国金证券
SINOLINK SECURITIES

2026 年 11 月 25 日

产业研究深度 | 医药

In vivo CAR-T、CRISPR 到 TIL，全球 CGT 十年全景图



为企业客户提供全方位的“产业+金融”研究服务！

核心要点

时点：从 Kymriah 到 Casgevy，CGT 迎来新一轮颠覆性突破。①商业化：从 CRISPR 基因编辑到实体瘤细胞治疗，CGT 迎来新一轮变革。②并购：礼来等全球巨头跑步入场，下一代 CGT 平台成为战略争夺焦点。③技术：In vivo 路径、单碱基基因编辑、自免 SLE 初露头角。

现状：传统 CAR-T 已成重磅药，适应症与递送双拓展。①百年演进：从细胞移植到基因编辑，CGT 形成多元治疗体系。②技术版图：3 大技术 6 条路径，细胞重建与基因编辑各具优势。③格局：血液瘤竞争加剧，实体瘤格局初立，in vivo 群雄逐鹿。

下个风口：In vivo、自免、异体 CAR-T 与 TIL。①自免：免疫重置有望开辟慢性疾病长期缓解的新市场。②异体 CAR-T：标准化现货供应有望突破个体化治疗的交付边界。③TIL：生产工艺与治疗方案简化及精准患者分层，实体瘤扩展适应症。④In vivo：体内制药新路径，持久性与递送控制决定产业化速度。⑤其他：NK、TCR 与 iPSC，细胞来源与功能设计形成差异化机会。

产业链：全球龙头领跑，中国多线突破，上游分化收益。我们分析了 7 家全球龙头公司强生/传奇、BMS、Gilead/Kite/Arcellx、Vertex/CRISPR、礼来、罗氏阿斯利康/亘喜，14 家前沿技术公司 Allogene、Iovance、Sana、Kyverna、Cabaletta、Umoja、Intellia、Beam、Prime、Editas、Precision、Korro、Cellectis、Metagenomi，药明巨诺、科济药业、君赛生物、沙砾生物、邦耀生物、上海细胞治疗集团等中国 CGT 公司以及 Lonza、Oxford Biomedica、金斯瑞、Cellares、和元生物等 CDMO 及上游相关公司。

建议关注：①商业化龙头，看销售增长、适应症扩展及盈利兑现，优先选择具有持续临床竞争力和交付能力的企业；②临床创新企业，看好 SLE 长期免疫重置、实体瘤 TIL 精准患者筛选及异体 CAR-T 标准化交付的关键临床突破；③前沿技术平台，关注 In vivo 靶向递送、体内基因编辑及可跨产品复制的技术能力，把握大型药企 BD 与临床验证带来的价值重估机会。

分析师及联系人

分析师：赵海春
SAC:S1130514100001
zhaohc@gjzq.com.cn

分析师：甘坛焕
SAC:S1130525060003

内容目录

时点：从 Kymriah 到 Casgevy，CGT 迎来新一轮颠覆性突破 9
商业化：从 CRISPR 基因编辑到实体瘤细胞治疗，CGT 迎来新一轮变革 9
并购：礼来等全球巨头跑步入场，下一代 CGT 平台成为战略争夺焦点14
技术：In vivo 路径、单碱基基因编辑、自免 SLE 初露头角 18
现状：传统 CAR-T 已成重磅药，适应症与递送双拓展 39
百年演进：从细胞移植到基因编辑，CGT 形成多元治疗体系 39
技术版图：3 大技术 6 条路径，细胞重建与基因编辑各具优势 42
格局：血液瘤竞争加剧，实体瘤格局初立，in vivo 群雄逐鹿 48
下个风口：In vivo、自免、异体 CAR-T 与 TIL 61
自免：免疫重置有望开辟慢性疾病长期缓解的新市场 62
异体 CAR-T：标准化现货供应有望突破个体化治疗的交付边界 64
TIL：生产工艺与治疗方案简化及精准患者分层，实体瘤扩展适应症 66
In vivo：体内制药新路径，持久性与递送控制决定产业化速度 68
其他：NK、TCR 与 iPSC，细胞来源与功能设计形成差异化机会 69
产业链：全球龙头领跑，中国多线突破，上游分化收益 71
全球龙头：血液瘤、基因编辑商业化，新一代 CAR 与 in vivo 蓄势 . 71
--强生/传奇：CARVYKTI 冲数十亿美元，双靶 in vivo CAR-T 蓄势 . 71
--BMS：传统 CAR-T，Breyanzi 高歌猛进，Abecma 黯然失色 74
--Gilead/Kite/Arcellx：Yescarta 增长失速，anito-cel 拓新空间 75
--Vertex/CRISPR：创新先锋强强联合，CASGEVY 基因编辑商业化 .. 77

--礼来：多技术路线并购，布局 in vivo CAR-T 与基因编辑..... 79
--罗氏：Spark 基因治疗商业化，Poseida 布局异体现货型 CAR-T .. 81
--阿斯利康/亘喜：FasTCAR 平台，BCMA/CD19 双靶 CAR-T 拓展自免. 83
前沿技术：细胞来源、免疫重置与体内编辑构建平台差异..... 85
. 1.细胞来源与工程化细胞平台..... 85
--Allogene：异体现货型 CAR-T，肿瘤与自免双推进 86
--Iovance：TIL 商业化先行，实体瘤适应症持续拓展 87
-- Sana：免疫逃逸工程，布局 in vivo iPSC 细胞替代..... 90
. 2.免疫重置与自免 CAR-T..... 91
-- Kyverna：自免 CAR-T 率先申报，免疫重置进入注册阶段..... 92
-- Cabaletta Bio：多适应症自免 CAR-T，探索免清淋治疗路径 ... 93
. 3.体内基因编辑与递送平台..... 95
-- Umoja Biopharma：in vivo CAR-T 进入人体临床，CD22 拓展自免96
-- Intellia：CRISPR 体内基因编辑进入上市审评准备阶段 98
-- Beam：碱基编辑临床验证提速，血液病与遗传病双线推进..... 100
-- Prime：体内编辑进入人体临床，基因精准修复拓展新适应症.. 101
-- Editas：Cas12a 编辑平台延伸，体内基因编辑重新推进 102
-- Precision：ARCUS 基因编辑，HBV 与 DMD 进入临床验证..... 104
-- Korro Bio：RNA 编辑不改变 DNA，开发可逆基因功能修复路径. 104
-- Cellectis：TALEN 技术积累，转向体内碱基编辑与表观遗传编辑
..... 105
-- Metagenomi：新型基因编辑平台进入临床，MGX-001 治疗血友病

A 106
中国公司：血液瘤成熟，实体瘤推进，异体与 in vivo CAR 探索中 107
--药明巨诺：中国细胞治疗龙头之一，自体、异体、自免皆布局.. 108
--科济药业：全球首个实体瘤 CAR-T 上市，国际化产能布局..... 109
--君赛生物：工艺与治疗双重简化，下一代实体瘤 TIL 已 BLA 110
--沙砾生物：TIL 多技术路线并行，覆盖天然细胞与功能增强.... 111
--邦耀生物：基因编辑与细胞治疗双平台，拓展遗传病、肿瘤与自免
..... 111
--上海细胞治疗集团：肿瘤靶点与抗 PD-1 CAR-T，多适应症推进 . 112
--其他中国细胞治疗企业 113
CRO/CDMO 及上游：CGT 制造复杂度催生专业化产业分工..... 113
--Lonza:全球 CDMO 龙头，领先的 CGT 规模化制造与质量体系..... 113
--Oxford Biomedica:病毒载体技术与 CDMO 结合，CGT 递送环节强 114
--金斯瑞生物科技/蓬勃生物：国际化高品质 CGT CDMO 平台..... 115
--Cellares：全自动细胞制造平台探索者..... 116
--和元生物：CGT 订单恢复增长，产能利用率与项目商业化提升中 116
--奥浦迈：细胞培养基形成客户管线积累，CGT 耗材需求提供新机会
..... 117
风险提示 117

图表目录

图表 1： Casgevy 治疗过程与机制..... 10

图表 2： Amtagvi 治疗过程与机制 11
图表 3： 科济药业 CLDN18.2 CAR-T 疗法 Satri-cel 结构 12
图表 4： Afami-cel 受体结构与下一代 TCR-T 作用机制 13
图表 5： 全球 in vivo CGT 领域并购全景图 15
图表 6： 环状 RNA 的分子结构与合成方式 16
图表 7： 全球 in vivo CGT 领域 VC 融资全景图 18
图表 8： 体外 CAR（Ex vivo）vs 体内 CAR（In vivo）对比 20
图表 9： 全球 In vivo CAR 技术发展历程及临床转化进展 21
图表 10： 全球 DNA 碱基编辑的六种主要技术平台 25
图表 11： 碱基编辑从实验室走向临床的技术发展时间线 26
图表 12： BEAM-302 体内碱基编辑修复致病突变，恢复正常 AAT 蛋白表达 27
图表 13： VERVE-102 体内碱基编辑 PCSK9，单次给药实现 LDL-C 持续下降 29
图表 14： 全球代表性碱基编辑临床项目及结果比较 30
图表 15： 3 种主要实体瘤细胞疗法的流程、抗原与临床验证 34
图表 16： CT041-ST-01 随机Ⅱ期研究的无进展生存曲线 36
图表 17： Adicet Bio 异体 CAR-T 治疗 SLE，12 个月 DORIS 缓解率达 54% 37
图表 18： Cabaletta Bio 自免 CAR-T 实现持续缓解，肾脏组织学疗效获得验证 38
图表 19： 全球细胞治疗的关键里程碑与技术演进 40

图表 20： 全球基因编辑十年历史 41
图表 21： In vivo CAR-T 主要递送平台：整合型与非整合型技术路线 . 48
图表 22： CARVYKTI 美国授权治疗中心类型与社区医疗网络覆盖 50
图表 23： CARVYKTI 五年随访结果 51
图表 24： 全球 CGT 产业链关键工具、技术与服务供应商格局 55
图表 25： 全球 CGT 临床试验区域及阶段分布（Q3 2026） 57
图表 26： 全球 CGT 研发主体区域及技术路线分布（Q3 2026） 58
图表 27： 全球 CGT 投资金额变化（2025—2026 年 Q3） 59
图表 28： 1H 2026 全球 CGT 活跃状态研发管线的区域及技术路线分布 . 60
图表 29： 1H 2026 全球获批 CGT 产品类别及地区分布 60
图表 30： 全球 SLE CAR-T 临床进展：自体、异体及双靶点多路线并进 63
图表 31： GC101 治疗晚期黑色素瘤的 PFS 及肿瘤缓解结果 67
图表 32： 全球 In vivo CAR 治疗技术平台及研发企业布局 68
图表 33： CARVYKTI 销售增势强劲 73
图表 34： BMS Breyanzi 销售增长 46%，社区门诊持续放量 75
图表 35： Gilead 细胞治疗产品销售承压，Yescarta 前三季度下降 14% 76
图表 36： CASGEVY 体外基因编辑治疗流程 78
图表 37： Orna 与 Kelonia——体内 CAR-T 两种递送路线 80
图表 38： Verve——LNP 递送碱基编辑器，体内关闭 PCSK9 81
图表 39： LUXTURNA 的 AAV 基因治疗机制 82
图表 40： Poseida 异体现货型 CAR-T 技术平台 83
图表 41： FasTCAR 次日制造技术流程 84

图表 42： Ex vs in vivo CAR-T 技术路径与关键特征对比..... 86
图表 43： ALLO-329 异体 CD19/CD70 双靶 CAR-T 构造与作用机制..... 87
图表 44： Iovance 商业化进展与 2026 年业绩指引..... 88
图表 45： Amtagvi 治疗流程 89
图表 46： Sana 通过 HIP 基因工程实现异体细胞免疫逃逸..... 90
图表 47： Miv-cel（KYV-101）全人源 CD19 CAR 结构与机制 92
图表 48： Cabaletta 自免 CAR-T 临床疗效及注册开发里程碑..... 94
图表 49： 全球前沿基因编辑平台技术路线与临床布局 96
图表 50： Umoja VivoVec 平台体内生成 CAR-T 及清除 B 细胞的机制... 97
图表 51： Ionvo-z 通过体内敲除 KLKB1 阻断 HAE 致病通路..... 99
图表 52： Ionvo-z 一次性治疗及门诊给药流程..... 100
图表 53： EDIT-301 通过 Cas12a 调控 γ-珠蛋白基因，恢复胎儿血红蛋白表达 103
图表 54： 中国获批的细胞治疗产品 108

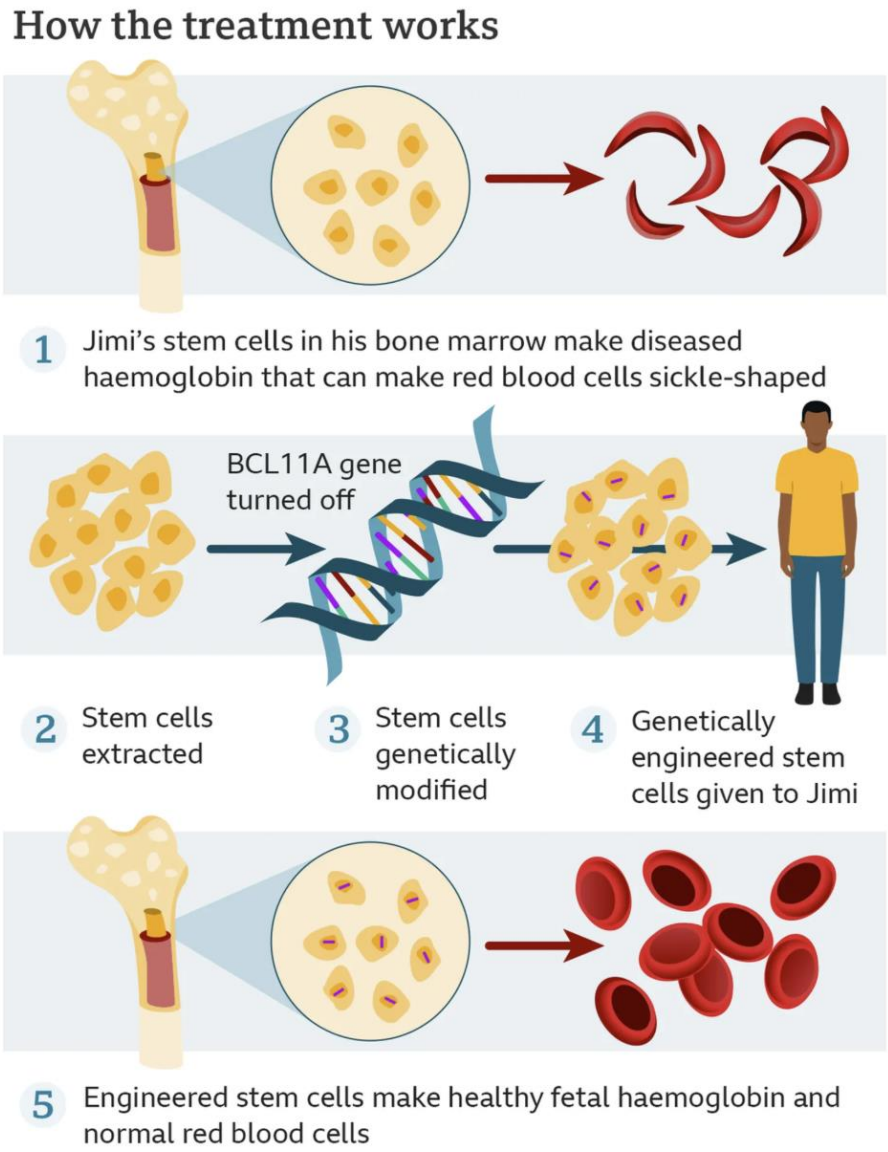
时点：从 Kymriah 到 Casgevy，CGT 迎来新一轮颠覆性突破

商业化：从 CRISPR 基因编辑到实体瘤细胞治疗，CGT 迎来新一轮变革

2017 年，FDA 先后批准诺华 Kymriah 与 Kite Yescarta，工程化 CAR-T 由此进入商业化阶段。此后，CGT 的临床边界持续扩展：2023 年，CRISPR 基因编辑疗法首次获批；2024 年，TIL 与 TCR-T 相继进入实体瘤治疗市场；2026 年，中国企业在实体瘤 CAR-T 领域实现产品获批，TIL 产品推进上市申报，自身免疫病 CAR-T 也开始进入上市申报阶段。CGT 的产业变化已不再局限于单一技术突破，而是体现为治疗疾病范围、细胞工程方式和商业化路径的同步拓展。

- Ex vivo（体外）基因编辑，镰状细胞病：2023 年 12 月 8 日，美国 FDA 批准 Vertex 与 CRISPR Therapeutics 联合开发的 CASGEVY（exagamglogene autotemcel），用于治疗 12 岁及以上、伴有反复血管阻塞危象的镰状细胞病患者。CASGEVY 是 FDA 批准的首款 CRISPR 基因编辑疗法。其通过体外编辑患者自体造血干细胞的 BCL11A 红系特异性增强子，提高胎儿血红蛋白表达，为严重遗传性血液病提供一次性治疗路径。
  - 同日，FDA 还批准 bluebird bio 的 Lyfgenia（lovotibeglogene autotemcel），用于 12 岁及以上、有血管阻塞事件病史的镰状细胞病患者。与 CASGEVY 不同，Lyfgenia 采用慢病毒载体将编码改造 β-珠蛋白的基因导入患者自体造血干细胞，使其表达具有抗镰变作用的 HbA^T87Q，属于体外基因添加疗法，而非基因编辑。两款产品同期获批，分别代表基因添加与 CRISPR 基因编辑两条技术路径在遗传性疾病中的商业化落地。

图表1：Casgevy 治疗过程与机制

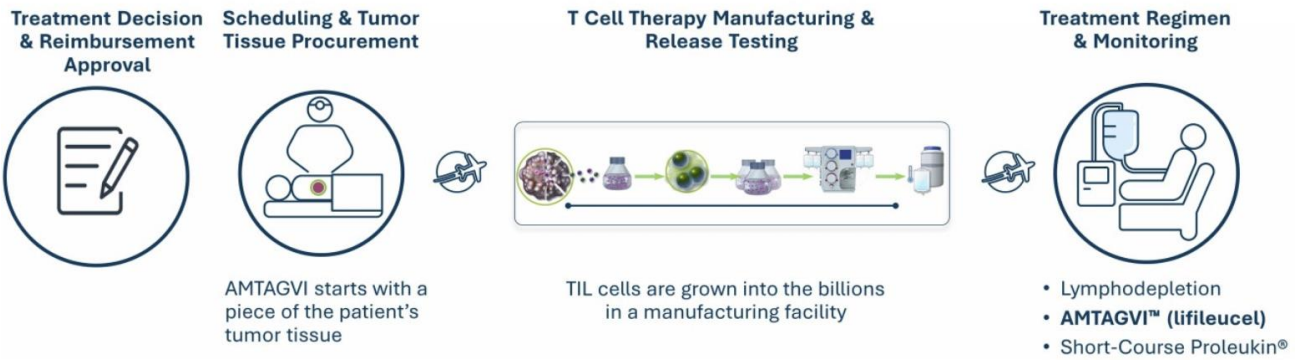


来源：BBC，国金证券研究所

- 如上图所示，BBC 以首批接受 CRISPR 基因编辑治疗并获益的镰状细胞病患者之一 Jimi Olaghere 为例，展示 CASGEVY 的治疗过程：首先采集患者自体造血干细胞，在体外编辑 BCL11A 红系特异性增强子，再将编辑后的细胞回输体内，使其持续产生富含胎儿血红蛋白的红细胞，从而减少红细胞镰变及血管阻塞。该案例有助于直观理解体外基因编辑疗法从细胞采集、编辑到回输的完整流程。

- TIL，晚期黑色素瘤：2024 年 2 月 16 日，美国 FDA 加速批准 Iovance 的 Amtagvi（lifileucel），用于既往接受 PD-1 抗体治疗，且在适用情况下接受靶向治疗后仍进展的不可切除或转移性黑色素瘤成人患者。Amtagvi 是首款获 FDA 批准的 TIL 疗法，也是首款获批用于实体瘤的肿瘤来源细胞治疗产品。与 CAR-T 通过导入人工受体识别特定靶点不同，TIL 利用患者肿瘤组织中已有的肿瘤反应性淋巴细胞，经分离、扩增后回输，为实体瘤细胞治疗提供了另一条路径。

图表2：Amtagvi 治疗过程与机制

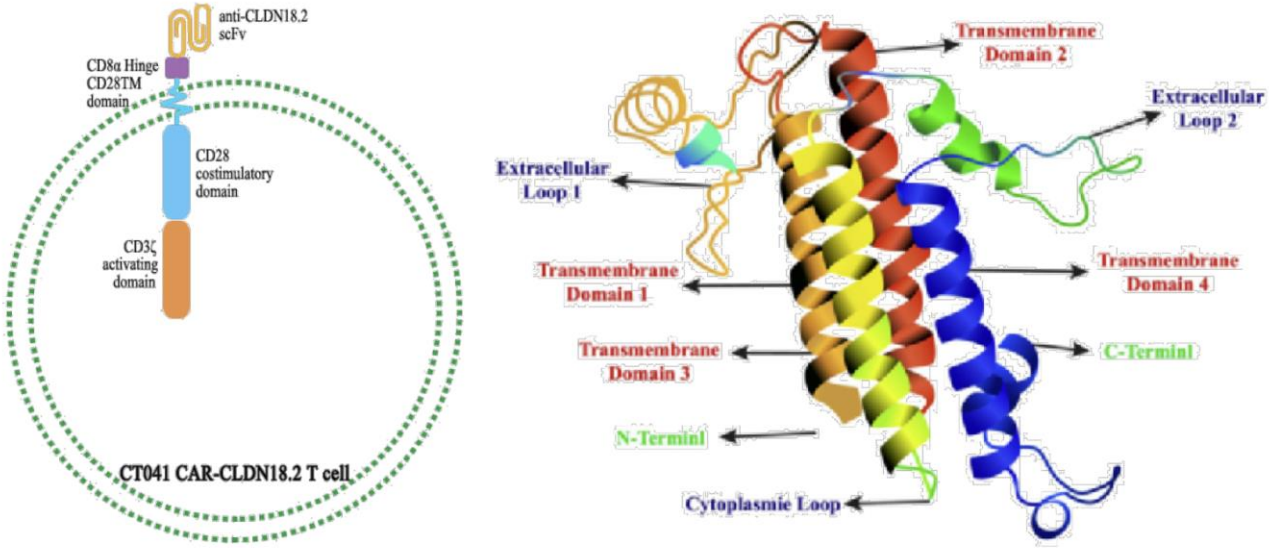


来源：Iovance，国金证券研究所

- **自体 CAR-T，晚期胃癌：**2026 年 6 月 22 日，科济药业宣布其靶向 CLDN18.2 的 Satri-cel（CT041）获国家药监局批准上市，用于至少两线治疗失败的 CLDN18.2 阳性、HER2 阴性晚期胃癌或胃食管结合部腺癌患者。Satri-cel 成为全球首款获批用于实体瘤的 CAR-T 产品，标志着 CAR-T 的临床应用从血液系统肿瘤进一步延伸至实体瘤。
  - 2026 年 10 月 26 日，君赛生物宣布其 TIL 产品诺吉仑赛（GC101）的上市申请获 NMPA 受理，拟用于联合信迪利单抗治疗既往至少两线系统治疗

失败的晚期黑色素瘤患者；10 月 28 日，该产品进一步获得优先审评资格。中国企业正沿实体瘤 CAR-T 与 TIL 两条路线推进细胞治疗的商业转化。

图表3：科济药业 CLDN18.2 CAR-T 疗法 Satri-cel 结构



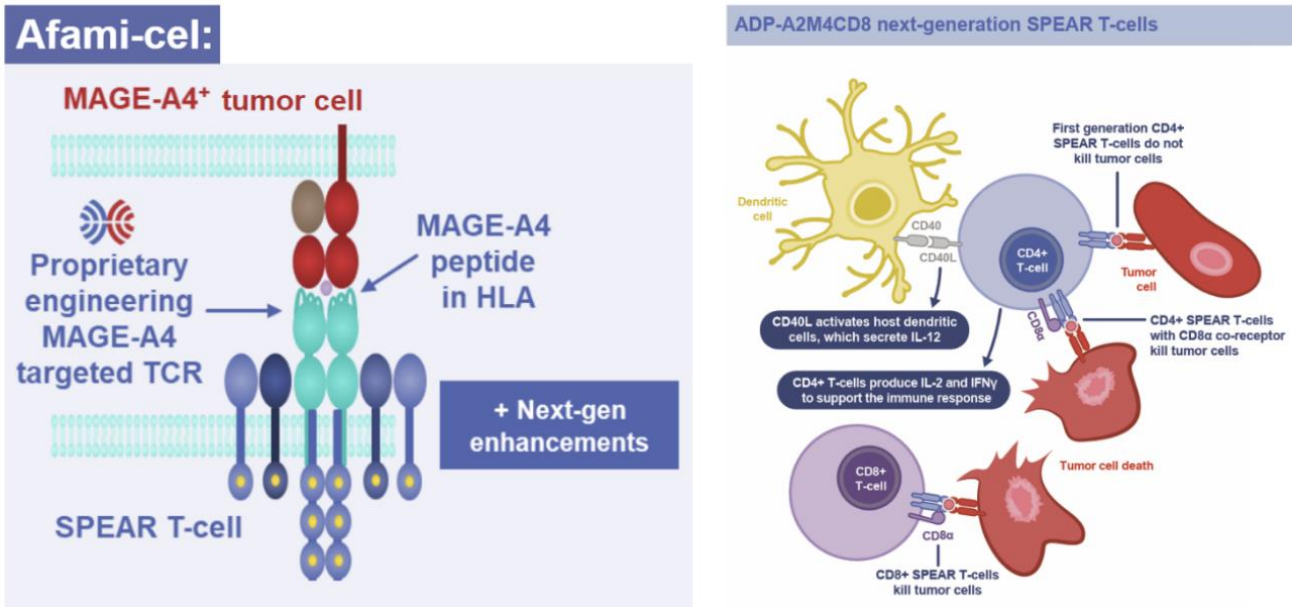
来源：科济药业，国金证券研究所

- 如上图所示，CT041 是一款自体、靶向 CLDN18.2 的 CAR-T 细胞产品。其 CAR 结构由人源化 CLDN18.2 单链抗体可变区（scFv）构成抗原识别端，并依次连接 CD8α 铰链区、CD28 跨膜区、CD28 胞内共刺激信号结构域及 CD3ζ 胞内激活信号区。患者自身 T 细胞经基因工程改造后，可通过 CAR 特异性识别胃癌细胞表面的 CLDN18.2 靶点，激活 T 细胞并发挥抗肿瘤作用。

■ **TCR-T，滑膜肉瘤：**2024 年 8 月 1 日，美国 FDA 加速批准 Adaptimmune 开发的 Afami-cel（Tecelra），用于既往接受化疗的不可切除或转移性滑膜肉瘤成人患者。这是 FDA 批准的首款 TCR-T 疗法，也是首款获 FDA 加速批准、用

于实体瘤的工程化 T 细胞疗法。Afami-cel 通过基因工程改造患者自体 T 细胞，使其表达靶向 MAGE-A4 抗原肽/HLA-A02 复合物的特异性 T 细胞受体，从而识别并杀伤表达相应抗原的肿瘤细胞。2026 年 6 月 17 日，FDA 完全批准 Afami-cel，并将适用年龄扩展至 12 岁及以上，推动 TCR-T 进一步进入实体瘤临床应用。

图表4：Afami-cel 受体结构与下一代 TCR-T 作用机制



来源：Adaptimmune，国金证券研究所

- 如上图所示，Afami-cel 通过基因工程改造患者自体 T 细胞，使其表达经过亲和力优化、靶向 MAGE-A4 抗原肽/HLA-A02 复合物的特异性 TCR（T 细胞受体）。TCR 识别并结合靶细胞表面的抗原肽-HLA 复合物后，激活 T 细胞并介导肿瘤细胞杀伤。下一代 ADP-A2M4CD8 进一步引入 CD8α 共受体，旨在增强 TCR 信号及工程化 T 细胞的抗肿瘤功能，拓展其在实体瘤治疗中的应用潜力。

■ **自体 CAR-T，自身免疫疾病：**2026 年 11 月 12 日，Kyverna Therapeutics

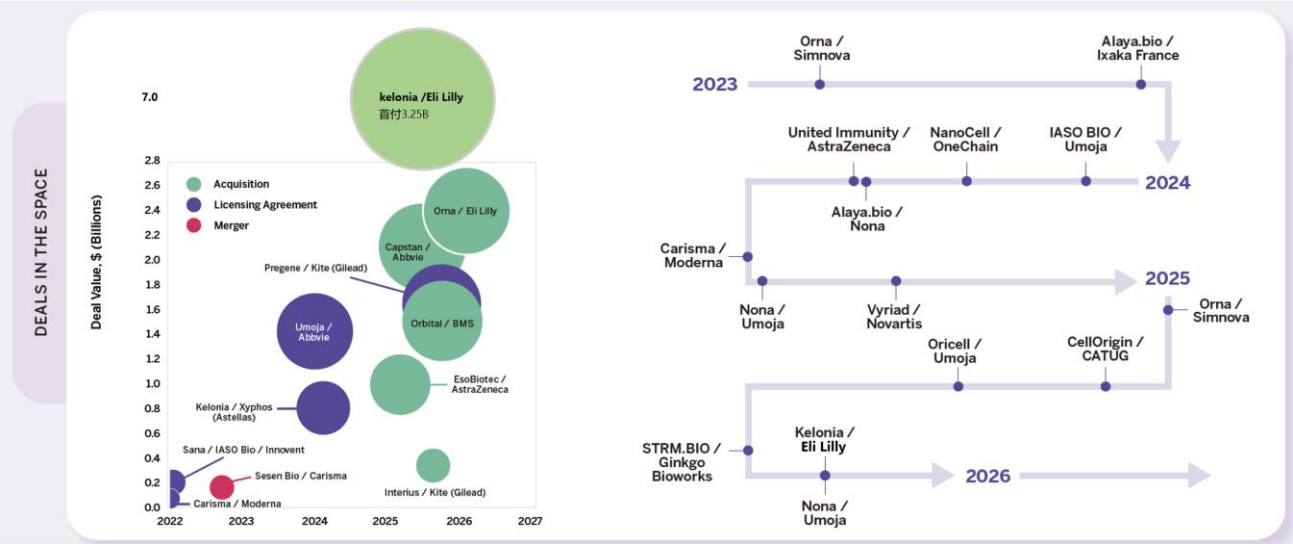
宣布已向美国 FDA 完成 Miv-cel（KYV-101）用于僵人综合征（SPS）的生物制品许可申请（BLA）提交，并申请优先审评。该项目成为首个申报用于自身免疫疾病的 CAR-T 疗法，标志着 CAR-T 的临床开发从血液肿瘤和实体瘤进一步拓展至自身免疫疾病。Miv-cel 采用全人源 CD19 CAR-T 设计，通过清除致病性 B 细胞探索免疫系统重置，为自身免疫疾病提供新的细胞治疗路径。

- 总体来看，CGT 商业化的临床边界正沿三条方向扩展：一是从血液系统肿瘤延伸至实体瘤；二是从基因添加发展至基因编辑及不同形式的细胞工程；三是从肿瘤治疗进一步探索遗传性疾病和自身免疫疾病。上述进展扩大了 CGT 的潜在应用范围，但不同产品仍处于获批、申报或早期临床等不同阶段，其商业价值最终取决于临床获益、制造交付能力、患者可及性及支付体系。

并购：礼来等全球巨头跑步入场，下一代 CGT 平台成为战略争夺焦点

2025 年以来，全球大型制药企业明显加快对下一代细胞与基因治疗平台的收购。BMS(百时美施贵宝)与礼来为代表的药企巨头，冲入 in vivo CAR-T 领域，而吉利德则布局了全新结构的 CAR-T。

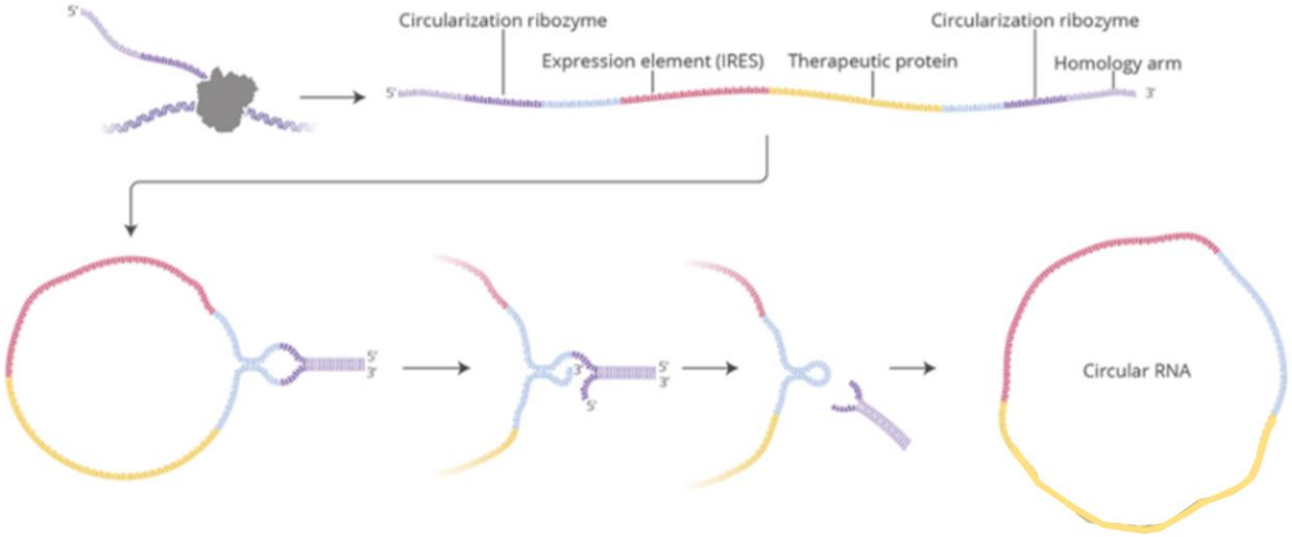
图表5：全球 in vivo CGT 领域并购全景图



来源：Scitaris，国金证券研究所

- **In vivo CAR-T：**2025 年 12 月，BMS 完成对 Orbital Therapeutics 的收购。据 BMS 2025 年 Form 10-K 披露，交易总对价为 17 亿美元，扣除取得现金后净额约 15 亿美元；获得的核心资产为用于自身免疫病研究的临床前体内 CAR-T 项目 OTX-201。
  - 2026 年 2 月 9 日，礼来宣布与 Orna Therapeutics 达成收购协议，交易总额最高 24 亿美元，包含首付款及后续临床开发里程碑付款。Orna 的核心技术为工程化环状 RNA 与新型 LNP 递送平台，先导项目 ORN-252 为面向 B 细胞驱动自身免疫病的 CD19 体内 CAR-T。礼来 2026 年第二季度业绩公告确认，Orna 收购已于该季度完成。

图表6：环状 RNA 的分子结构与合成方式



来源：动脉网，Orna，国金证券研究所

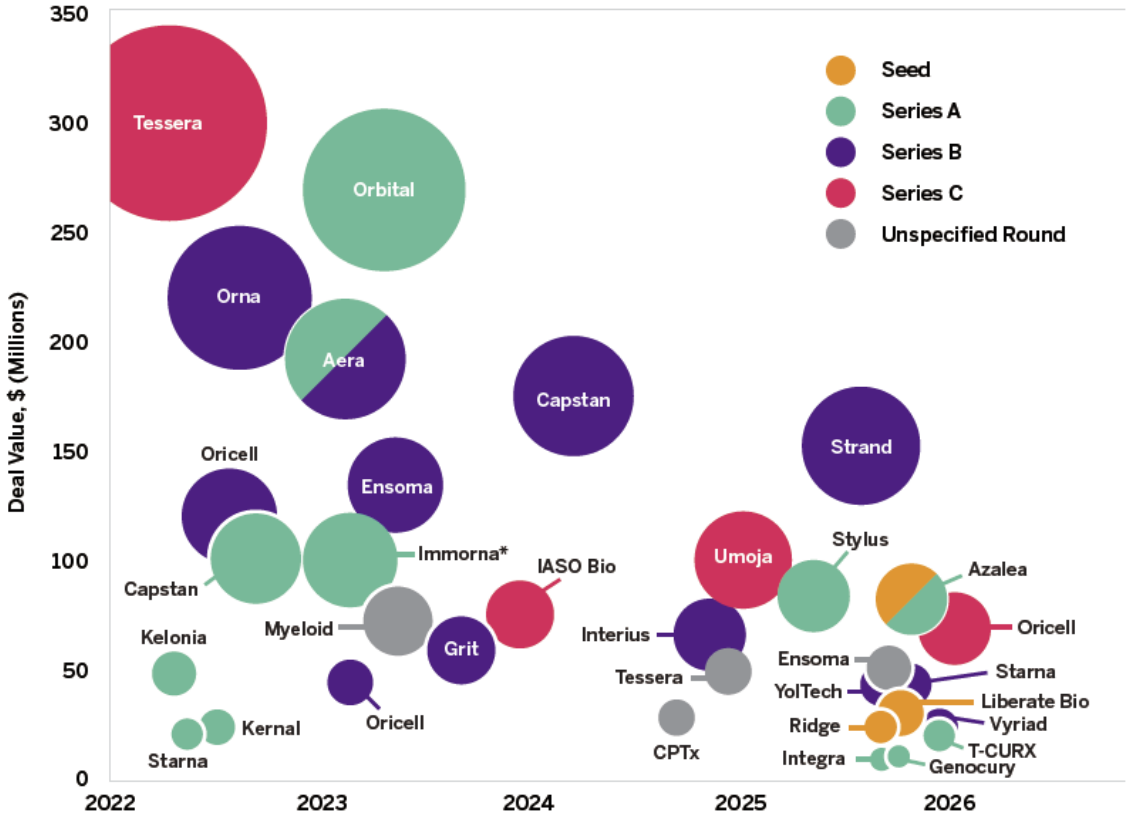
- 如上图所示，Orna 开发的 oRNA 是一种经过工程化设计的环状 RNA，通过自剪接形成闭合环状结构，不依赖传统线性 mRNA 的 5'帽结构和 3' poly(A)尾，而是利用内部核糖体进入位点（IRES）启动蛋白质翻译。与脂质纳米颗粒（LNP）递送技术结合后，oRNA 可在体内进入目标细胞并驱动治疗性蛋白表达，为直接在患者体内生成 CAR-T 细胞提供新的基因递送路径。

- 2026 年 4 月 20 日，礼来宣布收购 Kelonia Therapeutics，交易总额最高 70 亿美元，其中首付款 32.5 亿美元，其余为临床、监管及商业里程碑付款。Kelonia 的 iGPS 平台采用工程化慢病毒颗粒，在患者体内选择性递送 CAR 遗传信息；其先导项目 KLN-1010 已进入复发难治性多发性骨髓瘤 I 期研究。礼来 2026 年第二季度业绩公告确认，该收购已于当季完成。该交易与 Orna 的环状 RNA-LNP 路线不同，体现礼来同时配置非病毒

RNA 递送与整合型病毒递送平台。

- 与此同时，吉利德于 2026 年 2 月 23 日宣布收购 Arcellx，并于 4 月 28 日完成交易。交易对价为每股 115 美元现金，另附每股 5 美元或有价值权（CVR），隐含股权价值约 78 亿美元；CVR 支付条件与 anito-cel 自上市至 2029 年底累计全球净销售额达到 60 亿美元挂钩。收购使吉利德取得 anito-cel 完整权益，消除后续利润分成、里程碑及特许权使用费安排。吉利德旗下 Kite 此前于 2025 年 8 月宣布以 3.5 亿美元收购 Interius，补充整合型体内 CAR 平台。
- 2025 年 12 月，Kelonia 的 KLN-1010 研究入选 ASH 年会全体大会报告；2026 年 ASCO 公布的 inMMyCAR I 期研究更新摘要显示，6 名接受治疗的复发难治性多发性骨髓瘤患者均在早期评估时点达到 MRD 阴性，最长随访为 6 个月以上，其中 1 名患者达到严格完全缓解并持续 MRD 阴性至第 6 个月。该结果支持体内递送 BCMA CAR 并产生早期药效信号的可行性，但样本量仅 6 例、随访时间短，不能表述为 18 例患者均获客观缓解，也不足以证明长期疗效。
- 业内不仅龙头药企对 CGT 赛道频频出手，VC 也达成诸多融资交易。

图表7：全球 in vivo CGT 领域 VC 融资全景图



来源：Scitaris，国金证券研究所

■ 此轮并购的核心是全球制药龙头对未来颠覆性新技术的布局覆盖。 对拥有长期产品组合和全球商业化网络的大型药企而言，技术尚未完全成熟并不妨碍战略布局；一旦下一代 CGT 技术改变现有治疗与制造模式，关键平台的所有权可能直接影响其未来竞争地位。礼来连续收购不同递送平台、吉利德强化 CAR-T 资产控制权，反映出产业资本已经在为下一轮技术竞争提前配置资源。

技术：In vivo 路径、单碱基基因编辑、自免 SLE 初露头角

目前，全球 CGT 技术进入新一轮加速迭代，技术突破、临床获益与市场空间同步扩展。 核心看点有三：①技术：细胞治疗从体外制造向体内直接生成发展，

基因编辑从 DNA 双链切割走向单碱基精准改写，细胞治疗的适应症则从血液瘤向实体瘤及自身免疫疾病跨越。②临床：In vivo CAR-T、体内基因编辑及自免 CAR-T 相继出现人体临床验证，部分实体瘤细胞治疗产品已获批上市。③空间：治疗范围从少数血液肿瘤拓展至患者基数更大的实体瘤、遗传性疾病及数亿体量的自免患者群体，CGT 正从单一技术突破走向多技术路线并行、临床应用扩展与商业化空间提升的新阶段。

突破 1，CAR-T 从体外制备跨入体内制药：In vivo CAR-T 在人体临床中初见成效已非个例，交付周期更短、预处理更少、门诊化治疗有望实现。传统自体 CAR-T 需要依次完成患者 T 细胞采集、体外基因改造、细胞扩增、质量检测及回输，整个流程通常需要数周，并依赖专属生产能力和淋巴清除预处理。In vivo CAR-T 则尝试将编码 CAR 的遗传物质直接递送至患者体内的免疫细胞，使其在人体内完成基因改造和 CAR 表达。这意味着细胞治疗的生产方式，开始从患者专属的体外制造转向有望标准化、规模化的体内细胞工程。

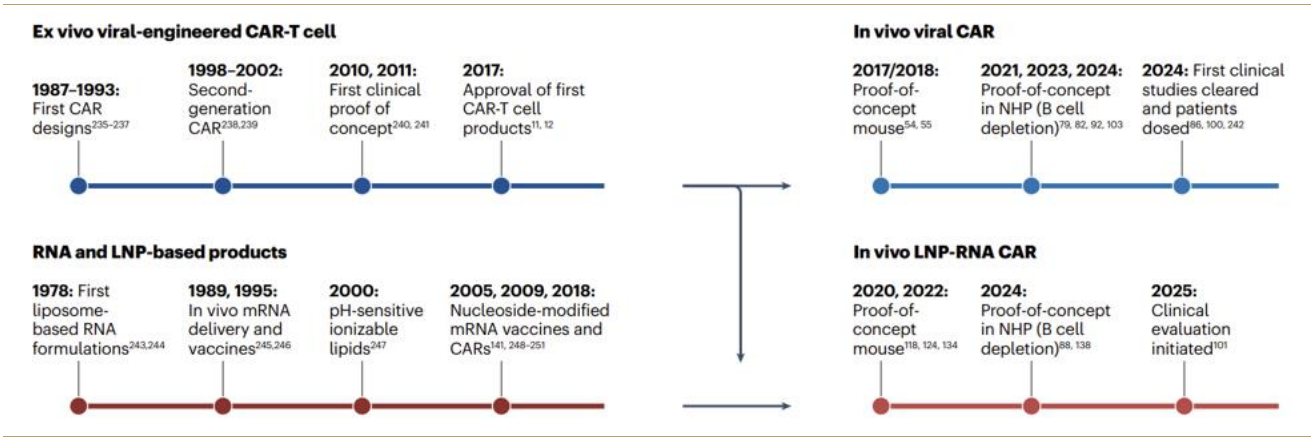
图表8：体外 CAR（Ex vivo）vs 体内 CAR（In vivo）对比

特征	体外 CAR（Ex vivo）	体内 CAR（In vivo）
工程方法	自体或异体免疫细胞经采集、体外基因改造、扩增后回输至患者体内	编码 CAR 的遗传物质通过多种载体直接递送至体内内源性免疫细胞
免疫细胞类型	已获批资产主要靶向 T 细胞，其他免疫细胞也在探索中	主要为 T 细胞，但也包含其他免疫细胞和泛 CAR 方法
载体类型	以整合型病毒载体为主（如慢病毒或逆转录病毒）	主要为 LNP（已去肝靶向）或主要靶向 T 细胞的病毒载体（整合型或非整合型）
载荷类型	以 DNA 为主	DNA 与 RNA 兼有，后者日益流行
预处理需求	需要淋巴细胞清除化疗以实现 CAR 的扩增与持久性	无需预处理；原有免疫细胞被原位靶向
起效时间	起效延迟（2–4 周），归因于生产与扩增周期	CAR 表达可在输注后 1–3 天内出现
药代动力学与持久性	CAR 长期表达；持久性取决于载体类型与免疫细胞表型	瞬时或长期；或可通过重复给药调节
疗效特征	在血液肿瘤中疗效强劲；自身免疫病中已有早期应答	仅有少数患者的早期数据；与离体 CAR 相比尚不明确
安全性特征	有 CRS、ICANS、长期 B 细胞发育不全、感染及血液学毒性风险	早期数据提示毒性降低；长期安全性仍在研究中
生产与可扩展性	生产复杂、个体化，可扩展性有限	即用型、无细胞生产；可扩展性更高、可及性更广、成本更低
临床成熟度	已获批用于血液恶性肿瘤；自身免疫病（如 SLE、RA）中处于早期试验	处于早期临床开发；已在肿瘤学和自身免疫病启动首人体试验
战略定位	高效力、具治愈潜力，适用于难治性疾病；受物流与毒性限制	有望用于门诊治疗、更早线干预及更广泛患者群体

来源：Scitaris，国金证券研究所

- 下图展示了 CAR-T 从体外细胞工程向体内直接生成的技术演进历程。体外病毒载体 CAR-T 经过多年发展，已于 2017 年实现首批产品获批；与此同时，In vivo CAR 逐步形成病毒载体和 LNP-RNA 两条递送路线，分别于 2017—2018 年及 2020—2022 年完成动物实验概念验证，并在 2024 年进入人体临床研究，LNP-RNA 路线也于 2025 年启动临床评价。这表明 In vivo CAR-T 已从早期技术探索迈入人体临床转化阶段，递送载体和技术路线呈现多元化发展。

图表9：全球 In vivo CAR 技术发展历程及临床转化进展



来源：Nature，国金证券研究所

■ 人体临床初步验证：2025 到 2026 年，In vivo CAR-T 开始出现值得关注的人体临床结果。其中，Kelonia 的 KLN-1010 和 ESO-T01 分别采用不同递送技术，为体内生成 CAR-T 提供了早期临床证据。

- 2025 年 12 月，KLN-1010 入选 ASH 年会报告。 该项目采用慢病毒载体递送抗 BCMA CAR，直接在患者体内生成 CAR-T，用于复发难治性多发性骨髓瘤。
- 2026 年 3 月，EsoBiotec（现阿斯利康旗下）的 ESO-T01 公布一期临床数据。5 例复发难治性多发性骨髓瘤患者接受一次静脉输注后，4 例获得客观缓解，其中 3 例达到严格完全缓解，4 例缓解患者均在第 60 天实现 MRD 阴性。10 月更新的长期随访显示，4 例早期缓解患者中，1 例维持严格完全缓解达 15 个月，另 3 例出现复发或进展，中位无进展生存期为 4 个月。
- 2026 年 6 月，Kelonia 公布 KLN-1010 一期临床更新数据。18 例复发难治性多发性骨髓瘤患者全部获得客观缓解，14 例可评估患者全部达到骨

髓 MRD（微小残留病）阴性；患者从签署知情同意到接受输注的中位时间为 13.5 天。KLN-1010 通过工程化慢病毒载体直接在患者体内生成 BCMA CAR-T 细胞，无需传统自体 CAR-T 的细胞采集、体外改造扩增及清淋化疗。

- 2026 年 10 月 6 日，ESO-T01 公布长期随访。 最长随访达到 15 个月，但 4 名患者中仅 1 名维持严格完全缓解 15 个月，其余 3 名发生复发或进展，中位无进展生存期为 4.0 个月。研究也观察到部分患者在 CAR-T 细胞不可检测后出现疾病进展。
- 2026 年 10 月 15 日，传奇生物宣布其 CD19/CD20 双靶点体内 CAR-T 产品 LB2501 获得美国 FDA 的 IND（新药临床试验申请）许可；11 月 4 日，公司进一步确认，该项目的人体临床更新将于 12 月 ASH 年会展示。由此，In vivo CAR-T 已从少数早期研发企业的技术探索，扩展到拥有成熟 CAR-T 商业化经验的企业同步参与。

■ 从 ex vivo 到 in vivo，相较于传统体外制备，体内 CAR-T 有三大优势。

- 缩短治疗交付周期。省去患者单采、体外细胞改造、扩增及质量放行等环节，减少个体化生产等待时间，降低患者在治疗准备期间因疾病进展而失去治疗机会的风险。KLN-1010 从知情同意到输注的中位时间仅 13.5 天，已显示出交付效率的改善。
- 减少预处理及治疗负担。有望免除传统 CAR-T 治疗前的清淋化疗，减少免疫抑制、感染及血液学毒性，尤其有利于向自身免疫疾病等更广泛患者群体拓展。

- 改变生产与商业化模式。从逐位患者制造治疗性细胞，转向批量生产标准化基因递送制剂，有望降低对专属细胞工厂、复杂物流和个体化生产体系的依赖，推动细胞治疗向现货化、规模化交付发展。

■ 我们认为，In vivo CAR-T 的技术突破已经从递送概念进入人体临床验证阶段，但疗效持久性仍是决定其能否真正替代或补充传统 CAR-T 的核心问题。现阶段，KLN-1010 的初步数据显示较强的早期活性；而 ESO-T01 的长期随访则提示，In vivo CAR-T 不仅需要实现有效的体内细胞生成，还必须解决细胞长期存续及持续功能维持两大问题。未来竞争的重点将从能否把 CAR 递送进人体，进一步转向能否精准改造目标细胞、实现足够的体内扩增，并维持长期功能。

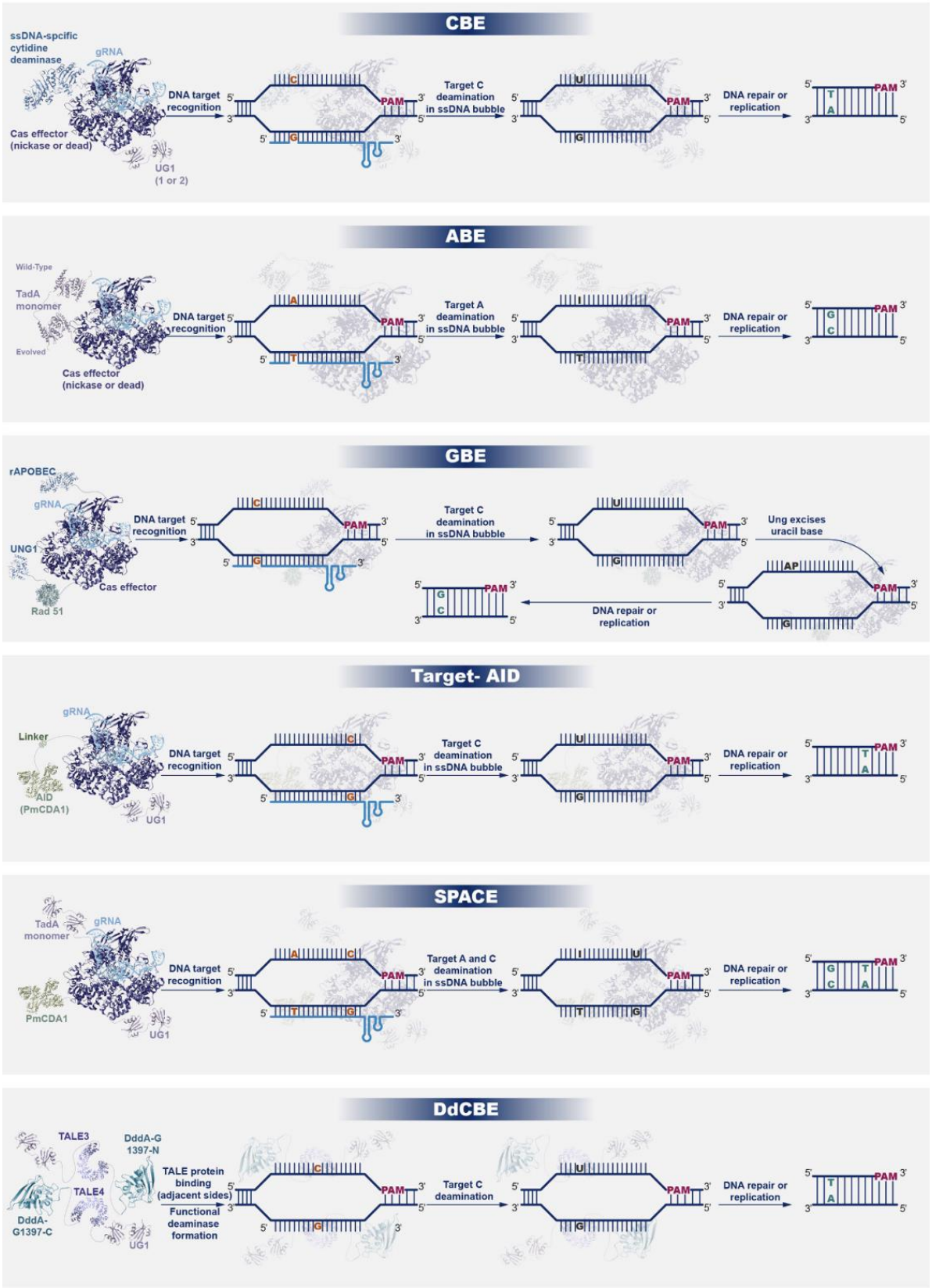
突破 2，基因编辑从 DNA 双链切割走向单碱基精准改写：基因编辑正在发生两项重要突破：一是从传统 CRISPR-Cas9 依赖 DNA 双链断裂，发展至碱基编辑等更精准的基因改写技术；二是从体外采集细胞、编辑后回输，向直接在人体内递送编辑工具、完成目标组织基因编辑拓展。两条技术路线均已获得人体临床初步验证，包括碱基编辑治疗遗传病、体内编辑 PCSK9 降低 LDL-C 等。其核心价值在于：提高编辑精准度、突破体外细胞编辑的组织限制，并有望通过一次给药实现长期甚至永久的治疗效果。

1）DNA 双链切割到单碱基精准改写，基因编辑从基因敲除拓展至致病突变的纠正。传统 CRISPR-Cas9 主要通过在目标 DNA 位置制造双链断裂，再依靠细胞自身的 DNA 修复机制完成基因敲除或序列修改。但 DNA 断裂后的修复结果具有一定随机性，可能产生非预期插入、缺失及染色体结构改变。2016 年，CBE（胞嘧啶碱基编辑）技术问世，通过将脱氨酶与经过改造的 Cas 蛋白结合，在不主动

制造 DNA 双链断裂的情况下，直接改变特定碱基，实现更加精准的基因改写。2017 年，ABE（腺嘌呤碱基编辑器）问世，使可编辑范围从 C·G（胞嘧啶·鸟嘌呤）到 T·A（胸腺嘧啶·腺嘌呤）的转换，扩展至 A·T 到 G·C 的转换。基因编辑由此从主要依赖 DNA 切割和修复，向直接进行碱基化学改写发展。

- 下图展示了目前 DNA 碱基编辑的六种主要技术平台，通过不同的编辑酶及靶向机制，拓展了可编辑的碱基类型和基因组范围。①CBE，通过胞嘧啶脱氨酶实现 C 到 T 转换。②ABE：通过经过进化改造的 TadA 实现 A 到 G 转换。③GBE：通过引入糖基化酶结构域，实现 C 到 G 转换。④Target-AID：利用 PmCDA1 实现靶向胞嘧啶脱氨。⑤SPACE：结合不同脱氨酶活性，实现 A 和 C 两类碱基编辑。⑥DdCBE：利用分体式 DddA 毒素与 TALE 阵列，实现线粒体 DNA 编辑。

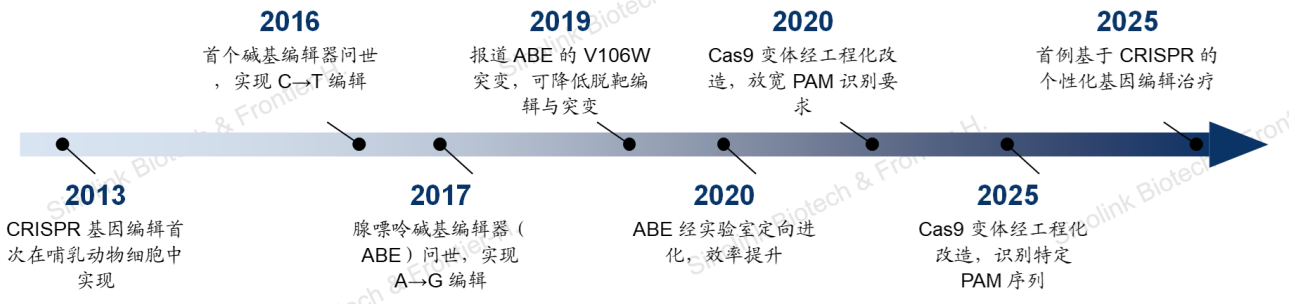
图表10：全球DNA碱基编辑的六种主要技术平台



来源：NCBI，Cell Genomics，国金证券研究所

■ 临床验证：BEAM-101 和 CS-101 验证了体外碱基编辑通过改造造血干细胞治疗遗传性血液病的临床价值。VERVE-102 和 YOLT-101 则进一步验证了体内碱基编辑可直接改写肝细胞基因、持续降低 LDL-C，标志着碱基编辑正从体外细胞工程向体内精准基因治疗拓展。

图表 11：碱基编辑从实验室走向临床的技术发展时间线

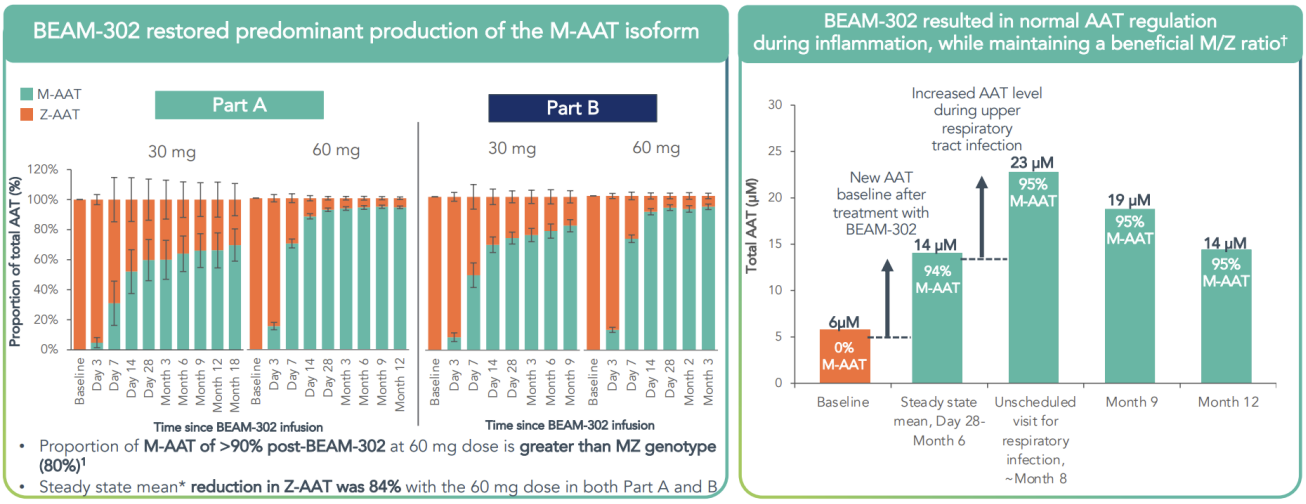


来源：Addgene，国金证券研究所

- BEAM-101：镰状细胞病，体外碱基编辑造血干细胞。Beam Therapeutics 的 BEAM-101（现名 risto-cel）采用腺嘌呤碱基编辑技术，对患者自体造血干细胞 HBG1/HBG2 基因启动子进行编辑，解除 BCL11A 对胎儿血红蛋白表达的抑制，从而提高胎儿血红蛋白（HbF）水平。BEACON I/II 期临床研究中，截至 2025 年 8 月 6 日数据截止日，共 31 名患者接受治疗，平均随访 6.6 个月。治疗后 6 个月，外周血目标位点平均编辑率为 67.4%；13 名可评估患者的 HbF 占总血红蛋白比例超过 60%，HbS 低于 40%，且移植植入后未报告严重血管阻塞危象。2026 年 11 月 10 日，公司进一步公布关键临床结果：截至 2026 年 10 月 20 日，共 49 名成人及青少年患者接受治疗，其中 31 名达到主要终点要求的随访时间，独立评估确认主要疗效终点达成，即连续至少 12 个月未发生严重血管阻塞危象。

- 如下图所示，BEAM-302 通过体内碱基编辑修复 SERPINA1 致病突变，使患者从主要产生异常 Z-AAT 蛋白转向产生正常功能性 M-AAT 蛋白。60mg 剂量组中，M-AAT 占比超过 90%，Z-AAT 平均下降 84%。右图显示，患者基线 AAT 水平仅 6μM，治疗后稳态水平升至 14μM，超过 11μM 的保护阈值；随访第 12 个月仍维持 14μM，其中 95%为正常 M-AAT。该结果初步验证了体内单碱基编辑能够持续纠正致病突变、恢复正常蛋白表达。

图表 12：BEAM-302 体内碱基编辑修复致病突变，恢复正常 AAT 蛋白表达



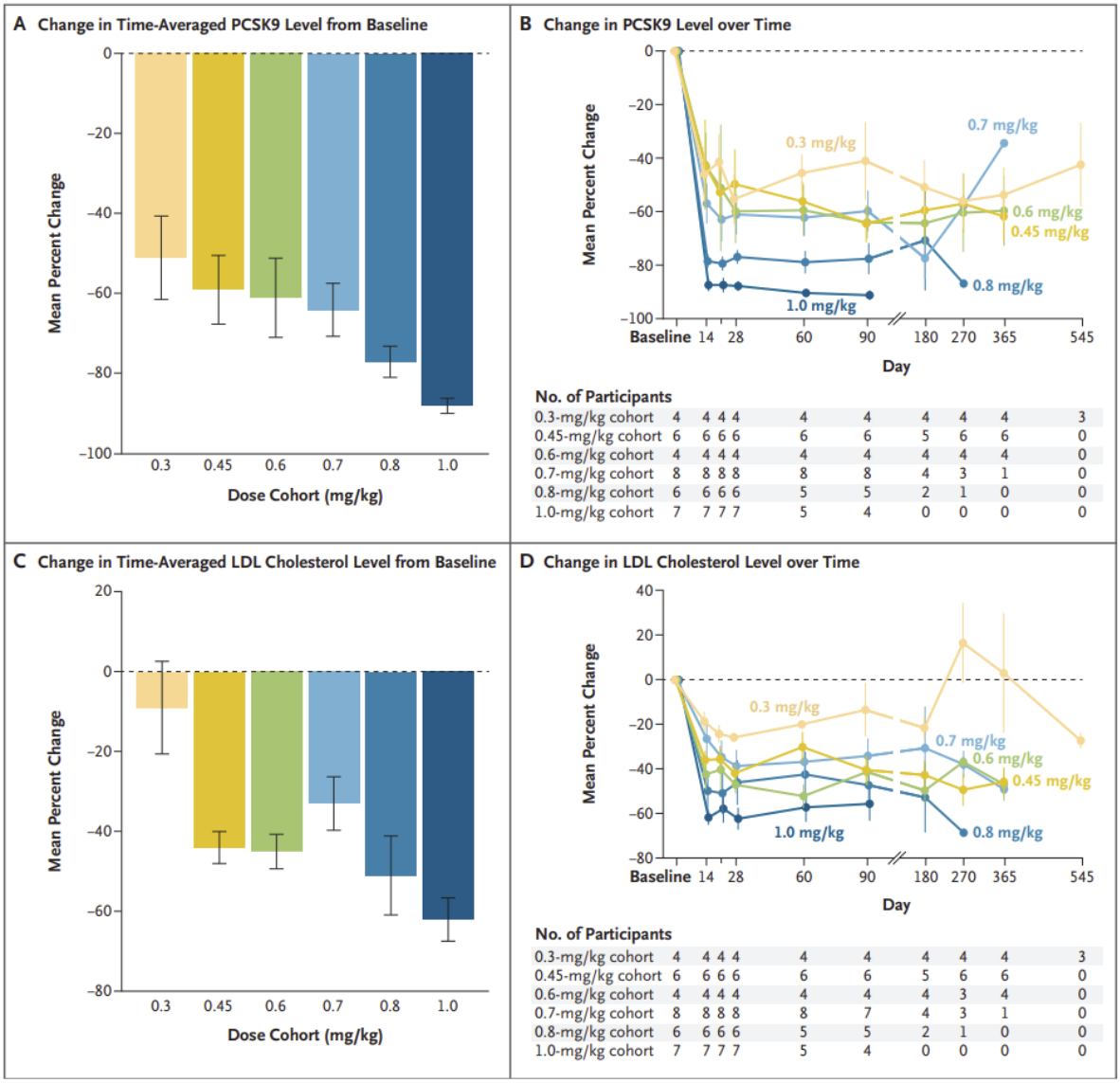
来源：Beam，国金证券研究所

- CS-101：β 地中海贫血，体外碱基编辑造血干细胞。CorrectSequence 的 CS-101 采用 Transformer Base Editor 对患者自体 CD34+造血干细胞进行编辑，靶向 HBG1/HBG2 启动子中 BCL11A 的结合区域，重新激活胎儿血红蛋白表达。在 I 期临床研究中，5 名患者接受治疗，中位随访时间为 23 个月；全部患者实现红细胞输血独立，末次输血中位时间为回输后 18 天。治疗后 3 个月，患者平均总血红蛋白达到 12.4 g/dL，胎儿血红蛋白达到

11.5 g/dL，且在后续随访中维持相近或更高水平。研究期间未报告死亡或肿瘤发生，显示体外碱基编辑有望通过重新激活胎儿血红蛋白，实现对β地中海贫血的长期疾病控制。

- VERVE-102：体内碱基编辑，直接在肝脏实现基因改写。体内碱基编辑已从罕见遗传病拓展至心血管代谢疾病，Verve 和 YolTech 分别通过 LNP 递送腺嘌呤碱基编辑器，直接编辑肝细胞中的 PCSK9 基因，降低 PCSK9 蛋白及低密度脂蛋白胆固醇（LDL-C）。Verve 的 VERVE-102 I 期研究中，35 名患者接受单次静脉输注，最高剂量组 PCSK9 平均下降 88%、LDL-C 平均下降 62%；15 名患者随访至少一年，相关指标持续下降。YolTech 的 YOLT-101 I 期研究中，6 名患者接受单次给药，最高剂量组 3 名患者在 24 周时 PCSK9 平均下降 74.4%、LDL-C 平均下降 52.3%。两项研究均初步验证了通过一次体内碱基编辑实现持续降低 PCSK9 及 LDL-C 的可行性，为基因编辑从罕见遗传病向更广泛的心血管疾病拓展提供了人体临床证据。

图表13：VERVE-102 体内碱基编辑 PCSK9，单次给药实现 LDL-C 持续下降



来源：NEJM，国金证券研究所

- 如上图所示，体内碱基编辑已在人体中实现致病突变纠正和靶蛋白持续调控。Beam 的 BEAM-302 通过修复 SERPINA1 基因，使正常功能性 M-AAT 蛋白占比超过 90%，突变型 Z-AAT 下降约 84%；礼来旗下 Verve 的 VERVE-102 则呈现明确的剂量效应，最高剂量组 PCSK9 平均下降 88%、LDL-C 下降 62%，部分患者随访超过一年仍维持降幅。两项研究分别验证了体内碱基编辑恢复正常蛋白功能与持续降低致病风险因子的临床

可行性。

图表14：全球代表性碱基编辑临床项目及结果比较

公司	产品	适应症	编辑方式	临床数据
Beam Therapeutics	risto-cel（BEAM-101）	镰状细胞病	Ex vivo ABE	2025年公布31例患者数据，HbF超过60%，HbS低于40%，相关改善最长持续20个月；2026年11月公布关键研究达到主要疗效终点，至少连续12个月无严重血管阻塞危象
CorrectSequence	CS-101	输血依赖型β地中海贫血	Ex vivo Transformer Base Editor	5例患者，中位随访23个月，全部实现输血独立；输注后3个月平均总血红蛋白12.4 g/dL，HbF 11.5 g/dL
Beam Therapeutics	BEAM-302	α-1抗胰蛋白酶缺乏症（AATD）	In vivo ABE	60 mg剂量组总AAT平均水平16.1 μM，超过11 μM保护阈值；校正型M-AAT占总AAT的94%，突变型Z-AAT下降84%，随访最长12个月
Verve Therapeutics（礼来旗下）	VERVE-102	杂合子型家族性高胆固醇血症、早发冠心病	In vivo ABE	35例患者接受单次给药；最高剂量组PCSK9平均下降88%，LDL-C平均下降62%；15名患者随访至少1年，相关指标持续下降
YolTech	YOLT-101	杂合子型家族性高胆固醇血症	In vivo ABE	6例患者接受单次给药；最高剂量组（n=3）24周时PCSK9持续下降74.4%，LDL-C下降52.3%

来源：Nature，国金证券研究所

- 三大看点：①碱基编辑通过减少 DNA 双链断裂、实现致病突变精准纠正，②拓展可编辑基因与适应症范围，③推动基因治疗从基因功能敲除走向遗传信息的精准修复。
  - 提高编辑精准度，降低 DNA 双链断裂相关风险。 碱基编辑不需要主动制造 DNA 双链断裂，有望减少传统核酸酶编辑引起的非预期插入、缺失及染色体重排风险，提高基因改写的安全性。但仍需评估脱靶编辑和旁观者编辑等问题。

- 从基因敲除走向致病突变纠正。 传统 CRISPR-Cas9 主要用于破坏或关闭特定基因，而碱基编辑能够直接改变特定核苷酸，为纠正单碱基致病突变提供新的技术手段，使基因治疗从改变基因功能进一步走向修复致病遗传信息。
- 拓展可治疗疾病范围。 大量遗传性疾病与单核苷酸变异有关，碱基编辑有望覆盖更多遗传性疾病，并进一步应用于肿瘤免疫细胞工程和心血管疾病等领域。

2）从体外到体内直接编辑，基因治疗突破细胞采集与制造限制。传统基因编辑治疗主要采用 Ex vivo（体外）模式，即先从患者体内采集目标细胞，在体外完成基因编辑、质量检测和扩增，再将编辑后的细胞回输患者。这一模式已经在造血干细胞和免疫细胞治疗中取得临床进展，但其应用范围受到细胞能否采集、培养和回输的限制。随着 LNP（脂质纳米颗粒）和组织靶向递送技术进步，基因编辑工具开始能够直接进入人体目标组织，在体内完成基因编辑。递送对象也从可采集的造血干细胞，进一步拓展至肝脏等不适合体外采集和回输的组织细胞。

■ 临床验证：从以下三个案例可以看到，研究者已经实现了单碱基编辑在体内纠正错误基因而恢复正常蛋白表达或减少有害蛋白表达，在遗传学代谢病以及心血管代谢病中初见成效。

- 2025 年 5 月，NEJM（新英格兰医学杂志）发表个体化体内基因编辑治疗 CPS1 缺乏症新生儿的研究。研究团队利用 LNP 递送定制化碱基编辑工具，患儿在约 7 个月和 8 个月大时分别接受一次输注。首次治疗后 7 周

内，患儿能够增加膳食蛋白摄入，并将氮清除剂药物剂量降低至初始剂量的一半，初步显示体内碱基编辑有望直接纠正遗传性代谢疾病的致病突变。由于随访时间较短，长期疗效和安全性仍需观察。

- Beam Therapeutics 的 BEAM-302 采用肝脏靶向 LNP 递送 ABE，直接纠正 α-1 抗胰蛋白酶缺乏症（AATD）的 PiZ 致病突变。2025 年 3 月公布的早期临床数据中，60mg 剂量组 3 名患者在单次给药后 28 天，平均总 AAT 水平达到 12.4μM，超过 11μM 的保护性阈值，突变型 Z-AAT 最高下降 78%，初步证明体内碱基编辑能够实现人体致病突变纠正。
- Verve Therapeutics 的 VERVE-102 采用 LNP 递送腺嘌呤碱基编辑器，直接在肝脏编辑 PCSK9 基因，降低 PCSK9 蛋白及 LDL-C。2026 年发表于 NEJM 的 I 期研究中，35 名受试者接受单次静脉输注；在最高剂量组，PCSK9 平均下降 88%，LDL-C 平均下降 62%，其中 15 名受试者随访至少一年，相关指标仍显示持续下降。该研究为体内基因编辑从罕见遗传病向常见心血管疾病拓展提供了重要人体证据。

■ 重要看点：①减少体外制造环节，降低治疗复杂度。 无需采集患者细胞、进行体外编辑和回输，有望减少个体化细胞生产及清髓预处理等环节，简化治疗流程。②突破可编辑细胞和组织限制，扩大适应症范围。 通过 LNP、AAV 等递送载体，有望直接编辑肝脏、肌肉、神经系统等目标组织，突破传统体外编辑主要局限于可采集细胞的限制。③有望实现一次给药、长期甚至永久获益。 基因编辑直接改变目标细胞的 DNA 序列，若编辑效率足够、目标细胞能够长期存续并持续发挥功能，有望通过一次或少数几次给药实现长期疾病控制，甚至从遗传根源改变疾病进程。

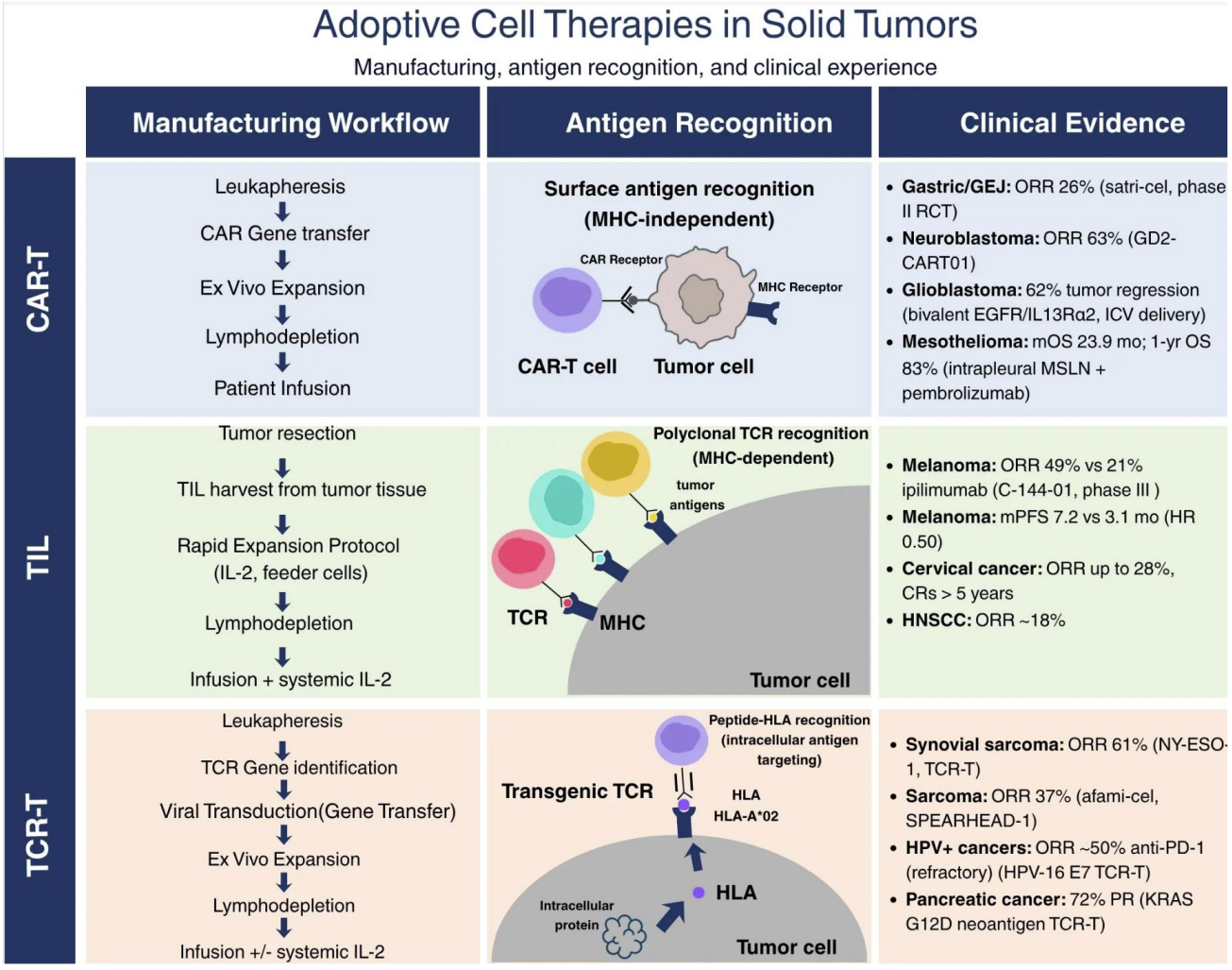
- 我们认为，基因编辑的突破不仅是编辑工具本身从 DNA 切割走向精准改写，更在于递送方式从体外细胞工程走向人体内直接编辑。前者提高了基因改写的精准度，使治疗从基因敲除拓展至致病突变纠正；后者突破了细胞采集和体外制造的限制，使基因编辑有机会覆盖更多组织和疾病。两项技术进步叠加，有望推动基因治疗从局部细胞改造走向直接修复人体遗传信息，并从少数罕见遗传病向更广泛的代谢性、心血管及其他疾病拓展。

突破 3，细胞治疗从血液瘤向实体瘤及自免跨越，市场空间飙升：随着靶点识别、细胞工程和免疫调控技术进步，细胞治疗正在发生两次重要的适应症跨越：一是从血液系统恶性肿瘤向实体瘤拓展，CAR-T、TIL 和 TCR-T 等技术相继在实体瘤中取得临床突破，使细胞治疗覆盖的肿瘤患者群体扩大至原来的十数倍。二是从肿瘤治疗进一步进入进入重度 SLE（系统性红斑狼疮）等自身免疫疾病领域，通过清除致病性免疫细胞、重塑免疫系统，探索慢性自身免疫疾病的长期缓解，使细胞治疗跨入数亿患者规模的慢病领域。

- 下图对比了 CAR-T、TIL 和 TCR-T 三种主要实体瘤细胞治疗技术，分别从生产流程、抗原识别机制及临床验证三个维度进行展示。CAR-T 通过基因工程改造患者 T 细胞，使其表达嵌合抗原受体，直接识别肿瘤细胞表面抗原，不依赖 MHC（主要组织相容性复合体）呈递；TIL 通过切除肿瘤组织、分离并扩增肿瘤浸润淋巴细胞，利用多克隆 T 细胞受体识别肿瘤抗原；TCR-T 则通过基因工程改造 T 细胞，使其表达特异性 T 细胞受体，识别由 HLA（人类白细胞抗原）呈递的细胞内肿瘤抗原肽。图中同时列示了三种技术在胃癌、神经母细胞瘤、黑色素瘤、滑膜肉瘤及其他实体瘤中的代表性临床结果，展示了不同细胞治疗路径在实体瘤领域的临床应用

进展。

图表15：3种主要实体瘤细胞疗法的流程、抗原与临床验证



来源：Frontiersin，国金证券研究所

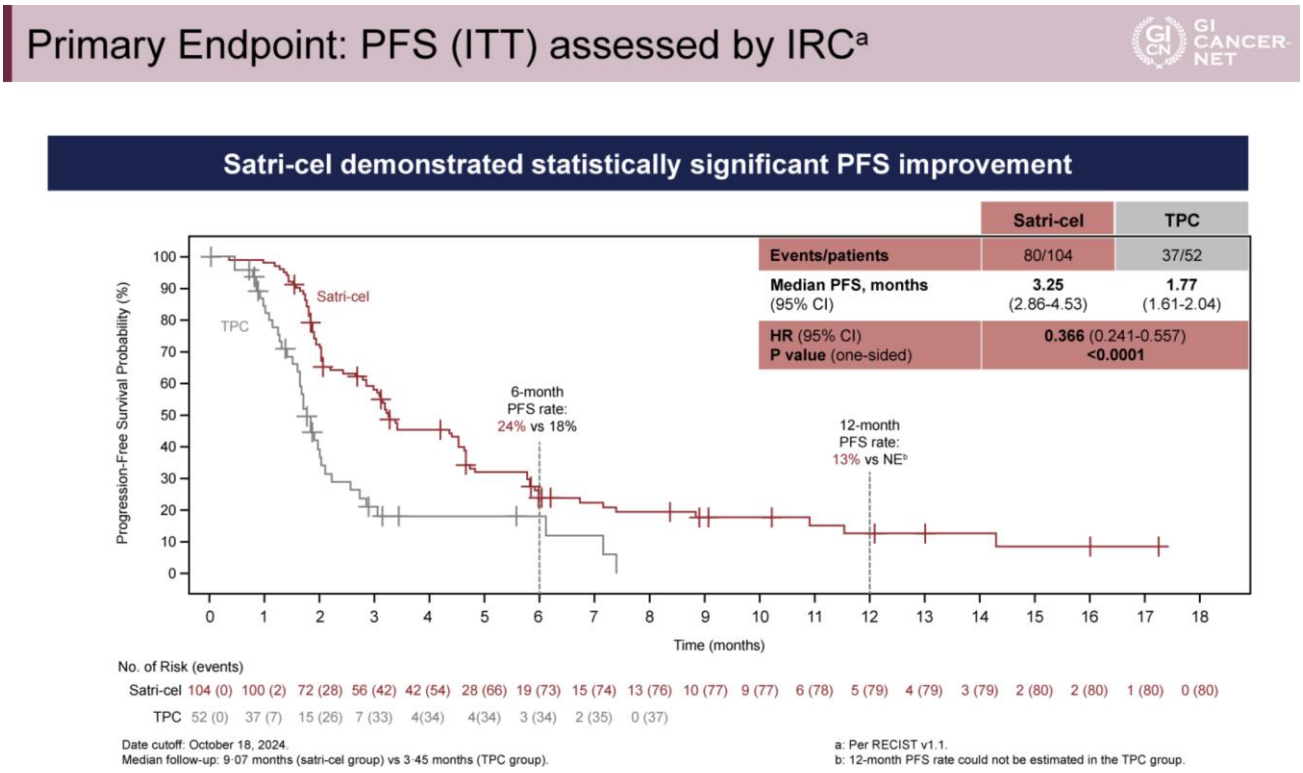
■ 根据2026年全球自身免疫疾病流行病学研究汇总的估计，自身免疫疾病影响全球约5%—10%的人口，覆盖数亿患者，涉及SLE、类风湿关节炎、系统性硬化症、炎性肌病等众多疾病。根据国际癌症研究机构（IARC）GLOBOCAN 2024统计，全球近5年确诊且仍存活的癌症患者约5,424万人，占全球人口约0.67%。

1）从血液瘤到实体瘤，细胞治疗进入患者基数扩大十数倍的疾病领域。 CAR-T

最初凭借 CD19、BCMA 等靶点在血液系统恶性肿瘤中取得成功。随着新靶点开发、工程化 T 细胞功能增强及肿瘤浸润技术进步，CAR-T、TCR-T 和 TIL 等不同细胞治疗路径相继在实体瘤中获得临床验证。根据 GLOBOCAN 2024 数据，全球当年新发癌症约 2,064 万例，其中白血病、淋巴瘤及多发性骨髓瘤等血液系统恶性肿瘤合计约 134 万例，其余实体瘤约 1,930 万例，患者规模约为血液瘤的 14.4 倍。这意味着细胞治疗的技术进步，使其潜在服务对象从百万级年度新发血液瘤患者，拓展至千万级年度新发实体瘤患者。

- 临床验证：2024—2026 年，三条不同技术路径相继在实体瘤中实现药品获批，证明工程化或扩增的免疫细胞能够在多种实体瘤中产生临床获益。
  - 2024 年 2 月，Iovance 的 TIL 疗法 Amtagvi 获 FDA 批准，用于晚期黑色素瘤；同年 8 月，Adaptimmune 的 TCR-T 产品 Tecelra 获批，用于滑膜肉瘤。
  - 2026 年 6 月 22 日，科济药业靶向 CLDN18.2 的自体 CAR-T 产品 satri-cel 获得中国 NMPA 批准，用于经至少两线治疗失败的晚期胃癌或胃食管结合部腺癌，成为全球首款获批的实体瘤 CAR-T 产品。其随机 II 期研究中，中位无进展生存期由对照组 1.77 个月提高至 3.25 个月，疾病进展或死亡风险比为 0.37。

图表16：CT041-ST-01随机Ⅱ期研究的无进展生存曲线



来源：Gi-cancer，国金证券研究所

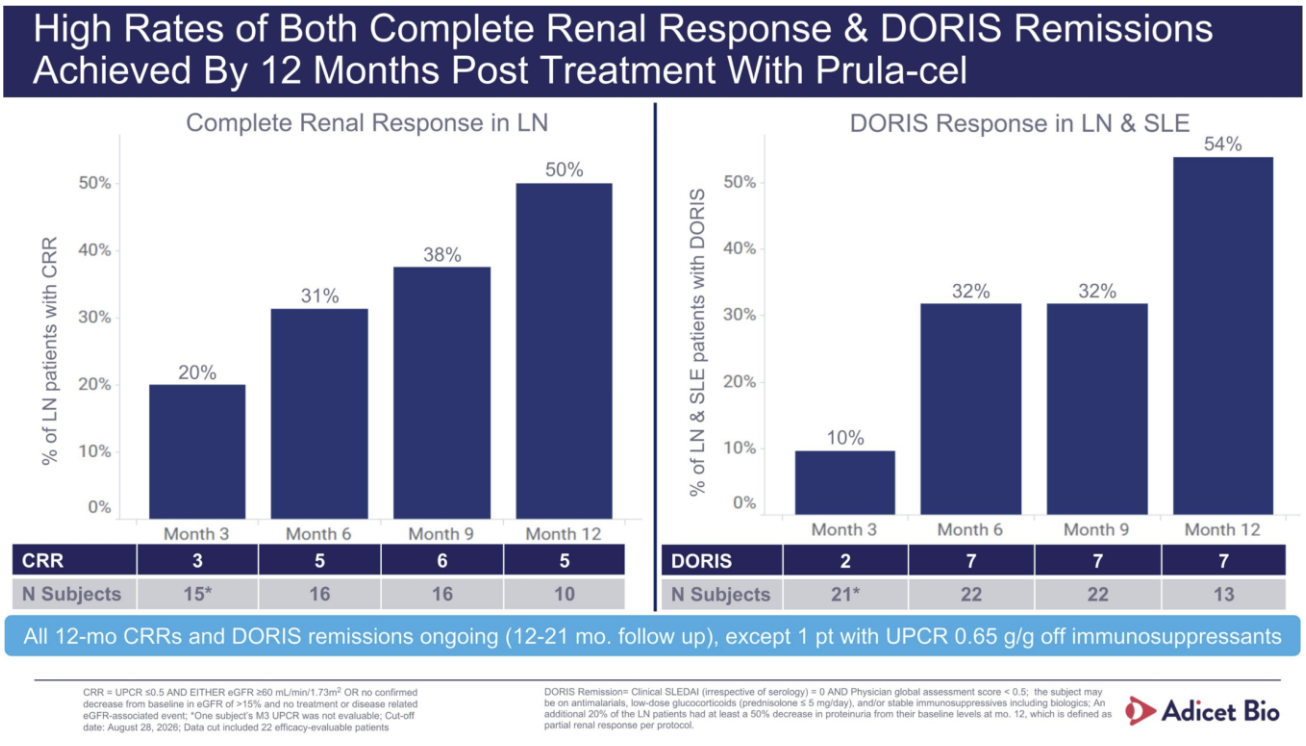
2）从肿瘤到自身免疫疾病，细胞治疗跨入数亿患者的慢性疾病领域。 如果说实体瘤拓展使细胞治疗进入更大的肿瘤市场，那么自身免疫疾病则是一次跨疾病领域的突破。全球自身免疫疾病患病率估计约 7%—10%，对应数亿患者，涵盖系统性红斑狼疮、类风湿关节炎、系统性硬化症、炎性肌病、重症肌无力及多发性硬化症等众多疾病。与肿瘤治疗以清除恶性细胞为目标不同，自免 CAR-T 尝试通过清除异常 B 细胞及相关致病免疫细胞，使免疫系统重新建立正常免疫耐受，为需要长期免疫抑制治疗的患者提供持续缓解甚至停药的可能。

- 临床验证：自免 CAR-T 已从早期人体概念验证进入多家公司临床开发阶段。2026 年，Autolus、Adicet Bio 及 Cabaletta Bio 等企业相继公布 SLE 长期随访结果，显示 CAR-T 不仅能够显著降低疾病活动度，还可使部分重症患者

停用免疫抑制剂，实现持续临床缓解。

- Autolus：自体 CD19 CAR-T 实现持续缓解。2026 年 11 月，Autolus 公布 obe-cel 治疗 15 例重度难治性 SLE 患者的 I 期研究结果，最长随访 25.5 个月。随访至少 6 个月的患者均达到 DORIS 缓解，9 例可评估患者中 6 例达到完全肾脏缓解，未观察到 ICANS 或三级及以上 CRS。
- Adicet Bio：异体 CAR-T 验证免疫重置潜力。2026 年 9 月，Adicet 公布 prula-cel 治疗 22 例 SLE 患者的 I 期结果，其中 16 例伴狼疮肾炎。随访满 12 个月的可评估患者中，54%达到 DORIS 缓解，50%的狼疮肾炎患者达到完全肾脏缓解；全部患者停用免疫抑制剂，显示异体 CAR-T 同样具备实现持续缓解的潜力。

图表17：Adicet Bio 异体 CAR-T 治疗 SLE，12 个月 DORIS 缓解率达 54%

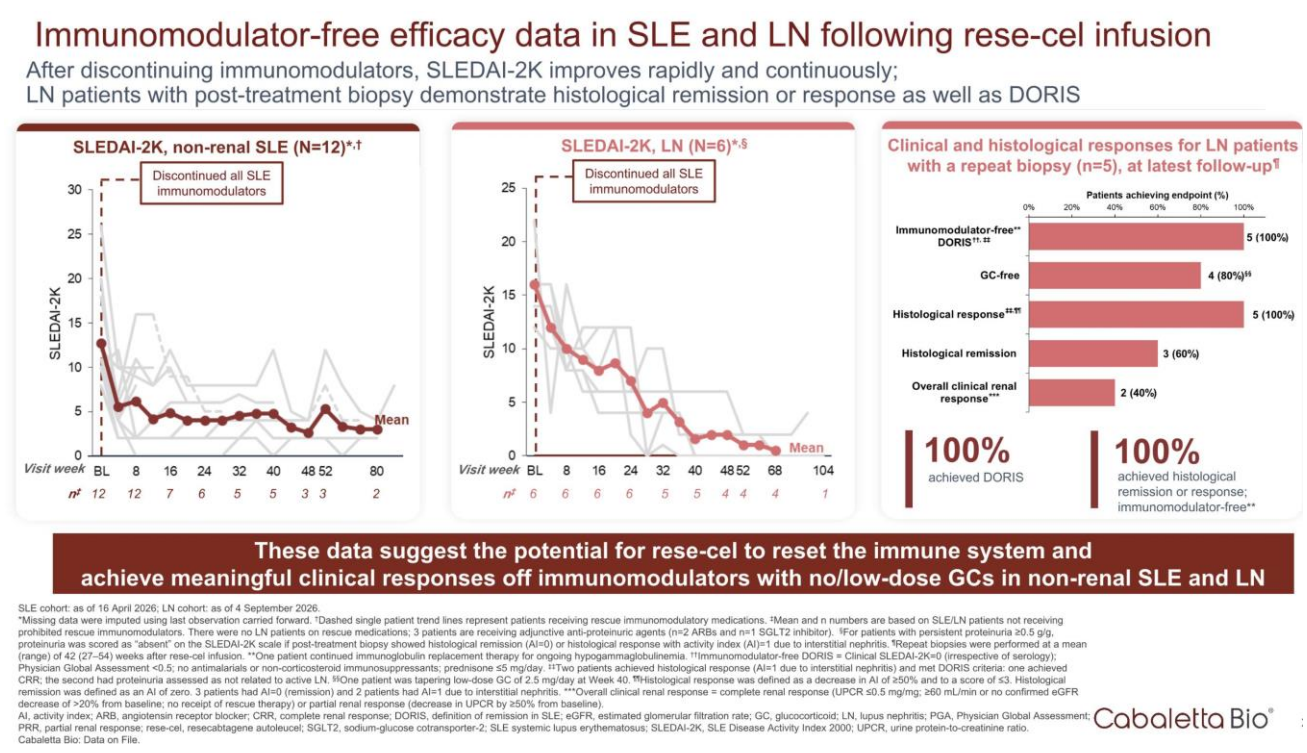


来源：Sec，Adicet，国金证券研究所

- Cabaletta Bio：肾脏组织学验证疾病改善。2026 年 11 月，Cabaletta

公布 rese-cel 治疗狼疮肾炎的最新结果，5 例接受重复肾活检的患者全部达到组织学缓解或改善，并在停用免疫调节药物、无需或仅需低剂量激素的情况下达到 DORIS 缓解，为 CAR-T 改善自身免疫性器官损伤提供了进一步临床证据。

图表 18：Cabaletta Bio 自免 CAR-T 实现持续缓解，肾脏组织学疗效获得验证



来源：Sec，Cabaletta Bio，国金证券研究所

- 核心看点：①扩大患者覆盖范围，②拓展临床治疗目标，③推动一次性治疗向慢性疾病领域延伸。

  - 患者覆盖范围跨越式扩大。 从全球年度百万级新发血液瘤患者，到千万级实体瘤患者，再进入数亿规模的自身免疫疾病群体，细胞治疗已经从少数血液肿瘤适应症向更多疾病领域延伸，为未来产业成长打开更广阔的空间。

  - 从杀伤肿瘤细胞拓展至免疫系统重置。 细胞治疗不再局限于清除恶性细

胞，而是通过精准识别并清除异常免疫细胞，尝试恢复正常免疫功能。SLE 等自免疾病的临床结果，已经初步验证了这一新治疗路径。

- 从一次性抗肿瘤治疗走向慢性疾病长期控制。 自身免疫疾病通常需要多年持续用药，而 CAR-T 有望通过一次治疗获得较长时间缓解，改变部分患者依赖长期免疫调节治疗的模式。若疗效持久性及安全性得到进一步验证，其临床价值将延伸至更广泛的慢性免疫疾病。

■ 我们认为，CGT 领域突破的第三个看点，是适应症与患者群体的持续扩展。细胞治疗正在经历两次连续的适应症扩张：从血液瘤进入实体瘤，打开十余倍规模的新增肿瘤患者群体；从肿瘤进入自身免疫疾病，则进一步进入数亿级患者市场。 其长期增长空间不再局限于血液瘤 CAR-T 已经验证的适应症，而在于能否将细胞工程和免疫重置能力复制到更多实体瘤及慢性免疫疾病中。

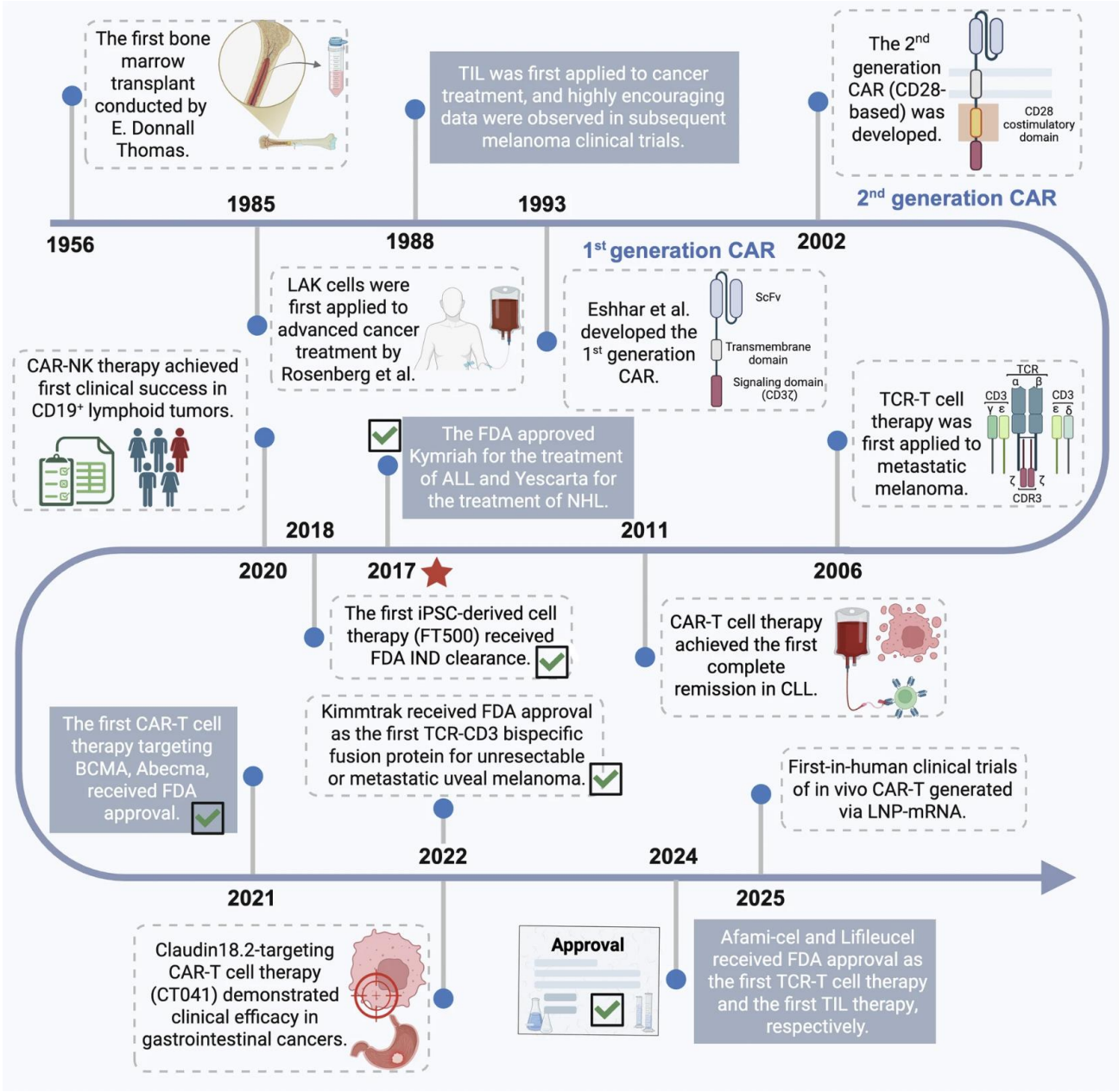
现状：传统 CAR-T 已成重磅药，适应症与递送双拓展

百年演进：从细胞移植到基因编辑，CGT 形成多元治疗体系

CGT（细胞与基因疗法）的发展史，是人类对细胞及其治疗功能的控制能力不断增强的过程。从利用天然细胞的生物学功能，到通过基因工程设计细胞，再到直接在人体内改写基因与细胞功能，CGT 逐渐形成覆盖肿瘤、遗传性疾病及自身免疫疾病的多元治疗体系。从 2017 年 CAR-T 首次获批上市，到 2026 年的今天，工程化细胞治疗已出现 CARVYKTI 这样的全球重磅药，标志着人工设计的活细胞完成从实验室到商业化的跨越。纵观 CGT 的发展历程，我们认为，值得关注的是 CGT 技术迈上的 3 个台阶：①天然细胞功能利用、②体外基因工程改

造、③体内精准编辑与细胞编程。

图表19：全球细胞治疗的关键里程碑与技术演进



来源：Nature，国金证券研究所

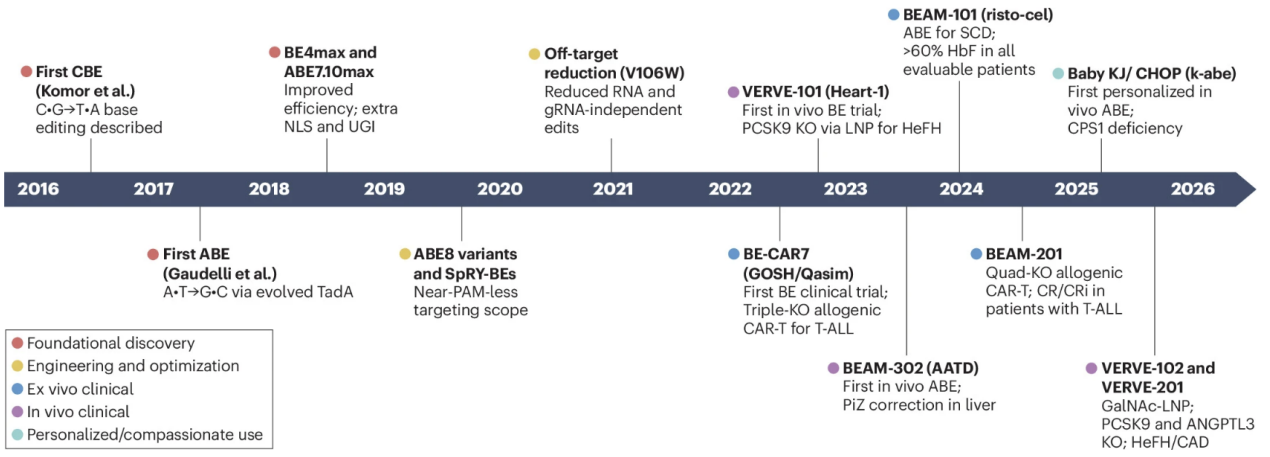
①天然细胞：从细胞移植到免疫细胞治疗，天然细胞成为具有持续治疗功能的药物。20 世纪 50 年代，骨髓移植研究开启了利用活细胞重建人体造血系统的探索。随着 HLA 配型、预处理及移植管理技术进步，造血干细胞移植逐渐成为血

液系统恶性肿瘤及部分遗传性疾病的重要治疗方式。其核心突破在于利用干细胞的自我更新和分化能力，实现造血及免疫系统长期重建。

■ 20 世纪 80 年代，TIL（肿瘤浸润淋巴细胞）治疗研究进一步将患者肿瘤组织中的天然免疫细胞分离、扩增并回输，放大其抗肿瘤功能。细胞治疗由此从造血系统重建延伸至实体瘤免疫治疗，治疗性细胞的应用范围持续拓展。

②体外改造：从基因转移到细胞工程，人工设计细胞功能，CAR-T 诞生全球重磅药。20 世纪 70 年代以来，重组 DNA 和病毒载体技术的发展，使研究人员能够向细胞导入治疗性遗传信息。1990 年，美国开展针对 ADA 缺乏型重症联合免疫缺陷病的基因治疗临床试验，探索通过基因修饰细胞弥补遗传性功能缺陷。

图表20：全球基因编辑十年历史



Timeline spans the foundational discovery of base editing to clinical translation. CML, chronic myeloid leukaemia; DSB, double-strand break; dsRNA, double-stranded RNA; HeFH, heterozygous familial hypercholesterolaemia; HSC, haematopoietic stem cell; HMG-CoA, 3-hydroxy-3-methylglutaryl-CoA; LNP, lipid nanoparticle; T-ALL, T cell acute lymphoblastic leukaemia.

来源：Nature，国金证券研究所

■ 随着基因工程技术成熟，细胞治疗从补充缺失蛋白发展为主动设计细胞功能。CAR-T 通过导入人工嵌合抗原受体，赋予 T 细胞特异性抗原识别及杀伤能力；TCR-T 则通过改造 T 细胞受体，拓展其对肿瘤抗原的识别范围。2017 年，首批 CAR-T 产品获 FDA 批准，开启工程化免疫细胞治疗商业化时代。强

生与传奇生物合作开发的 CARVYKTI 于 2025 年实现 18.87 亿美元销售额，2026 年继续向 30 亿美元规模迈进，证明人工设计的活细胞能够成长为全球重磅药。

③体内编辑：从基因递送到精准编辑，CGT 迈向体内制药与编程。进入 21 世纪，锌指核酸酶、TALEN 和 CRISPR 等基因编辑工具相继发展，使遗传干预从导入外源基因进一步拓展至直接修改人体既有 DNA 序列。碱基编辑、引导编辑与 RNA 编辑不断丰富可实现的遗传修改方式，推动基因治疗从基因功能补充走向精准修复。

- 与此同时，AAV、慢病毒、LNP 等递送技术持续进步，使基因编辑和细胞工程逐渐突破体外操作限制，开始直接在人体目标组织中实现基因改写或生成治疗细胞。合成生物学及可编程基因回路进一步推动细胞功能设计，从单一受体表达发展为根据疾病相关信号动态调节识别、杀伤与治疗性蛋白分泌。
- 我们看到，CGT 经历了从利用天然细胞功能、人工设计细胞功能，到直接在人体内改写基因与细胞功能的三次能力跃迁。细胞来源、遗传改造与递送技术不断融合，推动 CGT 从单一技术发展为多条技术路径并行、覆盖不同疾病领域的治疗体系。

技术版图：3 大技术 6 条路径，细胞重建与基因编辑各具优势

CGT（细胞与基因疗法）依据治疗细胞是否经过人工遗传改造、基因操作发生在体内还是体外，可归纳为 3 大技术主干：①天然细胞治疗，利用未经人工遗传改造的细胞发挥免疫、分化和组织修复功能；②体外基因改造治疗，在体外对免疫细胞或造血干细胞进行基因修饰，再回输患者体内；③体内基因及细胞工

程，将治疗性遗传物质或编辑工具直接递送至人体目标组织，实现基因表达、精准编辑或细胞功能重编程。

■ 三大技术主干进一步形成 6 条主要技术路径：天然细胞治疗包括①天然细胞移植与免疫治疗；体外基因改造治疗包括②工程化免疫细胞、③基因修饰造血干细胞；体内基因及细胞工程则包括④体内基因添加、⑤体内基因编辑、⑥体内细胞工程。不同路径在治疗机制、制造交付、临床应用及商业化成熟度方面各具优势，共同构成 CGT 的多元技术版图。

1）天然细胞治疗：利用细胞自身功能实现组织重建与免疫治疗

①天然细胞治疗：从造血系统重建到实体瘤免疫治疗。天然细胞治疗以未经人工基因改造的活细胞为治疗主体，主要包括造血干细胞、TIL（肿瘤浸润淋巴细胞）、MSC（间充质基质细胞）及部分组织工程细胞。不同细胞分别利用自我更新、分化、免疫识别或免疫调节等天然功能，实现组织重建和疾病治疗。

■ 造血干细胞具备长期自我更新和多谱系分化能力，移植后能够持续重建造血与免疫系统，是治疗血液系统恶性肿瘤及部分遗传性疾病的重要技术。MSC 及再生医学细胞产品则主要利用细胞的免疫调节、旁分泌和组织修复功能，向炎症性疾病及组织损伤等领域拓展。

■ TIL 治疗利用肿瘤组织中已存在的肿瘤反应性 T 细胞，通过分离、筛选、体外扩增及回输，提高患者体内具有肿瘤抗原识别能力的 T 细胞数量。与人工设计单一靶点识别受体的 CAR-T 不同，TIL 能够利用患者自身形成的多样化肿瘤抗原识别能力，适用于具有较高抗原异质性的实体瘤。其技术关键在于肿瘤取材、细胞筛选与扩增质量，以及回输后的细胞存活、持续杀伤和对肿瘤微

环境的适应能力。

2）体外基因改造治疗：通过遗传工程重新设计细胞功能

②工程化免疫细胞：人工设计抗原识别与杀伤功能。工程化免疫细胞通过基因导入或编辑，改变 T 细胞、NK 细胞及其他免疫细胞的识别与效应功能。其中 CAR-T 已实现全球重磅药商业化，TCR-T 也已进入获批上市阶段，CAR-NK 及其他工程化免疫细胞持续推进临床开发。

- CAR-T 通过导入人工嵌合抗原受体，使 T 细胞直接识别靶细胞表面抗原。其受体通常包含胞外抗原结合结构、跨膜区域、共刺激结构域及细胞内激活信号，CD19、BCMA 等已成为血液系统恶性肿瘤的重要治疗靶点。TCR-T 则通过改造 T 细胞受体，识别由 HLA 分子呈递的抗原肽，可覆盖部分来源于细胞内蛋白的肿瘤抗原，但受到 HLA 匹配和抗原呈递条件限制。
- CAR-NK 利用 NK 细胞天然的细胞毒性，结合人工受体提高靶向识别能力。巨噬细胞、γδ T 细胞等其他免疫细胞也被用于工程化治疗研究，形成更广泛的 CAR-X 技术体系。
- 工程化免疫细胞的治疗效果不仅取决于受体设计，还受到细胞分化状态、增殖能力、持续性及疾病微环境影响。尤其在实体瘤中，异常血管与致密细胞外基质限制免疫细胞浸润，Treg（调节性 T 细胞）、MDSC（髓源性抑制细胞）及 TAM（肿瘤相关巨噬细胞）形成免疫抑制网络，叠加抗原异质性与代谢竞争，削弱持续杀伤能力。因此，新一代工程化免疫细胞的技术竞争正在从抗原识别，拓展至细胞浸润、功能持久性、代谢适应及微环境响应能力。

③基因修饰造血干细胞：结合遗传改造与长期造血重建。基因修饰造血干细胞治

疗首先采集患者或供者的造血干/祖细胞，在体外完成基因添加或编辑，经质量控制后移植至患者体内。该技术利用造血干细胞长期自我更新和持续分化的能力，使治疗性遗传改变在新生成的血液细胞中持续发挥作用。

- 基因添加通过载体向造血干细胞导入功能性遗传信息，弥补特定蛋白的功能缺陷；基因编辑则直接修改细胞既有 DNA 序列或调控区域，改变目标蛋白表达。两种方式均可将遗传干预与长期造血系统重建结合，适用于部分单基因遗传性血液疾病及免疫系统疾病。
  - CASGEVY 是体外基因编辑造血干细胞疗法的代表，通过 CRISPR-Cas9 编辑患者 CD34 阳性造血干/祖细胞的 BCL11A 基因红系特异性增强子，重新激活胎儿血红蛋白表达，治疗镰状细胞病及输血依赖性 β 地中海贫血。
  - 这一路径的优势在于遗传改造发生在体外，可以在回输前检测编辑效率、细胞活性及产品质量；造血干细胞成功植入后，则有望实现长期治疗效果。其局限是需要细胞采集、个体化制造、清髓预处理和移植管理，对制造体系与医疗交付能力要求较高。

3）体内基因及细胞工程：直接在人体内实现基因干预与细胞编程

④体内基因添加：向目标组织递送治疗性遗传信息。体内基因添加利用病毒或非病毒载体，将治疗性遗传物质直接递送至患者目标组织，使细胞表达缺失或不足的功能性蛋白。与体外改造细胞后回输不同，这一路径直接利用患者自身组织完成治疗性蛋白生产。

- AAV（腺相关病毒）是体内基因添加的重要递送平台，可通过不同衣壳设计改善组织递送，并在目标细胞中维持治疗性基因表达。不同载体的组织嗜性、载

荷容量、遗传整合特征和表达持续性存在差异，决定其适用疾病与给药方式。

- Luxturna、Zolgensma 及 Hemgenix 分别代表体内基因添加在遗传性视网膜疾病、脊髓性肌萎缩症及乙型血友病中的商业化应用。该技术能够通过一次给药实现长期治疗性蛋白表达，但其临床效果受到目标组织递送效率、基因表达水平及持续时间影响，既有免疫反应、载体剂量、组织毒性与长期安全性是产品开发的重要考量。

⑤体内基因编辑：直接修改人体目标细胞的遗传信息。体内基因编辑将编辑工具直接递送至人体目标组织，通过修改既有 DNA 序列或基因调控区域，实现疾病相关基因的功能改变。与基因添加主要依靠外源遗传信息表达不同，体内基因编辑可以直接干预原有基因功能，在部分疾病中有望通过一次治疗获得持久效果。

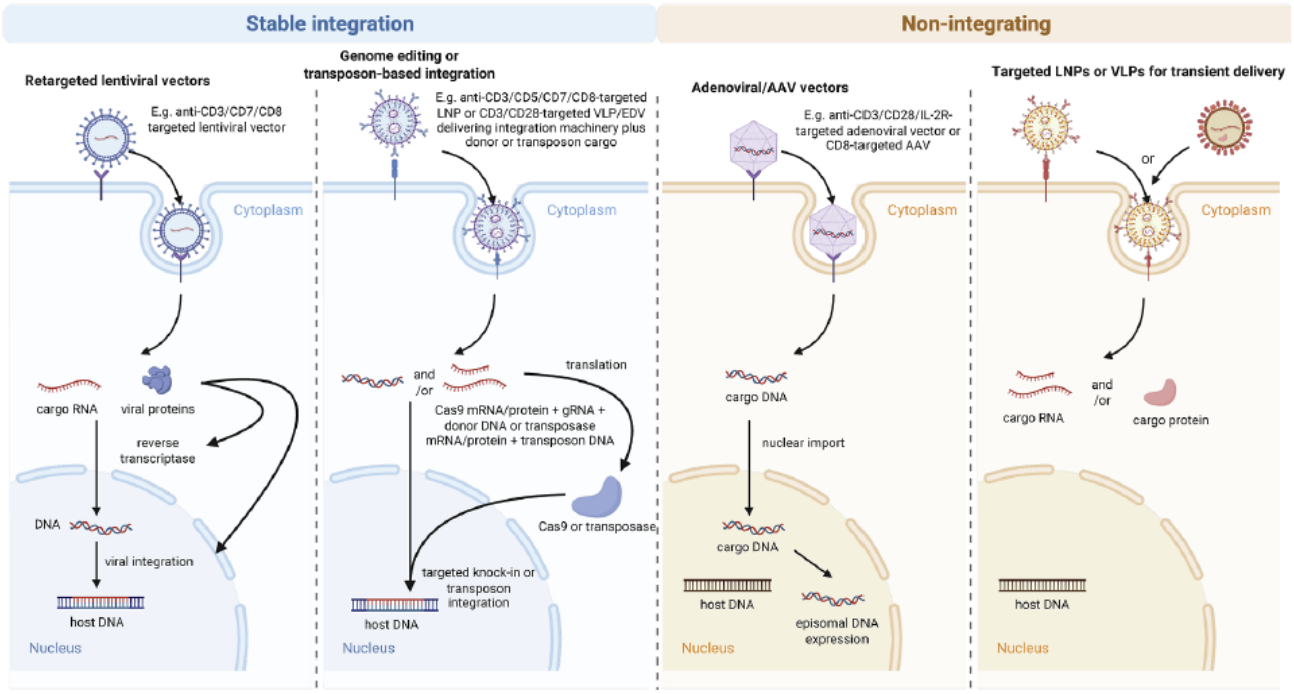
- CRISPR-Cas 核酸酶通过向导 RNA 识别目标 DNA 序列，结合 DNA 切割及细胞修复实现基因修改；碱基编辑能够直接完成特定碱基转换，减少对典型 DNA 双链断裂的依赖；引导编辑则进一步拓展可修改的 DNA 序列类型。不同编辑工具在可实现的遗传改变、编辑效率及安全性方面各具特点。
- 体内编辑的技术关键在于将编辑工具准确递送至目标细胞，同时控制编辑效率、脱靶修改和长期安全性。RNA 编辑则通过改变 RNA 序列实现可编程遗传信息干预，不永久修改 DNA，在表达持续性和重复给药方面具有不同特点，构成相关的核酸干预技术分支。

⑥体内细胞工程：直接在人体内生成具有新功能的治疗细胞。体内细胞工程结合基因递送与细胞功能改造，通过靶向载体向患者体内的免疫细胞或其他目标细胞递送遗传信息，使其直接获得新的治疗能力。与传统体外工程化细胞治疗相比，

该路线有望减少细胞采集、体外扩增及个体化制造环节，改变细胞治疗的生产与交付方式。

- In vivo CAR-T 是这一方向的代表，通过工程化病毒载体或 LNP（脂质纳米颗粒）等递送系统，将编码 CAR 的遗传信息直接导入患者体内 T 细胞，使其获得特定抗原识别与杀伤能力。
  - 整合型与非整合型平台构成体内 CAR-T 的重要技术分野。 整合型平台以靶向慢病毒等为代表，通过遗传信息整合实现较持久的 CAR 表达，有利于形成持续治疗活性，但需控制非目标细胞转导及基因组整合风险。非整合型平台包括 RNA-LNP 及部分病毒载体，其中 RNA-LNP 通常产生较短暂、可通过给药调节的 CAR 表达；AAV 等非整合型载体则可能在特定细胞中维持较长时间的表达。不同平台在表达持续性、重复给药、细胞靶向性与安全性方面存在差异。
    - 下图展示了 In vivo CAR-T 的整合型与非整合型递送平台的不同特点。

图表21：In vivo CAR-T主要递送平台：整合型与非整合型技术路线



来源：Cancer Cell，国金证券研究所

■ 这一路线的核心竞争力，取决于能否准确选择并改造目标细胞、控制 CAR 表达强度及持续时间，以及实现不同患者之间相对一致的治疗反应。体内细胞工程有望将传统个体化细胞制造转变为可规模化生产的基因递送产品，是 CGT 技术与商业化模式融合的重要方向。

综上，我们看到，CGT 的三大技术主干分别对应利用天然细胞功能、体外设计细胞功能、体内直接改造基因与细胞功能。六条技术路径在治疗主体、遗传改造方式、递送系统及制造交付方面形成不同的技术优势，并不断交叉融合，共同推动 CGT 覆盖更多疾病领域。

格局：血液瘤竞争加剧，实体瘤格局初立，in vivo 群雄逐鹿

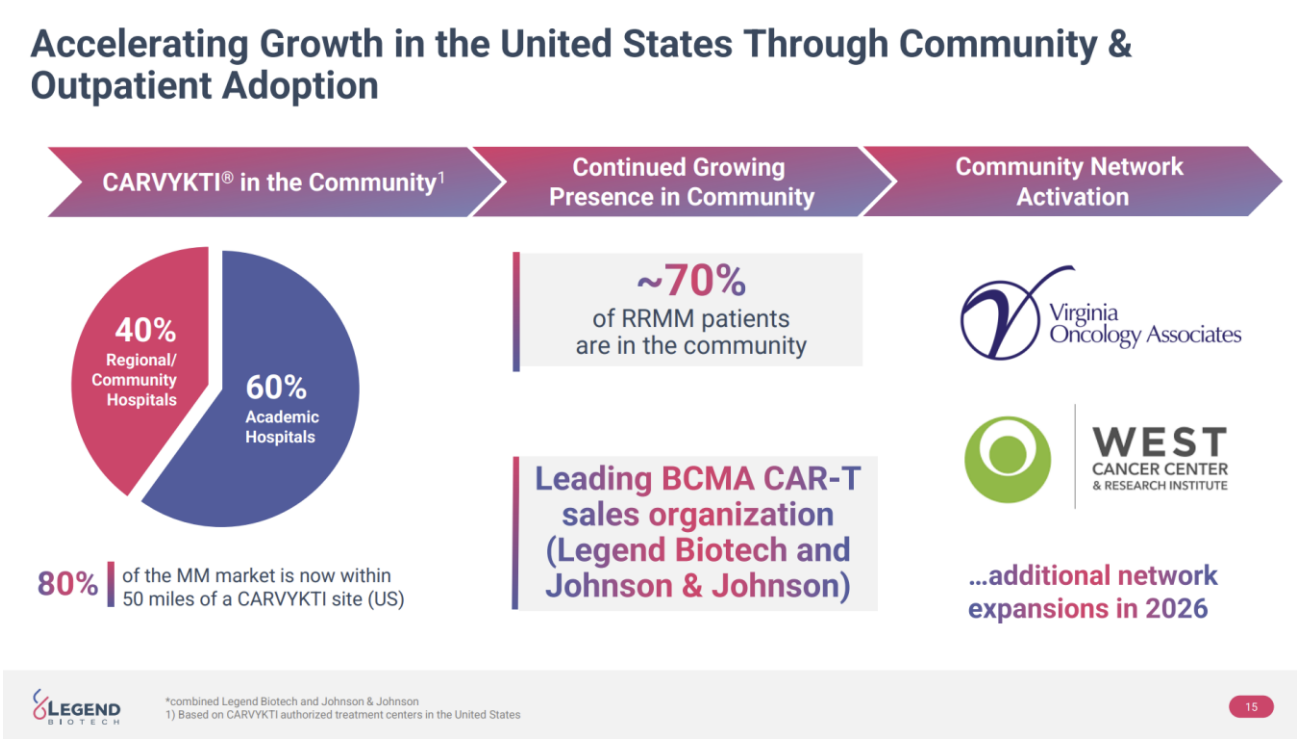
全球 CGT（细胞与基因疗法）已形成由肿瘤免疫细胞治疗、遗传病基因治疗及再生医学共同构成的多层次市场。根据 Fortune Business Insights 统计，2025 年

全球 CGT 市场规模约 122.1 亿美元，预计 2026 年达到 164.5 亿美元，2034 年进一步增长至 1,435.5 亿美元。其中，血液瘤 CAR-T 已出现年销售近 20 亿美元的重磅产品，实体瘤 TIL、TCR-T 及 CAR-T 相继获批，In vivo CAR-T 则吸引全球制药巨头通过数十亿美元并购与授权交易加速布局。我们看到，CGT 正沿着商业化产品放量、适应症扩展、制造与递送方式变革三个方向形成新的产业格局。

①血液瘤：CAR-T 进入重磅药时代，治疗网络与长期疗效推动商业化分化。血液系统恶性肿瘤是工程化免疫细胞治疗最成熟的商业化市场，CD19 CAR-T 覆盖 B 细胞白血病与淋巴瘤，BCMA CAR-T 主要用于多发性骨髓瘤。经过近十年商业化发展，CAR-T 已从高度经治患者的后线治疗，逐步向更早治疗线扩展，产品竞争从获批适应症延伸至长期疗效、制造产能、治疗中心覆盖与患者可及性。

- CARVYKTI 成为 CAR-T 商业化的重要标杆。强生与传奇生物合作开发的 CARVYKTI，2023—2025 年全球销售额分别为 5.00 亿、9.63 亿和 18.87 亿美元，2025 年同比增长 95.9%。2026 年第三季度，产品全球净贸易销售额达到 7.10 亿美元，同比增长 36%；前三季度销售 19.64 亿美元。与此同时，产品已覆盖全球 20 个市场、373 家治疗中心，较 2026 年 6 月底的 348 家进一步增加。

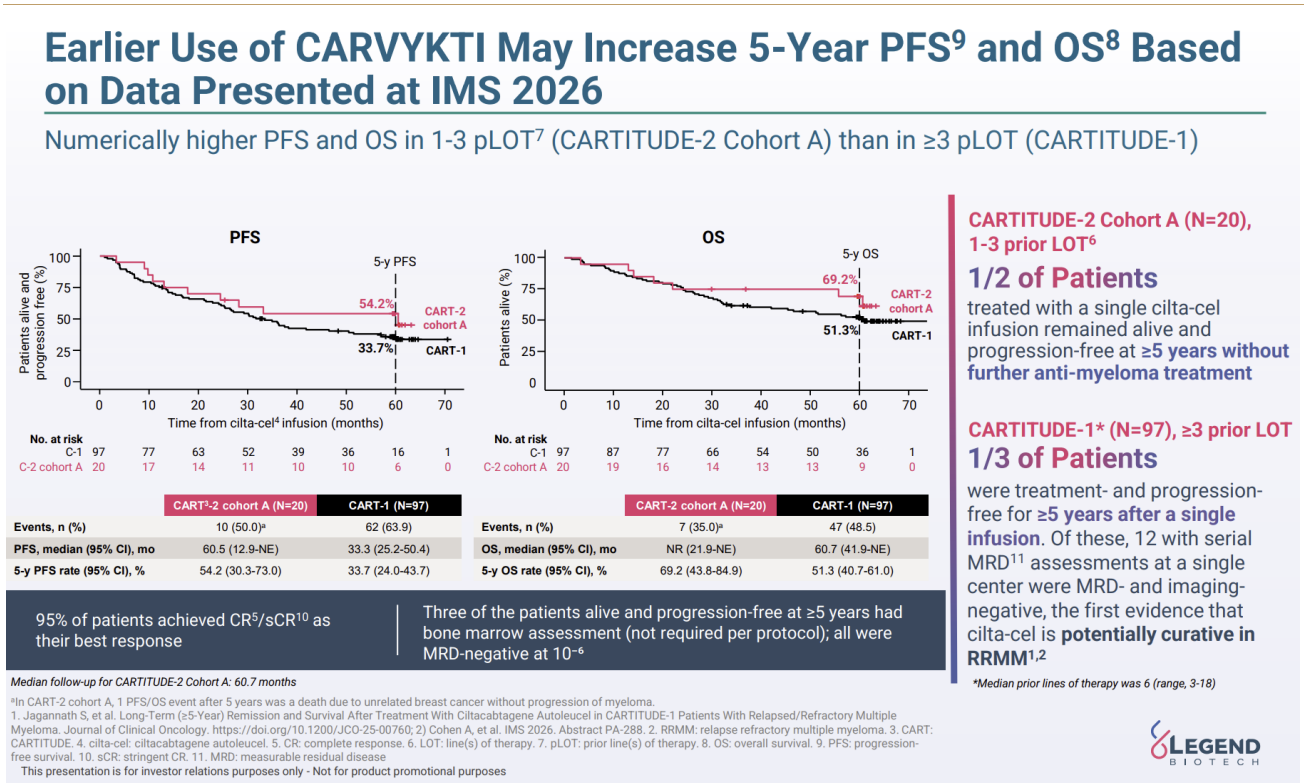
图表22：CARVYKTI 美国授权治疗中心类型与社区医疗网络覆盖



来源：传奇生物，国金证券研究所

- 长期疗效正在支持 CAR-T 向更早治疗线拓展。2026 年，传奇生物披露 CARTITUDE-2 队列 A 的五年随访结果：20 名既往接受 1—3 线治疗的复发难治性多发性骨髓瘤患者，中位随访 60.7 个月，中位无进展生存期（PFS）达到 60.5 个月；其中 10 名患者在单次 CARVYKTI 输注后五年仍存活且未发生疾病进展，也未接受后续抗骨髓瘤治疗。这一长期随访结果为一次性细胞治疗向早线应用提供了临床依据。

图表23：CARVYKTI 五年随访结果



来源：传奇生物，国金证券研究所

- 成熟 CAR-T 之间的收入分化同样明显。2025 年，百时美施贵宝的 Breyanzi 销售额达到 13.58 亿美元，同比增长 82%；吉利德的 Yescarta 销售额为 14.95 亿美元，同比下降 5%，Tecartus 销售额为 3.44 亿美元，同比下降 15%。不同产品的适应症布局、治疗线、患者转诊网络及双特异性抗体等竞争疗法，共同影响市场份额。CAR-T 已从依靠新增获批产品驱动市场扩张，进入产品之间竞争临床价值与商业交付效率的新阶段。

- 中国 CAR-T 商业化则迎来支付体系的重要突破。2026 年 11 月 14 日，药明巨诺的瑞基奥仑赛成为纳入国家基本医保目录的 CAR-T 产品，医保支付标准为 28.86 万元，将于 2027 年 1 月 1 日起执行。相比此前 129 万元的产品定价，医保准入显著降低患者治疗门槛，也使国内 CAR-T 商业化从主要依赖自费及

商业保险，迈向基本医保支付支持的新阶段。治疗量能否扩大，将进一步取决于医院准入、制造成本及产能释放。

②实体瘤与遗传病：CGT 突破血液瘤边界，产品获批与市场放量呈现不同节奏。实体瘤细胞治疗已形成 TIL、TCR-T 及 CAR-T 三条获批技术路径。 2024 年 2 月，Iovance 的 TIL 疗法 Amtagvi 获得美国 FDA 批准，用于经治晚期黑色素瘤；同年 8 月，Adaptimmune 的 TCR-T 疗法 Tecelra 获批用于特定 HLA 及 MAGE-A4 阳性的滑膜肉瘤。2026 年 6 月，科济药业自主研发的 CLDN18.2 CAR-T 产品舒瑞基奥仑赛在中国获批，用于 CLDN18.2 阳性、HER2 阴性且至少二线治疗失败的晚期胃及胃食管结合部腺癌。至此，工程化细胞治疗在实体瘤领域实现了不同细胞来源、抗原识别机制及治疗方式的临床转化。

- 实体瘤市场的商业价值开始逐步兑现。2026 年第三季度，Iovance 的 Amtagvi 销售额约 1.02 亿美元，同比增长 77%，显示 TIL 在实体瘤治疗中的商业化潜力。科济药业的舒瑞基奥仑赛于 2026 年 11 月进入中国商保创新药目录，为高价值实体瘤 CAR-T 建立新的支付渠道。下一阶段，实体瘤细胞治疗需要继续验证更广泛患者群体的长期获益，同时改善肿瘤取材、制造周期、清淋预处理及回输管理等治疗环节。
- 遗传性疾病则形成另一条具有代表性的商业化路径。2025 年，诺华 Zolgensma 产品组销售额达到 12.32 亿美元，证明体内基因添加能够形成重磅药级收入。相比之下，Vertex 的体外基因编辑疗法 CASGEVY 全年销售额为 1.16 亿美元，全球 147 名患者完成首次细胞采集，64 名患者实际接受输注。两项数据对应不同治疗流程节点，反映基因编辑疗法从患者启动治疗到最终输注仍需要经过制造、清髓和移植等多个环节。

- 我们看到，CGT 获批产品的商业化差异，正在由技术有效性进一步延伸至患者规模、制造交付及支付能力。 血液瘤 CAR-T 已形成成熟产品群，实体瘤治疗开始进入商业化拓展阶段，遗传病基因治疗则由于疾病患者规模和治疗方式不同，呈现高度分化的产品收入结构。

③In vivo：70 亿美元并购刷新产业估值，递送平台与配套服务成为竞争焦点。

In vivo CAR-T 正成为全球 CGT 交易最活跃的技术方向之一。其核心产业价值在于，将传统 CAR-T 需要在体外完成的细胞改造过程转移至患者体内，由规模化生产的递送制剂直接生成治疗细胞。这一变化有望减少个体化细胞制造环节，并推动细胞治疗从专属制造模式向标准化药物交付模式演进。

- 大型制药公司通过并购及授权交易加速掌握 In vivo 平台。2025 年，阿斯利康以最高 10 亿美元收购 EsoBiotec，获得靶向慢病毒递送平台；艾伯维以 21 亿美元收购 Capstan，布局靶向 LNP 递送；百时美施贵宝以 17 亿美元（扣除所获现金后为 15 亿美元）收购 Orbital，获得环状 RNA 相关技术；吉利德旗下 Kite 以 3.5 亿美元收购 Interius，并通过与普瑞金的合作拓展体内细胞工程布局。

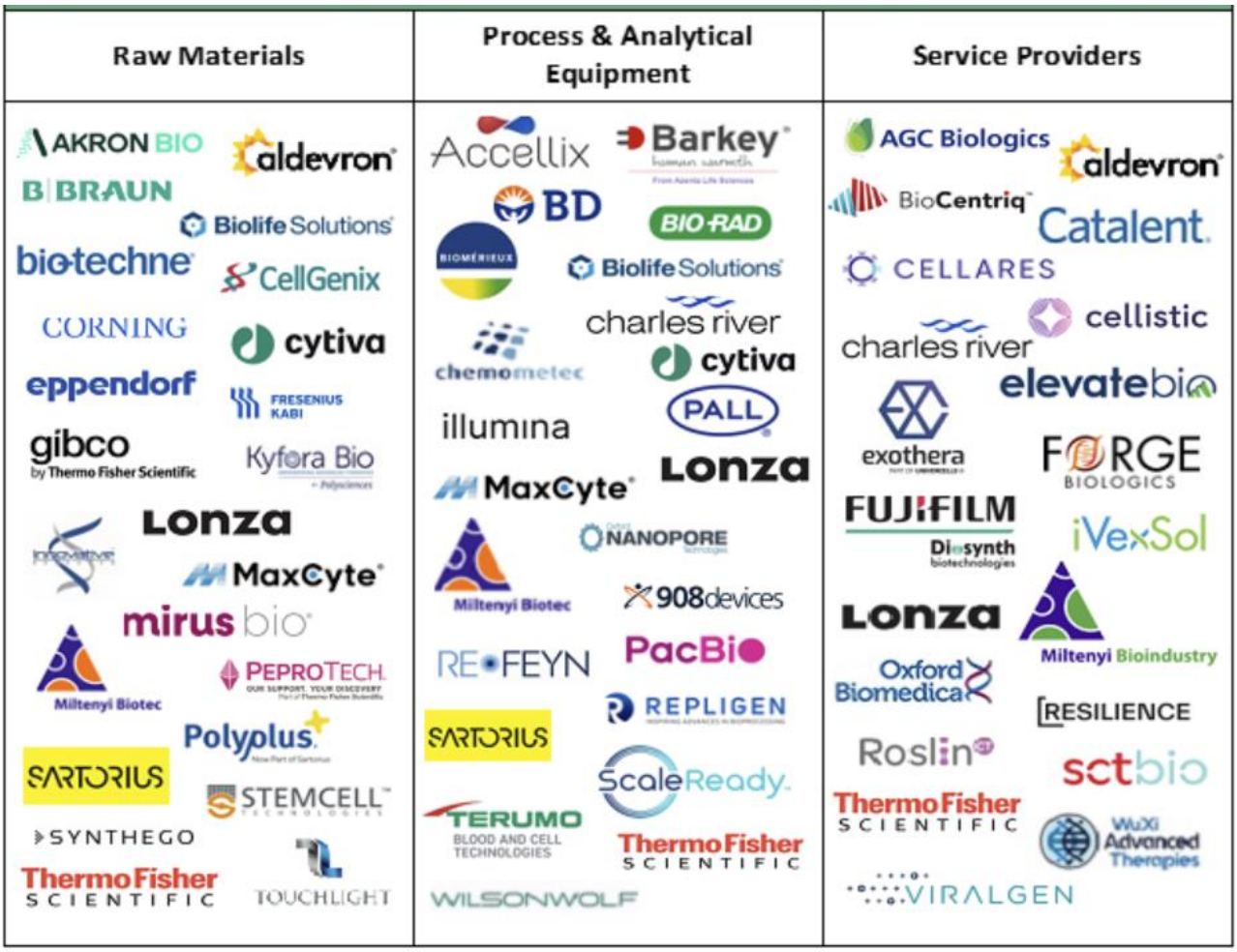
- 2026 年，大额交易进一步升级。2 月，礼来宣布以最高 24 亿美元收购 Orna，获得环状 RNA 与 LNP 平台；4 月，礼来再以最高 70 亿美元收购 Kelonia，其中首付款 32.5 亿美元，后续付款与临床、监管及商业化里程碑挂钩，成为 In vivo CAR-T 领域具有代表性的超大额并购。11 月 18 日，辉瑞与中国星锐医药达成最高约 26.3 亿美元的授权合作，包括 3.3 亿美元首付款及最高 23 亿美元里程碑付款，获得三项自身免疫病 In vivo CAR-T 项目在大中华区以外的独家权益。

■ 这些交易显示，全球大型药企正在通过资本投入同时布局慢病毒、LNP、环状 RNA 及细胞靶向递送平台。我们判断，In vivo CAR-T 当前的产业估值已不再仅取决于单个候选药物，而是延伸至递送平台能否跨靶点、跨疾病及跨产品复制。下一阶段的核心验证指标，将是人体内 CAR 细胞生成效率、临床疗效持久性、递送安全性及大规模制造经济性。

④配套服务：CGT 技术路线分化，产业链从细胞制造向基因递送与关键原材料延伸。传统 CAR-T 依赖细胞采集、病毒载体、细胞培养、质量控制及冷链交付，带动 CGT CDMO（合同研发生产组织）、培养基、一次性耗材和自动化设备需求增长。随着基因编辑及 In vivo 治疗发展，产业链进一步向 AAV、慢病毒、LNP 等递送载体，mRNA 及其他核酸原料、靶向递送配体、递送制剂生产和分析检测能力延伸。CGT 上游的竞争重点由传统细胞制造能力，逐步拓展至载体设计、递送效率、工艺开发及规模化生产能力。

■ 从产业链分工看，全球已形成覆盖细胞与病毒载体 CDMO、培养基及关键原材料、自动化设备和质量检测的专业服务体系。赛多利斯、丹纳赫等企业在生物工艺设备、细胞培养及分离纯化等环节形成业务布局；Lonza 等企业提供细胞与基因治疗相关的工艺开发及生产服务。中国企业中，金斯瑞生物科技布局细胞与基因治疗 CDMO 及病毒载体生产，博腾股份拓展基因细胞治疗 CDMO 业务，奥浦迈则在细胞培养基及工艺配套领域形成业务布局。

图表24：全球 CGT 产业链关键工具、技术与服务供应商格局



来源：Cell & Gene，国金证券研究所

■ CGT 产业链的受益环节不仅包括治疗产品研发企业，也包括具备跨产品服务能力的载体技术、关键原材料、自动化设备、质量检测和 CDMO 平台。随着体外细胞制造与体内基因递送两类技术路线并行发展，上游需求从传统细胞生产扩展至核酸、载体及靶向递送，具备多技术路线服务能力的企业有望获得更广泛的产业需求。

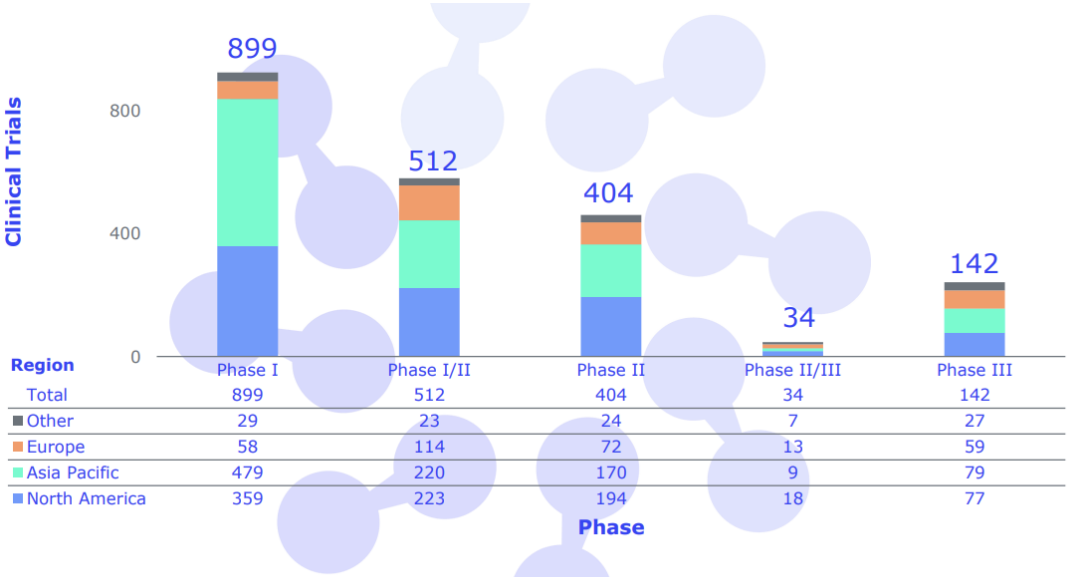
⑤全球格局：北美占据成熟商业市场，亚太研发活跃，中国形成独立研发与产业配套体系。

■ 从商业市场看，北美仍是全球 CGT 最大的区域市场。Fortune Business

Insights 估计，北美 2025 年 CGT 市场规模约 64.2 亿美元，占全球市场的 52.58%。其领先地位来自较成熟的生物技术创新体系、药品监管及审批机制、临床医疗中心网络，以及商业保险与公共支付体系的共同支撑。美国 FDA 已批准的 CGT 产品覆盖工程化免疫细胞、基因添加、基因编辑、造血干细胞及组织工程等多种技术类型，形成全球较成熟的产品商业化市场。欧洲则在基因治疗、造血干细胞基因修饰及罕见病治疗领域积累了较长时间的研发、临床转化和监管经验。

- 从全球研发管线分布看,CGT 已形成北美、亚太和欧洲多区域参与的竞争格局。根据 ARM（再生医学联盟）2026 年第三季度数据，截至 2026 年 10 月，全球共有 1,991 项活跃 CGT 临床试验，其中按临床试验涉及地区统计，亚太地区 957 项、北美 871 项、欧洲 316 项，亚太临床开发活跃度已超过北美。从研发企业总部所在地看，亚太地区有 793 家研发企业，北美 780 家，欧洲 394 家。亚太在临床试验数量及细胞治疗、基因修饰细胞研发企业数量方面已形成优势，但北美在基因治疗研发企业数量方面仍保持领先，全球 CGT 研发力量呈现多极化分布。

图表25：全球 CGT 临床试验区域及阶段分布（Q3 2026）

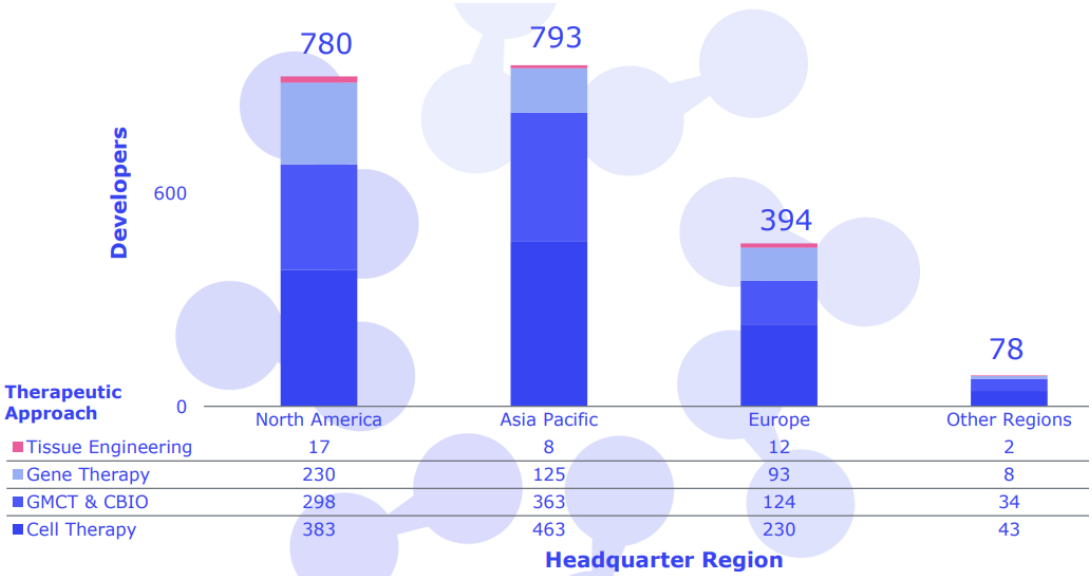


1. Within-graph labels represent phase totals
2. Clinical trials take place in multiple regions; sum of regional totals will not be equivalent to phase totals

来源：ARM，国金证券研究所

■ 从技术结构看，不同地区已形成差异化研发优势。亚太地区在细胞治疗及基因修饰细胞领域的研发主体数量分别达到 463 家和 363 家，均高于北美的 383 家和 298 家；北美则在基因治疗领域拥有 230 家研发主体，明显高于亚太的 125 家及欧洲的 93 家。这表明全球 CGT 竞争已不再局限于少数成熟市场，而是逐步形成北美基因治疗研发领先、亚太细胞治疗研发活跃、欧洲多技术路线持续参与的产业格局。

图表26：全球 CGT 研发主体区域及技术路线分布（Q3 2026）

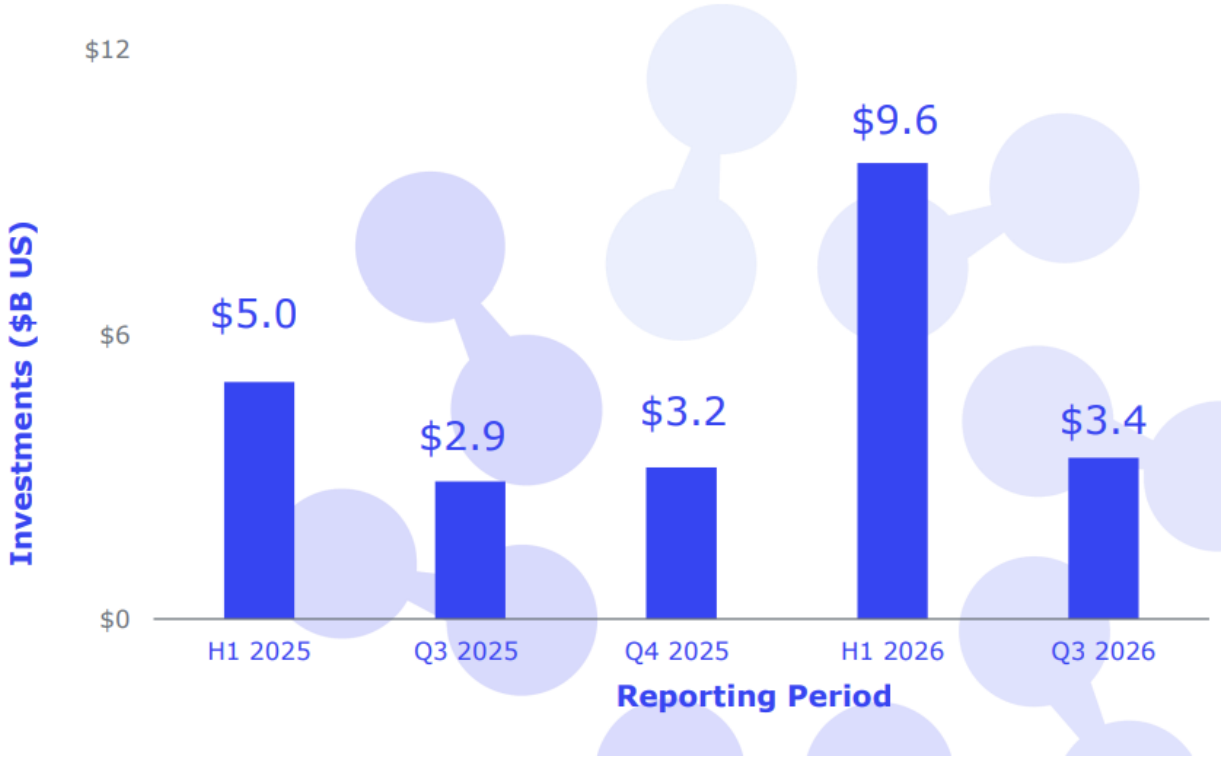


1. Within-graph labels represent headquarter region totals
2. Developers may work across multiple therapeutic approaches; sum of therapeutic approach totals will not be equivalent to regional totals
3. Please see "Methodology Notes" for additional details

来源：ARM，国金证券研究所

■ 从资本投入看，全球 CGT 投资呈现明显波动。ARM 数据显示，2026 年上半年全球 CGT 投资金额达到 96 亿美元，第三季度为 34 亿美元；其中亚太地区第三季度投资约 2 亿美元，欧洲约 2 亿美元。不同地区在融资方式和资本投入结构方面存在差异，反映出全球 CGT 产业虽然研发力量日趋多元，但资本支持与企业成长环境仍具有区域差异。

图表27：全球 CGT 投资金额变化（2025—2026 年 Q3）



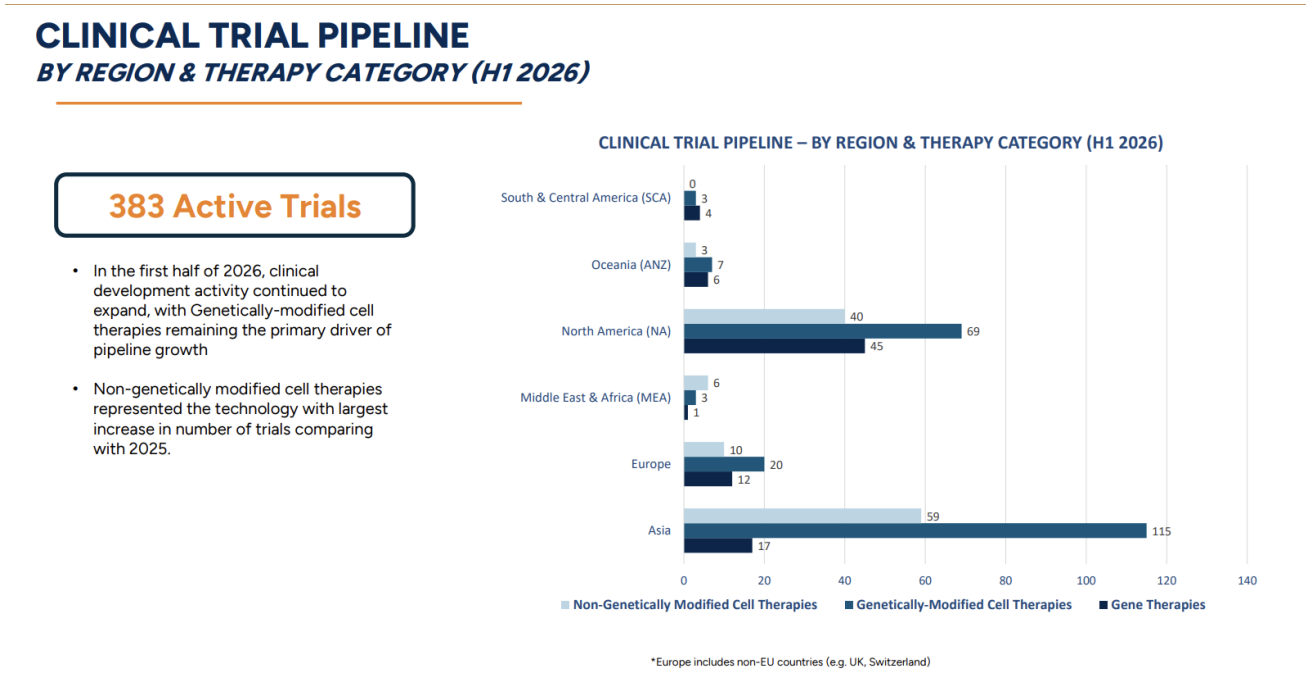
来源：ARM，国金证券研究所

- 中国 CGT 产业已形成从技术研发、细胞及载体生产，到临床试验和本土产品商业化的产业体系。在细胞治疗领域，中国企业围绕 CD19、BCMA 等成熟靶点持续推进 CAR-T 产品开发，并向 CLDN18.2 等实体瘤靶点拓展；在基因治疗领域，国内企业逐步建立病毒载体、核酸递送、细胞培养及 CGT CDMO 等配套能力。随着本土产品获批及海外授权交易增加，中国企业的竞争已从单一产品研发，进一步延伸至技术平台、临床开发和产业化能力。

■ 从全球监管与临床开发情况看，CGT 仍处于较早期的产业扩张阶段。ISCT 与 Clarivate 发布的 2026 年上半年全球监管报告显示，全球共有 383 项活跃临床试验，大部分处于 I 期和 II 期；同期有 17 款产品获得批准，基因治疗占获批产品的 47%。这表明全球 CGT 研发活动仍然高度活跃，但大部分临床项目

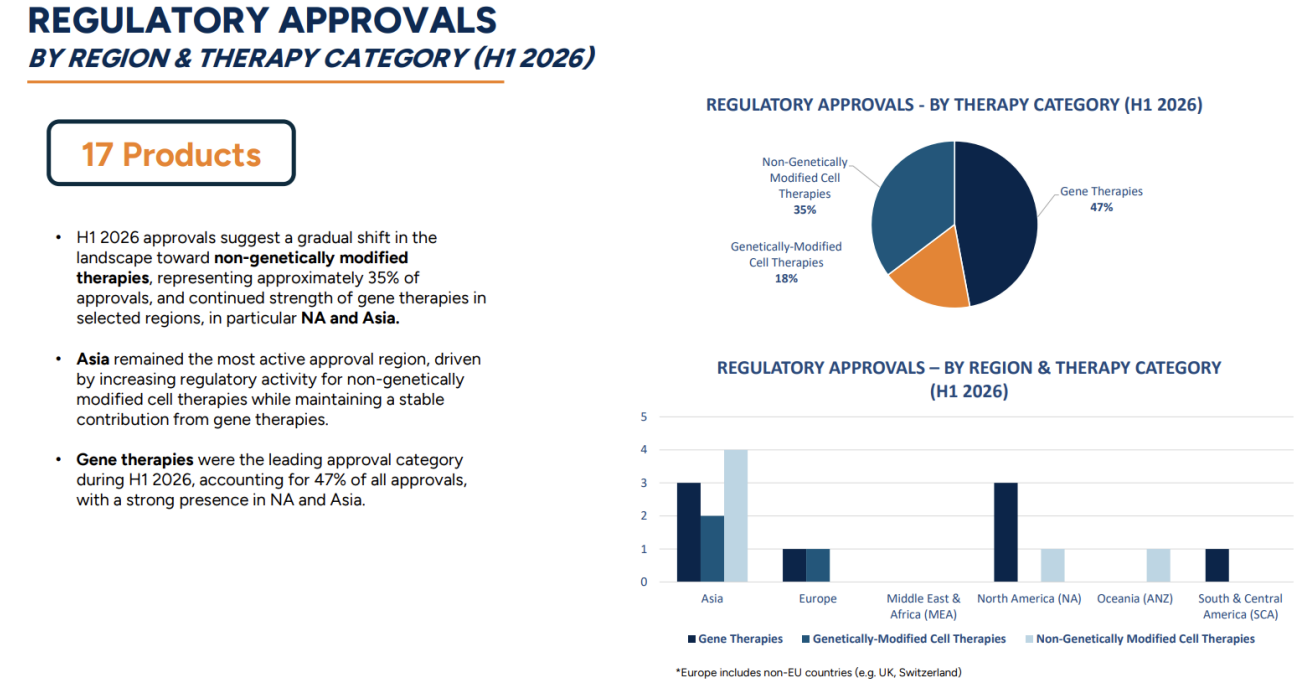
尚处于早期开发阶段，真正实现注册获批及规模化商业销售的产品仍然有限。

图表28：1H 2026 全球 CGT 活跃状态研发管线的区域及技术路线分布



来源：ISCT，国金证券研究所

图表29：1H 2026 全球获批 CGT 产品类别及地区分布



来源：ISCT，国金证券研究所

■ 综上，我们认为，全球 CGT 产业正进入商业化分化与技术平台重估并行的新阶段，主要呈现三大趋势：

（1）血液瘤 CAR-T 商业化进入分化期，真正的赢家与输家开始显现。产品竞争已从获批数量转向长期疗效、适应症拓展、销售增长及商业交付能力，具备持续临床获益和商业化放量能力的产品逐步拉开差距。

（2）In vivo 成为大型药企争夺下一代细胞治疗平台的焦点。跨国药企通过高额并购与授权交易，竞逐慢病毒、LNP、环状 RNA 及靶向递送技术，产业竞争正从单一候选药物延伸至可跨靶点、跨适应症复制的平台能力。

（3）全球 CGT 研发力量加速多极化，但商业化能力与资本回报仍存在明显差异。亚太临床开发日趋活跃，中国企业在产品研发、技术平台及产业配套方面持续拓展；但从临床管线到获批产品、规模化销售及资本回报，仍存在显著转化差异。

■ 我们认为，未来 CGT 产业的竞争核心，将不再只是技术突破和管线数量，还需要关注谁能够持续实现临床价值、商业化兑现与资本回报。

下个风口：In vivo、自免、异体 CAR-T 与 TIL

全球 CGT 未来的产业机会，将同时来自治疗市场的扩大和治疗方式的改变。血液瘤 CAR-T 已证明个体化细胞治疗能够实现重磅药级收入，但实体瘤、自身免疫病等更广泛的疾病市场，仍需要在临床获益、治疗负担和患者可及性之间取得新的平衡。与此同时，异体和 In vivo 技术正在尝试改变细胞治疗的制造与交付方式，其潜在价值不仅体现为降低成本，还可能使原本无法接受复杂细胞治疗的患者获得治疗机会。

■ 我们判断，下一轮 CGT 产业增量将优先出现在三个环节：具有足够临床价值

的新疾病市场、能够显著扩大患者可及性的治疗方案，以及具备跨产品应用能力的技术平台。实体瘤 TIL 与自身免疫病 CAR-T 已经积累较明确的人体临床证据；异体和 In vivo 则在推进新的制造模式，但不同路线的临床成熟度和产业化确定性仍有明显差异。

自免：免疫重置有望开辟慢性疾病长期缓解的新市场

自身免疫病可能成为 CAR-T 继血液瘤之后最具战略价值的治疗市场之一。其核心机会在于，细胞治疗有望从反复抑制异常免疫活动，发展为通过深度清除致病性免疫细胞，实现长期缓解和减少持续用药。SLE（系统性红斑狼疮）及狼疮肾炎是这一方向最值得优先关注的疾病，而系统性硬化症、炎性肌病及部分神经系统自身免疫病，也正在提供新的临床验证场景。

图表30：全球 SLE CAR-T 临床进展：自体、异体及双靶点多路线并进

公司	产品	技术路线	SLE/LN临床样本量	主要疗效数据	随访时间/观察时点	备注
BMS	zola-cel	自体CD19 CAR-T	34例	20/22（91%）停用疾病相关免疫抑制剂	中位随访14.8个月；疗效观察12个月	自体CAR-T
阿斯利康/亘喜生物	GC012F/AZD0120	自体CD19/BCMA双靶CAR-T	长期队列10例；另一研究12例	长期队列DORIS缓解6/10（60%）；另一研究5/7（71.4%）	96周；48周	自体双靶点
诺华	rap-cel/YTB323	自体CD19 CAR-T	21例	疾病活动度持续改善；部分患者蛋白尿消退	最长24个月	最新披露暂停招募
Autolus	obe-cel	自体CD19 CAR-T	15例	随访≥6个月者均曾达到DORIS缓解；LN完全肾脏缓解6/9	最长25.5个月	包含狼疮肾炎
Cabaletta	rese-cel	自体CD19 CAR-T	SLE及LN主要队列18例	重复肾活检的5例LN患者均达DORIS缓解并停用免疫调节药物	阶段性临床数据	自体CAR-T
Adicet Bio	prula-cel	异体γδ CD20 CAR-T	22例疗效可评估	DORIS缓解7/13（54%）；LN完全肾脏缓解5/10（50%）	12个月	异体γδ T细胞
ImvivaBio	CTA313	异体CD19/BCMA双靶CAR-T	非肾脏主导SLE 14例；另有LN队列	DORIS缓解8/11（73%）；12个月7/8（88%）	6个月；12个月	异体双靶点
Fate Therapeutics	FT819	iPSC来源异体CD19 CAR-T	既往SLE队列21例	无预处理化疗3例中2例DORIS、1例LLDAS；另2例LN在6个月达到肾脏应答	6个月等	探索免预处理
CRISPR Therapeutics	zugo-cel	基因编辑异体CD19 CAR-T	4例SLE；3例可评估	2/3无药物DORIS缓解维持≥9个月，其中1例超过12个月	9—12个月以上	基因编辑异体
药明巨诺	relma-cel	自体CD19 CAR-T	12例	SRI-4为12/12（100%）；LLDAS为6/12（50%）；DORIS为3/12（25%）	至少6个月	自体CAR-T
驯鹿生物	泽沃基奥仑赛/FUCASO	自体BCMA CAR-T	3例难治性LN	DORIS缓解2/3；完全肾脏缓解2/3；3例均停用激素和免疫抑制剂	9个月	BCMA靶点
虹信生物等研发团队	HN2301	LNP-mRNA体内CD19 CAR-T	5例难治性SLE	5例疾病活动评分均下降	3个月	In vivo CAR-T
Kyverna	miv-cel/KYV-101	自体CD19 CAR-T	混合自免队列中1例SLE	1例SLE达到SRI-8应答	2026年ACR公布	成熟注册数据主要来自僵人综合征
Allogene	ALLO-329	异体CAR-T	已纳入SLE患者	尚无明确可独立比较的SLE分病种疗效数据	早期临床	异体CAR-T
齐汉生物	QT-019B	基因编辑异体CD19/BCMA双靶CAR-T	2026年I/IIa期7例；此前IIT中SLE 2例、SLE-ITP 6例	既往SLE 2例：1例DORIS缓解、1例SRI-4应答；SLE-ITP 6例：5例CR、1例PR	2026年队列中位随访3个月；既往SLE于第2个月评价	异体双靶点

来源：各公司公告，ACR，国金证券研究所整理　　数据更新至 2026 年 11 月 20 日

- 这一方向已经开始积累超越短期疾病评分的临床证据。2026 年发表的一项 BCMA/CD19 双靶点 CAR-T 长期随访研究纳入 12 名难治性 SLE 患者，中位随访 30 个月，报告其中 10 名达到研究定义的严格 SLE 完全缓解，11 名实现无药物血清学缓解。这为一次或有限次数细胞治疗实现长期免疫控制提供了重要依据，但仍需要更大规模、不同疾病严重程度患者中的前瞻性研究确认。
- 我们判断，SLE 细胞治疗的商业价值，首先取决于能否在严重、难治且器官受累的患者中建立足够明确的长期获益，随后才可能逐步向更广泛的慢性病人群扩张。 相较于长期使用激素、免疫抑制剂和生物制剂，如果一次性治疗能够带来持续缓解、减少复发及器官损伤，其潜在价值将来自多年医疗费用与疾病负担的变化，而不仅是单次治疗收费。
  - CD20、CD19 及其他 B 细胞靶向抗体、TCE（T 细胞衔接器）等现货型药物也在不断改善疗效。2025 年发表于《新英格兰医学杂志》的狼疮肾炎 III 期研究已证明，新一代 B 细胞清除抗体能够带来临床获益。未来细胞治疗必须用更长的无药缓解时间、更低的累积治疗负担和可接受的安全性，建立区别于这些药物的临床价值。
  - 从产业发展阶段看，自免细胞治疗最初更可能集中于高度难治的患者群体；随着疗效、安全性、制造及支付体系成熟，适用人群才有机会扩大。因此，自免的真正风口不是简单复制肿瘤 CAR-T 的治疗方式，而是创造一个以长期免疫重置为核心的新治疗市场。

异体 CAR-T：标准化现货供应有望突破个体化治疗的交付边界

异体细胞治疗的主要产业机会，是通过批量生产、提前储存和即时供应，将细胞

治疗从患者专属的生产流程转向更接近标准化药品的供应模式。 如果疗效及安全性能够达到临床要求，异体治疗不仅有机会降低单次生产与物流成本，还可能扩大治疗机构的覆盖范围，使更多患者无需等待个人专属产品制造。

- 2026 年 4 月 13 日，Allogene 公布 cema-cel 用于一线大 B 细胞淋巴瘤治疗后巩固治疗的 ALPHA3 研究中期分析结果。该研究选择 MRD 阳性患者开展巩固治疗，试图在疾病负担相对较低的阶段消除残留恶性细胞。在早期随机队列中，治疗组 12 名患者有 7 名达到 MRD 阴性，对照观察组 12 名患者中有 2 名达到 MRD 阴性；事件无进展生存期等关键终点仍在随访。公司还披露，12 名接受治疗的患者中有10名在输注后接受门诊管理，部分治疗发生于社区肿瘤中心。
  - 这一研究方向的产业意义，不只是将自体细胞替换为异体细胞，而是尝试改变细胞治疗进入临床的时间和场所。若现货型 CAR-T 能够在较早治疗阶段以更简便的方式使用，部分传统 CAR-T 因制造周期、医院条件及患者疾病进展而产生的交付限制，可能得到缓解。
- 异体技术在自身免疫病中的进展也值得关注。2026 年 11 月 9 日，Allogene 公布 ALLO-329 的 I 期研究数据，18 名患者完成初步安全性观察，其中 10 名以皮肤病变为主的系统性硬化症患者中，8 名获得具有临床意义的皮肤评分改善，9 名维持停用背景免疫抑制治疗。初期研究还观察了不使用传统清淋预处理的治疗方案。
  - 异体平台未来的竞争将不止于单位生产成本，还可能涉及是否需要清淋、能否重复给药、疗效是否持久，以及治疗能否从大型专科中心扩展至更多医疗机构。

- 我们判断，异体 CAR-T 最值得关注的价值跃迁，将发生在临床持久性与标准化交付同时获得验证之后。其未来市场机会可能来自两个方向：一是在血液瘤中进入更早治疗阶段及更广泛治疗机构；二是在自身免疫病中降低一次性免疫重置治疗的复杂程度，使其具备覆盖更大患者群体的条件。

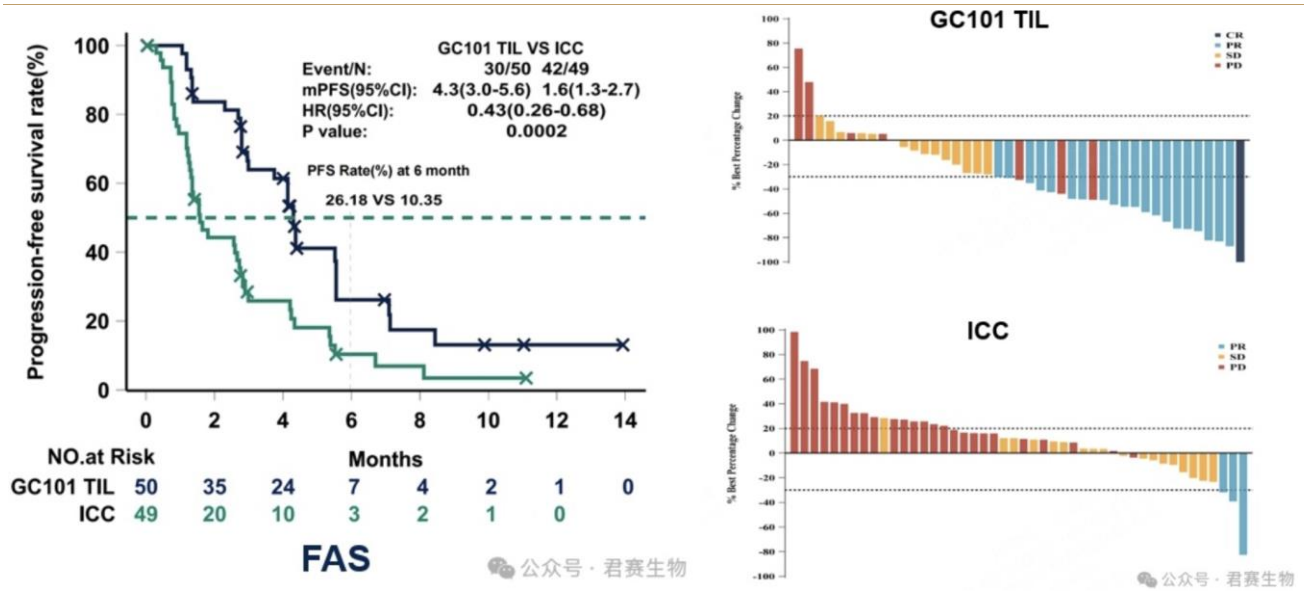
TIL：生产工艺与治疗方案简化及精准患者分层，实体瘤扩展适应症

TIL 下一阶段的增长机会，将来自两个方向：一是通过制造与治疗方案升级，降低患者接受细胞治疗的身体负担和医疗成本；二是识别真正能够获得长期缓解的优势患者群体，并逐步拓展至发病率更高的实体瘤。 这一变化可能比单纯增加 TIL 产品数量，更有助于推动实体瘤细胞治疗形成持续增长的商业市场。

- Iovance 的商业化进展已经提供了初步参照。2026 年第三季度，Amtagvi 美国销售额达到 1.02 亿美元，同比增长约 77%；公司披露累计已有超过 1,000 名患者接受商业化 Amtagvi 治疗。与此同时，Iovance 正推进非小细胞肺癌和软组织肉瘤等新适应症的临床开发。
  - 在非鳞状非小细胞肺癌研究中，Iovance 报告 69 名患者的客观缓解率为 24.6%（含 2 例尚未确认的缓解）。进一步回顾性分析发现，由 KRAS 野生型、HER2 野生型及吸烟史等特征定义的 22 名患者亚组，客观缓解率达到 59.1%。虽然这一结果仍需前瞻性验证，但它提示，实体瘤细胞治疗的市场扩张未必依赖对全部患者取得同等疗效，而可能首先来自识别高获益的患者亚群。
- 中国企业则在治疗流程简化方面形成差异化探索。君赛 GC101 通过无需滋养细胞的扩增工艺、降低清淋强度以及免除回输后 IL-2 给药，尝试减少传统 TIL

治疗的复杂性。其 MIZAR-003 随机 II 期研究显示，GC101 组中位 PFS 为 4.3 个月，对照组为 1.6 个月（HR=0.43，P=0.0002），客观缓解率分别为 42.0%和 6.1%。2026 年 10 月 26 日，GC101 上市申请获受理。

图表31：GC101 治疗晚期黑色素瘤的 PFS 及肿瘤缓解结果



来源：君赛生物，ifeng，国金证券研究所

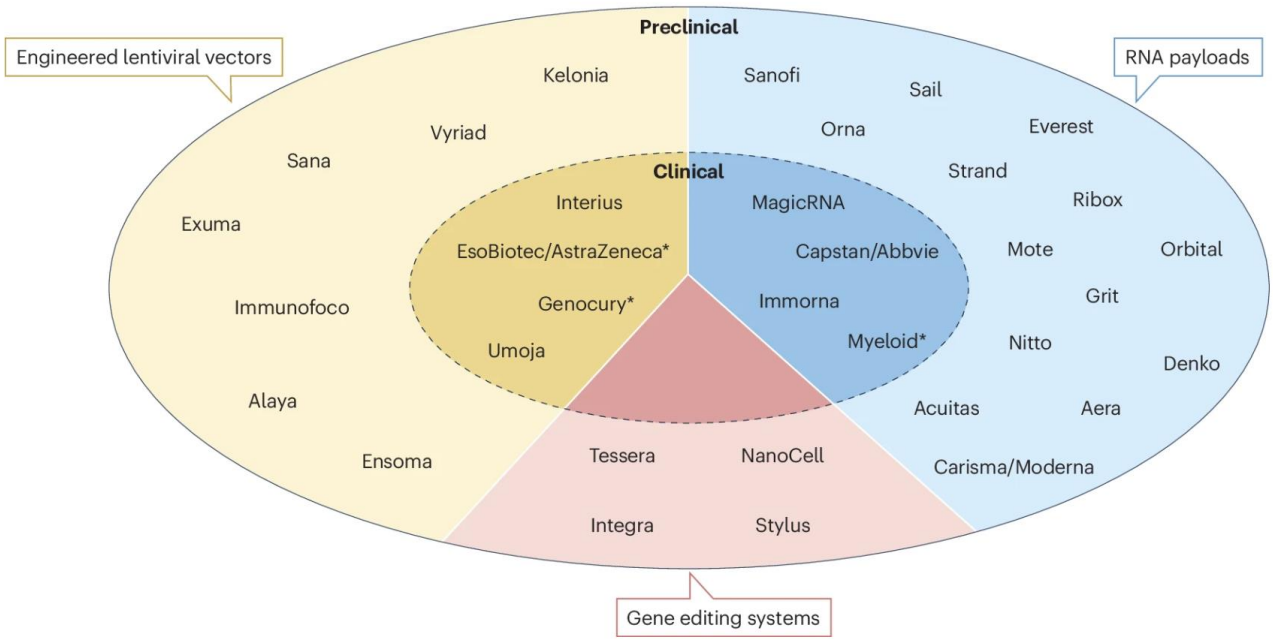
- 我们认为，下一代 TIL 的真正竞争优势，将体现为单位临床获益所需要付出的总体治疗代价。 评价标准不仅包括缓解率、缓解持续时间和生存获益，还应包括取材成功率、制备周期、患者从入组到输注的完成率、清淋与 IL-2 相关治疗负担，以及完整治疗费用。
  - 尤其在实体瘤领域，患者池庞大并不自动意味着商业市场庞大。只有当足够多的患者能够获得有意义的长期临床收益，且治疗流程、费用与现有免疫治疗、ADC 和其他新药相比具有竞争力时，TIL 才能从少数高度经治患者的治疗选择，向更广泛的疾病阶段和医院网络扩张。
  - 实体瘤细胞治疗下一轮市场份额变化，可能首先发生在患者筛选更精准、制备与临床流程更简洁、治疗中心交付能力更强的产品之间。 从黑色素

瘤向肺癌及其他高发实体瘤拓展，是其值得重点跟踪的增量方向。

In vivo：体内制药新路径，持久性与递送控制决定产业化速度

In vivo CAR-T 的潜在产业价值，是将部分患者专属的细胞制造过程转移至人体内，从而改变细胞治疗的生产、交付及成本结构。 当前资本市场已经为这一方向给予高度关注，但临床证据仍处于早期，其长期价值需要由更大样本的疗效持久性、安全性和真实制造经济性进一步验证。

图表32：全球 In vivo CAR 治疗技术平台及研发企业布局



来源：Nature，国金证券研究所

- In vivo 与传统自体 CAR-T 之间最大的产业差别，在于药品交付对象发生变化。传统自体 CAR-T 向医院交付的是已经完成基因改造与细胞扩增的治疗性细胞；In vivo 平台则主要交付用于在患者体内产生 CAR 细胞的递送制剂。
  - 由此，部分原本需要逐位患者完成的体外制造活动，有机会转变为标准化制剂生产。对于医院而言，减少白细胞单采、跨区域物流、患者专属制造

和等待时间，可能扩大可接受治疗的患者范围；对于药企而言，则可能改变生产规模、质量控制和商业配送体系。

- 但这项制造优势能否转化为商业优势，取决于一个更根本的问题：人体内生成的 CAR-T 细胞能否持续、稳定地发挥治疗作用。
  - 2026 年 10 月的 ESO-T01 延长随访研究显示，在 4 名早期获得缓解的患者中观察到 1 名维持 15 个月严格完全缓解，另外 3 名出现复发或进展，中位 PFS 仅 4.0 个月。研究同时指出，部分患者在 CAR-T 细胞变得不可检测后发生疾病进展，提示细胞持续性仍是重要限制。
  - 这一结果使我们有必要区分两种完全不同的价值：一种是 In vivo 已初步证明可以在人体内完成 CAR-T 细胞生成，另一种是它尚需证明能够持续产生与成熟体外 CAR-T 相竞争的临床获益。
- 我们判断，未来 In vivo 平台的竞争将重点集中于靶向递送能力、体内细胞扩增及持久性、安全控制、重复给药条件和生产成本。不同递送技术的优劣也可能因疾病而改变：恶性肿瘤通常更重视持续杀伤和深度缓解，而自身免疫病还需要关注免疫重置的程度与持续时间。
  - In vivo 的产业投资机会可能首先体现在掌握关键递送与细胞工程能力的平台，而成熟的二级市场投资机会则需要等待更完整的临床证据。

其他：NK、TCR 与 iPSC，细胞来源与功能设计形成差异化机会

除 TIL、异体 CAR-T 和 In vivo 之外，NK、TCR-T 及 iPSC 来源细胞等技术仍在拓展 CGT 的治疗边界，但其产业机会将高度依赖具体疾病与产品，难以仅凭技术平台名称判断商业潜力。

- NK 细胞治疗的吸引力主要来自天然免疫杀伤能力，以及利用健康供者或标准化细胞来源进行生产的可能性。2026 年《Nature Reviews Bioengineering》关于异体免疫治疗的综述指出，iPSC 及造血干细胞来源的 NK、T、巨噬细胞和其他免疫细胞平台，正在通过克隆化编辑、定向分化和免疫逃逸设计提高产品标准化程度。与此同时，体内持久性、免疫排斥及规模化生产的一致性仍是临床转化的重要挑战。

- TCR-T 的价值则更多来自其不同于 CAR-T 的抗原识别范围，尤其是部分无法直接由细胞表面 CAR 识别的肿瘤抗原。该技术已有实体瘤获批产品，但其未来市场扩张仍依赖抗原表达、HLA 适配人群、治疗安全性及相对于其他肿瘤治疗方案的疗效优势。

- iPSC 来源的细胞治疗还具有另一项值得关注的潜力，即在再生医学中提供经过标准化制造的特定功能细胞。2026 年《Nature Medicine》发表的 STEM-PD 早期研究，对 8 名帕金森病患者开展多能干细胞来源多巴胺能前体细胞移植，初期数据支持该治疗路径的可行性，并继续开展长期安全性与功能评估。

  - iPSC 平台最重要的潜在价值是通过稳定的细胞来源、标准化分化与规模化生产，将部分细胞疗法从患者专属制备转向批量供应。但这项价值必须与细胞功能成熟度、长期安全性、免疫匹配及生产成本共同评价。

- 我们判断，其他细胞技术短期内更可能出现疾病或产品层面的局部突破，而非所有技术同步形成商业化浪潮。 相比笼统押注 NK、TCR 或 iPSC 平台，我们更关注那些能够在特定疾病中建立明确临床差异、形成可复制制造流程，并具备足够患者市场的项目。

产业链：全球龙头领跑，中国多线突破，上游分化收益

全球龙头：血液瘤、基因编辑商业化，新一代 CAR 与 in vivo 蓄势

全球 CGT 产业链已形成大型制药集团、专业化技术平台、创新型产品开发企业与研发制造服务商共同参与的竞争格局。成熟 CAR-T 产品的收入正在向少数拥有临床、生产和商业化能力的企业集中，基因编辑、异体细胞与体内递送技术则培育出新的创新主体。与此同时，CGT 从个体化制造走向更大规模的临床应用，使载体、自动化生产、细胞培养、质量检测及 CDMO 等环节逐渐形成独立产业价值。

- 我们判断，CGT 产业链的价值将主要由三类企业获得：拥有临床竞争力和商业化网络的治疗产品龙头、掌握关键技术平台和知识产权的创新企业，以及能够持续提高生产效率、降低交付成本的产业链服务商。不同企业所处的阶段、风险承担和利润分配方式存在明显差异。

- 大型制药集团的 CGT 布局以礼来、强生、吉利德、百时美施贵宝、罗氏和福泰制药为代表。礼来通过 Orna、Kelonia 和 Verve 切入体内细胞工程与基因编辑；吉利德依托 Kite 与 Arcellx 深化 CAR-T 产品组合；百时美施贵宝整合 Juno、2seventy bio 及 Orbital，形成从成熟 CAR-T 向体内递送延伸的布局。罗氏通过 Spark 与 Poseida 覆盖基因治疗和工程化细胞，福泰制药联合 CRISPR Therapeutics 推动 CASGEVY 商业化。

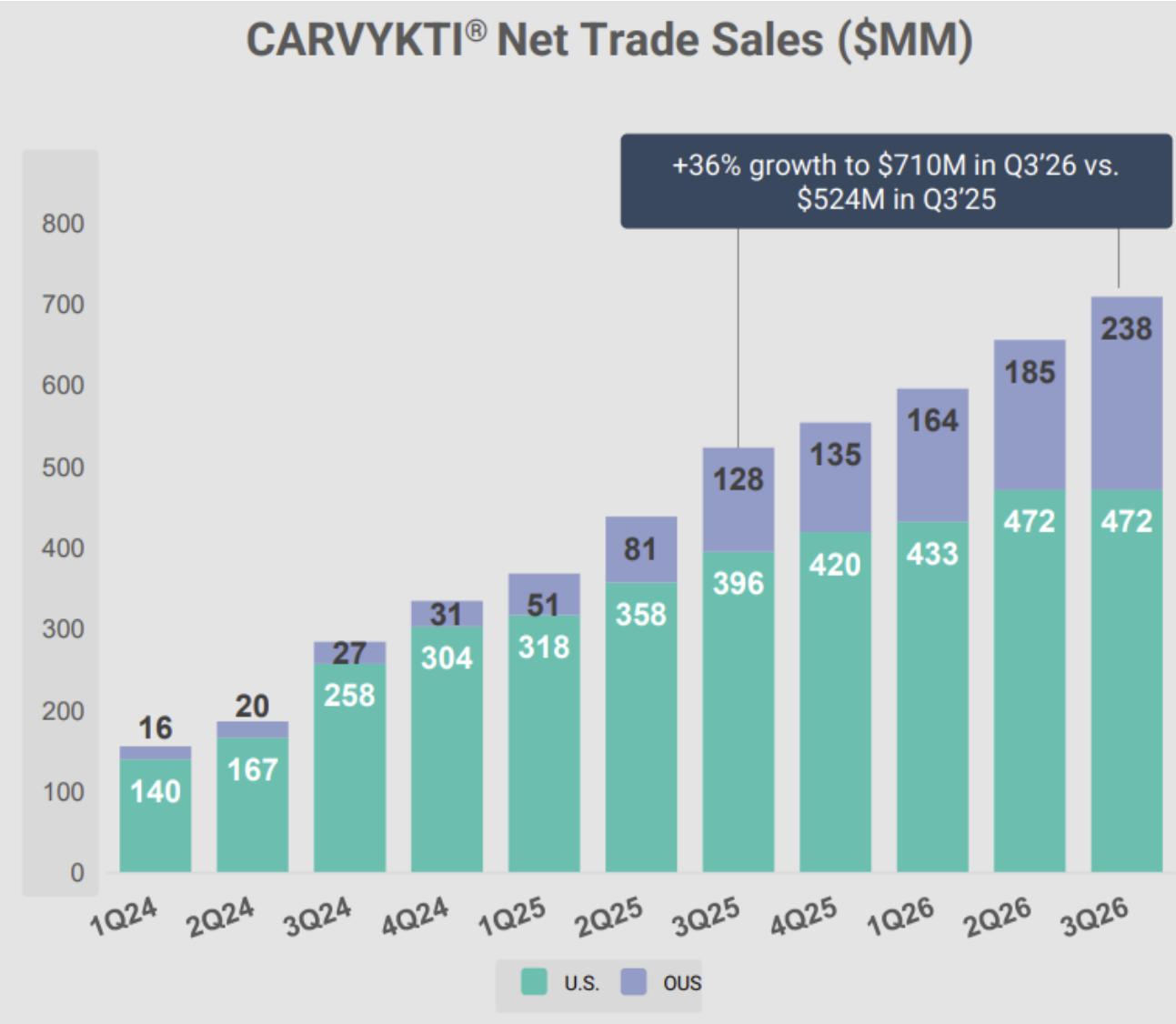
--强生/传奇：CARVYKTI 冲数十亿美元，双靶 in vivo CAR-T 蓄势

传奇生物成立于 2014 年，2020 年在美国纳斯达克上市（LEGN），是一家源于中国研发体系、专注于创新细胞治疗的生物科技公司。公司与美国大型制药集团强生合作开发的 CARVYKTI，是全球多发性骨髓瘤 CAR-T 市场的重要产品，也是传奇实

现从临床研发企业向商业化细胞治疗公司转型的核心资产。

- CARVYKTI 凭借双表位 BCMA 识别设计和持续积累的临床获益，在多发性骨髓瘤市场形成较强竞争地位。2025 年全球销售额 18.87 亿美元，2026 年前三季度达到 19.64 亿美元，其中第三季度销售 7.10 亿美元。至 2026 年 11 月 1 日，产品已经覆盖 20 个市场、373 家治疗机构，全球商业化网络持续扩大。
  - 2026 年第三季度，美国二线及三线患者占 CARVYKTI 单采量的 50%，较 2025 年第一季度的 29%明显提升，反映治疗线前移正在推动患者需求增长；销售额达到 7.10 亿美元，较 2025 年同期增长 36%；其中美国以外市场销售额同比增长 86%，海外放量明显快于美国。

图表33：CARVYKTI 销售增势强劲



来源：Legend，国金证券研究所

- 其长期临床数据同样值得关注。CARTITUDE-2 队列 A 中，20 名接受治疗的患者经过五年随访，约一半在单次输注后仍然存活、无疾病进展且未接受后续抗骨髓瘤治疗。更长的缓解持续时间，正在强化 CARVYKTI 在复发多发性骨髓瘤中的竞争优势。

■ 传奇的产业价值不仅来自CARVYKTI销售增长，也来自与强生的利润分配安排。2026 年第三季度，公司合作收入达到 3.53 亿美元，营业利润约 4,680 万美

元，净利润约 5,170 万美元，显示商业化规模扩大正逐步向公司自身盈利转化。

- 在下一代产品方面，传奇已推进 DLL3 CAR-T 及 CD19/CD20 双靶点体内 CAR-T 等项目。其中，LB2501 已获得早期人体临床概念验证，高剂量组客观缓解率达 100%，完全缓解率 83.3%，为公司从成熟自体 CAR-T 向体内细胞工程拓展提供了初步临床依据。

■ 未来重点关注 CARVYKTI 治疗线继续前移、全球患者覆盖、制造与商业成本下降，以及下一代细胞治疗能否形成独立产品价值。公司仍需面对 BCMA 双抗、其他 CAR-T 和新型免疫治疗的竞争。

--BMS：传统 CAR-T，Breyanzi 高歌猛进，Abecma 黯然失色

BMS（百时美施贵宝）是美国药企龙头之一，现公司于 1989 年由 Bristol-Myers 与 Squibb 合并形成，在纽交所上市。其 CGT 业务主要通过收购 Celgene、Juno 相关技术资产及 2seventy bio 逐步建立，已形成覆盖 CD19 和 BCMA 的商业化 CAR-T 产品组合。

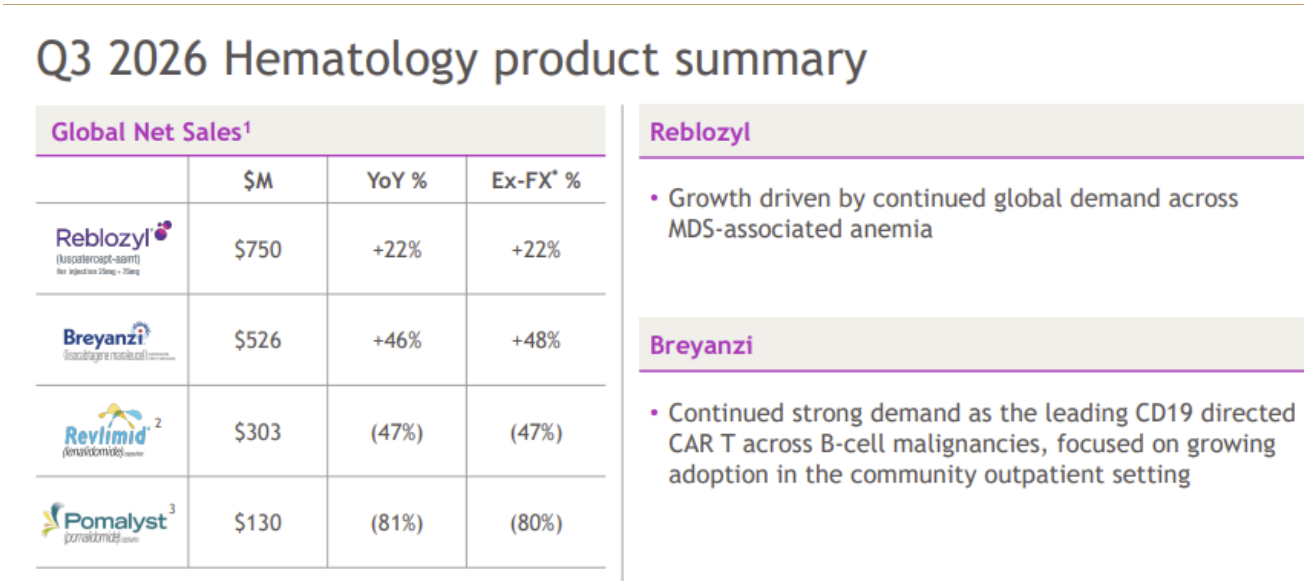
■ Breyanzi 是 BMS 细胞治疗业务的重要增长引擎，2025 年全球销售额达到 13.58 亿美元，2026 年第三季度达到 5.26 亿美元，同比增长 46%。其适应症布局覆盖多种 B 细胞恶性肿瘤，产品增长与治疗范围扩大及门诊、社区医疗机构应用推进有关。

- Abecma 则体现出 CAR-T 产品之间日益激烈的竞争。2026 年第三季度，Abecma 销售额约 7,600 万美元，同比下降 44%，与 Breyanzi 的高速增长形成鲜明对比。同属 BMS 的两款细胞治疗产品，因靶点、疾病市场和竞品

格局不同，商业化结果已经出现明显分化。

- BMS 并购 2seventy bio 进一步整合了 Abecma 权益，并收购 Orbital Therapeutics 布局体内 CAR-T 及自身免疫病，显示公司正从传统自体 CAR-T 产品组合向下一代平台扩展。

图表34：BMS Breyanzi 销售增长 46%，社区门诊持续放量



来源：BMS，国金证券研究所

■ BMS 的 CGT 优势是成熟全球商业化体系、多个已上市产品和持续整合外部创新资产的能力。 后续增长重点在于 Breyanzi 的市场渗透、Abecma 的竞争定位调整，以及新平台能否提供下一轮增长动力。

--Gilead/Kite/Arcellx：Yescarta 增长失速，anito-cel 拓新空间

Gilead Sciences 成立于 1987 年，是美国生物药龙头之一；1992 年在纳斯达克上市。其细胞治疗业务主要由 2017 年收购的 Kite Pharma 建立，Kite 开发的 Yescarta 是全球首批获批 CAR-T 产品之一。

■ 经过近十年发展，Kite 已经建立覆盖细胞制造、治疗中心、临床开发和全球

商业推广的 CAR-T 业务体系。2025 年，Yescarta 全球销售额约 14.95 亿美元；2026 年前三季度为 9.73 亿美元，同比下降约 14%。同期 Tecartus 销售约 2.06 亿美元，也呈现下降趋势，反映出传统 CD19 CAR-T 市场增长与竞争格局正在发生变化。

图表35：Gilead 细胞治疗产品销售承压，Yescarta 前三季度下降 14%

GILEAD

PRODUCT SALES SUMMARY (Continued)
(unaudited)

(in millions)		2024 Q1	2024 Q2	2024 Q3	2024 Q4	2024 FY24	2025 Q1	2025 Q2	2025 Q3	2025 Q4	2025 FY25	2026 Q1	2026 Q2	2026 Q3
Liver Disease														
Livdelzi	U.S.	—	—	1	30	31	40	74	93	135	342	115	147	176
	Europe	—	—	—	—	—	—	4	11	15	31	18	20	26
	Rest of World	—	—	—	—	—	—	—	—	—	—	—	—	1
		—	—	1	30	31	40	78	105	150	373	133	167	203
Sofosbuvir/Velpatasvir[3]	U.S.	248	267	222	185	922	166	184	146	140	636	141	142	139
	Europe	79	84	67	69	299	80	81	65	66	292	60	81	59
	Rest of World	78	126	96	75	374	99	76	97	71	344	82	80	76
		405	476	385	330	1,596	346	342	309	276	1,272	283	303	274
Vemlidy	U.S.	95	117	126	148	486	100	122	136	149	507	91	124	170
	Europe	11	11	11	11	44	12	13	12	12	49	13	13	13
	Rest of World	119	115	95	100	428	140	117	132	125	514	132	152	151
		225	243	232	260	959	252	252	280	287	1,070	237	289	333
Other Liver Disease[4]	U.S.	42	47	44	27	161	28	33	39	34	134	15	20	39
	Europe	47	47	54	54	202	76	72	70	82	299	78	79	62
	Rest of World	19	19	17	18	73	17	19	17	16	69	21	19	16
		107	113	115	100	435	121	123	126	131	501	114	118	117
Total Liver Disease	U.S.	385	431	393	391	1,601	335	413	414	457	1,619	362	433	524
	Europe	137	142	132	134	545	168	170	158	174	671	170	193	161
	Rest of World	215	259	207	194	876	256	211	247	212	927	235	251	243
		737	832	733	719	3,021	758	795	819	844	3,217	767	877	927
Veklury														
Veklury	U.S.	315	76	393	108	892	199	51	140	80	470	112	14	63
	Europe	70	53	81	80	284	22	19	43	67	151	14	2	12
	Rest of World	169	85	219	150	623	82	50	93	65	290	18	7	11
		555	214	692	337	1,799	302	121	277	212	911	144	23	86
Oncology														
Cell Therapy														
Tecartus	U.S.	55	63	63	53	234	40	41	40	32	153	30	29	24
	Europe	36	37	29	36	138	31	41	35	51	158	37	34	31
	Rest of World	8	7	6	10	31	8	9	8	7	32	8	8	5
		100	107	98	98	403	78	92	83	90	344	75	70	60
Yescarta	U.S.	170	186	145	161	662	160	162	123	151	595	120	132	114
	Europe	158	169	182	156	666	149	154	151	143	598	146	139	107
	Rest of World	52	58	60	72	242	77	77	75	74	303	67	75	73
		380	414	387	390	1,570	386	393	349	368	1,495	332	346	294
Total Cell Therapy	U.S.	225	250	208	213	896	200	203	163	183	748	150	161	139
	Europe	195	206	211	193	804	180	196	186	193	755	183	173	138
	Rest of World	60	66	66	82	274	84	86	83	82	335	74	83	78
		480	521	485	488	1,973	464	485	432	458	1,839	407	417	355
Trodelvy														
Trodelvy	U.S.	206	224	226	247	902	181	224	221	251	877	253	307	336
	Europe	68	69	80	77	294	75	96	89	88	347	95	92	98
	Rest of World	36	26	26	31	119	37	44	47	45	173	54	57	71
		309	320	332	355	1,315	293	364	357	384	1,397	402	457	506
Total Oncology	U.S.	431	474	433	461	1,798	381	427	384	434	1,626	403	468	475
	Europe	262	275	291	269	1,098	255	291	275	281	1,102	278	265	236
	Rest of World	96	92	92	113	393	121	131	129	127	508	129	140	149
		789	841	816	843	3,289	757	849	788	842	3,236	810	873	860

来源：Gilead，国金证券研究所

■ Gilead 通过收购 Arcellx 进一步进入 BCMA CAR-T 市场。2026 年 4 月，公司完成对 Arcellx 的收购，隐含股权价值约 78 亿美元，取得 anito-cel 的完整权益，并消除原合作中的未来利润分成、里程碑和特许权使用费义务。

▪ Anito-cel 采用 Arcellx 的 D-Domain 技术，开发重点为复发难治性多发性骨髓瘤。其产品价值不仅在于增加一种 BCMA CAR-T 选择，也在于使

Gilead 能够将 Kite 既有的细胞生产和商业化网络用于新一代产品开发。Anito-cel 的 BLA 已获 FDA 受理，目标审评决定日期为 2026 年 12 月 23 日。该产品有望成为 Gilead 细胞治疗业务下一阶段的重要增长驱动力。

- Gilead 还通过 Interius 等资产布局体内细胞工程，形成从成熟自体 CAR-T 到下一代递送平台的技术组合。
- 我们认为，Gilead 细胞治疗业务已经进入产品组合更新阶段。Yescarta 提供成熟商业化基础，anito-cel 承担下一轮产品竞争任务，而体内细胞工程则形成长期平台储备。关键变量是 anito-cel 能否在 CARVYKTI 及新型 BCMA 治疗方案的竞争中形成足够差异化。

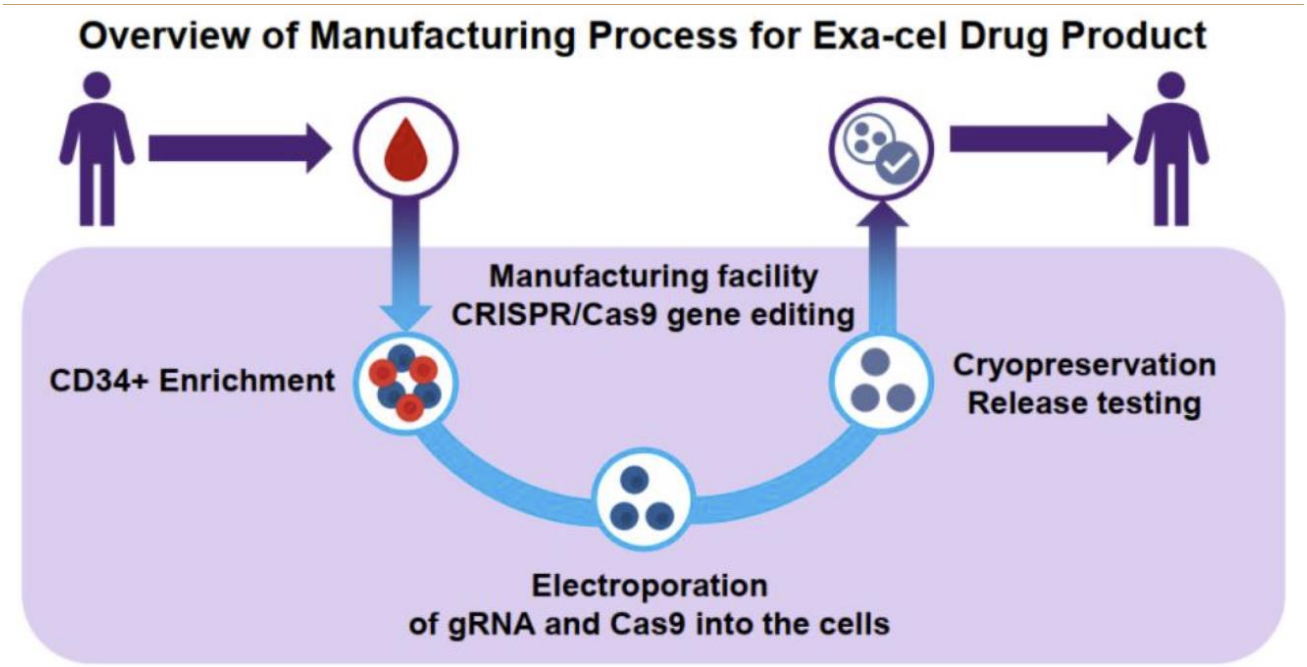
--Vertex/CRISPR：创新先锋强强联合，CASGEVY 基因编辑商业化

Vertex 制药成立于 1989 年，总部位于美国波士顿；1991 年在纳斯达克上市，是一家以遗传学和明确疾病机制为研发基础的全球生物制药企业。公司通过囊性纤维化治疗建立了成熟的商业化能力，并与 CRISPR Therapeutics 合作开发 CASGEVY，进入基因编辑治疗领域。

CRISPR Therapeutics 成立于 2013 年，是注册于瑞士、主要研发活动覆盖欧美的基因编辑生物科技公司，2016 年在纳斯达克上市。公司以 CRISPR 基因编辑为核心技术平台，同时研发造血干细胞、免疫细胞及体内基因编辑产品。

- CASGEVY 是双方合作的首个重要商业化成果，已经获批用于镰状细胞病和输血依赖型β地中海贫血，并逐步扩大适用年龄和全球市场覆盖。

图表36：CASGEVY体外基因编辑治疗流程



来源：FDA，国金证券研究所

- 2026年第三季度，CASGEVY销售额达到9,900万美元，环比增长30%，接近2025年全年销售额。与传统慢性病药物相比，基因编辑疗法采用一次性治疗模式，销售增长依赖新增患者治疗，而不是既有患者持续用药。
- 这也使其商业化面临不同约束：患者筛选、造血干细胞采集、清髓预处理、移植中心容量，以及保险支付安排，都将影响实际治疗人数。

■ CRISPR Therapeutics还拥有体内基因编辑及其他疾病管线。其未来价值不仅取决于CASGEVY销售增长，也取决于能否在其他疾病中复制基因编辑技术的临床与商业成功。

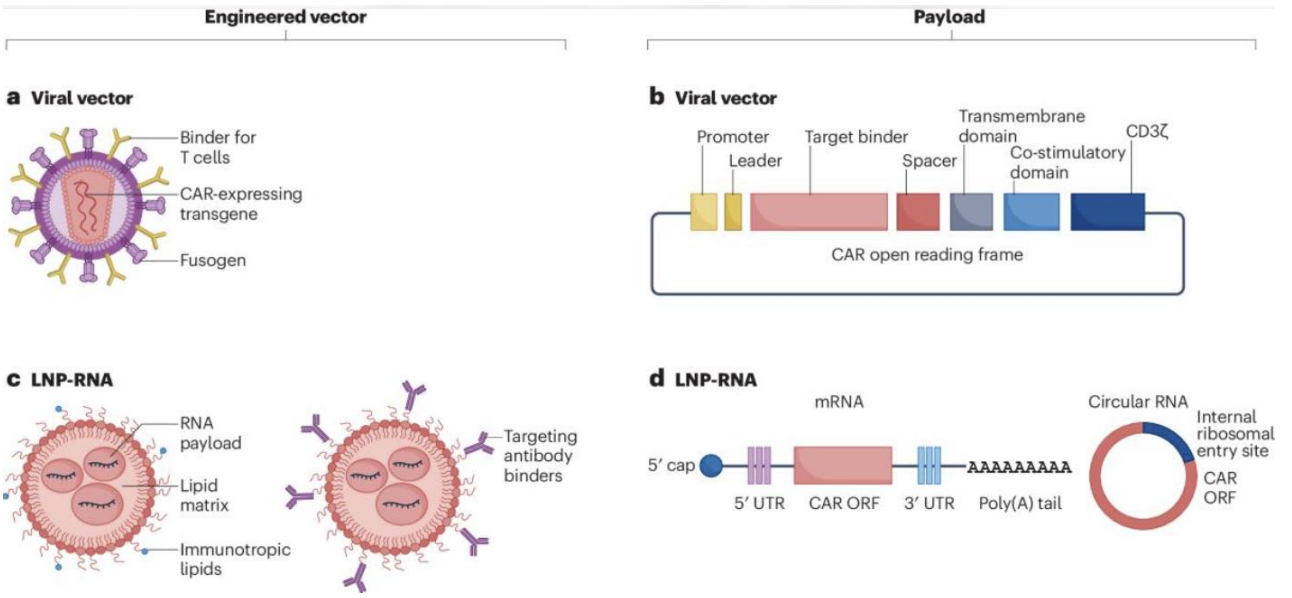
■ Vertex与CRISPR Therapeutics提供了两种不同的投资载体：前者拥有多产品商业化基础和较强财务资源，后者对基因编辑平台后续突破具有更直接的价值敞口。

--礼来：多技术路线并购，布局 in vivo CAR-T 与基因编辑

礼来（Eli Lilly）成立于 1876 年，总部位于美国印第安纳州，在纽约证券交易所上市。公司近年来通过连续收购，将 CGT 布局从传统药物研发扩展至体内细胞工程、基因递送和基因编辑，重点布局一次性治疗及免疫系统重置等新型治疗模式。

- Orna，LNP 的环状 RNA 递送：礼来于 2026 年 5 月完成对 Orna Therapeutics 的收购，交易总额最高 24 亿美元。Orna 的核心技术是将环状 RNA（circRNA）与脂质纳米颗粒（LNP）递送结合，使患者体内细胞表达治疗性蛋白。其领先项目 ORN-252 为靶向 CD19 的体内 CAR-T，面向 B 细胞驱动的自身免疫疾病。该技术路线旨在利用体内递送实现免疫细胞工程化，减少传统自体 CAR-T 的细胞采集及体外制造环节。
- Kelonia，慢病毒递送：2026 年 6 月，礼来完成对 Kelonia Therapeutics 的收购，交易总额最高 70 亿美元，其中首付款 32.5 亿美元。Kelonia 的 iGPS 平台采用经过工程化改造的慢病毒颗粒，在体内选择性进入 T 细胞，实现 CAR 基因递送与整合。其核心项目 KLN-1010 为静脉给药的 BCMA 体内 CAR-T，面向复发难治性多发性骨髓瘤，已进入 I 期临床。与 Orna 的环状 RNA/LNP 路线不同，Kelonia 通过慢病毒载体实现基因整合，探索在体内直接生成具有治疗功能的 CAR-T 细胞。

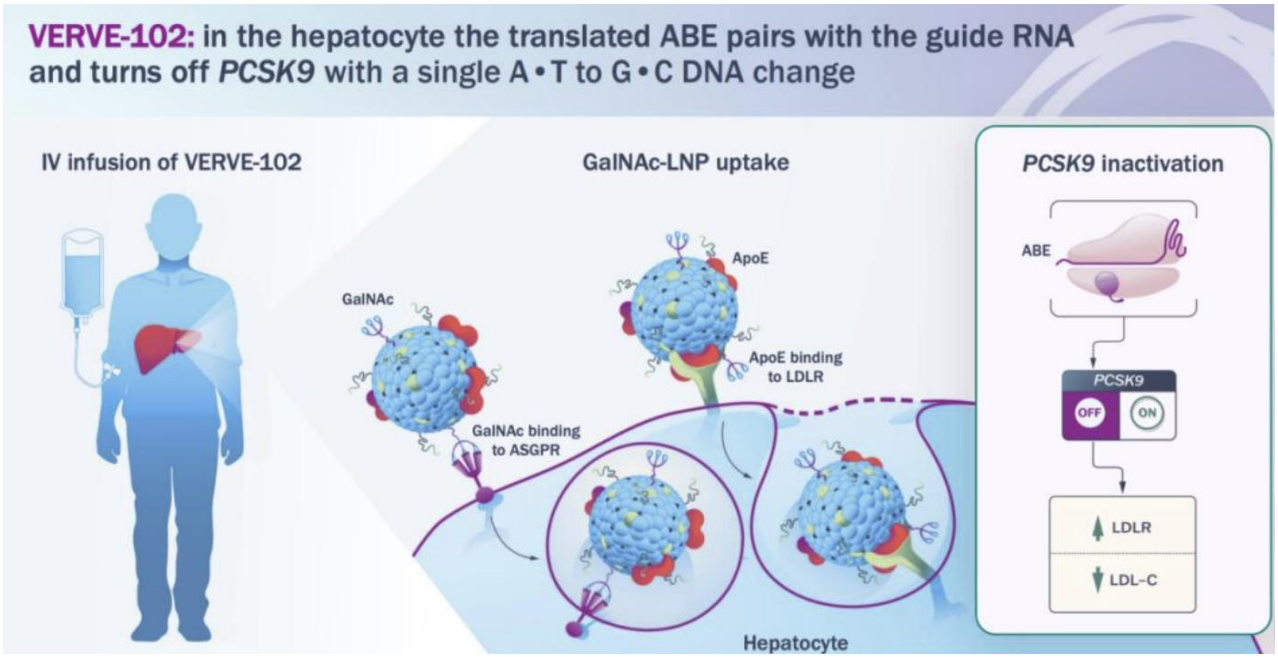
图表37：Orna 与 Kelonia——体内 CAR-T 两种递送路线



来源：Nature，国金证券研究所

■ Verve，LNP 的基因编辑器递送：礼来于 2025 年 7 月完成对 Verve Therapeutics 的收购，进一步布局体内基因编辑。其核心项目 VERVE-102 采用碱基编辑技术，通过 LNP 递送编辑器及向导 RNA，靶向肝脏 PCSK9 基因，探索一次给药实现长期降低低密度脂蛋白胆固醇（LDL-C）。该项目已进入 I 期临床研究，旨在通过永久性基因编辑降低心血管疾病风险。另一项目 VERVE-201 靶向 ANGPTL3，进一步拓展体内基因编辑在心血管疾病中的应用。

图表38：Verve——LNP 递送碱基编辑器，体内关闭 PCSK9



来源：Verve Therapeutics，国金证券研究所

■ 礼来的 CGT 布局形成三条差异化的体内技术路线：Orna 以环状 RNA/LNP 实现体内免疫细胞工程，Kelonia 以工程化慢病毒载体实现体内 CAR-T，Verve 以碱基编辑实现体内基因功能调控。我们判断，礼来的核心投资价值在于通过资本收购快速获得不同技术平台，并利用自身研发、临床开发及全球商业化资源推动其转化。后续重点关注体内递送效率、安全性及临床获益能否持续验证。

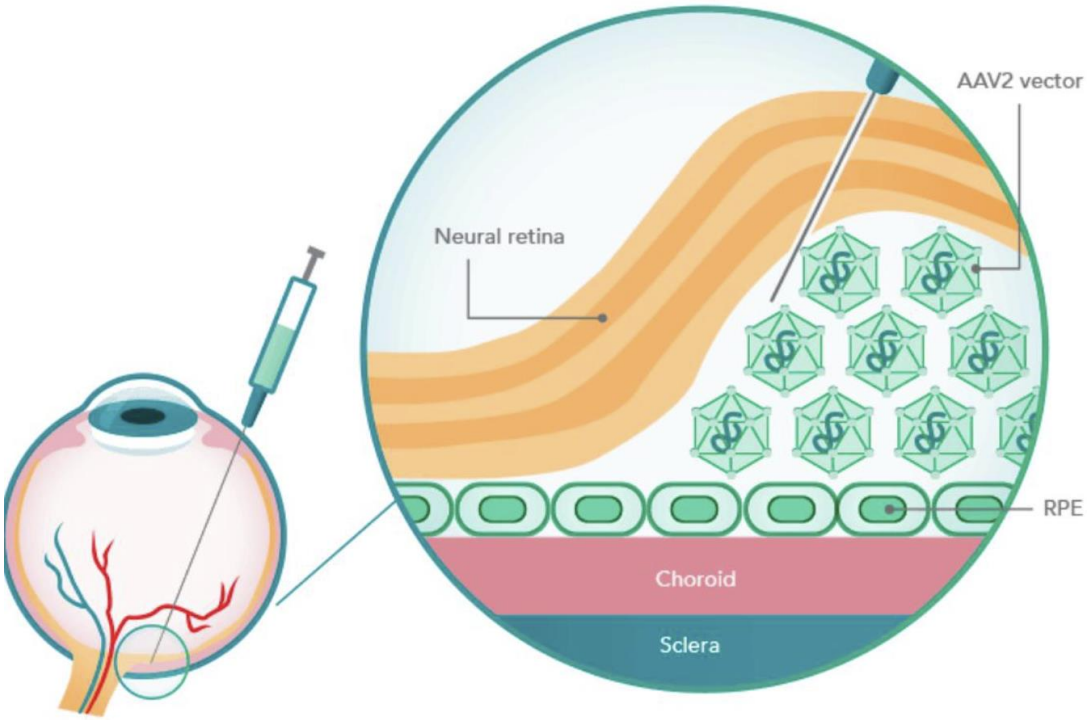
--罗氏：Spark 基因治疗商业化，Poseida 布局异体现货型 CAR-T

罗氏（Roche）是瑞士全球大型制药集团，长期布局肿瘤、免疫及眼科等治疗领域。公司通过 2019 年收购 Spark Therapeutics 进入基因治疗商业化市场，并于 2025 年完成对 Poseida Therapeutics 的收购，进一步拓展异体细胞治疗平台，形成从 AAV 基因治疗到工程化免疫细胞的技术布局。

■ Spark Therapeutics 是全球基因治疗领域的重要先行企业。其核心产品

LUXTURNA 于 2017 年 12 月获 FDA 批准，用于治疗双等位基因 RPE65 突变相关的遗传性视网膜疾病，是全球首批获批的 AAV 基因治疗产品之一。罗氏于 2019 年 12 月完成对 Spark 的收购，保留其在美国费城的研发、生产及商业化体系。目前 LUXTURNA 已在全球约 50 个国家和地区获批。

图表39：LUXTURNA 的 AAV 基因治疗机制

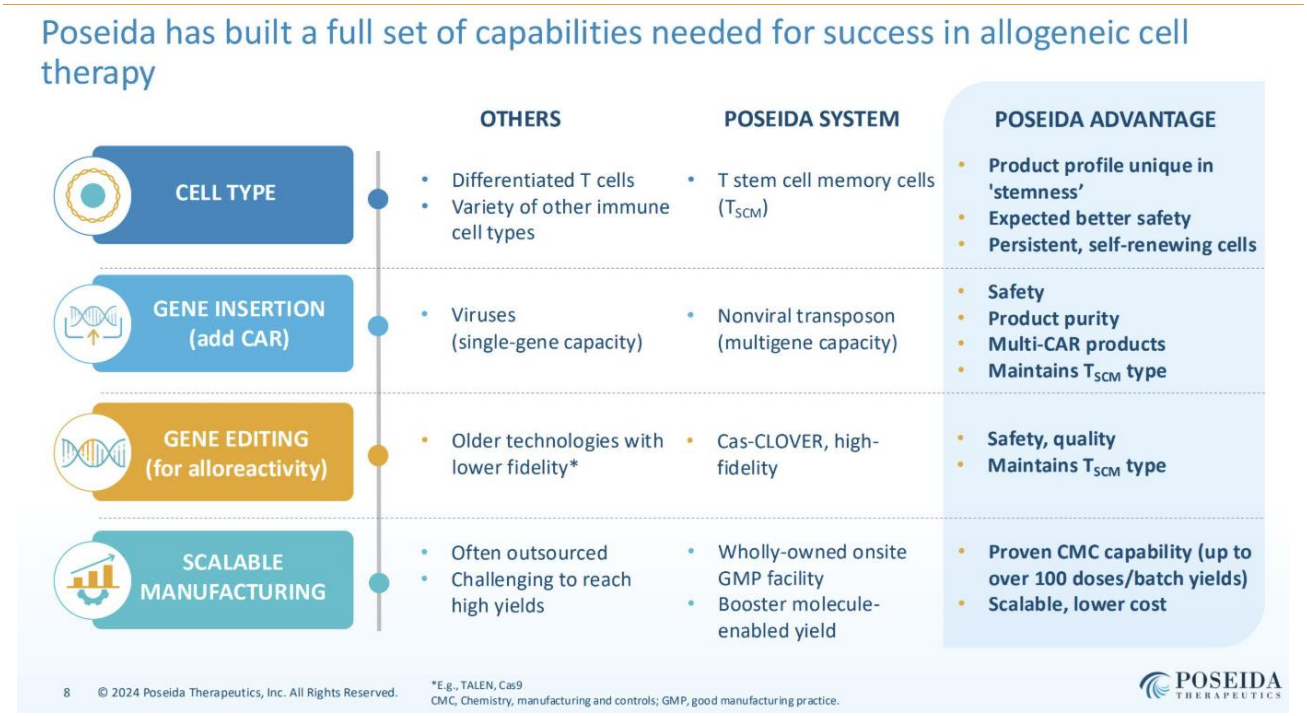


来源：Nature，国金证券研究所

- 2025 年 1 月，罗氏完成对 Poseida Therapeutics 的收购，交易总价值最高约 15 亿美元，包括约 10 亿美元股权价值及最高约 5 亿美元或有价值权益。Poseida 的核心资产是异体 CAR-T 技术平台，采用非病毒基因整合与定点基因编辑等技术等技术，开发可规模化生产的现货型细胞治疗产品。
  - 其核心项目 P-BCMA-ALL01 靶向 BCMA，面向复发难治性多发性骨髓瘤；P-CD19CD20-ALL01 采用 CD19/CD20 双靶点设计，除血液肿瘤外，还推进多发性硬化症和系统性红斑狼疮等自身免疫疾病；P-MUC1C-ALL01 则布局实体

瘤。公司同时获得 Poseida 的 GMP 制造能力及相关基因工程技术平台。

图表40：Poseida 异体现货型 CAR-T 技术平台



来源：Roche，国金证券研究所

■ 罗氏的 CGT 布局呈现两条不同的商业化路径：Spark 以已获批 AAV 基因疗法建立其商业化基础，Poseida 则以异体 CAR-T 平台拓展肿瘤、自免及神经系统疾病。我们判断，罗氏的核心价值在于将成熟的全球药品开发与商业化体系，与基因治疗及现货型细胞治疗平台结合。后续重点关注 Poseida 各管线临床进展、异体细胞治疗的安全性及规模化制造能力。

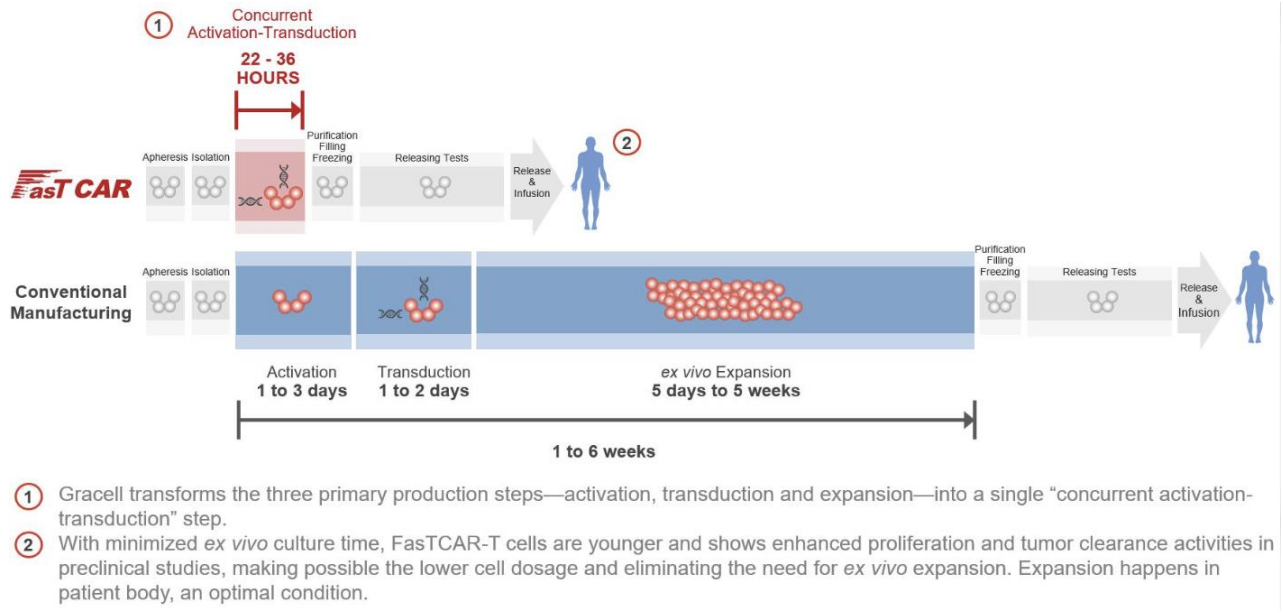
--阿斯利康/亘喜：FasTCAR 平台，BCMA/CD19 双靶 CAR-T 拓展自免

阿斯利康（AstraZeneca）是总部位于英国剑桥的全球大型制药集团，2024 年 2 月完成对亘喜生物（Gracell Biotechnologies）的收购，交易总价值最高约 12 亿美元，其中约 10 亿美元为现金首付款，另有最高约 2 亿美元的里程碑付款。亘喜成为阿斯利康全资子公司，保留中国及美国运营布局。此次收购使阿斯利康

获得 FasTCAR 细胞治疗制造平台及核心产品 GC012F（现称 AZD0120），进一步进入 CAR-T 领域。

- AZD0120 是一款采用 FasTCAR 技术的自体 BCMA/CD19 双靶点 CAR-T，通过同时靶向浆细胞及 B 细胞，探索多发性骨髓瘤及自身免疫疾病治疗。FasTCAR 平台的核心特点是缩短传统 CAR-T 体外制造周期，目标是在采集患者 T 细胞后约一天内完成工程化生产，提高细胞活性并降低个体化制造的时间与成本。

图表41：FasTCAR次日制造技术流程



来源：SEC，国金证券研究所

  - 在肿瘤领域，AZD0120 已推进复发难治性多发性骨髓瘤临床研究，并于美国开展注册前期开发。2026 年阿斯利康进一步推进其在自免领域的临床布局，覆盖系统性红斑狼疮、系统性硬化症、炎性肌病及难治性类风湿关节炎等疾病。其中，自免方向已启动全球多中心 I b/II 期研究。

- 阿斯利康对其收购的价值在于，同时获得双靶点 CAR-T 产品和快速制造平台，并将其从血液肿瘤延伸至自身免疫疾病。我们判断，AZD0120 的关键看点不仅

在于双靶点设计，也在于 FasTCAR 能否改善自体 CAR-T 的制造效率，以及 BCMA/CD19 双靶点能否在自免疾病中形成区别于单靶 CD19 CAR-T 的临床价值。

前沿技术：细胞来源、免疫重置与体内编辑构建平台差异

CGT（细胞与基因治疗）的下一阶段竞争，正在从已获批产品的商业化转向细胞来源、免疫功能重塑和基因递送编辑平台的技术竞争。异体现货型细胞治疗试图突破自体制造的个体化瓶颈，自免 CAR-T 探索通过清除致病免疫细胞实现长期免疫重置，体内基因编辑则尝试绕过传统体外细胞改造流程，直接在患者体内完成基因功能调控。不同技术路线的临床成熟度、制造方式和潜在商业模式存在明显差异。

. 1.细胞来源与工程化细胞平台

Ex vivo（体外）与 in vivo(体内)CAR-T 技术代表两种不同的细胞工程路径。体外 CAR 通过采集患者或健康供者免疫细胞，在体外完成基因改造、扩增及质量控制后回输，技术成熟度较高，但面临个体化制造、生产周期和成本限制。体内 CAR 则通过 LNP 或病毒载体直接递送 CAR 遗传物质，在患者体内原位改造免疫细胞，减少体外制造环节，有望提升治疗交付效率和规模化能力。目前体内 CAR 仍处于早期临床验证阶段，递送效率、细胞持续性及长期安全性是后续关键变量。

图表42：Ex vs in vivo CAR-T技术路径与关键特征对比

特征	体外 CAR（Ex vivo）	体内 CAR（In vivo）
工程方法	自体或异体免疫细胞经采集、体外基因改造、扩增后回输至患者体内	编码 CAR 的遗传物质通过多种载体直接递送至体内内源性免疫细胞
免疫细胞类型	已获批资产主要靶向 T 细胞，其他免疫细胞也在探索中	主要为 T 细胞，但也包含其他免疫细胞和泛 CAR 方法
载体类型	以整合型病毒载体为主（如慢病毒或逆转录病毒）	主要为 LNP（已去肝靶向）或主要靶向 T 细胞的病毒载体（整合型或非整合型）
载荷类型	以 DNA 为主	DNA 与 RNA 兼有，后者日益流行
预处理需求	需要淋巴细胞清除化疗以实现 CAR 的扩增与持久性	无需预处理；原有免疫细胞被原位靶向
起效时间	起效延迟（2–4 周），归因于生产与扩增周期	CAR 表达可在输注后 1–3 天内出现
药代动力学与持久性	CAR 长期表达；持久性取决于载体类型与免疫细胞表型	瞬时或长期；或可通过重复给药调节
疗效特征	在血液肿瘤中疗效强劲；自身免疫病中已有早期应答	仅有少数患者的早期数据；与离体 CAR 相比尚不明确
安全性特征	有 CRS、ICANS、长期 B 细胞发育不全、感染及血液学毒性风险	早期数据提示毒性降低；长期安全性仍在研究中
生产与可扩展性	生产复杂、个体化，可扩展性有限	即用型、无细胞生产；可扩展性更高、可及性更广、成本更低
临床成熟度	已获批用于血液恶性肿瘤；自身免疫病（如 SLE、RA）中处于早期试验	处于早期临床开发；已在肿瘤学和自身免疫病启动首人体试验
战略定位	高效力、具治愈潜力，适用于难治性疾病；受物流与毒性限制	有望用于门诊治疗、更早线干预及更广泛患者群体

来源：Script，国金证券研究所

CGT 细胞治疗的竞争正从自体细胞制造向异体现货型细胞、天然免疫细胞及工程化细胞平台拓展。不同技术路线分别围绕细胞来源、免疫排斥控制和体内持续性展开，核心差异在于能否降低个体化制造负担、改善治疗可及性并建立规模化生产能力。

--Allogene：异体现货型 CAR-T，肿瘤与自免双推进

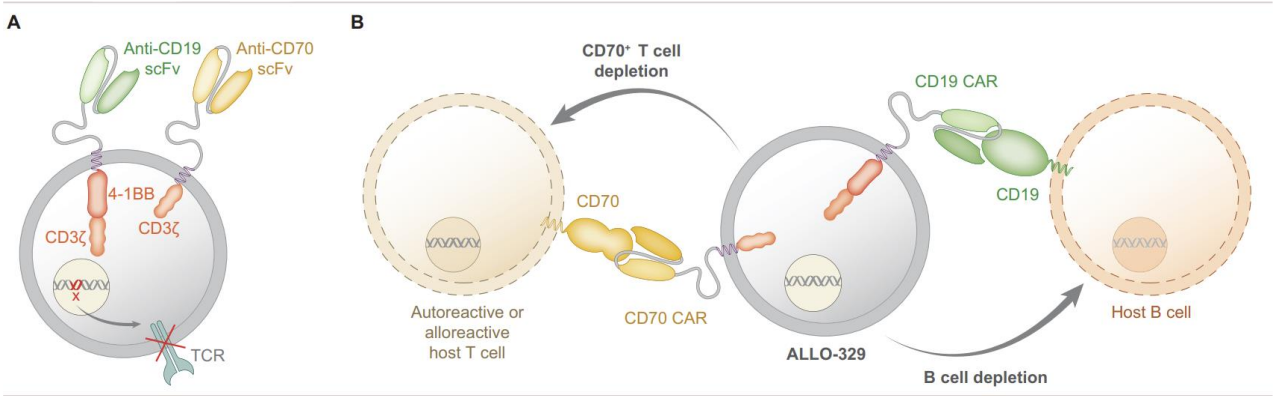
Allogene Therapeutics 成立于 2017 年，总部位于美国加利福尼亚州，2018 年在纳斯达克上市，是专注于异体 CAR-T 治疗的生物科技公司。公司以健康供者 T 细胞为原料，通过基因编辑降低移植物抗宿主病及免疫排斥风险，开发可批量生产、提前储存的现货型细胞治疗产品。

- 公司的核心肿瘤项目 cema-cel（ALLO-501A）正在开展 ALPHA3 注册性 II 期研究，面向一线治疗后通过微小残留病灶（MRD）检测筛选出的高复发风险

大 B 细胞淋巴瘤患者，探索将 CAR-T 从复发后治疗前移至一线治疗后的巩固阶段。ALPHA3 的下一次临床数据更新预计于 2027 年中期公布，入组预计于 2027 年底完成。

■ 自免领域，公司通过 ALLO-329 推进系统性硬化症及系统性红斑狼疮等适应症。该项目采用 CD19/CD70 相关工程化设计，并探索不同清淋方案，目标是在保留 B 细胞清除能力的同时，改善异体细胞的体内持续性和安全性。2026 年 11 月，公司已公布结果：18 例患者安全性数据，系统性硬化症患者 10 例中 8 例达到并维持有临床意义的 mRSS 改善，9 例停用背景免疫抑制治疗。

图表43：ALLO-329 异体 CD19/CD70 双靶 CAR-T 构造与作用机制



来源：Allogene，国金证券研究所

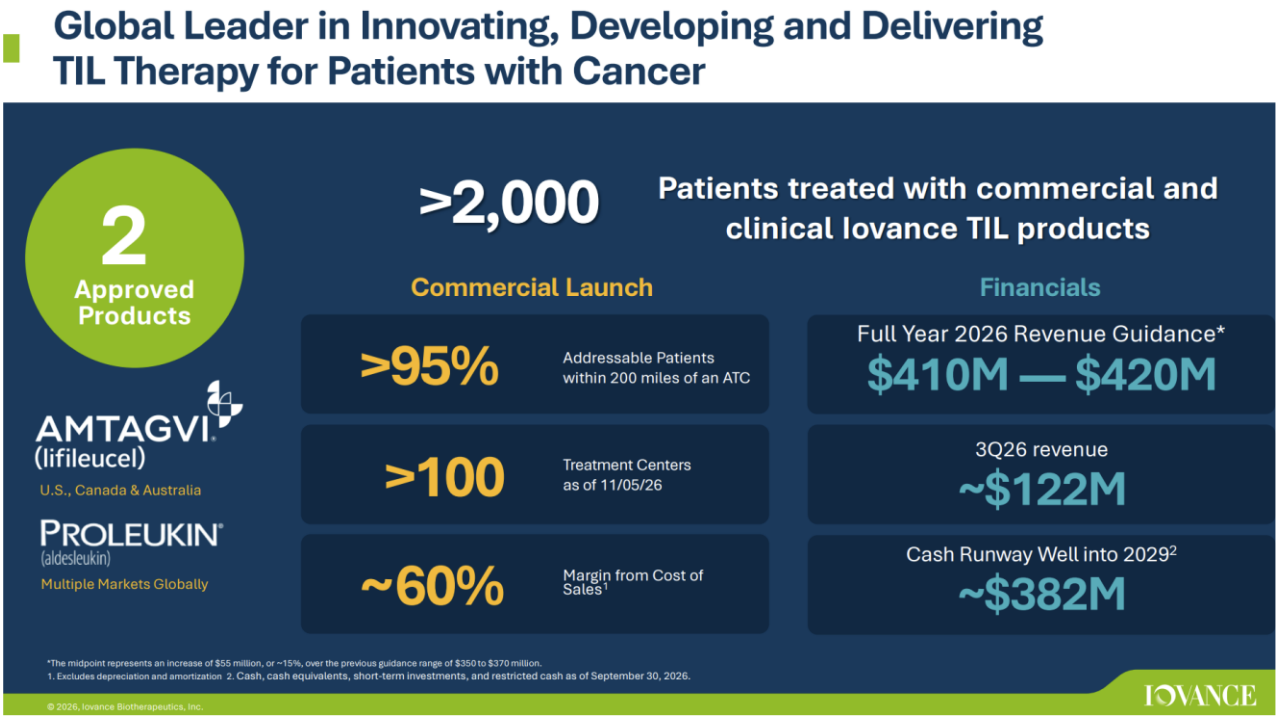
■ 2026 年第三季度末，公司现金、现金等价物及投资合计 3.889 亿美元。公司同时加强商业化准备，已任命具有细胞治疗市场准入经验的管理人员。我们认为，Allogene 的核心看点在于异体现货型 CAR-T 能否在疗效、免疫排斥控制、交付效率和制造成本之间建立可持续优势。

--Iovance：TIL 商业化先行，实体瘤适应症持续拓展

Iovance Biotherapeutics 是美国纳斯达克上市的细胞治疗企业，专注于肿瘤浸

润淋巴细胞（TIL）疗法。公司将从患者肿瘤组织中分离的天然肿瘤反应性 T 细胞进行体外扩增，再回输患者体内。2024 年 Amtagvi 获 FDA 批准，成为首款获批用于实体瘤的 TIL 细胞疗法。

图表44：Iovance 商业化进展与 2026 年业绩指引

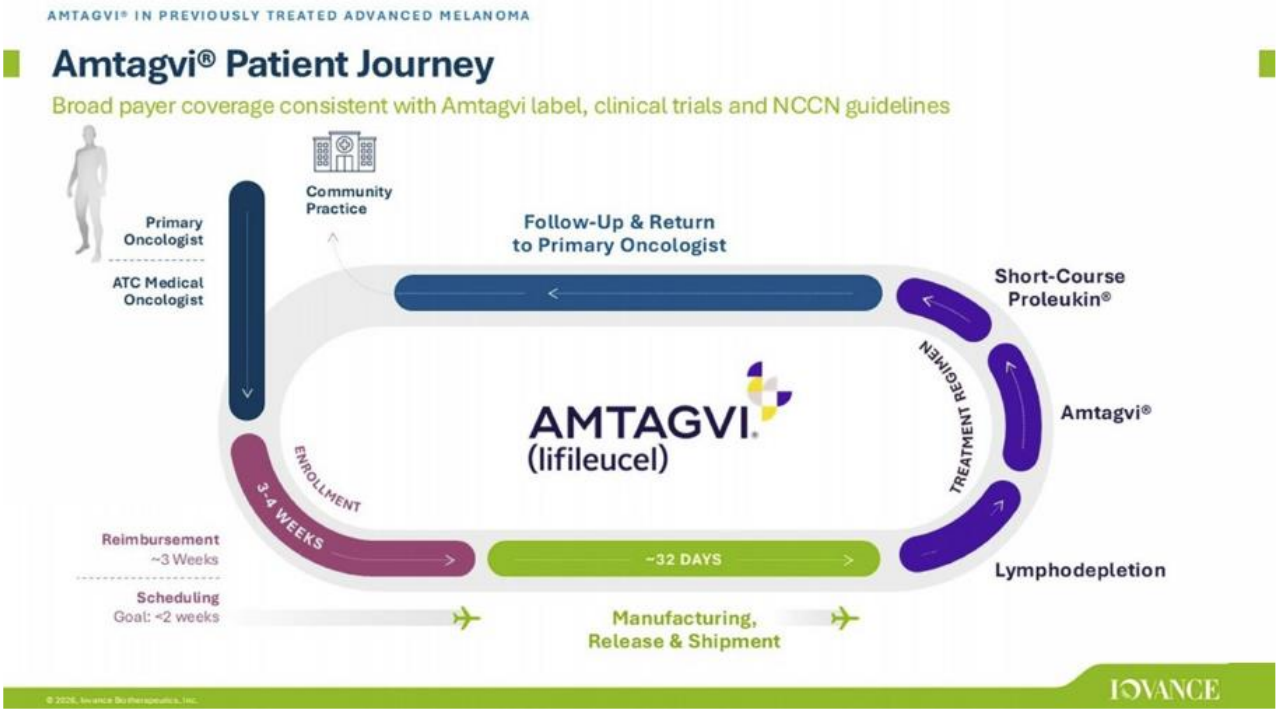


来源：Iovance，国金证券研究所

- Amtagvi 已从晚期黑色素瘤向其他实体瘤拓展。2026 年第三季度，公司总产品收入约 1.22 亿美元，同比增长 80%；其中美国 Amtagvi 收入约 1.02 亿美元，同比增长 77%，Proleukin 全球收入约 1,987 万美元。季度毛利率提高至约 60%，反映销售规模扩大与生产成本控制共同改善经营效率。
  - 从上图我们可以看到，公司的产品收入来自 TIL 疗法 Amtagvi 与 IL-2 产品 Proleukin。从下图 Amtagvi 的治疗流程中，右侧紫色步骤可以看到，患者完成 Amtagvi 细胞回输后，还需要接受 IL-2 静脉给药，以支持 TIL 细胞在体内扩增。Proleukin 因此既是独立商业化产品，也是

Amtagvi 治疗方案的重要配套药物。

图表45：Amtagvi 治疗流程



来源：Iovance，国金证券研究所

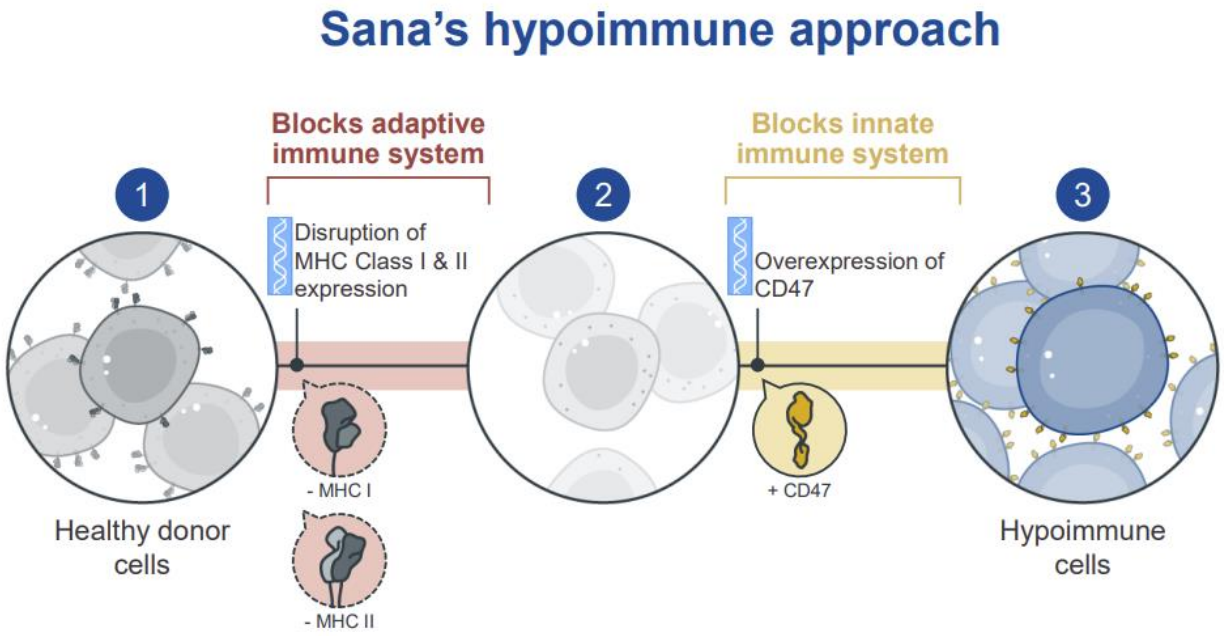
- 在非小细胞肺癌领域，公司报告的总体客观缓解率（ORR）为 24.6%，生物标志物筛选亚组达到 59.1%，相关 POSITIVITY 注册性研究正在推进。在软组织肉瘤领域，未分化多形性肉瘤和去分化脂肪肉瘤的 ORR 达到 55.6%，SARATOGA 注册性研究同步开展。

- Iovance 的产业价值在于已经建立从肿瘤取材、细胞扩增、质量控制到临床治疗和商业交付的完整体系。后续重点关注肺癌及软组织肉瘤注册性研究结果、制造产能利用率和毛利率改善，以及 TIL 能否从黑色素瘤进一步扩展至更大患者群体。

-- Sana：免疫逃逸工程，布局 in vivo iPSC 细胞替代

Sana Biotechnology 成立于 2018 年，总部位于美国西雅图，2021 年在纳斯达克上市。公司以工程化细胞为核心，重点开发免疫逃逸（HIP）技术，通过基因工程降低移植细胞被宿主免疫系统识别和清除的概率，同时布局 iPSC 来源细胞治疗及体内细胞工程。

图表46：Sana 通过 HIP 基因工程实现异体细胞免疫逃逸



来源：Sana，国金证券研究所

- 如上图所示，Sana 的 HIP（低免疫原性）技术通过两类基因工程改造降低异体细胞被宿主免疫系统识别和清除的风险：一是敲除 MHC-I 和 MHC-II，阻断适应性免疫系统对移植细胞的识别；二是过表达 CD47，抑制先天免疫系统对移植细胞的吞噬。通过同时干预两条免疫排斥路径，使异体工程化细胞有望在不依赖长期免疫抑制剂的情况下实现持续存活，为 iPSC 来源胰岛细胞替代治疗提供技术基础。

- 公司 UP421 为经过 HIP 基因修饰的异体胰岛细胞，探索在不使用免疫抑制剂的情况下实现移植细胞长期存活。2025 年公布的早期临床研究显示，患者接受移植后出现胰岛细胞功能及内源性胰岛素分泌信号；2026 年 7 月，公司进一步发表长期随访结果，继续验证免疫逃逸工程在细胞替代治疗中的可行性。
- 下一代项目 SC451 采用相同 HIP 技术的 iPSC 来源胰岛细胞，目标是开发可规模化生产的一次性治疗产品，用于 1 型糖尿病。公司 2026 年第三季度表示，正在推进 I/II 期临床试验启动准备。另一方面，SG227 采用靶向 CD8 的 fusosome 递送技术，向 T 细胞导入 BCMA CAR 遗传物质，探索体内生成 CAR-T 细胞，预计最早于 2027 年进入临床研究。
- Sana 的技术布局覆盖免疫逃逸、iPSC 细胞替代和体内细胞工程三条路径。2026 年第三季度末现金及短期投资约 1.217 亿美元，预计现金可支持运营至 2027 年中期。后续重点关注 SC451 临床启动、HIP 细胞长期存活及 SG227 体内递送的临床转化。

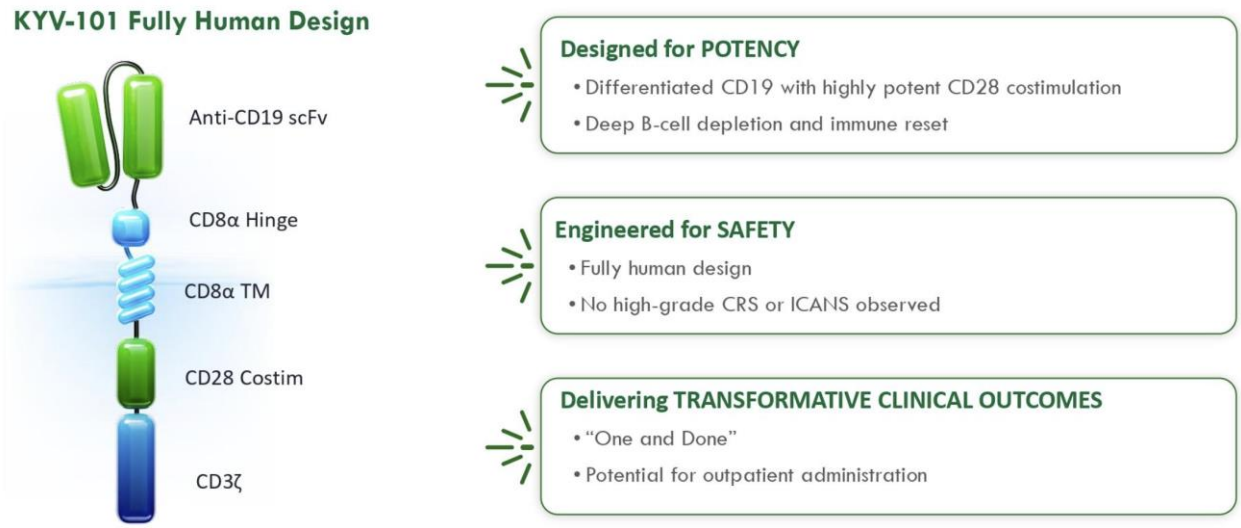
. 2.免疫重置与自免 CAR-T

自身免疫疾病正在成为 CAR-T 的重要拓展方向。其治疗逻辑由传统免疫抑制转向清除致病 B 细胞及异常免疫细胞，尝试重建免疫系统并实现长期缓解。当前竞争集中于 CD19、CD20、BCMA 等靶点，以及自体与异体细胞来源、清淋强度和治疗安全性。临床疗效能否转化为持久缓解，以及能否降低治疗负担，是决定商业化空间的关键。

-- Kyverna：自免 CAR-T 率先申报，免疫重置进入注册阶段

Kyverna Therapeutics 成立于 2018 年，总部位于美国加利福尼亚州，2024 年在纳斯达克上市，是专注于自身免疫及神经免疫疾病细胞治疗的生物科技公司。公司以全人源 CD19 CAR-T 为核心，试图通过清除致病 B 细胞，实现免疫系统重建及长期疾病缓解。

图表47：Miv-cel（KYV-101）全人源 CD19 CAR 结构与机制



来源：Kyverna，国金证券研究所

- 如上图所示，Miv-cel 采用全人源 CD19 CAR 结构，由抗 CD19 单链抗体可变区（scFv）、CD8α 铰链区、CD8α 跨膜区、CD28 共刺激结构域及 CD3ζ 激活结构域组成。其设计重点在于通过 CD19 靶向及 CD28 共刺激增强 T 细胞活性，实现深度 B 细胞清除与免疫重置。公司同时强调全人源设计及安全性，并以一次治疗（One and Done）为目标，探索门诊给药的可能性。

■ 2026 年 11 月 12 日，公司宣布完成 Miv-cel（KYV-101）用于僵人综合征（SPS）的 BLA 申报，并同步申请优先审评资格，成为全球首个提交上市申

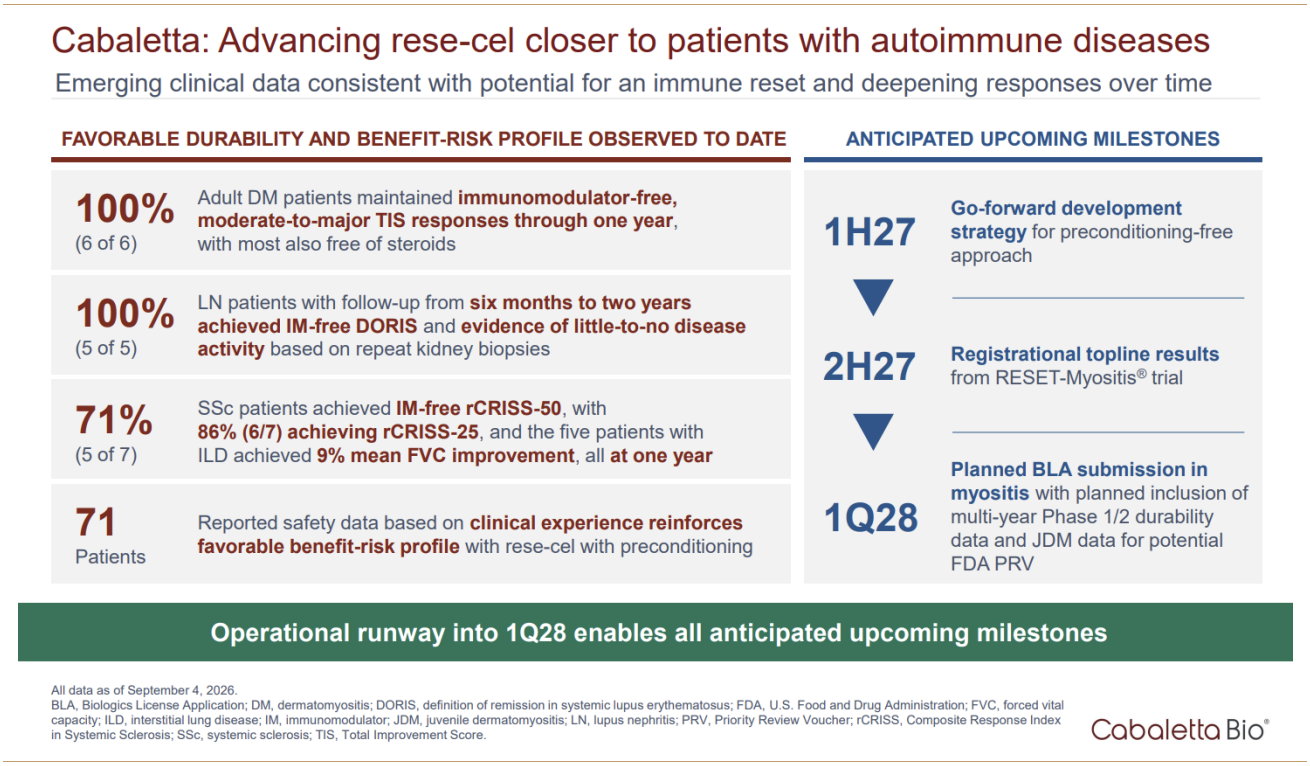
请的自身免疫疾病 CAR-T 疗法。注册性 KYSA-8 研究显示，治疗后第 16 周患者 25 英尺步行时间缩短中位数为 46%，随访至 12 个月时缩短 49%，运动功能改善持续。

- Miv-cel 还在重症肌无力（gMG）中推进注册性开发。II 期研究显示，患者治疗后第 24 周 MG-ADL 评分较基线下降 8.5 分，QMG 评分下降 11.3 分。公司计划于 2027 年中期完成 KYSA-6 注册性 III 期研究入组。
- Kyverna 的核心价值在于率先将自免 CAR-T 推进至上市申请阶段，并通过神经免疫疾病验证 CD19 介导的免疫重置路径。后续重点关注 FDA 审评、商业化准备，以及 SLE、gMG 和其他自身免疫疾病适应症的临床拓展。

-- Cabaletta Bio：多适应症自免 CAR-T，探索免清淋治疗路径

Cabaletta Bio 成立于 2017 年，总部位于美国费城，2019 年在纳斯达克上市，是专注于自身免疫疾病细胞治疗的生物科技公司。公司核心产品 rese-cel 是一款全人源 CD19 CAR-T，采用 4-1BB 共刺激结构域，重点推进皮肌炎、抗合成酶综合征、SLE、系统性硬化症及重症肌无力等适应症。

图表48：Cabaletta 自免 CAR-T 临床疗效及注册开发里程碑



来源：Cabaletta，国金证券研究所

- 如上图所示，公司截至 2026 年 9 月的临床数据覆盖 71 名接受 rese-cel 治疗的患者。其中，皮肌炎患者 6/6 在治疗一年后维持无需免疫调节药物的中度至显著临床改善；狼疮性肾炎患者 5/5 达到停用免疫调节药物后的 DORIS 缓解，并获得肾脏组织学改善或缓解；系统性硬化症患者 5/7 达到无需免疫调节药物的 rCRISS-50。公司计划于 2027 年上半年推进免预处理方案，2027 年下半年公布皮肌炎注册性研究结果，并以 2028 年第一季度提交 BLA 为目标。

■ 公司的 RESET-Myositis 项目已进入注册性开发。2026 年 11 月公布的 I/II 期皮肌炎研究数据显示，6 名患者在治疗一年后均维持无需免疫调节药物的中度至重度临床改善反应，其中 5 名患者在第 16 周已达到相应疗效标准。公司预计注册性成人皮肌炎及抗合成酶综合征队列于 2027 年下半年公布顶线数

据，并计划于 2028 年第一季度提交 BLA。

- 在狼疮性肾炎领域，公司报告完成重复肾活检的 5 名患者均达到无需免疫调节药物的 DORIS 缓解及组织学反应或缓解。系统性硬化症方面，RESET-SSc 注册性队列已经启动，并纳入间质性肺疾病患者，进一步评价肺功能和整体疾病改善。
- Cabaletta 还在探索不使用传统清淋预处理的 PC-free 方案，以及门诊治疗和全血采集等简化路径。2026 年第三季度末，公司现金约 2.994 亿美元，预计可支持运营至 2028 年第一季度。其核心投资看点在于多适应症临床疗效能否形成一致性，以及降低清淋和制造负担能否扩大自免 CAR-T 的患者可及性。

. 3.体内基因编辑与递送平台

基因编辑平台的竞争正在从编辑工具本身延伸至递送效率、编辑精度及临床转化能力。技术路径包括体内直接递送编辑工具，以及体外完成细胞编辑后回输患者。核酸酶编辑、单碱基编辑、Prime Editing 和 RNA 编辑分别形成差异化技术平台；LNP、AAV 及病毒载体则承担不同组织和细胞的递送任务。部分企业进一步将体内递送用于直接生成工程化免疫细胞，拓展 CAR-T 的制造与交付模式。

图表49：全球前沿基因编辑平台技术路线与临床布局

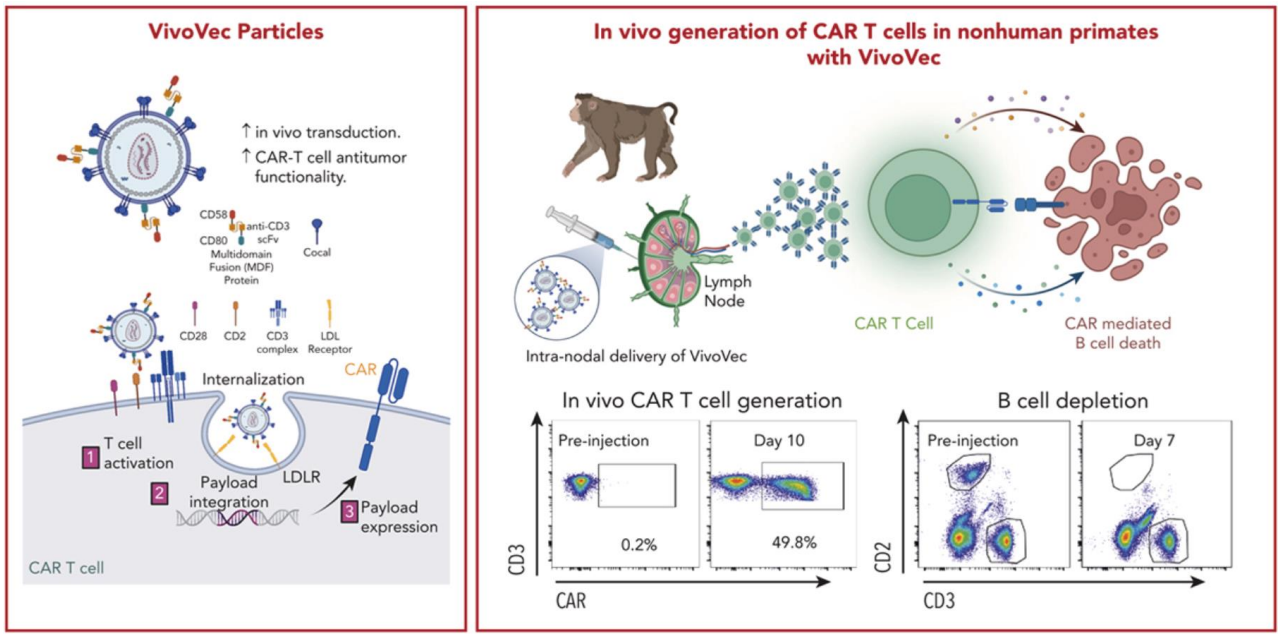
公司	核心技术	技术特点	体内递送/体外编辑方式	代表管线	主要适应症	临床阶段	近期关键催化剂
Intellia	CRISPR-Cas9	核酸酶编辑、DNA双链断裂、基因敲除	LNP	lonvo-z; nex-z	HAE; ATTR	III期/BLA审评	lonvo-z监管审评及商业化
Beam	Base Editing	CBE/ABE单碱基编辑，不依赖DNA双链断裂	LNP；体外电转	risto-cel; BEAM-302	SCD; AATD	临床阶段	risto-cel申报; BEAM-302临床数据
Prime Medicine	Prime Editing	精准基因序列替换、插入及删除	LNP；体外递送	PM359; PM577a	CGD; Wilson病	临床阶段	PM359申报; PM577a临床数据
Editas Medicine	CRISPR-Cas9/Cas12a	核酸酶编辑、造血干细胞编辑及体内编辑	体外电转; LNP	EDIT-301; EDIT-401	SCD；高脂血症	临床阶段	EDIT-401临床推进；BMS合作项目
Sangamo	ZFN/ZFP-TF	锌指核酸酶编辑及基因表达调控	AAV	ST-920	法布雷病	临床后期	ST-920临床及监管进展
Precision BioSciences	ARCUS	归巢核酸内切酶平台，体内基因删除、修复及插入	LNP	PBGENE-HBV; PBGENE-DMD	HBV; DMD	临床阶段	HBV临床数据; DMD安全性数据
Korro Bio	RNA Editing	转录本RNA编辑，不永久改变DNA	GalNAc; 寡核苷酸	KRRO-121; KRRO-111	尿素循环障碍; AATD	临床阶段	人体编辑效率及安全性数据
Cellectis	TALEN	转录激活因子样效应物核酸酶编辑	LNP；体外递送	HEAL-101; HEAL-201	血脂异常	临床前/临床推进	体内编辑临床转化
Metagenomi	新型核酸酶发现	微生物基因组挖掘及新型编辑工具开发	多种递送路线	平台项目	遗传性疾病	按具体项目核实	平台合作及候选产品进展

来源：各公司官网，国金证券研究所

-- Umoja Biopharma：in vivo CAR-T 进入人体临床，CD22 拓展自免

Umoja Biopharma 是一家成立于 2019 年的美国生物科技公司，专注于体内细胞工程及免疫治疗。公司核心 VivoVec 平台通过体内递送系统将 CAR 遗传物质导入患者 T 细胞，使其在人体内直接生成具有治疗功能的 CAR-T 细胞，减少传统自体 CAR-T 所需的采集、体外制造和回输流程。

图表50：Umoja VivoVec 平台体内生成 CAR-T 及清除 B 细胞的机制



来源：Ashpublications，国金证券研究所

- 上图展示了公司在 2024 年的研究，在非人灵长类中验证了 VivoVec 平台的体内细胞工程能力。工程化慢病毒载体通过多结构域融合配体结合并激活 T 细胞，将 CAR 遗传物质导入细胞，使其在体内直接生成 CAR-T。研究观察到抗 CD20 CAR-T 细胞扩增及 B 细胞完全清除，且无需淋巴细胞清除性化疗，为体内 CAR-T 的临床开发提供了临床前依据。

- 2026 年 7 月，公司获得 FDA 批准开展 UB-VV400 临床研究，成为较早进入人体临床的 CD22 靶向体内 CAR-T 项目之一，面向复发难治性 B 细胞恶性肿瘤。11 月 4 日，公司宣布 UB-VV400 首次人体临床数据将于 2026 年 ASH 年会作口头报告，同时 UB-VV410 的 SLE 及狼疮性肾炎临床数据将以壁报形式公布。

- UB-VV410 进一步将体内 CAR-T 技术拓展至自身免疫疾病，采用 CD22 靶向设计，探索清除异常 B 细胞及免疫重置。公司还布局 UB-VV500 等下一代项目，持续推进体内递送和细胞工程平台。

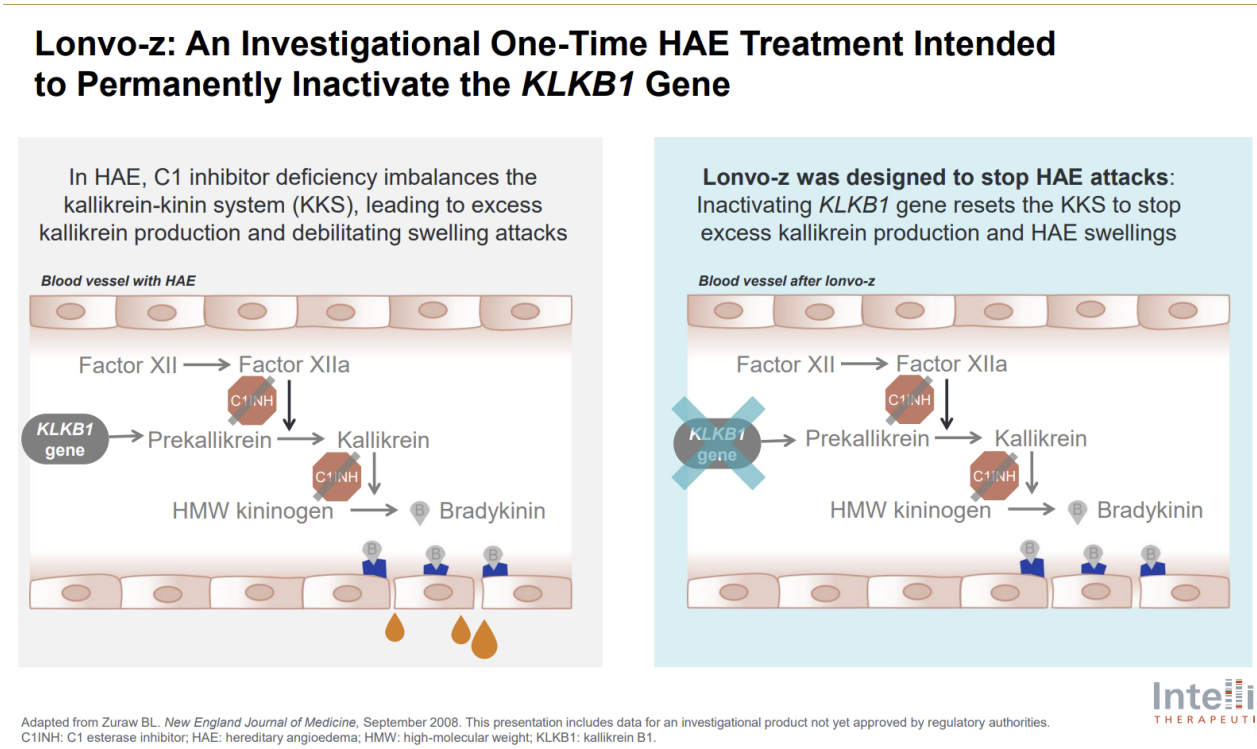
- Umoja 的核心价值在于将体内 CAR-T 从技术概念推进至人体临床，并同时探索肿瘤与自身免疫疾病两类应用场景。后续重点关注首次人体数据、体内转导效率、细胞持续性及安全性。

-- Intellia：CRISPR 体内基因编辑进入上市审评准备阶段

Intellia Therapeutics 成立于 2014 年，总部位于美国马萨诸塞州，2016 年在纳斯达克上市，是 CRISPR 基因编辑技术的代表性企业。公司与再生元合作开发体内基因编辑疗法，重点利用 LNP 递送 CRISPR 编辑工具，在肝脏等目标组织直接完成基因修饰。

- 核心项目 lonvo-z（NTLA-2002）靶向 KLKB1，用于遗传性血管性水肿（HAE）。项目已完成关键 III 期临床开发并提交 BLA，FDA 目标审评日期为 2027 年 3 月 10 日。公司正在推进商业化准备，并持续披露 lonvo-z 的长期安全性及疗效数据。
  - lonvo-z 采用 LNP 递送 CRISPR-Cas9 编辑系统，直接在肝细胞内敲除 KLKB1 基因，减少血浆激肽释放酶生成，进而抑制缓激肽产生，从疾病发生的上游阻断遗传性血管性水肿的致病通路。

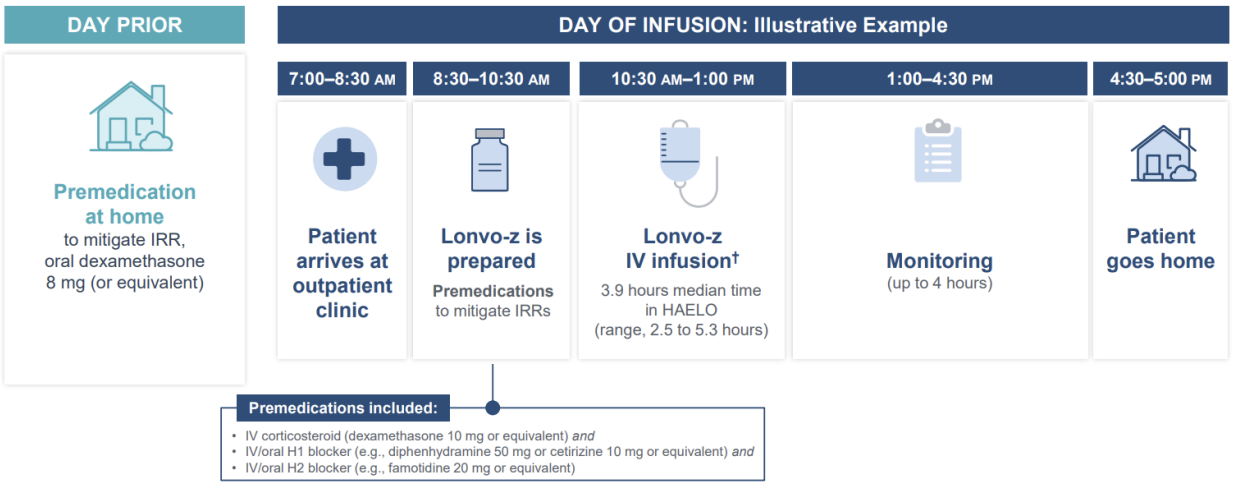
图表51：Ionvo-z 通过体内敲除 KLKB1 阻断 HAE 致病通路



来源：Intellia，国金证券研究所

- Ionvo-z 采用一次性静脉输注方式，患者可在家完成给药前预处理，随后在门诊接受输注及观察。HAELO 研究中，中位输注时间为 3.9 小时，输注后观察最长 4 小时，患者当日即可回家，体现出一次性基因编辑治疗的门诊交付潜力。

图表52：lonvo-z 一次性治疗及门诊给药流程



来源：Intellia，国金证券研究所

- 另一核心项目 nex-z（NTLA-2001）靶向 TTR，用于转甲状腺素蛋白淀粉样变性。公司已完成 ATTRv-PN 适应症 MAGNITUDE-2 III 期研究入组，并继续推进 ATTR-CM 相关 III 期研究，尝试将体内 CRISPR 编辑拓展至不同疾病表现。

- Intellia 的投资价值在于其已建立从体内基因编辑、临床开发到上市申报的完整路径。lonvo-z 的监管结果、商业化交付和长期安全性，将成为判断 CRISPR 体内编辑能否形成可复制商业模式的重要依据。

-- Beam：碱基编辑临床验证提速，血液病与遗传病双线推进

Beam Therapeutics 成立于 2017 年，总部位于美国马萨诸塞州，2020 年在纳斯达克上市。公司以碱基编辑技术为核心，通过精准改变 DNA 单碱基，避免传统 CRISPR-Cas9 双链断裂方式，开发遗传性疾病的一次性治疗产品。

- 在镰状细胞病领域，公司的 risto-cel（原 BEAM-101）采用体外碱基编辑造血干细胞，调节胎儿血红蛋白表达。2026 年 11 月 10 日，公司公布 BEACON

I/II 期关键研究顶线结果，达到至少连续 12 个月无严重血管阻塞危象的主要疗效终点，并满足全部预设主要安全性终点。公司预计最早于 2026 年底提交美国 BLA。

- 在遗传性疾病领域，BEAM-302 采用 LNP 递送碱基编辑器，靶向肝脏 SERPINA1 基因，探索治疗 α1 抗胰蛋白酶缺乏症。2026 年第三季度，公司公布更新数据，显示功能性 AAT 持续增加、突变 Z-AAT 下降，全球关键队列预计于 2027 年上半年完成给药。另一项目 BEAM-301 在糖原贮积症 Ia 型患者中获得早期临床概念验证，部分患者出现禁食耐受和血糖控制改善。

- Beam 已从单一编辑技术平台发展为覆盖体外造血干细胞编辑与体内 LNP 递送的多项目组合。2026 年第三季度末现金及短期投资约 10 亿美元，预计可支持运营至 2029 年中期。后续重点关注 risto-cel 申报、BEAM-302 关键队列结果及体内碱基编辑的临床安全性。

-- Prime：体内编辑进入人体临床，基因精准修复拓展新适应症

Prime Medicine 成立于 2019 年，总部位于美国马萨诸塞州，2022 年在纳斯达克上市。公司以 Prime Editing 为核心技术，利用逆转录酶与工程化向导 RNA，在不依赖 DNA 双链断裂的情况下实现更复杂的基因序列替换、插入及修复。

- 核心项目 PM359 用于慢性肉芽肿病（CGD），通过体外先导编辑患者自体造血干细胞，修复 NCF1 基因的 delGT 突变。早期临床研究显示，接受治疗的患者出现中性粒细胞及血小板植入、NADPH 氧化酶活性恢复等信号。公司计划于 2027 年上半年提交 BLA。

- 2026 年 11 月 12 日，公司宣布首名患者已接受 PM577a 治疗，启动全球 I/II

期临床研究。这是 Prime Medicine 首个进入人体临床的体内 Prime Editing 项目，面向 Wilson 病，探索直接在体内修复 ATP7B 基因缺陷。另一项目 PM647 已获得 FDA 临床试验许可，用于 α1 抗胰蛋白酶缺乏症，预计 2027 年启动临床数据积累。

■ Prime Medicine 还与 BMS 合作开发体外 Prime Edited CAR-T 产品，覆盖血液肿瘤、自身免疫疾病及实体瘤。公司 2026 年 11 月完成融资，募集总额 1.437 亿美元，第三季度末备考现金约 2.095 亿美元，预计可支持运营至 2027 年。其技术价值在于 Prime Editing 从体外造血干细胞向体内基因修复拓展，但不同递送组织的编辑效率和安全性仍是关键验证变量。

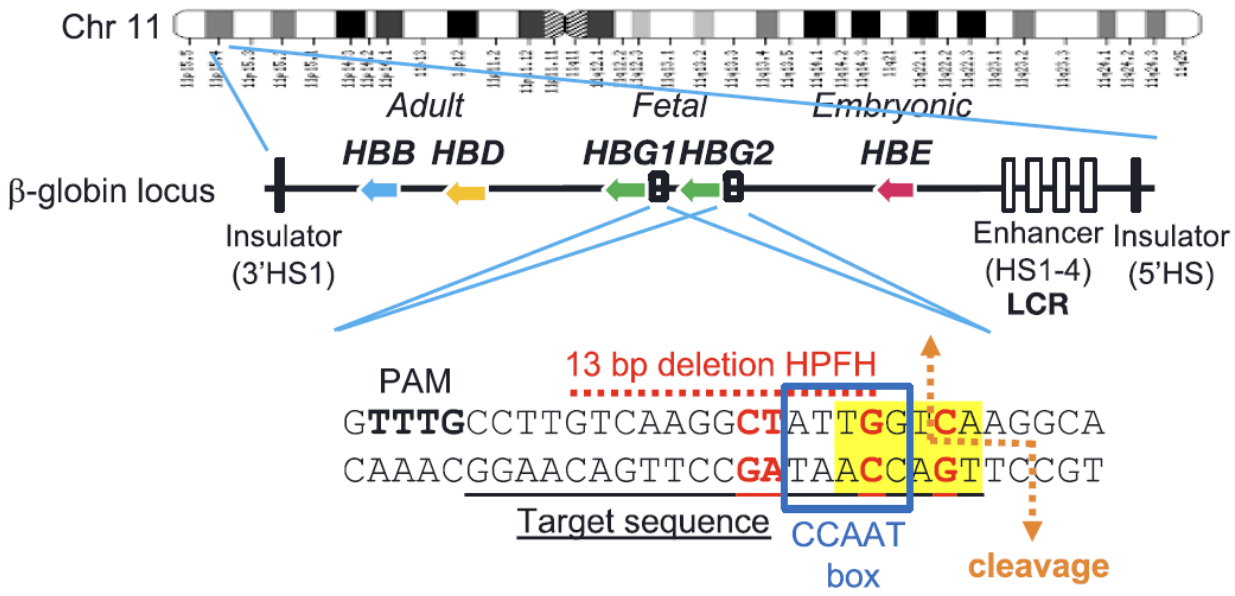
-- Editas：Cas12a 编辑平台延伸，体内基因编辑重新推进

Editas Medicine 成立于 2013 年，总部位于美国马萨诸塞州，2016 年在纳斯达克上市，是 CRISPR 基因编辑领域的早期代表企业。公司以 Cas9 和 Cas12a 基因编辑技术为基础，开发遗传性疾病治疗产品及工程化免疫细胞。

■ 公司早期核心项目 EDIT-301 采用 Cas12a 编辑造血干细胞，探索镰状细胞病及 β 地中海贫血治疗。

- 如下图所示，EDIT-301 采用 Cas12a 编辑患者造血干细胞中 HBG1/HBG2 基因启动子区域，通过改变 γ-珠蛋白表达调控机制，促进胎儿血红蛋白（HbF）重新表达，从而减少镰状红细胞形成及血红蛋白聚合。这一策略利用基因编辑重新激活人体自身的胎儿血红蛋白表达，是 Editas 早期体外基因编辑平台的代表性技术路径。

图表53：EDIT-301 通过 Cas12a 调控γ-珠蛋白基因，恢复胎儿血红蛋白表达



来源：NEJM，国金证券研究所

- 随着研发资源重新配置，公司逐步将重点转向体内基因编辑。2026 年 10 月，公司获得澳大利亚人体研究伦理委员会批准，启动 EDIT-401 的 I/II 期临床研究，用于高脂血症。该项目采用体内基因编辑策略，靶向肝脏相关基因，探索长期降低 LDL-C。

- 细胞治疗合作方面，BMS 与 Editas 合作开发的第二项 CD70 靶向异体 CAR-T 项目已获 IND/CTA 受理，采用 Editas 的 Cas12a 基因编辑技术改造健康供者 T 细胞，用于透明细胞肾癌。合作伙伴将推进后续临床开发，Editas 获得相应里程碑付款。

- 2026 年第三季度末，公司现金及短期投资约 1.902 亿美元，预计可支持运营至 2028 年下半年。Editas 的技术价值正在从早期体外造血干细胞编辑向体内基因编辑及异体免疫细胞工程延伸，后续重点关注 EDIT-401 人体临床数据，以及 BMS 合作项目的临床转化。

-- Precision：ARCUS 基因编辑，HBV 与 DMD 进入临床验证

Precision BioSciences 成立于 2006 年，总部位于美国北卡罗来纳州，2019 年在纳斯达克上市。公司以自主 ARCUS 基因编辑平台为核心，采用源自归巢核酸内切酶的基因编辑工具，开发体内基因删除、修复及插入治疗产品。

- 核心项目 PBGENE-HBV 采用 LNP 递送 ARCUS 编辑工具，靶向乙肝病毒共价闭合环状 DNA（cccDNA），尝试直接清除病毒持续存在的关键遗传物质。2026 年 11 月 5 日，公司公布 ELIMINATE-B I 期研究更新：在预期后续开发剂量 0.4 mg/kg 下，可评价患者的 pgRNA 均降至检测不到；有至少 6 个月随访的相关患者均维持这一结果。肝脏活检还观察到 cccDNA 下降信号，公司据此推进 II 期研究，预计 2027 年第一季度启动给药。
- 另一项目 PBGENE-DMD 用于杜氏肌营养不良症（DMD），通过删除患者自身抗肌萎缩蛋白基因中的高频突变区域，尝试恢复接近全长的功能性抗肌萎缩蛋白。2026 年第三季度，公司已在 I/II 期 FUNCTION-DMD 研究中完成首名患者给药，并计划于 2026 年底公布初步安全性数据。
- 公司还通过 iECURE 合作开发 ECUR-506，利用 ARCUS 体内基因插入技术治疗新生儿期起病的鸟氨酸氨甲酰转移酶缺乏症。2026 年第三季度末，Precision 现金及受限现金约 1.08 亿美元，预计可支持运营至 2028 年。公司当前的核心看点是 PBGENE-HBV 能否从早期病毒学指标改善进一步转化为持续病毒清除，以及 DMD 基因编辑能否建立临床获益。

-- Korro Bio：RNA 编辑不改变 DNA，开发可逆基因功能修复路径

Korro Bio 成立于 2018 年，总部位于美国马萨诸塞州，2023 年在纳斯达克上市。

公司以 OPERA 平台为核心，通过寡核苷酸引导的 RNA 编辑改变特定转录本序列，在不永久改变 DNA 的情况下调节蛋白表达，为遗传性疾病提供不同于 DNA 编辑的治疗路径。

- 核心项目 KRRO-121 采用 GalNAc 偶联 RNA 编辑寡核苷酸，靶向尿素循环障碍及肝性脑病相关的高氨血症。2026 年 9 月，公司启动 I/II 期 ANCHOR 研究并完成首批健康受试者给药,计划于2027年上半年开始尿素循环障碍患者给药，预计 2027 年下半年公布中期数据。
- 另一项目 KRRO-111 用于α1 抗胰蛋白酶缺乏症，通过 RNA 编辑修复 SERPINA1 转录本。2026 年 10 月公布的动物研究数据显示，重复给药后 SERPINA1 mRNA 编辑率超过 95%，循环总 AAT 增加约 6 倍，肝脏致病性 Z-AAT 最高下降 95%。公司预计于 2027 年上半年提交监管申请。
- Korro 与 DNA 基因编辑公司的核心区别在于，其编辑作用发生在 RNA 层面，理论上可以避免永久性基因组改变，但治疗效果需要依赖持续的 RNA 编辑和蛋白表达。2026 年第三季度末，公司现金及短期投资约 1.248 亿美元，预计可支持运营至 2028 年下半年。后续重点关注 KRRO-121 人体安全性和编辑效率，以及 KRRO-111 从动物实验向临床开发的转化。

-- Cellectis：TALEN 技术积累，转向体内碱基编辑与表观遗传编辑

Cellectis 成立于 1999 年，总部位于法国巴黎，2007 年在泛欧交易所上市，并在纳斯达克交易。公司早期以 TALEN 基因编辑技术开发异体 CAR-T 产品。2026 年 9 月，公司宣布战略转型，停止 lasme-cel 及 eti-cel 临床项目入组，将研发资源集中于体内基因编辑，重点布局严重血脂异常相关疾病。

- 公司目前推进两项核心体内项目。.HEAL-101 采用 TALE 碱基编辑技术，靶向 APOC3，用于严重高甘油三酯血症。2026 年 10 月公布的临床前数据显示，LNP 递送编辑器后，人体源化肝脏小鼠模型中 APOC3 平均编辑率约 65%、最高达到 70%；在高甘油三酯疾病模型中，甘油三酯下降约 75%。公司计划于 2027 年在中国启动 I 期研究，预计 2027 年下半年公布初步临床数据。

- HEAL-201 采用 TALE 表观遗传编辑技术，靶向 PCSK9，用于严重高胆固醇血症。与直接改变 DNA 序列的碱基编辑不同，该项目通过表观遗传调控实现 PCSK9 基因表达沉默。2026 年 11 月公布的临床前数据显示，人体源化肝脏小鼠模型中血浆 PCSK9 下降超过 90%，公司计划 2027 年在中国启动 I 期研究，预计 2028 年上半年公布初步临床数据。

- Cellectis 正在从异体细胞治疗转向体内基因编辑，技术布局由传统 TALEN 核酸酶扩展至碱基编辑和表观遗传编辑。两项产品分别针对 APOC3 与 PCSK9，覆盖甘油三酯和胆固醇两类血脂异常。

-- Metagenomi：新型基因编辑平台进入临床，MGX-001 治疗血友病 A

Metagenomi 成立于 2018 年，总部位于美国加利福尼亚州，2024 年在纳斯达克上市。公司以微生物基因组挖掘为基础，开发新型核酸酶及基因编辑工具，重点布局体内基因编辑和遗传性疾病治疗。

- 2026 年 11 月 10 日，公司宣布 FDA 批准 MGX-001 用于血友病 A 的 IND 申请，成为其首个进入人体临床开发的核心产品。MGX-001 通过基因定点整合，将凝血因子 VIII（FVIII）基因插入白蛋白基因位点，利用人体内源性白蛋白启动子驱动 FVIII 持续表达，探索通过一次性治疗恢复内源性凝血因子活

性。

- 临床前研究显示，MGX-001 在非人灵长类动物中实现了持续 FVIII 表达，达到正常生理范围的凝血因子活性，且未观察到可检测的脱靶编辑。公司计划于 2027 年上半年启动全球 I/II 期 INTEGR8 研究，并于 2027 年下半年公布初步安全性、耐受性及 FVIII 功能活性数据。
- 2026 年第三季度末，公司现金、现金等价物及可供出售有价证券合计 1.017 亿美元，预计可支持运营至 2028 年。MGX-001 将公司原有的基因编辑工具平台推进至人体临床开发阶段，后续重点关注 FVIII 表达水平、持续时间及临床安全性。

中国公司：血液瘤成熟，实体瘤推进，异体与 in vivo CAR 探索中

中国 CGT 产业已经形成从自体 CAR-T 商业化、实体瘤细胞治疗，到基因编辑、异体细胞及体内细胞工程的多层次布局。血液瘤 CAR-T 已有多款产品获批，产业竞争逐步转向患者覆盖、制造效率和商业化交付；实体瘤 CAR-T 与 TIL 开始进入注册及商业化阶段；异体 CAR-T、基因编辑和 in vivo CAR-T 则仍处于技术突破与临床验证阶段。

从企业结构看，国内 CGT 创新主体以未上市 Biotech 为主，同时形成药明巨诺、科济药业、复星医药等已上市企业，以及和元生物、奥浦迈等上游产业链企业。我们将 138 家未上市公司按照七大技术方向建立公司库，覆盖不同细胞来源、编辑方式及递送路径。

图表54：中国获批的细胞治疗产品

药品通用名	商品名	申报/持有企业	靶点	产品类别	获批适应症（NMPA）	获批时间	上市	备注（里程碑/企业属性）
阿基仑赛注射液	奕凯达	复星凯特生物科技（复星医药与Kite Pharma合资）	CD19	自体CAR-T	二线及以上系统性治疗后成人复发或难治性大B细胞淋巴瘤	2021-06-22	120万元/针	国内首款获批上市的CAR-T细胞治疗产品（引进Kite Yescarta技术）
瑞基奥仑赛注射液	倍诺达	药明巨诺（JW Therapeutics，2126.HK）	CD19	自体CAR-T	复发或难治性大B细胞淋巴瘤；后续扩展滤泡性淋巴瘤（FL）、套细胞淋巴瘤（MCL）	2021-09-03	129万元/针	国产1类新药；目前唯一获批LBCL/FL/MCL三适应症的CAR-T
伊基奥仑赛注射液	福可苏	驯鹿生物（IASO Bio）联合信达生物（1801.HK）	BCMA	自体CAR-T	复发或难治性多发性骨髓瘤	2023-06-30	116.6万元/针	中国首个全自主研发、全流程自主生产的CAR-T药品
纳基奥仑赛注射液	源瑞达	合源生物科技（天津）股份有限公司	CD19	自体CAR-T	成人复发或难治性B细胞急性淋巴细胞白血病（B-ALL）；2025-11-28新增淋巴瘤适应症	2023-11-08	99.9万元/针	中国白血病治疗领域首款CAR-T；全自主知识产权CD19 scFv（HI19a）
泽沃基奥仑赛注射液	赛恺泽	科济药业（CARsgen，2177.HK）	BCMA	自体CAR-T	复发或难治性多发性骨髓瘤	2024-03	115万元/针	中国首个获美国FDA再生医学先进疗法（RMAT）认定的CAR-T产品
西达基奥仑赛注射液	卡卫获	传奇生物（Legend Biotech，LEGN.US；与强生合作）	BCMA	自体CAR-T	复发或难治性多发性骨髓瘤	2024-08	国内定价未披露（美国上市定价46.5万美元）	已同步获美国FDA/欧盟批准上市（CARVYKTI），中国创新药出海标杆
艾米迈托赛注射液	睿铂生	铂生卓越生物科技（北京）有限公司	人脐带间充质干细胞（hUC-MSC）	干细胞	14岁以上以消化道受累为主、激素治疗失败的急性移植物抗宿主病（aGVHD）	2025-01-02	1.98万元/袋（12ml，6.0×10^7细胞）	中国首款获批上市的干细胞治疗药品（附条件批准）
雷尼基奥仑赛注射液	恒凯莱	上海恒润达生生物科技股份有限公司	CD19	自体CAR-T	二线及以上系统性治疗后成人复发或难治性大B细胞淋巴瘤（DLBCL NOS、tFL、HGBL伴MYC/BCL2重排及NOS）	2025-07-30	未公布（华润双鹤全国独家商业化代理）	首款获批采用稳转细胞株病毒工艺的国产CAR-T
普基奥仑赛注射液	普利得凯	重庆精准生物技术有限公司	CD19	自体CAR-T	3~21岁CD19阳性难治或复发急性B淋巴细胞白血病（附条件批准）	2025-11-07	未公布	填补中国儿童及青少年r/r B-ALL适应症CAR-T空白
舒瑞基奥仑赛注射液	恺力美	科济药业（CARsgen，2177.HK）	CLDN18.2	自体CAR-T	CLDN18.2阳性、HER2阴性、至少二线治疗失败的晚期胃/食管胃结合部腺癌	2026-06-22	99万元/人份	全球首款获批上市的实体瘤CAR-T细胞治疗产品
泊基奥仑赛注射液	赛泊华	北京艺妙神州生物医药股份有限公司	CD19	自体CAR-T	二线及以上系统性治疗后成人复发或难治性大B细胞淋巴瘤（DLBCL NOS、3b级FL、高级别B细胞淋巴瘤）	2026-11-06	未公布	国内获批的第10款CAR-T、第6款靶向CD19的自体CAR-T

来源：各公司公告，CDE，国金证券研究所

--药明巨诺：中国细胞治疗龙头之一，自体、异体、自免皆布局

药明巨诺是中国细胞治疗龙头之一，由药明体系与 Juno Therapeutics 相关技术合作发展而来，2020 年在港交所上市，专注于 CAR-T 产品的研发、生产与商业化。

- 公司核心产品倍诺达（relma-cel）是中国较早获批的 CD19 CAR-T 产品之一，主要针对复发难治性B细胞恶性肿瘤，并通过后续临床开发拓展不同适应症。
- 药明巨诺的主要优势，在于较早建立适合国内监管、生产和治疗体系的商业

化细胞治疗能力。其经验覆盖患者细胞采集、制造、质量控制、治疗中心合作及临床交付，是国内 CGT 由研发进入商业化的重要样本。

- 药明巨诺未来的核心价值或将取决于产品临床差异化、治疗中心覆盖、患者渗透及制造效率提升。

--科济药业：全球首个实体瘤 CAR-T 上市，国际化产能布局

科济药业成立于 2014 年，总部位于中国上海，2021 年在港交所上市；是一家专注于 CAR-T 细胞治疗的生物科技企业。公司已经建立自体 CAR-T 商业化产品及异体 CAR-T 研发平台，布局血液系统恶性肿瘤和实体瘤两类疾病市场。

- 科济的主要资产包括靶向 BCMA 的 CAR-T 产品赛恺泽，以及靶向 CLDN18.2、用于晚期胃癌的实体瘤 CAR-T 产品恺力美。
- 2026 年 6 月，恺力美获得国家药监局批准上市，成为全球首个实体瘤 CAR-T 获批产品。其主要适用人群为经过多线治疗的晚期胃癌患者。
  - 该产品随机研究显示，中位 PFS 由对照组 1.77 个月延长至 3.25 个月，增量约 1.48 个月。对于需要承担高额药物费用、清淋预处理及住院医疗费用的患者家庭，这一疗效增量能否转化为足够强的真实治疗需求，是商业化必须面对的核心问题。
  - 科济药业还拥有 THANK-u Plus 等异体 CAR-T 平台及其他产品项目，探索改善细胞来源、制造效率和产品交付方式。截至 2026 年 6 月底，公司持有现金及现金等价物约 14 亿元人民币，具有继续推进商业化和后续临床研究的资金基础。

--君赛生物：工艺与治疗双重简化，下一代实体瘤 TIL 已 BLA

君赛生物成立于 2019 年，总部位于中国上海，是一家专注于实体瘤细胞治疗研发与商业化的生物科技企业。君赛的突出特点，是以自有 TIL 制造及基因修饰平台为基础，同时改善细胞制备复杂度与患者治疗负担。

- 公司的核心产品 GC101 是一款天然 TIL 疗法，其 DeepTIL 平台减少了对传统滋养细胞及高浓度 IL-2 培养条件的依赖。临床方案采用较低强度清淋，不需要回输后常规高剂量 IL-2 给药,使细胞治疗从生产端到临床端均形成差异化。
  - GC101 在晚期黑色素瘤注册性 II 期研究中达到主要终点，并于 2026 年进入上市审评阶段。这使君赛从以技术和早期临床开发为主的企业，向潜在商业化产品开发企业迈进一步。
  - 与 Iovance 相比，君赛的主要竞争方向不是单一疗效指标的比较，而是整个治疗体系的优化：制造成功率、取材便利性、细胞产量、治疗耐受性、住院资源占用以及实际综合治疗费用。
- 君赛还开发了 GC203、GC301、GC304 及 iGC101 等后续技术项目。其中 GC203 利用非病毒基因修饰技术引入 IL-7 相关功能，试图进一步提高细胞活性；分时段制造与储存技术则探索提前获取肿瘤组织、制备 TIL 种子细胞，并在后续需要时开展治疗。
- 公司已经在上海建立超过 1.6 万平方米的生产设施，为后续产品上市及规模化交付提供基础。
- 我们认为，君赛最有价值的竞争优势是其贯穿制造和临床治疗流程的技术设计。 如果 GC101 成功实现商业化，并在肺癌及其他实体瘤中复制疗效，同时

形成具有竞争力的治疗成本，君赛有机会从单产品 TIL 开发企业成长为下一代实体瘤细胞治疗平台。

--沙砾生物：TIL 多技术路线并行，覆盖天然细胞与功能增强

沙砾生物是中国实体瘤 TIL 赛道的重要研发企业，布局天然 TIL、细胞功能增强及基因编辑等不同技术路线。

- 公司以 GT101 开发非基因修饰自体 TIL，以 GT201 探索 IL-15 增强型 TIL，并进一步布局基因编辑型 TIL。不同项目分别从天然肿瘤浸润淋巴细胞扩增、细胞功能增强和基因工程改造切入。
- 与君赛侧重制造流程及治疗负担简化不同，沙砾的技术布局更强调细胞功能增强及工程化改造。后续重点关注关键临床数据、制造一致性及不同技术路线的临床价值。

--邦耀生物：基因编辑与细胞治疗双平台，拓展遗传病、肿瘤与自免

邦耀生物成立于 2013 年，总部位于中国上海，是一家以基因编辑和细胞治疗为核心的未上市生物科技公司。公司以基因编辑技术为基础，形成涵盖遗传性血液病、工程化 CAR-T 和异体细胞治疗的多条研发管线。

- 其核心产品之一 BRL-101 面向输血依赖型 β 地中海贫血，通过体外基因编辑患者造血干细胞，探索恢复正常血红蛋白功能的治疗路径。
  - 邦耀还开发了 BRL-201 等非病毒定点整合 CAR-T 项目，尝试通过精准基因整合改善工程化细胞的制造和功能特征。这类技术可能减少部分传统病毒载体工艺的依赖，并为后续多重基因工程提供技术基础。

- 在自身免疫病方向，公司异体 CAR-T 项目 BRL-303 于 2025 年 12 月取得 SLE 适应症的中国临床试验许可，进一步将基因编辑能力应用于现货型免疫细胞治疗。

■ 邦耀的潜在竞争优势，在于基因编辑工具和细胞治疗平台之间的技术协同。其产业价值需要由核心管线的注册进展、产品制造一致性和未来商业化权益逐步验证。

--上海细胞治疗集团：肿瘤靶点与抗 PD-1 CAR-T，多适应症推进

上海细胞治疗集团成立于 2013 年，长期从事细胞存储、细胞技术及免疫细胞治疗研发，逐步从细胞存储服务延伸至自主细胞药物开发。公司建立羊驼及骆驼养殖基地，构建驼源纳米抗体发现平台，并将其应用于工程化免疫细胞，形成区别于传统 CAR-T 企业的技术路线。

■ 公司核心技术包括 PiggyBac 非病毒转座子基因写入系统，以及自分泌纳米抗体装甲化 CAR-T。前者通过非病毒方式将 CAR 等功能基因导入 T 细胞，探索降低制造成本、缩短生产周期；后者使工程化 T 细胞在识别肿瘤的同时，分泌抗 PD-1 纳米抗体，针对性改善肿瘤免疫抑制微环境。

- 在 CD19 CAR-T 方向，公司采用 PiggyBac 转座子系统开展非病毒基因修饰研究，相关成果发表于国际学术期刊，并已开展临床探索。
- 在实体瘤方向，公司开发自分泌 PD-1 纳米抗体的 MSLN CAR-T（aPD1-MSLN CAR-T），利用驼源纳米抗体阻断 PD-1 免疫抑制通路。2022 年 ASCO，公司公布恶性间皮瘤 I 期临床初步数据；2025 年 ASCO 再次公布基于自主基因写入系统的闪 CAR-T 临床研究数据。

- 公司进一步建立 JL-闪 CAR-T（J-Lighting 基因写入系统）平台，探索缩短细胞制造周期、降低生产成本及提高细胞治疗可及性。其技术布局覆盖非病毒基因写入、纳米抗体筛选、免疫细胞工程及快速制造，具有从底层工具到细胞治疗产品的纵向整合特征。

■ 上海细胞治疗集团的看点，在于将非病毒基因工程与驼源纳米抗体结合，探索同时改善 CAR-T 制造效率和实体瘤免疫微环境。后续重点关注 CD19 产品的临床转化、实体瘤装甲化 CAR-T 的持续疗效，以及快速制造平台的规模化应用。

--其他中国细胞治疗企业

除上述企业外，中国细胞治疗领域还聚集了大量未上市创新企业，覆盖自体及异体 CAR-T、CAR-NK、TCR-T、TIL、Treg 及 iPSC 来源免疫细胞等技术路线。代表性企业包括复星凯瑞、恒润达生、传奇生物、亘喜生物、北恒生物、博生吉、华道生物、原启生物、优卡迪、斯丹赛、恩凯赛药、天科雅、中盛溯源、生研生物、济因生物及重庆精准生物等。部分企业已建立临床阶段产品管线，部分则侧重通用型免疫细胞、工程化 NK 细胞及新型细胞来源平台。整体来看，国内细胞治疗创新主体仍以未上市 Biotech 为主，技术布局从成熟的 CD19、BCMA CAR-T 逐步延伸至实体瘤、异体细胞和新型免疫细胞治疗，形成较为丰富的早期研发与潜在 BD 资产池。

CRO/CDMO 及上游：CGT 制造复杂度催生专业化产业分工

--Lonza:全球 CDMO 龙头，领先的 CGT 规模化制造与质量体系

Lonza 创立于 1897 年，总部位于瑞士巴塞尔，在瑞士证券交易所上市；是全球大

型 CDMO 企业之一。公司业务覆盖生物药、复杂化学药物及细胞与基因治疗等技术领域，拥有跨区域研发、工艺开发和商业化生产能力。

- CGT 业务属于 Lonza 的 Specialized Modalities 平台，涉及细胞与基因治疗、微生物、mRNA 及其他专业化制造技术。公司能够为客户提供从工艺开发、分析检测到 GMP 制造的综合服务。
  - 相较于规模较小的专业 CGT CDMO，Lonza 的主要优势是成熟的质量体系、全球生产网络和跨治疗技术的客户资源。其核心竞争力不仅在于设备与产能，还包括复杂工艺转移、质量控制、监管申报支持及商业化生产经验。
- 2026 年上半年，Lonza 持续经营业务销售额达到 33.74 亿瑞郎，按固定汇率增长 16%，核心 EBITDA 利润率 34.8%。这一财务表现体现了集团整体制造平台的规模优势，但不能全部归因于 CGT 业务。
- Lonza 的 CGT 价值在于为大型药企提供可长期依赖的复杂治疗产品制造能力。其增长与细胞治疗、基因递送及新型核酸产品的客户项目密切相关，同时也需要区分 CGT 业务与集团其他制造平台的财务贡献。

--Oxford Biomedica:病毒载体技术与 CDMO 结合，CGT 递送环节强

Oxford Biomedica 成立于 1996 年，源自英国牛津大学技术成果，同年在伦敦 AIM 市场上市，目前在伦敦交易所上市。公司最初以基因治疗研发为主，后逐步转向全球细胞与基因治疗 CDMO，重点建立病毒载体研发与制造能力。

- Oxford Biomedica 的核心技术资产是慢病毒载体相关工艺及生产平台，可为工程化细胞治疗和基因修饰产品提供关键递送工具。随着全球 CGT 产品增加，病毒载体的安全性、纯度、产量、一致性及制造成本成为药物开发和商业化的

重要环节。

- 2026 年上半年，OXB 收入约 7,980 万英镑，同比增长 9%；新增 17 名客户，并将客户项目组合扩展至 59 个项目、50 家客户。同期合同订单储备约 1.93 亿英镑，调整后营业 EBITDA 亏损收窄至约 250 万英镑。
- 公司已经在英国、美国等地建立制造布局，业务增长由新客户获取、原有客户项目推进及产能利用率提升共同驱动。
- 我们判断，OXB 是研究 CGT 病毒载体产业化最直接的上市公司之一。其未来盈利能力取决于临床项目向商业化制造转移的比例、订单兑现速度、产能利用率及客户集中度。
- 随着 In vivo 技术发展，不同病毒和非病毒载体之间的竞争也可能改变 OXB 未来的技术机会与市场结构。

--金斯瑞生物科技/蓬勃生物：国际化高品质 CGT CDMO 平台

金斯瑞生物科技是源于中国、面向全球生命科学市场的生物技术集团，成立于 2002 年，2015 年在港交所上市。公司早期从基因合成及生命科学研究服务切入，逐渐形成生命科学工具、细胞治疗及生物药研发制造服务等业务体系。

- 金斯瑞的 CGT 产业链价值，来自基因合成、蛋白表达、抗体开发、基因修饰研究，以及通过 ProBio 提供的生物药研发制造服务能力。同时，传奇生物的成长展示了集团早期布局细胞治疗技术所形成的产业价值。
- 2026 年上半年，金斯瑞生命科学业务收入约 3.19 亿美元，同比增长 28.8%；蓬勃生物的业务收入约 6,110 万美元，同比增长 34.2%，新增订单增长 54%。

--Cellares：全自动细胞制造平台探索者

Cellares 成立于 2019 年，总部位于美国加利福尼亚州，是一家未上市的细胞治疗制造技术公司。公司以 Cell Shuttle 自动化制造平台与 Cell Q 质量控制平台为核心，开发集成式细胞治疗生产体系。

- 与传统由多个单元设备和人工操作共同完成的细胞制造流程不同，Cellares 试图将细胞培养、处理、质量控制及生产管理整合到自动化系统中，降低人工干预和不同批次之间的制造差异。
- 2026 年 4 月，公司与 Cabaletta Bio 签署为期十年的商业化生产供应协议，计划为 rese-cel 提供长期自动化制造能力。这说明细胞治疗制造企业正在从提供单台设备或工艺服务，向承担商业化产品批量交付的综合平台发展。
- Cellares 的潜在价值来自制造模式的改变，而不是单纯提高某一工艺步骤的效率。 如果自动化平台能够稳定降低单位生产成本、缩短制造周期并提高生产成功率，将有机会形成跨客户、跨产品的规模化服务能力。

--和元生物：CGT 订单恢复增长，产能利用率与项目商业化提升中

和元生物成立于 2013 年，总部位于中国上海，2022 年在上交所科创板上市；是一家专注于细胞与基因治疗 CRO 及 CDMO 服务的企业。

- 公司提供病毒载体开发、基因功能研究、工艺开发、分析检测及 GMP 制造等服务，客户覆盖基因治疗、CAR-T 及其他 CGT 产品开发企业。
- 2026 年前三季度，和元生物实现营业收入 2.07 亿元，同比增长 14.5%。其中 CGT CRO 收入约 7,277 万元，同比增长 17.4%；CGT CDMO 收入约 1.04 亿元，同比增长 7.9%。

- 同期，公司新增 CDMO 订单超过 2.3 亿元，帮助客户获得中国及美国临床试验许可 15 项。但公司前三季度仍亏损约 1.46 亿元，说明订单增长尚未充分转化为利润。

- 我们认为，和元生物的关键变量是订单向收入及利润转化的效率。 项目推进阶段、产能利用率、商业化客户占比及固定成本分摊，将决定公司能否跨越由研发型 CDMO 向盈利型制造企业转变的门槛。

--奥浦迈：细胞培养基形成客户管线积累，CGT 耗材需求提供新机会

奥浦迈成立于 2013 年，总部位于中国上海，2022 年在科创板上市（688293.SH），主要从事细胞培养产品开发、制造及生物药 CDMO 服务。

- 公司的竞争优势来自细胞培养基配方、生产工艺、定制化服务及长期客户合作。培养基虽然属于上游耗材，但其质量、稳定性及细胞扩增效率直接影响生物药和细胞治疗产品的生产结果。

- 2026 年前三季度，奥浦迈细胞培养产品收入约 3.27 亿元，同比增长约 37%。截至 9 月底，使用其培养基并已确定中试工艺的药品研发管线达到 401 个，其中 38 个处于临床 III 期，18 个进入商业化生产阶段。

- 公司已推出细胞治疗用无血清培养基等产品，正将既有培养基技术向 CGT 领域拓展。现阶段，CGT 更多体现为公司现有业务的应用延伸与增量机会。

风险提示

研发及临床失败风险：创新药研发周期长、失败率高，临床前及早期临床数据可能无法在大样本、后期临床中重复，产品也可能因疗效、安全性、生产控制或监

管等问题终止开发。

BD 交易兑现风险：BD 交易潜在总额通常包含研发、注册及销售里程碑，能否兑现取决于项目后续开发与商业化进展；部分合作还可能因战略调整而终止。

监管风险：药品审评、医保支付及价格监管政策变化，可能影响产品获批进度、商业化回报及企业业绩。

地缘风险：若海外贸易摩擦导致海外授权、产品出口或原材料采购出现障碍，可能影响部分公司的研发推进与业绩增长。

投融资周期波动风险：医药行业研发与经营活动受投融资环境影响较大，若全球医药投融资市场活跃度下降，可能影响部分公司的融资能力、管线推进及业绩表现。

汇兑风险：部分公司海外业务占比高，人民币汇率的大幅波动可能会对公司利润产生明显影响。其程度依赖于汇率本身的波动，同时也取决于公司套期保值相关工具的使用和实施。

特别声明：

国金证券股份有限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。

本报告版权归“国金证券股份有限公司”（以下简称“国金证券”）所有，未经事先书面授权，任何机构和个人均不得以任何方式对本报告的任何部分制作任何形式的复制、转发、转载、引用、修改、仿制、刊发，或以任何侵犯本公司版权的其他方式使用。经过书面授权的引用、刊发，需注明出处为“国金证券股份有限公司”，且不得对本报告进行任何有悖原意的删节和修改。

本报告的产生基于国金证券及其研究人员认为可信的公开资料或实地调研资料，但国金证券及其研究人员对这些信息的准确性和完整性不作任何保证。本报告反映撰写研究人员的不同设想、见解及分析方法，故本报告所载观点可能与其他类似研究报告的观点及市场实际情况不一致，国金证券不对使用本报告所包含的材料产生的任何直接或间接损失或与此有关的其他任何损失承担任何责任。且本报告中的资料、意见、预测均反映报告初次公开发布时的判断，在不作事先通知的情况下，可能会随时调整，亦可因使用不同假设和标准、采用不同观点和分析方法而与国金证券其它业务部门、单位或附属机构在制作类似的其他材料时所给出的意见不同或者相反。

本报告仅为参考之用，在任何地区均不应被视为买卖任何证券、金融工具的要约或要约邀请。本报告提及的任何证券或金融工具均可能含有重大的风险，可能不易变卖以及不适合所有投资者。本报告所提及的证券或金融工具的价格、价值及收益可能会受汇率影响而波动。过往的业绩并不能代表未来的表现。

客户应当考虑到国金证券存在可能影响本报告客观性的利益冲突，而不应视本报告为作出投资决策的唯一因素。证券研究报告是用于服务具备专业知识的投资者和投资顾问的专业产品，使用时必须经专业人士进行解读。国金证券建议获取报告人员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。报告本身、报告中的信息或所表达意见也不构成投资、法律、会计或税务的最终操作建议，国金证券不就报告中的内容对最终操作建议做出任何担保，在任何时候均不构成对任何人的个人推荐。

在法律允许的情况下，国金证券的关联机构可能会持有报告中涉及的公司所发行的证券并进行交易，并可能为这些公司正在提供或争取提供多种金融服务。

本报告并非意图发送、发布给在当地法律或监管规则下不允许向其发送、发布该研究报告的人员。国金证券并不因收件人收到本报告而视其为国金证券的客户。本报告对于收件人而言属高度机密，只有符合条件的收件人才能使用。根据《证券期货投资者适当性管理办法》，本报告仅供国金证券股份有限公司客户中风险评级高于 C3 级（含 C3 级）的投资者使用；本报告所包含的观点及建议并未考虑个别客户的特殊状况、目标或需要，不应被视为对特定客户关于特定证券或金融工具的建议或策略。对于本报告中提及的任何证券或金融工具，本报告的收件人须保持自身的独立判断。使用国金证券研究报告进行投资，遭受任何损失，国金证券不承担相关法律责任。

若国金证券以外的任何机构或个人发送本报告，则由该机构或个人为此发送行为承担全部责任。本报告不构成国金证券向发送本报告机构或个人的收件人提供投资建议，国金证券不为此承担任何责任。

此报告仅限于中国境内使用。国金证券版权所有，保留一切权利。

上海
电话：021-80234211
邮箱：researchsh@gjzq.com.cn
邮编：201204
地址：上海浦东新区芳甸路 1088 号紫竹国际大厦 5 楼

北京
电话：010-85950438
邮箱：researchbj@gjzq.com.cn
邮编：100005
地址：北京市东城区建内大街 26 号新闻大厦 8 层南侧

深圳
电话：0755-86695353
邮箱：researchsz@gjzq.com.cn
邮编：518000
地址：深圳市福田区金田路 2028 号皇岗商务中心 18 楼 1806