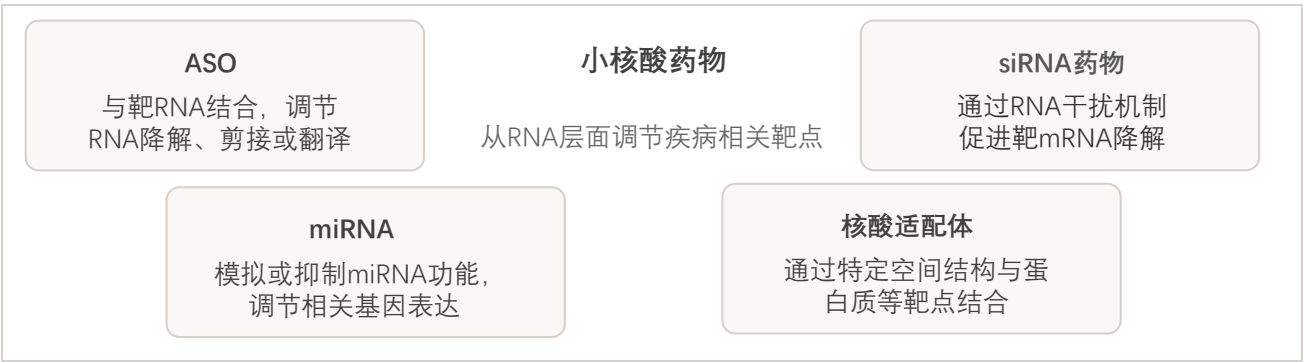
中国小核酸药物行业发展与商业化进程

- 发展进程
- 产品获批与临床进展
- 临床管线结构
- 市场规模与代表性产品市场表现
- 融资与BD交易
- 商业化条件
- 主要风险与发展限制因素

中国小核酸药物行业：发展进程

小核酸治疗药物经历基础研究、产品验证和商业化扩张三个阶段。技术完善推动ASO、核酸适配体及siRNA相继实现产品获批，行业应用逐步由罕见病向常见慢性病拓展

小核酸药物主要技术类型



■ **小核酸（small nucleic acid, SNA）治疗药物**是核酸药物的组成部分，通常指ASO、siRNA和核酸适配体等长度较短的核酸分子，主要通过抑制、降解或调节细胞内已有RNA发挥作用。小核酸药物能够从RNA层面调节疾病相关靶点，与主要作用于蛋白质靶点的传统小分子和抗体药物相比，小核酸药物可通过序列设计识别特定RNA，具有靶点选择范围较广、研发设计相对标准化等特点。其产品开发仍受到体内稳定性、组织递送、脱靶效应及免疫反应等因素影响，递送系统和化学修饰是推动行业发展的关键技术基础。

中国小核酸药物行业产业化进程，2007—2026



■ 中国市场由进口产品主导

中国已引入部分境外小核酸药物，为相关疾病提供新的治疗选择，也初步验证了小核酸药物在中国市场的临床应用基础。但进口产品主要集中于少数成熟靶点和适应症，本土企业尚未形成大规模商业化收入，行业发展仍主要依靠研发投入、临床管线推进及合作授权。后续市场扩张取决于更多产品获批、患者可及性提高及临床应用范围扩大。

■ 本土企业研发由临床布局向成果验证推进

中国小核酸药物企业已围绕慢性乙型肝炎、心血管及代谢性疾病、眼科疾病和肿瘤等领域形成多条临床管线，部分项目逐步进入中后期临床阶段。同时，本土企业开始通过对外授权、联合开发等方式验证技术平台和候选产品价值。现阶段行业仍需进一步积累临床有效性和安全性数据，并解决肝外递送、规模化生产及商业化支付等问题。

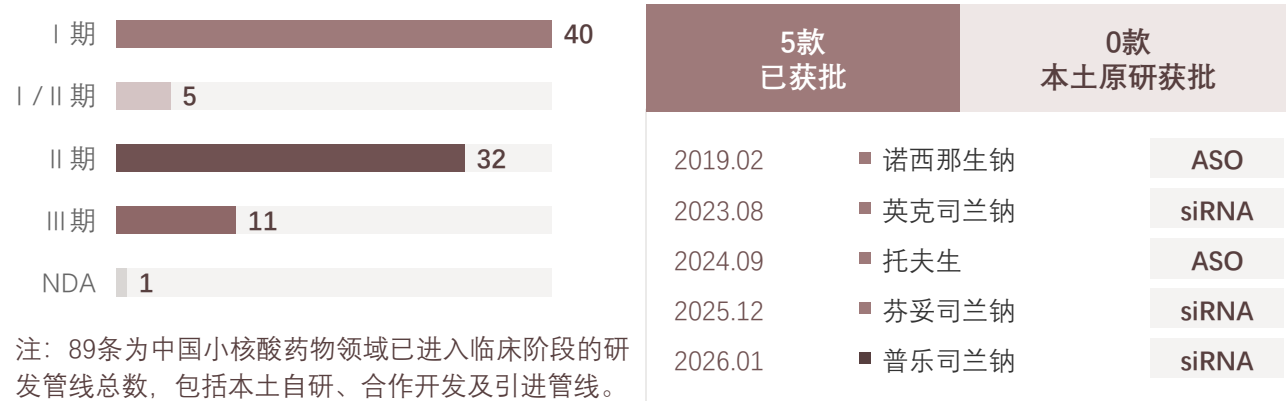
来源：科学网、丁香园、清华大学、头豹研究院

中国小核酸药物行业：产品获批与临床进展

目前中国已获批的5款小核酸药物均为海外原研产品，本土产品尚未实现上市。随着4项本土资产进入临床III期，行业判断重点已由早期管线数量转向注册性临床数据、CMC准备及申报执行进度

中国小核酸药物临床管线分布，截至2026年2月

中国已获批小核酸药物，截至2026年7月



■ 中国小核酸药物上市端仍由进口产品主导，现有获批产品数量有限，本土原研产品尚未实现上市。随着中国市场逐步形成中后期临床管线储备，行业发展重点正由海外产品引入转向本土产品的临床转化与上市推进。对本土企业而言，后续仍需通过关键临床结果、注册申报、规模化生产和市场准入验证产品的商业化能力。

中国本土原研小核酸药物III期研发进展，截至2026年7月

产品	企业	路线	截至2026年7月公开进展
AHB-137	浩博医药	ASO	III 期完成患者入组
RBD7022/QLC7401	瑞博/齐鲁	siRNA	III 期即将启动
SYH2053	石药集团	siRNA	III 期已启动
HRS-5635	恒瑞医药	siRNA	III 期招募

注：阶段按公开临床登记及企业披露统计，不代表申报或获批时间。

■ 中国本土原研小核酸药物III期管线已逐步进入关键临床阶段。其中，AHB-137已完成III期患者入组，SYH2053已启动III期研究，RBD7022/QLC7401和HRS-5635已完成III期登记。相关在研管线均以肝脏为主要作用组织，说明本土企业的后期研发资源主要投向递送可及性较高、患者基数较大且临床终点相对明确的适应证。2026年至2028年，多项III期资产将陆续进入关键数据读出阶段，临床结果、CMC验证和注册申报进度将共同影响本土小核酸药物的上市节奏。

中国小核酸药物行业：临床管线结构

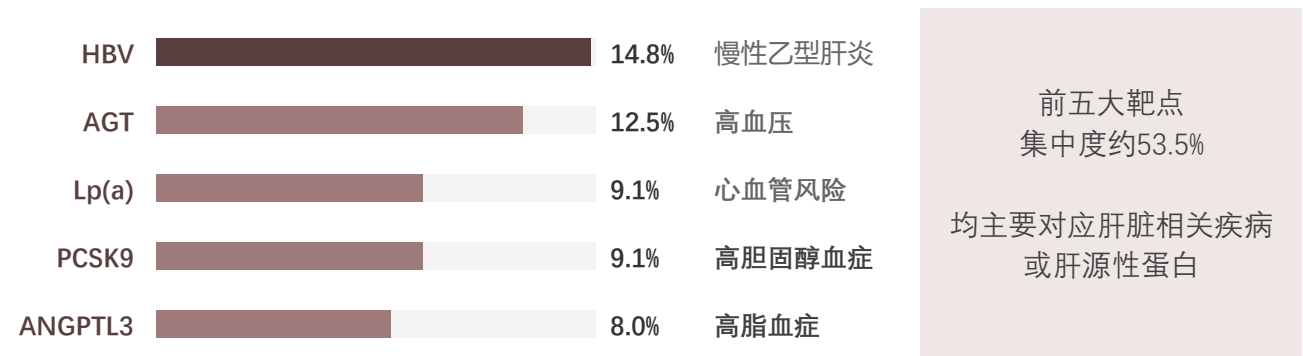
中国小核酸药物临床管线以siRNA为主，临床资源主要集中于慢性肝炎、血脂管理和高血压等适应证。GalNAc递送技术推动肝靶向管线扩展，肝外递送仍处于早期临床验证阶段

中国小核酸药物临床管线技术路线结构及占比，截至2026年2月



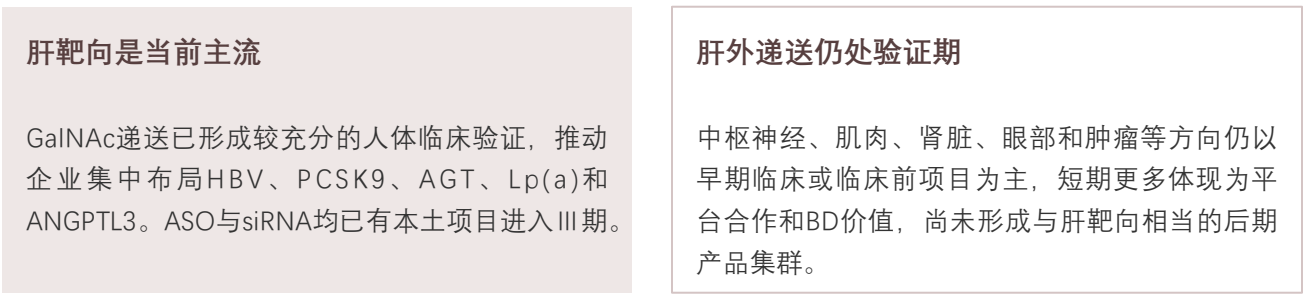
■ siRNA占中国小核酸药物临床管线的74.2%，GalNAc肝靶向递送技术的广泛应用推动其成为当前资产布局最集中的技术路线。ASO临床管线数量相对有限，但AHB-137已进入Ⅲ期，表明不同技术路线的管线规模与最高临床阶段并非同步变化。短期内，中国小核酸药物临床资产仍将以siRNA为主，ASO的产业化进度则主要由少数中后期产品的临床结果和注册进展推动。

中国小核酸药物临床管线主要靶点及作用对象分布，截至2026年2月



注：分项占比经四舍五入，集中度按未取整数据计算。

中国小核酸药物临床管线目标组织与递送方向



■ 肝靶向递送路径相对成熟，推动企业围绕临床需求明确、患者规模较大的适应证加快管线布局，也使研发资源进一步向部分热门靶点集中。随着同靶点产品陆续进入中后期临床，企业之间的差异将更多体现于靶点抑制效果及持续时间、给药间隔、安全性和临床推进速度。肝外递送目前仍处于技术与临床验证阶段，若能够形成稳定且可重复的递送效果，将扩大企业可开发的靶点和适应证范围，并降低产品管线对肝脏相关疾病的集中度。

来源：药方舟、丁香园、医药出海通、头豹研究院

中国小核酸药物行业：市场规模与代表性产品市场表现

中国小核酸治疗药物市场仍处扩容阶段，产品上市和患者可及性改善推动市场增长。诺西那生钠医保准入后快速放量，但患者规模和支付价格限制了后续销售增长

中国小核酸治疗药物市场规模，2021-2030E

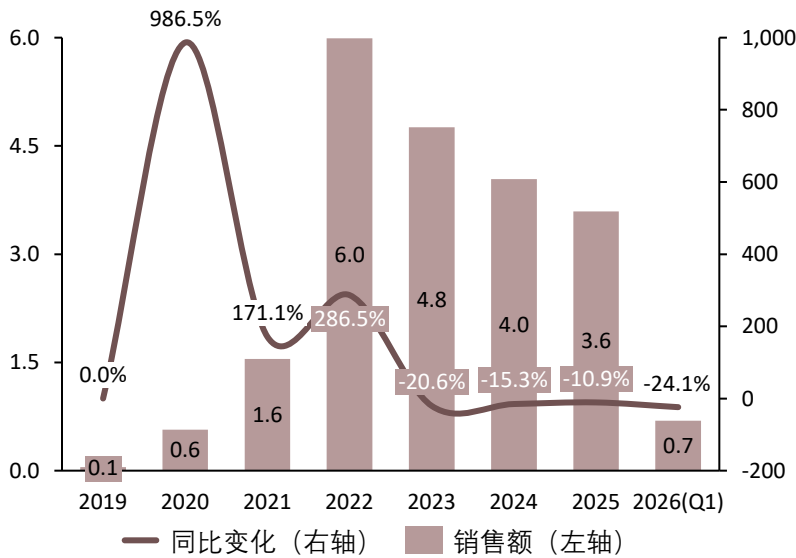
单位：亿元人民币



■ 2021年至2025年，中国小核酸治疗药物市场由0.1亿元增长至10.6亿元，市场增长主要来自进口产品上市、医保准入改善和临床使用范围扩大。由于早期市场规模较小，新增产品和患者使用量增加即可带来较高增速，但截至2025年，市场销售仍集中在少数罕见病和心血管产品，适应症覆盖及本土产品供给仍较有限。随着慢性乙肝、血脂管理等患者覆盖范围较广的产品推进上市，叠加医保支付、医院准入和本土后期管线商业化，预计2026年后，市场规模有望由2026年的16.4亿元增至2030年的79.9亿元。市场增长将逐步由进口产品导入转向产品数量增加、慢病患者覆盖和本土产品上市共同推动。

诺西那生钠中国全终端医院销售额，2019-2026Q1

单位：百分比、亿元人民币



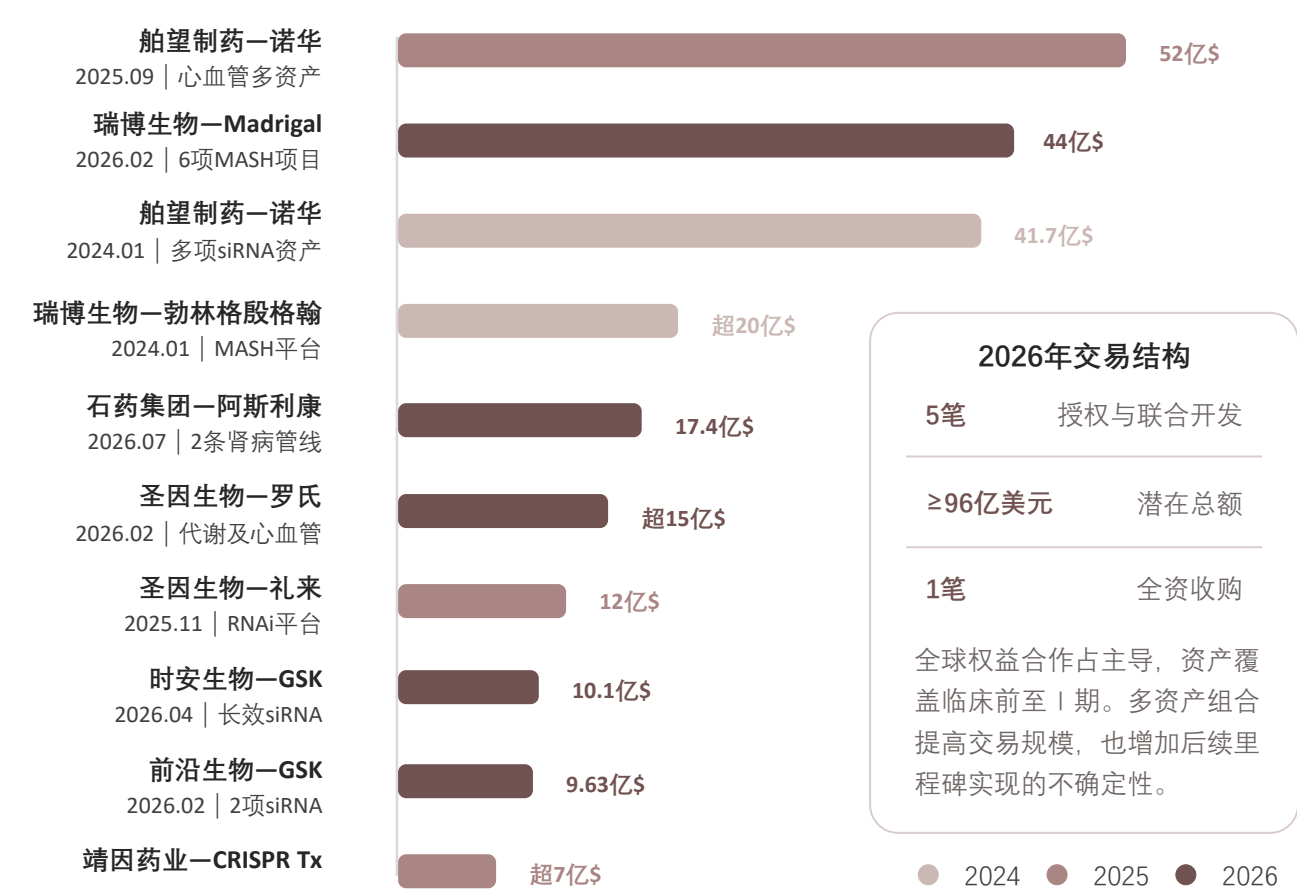
■ 诺西那生钠的销售变化反映了罕见病小核酸药物由集中启动治疗向常态化维持治疗过渡的商业化特征。2022年医保价格执行后，患者支付门槛显著下降，此前受支付能力限制的治疗需求在较短周期内释放。同时，诺西那生钠在治疗启动阶段需要完成四次负荷给药，随后转为每四个月一次的维持给药，新增患者的年度用药次数高于维持治疗患者。从行业层面看，单一罕见病产品受到目标患者规模和治疗阶段转换的约束，难以持续承担中国小核酸药物市场扩容。未来市场增长将更多来自新增产品获批、适应症向乙肝和血脂管理等较大患者人群延伸，以及医保准入后治疗覆盖率提升。

来源：摩熵医药数据库、瑞博生物招股书、头豹研究院

中国小核酸药物行业：融资与BD交易

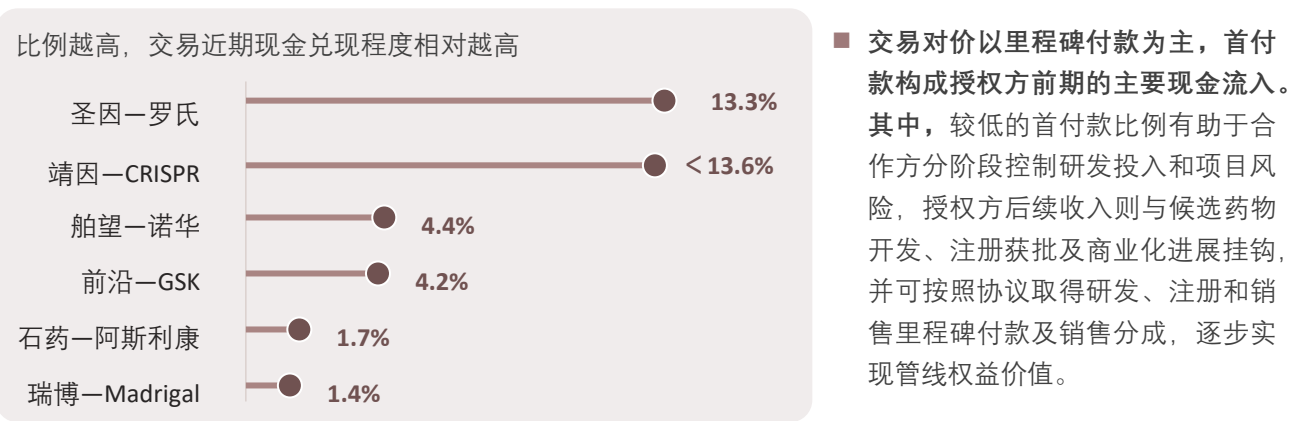
中国小核酸药物BD合作向平台授权与联合开发延伸，2026年上半年代表性交易潜在总额超过96亿美元，国际药企对中国技术平台和早期资产的认可持续提升

中国小核酸药物行业代表性BD交易潜在总金额，2024—2026.07



注：潜在总金额为合同最高金额，部分款项需达到研发、获批或销售目标后获得，不代表企业已确认收入。

中国小核酸药物行业代表性BD交易首付款占潜在总金额比例，2024—2026H1



来源：正观新闻、新浪新闻、东方财富网、中国医药创新促进会、头豹研究院

中国小核酸药物行业：商业化条件

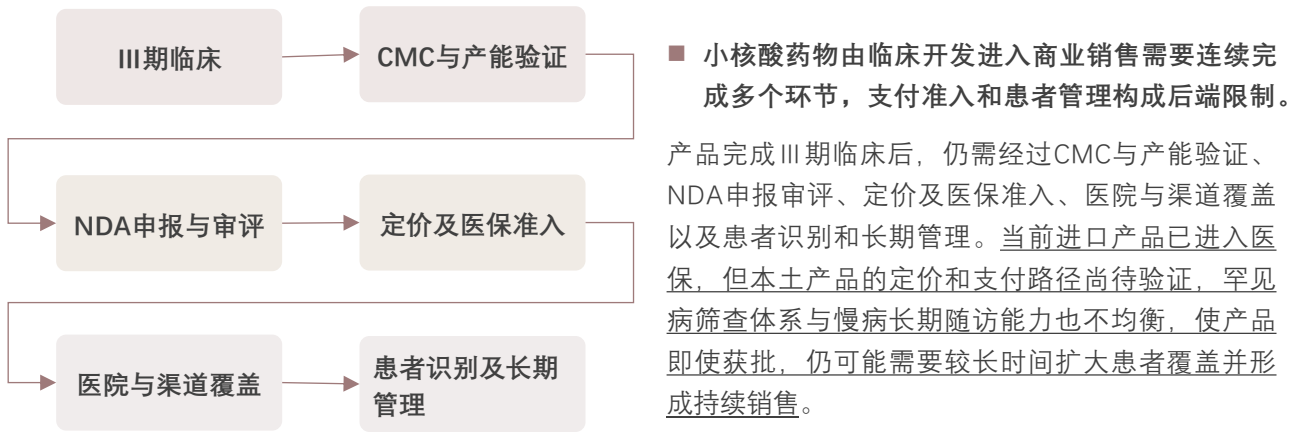
中国小核酸治疗药物行业已进入商业化准备阶段，本土企业仍需同步完善生产工艺、注册申报、市场准入和患者管理能力，推动临床管线进一步转化为获批产品及销售收入

中国小核酸药物商业化关键条件与当前成熟度，截至2026年6月



■ 各项商业化条件成熟度不均衡，生产、注册和肝外递送能力仍限制本土产品上市。中国已有4项本土小核酸资产进入III期临床，GalNAc肝靶向递送技术也相对成熟，但肝外递送仍处于早期阶段，可开发的组织靶点和适应症范围受到限制。同时，本土企业在生产工艺放大、杂质控制、商业化产能验证和NDA资料准备等方面仍需积累经验，导致临床管线进展尚未完全转化为产品获批和商业化供给能力。

中国小核酸药物由临床开发进入商业销售的主要环节



来源：智慧芽、经济网、中国医药创新促进会、头豹研究院

中国小核酸药物行业：主要风险与发展限制因素

中国小核酸药物进入中后期开发阶段后，技术验证、规模化生产、资金保障和支付准入需要同步推进，行业风险正由早期研发不确定性逐步延伸至临床结果、CMC放大、注册申报及商业化执行等环节

中国小核酸药物行业主要风险

01 技术与研发风险

- 中国小核酸药物管线靶点集中度较高
 - 肝外递送仍是核心瓶颈
 - 临床转化与数据不确定性
- 小核酸药物研发管线的靶点选择较为集中，HBV、AGT、Lp(a)、PCSK9及ANGPTL3等热门领域均有大量企业在推进同类项目，未来可能面临患者招募难度增加和商业化阶段竞争加剧问题。目前多数候选分子仍处于临床早期阶段，后期可能存在效果不及预期等问题。此外，递送技术是行业当前面临的主要挑战之一，肝脏靶向已有较为成熟的解决方案，但针对中枢神经系统、肾脏、骨骼肌等其他组织的精准递送仍缺乏通用方法，递送效率、安全性和大规模生产工艺等问题尚待进一步突破。

02 供应链风险

- 关键上游物料依赖进口
 - 合规供应商数量较少
 - 生产放大工艺存在壁垒
 - CDMO产能与经验不足
- 小核酸药物生产所需的关键原料和耗材，目前较多依赖海外供应商，国产可选方案的稳定性和批次一致性还在逐步提升过程中，合格供应商数量较为有限，企业在采购环节的议价空间不大。生产工艺方面，从实验室规模向商业化规模放大时，杂质控制难度显著上升，多数企业的规模化生产能力仍在建设和验证阶段。部分本土CDMO虽已开展相关业务布局，但在产能规模和复杂项目的工艺开发经验上仍有提升空间，未来若多个产品集中进入商业化阶段，行业整体产能可能面临阶段性紧张。

03 企业财务风险

- 多数企业仍处研发阶段，暂无规模化销售收入
 - 现金流主要依赖外部融资或对外合作首付款
 - 里程碑付款与临床进展挂钩，存在时间差
 - 融资环境变化或合作方变动影响研发节奏
- 多数小核酸企业仍处于研发投入阶段，产品尚未实现规模化销售，收入来源较为有限，经营活动现金流主要依赖外部融资或对外合作首付款维持。若后续融资环境变化或核心合作方调整方向，企业的研发推进节奏可能受到一定影响。同时BD合作虽能带来阶段性现金流入，但里程碑付款的触发与临床进展挂钩，收入确认存在时间差和不稳定性。

04 政策与市场风险

- 医保支付政策及集采竞价存在不确定性
 - 贸易摩擦可能导致订单转移
 - 监管审批进度存在地区差异，多中心策略面临额外合规成本
- 英克司兰钠从近万元降至2,790元/针，降幅超七成，若后续集采或收费降价幅度继续超出预期，将对产品商业化收益形成持续压力。同时，美国药品关税政策的不确定性可能影响跨境供应链安排，进而影响中国小核酸企业的全球供应链布局与海外订单获取。此外，FDA与EMA在寡核苷酸药物的审评要求和临床数据标准上存在差异，企业开展国际多中心临床试验面临额外合规成本。

来源：NMPA、ClinicalTrials.gov、瑞博生物招股书及上市公司公告、圣因生物招股书及上市公司公告、头豹研究院

Chapter 2

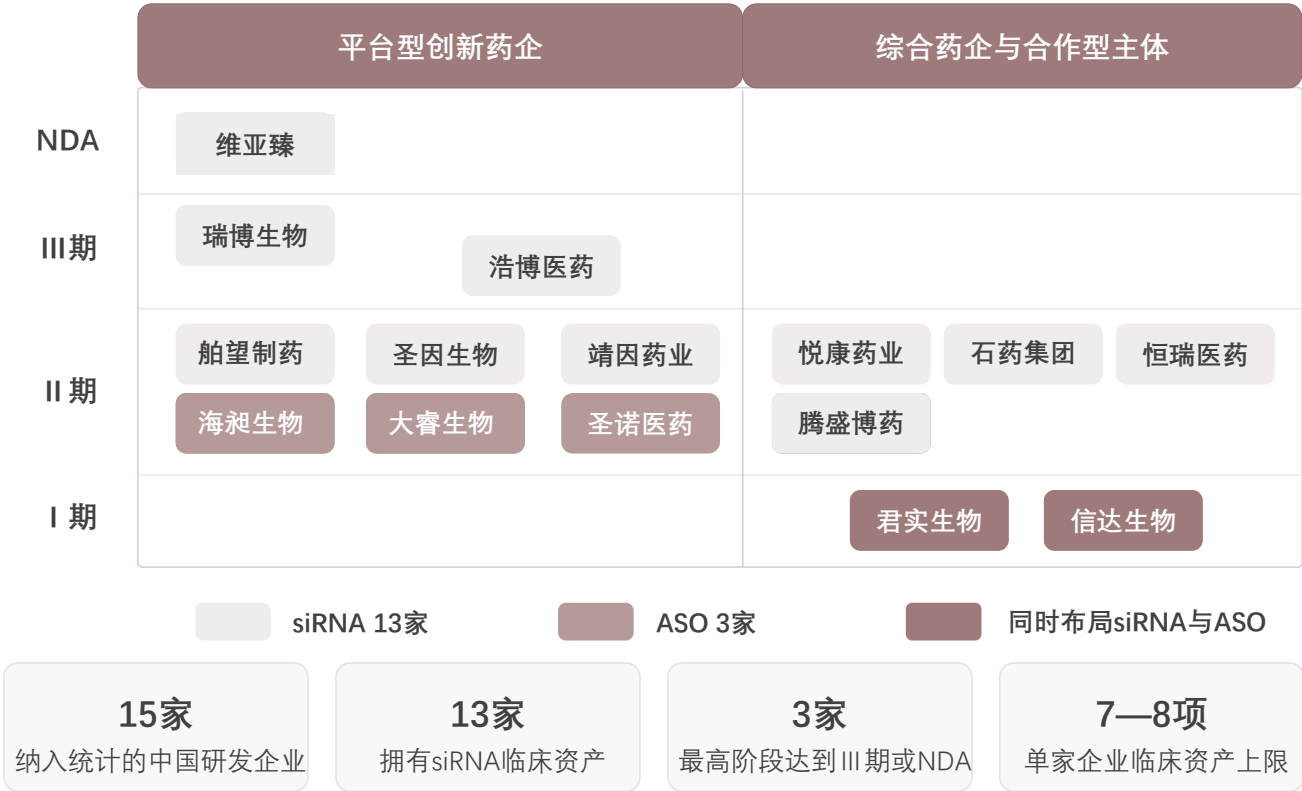
中国小核酸药物企业发展分析

- 企业布局
- 企业临床资产进展
- 企业资产结构与权益安排
- 企业资金来源与发展模式
- 企业临床竞争力排名
- 企业商业化竞争力排名
- 核心企业发展路径对比
- 核心企业资金能力与出海能力
- 核心企业风险结构与关键节点

中国小核酸药物行业：企业布局

中国小核酸药物研发企业以siRNA布局为主，头部企业临床管线推进相对领先。综合药企主要通过自主研发与合作补充小核酸管线，目前进入III期或NDA阶段的企业仍集中于少数主体

中国主要小核酸药物企业临床阶段与企业类型分布，截至2026年7月



注：ASO企业包括浩博医药、悦康药业和圣诺医药，其中，后两者同时布局siRNA。维亚臻临床资产来自Arrowhead授权。

- 中国小核酸药物研发主体以平台型创新药企为主，瑞博生物、舶望制药、圣因生物和靖因药业等企业持续拓展临床资产，形成多项目并行推进的研发模式。大型药企与合作型主体临床资产布局相对有限，部分企业通过自主研发或合作引进切入小核酸赛道。当前，siRNA已成为企业布局最集中的技术路线，共13家企业布局。ASO布局主体相对较少，共3家，主要由浩博医药、悦康药业和圣诺医药推进。技术路线的集中有利于企业借鉴相对成熟的肝靶向递送与临床开发经验，加速早期管线的临床转化效率。
- 从临床阶段分布来看，中国小核酸企业管线主要集中于IND至II期阶段。进入III期及NDA阶段的企业仅瑞博生物、维亚臻等少数企业，此类企业在中后期资产数量上已形成显著分化。部分企业通过授权引进模式快速获得后期临床资产，如维亚臻的核心资产来自Arrowhead的大中华区授权，使其在成立较短时间内即建立了包含NDA阶段资产的差异化管线组合。瑞博生物等平台型企业依托自主研发能力推进多项目并行，通过管线组合分散单一资产的临床风险。浩博医药则以集中资源策略推动单核心资产的全球临床开发。不同管线推进模式在研发投入强度、风险分散能力和上市路径确定性上呈现显著差异，中后期资产稀缺性是当前行业整体临床竞争力的主要制约因素。

来源：各企业官方网站、国际科技创新中心、医药魔方、财中社、头豹研究院

中国小核酸药物行业：企业临床资产进展

中国小核酸药物临床管线已覆盖IND至NDA阶段，II期及以后资产主要集中于瑞博生物、维亚臻、舶望制药与浩博医药，企业研发重点正由早期管线扩充转向中后期资产推进

中国主要小核酸药物企业临床阶段资产分布，截至2026年7月

企业	路线 / 资产数	IND	I 期	II期	III期	NDA
瑞博生物	siRNA 7项	■	2	4	1	■
维亚臻	siRNA 4项	■	1	1	1	1
舶望制药	siRNA 6项	■	4	2	■	■
悦康药业	siRNA+ASO 5项	1	3	1	■	■
圣因生物	siRNA 4项	■	3	1	■	■
靖因药业	siRNA 3项	■	1	2	■	■
石药集团	siRNA 4项	3	■	1	■	■
浩博医药	ASO 1项	■	■	■	1	■
海昶生物	siRNA 2项	■	1	1	■	■
恒瑞医药	siRNA 2项	1	■	1	■	■
大睿生物	siRNA 2项	1	■	1	■	■
圣诺医药	siRNA+ASO 1—2项	■	■	1	■	■
腾盛博药	siRNA 1项	■	■	1	■	■
君实生物	siRNA 2项	1	1	■	■	■
信达生物	siRNA 1项	■	1	■	■	■

注：同一资产多个适应证按一项资产计算。

- 中国小核酸药物行业已形成从IND至NDA的完整临床管线梯度，但资产分布呈现显著的阶段性集中特征。目前，行业临床资产集中于IND及I期阶段，多数企业仍处于临床验证早期。进入II期及以后的资产占比不足三成，其中III期及NDA阶段资产较少，反映行业整体仍以早期管线为主，后期资产的积累尚需时间。从技术路线分布来看，siRNA以超过40项资产占据主导地位，路线集中度较高有利于行业借鉴肝靶向递送等相对成熟的开发经验，但适应症覆盖仍以心血管代谢疾病为主，差异化布局空间尚未充分打开。
- 从临床推进趋势来看，行业正由早期管线数量扩充逐步转向中后期资产的价值验证阶段。2026年上半年，靖因药业SRSD216完成II期首例给药、瑞博生物RBD5044获中国II期临床许可等进展显示，部分企业正加速推动核心资产向关键临床节点迈进。不同管线推进模式在研发投入强度、风险分散能力和上市路径确定性上存在显著差异，授权引进能够快速补齐后期资产，自主研发则有利于建立长期技术积累。当前行业整体临床开发能力仍集中于少数企业，未来产品上市节奏将主要取决于III期入组效率及关键临床进度。

来源：各企业官方网站、丁香园、中国食品药品网、经济参考报、头豹研究院

中国小核酸药物行业：企业资产结构与权益安排

中国小核酸企业的资产权益安排覆盖自主开发、区域授权、联合开发及授权引进等多种路径，多数企业在对外授权时倾向于保留大中华区权益

中国主要小核酸企业临床资产权益配置数量及方式，2025

单位：项

■ 中国小核酸企业的资产权益安排覆盖自主开发、区域授权、联合开发及授权引进等多种路径。企业在实际选择中通常依据自身临床开发能力和资金储备状况，权衡研发推进节奏与未来商业收益分配空间。权益结构从全球自持到特定区域分割呈差异化分布，其核心在于平衡资产短期落地效率与长期价值捕获能力。

中国主要小核酸企业核心资产与权益分流方式

瑞博生物—齐鲁制药 III期 RBD7022 PCSK9 siRNA 齐鲁获中国大陆及港澳权利，瑞博保留其他地区权益	舶望主导—诺华优先谈判权 II期 BW-00112 ANGPTL3 siRNA 部分早期资产另设中国以外选择权及中美损益安排
Arrowhead—维亚臻—赛诺菲 已获批 普乐司兰钠 APOC3 siRNA 完成中国临床注册后转让大中华区开发及商业化权利	靖因药业—CRISPR Therapeutics II期 SRSD107 FXI siRNA 成本与利润50:50，靖因负责大中华区商业化
浩博医药主导全球临床开发 III期 AHB-137 慢性乙肝ASO 未对外授权，承担III期、CMC及申报责任	石药自主推进核心资产+肾病平台合作 III期 SYH2053 PCSK9 siRNA 与阿斯利康合作两项肾病siRNA，保留一项中国权益

■ 多数企业在对外授权时倾向于保留大中华区权益。跨国药企通过优先谈判权、联合开发及多级授权等灵活条款介入中国小核酸资产，在降低早期投资风险的同时锁定未来选择权。自主开发路径可保留全部商业化收益，但须承担后期临床与商业化风险。授权合作有利于降低资本消耗并借助合作伙伴资源加速开发进程，但可能限制远期价值空间。企业需根据管线所处阶段和自身资源条件，在合作深度与权益保留之间持续校准。

来源：各企业官方网站、医药魔方、摩熵咨询、健康时报、智慧芽数据库、头豹研究院

中国小核酸药物行业：企业资金来源与发展模式

中国小核酸药物企业依托IPO、股权融资、BD分账、联合开发及经营现金流五大渠道，并依据自身管线策略与风险承受能力采取差异化组合融资，以在资金成本与使用灵活性之间实现平衡

中国主要小核酸企业五类资金来源

IPO与公开市场 超过18亿港元 ➢ 瑞博生物2026年1月上市募资总额	股权融资 多轮并行 ➢ 瑞博E轮超2亿元。靖因B2轮近5000万美元。浩博B+轮5,000万美元	已披露BD对价 分笔确认 ➢ 舶望已收1.9亿美元。瑞博已收6,000万美元。维亚臻首付1.3亿美元	联合开发分担 50:50 ➢ 靖因与CRISPR按约定分担SRSD107成本与利润	经营现金流 260.1亿元 ➢ 石药集团2025年收入260.1亿元。期末现金及银行结余94.8亿元
---	---	---	--	---

■ 企业的融资路径选择与其管线策略和风险承受能力高度相关。瑞博生物以IPO叠加股权融资和BD首付款构建了复合资金池，其资金组合与多管线并行开发的战略相匹配。舶望制药将BD首付款作为核心资金来源，这一模式对合作方里程碑支付的依赖度较高。靖因药业以B2轮融资与对等成本分摊并行，有助于降低临床阶段的单方财务风险。浩博医药采用集中私募融资路径支持核心资产推进，资金使用效率较高。

中国主要小核酸代表企业资金组合与发展模式

瑞博生物 IPO + 股权融资 + BD IPO>18亿港元E轮>2亿元BD已收\$60m 资金对应任务：RBD7022 III期、多项 II 期资产推进、平台研发与产业化建设	舶望制药 BD驱动多资产开发 已收\$185m 约定\$160m 资金对应任务：BW-00112、BW-40202等全球 II 期项目及后续里程碑推进
靖因药业 融资 + 共同开发 B2轮\$50m\$25m现金 + \$70m股票50:50 资金对应任务：SRSD107两项 II 期、SRSD216 II 期及潜在全球 III 期准备；2025年末现金11.73亿元	浩博医药 私募融资集中投入 B+轮\$50m 资金对应任务：AHB-137 III期、CMC与上市申报准备，并支持AHB-171早期临床
维亚臻 资产开发后变现 资产转让首付\$130m 资金对应任务：完成普乐司兰钠中国临床与注册后实现资金回收，支持后续区域资产开发	石药集团 经营现金流 + 平台BD 现金94.81亿元AZ已付\$30m 资金对应任务：SYH2053 III期及肾病siRNA发现合作，依靠集团研发和商业化体系承接后期投入

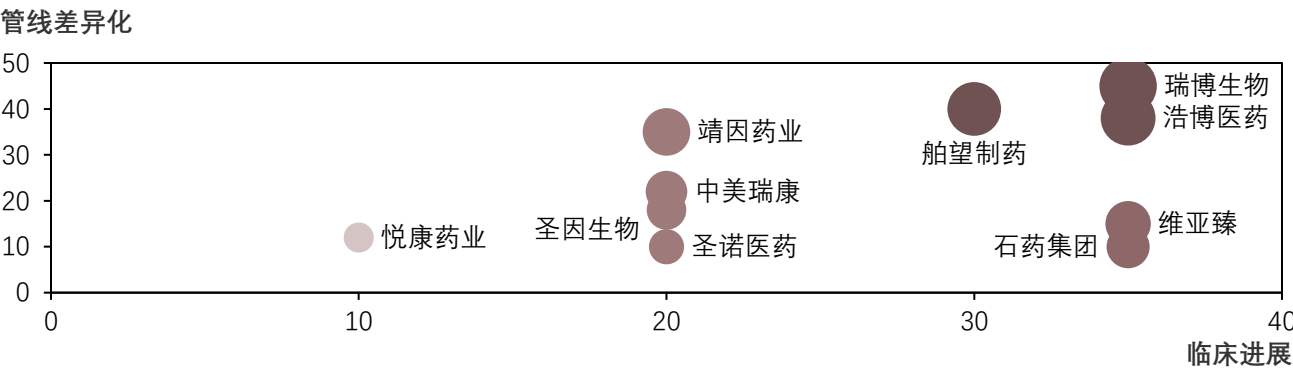
■ 维亚臻通过资产转让实现阶段性资金回收，其现金流节点与临床注册里程碑挂钩，降低了后续开发对持续融资的依赖。石药集团依托经营现金流及银行结余支撑核心管线推进，在资金成本与使用灵活性上相较于股权融资具备明显优势。当下，IPO和股权融资仍是多数Biotech的主要依赖，BD首付款和联合开发分担机制正逐步成为分散临床阶段资金压力的重要补充，经营现金流则为大型药企提供了区别于Biotech的差异化竞争力。企业的资金模式本质上由其技术能力、管线成熟度和资本策略共同决定，不同路径在资金成本、使用灵活性和风险暴露上各有差异。

来源：各企业官方网站、经济参考报、医药魔方、证券时报、中国财经、头豹研究院

中国小核酸治疗药物行业：企业临床竞争力排名

瑞博生物以FXI和ApoC3双资产领跑临床竞争力，浩博医药乙肝ASO推进至III期，舶望制药三款II期资产组合位居第三，行业临床资产集中于少数平台型企业

中国主要小核酸药物企业临床管线竞争力气泡图，2026



注：气泡大小代表企业临床竞争力，由资产数量与研发进度两项指标综合加权得出，同步反映企业管线的广度与成熟度。

中国主要小核酸药物企业临床管线竞争力排名，2026

排名	企业	核心产品	临床进度得分/50	差异化分析	管线差异化得分/50	总分/100
1	瑞博生物	RBD4059 RBD5044	35	FXI靶点全球FIC ApoC3全球第二	45	80
2	浩博医药	AHB-137	35	中国唯一III期乙肝ASO 具备BIC潜力	38	73
3	舶望制药	BW-20805 BW-20829 BW-40202	30	HAE疗效突出， 三款II期资产组合领先	40	70
4	靖因药业	SRSD107	20	FXI靶点第二梯队， 对等开发模式	35	55
5	维亚臻	VSA003	35	ANGPTL3中国最快， 授权引进	15	50
6	石药集团	SYH2053	35	PCSK9中国首个III期， 赛道拥挤	10	45
7	中美瑞康	RAG-17	20	SOD1-ALS罕见病， FDA孤儿药资格	22	42
8	圣因生物	SGB-9768	20	补体C3靶点，IgA肾病	18	38
9	圣诺医药	STP705	20	TGF-β1/COX-2双靶向， 肿瘤适应症	10	30
10	悦康药业	YKYY029	10	AGT高血压，早期探索	12	22

注：排名纳入截至2026年7月已取得IND许可或进入I期及以后临床阶段的自主及合作开发资产。同一资产开发多个适应症计为一项，同一资产在不同国家开展临床不重复计算。各阶段权重赋值基于资产所处临床阶段对最终上市概率的影响程度设定，资产数量越多、阶段越靠后者排名越优。

来源：各企业官方网站、瑞博生物招股书、摩熵医药数据库、智慧芽数据库、丁香园、头豹研究院

中国小核酸治疗药物行业：企业商业化竞争力排名

中国小核酸企业的商业化能力现阶段主要通过BD交易兑现、海外临床推进和权益安排体现，随着后期资产逐步成熟，竞争重点将进一步转向产品获批、市场准入与销售转化

中国主要小核酸药物企业商业化竞争力排名，2026

排名	企业	交易总额 (亿美元)	首付款 (亿美元)	MNC 合作数量	BD得分	海外 临床阶段	权益保留	出海得分	总分
1	舶望制药	93.7	约3.5	2	50	中美II期	大中华区	43	93
2	瑞博生物	>60	>0.6	2	43	国内临床为主	全球	31	74
3	圣因生物	>27	>2	3	34	国内I期	视交易而定	31	65
4	靖因药业	约9.0	约1.0	1	22	欧洲II期/中美IIa	大中华区	39	61
5	维亚臻	约4.0	约1.3	1	34	中美NDA	大中华区	34	58
6	大睿生物	—	—	—		FDA批准II期	全球	41	41
7	浩博医药	—	—	—		海外II期	全球	36	36
8	圣诺医药	—	—	—		美国II期	全球	36	36
9	腾盛博药	—	—	—		全球II期	大中华区	30	30
10	海昶生物	—	—	—		国际多中心II期	全球	20	20

注：评分体系由BD交易能力和出海能力两个维度构成，合计总分100分。BD交易能力共50分，细分为交易总额25分、已披露首付款15分、交易质量10分。出海能力共50分，细分为海外临床开展20分、海外权益安排15分、海外监管认可15分。

■ 从商业化竞争力维度来看，BD交易规模与首付款金额是区分企业商业化能力的关键指标，具备明确临床数据支撑和差异化资产的企业更容易获得跨国药企的大额首付支持。舶望制药与诺华达成的两笔深度绑定交易，体现跨国药企对其中后期临床资产的认可。瑞博生物通过授权齐鲁制药RBD7022、与Madrigal达成MASH领域siRNA全球权益合作等多笔交易，构建了多元化的BD组合。出海能力方面，大睿生物、浩博医药和圣诺医药虽尚未产生BD收入，但凭借海外临床推进及全球权益保留布局了较高的国际化价值，反映出临床数据国际化程度与权益结构设计对出海能力的决定性作用。BD交易能力与出海能力之间存在一定的相关性，但二者并非完全同步。前者依赖资产质量和交易谈判能力，后者更多取决于企业临床开发策略的国际化程度和权益保护力度。随着中国小核酸资产临床价值的逐步验证，BD交易频率将进一步提升，交易结构亦将从单一产品授权向平台级合作演进。

来源：各企业官方网站、瑞博生物招股书、摩熵医药数据库、智慧芽数据库、丁香园、头豹研究院

中国小核酸药物行业：核心企业发展路径对比

瑞博生物、舶望制药、圣因生物与浩博医药分别形成平台与多管线并行、多资产合作开发、递送技术驱动和核心产品集中推进的发展路径，主要差异体现在资产组合、权益安排、资金来源及后期开发

中国小核酸药物核心企业

指标	瑞博生物	舶望制药	圣因生物	浩博医药
企业定位	平台驱动·多管线并行	资产驱动·深度绑定	递送驱动·全球合作	单品驱动·聚焦冲刺
成立年份/年限	2007/18年	2021/4年	2021/4年	2020/5年
技术路线	siRNA	siRNA	siRNA	ASO
核心递送平台	RiboGalSTAR+RiboPepSTAR	RADS	LEAD™+GalNAc	Med-Oligo™
临床资产总数	7	6	4	1
最高研发阶段	Ⅲ期	Ⅱ期	Ⅱ期	Ⅲ期
合作方	BI、Madrigal	诺华	礼来、基因泰克、信达	无
上市状态	已上市（06938.HK）	未上市	未上市	未上市



■ 瑞博生物是中国小核酸领域起步最早、体系最完整的平台型企业。公司于2026年初完成港股IPO上市。公司构建了RiboGalSTAR肝靶向递送平台与RiboPepSTAR多肽偶联肝外递送平台，形成双平台技术体系。



■ 舶望制药成立于2021年，是一家以差异化资产筛选与跨国授权交易为核心战略的小核酸企业。公司核心团队源自Arrowhead和默沙东等国际小核酸企业。公司自主构建了RADS肝靶向递送平台，支持多款候选药物进入临床阶段。



■ 圣因生物以肝外递送技术为差异化标签，同时布局GalNAc肝靶向平台和LEAD™配体协同肝外递送平台，后者旨在将siRNA递送至肝脏以外的组织，并通过多家跨国药企合作获得平台技术的外部验证。



■ 浩博医药专注于反义寡核苷酸技术治疗慢性乙型肝炎，自主构建Med-Oligo™平台，采用ASO与配体偶联的技术路线实现肝靶向递送，是中国小核酸领域中唯一以ASO为主要技术路线并推进至Ⅲ期注册临床的企业。

来源：NMPA、ClinicalTrials.gov、瑞博生物招股书、舶望制药官方网站、浩博医药官方网站、圣因生物官方网站、头豹研究院

中国小核酸药物行业：核心企业资金能力与出海能力

核心企业已通过IPO、股权融资、BD合作及海外临床形成差异化的资金与出海路径，资金来源的稳定性、全球权益安排及海外开发执行能力将共同影响后续管线推进

中国小核酸药物核心企业投入产出效率与竞争壁垒比较

比较维度	瑞博生物	舶望制药	圣因生物	浩博医药
核心壁垒	时间积累与管线厚度	团队背景与MNC深度绑定	技术差异化与MNC背书	临床阶段先发与适应症独占
壁垒可复制性	★	★★	★★★	★★
主要投入	18年持续研发与多轮融资	4年快速推进与团队成本	平台建设与合作谈判	集中资金押注单资产
已实现产出	7项临床资产、3笔BD+IPO	6项临床资产、\$3.5亿首付	4项临床资产、3家MNC合作	1项Ⅲ期资产、大于\$2.2亿融资
单位资产产出效率	★★★★	★★★★★	★★★★★	★★★
资金自给能力	√	√	×	×
核心竞争基础	★★★★★	★★★★★	★★★★	★★★
竞争风险	后发企业以更快速度追赶	诺华战略调整或数据不及预期	其他企业突破肝外递送	Ⅲ期数据不及预期
模式可持续性	★★★★★	★★★★★	★★★★	★★★
1-2年决定性变量	Ⅲ期数据、收入持续兑现	Ⅱ期数据读出、诺华参股落地	LEAD™首个IND、Ⅱ期数据	Ⅲ期数据读出、首笔BD

中国主要小核酸企业多维竞争力分析

- 四家代表性企业的资金能力与出海能力呈现显著分化。瑞博生物与舶望制药已形成BD收入与融资并行的双轮驱动。瑞博生物通过Madrigal、齐鲁制药等合作形成资本市场融资与BD合作并行的资金来源。舶望制药借助诺华两笔合作资金确定性最强。圣因生物与浩博医药则仍以融资驱动为主。
- 出海路径同样分化明显。瑞博生物与舶望制药已建立可持续的资金与国际化体系，圣因生物则需等待LEAD™平台的临床验证，浩博医药的资金结构最为集中，Ⅲ期数据读出与BD进展将成为其模式可持续性的核心转折点。



- 报告完整版/高清图表或更多报告：请登录www.leadleo.com
- 如需进行品牌植入、数据商用、报告调研等商务需求，欢迎与我们联系：service@leadleo.com

来源：NMPA、ClinicalTrials.gov、瑞博生物招股书、舶望制药官方网站、浩博医药官方网站、圣因生物官方网站、头豹研究院

中国小核酸药物行业：核心企业风险结构与关键节点

未来12至24个月，核心企业将分别进入III期推进、中期数据读出、肝外递送人体验证和上市准备阶段，关键结果将影响核心资产价值兑现与后续资源配置

中国小核酸药物核心企业风险格局与关键节点分析

维度	瑞博生物	舶望制药	圣因生物	浩博医药
主要风险来源	多管线并行带来的研发投入与后期开发执行压力	BD合作方相对集中，后续收入与合作项目里程碑挂钩	LEAD肝外递送平台仍需人体临床数据验证	临床资产集中度较高，AHB-137III期结果影响较大
风险缓冲基础	多项临床资产、IPO募资及多笔BD合作	多项临床资产及已获得的BD首付款	股权融资、平台合作及多项临床资产	AHB-137临床阶段领先，但公开临床资产数量较少
关键节点	RBD7022III期启动及其他II期资产推进	BW-00112等II期数据及合作里程碑	SGB-9768II期数据、LEAD平台项目临床推进	AHB-137III期数据、CMC及上市申报准备
积极结果影响	支持后期管线推进并提高合作价值	支持产品继续开发并触发潜在里程碑	为肝外递送平台提供人体临床证据	提高产品申报上市及对外合作确定性
未达预期影响	增加后期开发时间和资金需求	影响后续里程碑及合作项目推进节奏	延缓肝外递送平台验证及新增管线拓展	影响核心资产价值及后续融资安排

- 四家代表性企业的风险来源主要由临床资产数量、项目阶段、合作方集中度和技术验证进度决定。瑞博生物拥有多项临床资产，并通过IPO及多笔BD合作补充研发资金，当前主要面临多管线并行推进和后期开发投入增加的压力。舶望制药已与诺华达成多项合作，获得较大规模首付款，但部分项目后续收入仍取决于临床进展和里程碑触发。圣因生物的差异化基础主要来自LEAD肝外递送平台，该平台仍需通过人体组织暴露、靶基因沉默及安全性数据进一步验证。浩博医药的公开临床资产相对集中，AHB-137III期结果、CMC准备和注册进展对其后续发展影响较大。
- 各企业未来12至24个月的关键节点性质差异决定了其发展路径的分化程度。2026年下半年至2028年上半年，四家企业将分别进入不同的价值验证阶段。瑞博生物的观察重点是RBD7022III期启动及多项II期资产推进；舶望制药需关注BW-00112等中期资产的数据读出及合作里程碑；圣因生物需验证LEAD平台能否持续产生具有人体临床证据的肝外递送资产；浩博医药则将围绕AHB-137III期数据、生产工艺及上市申报展开。相关节点将影响企业后续研发投入、合作收入和资源配置，但单一临床结果不能直接等同于企业存续判断。

来源：NMPA、ClinicalTrials.gov、瑞博生物招股书、舶望制药官方网站、浩博医药官方网站、圣因生物官方网站、头豹研究院

Chapter 3

中国小核酸药物行业发展趋势研判

- 适应症赛道拓展
- 肝外递送系统突破
- 商业化路径与医保准入演变
- 关键窗口研判

中国小核酸药物行业：适应症赛道拓展

全球后期资产已验证小核酸药物在乙肝和血脂管理中的开发可行性，中国管线开始进入常见病中后期验证，行业竞争重点将由技术路线可行性转向疗效差异、长期安全性和支付可及性

全球及中国小核酸药物行业重点适应证临床验证路径

罕见遗传病验证 → 肝脏相关常见病开发 → 心血管代谢慢性病拓展			
慢性乙型肝炎 HBV	全球验证 ➢ Bepirovirsen (ASO)：III期功能性治愈率约19%，FDA PDUFA 2026.10.26	中国进展 ➢ AHB-137 (ASO) III期入组 ➢ ACT201 (ASO) 获批临床	观察重点 ➢ III期主要终点能否达成 ➢ CMC与NDA申报准备
血脂异常 PCSK9 / APOC3	全球验证 ➢ Tryngolza (ASO) 获批sHTG ➢ Plozasiran (siRNA) III期TG降79.0%—81.0%	中国进展 ➢ RBD7022 (PCSK9)：0启动 ➢ FXR0906 (APOC3)：获批I期	观察重点 ➢ 长效降脂的长期安全性数据 ➢ 医保价格与患者覆盖
肥胖与心血管代谢 ALK7/AGT/INHBE	全球进展 ➢ AGT、INHBE等靶点进入临床，研发终点从体重延伸至代谢风险综合改善	中国进展 ➢ SA030 (ALK7)：进入I期 ➢ 其他代谢项目处于早期临床	观察重点 ➢ 肝外组织暴露水平 ➢ 联合治疗与长期给药方案

- 全球小核酸药物早期商业化主要集中于SMA等罕见病，较高产品定价与有限患者群体支撑了首批产品上市，也完成了ASO和siRNA技术路线的临床验证。当前，乙肝、血脂异常和肥胖等常见病管线陆续进入临床开发，行业变化由适应证数量的简单增加转向由小患者群体、高定价模式向大患者群体、长期治疗模式延伸的产品开发逻辑。常见病通常需要更大规模的临床试验、更长的安全性随访，并与已有标准治疗进行直接或间接比较。肝脏递送基于技术相对成熟，以及乙肝和血脂异常具有生物标志物明确、疗效终点可量化等特点，预计将成为小核酸药物进入常见病市场的主要突破方向。
- 中国企业已形成中后期资产推进与早期管线储备并行的开发结构。AHB-137和RBD7022进入III期阶段，表明中国小核酸管线开始接受注册性临床数据、长期安全性及生产一致性的综合检验，ACT201、FXR0906和SA030则进一步覆盖乙肝、血脂异常及肥胖等方向，为后续产品接续提供储备。此外，常见病患者数量较多，能够提高产品的理论市场空间，但实际可覆盖人群还会受到疾病诊断率、患者风险分层、医保支付标准、医生处方意愿及现有药物竞争等因素限制。乙肝和血脂管理已有价格较低、临床应用成熟的标准治疗，小核酸治疗药物需要在疗效持续时间、给药频次、长期安全性或总体治疗成本方面形成可验证的增量价值，并建立与大规模患者使用相匹配的定价和支付方式，才能将患者规模转化为持续销售收入。

来源：NMPA、智慧芽、中国医药创新促进会、新浪财经、头豹研究院

中国小核酸药物行业：肝外递送系统突破

GalNAc已完成肝细胞递送的产品验证，中国企业开始将递送范围延伸至中枢神经、脂肪和肾脏。部分项目已进入人体临床，肝外递送的下一阶段将由人体药效和重复给药安全性决定

中国小核酸药物代表性目标组织、项目阶段及验证重点

	肝脏	中枢神经	脂肪	肾脏
代表项目	英克司兰等GalNAc偶联产品	RAG-17、SCAD平台	SA030、STORK-F平台	石药与阿斯利康合作项目
给药方式	皮下注射	鞘内注射	注射给药	尚未披露
当前阶段	上市验证	II期	I期	发现阶段
已获得验证结果	多产品和多适应证完成临床及上市验证	已获得脑脊液SOD1蛋白和神经损伤标志物数据	非人灵长类动物数据支持脂肪组织靶向，人体研究正在开展	已建立靶点发现及合作开发安排
下一步验证重点	长期安全性、产品差异和慢病支付	SOD1沉默、功能终点和重复给药安全性	脂肪组织暴露、ALK7沉默和代谢安全性	候选分子确定、肾脏选择性和IND研究

- 肝脏仍是小核酸药物递送技术成熟度最高的目标组织。GalNAc偶联能够利用肝细胞表面的受体实现定向摄取，相关产品已完成从人体组织暴露、靶基因沉默到产品获批和规模化应用的连续验证，基于此，中国小核酸临床管线集中于乙肝、血脂异常等肝脏相关疾病。肝外递送的研发重点并非简单增加目标器官，而是解决小核酸分子进入特定组织、穿过细胞膜并在目标细胞内发挥作用的问题。RAG-17进入II期、SA030进入I期，表明中枢神经和脂肪递送开始获得人体数据。肾脏方向则仍以候选分子发现和早期平台合作为主，不同目标组织之间仍存在明显的临床成熟度差异。
- 肝外递送有望将小核酸药物的应用范围扩展至神经系统疾病、肥胖、肾病及其他肝脏以外的慢性疾病，但早期项目进入临床并不代表递送平台已经完成验证。中枢神经项目通常依赖鞘内等局部给药方式，虽然可以提高目标组织暴露，但仍需考察给药便利性、长期安全性和患者接受程度。脂肪和肾脏项目若采用全身给药，则需要进一步证明组织选择性、有效沉默水平及对其他器官的影响。未来三至五年，行业关注重点将由平台名称和候选项目数量，转向人体组织暴露、靶基因沉默、临床功能终点及重复给药安全性。只有同一递送平台能够持续产生多个具有一致人体数据的候选分子，平台能力才可能转化为可重复的管线开发和对外合作价值。

来源：摩熵医药数据库、智慧芽、瑞博生物招股书及上市公告、中国财经、头豹研究院

中国小核酸药物行业：商业化路径与医保准入演变

小核酸药物正在由罕见病高价、小规模销售，向慢性病中等定价和规模化用药延伸，中国市场仍以医保谈判降低支付门槛，患者规模和终端准入影响降价后的放量空间

中国小核酸药物三类商业化及支付路径

支付路径	适用产品	主要特征	商业化要求
罕见病医保准入	诺西那生钠	通过较大幅度降价进入医保，提高患者可及性	依赖患者识别、定点医院和持续医保支付
慢病医保准入	英克司兰	产品降价幅度相对温和，但报销人群受到临床条件限制	需要证明相对标准治疗的增量价值和成本效果
上市初期多元支付	瑞达普、万诺维	获批初期以患者自费、商业保险和援助项目为主	需要完成医院准入、患者教育和真实使用数据积累

■ 诺西那生钠形成了罕见病小核酸产品进入中国市场的主要支付参照。产品通过医保谈判大幅降低价格，使原本难以承担治疗费用的患者获得长期用药机会，但SMA患者数量有限，产品放量仍受到疾病筛查、诊断能力和定点治疗机构覆盖的限制。瑞达普和万诺维等新上市罕见病产品，在尚未进入医保的阶段，需要依靠患者自费、商业保险、患者援助和医院准入建立初始使用基础。罕见病治疗药物商业化重点不在于覆盖大规模人群，而在于提高患者识别率、缩短诊断周期并建立稳定的支付渠道。

中国已上市小核酸药物商业化进程与定价变化

产品	中国 原定价	NRDL 后定价	降价幅度	中国市场表现	全球2025年 销售额
Spinraza 诺西那生钠	70万元/针	3.3万元/针	超95.0%	2025年中国市场3.6亿元	约15亿美元
Leqvio 英克司兰	9,988元/针	2,790元/针	约72.0%	NRDL后年费约5,580元	12.0亿美元
Plozasiran 瑞达普	未公布	—	—	2026年由赛诺菲在中国商业化上市	—

■ 英克司兰进入医保后，小核酸药物的支付路径开始由罕见病向心血管慢病延伸。慢病患者规模较大，但医保通常会通过适应证范围、既往治疗和风险分层限定报销人群，患者总量不会直接转化为实际用药人数。未来乙肝和血脂管理小核酸产品进入市场后，需要与价格较低、临床应用成熟的标准治疗比较疗效持续时间、给药便利性和长期安全性。预计商业化路径将形成基本医保覆盖符合条件患者、商业保险补充高端治疗需求、患者自费承担部分创新治疗费用的组合结构。产品在中等价格下形成医院覆盖、持续处方和稳定复购，是判断慢性病小核酸商业化路径是否成立的主要依据。

来源：摩熵医药数据库、药时代、瑞博生物招股书及上市公告、财中社、头豹研究院

中国小核酸药物行业：关键窗口研判

中国小核酸药物已形成后期产品、商业化参照和肝外早期项目并行的资产结构。未来行业判断将由管线数量转向注册性数据、市场放量和平台复用三项结果

中国小核酸药物行业未来关键验证窗口

01	产品及注册验证	02	商业化及支付验证	03	平台及递送验证
当前基础 AHB-137完成Ⅲ期入组 RBD7022完成Ⅲ期登记		当前基础 诺西那生钠和英克司兰已形成 医保准入参照		当前基础 RAG-17进入Ⅱ期 SA030进入Ⅰ期 肾脏项目处于发现阶段	
下一步观察 Ⅲ期主要终点、长期安全性、 CMC准备和上市申报		下一步观察 医保执行、医院准入、患者使用 和实际销售		下一步观察 人体组织暴露、靶基因沉默、 功能终点和重复给药安全性	
判断指标 达到主要终点 申报受理及产品获批		判断指标 医院覆盖、处方量 持续用药及销售收入		判断指标 获得稳定人体药效数据 同一平台产生多个临床项目	
形成中国企业自主开发的中后期产品		判断患者需求能否转化为持续商业收入		判断肝外递送能否形成持续管线来源	

近期产品上市 → 中期收入形成 → 长期管线扩展

- 2026年至2028年将是中国小核酸药物后期资产集中接受临床与注册检验的重要阶段。中国市场已经形成一批进入Ⅱ期及以后阶段的项目，AHB-137和RBD7022等产品分别推进慢性乙肝和血脂管理方向的后期开发。Ⅲ期主要终点、长期安全性、患者随访结果、CMC准备及申报执行将影响本土产品的上市节奏。即使临床研究达到主要终点，产品仍需完成生产一致性验证、注册资料准备、监管审评和上市供应安排。这一阶段将检验中国小核酸药物能否由临床管线数量增加，进一步转化为产品申报、获批和实际供应。
- 产品获批后，行业关注重点将转向医保准入、医院覆盖、患者持续用药和实际销售，判断临床需求能否转化为稳定收入。慢性乙肝和血脂管理等适应证具有较大的患者覆盖范围，但也对产品定价、医保支付、长期用药依从性和市场准入效率提出更高要求。肝外递送项目则需要多项人体研究中持续验证组织暴露、靶标沉默、药效持续性和重复给药安全性，判断相关技术能否支持更多靶点和适应证。中国小核酸药物行业未来的发展将更多取决于后期产品能否按计划上市、上市产品能否形成持续销售，以及递送技术能否稳定产生新增临床资产。

来源：摩熵医药数据库、药时代、瑞博生物招股书及上市公司公告、财中社、头豹研究院

头豹业务合作

全球视野 · 本土洞察 · 助力企业把握市场先机

核心业务



行业数据 API

开放原创报告与研究数据接口，
支持企业知识库、系统平台及AI
应用高效接入和调用



KNIT解决方案

构建企业可信内容体系，提升品
牌在AI搜索与问答中的可见度、
准确性与转化效果



报告会员账号

可阅读全部原创报告和百万数据，
提供PC及移动端，方便触达平台
内容



定制报告/白皮书

对产业及细分行业进行现状梳
理和趋势洞察，输出全局观深
度研究报告



商业尽调

面向投资并购和商业决策，评
估标的公司的商业前景、价值
及风险



招股书引用

研究覆盖国民经济19+核心产
业，内容可授权引用至上市文
件、年报

业务咨询



客服电话：
400-072-5588



官方网站：
www.leadleo.com

商务咨询与深度合作

报告作者



荆婧
首席分析师



许豫缘
行业分析师



service@leadleo.com

办公地点



深圳办公室

广东省深圳市南山区粤海街道华
润置地大厦E座4105室
邮编：518057



上海办公室

上海市静安区南京西路1717号
会德丰国际广场2701室
邮编：200040



南京办公室

江苏省南京市栖霞区经济开发
区兴智科技园B栋401
邮编：210046

2026年华夏大健康产业白皮书案例植入

开放申请正式启动



头豹
LeadLeo



思想创造价值
華夏時報
CHINA TIMES

覆盖赛道



医疗制药



医疗器械



IVD



CXO



医疗服务



数字医疗



消费医疗

...

评估维度



治疗锚点



创新管线



研发投入



临床证据



技术资产



支付准入



经营表现

...

开放申请 8月1日

内部评估 10月15日至11月20日

结果发布 11月27日

联系咨询

联系人：荆婧 Leslie Jing

邮箱：jing.jing@leadleo.com

方法论

- ◆ 头豹研究院布局中国市场，深入研究19大行业，持续跟踪532个垂直行业的市场变化，已沉淀超过100万行业研究价值数据元素，完成超过1万个独立的研究咨询项目。
- ◆ 头豹研究院依托中国活跃的经济环境，研究内容覆盖整个行业发展周期，伴随着行业内企业的创立，发展，扩张，到企业上市及上市后的成熟期，头豹各行业研究员积极探索和评估行业中多变的产业模式，企业的商业模式和运营模式，以专业视野解读行业的沿革。
- ◆ 头豹研究院融合传统与新型的研究方法论，采用自主研发算法，结合行业交叉大数据，通过多元化调研方法，挖掘定量数据背后根因，剖析定性内容背后的逻辑，客观真实地阐述行业现状，前瞻性地预测行业未来发展趋势，在研究院的每一份研究报告中，完整地呈现行业的过去，现在和未来。
- ◆ 头豹研究院密切关注行业发展最新动向，报告内容及数据会随着行业发展、技术革新、竞争格局变化、政策法规颁布、市场调研深入，保持不断更新与优化。
- ◆ 头豹研究院秉承匠心研究，砥砺前行的宗旨，以战略发展的视角分析行业，从执行落地的层面阐述观点，为每一位读者提供有深度有价值的研究报告。

法律声明

- ◆ 本报告著作权归头豹所有，未经书面许可，任何机构或个人不得以任何形式翻版、复刻、发表或引用。若征得头豹同意进行引用、刊发的，需在允许的范围内使用，并注明出处为“头豹研究院”，且不得对本报告进行任何有悖原意的引用、删节或修改。
- ◆ 本报告分析师具有专业研究能力，保证报告数据均来自合法合规渠道，观点产出及数据分析基于分析师对行业的客观理解，本报告不受任何第三方授意或影响。
- ◆ 本报告所涉及的观点或信息仅供参考，不构成任何证券或基金投资建议。本报告仅在相关法律许可的情况下发放，并仅为提供信息而发放，概不构成任何广告或证券研究报告。在法律许可的情况下，头豹可能会为报告中提及的企业提供或争取提供投融资或咨询等相关服务。
- ◆ 本报告的部分信息来源于公开资料，头豹对该等信息的准确性、完整性或可靠性不做任何保证。本报告所载的资料、意见及推测仅反映头豹于发布本报告当日的判断，过往报告中的描述不应作为日后的表现依据。在不同时期，头豹可发出与本报告所载资料、意见及推测不一致的报告或文章。头豹均不保证本报告所含信息保持在最新状态。同时，头豹对本报告所含信息可在不发出通知的情形下做出修改，读者应当自行关注相应的更新或修改。任何机构或个人应对其利用本报告的数据、分析、研究、部分或者全部内容所进行的一切活动负责并承担该等活动所导致的任何损失或伤害。