

医药生物

2026 年 10 月 16 日

ARO-MAPT I/IIa 中期数据, 皮下注射敲低 Tau 蛋白

——行业点评报告

投资评级：看好（维持）

余汝意（分析师）

巢舒然（分析师）

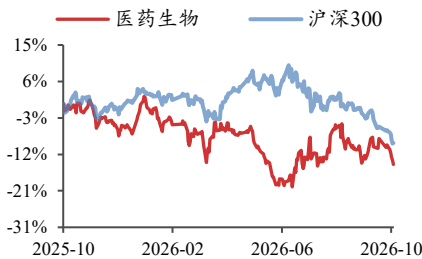
yuruyi@kysec.cn

chaoshuran@kysec.cn

证书编号：S0790523070002

证书编号：S0790525110001

行业走势图



数据来源：聚源

相关研究报告

《从 Charles River 看全球临床前 CRO 趋势——行业周报》-2026.10.11

《百英生物招股书梳理 ——行业周报》-2026.9.27

《创新药行业进入快速成长期，关注 BD 出海价值兑现机会——行业点评报告》-2026.9.24

● **ARO-MAPT I/IIa 中期显示在健康志愿者中实现深度且持久的 Tau 蛋白降低**
2026 年 10 月 14 日，Arrowhead 公布 ARO-MAPT（拟用于治疗阿尔茨海默病及其他 tau 蛋白病的 siRNA 管线）正在进行的 1/2a 期研究的期中结果。这些结果首次在临床上成功验证了能够跨越血脑屏障（BBB）递送 siRNA 并在大脑中实现显著靶基因敲低的平台（TRiM™）。

结果显示，在健康志愿者中，（1）皮下注射 ARO-MAPT 实现了脑脊液（CSF）总 Tau 蛋白的深度降低：ARO-MAPT 在第 1、8、15 天以 2.1mg/kg 和 6.4mg/kg 给药，第 105 天分别实现平均降低 40%和 69%；ARO-MAPT 在第 1、15 天以 12.8mg/kg 给药，第 105 天实现平均降低 73%，最大降幅 85%；（2）持久性：第 105 天为末次给药后 90 天，脑脊液总 tau 蛋白的持续降低支持每三个月一次或更低频率给药的潜力。

安全性方面，ARO-MAPT 总体耐受性良好。大多数治疗中出现的不良事件（TEAE）为 1 级或轻度。未报告严重 TEAE、死亡或导致停止研究治疗或退出研究的 TEAE。未报告持续性贫血或神经行为不良事件。最常报告的 TEAE 为注射部位反应、血管穿刺部位瘀伤、上呼吸道感染、背痛和头痛。

● **Arrowhead 有望在 2027 年披露更多 ARO-MAPT 的 I/IIa 期临床数据**

Arrowhead 针对 ARO-MAPT 的这项 I/IIa 期安慰剂对照剂量递增研究 AROMAPT-SC-1001（NCT07221344），计划纳入约 64 名健康志愿者及最多 48 例早期 AD 患者。Part 1a 中健康志愿者接受 1-3 剂皮下注射；Part 1b 和 Part 2 部分，健康志愿者和早期 AD 受试者将接受多次递增剂量，总共最多 5 剂皮下注射 ARO-MAPT 或安慰剂。

截至目前，所有健康志愿者队列已全部入组。Arrowhead 计划完成多次递增剂量健康志愿者队列的给药，并继续早期阿尔茨海默病队列的入组，预计 2027 年更新数据。同时公司已启动监管讨论，为计划开展的 MAPT 相关额颞叶痴呆和进行性核上性麻痹研究做准备。

● **全球 AD 相关小核酸有 9 款处于临床阶段，ARO-MAPT 为唯一皮下注射管线**
小核酸药物为 AD 治疗提供了全新范式。与抗体疗法不同，ASO 和 siRNA 通过碱基互补配对精准靶向致病基因的 mRNA，从转录后水平抑制致病蛋白的合成，理论上有望实现更上游的疾病修饰效应。目前，Ionis、Alnylam、Arrowhead 等多家公司和机构相继布局 AD 小核酸管线，靶点多集中在 Tau、APP、APOE4 等，形成多元化、多机制的研发格局。截至 2026 年 10 月 15 日，全球已有 9 款 AD 小核酸药物进入临床阶段。

● **风险提示：**研发进度不及预期风险，研发失败风险，市场竞争加剧风险等。

目 录

1、 Arrowhead ARO-MAPT I/IIa 期中期数据披露，显示在健康志愿者中实现深度且持久的 Tau 蛋白降低.....	3
2、 2050 年全球痴呆患者数量预计将达 1.39 亿，新药有待开发.....	6
3、 小核酸药物为 AD 治疗提供了全新范式，多款管线进入临床阶段.....	6
4、 风险提示.....	8

图表目录

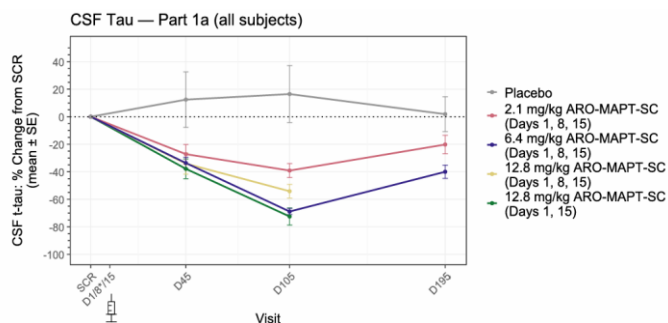
图 1： ARO-MAPT 第 105 天 CSF Tau 平均降低 73%	3
图 2： ARO-MAPT 第 105 天 CSF Tau 个体最大降幅 85%	3
图 3： ARO-MAPT I/IIa 期中期数据显示总体耐受性良好	3
图 4： ARO-MAPT 采用 TRiM™ CNS 平台	4
图 5： TRiM™ BBB 配体不干扰内源性 Tf 的结合	4
图 6： TfR1 血脑屏障 siRNA 递送平台可以实现较好的脑内分布均匀性	5
图 7： Arrowhead 针对 ARO-MAPT 开展 I/IIa 期安慰剂对照剂量递增研究 AROMAPT-SC-1001	5
表 1： 目前全球 AD 适应症相关小核酸仅有 9 款管线处于临床阶段，ARO-MAPT 为唯一皮下注射给药管线.....	6

1、Arrowhead ARO-MAPT I/IIa 期中期数据披露，显示在健康志愿者中实现深度且持久的 Tau 蛋白降低

2026 年 10 月 14 日，Arrowhead 公布 ARO-MAPT（拟用于治疗阿尔茨海默病及其他 tau 蛋白病的 siRNA 管线）正在进行的 1/2a 期研究的期中结果。这些结果首次在临床上成功验证了能够跨越血脑屏障（BBB）递送 siRNA 并在大脑中实现显著靶基因敲低的平台（TRiM™）。

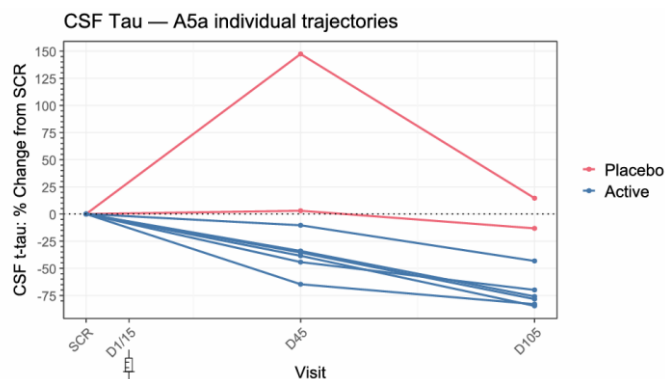
结果显示，在健康志愿者中，（1）皮下注射 ARO-MAPT 实现了脑脊液（CSF）总 Tau 蛋白的深度降低：ARO-MAPT 在第 1、8、15 天以 2.1mg/kg 和 6.4mg/kg 给药，第 105 天分别实现平均降低 40%和 69%；ARO-MAPT 在第 1、15 天以 12.8mg/kg 给药，第 105 天实现平均降低 73%，最大降幅 85%；（2）持久性：第 105 天为末次给药后 90 天，脑脊液总 tau 蛋白的持续降低支持每三个月一次或更低频率给药的潜力。

图1：ARO-MAPT 第 105 天 CSF Tau 平均降低 73%



资料来源：Arrowhead 公司公告

图2：ARO-MAPT 第 105 天 CSF Tau 个体最大降幅 85%



资料来源：Arrowhead 公司公告

安全性方面，ARO-MAPT 总体耐受性良好。大多数治疗中出现的不良事件（TEAE）为 1 级或轻度。未报告严重 TEAE、死亡或导致停止研究治疗或退出研究的 TEAE。未报告持续性贫血或神经行为不良事件。最常报告的 TEAE 为注射部位反应、血管穿刺部位瘀伤、上呼吸道感染、背痛和头痛。

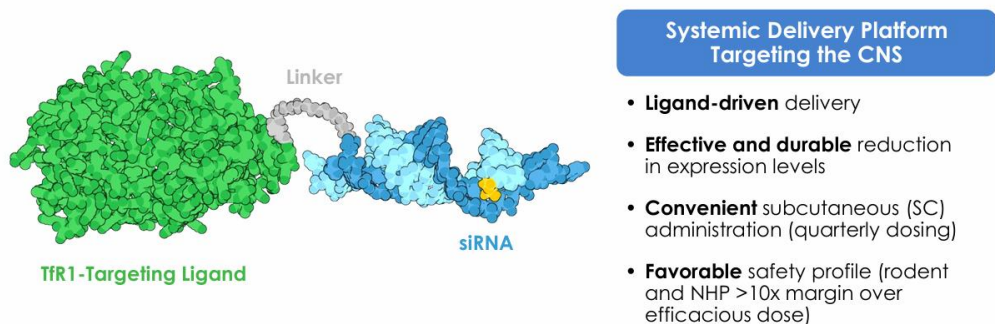
图3：ARO-MAPT I/IIa 期中期数据显示总体耐受性良好

Characteristic	Placebo (N=15)	ARO-MAPT Part 1A (N=30)	ARO-MAPT Part 1B (N=12)
Overall			
Any TEAEs, n (%)	8 (53.3)	27 (90.0)	10 (83.3)
Serious TEAEs, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Deaths, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Discontinuations due to TEAE, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Reported in >10% of the Study Participants			
Injection site reaction, n (%)	1 (6.7)	6 (20.0)	3 (25.0)
Vessel puncture site bruise, n (%)	0 (0.0)	4 (13.3)	3 (25.0)
Upper respiratory tract infection, n (%)	0 (0.0)	5 (16.7)	2 (16.7)
Back pain, n (%)	1 (6.7)	5 (16.7)	0 (0.0)
Headache, n (%)	2 (13.3)	6 (20.0)	4 (33.3)

资料来源：Arrowhead 公司公告

ARO-MAPT 采用 TRiM™ CNS 平台，将 siRNA 与靶向转铁蛋白受体（TfR1）的配体偶联而成。皮下注射后，偶联物经体循环到达脑血管，结合脑血管内皮细胞表面的 TfR1，通过受体介导的跨胞转运穿越血脑屏障，进入 CNS 实质。随后 siRNA 发挥作用，沉默 CNS 内微管相关蛋白 tau 基因的表达，减少全部 6 种 tau 蛋白亚型的生成，用于治疗阿尔茨海默病及其他 tau 蛋白病。

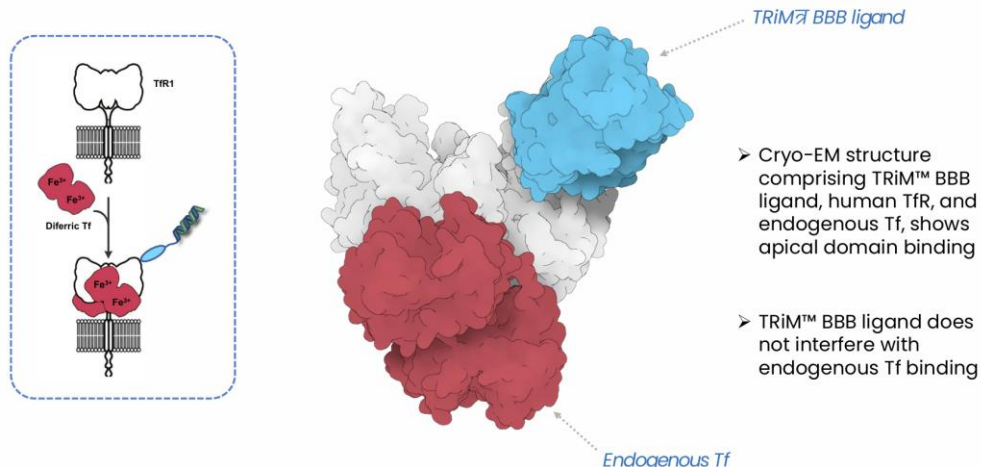
图4：ARO-MAPT 采用 TRiM™ CNS 平台



资料来源：Arrowhead 公司公告

值得注意的是，公司考虑到了 TRiM™血脑屏障平台结合 TfR1 的顶端结构域设计问题，公司的 TRiM™ BBB 配体（蓝色）与 TfR1 结合但不竞争内源性 Tf（红色）结合位点，即 TRiM™ BBB 配体不干扰内源性 Tf 的结合。

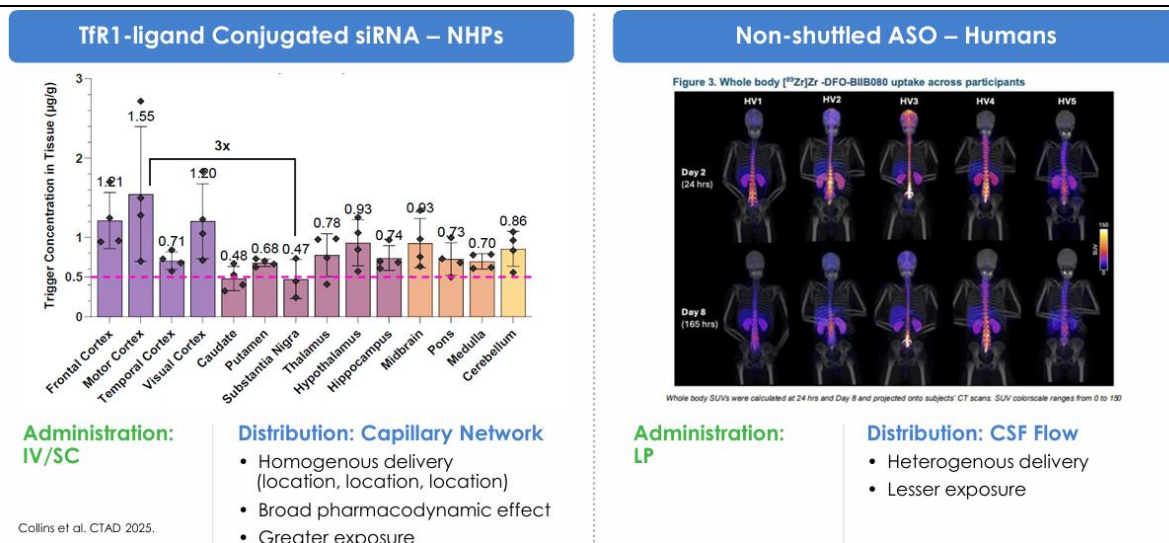
图5：TRiM™ BBB 配体不干扰内源性 Tf 的结合



资料来源：Arrowhead 公司公告

同时，TfR1 血脑屏障 siRNA 递送平台，相比鞘内注射（IT）给药的 ASO，改善了脑内分布的均匀性（且无需腰椎穿刺）。

图6：TfR1 血脑屏障 siRNA 递送平台可以实现较好的脑内分布均匀性

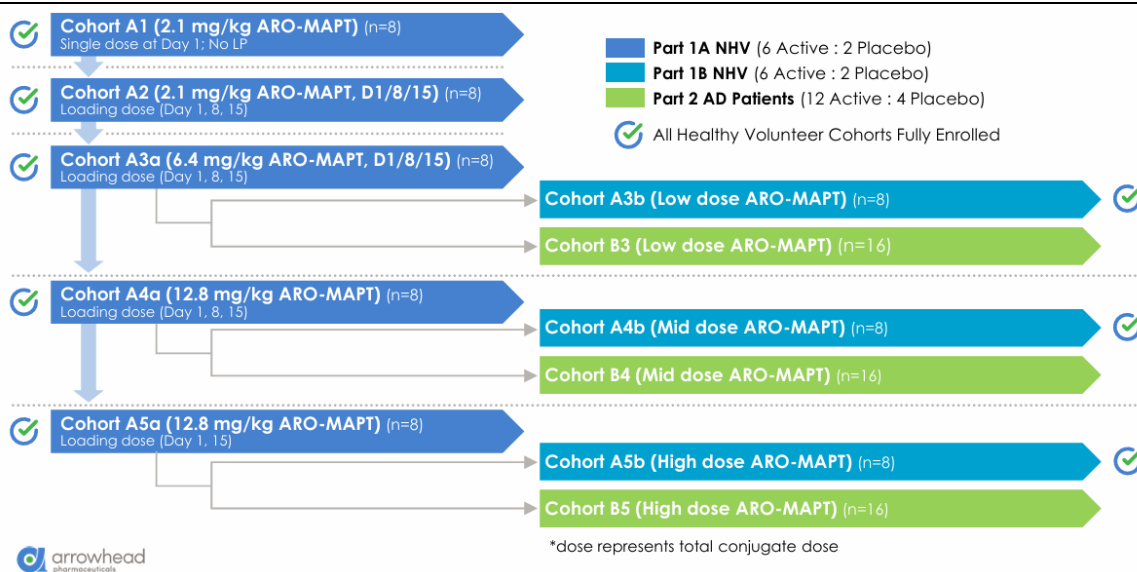


资料来源：Arrowhead 公司公告

Arrowhead 针对 ARO-MAPT 的这项 I/IIa 期安慰剂对照剂量递增研究 AROMAPT-SC-1001 (NCT07221344)，计划纳入约 64 名健康志愿者及最多 48 例早期 AD 患者（定义为 AD 所致的轻度认知障碍与轻度 AD 痴呆）。Part 1a 中健康志愿者接受 1-3 剂皮下注射；Part 1b 和 Part 2 部分，健康志愿者和早期 AD 受试者将接受多次递增剂量，总共最多 5 剂皮下注射 ARO-MAPT 或安慰剂。

截至目前，所有健康志愿者队列已全部入组。Arrowhead 计划完成多次递增剂量健康志愿者队列的给药，并继续早期阿尔茨海默病队列的入组，预计 2027 年更新数据。同时公司已启动监管讨论，为计划开展的 MAPT 相关额颞叶痴呆和进行性核上性麻痹研究做准备。

图7：Arrowhead 针对 ARO-MAPT 开展I/IIa 期安慰剂对照剂量递增研究 AROMAPT-SC-1001



资料来源：Arrowhead 公司公告

2、2050 年全球痴呆患者数量预计将达 1.39 亿，新药有待开发

据《中国阿尔茨海默病报告 2025》，2019 年中国报告了 1314 万例阿尔茨海默病及相关痴呆（ADRD）病例，占全球总数的 25.5%，相关死亡人数达 320715 例，占全球总数的 19.8%；而在 2026 年 9 月发布的《2026 世界阿尔茨海默病报告》中则进一步披露并预测，截至 2019 年，全球有超过 5500 万人罹患痴呆；随着人口老龄化，预计 2050 年达到 1.39 亿，增幅最大的是科研能力最薄弱的中低收入国家，并且痴呆正迅速成为全球主要的死亡原因之一。

3、小核酸药物为 AD 治疗提供了全新范式，多款管线进入临床阶段

与抗体疗法不同，ASO 和 siRNA 通过碱基互补配对精准靶向致病基因的 mRNA，从转录后水平抑制致病蛋白的合成，理论上有望实现更上游的疾病修饰效应。目前，Ionis、Alnylam、Arrowhead 等多家公司和机构相继布局 AD 小核酸管线，靶点多集中在 Tau、APP、APOE4 等，形成多元化、多机制的研发格局。截至 2026 年 10 月 15 日，全球已有 9 款 AD 小核酸药物进入临床阶段。

表1：目前全球 AD 适应症相关小核酸仅有 9 款管线处于临床阶段，ARO-MAPT 为唯一皮下注射给药管线

管线名称	公司	靶点	成分类别	给药途径	全球最高研发进度	AD 适应症全球最高研发进度
NIO752	诺华制药	Tau	ASO	鞘内注射	临床 III 期	临床 I 期
diranersen	渤健制药、Ionis	Tau	ASO	鞘内注射	临床 II 期	临床 II 期
Mivelsiran	再生元制药、Alnylam	APP	siRNA	鞘内注射	临床 II 期	临床 II 期
ARO-MAPT	Arrowhead	Tau	siRNA	皮下注射	临床 I/II 期	临床 I/II 期
RO7812653	罗氏制药、Ionis	APOE4	ASO	鞘内注射	临床 I 期	临床 I 期
ALN-5288	再生元、Alnylam	Tau	siRNA	鞘内注射	临床 I 期	临床 I 期
LY3954068	礼来制药	Tau	siRNA	鞘内注射	临床 I 期	临床 I 期
DNL628	Denali Therapeutics	Tau TfR	ASO, 抗体寡核苷酸偶联 AOC	静脉注射	临床 I 期	临床 I 期
VY1706	Voyager Therapeutics	Tau	siRNA	静脉注射	临床 I 期	临床 I 期
-	比利时杨森制药	Tau	siRNA	-	临床前	临床前
APRTX-001	Aperture Therapeutics	CD33	ASO	-	临床前	临床前
RN276	大睿生物	Tau	siRNA	-	临床前	临床前
HJY-03	中国生物制药、赫吉亚生物	-	siRNA	-	临床前	临床前
HJY-02	中国生物制药、赫吉亚生物	APP	siRNA	-	临床前	临床前
AL-102	Oncotelic Therapeutics	-	ASO	-	临床前	临床前
-	Alnylam	APCS	siRNA	-	临床前	临床前
-	船望制药	APOE	siRNA	-	临床前	临床前
-	船望制药	APP	siRNA	-	临床前	临床前
-	船望制药	Tau	siRNA	-	临床前	临床前
-	拓界生物	APP	siRNA	-	临床前	临床前

管线名称	公司	靶点	成分类别	给药途径	全球最高研发进度	AD 适应症全球最高研发进度
-	University of Miami	APP Tau	siRNA	-	临床前	临床前
BEET-756	必贝特	APP Tau	siRNA	-	临床前	临床前
-	Switch Therapeutics	Tau	siRNA	-	临床前	临床前
CASi-APOE	Switch Therapeutics	APOE	siRNA	-	临床前	临床前
ADX-199	ADARx Pharmaceuticals	APP	siRNA	-	临床前	临床前
-	必贝特	APP	siRNA	-	临床前	临床前
-	金赛药业	RAGE	siRNA	-	临床前	临床前
XNA19A0	硬核酸生物	Tau	ASO	-		临床前
XNA199Q	硬核酸生物	APP	ASO	-	临床前	临床前
-	硬核酸生物	APOE	siRNA	-	临床前	临床前
-	Atalanta Therapeutics	CD33	siRNA	-	临床前	临床前
LTX-004	Leal Therapeutics	APOE	ASO	-	临床前	临床前
-	Ionis	PTBP1	ASO	-	临床前	临床前
-	Alnylam	FLNA	siRNA	-	临床前	临床前
-	University College London	APP	ASO	-	临床前	临床前
-	Alnylam	CHI3L1	siRNA	-	临床前	临床前
-	罗氏制药	Tau	ASO	-	临床前	临床前
-	强生制药	Tau	ASO	-	临床前	临床前
BWS-4	舶望制药	-	siRNA	-	临床前	临床前
BWS-3	舶望制药	-	siRNA	-	临床前	临床前
-	Ionis	IFNAR1	ASO	-	临床前	临床前
-	卫材药业	CD33	ASO	-	临床前	临床前
APH-1701	Aphios	CCR5	siRNA	-	临床前	临床前
BMD-001	Biorchestra	miR-485-3p	ASO	-	临床前	临床前
-	金赛药业	APP	siRNA	-	临床前	临床前
-	中国生物制药	-	siRNA, 抗体寡核苷酸偶联 AOC	-	临床前	临床前
-	凌泰氨生物	PTBP1	ASO	-	临床前	临床前
-	The Institute of Neurophysiopathology	BACE1 TfR1	siRNA, 其他偶联药物	-	临床前	临床前
-	Dyne Therapeutics	Tau TfR1	siRNA	-	临床前	临床前
-	时安生物	APP	siRNA	-		临床前
-	时安生物	SOD1	siRNA	-	临床前	临床前
SR128	瑞博生物	-	siRNA	-	临床前	临床前
GenSciP165	金赛药业	TfR	siRNA, 抗体寡核苷酸偶联 AOC	-	临床前	临床前
-	信立泰	APP	siRNA	-	临床前	临床前
-	先衍生物	Tau	siRNA	-	临床前	临床前
-	Gladstone Institutes	APOE	小核酸	-	临床前	临床前
-	Ionis、Saint Louis	GRN	ASO	-	临床前	临床前

管线名称	公司	靶点	成分类别	给药途径	全球最高研发进度	AD 适应症全球最高研发进度
University						
-	首尔大学	APOE	ASO	-	临床前	临床前
POL401	Seasun Therapeutics	-	ASO	-	临床前	临床前
PSK-01	科恩里斯生物	-	siRNA, 外泌体	-	临床前	临床前
FYNM005	广州安天圣施医药有限公司	A β	ASO	-	临床前	临床前
Korea Advanced						
-	Institute of Science and Technology	MAO-B	ASO	-	临床前	临床前
TNK-001	Tinker Therapeutics	APP Tau	siRNA	-	临床前	临床前
-	云合智药	ACVR2B	ASO	-	临床前	临床前
-	云合智药	ACVR2B	siRNA	-	临床前	临床前
-	安龙生物	Tau	siRNA	-	临床前	临床前
ADP065-ABC	Alector	NLRP3	siRNA	-	临床前	临床前
-	硅羿科技	PIKFYVE	ASO	-	临床前	临床前
-	福元医药	FXII	siRNA	-	临床前	临床前
-	拓界生物	SARM1	siRNA	-	临床前	临床前
-	安龙生物	APP	siRNA	-	临床前	临床前

资料来源：Insight、上海疆云医疗健康科技微信公众号、开源证券研究所（注：统计积极状态管线；数据更新截至 2026/10/15）

4、风险提示

研发进度不及预期风险，研发失败风险，市场竞争加剧风险等。

特别声明

《证券期货投资者适当性管理办法》、《证券经营机构投资者适当性管理实施指引（试行）》已正式实施。根据上述规定，开源证券评定此研报的风险等级为R3（中风险），因此通过公共平台推送的研报其适用的投资者类别仅限定为专业投资者及风险承受能力为C3、C4、C5的普通投资者。若您并非专业投资者及风险承受能力为C3、C4、C5的普通投资者，请取消阅读，请勿收藏、接收或使用本研报中的任何信息。

因此受限于访问权限的设置，若给您造成不便，烦请见谅！感谢您给予的理解与配合。

分析师声明

本研究报告的署名人员具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格或相当的专业胜任能力，以勤勉的职业态度，独立、客观地出具本报告，并对内容和观点负责。本报告清晰准确地反映了署名人员的研究观点，所包含的分析基于各种假设，不同假设可能导致分析结果出现重大不同。本报告采用的各种估值方法及模型均有其局限性，估值结果不保证所涉及证券能够在该价格交易。本报告署名人员保证他们报酬的任何一部分不曾与，不与，也将不会与本报告中具体的推荐意见或观点有直接或间接的联系。

股票投资评级说明

	评级	说明
证券评级	买入（Buy）	预计相对强于市场表现 20%以上；
	增持（Outperform）	预计相对强于市场表现 5%~20%；
	中性（Neutral）	预计相对市场表现在-5%~+5%之间波动；
	减持（Underperform）	预计相对弱于市场表现 5%以下。
行业评级	看好（Overweight）	预计行业超越整体市场表现；
	中性（Neutral）	预计行业与整体市场表现基本持平；
	看淡（Underperform）	预计行业弱于整体市场表现。

备注：评级标准为以报告日后的6~12个月内，证券相对于市场基准指数的涨跌幅表现，其中A股基准指数为沪深300指数（北交所基准指数为北证50指数）、港股基准指数为恒生指数、新三板基准指数为三板成指（针对协议转让标的）或三板做市指数（针对做市转让标的）、美股基准指数为标普500或纳斯达克综合指数。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。

法律声明

开源证券股份有限公司是经中国证监会批准设立的证券经营机构，已具备证券投资咨询业务资格。

本报告仅供开源证券股份有限公司（以下简称“本公司”）的客户使用。本公司不会因接收人收到本报告而视其为客户。本报告是发送给开源证券客户的，属于商业秘密材料，只有开源证券客户才能参考或使用。

本报告是基于本公司认为可靠的已公开信息，但本公司不保证该等信息的准确性或完整性。本报告所载的资料、工具、意见及推测只提供给客户作参考之用，并非作为或被视为出售或购买证券或其他金融工具的邀请或向人做出邀请。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、价值及投资收入可能会波动，过往的业绩表现不应作为其日后表现的预示。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。客户应当考虑到本公司可能存在可能影响本报告客观性的利益冲突，不应视本报告为做出投资决策的唯一因素。本报告中所指的投资及服务可能不适合个别客户，不构成客户私人咨询建议。本公司未确保本报告充分考虑到个别客户特殊的投资目标、财务状况或需要。本公司建议客户应考虑本报告的任何意见或建议是否符合其特定状况，以及（若有必要）咨询独立投资顾问。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。在任何情况下，本公司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。若本报告的接收人非本公司的客户，应在基于本报告做出任何投资决定或就本报告要求任何解释前咨询独立投资顾问。投资者应自主作出投资决策并自行承担投资风险，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。

开源证券在法律允许的情况下可参与、投资或持有本报告涉及的证券或进行证券交易，或向本报告涉及的公司提供或争取提供包括投资银行业务在内的服务或业务支持。开源证券可能与本报告涉及的公司之间存在业务关系，并无需事先或在获得业务关系后通知客户。

本报告的版权归本公司所有。本公司对本报告保留一切权利。未经本公司事先书面授权，本报告的任何部分均不得以任何方式制作任何形式的拷贝、复印件或复制品，或再次分发给任何其他人，或以任何侵犯本公司版权的其他方式使用。所有本报告中使用的商标、服务标记及标记均为本公司的商标、服务标记及标记。

开源证券研究所

上海

地址：上海市浦东新区世纪大道1788号陆家嘴金控广场1号楼3层
邮编：200120
邮箱：research@kysec.cn

北京

地址：北京市西城区西直门外大街18号金贸大厦C2座9层
邮编：100044
邮箱：research@kysec.cn

深圳

地址：深圳市福田区金田路2030号卓越世纪中心1号楼45层
邮编：518000
邮箱：research@kysec.cn

西安

地址：西安市高新区锦业路1号都市之门B座5层
邮编：710065
邮箱：research@kysec.cn