眼科AAV基因治疗： 海外艾伯维III期wAMD进入读出期，国内建议关注康弘药业等——东吴医药周报

证券分析师：朱国广
执业证书编号：S0600520070004
联系邮箱：zhugg@dwzq.com.cn
2026年11月15日

请务必阅读正文之后的免责声明部分

投资要点

- **眼科是AAV基因治疗商业化的先行领域**，Luxturna于2017年成为首款获FDA批准的AAV药物。主要优势包括：1）剂量低，Luxturna每眼载体量较10 kg患儿的Zolgensma静脉给药低约4个数量级；2）免疫反应温和，眼部具有相对免疫豁免特性；3）疗效评价直观，视力表和OCT可量化功能与结构变化，并可设置对侧眼对照；4）表达持久，视网膜靶细胞更新慢，有利于长期维持基因表达。
- **海外wAMD后期管线将在2026Q4–2027H2密集读出三期数据。**wAMD三款AAV疗法均已进入III期，主要终点均为视力非劣效于抗VEGF标准治疗：sura-vec预计2026Q4读出顶线结果，礼来收购的ixo-vec预计2027Q1，4DMT的4D-150两项III期分别预计2027Q2和2027H2。尽管各试验基线口径不同，I–II期患者年化抗VEGF注射次数均下降78%–92%。遗传性视网膜病（IRD）方向，光遗传药物MCO-010上市申请已获FDA受理，PDUFA目标日期在2027年上半年。
- **跨国药企持续通过并购与授权引进后期管线。**继罗氏收购Spark获得Luxturna、AbbVie以3.7亿美元首付合作sura-vec后，2025年10–11月交易再度升温：礼来先后收购Adverum并引进MeiraGTx的AAV-AIPL1，大冢制药以8500万美元首付买下4D-150亚太区权益。
- **国内罕见病率先报产，wAMD多家布局。**针对结晶样视网膜变性（BCD），天泽云泰VGR-R01与中因科技ZVS101e分别于2026年6月、8月获NMPA受理上市申请，并相继推进优先审评；两家公司均预期2027年获批，有望成为国内首批上市的眼科AAV药物。wAMD方向，朗信生物LX102于2026年1月启动国内首个III期，康弘药业KH631和KH658的II期主要数据预计2026年内获得，同时积极与CDE沟通推进III期临床试验中。
- **康弘自研KH631与KH658两款眼科AAV基因疗法，布局眼底病长效治疗。**两款产品分别采用视网膜下和脉络膜上腔给药，ARVO 2026中国I期数据显示，年化抗VEGF补救注射率分别下降64.9%—94.9%和80.7%—100%，各剂量组耐受性良好。目前均已完成中国II期、美国I期入组，并向DME、DR拓展适应证，推动公司眼底病管线向长效化迭代。
- **风险提示：**III期临床不及预期风险；安全性风险；监管审评不及预期风险；定价与支付风险。

本周医药核心事件一览表

日期	分类	公司/机构	核心事件
11月13日	管线进展	百利天恒	11月13日，百利天恒全球首个且唯一获批的双抗ADC伦康依隆妥单抗（BL-B01D1/iza-bren）的PANKU-Esophagus01研究发表于《美国医学会杂志》（JAMA，IF 65.4），为食管鳞癌领域首项登上JAMA主刊的ADC研究。该III期头对头标准化疗，双主要终点PFS与OS均达阳性，全面实现生存获益突破；一个月内该药研究结果已三度登上国际顶刊。
11月12日	管线进展	礼来	11月12日，礼来口服小分子GLP-1奥氟格列隆（商品名穆优达）获NMPA批准，用于肥胖或超重伴至少一种体重相关合并症成人的长期体重管理，为国内首个口服GLP-1减重药，中国亦是其全球首批上市国家之一。ATTAIN-1 III期显示72周最高剂量组平均减重12.4%，约四成受试者减重超15%，且服药不受饮食饮水限制。
11月12日	管线进展	恒瑞医药	11月12日，恒瑞医药芮弗西拜单抗注射液获NMPA批准，用于12岁及以上纯合子型家族性高胆固醇血症（HoFH），为国内首款ANGPTL3单抗。其机制不依赖LDL受体通路，III期SHR-1918-301研究显示第12周LDL-C较安慰剂降低64.2%；高胆固醇血症等大适应症III期同步推进。
11月12日	管线进展	Kyverna	11月12日（美东），Kyverna宣布完成向FDA滚动递交miv-cel（KYV-101）治疗僵人综合征的BLA并申请优先审评，依据KYSA-8注册性研究，该药已获RMAT认定。若获批，将成为全球首个自免CAR-T疗法，也是该病首个治疗药物；gMG III期入组按计划推进。
11月11日	管线进展	博瑞医药	11月11日，博瑞医药BGM0504（GLP-1/GIP双靶、每周一次）两项中国降糖III期达到主要终点及全部关键次要终点。其中联合研究以司美格鲁肽1.0mg为阳性对照，32周HbA1c降幅2.41% vs 1.95%，达统计学优效，为国产GLP-1首次在注册性头对头研究中胜出；52周内无严重低血糖。
11月9日	管线进展	礼来	11月9日，礼来AAV基因疗法Ixo-Vec（原Adverum ADVM-022，受理号JXSL2600217）获CDE批准在华开展新生血管性（湿性）年龄相关性黄斑变性临床试验。该药以AAV.7m8衣壳经玻璃体腔单次注射递送阿柏西普基因，5年随访抗VEGF注射频次下降87%，海外III期ARTEMIS顶线预计2027Q1读出。

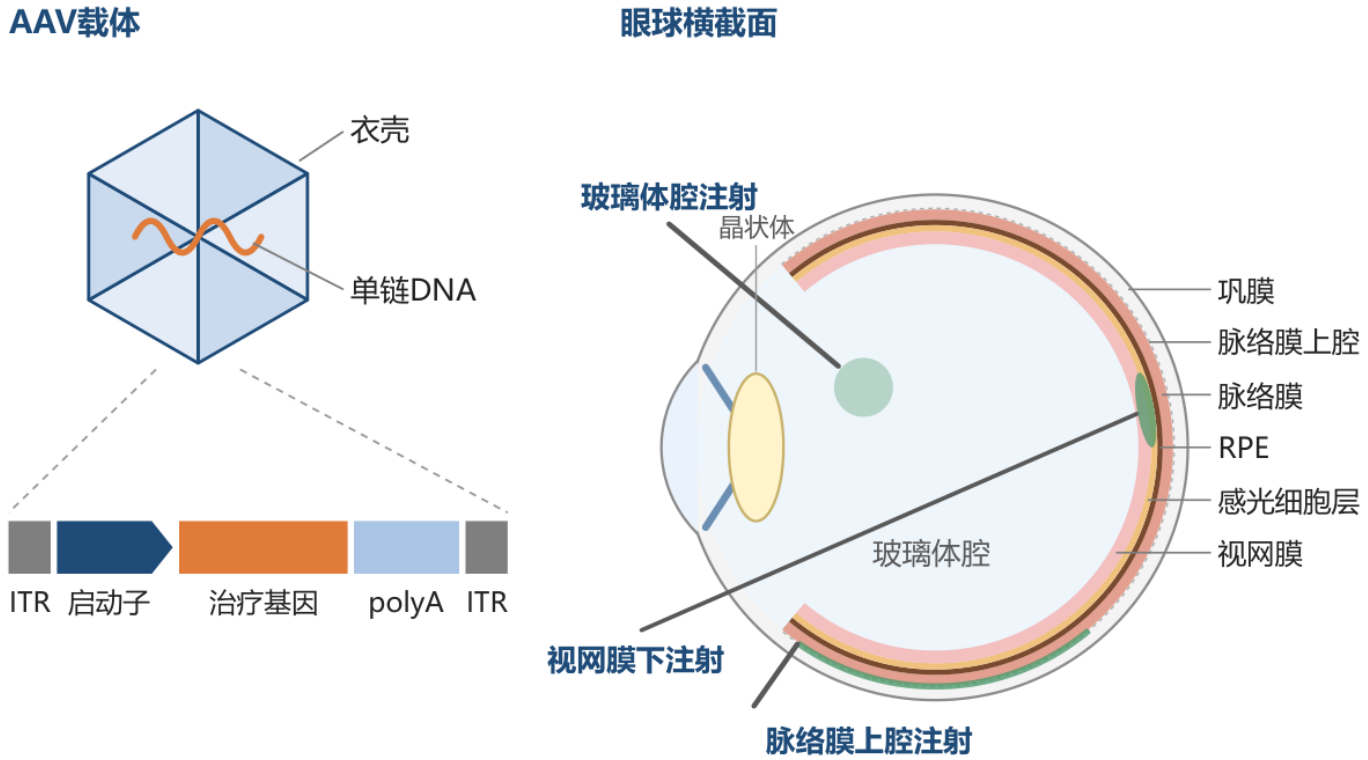
数据来源：医药魔方、东吴证券研究所。注：核心事件的时间均为2026年

本周专题：眼科AAV基因治疗，海外III期wAMD进入读出期

AAV能让外源基因在眼内长期表达，眼球的解剖与免疫特质使其率先成药

- **腺相关病毒（AAV）是一类无致病性的小病毒，衣壳直径约25nm，可装载约4.7kb DNA。**作为药物载体时剔除病毒自身基因，仅保留两端反向末端重复序列（ITR），中间插入“启动子+治疗基因”——衣壳血清型决定载体进入哪类细胞，启动子控制基因在特定细胞表达。载体进入细胞核后主要以游离DNA形式存在，极少整合进宿主染色体。成年人的感光细胞与视网膜色素上皮细胞（RPE）基本不再分裂，外源DNA不会随细胞增殖而稀释，构成了眼科AAV“一次给药、长期表达”的生物学基础。
- **眼球成为AAV基因治疗最早落地的器官，主要得益于四方面条件。**一是剂量极低：Luxturna每眼仅需1.5×10^{11} vg，而全身静脉给药用于治疗脊髓性肌萎缩症（SMA）的Zolgensma为1.1×10^{14} vg/kg（10kg患儿约1.1×10^{15} vg），相差约4个数量级，显著降低了生产成本与全身毒性风险；二是血-视网膜屏障提供相对独立的免疫环境，局部给药全身暴露极少；三是可单眼给药、对侧眼对照，用视力表、OCT和视野直接量化疗效；四是靶细胞不分裂，表达可长期维持。其主要局限在于载体容量：编码序列超过约5kb的大基因（如Stargardt病的ABCA4约6.8kb）无法装入单个AAV衣壳，需借助双载体拼接等方案递送。

图1：AAV基因治疗载体结构与眼内给药部位示意图



眼科AAV形成三条技术路线，给药方式直接影响临床推广门槛

- **按作用机制，眼科AAV基因治疗分为三条路线。**①**基因替代**：补充正常功能基因以修复单基因缺陷，用于遗传性视网膜病（IRD）。这类疾病患者少、单价高，可走孤儿药与加速审批通道，代表产品有已上市的Luxturna（RPE65）及国内报产的VGR-R01、ZVS101e（CYP4V2）。②**眼内蛋白表达（“生物工厂”）**：将抗VEGF等蛋白基因导入眼内细胞使其持续分泌，面向wAMD、糖尿病黄斑水肿（DME）、糖尿病视网膜病变（DR）等常见病，旨在替代每1–3个月一次的眼内注射。③**光遗传学疗法**：不修复特定致病基因，而是将光敏蛋白基因导入尚存的双极细胞或神经节细胞使其直接感光，不受突变类型限制，面向感光细胞已严重丧失的晚期视网膜色素变性（RP）。
- **不同给药途径对应不同的医疗场景与安全性特征。**①**视网膜下注射**需在手术室先做玻璃体切割，再将药液注入视网膜下腔形成局部浅脱离区；转导效率高，但仅覆盖注射局部，且依赖具备眼底手术能力的中心。②**玻璃体腔注射**与现有抗VEGF操作相同，可在门诊完成，但载体需穿过内界膜，依赖工程化衣壳（如7m8、R100）；同时因所需病毒滴度较高，眼内炎症与眼压异常是主要隐患，例如ADVM-022（ixo-vec）早期在DME高剂量组的12例患者中曾出现5例难治性低眼压，后被公司定为剂量限制性毒性，具体机制尚不明确。③**脉络膜上腔注射**用特制微针在门诊操作，弥散范围较广，相关管线正处于II/III期临床验证。对患者基数庞大的wAMD而言，能否在控制眼内炎症的前提下实现门诊给药，直接影响上市后的临床普及速度。

表1：眼科AAV三类技术路线对比

路线	作用原理	目标疾病	代表产品	全球最快进度
基因替代	补充正常基因拷贝	IRD及LHON（RPE65、CYP4V2、RPGR、ND4等）	Luxturna；VGR-R01、ZVS101e；laru-zova	已上市（Luxturna，2017）
生物工厂	眼内细胞持续表达抗VEGF类蛋白	wAMD、DME、DR	sura-vec；4D-150；ixo-vec	III期（顶线最早2026Q4）
光遗传	存活的视网膜内层细胞表达光敏蛋白	晚期RP（与突变无关）	MCO-010；GS030；ZM-02	BLA受理（MCO-010，PDUFA目标1H27，媒体报道6/30）

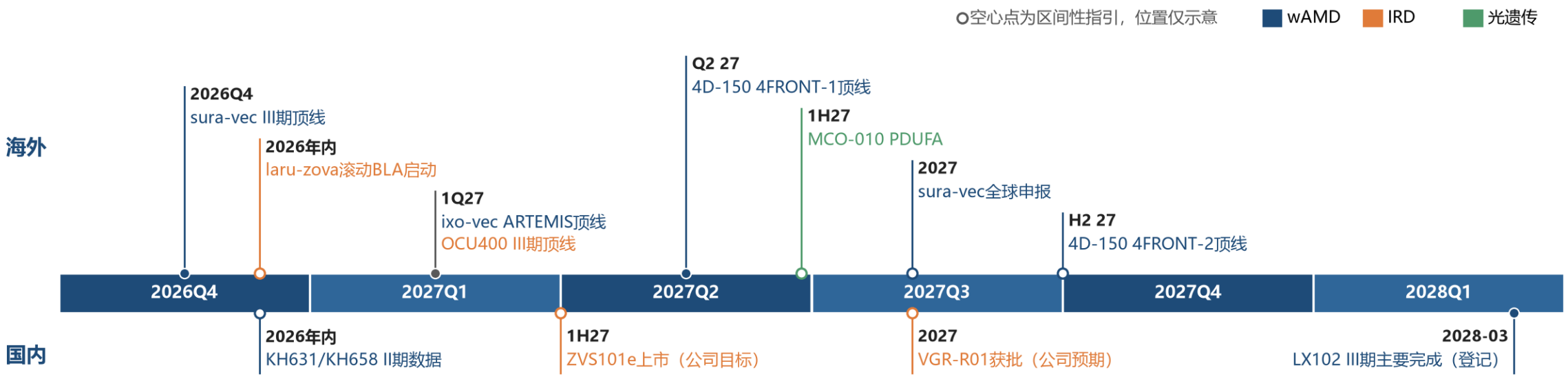
表2：三种眼内给药途径对比

途径	操作场景	覆盖范围	代表产品	已报告的代表性安全事件
视网膜下	手术室，需玻璃体切割	注射区局部	Luxturna、sura-vec、VGR-R01、LX102、KH631	手术相关风险（视网膜裂孔、白内障等）
玻璃体腔	门诊，与抗VEGF注射相同	较广，需工程化衣壳	4D-150、ixo-vec、MCO-010、NR082、SKG0106	4D-150 III期剂量71例中2例轻度眼内炎症；MCO-010前房炎症约44%；ADVM-022 DME高剂量12例中5例低眼压
脉络膜上腔	门诊，微针	较广	sura-vec（DR）、KH658	关键试验数据未出

全球仅Luxturna一款眼科AAV上市，2026Q4–2027年迎来6项III期顶线读出

- **据第三方统计，截至2025年10月全球共有超90款眼科基因疗法处于临床阶段，其中2款已递交NDA/BLA、11款处于III期。**但自2017年12月Luxturna获FDA批准以来，尚无第二款眼科AAV药物上市。2023年以来多款后期管线遇阻：GenSight治疗LHON的Lumevoq于2023年撤回EMA上市申请；原属强生、2026年4月转让给MeiraGTx的XLRP药物bota-vec于2025年5月宣布III期主要终点未达显著。行业整体仍处于后期临床验证阶段。
- **2026Q4至2027年将迎来密集读出与审评节点。**wAMD方向，sura-vec的ATMOSPHERE与ASCENT两项III期预计2026Q4读出顶线结果，并计划2027年提交全球上市申请；ixo-vec的ARTEMIS预计2027Q1读出；4D-150的4FRONT-1与4FRONT-2分别预计2027Q2和2027H2读出。IRD与光遗传方向，Ocugen的OCU400 III期（liMeliGhT）预计2027Q1读出；MCO-010的BLA已获受理，PDUFA目标日期在2027年上半年；Beacon的laru-zova计划2026年内启动滚动BLA。国内方面，已报产的VGR-R01与ZVS101e公司口径均预期2027年获批，康弘的KH631/KH658公司预期将于2026年内获得 II 期临床试验主要数据。这批在2027年底前揭晓的III期与审评结果，将直接检验眼科AAV从罕见病向常见眼底病拓展的可行性。

图2：全球眼科AAV关键节点时间轴（2026Q4–2028）

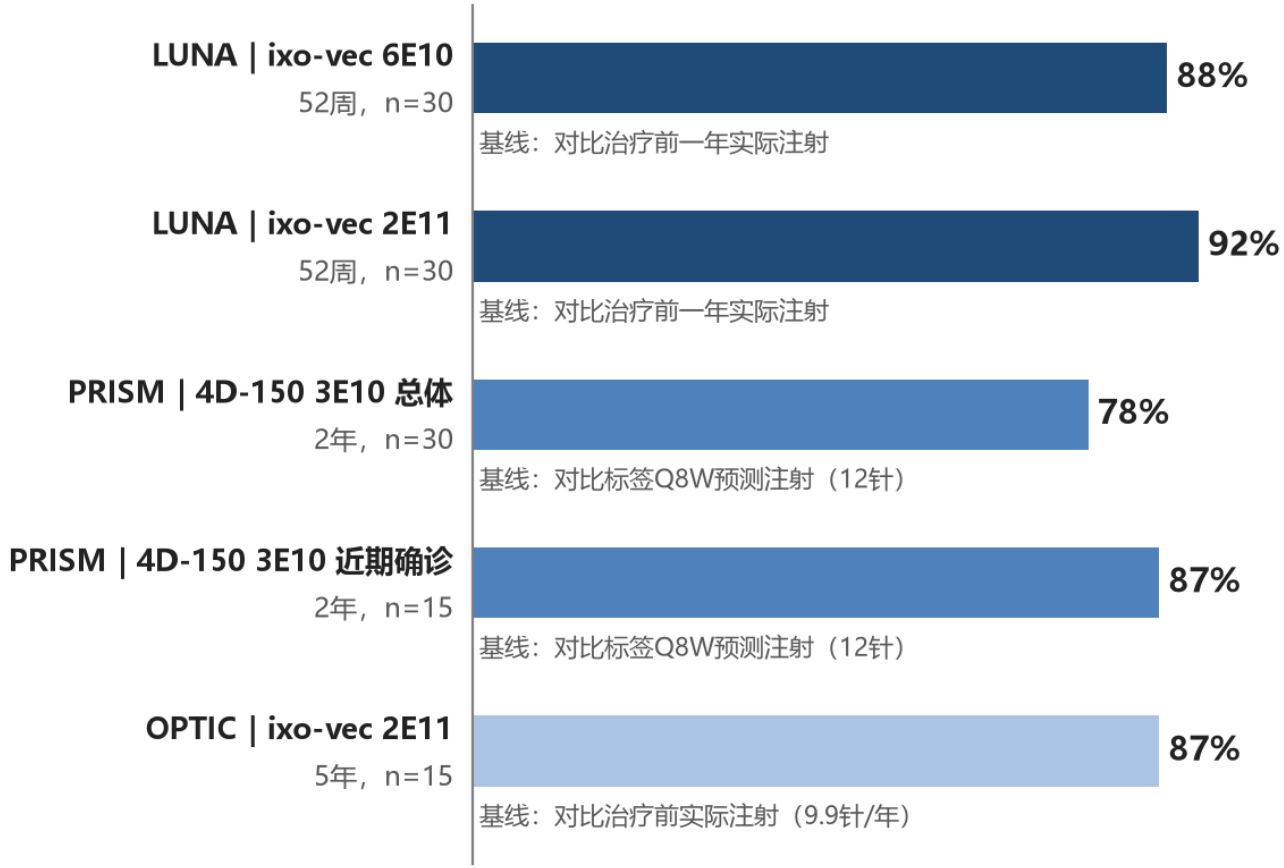


注：均为公司指引或登记日期

wAMD基因治疗旨在免除反复注射，主要终点关注年化注射次数下降比例

- **湿性血管性年龄相关性黄斑变性（wAMD）的标准疗法是眼内定期注射抗VEGF药物（如 阿柏西普、法瑞西单抗、雷珠单抗及康柏西普）。**疗效确切但需长期反复给药：以法瑞西单抗为例，美国说明书要求wAMD前4针每4周一次，此后根据OCT与视力评估每8–16周给药，首年合计6–8针，后续仍需长期维持。基因治疗通过单次注射让眼内细胞持续分泌抗VEGF蛋白，以单次给药替代长期频繁注射。
- **已披露的 I–II 期数据中，患者补充注射次数均大幅下降。**LUNA与OPTIC以患者入组前实际注射频次为基线，ixo-vec的II期LUNA试验52周时，6E10与2E11组年化抗VEGF注射次数分别较入组前一年下降88%与92%，54%与69%的患者无需补充注射；其I期OPTIC试验2E11组（n=15）5年随访显示，针对既往每年注射9.9针的重度经治患者，累计年化注射下降87%，5年BCVA较基线变化-6.1个字母（90%CI -15.9至3.7）。PRISM则以标签方案理论针数为基线，4D-150的IIb期PRISM试验中，III期剂量组（3E10）两年平均补充注射2.7针，较标签Q8W方案推算的12针下降78%，近期确诊亚组（n=15）下降87%。前期试验已验证减少补针的效果，2026Q4起陆续读出的III期临床核心在于验证大幅减针后视力能否与标准抗VEGF治疗相当。

图3：wAMD基因治疗I–II期试验年注射负担降幅（%）



注：跨试验数据，入组人群和基线口径不同，非头对头比较；OPTIC为I期，LUNA、PRISM为II期

海外三款wAMD管线齐聚III期，sura-vec预计最先读出

- **海外三款wAMD基因疗法的III期设计大体一致：单次给药对照抗VEGF标准治疗，以约一年时的BCVA非劣效为主要终点，核心差异在于给药途径。sura-vec（RGX-314，AbbVie/REGENXBIO）**采用视网膜下注射，需在手术室完成。两项III期（ATMOSPHERE对照雷珠单抗每月注射，ASCENT对照阿柏西普2mg Q8W）在14国合计入组超1300例，按1:1:1随机分为两个剂量组与对照组，主要终点为第54周BCVA。I/IIa期队列3/4的5年随访中患者视力保持稳定或改善，未观察到药物相关眼内炎症。REGENXBIO与AbbVie已联合培训超500名视网膜专科医生为商业化做准备。此外，其DR适应症改用脉络膜上腔注射（NAAVIGATE），首例给药已触发1亿美元里程碑。
- **4D-150（4DMT）与ixo-vec（礼来/Adverum）均为可在门诊完成的玻璃体腔注射。4D-150**采用R100衣壳，同时表达阿柏西普与抗VEGF-C：北美III期4FRONT-1入组初治患者523例，全球III期4FRONT-2入组初治及近期确诊经治患者531例，均对照阿柏西普2mg Q8W；DME III期4SIGHT计划入组514例。PRISM研究中III期剂量组（3E10）71例有2例（2.8%）在28周内出现轻度一过性眼内炎症，28周后无新发。**ixo-vec**采用7m8衣壳，ARTEMIS实际入组311例，单次6E10 vg/眼对照阿柏西普2mg Q8W，主要终点为第52/56周BCVA均值变化非劣效。综合来看，视网膜下路线在已披露试验中眼内炎症报告较少，但推广依赖手术中心；玻璃体腔注射具备门诊便利性，两条路径的优劣仍有待各自III期数据验证。

表3：海外wAMD AAV基因治疗III期对比

产品（公司）	给药途径	衣壳/表达蛋白	III期试验（N）	对照	主要终点	顶线指引	II期关键数据
sura-vec（AbbVie/REGENXBIO）	视网膜下	AAV8/抗VEGF Fab	ATMOSPHERE + ASCENT（合计>1300）	雷珠单抗每月；阿柏西普2mg Q8W	54周BCVA非劣效	2026Q4	减针比例未披露；I/IIa期队列3/4视力5年稳定
4D-150（4DMT；亚太：大冢）	玻璃体腔	R100/阿柏西普 + 抗VEGF-C	4FRONT-1（523）；4FRONT-2（531）	阿柏西普2mg Q8W	52周BCVA非劣效	Q2 2027；H2 2027	PRISM 2年注射负担降78%（对比标签Q8W预测）
ixo-vec（礼来）	玻璃体腔	7m8/阿柏西普	ARTEMIS（311，实际入组）	阿柏西普2mg Q8W	第52/56周BCVA均值变化非劣效	1Q 2027	LUNA 52周注射负担降88%（6E10，对比既往实际注射）

注：减针比例基线口径不同，非头对头

IRD基因替代后期临床结果分化，光遗传突破基因突变限制

- **遗传性视网膜疾病（IRD）涉及约300个致病基因，基因替代疗法通常“一药对一基因”。**进展顺利的项目中，Beacon的laru-zova（XLRP）在II/III期VISTA（n=85）中，12个月低照度视力（LLVA）提升≥15个字母的比例在高、低剂量组分别为31.0%（p=0.0019）和24.1%（p=0.0106），对照组为0%，计划2026年内启动滚动BLA；MeiraGTx的AAV-AIPL1（LCA4）在英国特殊许可下开展无对照开放标签研究，11名4岁以下法定盲患儿视力均获改善，礼来已买下全球权益。 受 挫 案例则反映出IRD试验在终点与对照设计上的难度：bota-vec（XLRP，2026年4月由强生转让MeiraGTx）III期LUMEOS未达52周视觉导航主要终点，次要终点LLVA提升≥10字母比例（描述性）为治疗组46%（25/55）、对照组7%（2/30），MeiraGTx仍计划推进全球申报；GenSight的Lumevoq（LHON）因对侧假注射眼同样出现改善、与注射眼未拉开显著差异，于2023年撤回EMA申请，目前在法国以早期准入供药。两款受挫产品均有疗效信号，但未能跨过预设功能学终点或双侧对照检验。
- **光遗传学疗法直接面向感光细胞已退化丢失的晚期患者，不受突变基因限制，适用人群大于单基因疗法。**Nanoscope的MCO-010（MOGENRY）为玻璃体腔注射、靶向双极细胞，IIb/III期RESTORE入组27例（治疗18例、假注射9例）：52周时高剂量组BCVA较假注射组改善0.337 logMAR（P=0.021），76周改善0.539 logMAR（P=0.001）。两年内未报告治疗相关严重不良事件，常见眼部不良反应为前房炎症（约44%）与眼压升高（约39%），均轻至中度、局部用药可控。FDA已受理其BLA，PDUFA目标日期在2027年上半年。

表4：海外IRD与光遗传代表产品关键数据

产品（公司）	适应症/靶点	给药	关键试验（N）	主要结果	监管状态
Luxturna（罗氏/Spark）	RPE65-IRD	视网膜下	III期（治疗21/对照10）	1年双眼MLMT评分变化中位数2 vs 0（p=0.001）	FDA 2017获批
MCO-010（Nanoscope）	晚期RP，突变无关	玻璃体腔	RESTORE（27）	52周BCVA较假注射改善0.337 logMAR（P=0.021）	BLA受理，PDUFA目标1H27（媒体报道6/30）
laru-zova（Beacon）	XLRP/RPGR	视网膜下	VISTA（85）	LLVA≥15字母：31.0%/24.1% vs 0%	计划2026年内滚动BLA
bota-vec（MeiraGTx；2026-04自强生收购）	XLRP/RPGR	视网膜下	LUMEOS（随机95；52周分析55/30）	主要终点未达显著；LLVA≥10字母46% vs 7%（次要终点，描述性）	III期主要终点未达；MeiraGTx计划全球申报
OCU400（Ocugen）	RP，基因修饰剂	视网膜下	liMeliGhT（140）	未读出	顶线1Q 2027
AAV-AIPL1（礼来/MeiraGTx）	LCA4/AIPL1	视网膜下	特殊许可研究（11）	11/11视力提高（开放标签、无对照）	英国MHRA特殊许可供药
Lumevoq（GenSight）	LHON/ND4	玻璃体腔	III期	注射眼与假注射眼无显著差异	2023撤回EMA申请；法国早期准入

资料来源：FDA，EMA，各公司公告，NEJM，东吴证券研究所

跨国药企通过并购与授权引进眼科AAV后期管线，礼来2025年连续两次出手

- **罗氏、AbbVie、大冢与礼来均已通过收并购或授权布局眼科AAV后期管线。**罗氏2019年12月以每股114.5美元完成收购Spark，全稀释股权价值约48亿美元（含约5亿美元净现金），获得Luxturna。AbbVie于2021年以3.7亿美元首付、至多13.8亿美元里程碑与REGENXBIO合作sura-vec，美国利润五五分成；2026年DR适应症（NAAVIGATE）首例给药触发1亿美元里程碑（7月到账）。2025年10–11月交易明显提速：大冢以8500万美元首付、至少5000万美元研发成本分担及至多3.36亿美元里程碑获得4D-150亚太权益（含日本与中国）；礼来以每股3.56美元现金加至多8.91美元CVR收购Adverum（Fierce按约2090万股测算前端约7400万美元、CVR全额兑现总对价约2.6亿美元，12月完成交割），随后又以7500万美元首付、超4亿美元里程碑引进MeiraGTx的AAV-AIPL1及眼科衣壳、启动子平台。国内管线也开始出海：星明优健（复星医药旗下复健创投持股50.82%）于2025年10月向英国AviadoBio授出光遗传药物UGX202大中华区以外权益选择权，行权后首付与里程碑合计超4亿美元。
- **从交易结构看，跨国药企出手呈现两方面共性：**一是资金主要流向已入III期或临近注册的后期资产，早期项目多采用选择权或连带衣壳/启动子平台打包合作（如UGX202、MeiraGTx交易）；二是2025年三笔海外交易首付或交割前端均控制在1亿美元以内（其中礼来收购现金紧张的Adverum前端约7400万美元），主要对价后置到里程碑与CVR中。这种风险共担的定价模式是否随sura-vec与4D-150的III期读出而改变，有待后续观察。

表5：眼科AAV代表性交易

时间	买方/被许可方	卖方/许可方	资产（适应症）	交易结构	首付/前端	里程碑/或有对价
2019-12	罗氏	Spark	Luxturna（RPE65-IRD）等	收购	约48亿美元（全稀释股权价值，含约5亿美元净现金）	—
2021-09	AbbVie	REGENXBIO	sura-vec（wAMD、DR）	合作，美国利润五五分成	3.7亿美元	至多13.8亿美元
2025-10	AviadoBio	星明优健	UGX202（RP，光遗传）	大中华区外权益选择权	首付与里程碑合计超过4亿美元	—
2025-10	大冢	4DMT	4D-150亚太权益（wAMD、DME）	授权	8500万美元 + ≥5000万美元成本分担	至多3.36亿美元
2025-10	礼来	Adverum	ixo-vec（wAMD）	收购	约7400万美元（每股3.56美元，Fierce按约2090万股估算）	CVR至多8.91美元/股（Fierce估算：全额兑现后总对价约2.6亿美元）
2025-11	礼来	MeiraGTx	AAV-AIPL1（LCA4）+眼科衣壳/启动子	授权	7500万美元	超过4亿美元

资料来源：SEC，罗氏年报，各公司公告，Fierce Biotech，东吴证券研究所

国内两款BCD罕见病疗法已报产，wAMD多家布局

- **国内眼科AAV在罕见病领域已率先步入上市审评。**天泽云泰VGR-R01上市申请于2026年6月23日获受理，并已纳入优先审评。其单臂I期研究纳入12例患者，第52周8例目标眼BCVA改善≥0.3 logMAR（约15个字母）；随机双盲III期研究纳入45例患者，已完成52周随访并达到主要终点，主分析显示治疗组与对照组视力改善≥0.3 logMAR的比例分别为38.5%和0%（P=0.004）。中因科技ZVS101e（哌普锐基注射液）上市申请于2026年8月25日获受理（CXSS2600132），此前已获国内突破性治疗认定，目前已纳入优先审评，公司预计2027年一季度获批。两款产品均通过视网膜下单次给药补充功能性CYP4V2基因，针对CYP4V2双等位基因突变引起的结晶样视网膜变性（BCD）。另一款较早进入III期的罕见病管线纽福斯NR082（ND4-LHON，玻璃体腔注射）已于2023年2月完成III期入组。
- **wAMD方向多家布局。**朗信生物LX102（视网膜下）进度最快，于2026-01-14启动开放标签III期STELLAR，计划入组388例、对照阿柏西普Q8W，登记主要完成时间为2028年3月（海外sura-vec与4D-150分别预计2026Q4和2027年读出）。II期管线中，康弘药业控股子公司弘基生物的KH631（视网膜下）与KH658（脉络膜上腔）均已完成中国II期与美国I期入组，预计2026年内获得II期主要数据，KH631的DME适应症已于2026年1月获批临床；嘉因生物EXG102-031已完成中国IIa期52周随访，预计2026年下半年启动IIb/III期；特宝生物子公司伯赛基因2025年7月收购九天开曼（不含其美国子公司及所持资产）后，其玻璃体腔注射管线SKG0106处于中美I/II期。

表6：截至26年11月国内眼科AAV主要在研管线

产品	公司	适应症	给药途径	所处阶段	最新节点
VGR-R01	天泽云泰	BCD	视网膜下	NDA受理，已纳入优先审评	2026-06-23公告受理
ZVS101e	中因科技	BCD	视网膜下	NDA受理，已纳入优先审评（公司称）	2026-08-25受理；公司预期2027Q1获批
LX101	朗信生物	RPE65-IRD	视网膜下	III期达主要终点（公司称）	申报状态未披露
NR082	纽福斯	ND4-LHON	玻璃体腔	III期	2023-02完成III期入组；未见NDA披露（截至2026-11-13）
LX102	朗信生物	nAMD	视网膜下	III期（计划388例）	2026-01首例；2028-03主要完成
KH631	康弘药业（弘基生物）	nAMD；DME	视网膜下	中国II期/美国I期	II期数据2026年内
KH658	康弘药业（弘基生物）	nAMD	脉络膜上腔	中国II期/美国I期	II期数据2026年内
EXG102-031	嘉因生物	wAMD	视网膜下	中国IIa完成；美国I期	IIb/III期2026H2启动
SKG0106	九天生物（特宝生物子公司伯赛基因收购）	wAMD	玻璃体腔	中美I/II期	I/II期计划68例（登记）
ZM-02	中眸医疗	晚期RP（光遗传）	玻璃体腔	国内获批临床	2026-08获批
UGX202	星明优健	RP（光遗传）	玻璃体腔	国内获批临床	2026-08获批
GA001	健达九州	RP（光遗传）	—	国内注册临床	2026-09首例给药

资料来源：NMPA，CDE，ClinicalTrials.gov，各公司公告，东吴证券研究所

风险提示

- **III期临床不及预期风险。**海外wAMD三款AAV的III期均为对照抗VEGF的非劣效设计，若视力未达非劣效，或实际补充注射比例高于II期，将削弱其临床替代价值。
- **安全性风险。**玻璃体腔注射存在眼内炎症与眼压异常风险（如ADVM-022早期在DME高剂量组12例中曾出现5例低眼压、3例需手术）；视网膜下注射存在玻璃体切割手术相关风险。
- **监管审评不及预期风险。**国内BCD两款产品处于首轮上市审评，海外MCO-010的PDUFA目标日期在2027年上半年，审评结论与获批时间存在不确定性。
- **定价与支付风险。**国内尚无眼科AAV上市，定价、医保与商保支付路径仍待形成；wAMD基因治疗还需面对持续降价的抗VEGF竞争。

免责声明

东吴证券股份有限公司(以下简称“本公司”)经中国证券监督管理委员会批准，已具备证券投资咨询业务资格。

本研究报告仅供符合中国证监会《证券期货投资者适当性管理办法》规定的专业投资者使用，且接收人须为本公司认定并建立服务关系的专业机构投资者使用，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，本公司及作者不对任何人因使用本报告中的内容所导致的任何后果负任何责任。本报告不面向普通投资者发布或传播。任何非专业机构投资者收到本报告后，应立即退回并销毁，不得依据本报告内容做出任何投资决策。

在法律许可的情况下，东吴证券及其所属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投资银行服务或其他服务。

市场有风险，投资需谨慎。本报告是基于本公司分析师认为可靠且已公开的信息，本公司力求但不保证这些信息的准确性和完整性，也不保证文中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。

本报告的版权归本公司所有，未经书面许可，任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制和发布。经授权刊载、转发本报告或者摘要的，应当注明出处为东吴证券研究所，并注明本报告发布人和发布日期，提示使用本报告的风险，且不得对本报告进行有悖原意的引用、删节和修改。未经授权或未按要求刊载、转发本报告的，应当承担相应的法律责任。本公司将保留向其追究法律责任的权利。

东吴证券投资评级标准

投资评级基于分析师对报告发布日后6至12个月内行业或公司回报潜力相对基准表现的预期（A 股市场基准为沪深 300 指数，香港市场基准为恒生指数，美国市场基准为标普 500 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），北交所基准指数为北证50指数），具体如下：

公司投资评级：

买入：预期未来6个月个股涨跌幅相对基准在15%以上；

增持：预期未来6个月个股涨跌幅相对基准介于5%与15%之间；

中性：预期未来 6个月个股涨跌幅相对基准介于-5%与5%之间；

减持：预期未来 6个月个股涨跌幅相对基准介于-15%与-5%之间；

卖出：预期未来 6个月个股涨跌幅相对基准在-15%以下。

行业投资评级：

增持： 预期未来6个月内，行业指数相对强于基准5%以上；

中性： 预期未来6个月内，行业指数相对基准-5%与5%；

减持： 预期未来6个月内，行业指数相对弱于基准5%以上。

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应当充分考虑自身特定状况，如具体投资目的、财务状况以及特定需求等，并完整理解和使用本报告内容，不应视本报告为做出投资决策的唯一因素。

东吴证券研究所

苏州工业园区星阳街5号

邮政编码：215021

传真：（0512）62938527

公司网址： http://www.dwzq.com.cn

东吴证券 SOOCHOW SECURITIES

东吴证券 财富家园