



小核酸市场欣欣向荣，国产管线蓄势待发

—— 小核酸药物行业深度报告

分析师：程培 分析师：宋丽莹

小核酸市场欣欣向荣，国产管线蓄势待发

—— 小核酸药物行业深度报告

2026 年 04 月 13 日

核心观点

- **从小核酸药物英克司兰跻身重磅药物行列，看小核酸药物高成长属性。**诺华 2025 年度财报：全球首款 siRNA 超长效降脂药 Leqvio（英克司兰钠注射液，Inclisiran）全年销售额飙至 11.98 亿美元，同比增长 57%，跻身重磅药物行列。此外，2026 年伊始，小核酸药物赛道催化频出：新药获批、资本涌入、技术攻坚、并购整合四重奏，小核酸药物呈现破竹之势。
- **小核酸药物研发进入井喷期，慢病市场潜在空间广阔。**目前小核酸药物全球市场竞争格局高度集中：Alnylam、Ionis、Sarepta 三大巨头占据全球 95% 的市场份额，另有 Arrowhead、Wave Life Sciences 等公司加速追赶。截至 2026 年 2 月全球共获批上市 23 款小核酸药物（含退市），13 款 ASO 药物、8 款 siRNA 药物、2 款核酸适配体药物，涵盖 FCS、脊髓性肌萎缩症、高胆固醇血症等适应症。全球研发管线呈现爆发式增长，超百款在研小核酸药物中，心血管、代谢等慢病成为主要研发方向，CNS、肾病领域的研发占比也在快速提升。国内以瑞博生物、舶望制药、圣因生物为代表的头部小核酸 Biotech 崛起，不仅研发管线推进速度较快，并与 MNC 达成大金额 BD 交易。成熟药企亦纷纷布局：信达生物、信立泰、华东医药等通过引进或联合开发加速布局，恒瑞医药、石药集团等自建技术平台，推动国产 siRNA 管线临床进展。
- **小核酸产业链国内处于起步阶段，国产替代空间大，CXO 助力行业加速发展。**小核酸药物产业链涵盖上游核酸单体和试剂生产，中游新药研发及药品生产和下游产品商业化。生产原料、工艺、技术专利及设备仪器，仍存在较高的进口依赖性，国产替代存在较大空间。中游药明康德和凯莱英等 CDMO 企业提供小核酸药物外包研发服务，助力国内小核酸药物行业的快速发展。
- **投资建议：**小核酸药物在 2026 年将迎来大单品放量 and 多品种数据读出的重磅催化，其中减重领域和 CNS 领域预计成为市场关注重点，若数据进一步验证将极大拓展 siRNA 药物的市场潜力，有望成为继 GLP-1 后新一代重磅炸弹新药。建议关注国内小核酸上市公司如瑞博生物、悦康药业、必贝特等以及中上游产业链如药明康德、凯莱英、奥锐特、联化科技、蓝晓科技（银河环保公用覆盖）、成都先导等。
- **风险提示：**1.宏观经济压力增大导致医药消费不足；2.创新药医保支付不及预期；3.地缘政治带来的全球订单转移；4.集采或收费降价超出市场预期。

重点公司盈利预测与估值（截至 2026 年 4 月 10 日）

股票代码	股票名称	归母净利润/亿元			PE			投资评级
		2026E	2027E	2028E	2026E	2027E	2028E	
6938.HK	瑞博生物-B	-2.53	-2.83	/	/	/	/	/
688658.SH	悦康药业	-0.53	0.69	/	/	122.2	/	/
603259.SH	药明康德	167.95	196.97	243.40	18.9	16.1	13.0	推荐
002821.SZ	凯莱英	13.94	17.25	22.52	31.4	25.4	19.4	推荐
688759.SH	必贝特-U	/	/	/	/	/	/	/

资料来源：Wind，中国银河证券研究院

医药生物行业

推荐 维持评级

分析师

程培

☎：021-20257805

✉：chengpei_yj@chinastock.com.cn

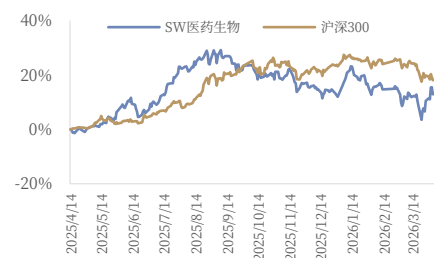
分析师登记编码：S0130522100001

宋丽莹

✉：songliying_yj@chinastock.com.cn

分析师登记编码：S0130524050001

相对沪深 300 表现图 2026 年 04 月 10 日



资料来源：中国银河证券研究院

相关研究

- 1.【银河医药】行业月报 202603：战略定位升级，推动医药高质量发展
- 2.【银河医药】行业深度_医药行业_十五五规划纲要解读：以人为本，医疗健康系统性升级
- 3.【银河医药】行业深度_医保省级统筹提速，医药中长期投资新起点

目录

Catalog

一、 从小核酸药物英克司兰跻身重磅药物行列，看小核酸药物高成长属性	3
（一） 小核酸药物优势独特	3
（二） 长效持久带来颠覆性潜力，市场进入产品兑现期	5
（三） 长效代谢性疾病成药性被验证，小核酸药物迎来密集催化	10
（四） 全球小核酸赛道投融资持续推进	13
二、 小核酸产业链国内处于起步阶段，国产替代空间大	17
（一） 国内小核酸产业链处于起步阶段，上游国产替代空间大	37
（二） 小核酸药物景气度上行，CXO 助力行业加速发展	42
三、 小核酸药物研发井喷期，慢病市场潜在空间广阔	17
（一） 全球热门靶点相对集中，部分公司布局全新靶点	17
（二） 国内已布局丰富的小核酸药物管线，部分产品进入后期临床阶段	20
（三） 海外小核酸巨头进入业绩兑现期，关注管线研发及商业化动向	29
四、 投资建议	46
五、 风险提示	47

一、从小核酸药物英克司兰跻身重磅药物行列，看小核酸药物高成长属性

小核酸药物英克司兰持续高增长，2026 年伊始小核酸行业继续高歌猛进，看好小核酸赛道高成长属性。2026 年伊始，小核酸药物赛道催化频出：新药获批、资本涌入、技术攻坚、并购整合四重奏接连奏响，小核酸药物呈现破竹之势。

1) 2026 年 2 月 4 日诺华 2025 年度财报出炉：全球首款 siRNA 超长效降脂药 Leqvio（英克司兰钠注射液，Inclisiran）全年销售额飙至 11.98 亿美元，同比增长 57%，跻身重磅药物行列。

2) 2026 年 1 月 6 日赛诺菲旗下靶向 APOC3 的 siRNA 长效药物普乐司兰钠在华获批，成为国内首个用于特定遗传性高血脂患者的 RNAi 疗法。

3) 2026 年 1 月 9 日国内小核酸领军企业瑞博生物成功登陆港交所，募资超 18 亿港元，公开发售获超百倍认购，显示出资本市场对该领域的信心。

4) 2026 年 1 月 12 日在 JPM2026 大会上尧景基因发布了全球首个心脏靶向小核酸递送平台“Kardia Shuttle”，打破了该疗法长期局限于肝脏的递送瓶颈。

5) 2026 年 1 月港股龙头中国生物制药宣布以 12 亿元全资收购拥有“一年一针”降脂技术的赫吉亚生物，打响了国内小核酸领域大型并购的第一枪。

6) 全球 BD 继续推进：2026 年 2 月圣因生物与罗氏子公司基因泰克达成 17 亿美元交易（首付款 2 亿美元），瑞博生物与 Madrigal 达成 44 亿美元交易（首付款 6000 万美元）。

（一）小核酸药物优势独特

小核酸药物是由 10-30 个核苷酸组成的短链合成核酸分子，不同于传统小分子或抗体药物，小核酸药物不直接与蛋白结合，它通过碱基互补配对原则靶向 RNA（少数情况下靶向 DNA/RNA 结构）来调控基因表达，在转录后或翻译前作用于致病基因，最终影响蛋白质产量与功能。

小核酸药物的精准干预，带来了三大颠覆性优势：一是拓宽靶点范围，理论上已知序列的致病基因均可成为药物靶点，解决大量“不可成药”难题；二是药物疗效持久，可实现半年乃至一年给药一次，显著提升依从性；三是研发路径直接，仅需针对已知基因序列设计药物，与蛋白质相比结构更具确定性。

小核酸药物主要包括反义核酸（ASO）、小干扰核酸（siRNA）、微小 RNA（miRNA）、核酸适配体（Aptamer）和转运 RNA（tRNA）碎片。目前研究最热门的小核酸药物主要是 ASO、siRNA 和 Aptamer。

表1：RNA 药物的分类和特性

类型	长度	单双链	靶点	作用位点	作用原理	优缺点	应用
mRNA	-	单链	-	-	翻译表达目的蛋白作为抗原	高效能、低成本、安全性高，但稳定性差、递送效率低	主要用于作为各种疾病的疫苗，如新型冠状病毒疫苗
siRNA	21-25 个碱基对	双链	mRNA	细胞质	靶向并切割 mRNA，抑制蛋白质的翻译	特异性高，但具有免疫原性	主要用于治疗各种肝脏疾病和罕见病，如急性肝卟啉症和遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性疾病
miRNA	约 22 个核苷酸	单链	mRNA	细胞质	主要通过靶向 mRNA 抑制翻译，也可以降解 mRNA	一个 miRNA 可以调节多种 mRNA 的表达，但是特异性低、毒副作用大	可用于构建基因敲除小鼠

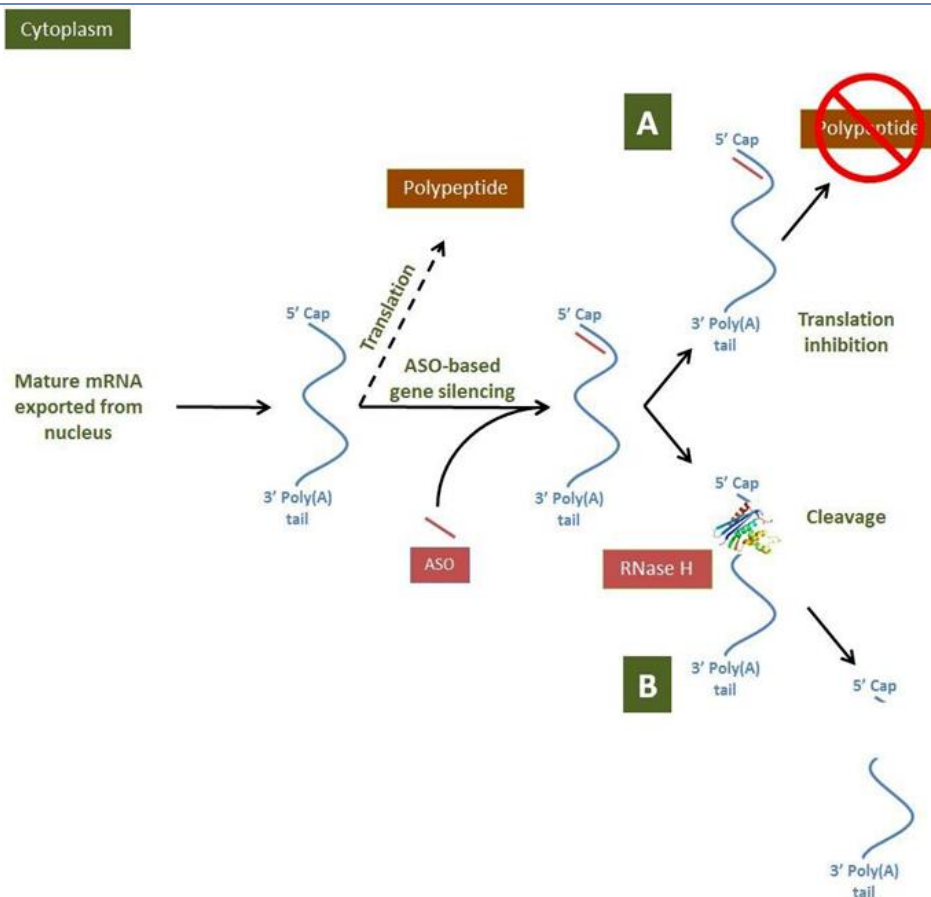
ASO	13-30个核苷酸	单链	mRNA、miRNA、Pre-mRNA	细胞核、细胞质	抑制/降解 mRNA，剪接调控，上调蛋白质翻译；靶向并降解 mRNA	可以不通过载体直接递送至效应部位，但是半衰期较短	用于治疗各种罕见病，如杜氏肌营养不良症
Aptamer	20-100个核苷酸	单链	蛋白质	细胞外	功能抑制；具有明确三维结构，特异性结合并抑制蛋白质	特异性高，可作为载体递送药物	拮抗抗体，破坏疾病相关靶点相互作用，作为载体递送治疗药物

资料来源：厦门大学国家传染病诊断试剂与疫苗工程技术研究中心，中国银河证券研究院

1. ASO：

ASO 作用于 mRNA 到蛋白质的翻译过程，是一种人工合成的短单链寡核苷酸，进入细胞后，通过两种途径（RNase H1 依赖性裂解机制、空间位阻机制）调控蛋白质生成。目前全球有 13 个 ASO 药物曾获批上市，超过 50 个 ASO 药物处于临床研究阶段，治疗领域覆盖中枢神经系统、心血管、抗感染和肿瘤等。领军企业 Ionis 开发的诺西那生钠（商品名：Spinraza）是目前销售额最大的 ASO 药物，2024 年的全球销售额为 15.73 亿美元。

图1：细胞质中基于 ASO 的基因调节机制



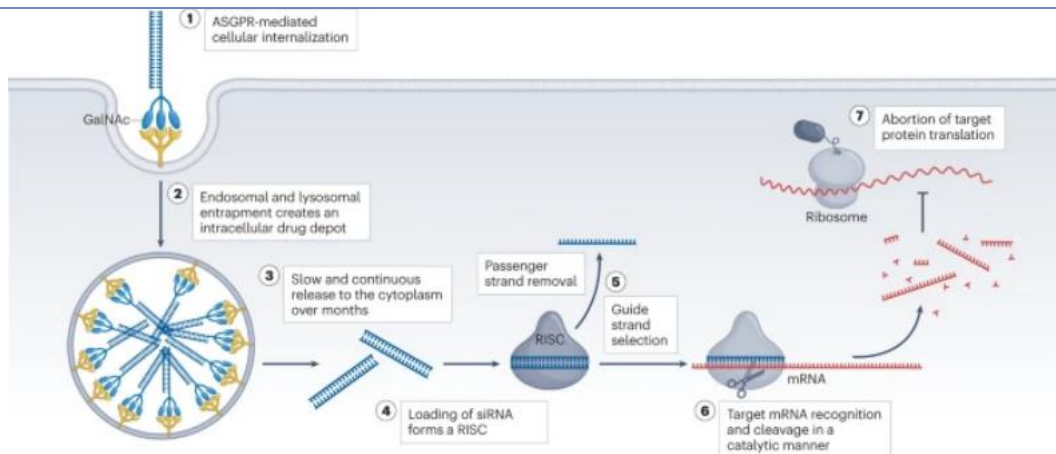
资料来源：MilliporeSigma，中国银河证券研究院

2. 小干扰 RNA (siRNA)：

siRNA 是一类人工合成的双链短 RNA 分子，能够结合 AGO 蛋白组装成 RNA 诱导沉默复合体 (RISC)，其一条链被降解，另一条链通过碱基互补配对原则结合并切割降解靶基因的 mRNA、阻断靶蛋白的表达，从而达到治疗相关疾病的目的。在没有保护性递送载体的情况下，siRNA 需进行

化学修饰，以确保给药后的稳定性。N-乙酰半乳糖胺（GalNAc）偶联是增加 siRNA 靶器官积累和促进其细胞摄取的有效方法。美国 Alnylam 公司处于 siRNA 药物研发的前列，2018 年公司获批的 siRNA 药物 Patisiran 是全球首个 siRNA 药物，2024 年销售额 2.53 亿美元。

图2: siRNA 作用机制

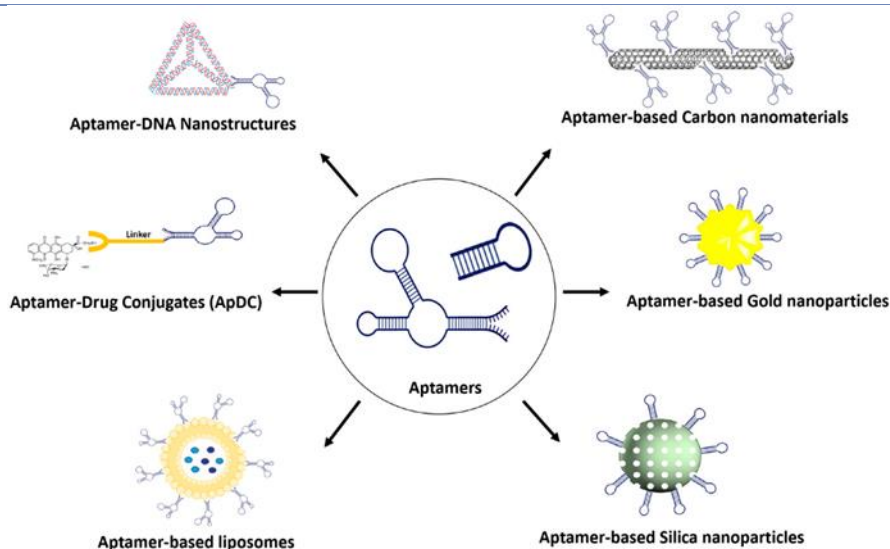


资料来源: Nat Rev Drug Discov, 中国银河证券研究院

3. RNA 适配体(Aptamer):

Aptamer 是一段经体外筛选得到的、折叠成特殊三维结构的短单链寡核苷酸，能特异性结合较大范围的目标，包括蛋白质、小分子、金属离子、病毒、细菌和全细胞，其高特异性和结合亲和力可达到抗体水平。相比抗体药物，Aptamer 具有体积小、较低免疫原性、无细胞化学合成以及较强组织穿透力、易修饰成本低等优点，但其三维构象受 pH 影响较大，亲和性高度依赖于溶液性质。第一款 Aptamer 药物 Pegaptanib 于 2004 年获 FDA 批准，通过空间结构与血管内皮生长因子（VEGF）结合，抑制血管生成达到治疗效果，因此被开发用于治疗湿性年龄相关性黄斑变性。

图3: 用于靶向给药系统的各种适配体偶联物



资料来源: Biomedicines, 中国银河证券研究院

（二）长效持久带来颠覆性潜力，市场进入产品兑现期

新一代治疗技术小核酸药物的技术核心优势在于精准靶向、长效持久、设计灵活和生产高效，其在药物研发领域具有颠覆性潜力。同时，这些特性也使得小核酸药物相比其他类型药物的研发成功率相对更高、生产相对快速、平台优势明显。

表2：小核酸药物的优势

优势维度	具体内容
作用靶点丰富	不受靶点成药性限制，理论上各种由特定基因过表达引起的疾病都可以通过小核酸药物进行治疗，并且可以及时响应靶基因的突变以进行调整
靶向特异性强	小核酸药物作用于靶基因转录的 mRNA，在疾病上游进行调控，可以实现单碱基水平的编辑，保证药物的特异性。随着递送系统的不断更新，药物靶向性不断优化
药物作用长效	小核酸药物以 mRNA 为目标，在体内可以通过多次循环工作持续起效。随着化学修饰技术的不断进步，小核酸药物稳定性不断提高，有望实现以月甚至年为单位的半衰期，减少给药频次，提升患者依从性
研发成功率高	小核酸药物直接针对靶基因 mRNA 序列进行设计，从而避免了传统药物开发中的大规模设计、优化、筛选周期，药物设计得以主动进行，研发成功率得以提高。且从动物实验到人体试验有很强的一致性，临床试验阶段成功率> 60%
生产相对快速	相比小分子药物不需要对复杂的合成路线进行优化、规模化放大生产；相比抗体类药物不需要对蛋白进行修饰，同时也避免了大规模哺乳动物细胞发酵及蛋白纯化，生产相对较快
平台优势明显	相比小核酸药物序列，其化学修饰、递送系统同样重要，建立以核酸修饰、递送系统为核心的药物研发平台对小核酸药物开发优势明显

资料来源：中国银河证券研究院

表3：小核酸药物和小分子药物、抗体药物对比

类别	小核酸药物	小分子药物	抗体药物
分子量	中 (> 7kDa)	小 (< 500da)	大 (> 150kDa)
靶点丰富度	高	中	低
作用类型	碱基互补配对	静电力吸附	蛋白相互作用
特异性	强	中	强
半衰期	长 (以月计)	短 (以小时计)	中 (以周计)
免疫原性	低	低	中-高
基因污染风险	无	无	无
生产成本	中	低	高
新产品早期设计时间	数周	数月	数月
新产品开发难度	较低	中	高
给药方式	静脉、皮下注射或局部给药	口服、静脉注射或局部给药等	静脉注射
安全性 / 毒性	肝肾毒性和超敏反应	脱靶效应、潜在毒性	免疫不良反应

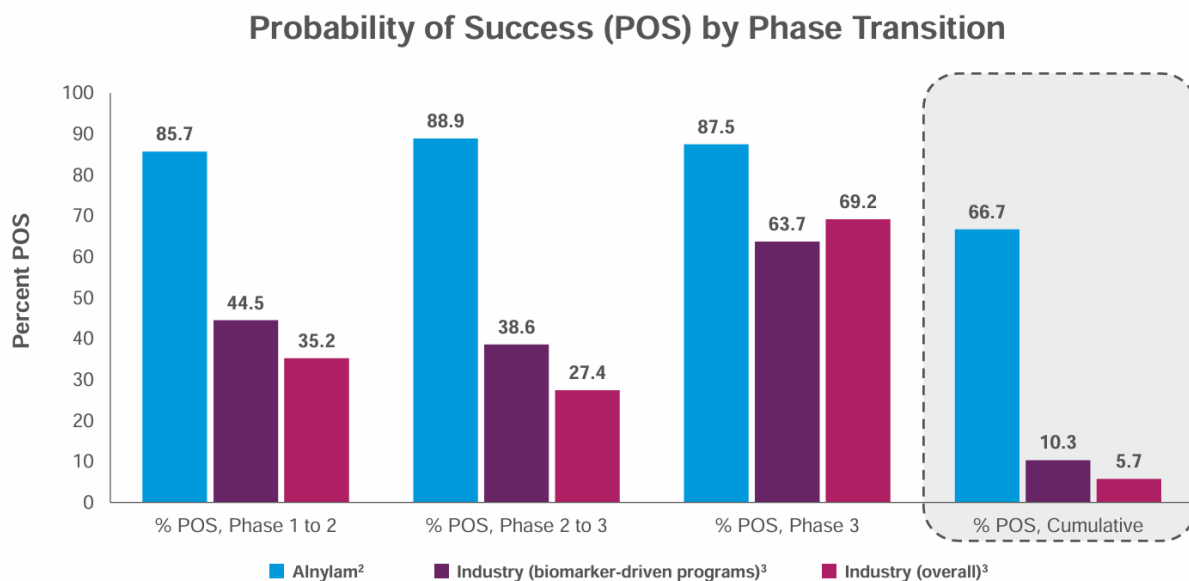
资料来源：Acta Pharmaceutica Sinica B, 药智网, 中国银河证券研究院

参考小核酸领域头部企业 Alnylam 的研发成功率, 从临床 I 期到 III 期的累计转化率达到 66.7%, 相比靶向药 (10.3%) 和医药行业整体的研发成功率 (5.7%) 提高 6-12 倍。Alnylam 超高的临床转化率与小核酸药物特性、技术平台的通用性强密不可分。

图4: Alnylam RNAi 药物和靶向药研发成功率对比

High-Yield Productivity of Alnylam RNAi Therapeutics Platform

Comparison of Historical Industry Metrics to Alnylam Portfolio¹



¹ Analysis as of August 2022; Past rates of Alnylam and industry respectively may not be predictive of the future

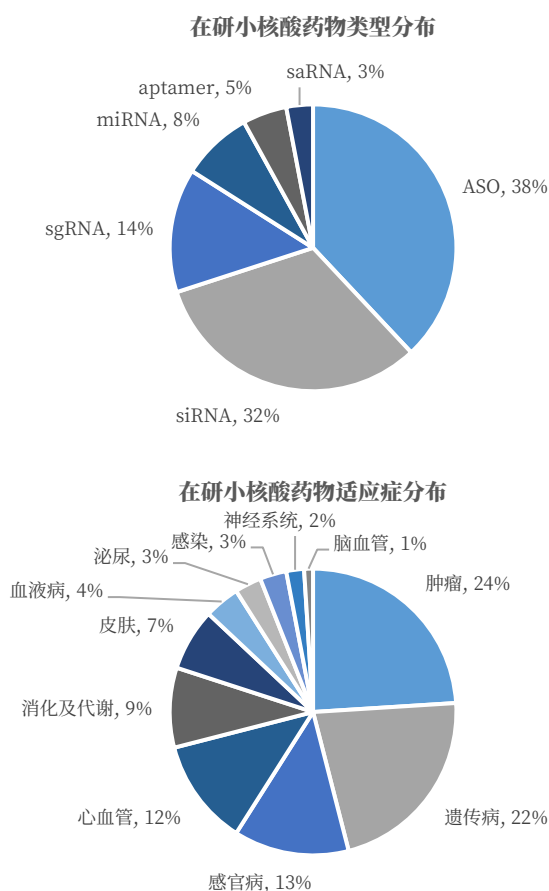
² Alnylam programs biomarker-driven at all stages of development (100%); figures include Alnylam-originated molecules now being developed by partners

³ Wong et al., Biostatistics (2019) 20, 2, pp. 273–286

资料来源: Alnylam Pharmaceuticals 官网, 药明康德, 中国银河证券研究院

小核酸药物的研发中, ASO 和 siRNA 是小核酸药物的研发重点, 在整体研发中占比分别为 38% 和 32%。在目前在研的 siRNA 药物中, 布局适应症已经从过去的罕见病向重大慢性病及神经疾病领域延伸, 小核酸药物在研管线适应症排名前五的疾病依次是肿瘤 (24%)、遗传病 (22%)、感觉器官疾病 (13%)、心血管系统疾病 (12%)、消化代谢性疾病 (9%)。此外, 小核酸药物也在皮肤病、血液病、泌尿、感染等多个领域布局。

图5：小核酸药物在研类型和适应症分布



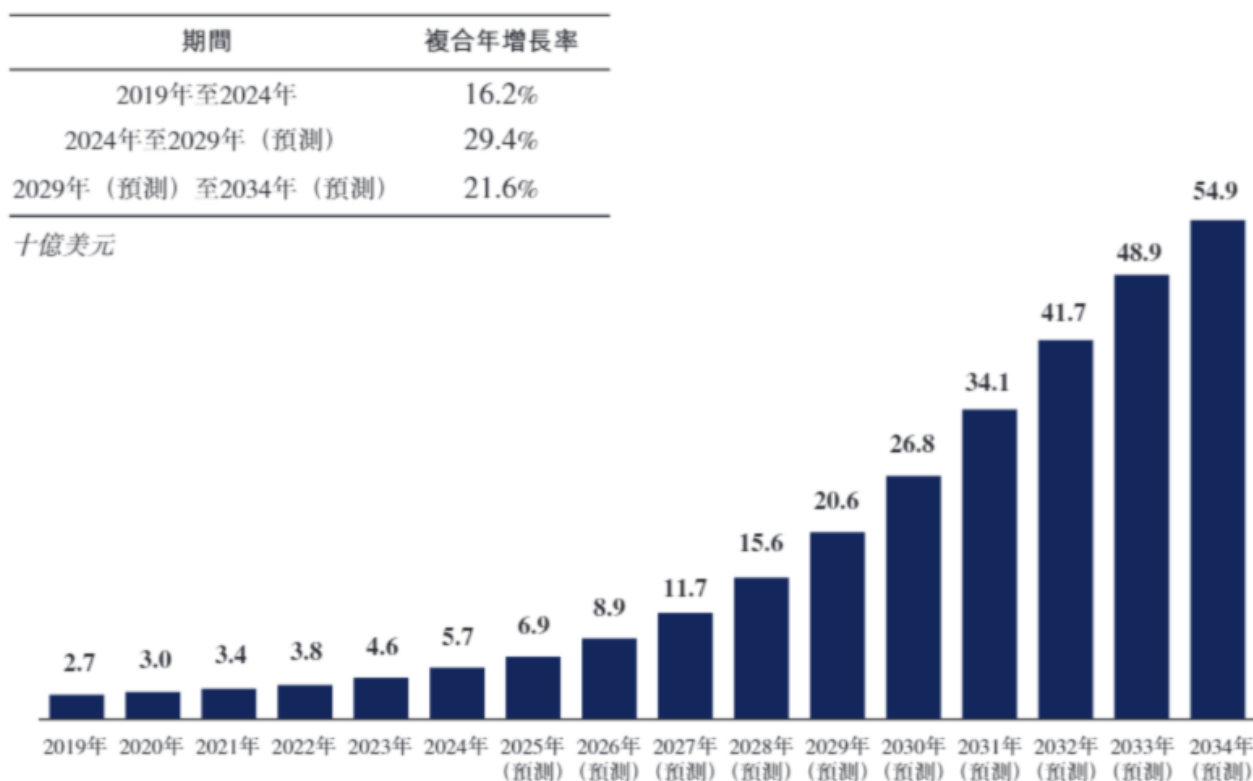
资料来源：Cytiva，中国银河证券研究院

综合来看，当前小核酸药物研发重点主要集中于由单基因高相关驱动、致病机制更明确（如功能性蛋白/酶表达上调、下调或缺失等）的适应症，同时对于慢性疾病或肝脏疾病同样具备机制适配性与递送优势。

全球小核酸市场规模持续增长，siRNA 市场规模增长迅速。全球小核酸药物市场规模从 2019 年的 27 亿美元增长到 2024 年的 57 亿美元，复合年增长率为 16.2%。根据弗若斯特沙利文预测，2029 年及 2034 年将分别达到 206 亿美元及 549 亿美元，2024 年至 2029 年的复合年增长率为 29.4%，2029 年至 2034 年的复合年增长率为 21.6%。

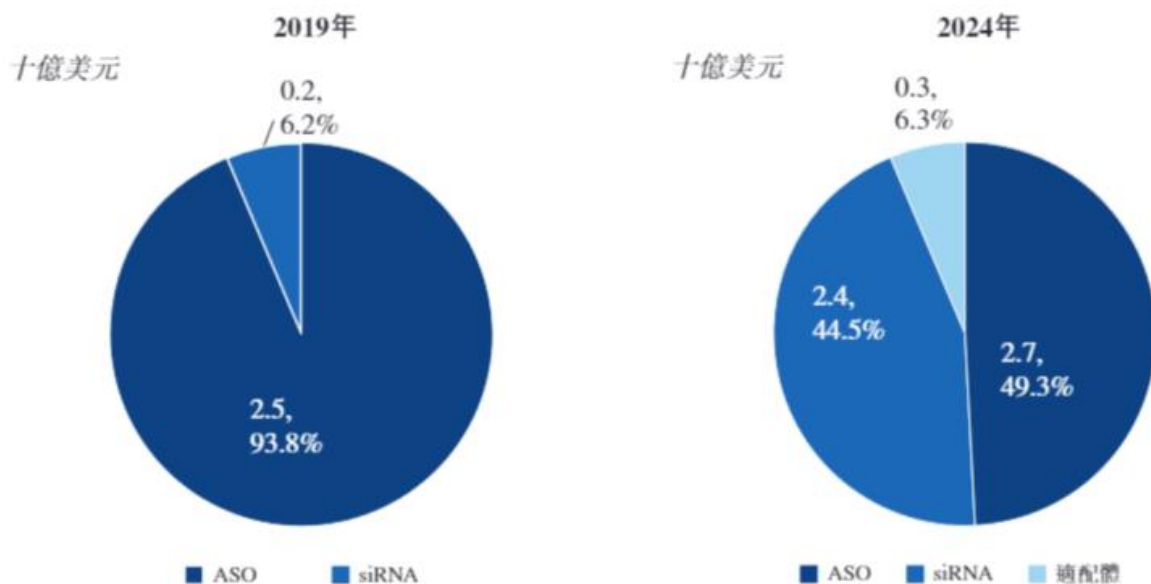
siRNA 市场占比逐步提升，2019 年为 2 亿美元(占比 6.2%)，2024 年增长为 24 亿美元(占比为 44.5%)，未来 siRNA 药物有望成为小核酸药物中的主要类型。

图6：2019-2034 年全球小核酸药物市场规模



资料来源：瑞博生物招股书，弗若斯特沙利文，中国银河证券研究院

图7：按药物类型划分的全球小核酸药物市场明细



资料来源：瑞博生物招股书，弗若斯特沙利文，中国银河证券研究院

我国仍处于小核酸药物市场发展的早期阶段。目前国内患者人群基数大，未被满足的临床需求较多，随着国内小核酸药物技术的不断成熟，国内市场也将进入快速发展期，据 Evaluate Pharma

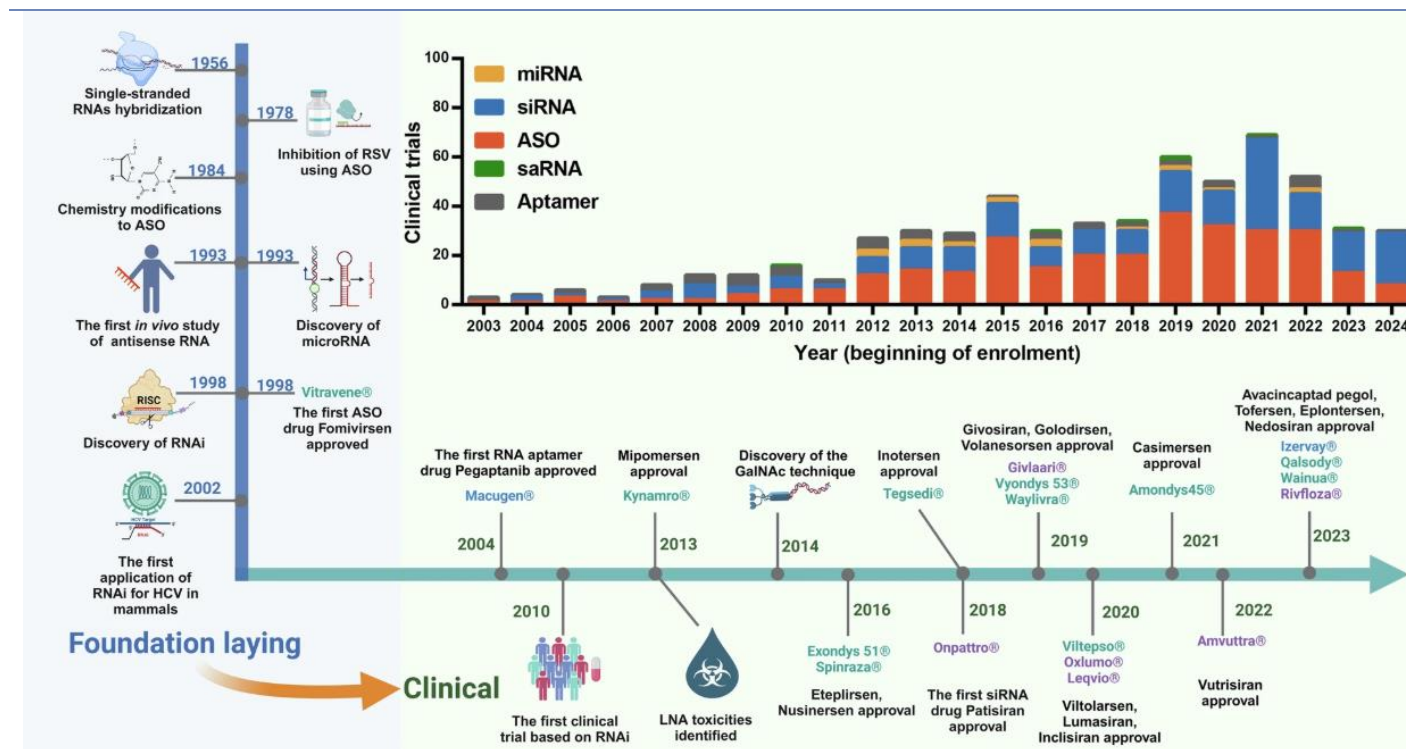
和 BCG 统计分析，预计到 2030 年我国小核酸药物市场将达到 100 亿元。

（三）长效代谢性疾病成药性被验证，小核酸药物迎来密集催化

小核酸药物的研发历程并非一蹴而就，而是以罕见遗传病作为突破口，验证了技术的可行性与临床价值；再凭借肝递送系统等关键技术的成熟，逐步向患者基数庞大的慢性病领域实现革命性拓展。

从 1978 年反义核酸概念首次提出，到 1998 年首款 ASO 药物获批，行业历经多次起落，但自 2016 年两款重要的反义寡核苷酸（ASO）药物上市以来，这一市场逐渐打破了长久以来的沉寂，开始展现出强劲的增长势头。随着行业技术的更新迭代，GalNAc 技术已充分验证，肝靶向递送效率显著提升，成功克服了成药瓶颈，迎来商业化爆发的关键时期。2021 年诺华的长效降脂针英克司兰（Inclisiran）上市，标志着小核酸药物从罕见病迈向代谢性疾病，小核酸药物即将迎来密集催化。

图8：小核酸药物发现到临床应用时间轴



资料来源：Signal Transduct Target Ther, 中国银河证券研究院

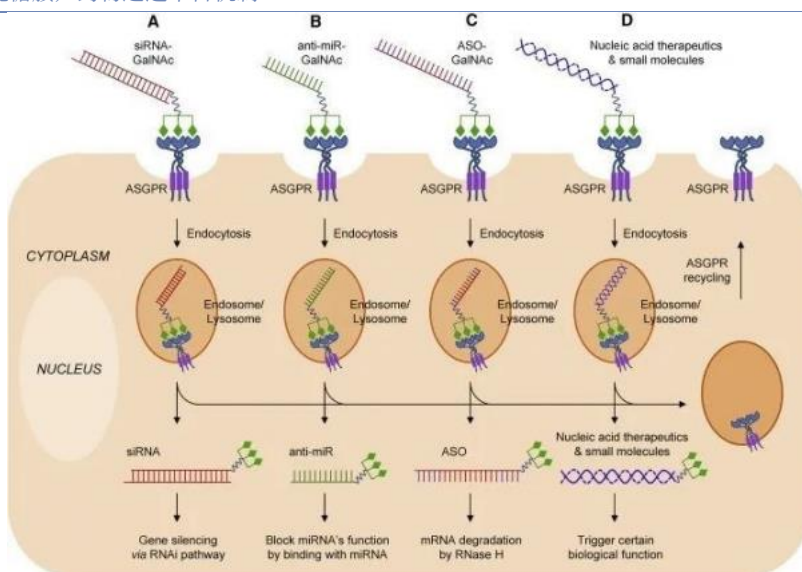
肝靶向技术成熟带动小核酸药物的进一步发展，其他递送平台的成功将带来较高的技术壁垒。在所有适应症或在研靶点中，肝脏是小核酸药物最先跑通递送与转化的器官，主要因为肝脏器官的天然生物优势与 GalNAc（三聚乙酰半乳糖胺）等相关递送平台的高度适配。一方面，肝细胞膜表面天然高度表达 ASGPR（去唾液酸糖蛋白受体），为 GalNAc 偶联提供了高度特异、可重复的受体介导内吞通路；另一方面，肝脏在生理上具备极强的外源物清除与耐受能力，在对安全性和有效性上拥有更宽的剂量窗口。

2018 年帕替西兰(Patisiran)是首个获得 FDA 批准的 siRNA 治疗药物，其基于脂质纳米颗粒 (LNP)递送系统，靶向肝细胞，是首个用于治疗 ATTR 的非病毒载体基因治疗药物。随着 GalNAc 偶联递送技术的发展和成熟，大大地提高了核酸药物的肝脏靶向递送效果：2022 年采用增强型稳定化学(ESC)-GalNAc 递送系统的第二代 ATTR 升级产品 vutrisiran 上市。

其他器官靶向小核酸药物的递送，如中枢神经系统、肾脏等组织，还处于非成熟的平台规模化

探索阶段；一旦研发成功，短期将为该平台树立较高的技术壁垒。

图9: GalNAc（三聚乙酰半乳糖胺）药物递送平台机制



资料来源：复宏汉霖，中国银河证券研究院

全球市场来看，2025 年小核酸上市公司获得资本市场的青睐。2025 年底全球小核酸行业龙头 Alnylam 总市值突破 500 亿美元。Arrowhead 自主开发的 TRIM 平台可实现肝内及肝外组织的靶向递送，覆盖 ALK7 和 INHBE 的等代谢、神经退行性疾病药物，2025 年股价涨幅约 253%。全球 ASO 龙头 Ionis 已有 Spinraza 等 6 款 ASO 疗法获批上市（已退市药物除外），2025 年股价涨幅约 126%。

展望 2026 年，小核酸药物将迎来多领域的密集催化，景气度持续攀升。

1、研发端大适应症数据集中读出。海外 siRNA 公司在研项目 26 年数据读出等催化剂。2026 年有望见证小核酸在减重领域（肝脏靶向、脂肪靶向和肌肉靶向）、IgA 肾病、CNS 系统、ApoC3、LPA、AGT 等热门领域/靶点的临床数据读出。

Alnylam：推进 NUCRESIRAN 用于 ATTR-CM 和 ATTR-PN 的 III 期试验、推进 AGT siRNA 药物 ZILEBESIRAN 用于高血压的 III 期 ZENITH 试验；26H1 完成 MIVELSIRAN 用于脑淀粉样血管病的 II 期 cAPPRICORN-1 试验；26H1 启动用于阿尔茨海默病的 II 期试验；26H2 读出 ALN-2232（靶向脂肪组织 ALK7）的 I 期试验数据；26H2 读出 ALN-HTT02 用于亨廷顿舞蹈症的 I 期试验数据，验证 CNS 递送；26H2 读出 ALN-6400 用于出血性疾病的 I 期健康人群数据和用于 HHT（遗传性出血性毛细血管扩张症）的 II 期试验数据；26H2 启动靶向 GRB14 的 ALN-4324 用于 T2D 的 II 期试验。

Arrowhead：ApoC3 siRNA 药物 PLOZASIRAN 用于 sHTG 预计 26Q3 公布 III 期试验数据；ANGPTL3 siRNA 药物 ZODASIRAN 预计 26H1 完成 III 期试验入组；PCSK9/ApoC3 双靶 siRNA 药物 ARO-DIMER-PA 将于 26Q3 末公布 I/II 期试验初步数据。减重领域：26 年将持续更新 INHBE 和 ALK7 siRNA 药物，Ib 期试验将启动。

Wave Life Sciences：加速推进 INHBE siRNA 药物 WVE-007 的 IIa 期 INLIGHT 试验 MAD 阶段以及启动联合治疗和维持治疗的新临床；RNA 编辑领域 26Q1 将公布 WVE-006 用于 AATD 的 Ib/IIa 期 RESTORATION-2 试验 400mgMAD 数据、600mgSAD 和 MAD 数据将于年内公布；用于肝病的 PNPLA3 siRNA 药物 WVE-008 将提交 CTA 申请。

表4：2026 年预期小核酸药物关键数据读出

治疗领域	药物	公司	类型	递送方式	靶点	适应症	催化剂	时间
罕见病	Eplontersen	Ionis	ASO	GalNAc 皮下注射	TTR	ATTR-CM	III期临床数据读出	2026H1
	Nucresiran	Alnylam	siRNA	GalNAc 皮下注射	TTR	ATTR-CM	推进 TRITON-CM/PNI期临床	2026
	WVE-N531	Wave Life Sciences	Splicing	静脉滴注	DMD Exon53	DMD	提交 NDA（支持加速批准）	2026
心血管	Zilebesiran	Alnylam/罗氏	siRNA	GalNAc 皮下注射	AGT	高血压	推进 ZENITH III期临床	2026
	BW-00163	船望制药/诺华	siRNA	GalNAc 皮下注射	AGT	高血压	临床II期数据读出	26 年底/27 年
	RBD4059	瑞博	siRNA	GalNAc 皮下注射	FXI	冠状动脉疾病	临床II期数据读出	2026
CNS	Zilganersen	Ionis	ASO	鞘内注射	GFAP	亚历山大病	上市申请	2026 年
	Ulefnersen	Ionis	ASO	鞘内注射	SOD1	肌萎缩侧索硬化	III期临床数据读出	2026H1
	Mivelsiran	Alnylam	siRNA	鞘内注射	APP	CAA/阿尔茨海默病	CAA 完成 cAPPricom-1 II 期入组；开始阿尔兹海默症的 II 期临床	2026H1
	ALN-HTT02	Alnylam	siRNA	鞘内注射	HTT Exon1	亨廷顿病	I 期数据	2026H2
	ARO-SNCA	Arrowhead/诺华	siRNA	TRIM 皮下注射（脂质偶联）	α -synuclein(SNCA)	帕金森病	临床试验申请	2026 年初
代谢	Plozasiran	Arrowhead/维亚臻/赛诺菲	siRNA	GalNAc 皮下注射	ApoC3	sHTG	III期临床数据读出	2026Q3
	Pelacarsen	诺华/Ionis	ASO	GalNAc 皮下注射	Lp(a)	sHTG	III期临床数据读出	2026H1
	Olezarsen	Ionis	ASO	GalNAc 皮下注射	ApoC3	sHTG	提交 sHTG 适应症上市申请	2026
	SYH2053	石药	siRNA	GalNAc 皮下注射	PCSK9	高胆固醇血症/混合型血脂异常	临床III期	2026
	ARO-ALK7	Arrowhead	siRNA	TRIM 皮下注射（脂质偶联）	ALK7	肥胖	启动 Ib 期试验	2026
	ARO-INHBE	Arrowhead	siRNA	TRIM 皮下注射（脂质偶联）	INHBE	肥胖	启动 Ib 期试验	2026
	WVE-007	Wave Life Sciences	RNAi	GalNAc 皮下注射	INHBE	肥胖	3/6 个月多剂量数据读出；启动 2a 期多剂量组	2026H1
	ALN-4324	Alnylam	siRNA	GalNAc 皮下注射	GRB14（生长因子受体结合蛋白 14）	2 型糖尿病	启动 II 期临床	2026H1
	ALN-2232	Alnylam	siRNA	GalNAc 皮下注射	ALK7	肥胖与体重管理	I 期数据读出	2026H2

抗病 毒	Bepirovirsen	GSK/Ionis	ASO	GalNAc 皮下注射	HBVRNA/S 抗 原	HBV	提交上市申请	2026H1
其他	Sefaxersen	Ionis	ASO	GalNAc 皮下注射	Complement Factor B(CFB)	IgA 肾病	临床III期数据读出	2026
	WVE-006	Wave Life Sciences	RNAediting	-	AATD	α-1 抗胰蛋白酶缺乏	Ib/IIa 期多剂量数据读出	2026

资料来源：中国银河证券研究院

2、大单品有望加速放量。诺华 Inclisiran（降脂药）有望加速放量，此前小核酸药物商业化已在诺华 Leqvio 等产品上实现验证。全球首款 siRNA 超长效降脂药 Leqvio（英克司兰钠注射液，Inclisiran）2024 年收入 7.54 亿美元，同比增长 114%；2025 年销售额 11.98 亿美元，同比增长 57%，跻身“重磅炸弹”药物行列。

3、全球及中国创新药企 BD 交易爆发，可投标的大大增加。近年来，舶望、瑞博、圣因等中国企业已与 MNC 达成 BD 交易，展现出中国小核酸的全球竞争力，多个小核酸药物公司 IPO 上市——2026 年将是小核酸企业上市的大年，传统企业布局的小核酸平台也纷纷露出水面。2025 年 9 月 3 日舶望制药与诺华达成 54 亿美元心血管小核酸管线授权协议，叠加诺华 22 亿美元引入 Arrowhead 临床前 siRNA 资产，标志着小核酸药物赛道正式进入“超级加速期”。

4、MNC 加大布局 AOC，重磅 AOC 产品有望上市。2025 年 10 月，诺华正式宣布以 120 亿美元现金，溢价收购 Avidity Biosciences，进入抗体偶联寡核苷酸(AOC, Antibody-Oligonucleotide Conjugate)技术平台的布局。以 Avidity Biosciences 的治疗杜氏肌营养不良(DMD)的 AOC 药物 delpacibart zotadirsen (del-zota)为例，分子设计上单抗偶联磷酸二胺吗啉代寡核苷酸(PMO),靶向递送系统通过人转铁蛋白受体 1(TfR1)抗体精准定位肌肉组织，突破肌膜屏障限制。PMO 较传统 ASO 具有更高的稳定性与生物利用度。Del-zota 预计 2026 年上市销售。

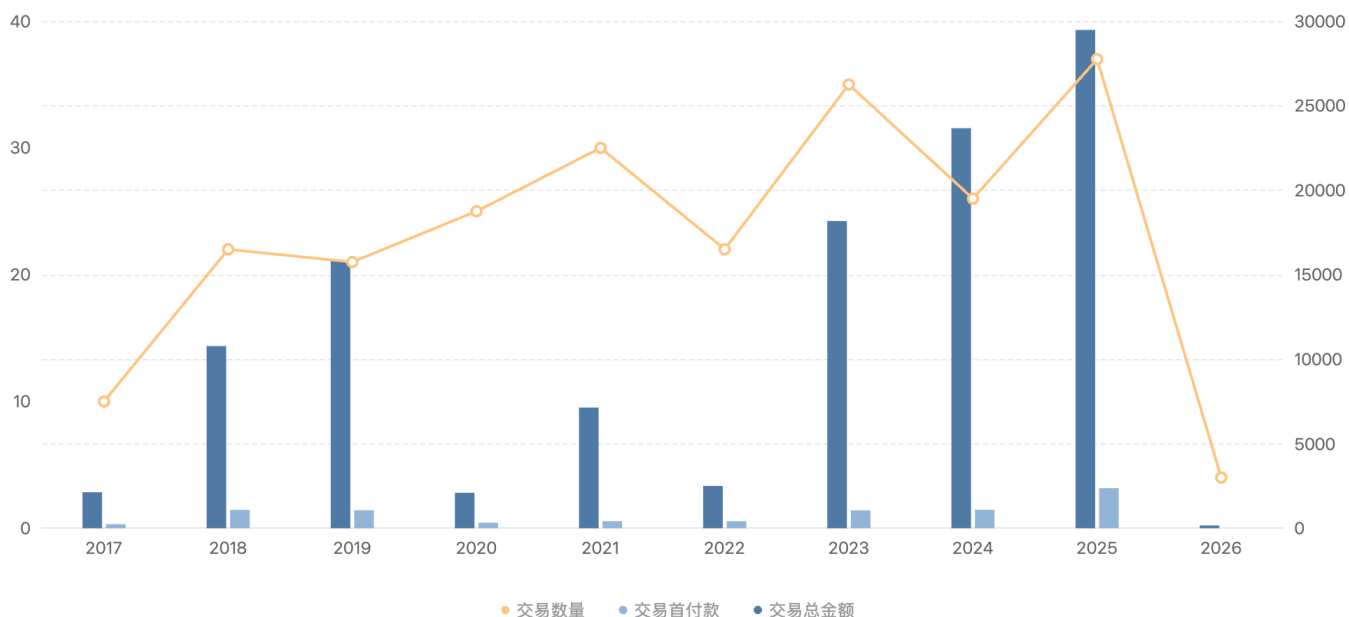
（四）全球小核酸赛道投融资持续推进

近年来小核酸药物的投融资及 BD 均有显著突破。2024 年先研生物成功完成近亿元融资，所获资金将重点用于推动其小核酸新药管线的临床研究进程；2025 年 5 月国内创新药企靖因药业与基因药物研发巨头 CRISPR Therapeutics 达成合作，开展 siRNA 疗法的联合开发与商业化探索，这是 CRISPR Therapeutics 首次布局小核酸药物领域；7 月，瑞博生物海外研发中心率先完成 3300 万美元融资，随后完成逾 2 亿元人民币的 E 轮融资，为公司全球化研发布局提供资金支撑。

小核酸药物 BD 方面也迎来历史性爆发。Insight 数据库显示，近三年全球小核酸药物领域共达成近百起 BD 合作，交易笔数和交易金额均在逐年提升，其中 2025 年达成了 30 多笔 BD 合作，交易总金额近 300 亿美元。2025 年 9 月 3 日舶望制药与诺华 53.6 亿美元合作创行业纪录，预示小核酸药物迈入“大药企买单、全球化落地”新阶段。

图10：全球小核酸药物交易趋势（左轴：个；右轴：百万美元）

交易趋势



资料来源：Insight 数据库，中国银河证券研究院

诺华引领小核酸领域收并购及 BD 交易热潮，关注 MNC 交易动作。2025 年全球小核酸赛道交易中，诺华不仅多次出手，更独占前四大交易席位，具体包括 120 亿美元收购 RNA 疗法公司 Avidity Biosciences 布局 AOC、超 50 亿美元再次牵手帕望制药加码心血管 RNAi 疗法、22 亿美元买下 Arrowhead 一款临床前 siRNA 疗法、17 亿美元收购肾脏疾病 miRNA 药物研发公司 Regulus Therapeutics。

图11：诺华 2025 年达成的小核酸相关交易

交易内容			转让方	受让方	交易类型	交易时间	交易金额
关联新药项目	靶点	成分/技术类别					
Avidity Biosciences 企业	—	—	Avidity Biosciences	诺华制药	转让/收购	2025-10-26	交易总额：12000百万美元
佐生地帕西单抗 药品 新药 生物药 临床III期	DMD、TfR1	ASO、抗体寡核苷酸偶联AOC					
Delpacibart etedesiran 药品 新药 生物药 临床III期	TfR1、DMPK	siRNA、抗体寡核苷酸偶联AOC					
Delpacibart braxosiran 药品 新药 生物药 临床III期	DUX4、TfR1	siRNA、抗体寡核苷酸偶联AOC					
a differentiated RNA-targeting delivery platform 技术/平台 全部项目详情+1	—	药物递送					
BW-00112 药品 新药 化药 临床III期	ANGPTL3	siRNA	上海船望制药有限公司	诺华制药	· 授权/许可 · 合作 · 期权	2025-09-03	首付款：160百万美元 里程碑付款：5200百万美元 特许权使用费：商业销售的分级特许权使用费
两款处于早期阶段分子 药品	—	siRNA					
处于临床前研究阶段的 siRNA 候选药物 药品 全部项目详情	—	siRNA					
ARO-SNCA 药品 新药 化药 临床I期	SNCA	siRNA	Arrowhead Pharmaceuticals	诺华制药	授权/许可	2025-09-02	首付款：200百万美元 里程碑付款：2000百万美元 特许权使用费：royalties on commercial sales
other additional collaboration targets that will utilize Arrowhead's proprietary Targeted RNAi Molecule (TRiM™) platform 药品	—	siRNA、其他RNAi					
Arrowhead's proprietary Targeted RNAi Molecule (TRiM™) platform 技术/平台 全部项目详情	—	药物发现					
Farabursen 药品 新药 化药 临床I期	miR-17	ASO	Regulus Therapeutics	诺华制药	转让/收购	2025-04-30	交易总额：1700百万美元 首付款：800百万美元 里程碑付款：900百万美元
Regulus Therapeutics 企业	—	—					

资料来源：Insight 数据库，中国银河证券研究院

此外，GSK 以潜在总金额 7.45 亿美元引进 Empirico 治疗 COPD 的 siRNA 新药，与 CAMP4 合作开发针对神经退行性疾病和肾脏疾病相关多个基因靶点的 ASO 候选药物。赛诺菲以超 4 亿美元与 Alloy 合作开发用于中枢神经系统的 ASO 药物、以近 4 亿美元引进维亚臻 APOC3 siRNA 新药 Plozasiran 的大中华区权益。

表5：2023-2026 年小核酸领域全球交易情况（截至 2026 年 3 月）

时间	转让方	受让方	总金额	首付款	交易内容
2023 年 5 月	大睿生物	康诺亚	/	/	共同研发同类首创慢性肾炎 siRNA 药物
2023 年 12 月	瑞博生物	齐鲁制药	7 亿元	/	RBD7022 在大中华区的开发、生产和商业化的独家权利授权
2024 年 1 月	瑞博生物	勃林格·英格翰	25.79 亿美元	0.27 亿美元	SR111/SR112
2024 年 1 月	舶望制药	诺华	41.65 亿美元	1.85 亿美元	BW-02; BW-00163
2024 年 12 月	佑嘉生物	丽珠医药	/	/	YJH-012
2025 年 1 月	Alloy Therapeutics	赛诺菲	超 4 亿美元	/	用于中枢神经系统的 ASO 药物（合作开发）

2025 年 2 月	Stoke Therapeutics	渤健	5.5 亿美元	/	遗传性癫痫 ASO 药物 zorevunersen 的权利
2025 年 5 月	ADARx Pharmaceuticals	艾伯维	数十亿美元	/	siRNA 技术开发药物
2025 年 5 月	Rznomics	礼来	超 13 亿美元	/	反式剪接核酶 (trans-splicing ribozyme) 平台开发和商业化 新型 RNA 编辑疗法
2025 年 5 月	City Therapeutics	Biogen	10.46 亿美元	/	RNAi 触发分子
2025 年 5 月	国为医药	信立泰药业	3.7 亿元	1.8 亿元	GW906
2025 年 5 月	靖因药业	Crispr Therapeutics	8 亿美元	0.95 亿美元	SRS-D107 等
2025 年 8 月	维亚臻	赛诺菲	3.95 亿美元	1.3 亿美元	Plozasiran 的大中华区权益
2025 年 8 月	Skyhawk Therapeutics	默克	超 20 亿美元	/	用于 RNA 选择性剪接的 Skyhawk 小分子新药平台
2025 年 9 月	Arrowhead Pharmaceuticals	诺华	22 亿美元	/	α -突触核蛋白靶向分子
2025 年 9 月	舶望制药	诺华	53.6 亿美元	1.6 亿美元	严重高甘油三酯血症 (sHTG) 和混合性血脂异常的发现阶段 下一代分子的中国境外许可权, 以及 BW-00112 (ANGPTL3) 的首次谈判权
2025 年 9 月	迈威生物	KalexoBio, Inc.	10 亿美元	0.12 亿美元	心血管领域双靶点 siRNA 创新药 2MW7141
2025 年 9 月	炫晟生物	华润双鹤	/	/	RG008
2025 年 10 月	Empirico	GSK	7.45 亿美元	8500 万美元	共同开发治疗 COPD 的 siRNA 新药 EMP-012
2025 年 11 月	圣因生物	礼来	12 亿美元	/	针对代谢性疾病的 RNA 疗法
2025 年 12 月	CAMP4 Therapeutics	GSK	/	1750 万美元	共同开发针对神经退行性疾病、肾脏疾病的多靶点 ASO 候选 药物
2026 年 1 月	赫吉亚生物	中国生物制药	12 亿人民币	/	赫吉亚生物 100% 股权
2026 年 2 月	圣因生物	罗氏 (基因泰克)	17 亿美元	2 亿美元	授权一款 RNAi 药物的全球独家开发和商业化权利
2026 年 2 月	瑞博生物	Madrigal	44 亿美元	6000 万美元	共同开发 6 款 MASH 创新 siRNA 疗法
2026 年 2 月	前沿生物	GSK	10 亿美元	4000 万美元	一款 siRNA 已进入 IND 阶段, 另一款为临床前候选药物

资料来源: 摩熵医药, 凯莱英, 药时代, TiPLab, 前沿生物公司公告, 中国银河证券研究院

国内 siRNA 药物领域的 BD 交易快速升温。

1) 头部 Biotech 崛起: 2024 年 1 月, 瑞博生物与勃林格殷格翰就 MASH 药物达成超 20 亿美元合作; 舶望制药先后于 2024 年 1 月及 2025 年 9 月与诺华达成重磅交易, 两次合作交易总额合计超 95 亿美元, 成为中国 siRNA 领域国际化合作的标杆案例; 2025 年 5 月, 靖因药业与 CRISPR 合作开发血栓治疗 siRNA 药物 SRSD107, 包括 9500 万美元首付款及超 8 亿美元里程碑付款。2026 年 2 月圣因生物与罗氏子公司基因泰克达成 17 亿美元交易 (首付款 2 亿美元), 瑞博生物与 Madrigal 达成 44 亿美元交易 (首付款 6000 万美元)。

2) 慢性病传统成熟药企或 Biopharma 通过 BD 或者战略合作布局: 信立泰、信达生物、齐鲁制药、华东医药等通过引进或联合开发加速布局, 如齐鲁制药以超 7 亿元引进瑞博生物 PCSK9 管线。2026 年 1 月港股龙头中国生物制药宣布以 12 亿元全资收购拥有“一年一针”降脂技术的赫吉亚生物, 打响了国内小核酸领域大型并购的第一枪。此外, 恒瑞医药、石药集团等头部药企自建技术平台, 推动国产 siRNA 管线进入临床阶段。

二、小核酸药物研发井喷期，慢病市场潜在空间广阔

（一）全球热门靶点相对集中，部分公司布局全新靶点

目前小核酸药物全球市场竞争格局高度集中。Alnylam、Ionis、Sarepta 三大巨头占据全球 95% 的市场份额。截至 2026 年 3 月，全球共获批上市 23 款小核酸药物（含退市），13 款 ASO 药物、8 款 siRNA 药物、2 款核酸适配体药物，涵盖 FCS、脊髓性肌萎缩症、家族性淀粉样多发性神经病变、高胆固醇血症等适应症，重磅产品 inclisiran 的 2025 年销售额为 12 亿美元，并纳入 2025 年国家医保目录。全球研发管线呈现爆发式增长，在全球超百款在研小核酸药物中，肿瘤和遗传病是主要的研发方向，慢性病领域（如 NASH、乙肝等）的研发占比也在快速提升。

表6：已上市小核酸药物（截至 2026 年 3 月）

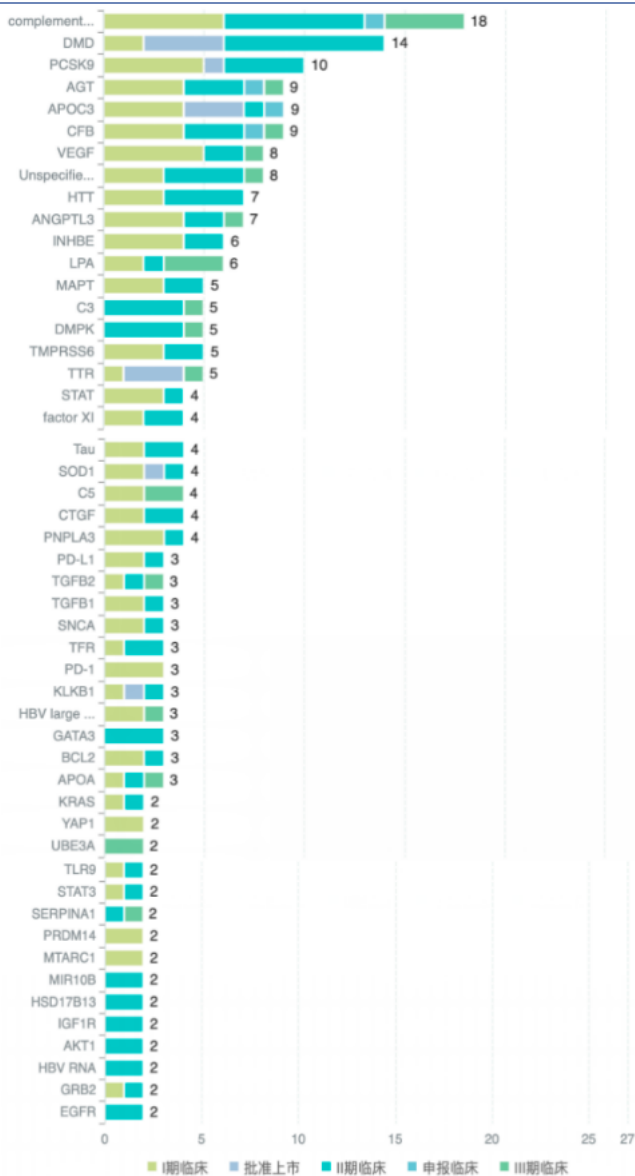
企业	药物	靶点	药物类型	适应症	上市时间	2024 年销售额（亿美元）
Ionis/Biogen	Spinraza(Nusinersen)	SMN	ASO	脊髓性肌萎缩症	2016 年	15.73
	Qalsody(Tofersen)	SOD1	ASO	1 型肌萎缩侧索硬化	2023 年	0.32
Ionis	Tegsedi(Inotersen)	TTR	ASO	家族性淀粉样多发性神经病变	2018 年	0.34
	Waylivra(Volanesorsen)	ApoC3	ASO	家族性乳糜微粒血症	2019 年	-
	Tryngolza (olezarsen)	ASGPR:ApoC-III	ASO	家族性乳糜微粒血症 FCS	2024 年	-
Ionis/阿斯利康	Wainua (eplontersen)	TTR	ASO	成人遗传性转甲状腺素蛋白介导的淀粉样变性的多发性神经病变	2023 年	0.85
Sarepta	Exondys51(Eteplirsen)	DMD	ASO	杜氏肌营养不良症	2016 年	-
	Vyondys53(Golodirsen)	DMD	ASO	杜氏肌营养不良症	2019 年	9.67
	Amondys45(Casimersen)	DMD	ASO	杜氏肌营养不良症	2021 年	-
日本新业	Viltepso(Viltolarsen)	DMD	ASO	杜氏肌营养不良症	2020 年	1.5
GeronCorp/强生	Rytelo(Imetelstat)	端粒酶抑制剂	ASO	低危骨髓增生异常综合征 (LRMDS)	2024 年	-
安斯泰来	Izervay(Avacincaptad pegol)	C5	Aptamer	黄斑病变引发的地图样萎缩症	2023 年	3.27
Alnylam	Amvuttra(vutrisiran)	TTR	siRNA	家族性淀粉样多发性神经病变	2022 年	9.71
	Onpattro(patisiran)	TTR	siRNA	家族性淀粉样多发性神经病变	2018 年	2.53
	Givlaari(givosiran)	ALAS1	siRNA	急性肝卟啉症	2019 年	2.56
	Oxlumo(lumasiran)	HAO1	siRNA	原发性高草酸尿症 1 型	2020 年	1.67

Alnylam/诺华	Leqvio(inclisiran)	PCSK9	siRNA	高胆固醇血症	2021 年	7.54
诺和诺德	Rivfloza (Nedosiran)	LDHA	siRNA	原发性高草酸尿症 1 型	2023 年	-
Alnylam/赛诺菲	Qfitlia (Fitusiran)	AT	siRNA	血友病出血预防	2025 年	-
Arrowhead/维亚臻/ 赛诺菲	Plozasiran	APOC3	siRNA	家族性乳糜微粒血症综合征 (FCS)	2025 年	-

资料来源：法迈制药，药渡，中国银河证券研究院

靶点维度来看，当前主要研发靶点明显集中于少数高价值核心靶点。从靶点功能属性看，小核酸药物靶点主要集中在神经肌肉系统、肾脏与补体系统以及心血管与代谢系统疾病。在神经肌肉系统领域，DMD（杜氏肌营养不良症）是研发热度最高的靶点，对应多款已上市的外显子跳跃类 ASO 药物，同时还有在研管线持续推进；HTT（亨廷顿舞蹈症）和 MAPT（Tau 蛋白相关神经退行性疾病）则是神经退行性疾病的核心攻坚方向。在心血管代谢系统，PCSK9（高胆固醇血症）和 APOC3（高甘油三酯血症/家族性乳糜微粒血症综合征）凭借成熟的 GalNAc 递送技术，已诞生英克司兰、沃拉诺生等重磅药物，ANGPTL3 和 LPA 等新靶点也进入后期临床，有望进一步拓展血脂管理的边界。此外，补体通路靶点（CFB、C3 等）针对补体介导的罕见肾病，VEGF 用于眼科黄斑变性，TTR 用于遗传性转甲状腺素蛋白淀粉样变性，共同构成了小核酸药物从罕见病到慢病的广阔适应症图谱。

图12：全球 RNAi 药物在研管线靶点汇总



资料来源：摩熵医药数据库，中国银河证券研究院

随着递送系统与化学修饰技术的不断成熟，小核酸药物的研发焦点正围绕五大核心赛道展开激烈竞争。

1) 心血管领域：这是目前商业化最成熟的赛道，围绕降脂、降压、抗凝等方向展开。国内企业如瑞博生物、赫吉亚生物等均有管线进入临床中后期，其中“一年一针”的超长效降脂药物成为竞相突破的目标。

2) 减重与代谢领域：在 GLP-1 药物掀起热潮之后，小核酸药物有望革新肥胖治疗格局，其在实现选择性减脂的同时可保持肌肉量，全面改善代谢健康，且可能规避传统疗法带来的副作用。例如，靶向 INHBE 等基因的 siRNA 疗法旨在实现更精准的减脂，与 GLP-1 联用可能带来协同疗效。2026 年 1 月 6 日，Arrowhead 公布了两款减重管线（ARO-INHBE 和 ARO-ALK7）的 I/IIa 期临床试验中期结果：肥胖成人受试者的内脏脂肪等多个关键指标均显著降低。针对肥胖合并 2 型糖尿病患者，相较于替尔泊肽单药，ARO-INHBE 联用替尔泊肽实现了约两倍体重下降效果，并带来约

三倍的内脏脂肪、总体脂肪以及肝脏脂肪降低。ARO-INHBE 还展现出减脂增肌的治疗潜力。此外，Wave Life Sciences 也有一款靶向 INHBE 的 GalNAc-siRNA 药物 WVE-007，在 I 期人体试验中展示出优异数据：单次皮下注射 240 毫克三个月后，内脏脂肪减少 9.4%，全身总脂肪减少 4.5%，而瘦体重（肌肉等非脂肪组织）增加了 3.2%。

3) 肾脏与补体疾病：基于庞大的患者群体与高度未满足的临床需求，国内外多家企业布局了针对补体通路关键靶点的药物，关键临床数据读出在即。

4) 神经疾病及肝外递送：技术壁垒较高的细分领域，小核酸药物如何突破血脑屏障，实现中枢神经系统的有效递送，是治疗阿尔茨海默病、帕金森病等神经退行性疾病的关键。

5) 乙肝等感染性疾病：目前多家企业布局有乙肝相关的小核酸药物，其中浩博医药、瑞博生物、舶望制药、齐鲁制药、恒瑞医药、腾盛博药、星曜坤泽、正大天晴等企业的管线进展相对较快。浩博医药 AHB-137（ASO 疗法）是国内首个进入 3 期临床的小核酸药物。根据既往多项国际学术会议（AASLD 2024, APASL 2025, EASL 2025）的研究报道，在 HBeAg 阴性、长期接受核苷类似物稳定治疗的患者中，使用 300mg AHB-137 治疗 24 周（仅半年），约七成患者可实现 HBsAg 清除，且安全耐受性良好。2025 年 11 月 8 日，2025 年美国肝病研究学会（AASLD）年会上，浩博医药进一步公布了 AHB-137 两项 2 期临床试验停药后 24 周（即第 48 周）的 5 大核心结论：有限治疗时间内，获得高 HBsAg 清除率；实现的 HBsAg 清除，可在停药后维持良好治疗反应；具有广泛适用性，在基线 HBsAg100~3000IU/mL 人群中实现的清除率及维持率无显著差异；可诱导持久的免疫应答反应降低远期复发风险；24 周有限治疗，安全可耐受。

表7：小核酸药物在研靶点和拥挤度评价

排名	靶点	主要技术路径	核心适应症	拥挤度评价
1	HBV (Hepatitis B Virus)	siRNA, ASO	慢性乙肝（追求临床治愈）	极高（红海）
2	PCSK9	siRNA, ASO	高胆固醇血症、心血管疾病	高（成熟市场）
3	TTR (Transthyretin)	siRNA, ASO	ATTR 淀粉样变性（罕见病）	高（标杆效应）
4	ANGPTL3	siRNA, ASO	高甘油三酯血症	显著增加
5	Lp(a)	siRNA, ASO	脂蛋白(a)增高症	快速升温
6	C3/CFB	siRNA, ASO	补体相关肾病（如 IgAN）	新晋热门
7	AGT (Angiotensinogen)	siRNA	高血压	潜在巨大市场
8	DMD (Dystrophin)	ASO	杜氏肌营养不良	经典靶点
9	APP/MAPT (Tau)	siRNA, ASO	阿尔茨海默病 (AD)	神经系统蓝海
10	PNPLA3	siRNA	非酒精性脂肪性肝炎 (MASH)	代谢赛道焦点

资料来源：HW AppTec, 中国银河证券研究院

（二）国内已布局丰富的小核酸药物管线，部分产品进入后期临床阶段

国内药企已布局丰富的 siRNA 药物临床管线，适应症集中在高胆固醇血症、高血压、慢性乙肝、

IgA 肾病等重大疾病领域，靶点覆盖 PCSK9、ANGPTL3、ASGPR 等代谢靶点与 HBV 等传染性疾
病靶点。目前，国内已有 4 款 siRNA 药物进入临床III期，涵盖代谢疾病与心血管疾病领域，超 10
款 siRNA 药物处于临床 II 期阶段。

表8：国内小核酸药物研发进度

研发机构	药品名称	靶点	作用机制	适应症	中国阶段	日期
Arrowhead/安进	Olpasiran	Lp(a)	siRNA 疗法	脂蛋白 (a) 增高	III 期临床	2022/12/14
成都先导	A24110He	ANGPTL4	反义疗法	高血脂	I 期临床	2024/5/17
成都先导	LDR2402	AGT	siRNA 疗法	高血压	II 期临床	2025/8/13
海昶生物	HC0301	AKT-1	siRNA 疗法	原发性肝癌	II 期临床	-
翰森制药	BW-20507	HBV	siRNA 疗法	慢性乙肝	II 期临床	2025/4/16
翰森制药	BW-20505	PKK	siRNA 疗法	遗传性血管性水肿	II 期临床	2025/3/24
翰森制药	BW-00112	APOC3	siRNA 疗法	血脂异常	II 期临床	2024/4/22
恒瑞医药	HRS-5635	HBV	siRNA 疗法	慢性乙肝	II 期临床	2024/5/22
恒瑞医药	APOC3 siRNA	Apoc3	siRNA 疗法	高血脂	I 期临床	-
恒瑞医药	HRS-5817	not available	siRNA 疗法	肥胖	I 期临床	2025/4/16
恒瑞医药	HRS-9563	AGT	siRNA 疗法	高血压	I 期临床	2024/12/3
华东医药	SNK-2726	AGT	siRNA	高血压	I 期临床	2025/4/30
君实生物 - U	JS401	ANGPTL3	siRNA 疗法	/	I 期临床	2023/8/29
君实生物 - U	RP910	PCSK9	siRNA	高胆固醇血症	临床前	-
凯因科技	KW-040	ANGPTL3	siRNA 疗法	慢性 HBV	I 期临床	2025/6/27
礼来	Lepodisiran	Lp(a)	siRNA 疗法	脂蛋白 (a) 增高	III 期临床	2024/3/20
丽珠集团	YJH-012	HBsAg/HBeAg	siRNA 疗法	高尿酸血症、痛风	I 期临床	2025/6/26
瑞博生物	RBD7022	PCSK9	siRNA 疗法	高胆固醇血症	II 期临床	2025/1/23
圣诺制药	SGB-9768	C3	siRNA 疗法	IgA 肾病	II 期临床	2025/1/14
盛迪医药	HRS-5635	HBV	siRNA 疗法	慢性乙肝	II 期临床	2024/6/29
石药集团	SYH2053	PCSK9	siRNA 疗法	高胆固醇血症；混合型高脂血症	II 期临床	2024/11/18
石药集团	SYH2062	AGT	siRNA 疗法	高血压	I 期临床	2025/1/24
石药集团	SYH2068	脂蛋白 (a)	siRNA 疗法	脂蛋白(a)增高	I 期临床	2025/6/5
石药集团	SYH2070	ANGPTL3	siRNA 疗法	血脂异常	I 期临床	2025/6/6
石药集团	SYH2053	PCSK9	siRNA 疗法	高胆固醇血症	II 期临床	2024/12/5
腾盛博药/Vir	Elebsiran	HBV	siRNA 疗法	慢性乙肝	II 期临床	2019/8/27
维亚生物	VSA003	ANGPTL3	siRNA 疗法	原发性高脂血症	III 期临床	2024/9
维亚生物	VSA006	HSD-17B13	siRNA 疗法	代谢相关脂肪性肝炎	II 期临床	2024/4/11
信立泰	SGB-3908	AGT	siRNA 疗法	高血压	I 期临床	2024/7/15
星曜坤泽	HT-101	HBV	siRNA 疗法	慢性乙肝	II 期临床	2024/12/30
Curia/再鼎医药/再生元	Cemdisiran	C5	siRNA 疗法	阵发性睡眠性血红蛋白尿症	III 期临床	2022/12/20
悦康药业	CT-102	GDF15	反义疗法	原发性肝癌细胞癌	II 期临床	2025/10/22
悦康药业	YKYY015	PCSK9	siRNA 疗法	降脂药物	I/II 期临床	2025/2/9
悦康药业	YKYY029	AGT	siRNA 疗法	高血压	I 期临床	2025/7/23
悦康药业	YKYY013	HBV	siRNA 疗法	慢性 HBV	I 期临床	2025/7/29
正大天晴	TQA3038	HBV	siRNA 疗法	慢性乙肝	I/II 期临床	2024/7/25
ST 香雪	科特拉尼	COX-2:TGF-β1	siRNA 疗法	—	申报临床	2014/10/22

资料来源：医药魔方，中国银河证券研究院

1. 悦康药业

悦康药业 2025 年实现营业收入 24.46 亿元，同比下降 35.30%；归母净利润-2.62 亿元，由盈转亏。主要受 2024 年底核心产品银杏叶提取物注射液调价影响，全国挂网价格由 24.1 元/支和 18.14 元/支（部分省份集采中标价格）统一调整为 11.2 元/支。

小核酸管线布局丰富，研发及中试生产平台已投入使用。公司在研创新药项目 19 项，包含小核酸药物 11 项、mRNA 疫苗 2 项，多肽药物 3 项，中药 3 项。悦康药业通过收购天龙药业 100% 股权，布局抗肿瘤 CT102（靶向 IGF-1R 的 ASO 药物），国内 II a 期试验已完成，是国内首个获批临床的反义核酸药物，可解决现有肝细胞癌治疗疗效不足及部分激酶抑制剂耐药等问题。公司自研 YKYY015 注射液（靶向 PCKS9 基因的超长效 siRNA 降脂药物）在中国、美国获批开展临床试验，国内 I b/II a 期临床试验正在进行中，用于治疗以 LDL-C 升高为特征的原发性（家族性和非家族性）高胆固醇血症或混合型高脂血症的患者。YKYY029 注射液（靶向 AGT 基因的超长效 siRNA 降血压药物）在中国、美国获批开展临床试验，国内 I 期临床试验正在进行中。YKYY013 注射液（超长效乙肝功能性治愈 siRNA 药物）在中国、美国获批开展临床试验，国内开展 I 期临床。YKYY032 注射液（靶向 LPA 基因的超长效 siRNA 药物），2025 年 12 月在中国、美国同步获批开展临床试验，用于治疗高脂蛋白（a）血症。目前，国内 I 期临床试验正在进行中。另有 RSV mRNA 疫苗 YKYY025 注射液和 VZV mRNA 疫苗 YKYY026 注射液已获得美国 FDA 临床试验批准。

天龙药业是国内最早研究核酸药物的公司之一，天龙药业的 1 类新药 CT102 是我国首个完全自主研发的反义核酸（ASO）药物。CT102 靶向人胰岛素样生长因子 1 型受体（IGF1R），用于治疗原发性肝细胞癌。I 期临床试验结果表明：CT102 具有良好的安全性和耐受性，未发生导致药物停用或受试者退出的不良反应。目前，CT102 国内 II a 期试验已完成。

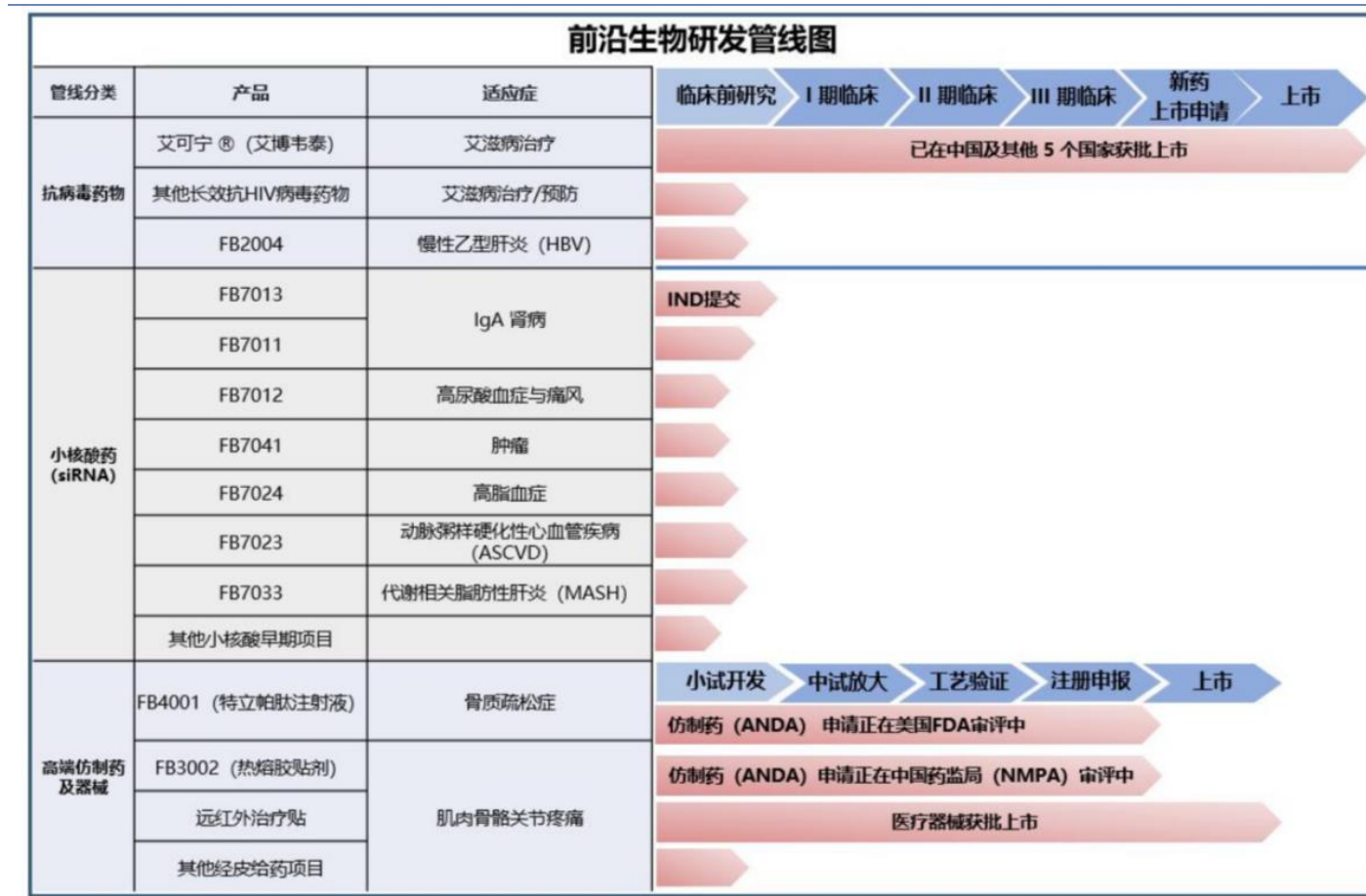
2. 前沿生物

公司主营业务主要包括长效抗 HIV 产品、新技术小核酸产品和高端仿制药产品三部分。2025 年公司实现营业收入 1.44 亿元，同比增长 10.96%，主要源于抗 HIV 创新药艾可宁®、代理产品缙康韦®及新获批远红外治疗贴小沿易贴®的销售增长；公司持续推进地市及县级终端市场，借助医保提高产品在基层医疗机构的可及性。

公司布局多个早期小核酸药物研发项目，聚焦 IgA 肾病、代谢等领域。IgA 肾病存在较大未被满足临床需求：传统的 IgA 肾病治疗以支持性治疗为主，患者对于可长期使用的非甾体药物需求巨大。临床研究表明，阻断肾素-血管紧张素系统是最佳的支持治疗，但是大量患者仍残留蛋白尿，并且仍处于疾病进展的高风险中；而皮质类固醇免疫抑制剂的应用虽然对于肾脏有暂时的保护作用，但是不良事件会限制其在患者中的长期应用。随着对补体在 IgA 肾病发病机制中认识的加深，靶向补体的 IgA 肾病药物管线数量显著增加。公司布局积极布局肾脏领域：FB7013（补体系统 MASP-2 靶点）、FB7011（补体系统 MASP-2+CFB 双靶点）、FB7012（高尿酸血症与痛风）；另有心脑血管和代谢管线 FB7023、FB7024、FB7033。

2026 年 2 月 16 日前沿生物与葛兰素史克签署授权许可协议，将两款处于早期研发阶段的小核酸（siRNA）管线产品在全球范围内的独家开发、生产及商业化权利授予葛兰素史克。其中一款已进入 IND 阶段，另一款为临床前候选药物。前沿生物将负责早期开发工作，包括在中国推进一款产品的 I 期临床试验，并完成另一款产品的 IND 支持性研究，后续全球开发、注册及商业化由葛兰素史克负责。前沿生物将获得 4,000 万美元首付款及 1,300 万美元近期里程碑付款，未来两个项目中最高可获得 9.5 亿美元的基于开发、监管及商业化里程碑的付款，并享有全球净销售额的分级特许权使用费。

图13：前沿生物在研管线



资料来源：前沿生物公司公告，中国银河证券研究院

3. 舶望制药

舶望制药成立于 2021 年 4 月，专注于 siRNA 药物的开发。联合创始人郜旭东博士曾任 Arrowhead 公司高级科学家。舶望制药基于自研的新一代 siRNA 平台“RADS” (RNAi Advanced Delivery System)，利用 RNA 干扰 (RNAi) 技术开发创新疗法，聚焦心脑血管疾病、病毒感染、代谢疾病及罕见病等领域。

公司拥有超 20 条管线涉及心血管疾病、罕见病、病毒感染及代谢疾病等多领域，重点布局心血管、抗病毒、罕见病治疗方向。在心血管领域，BW-00163 是重点项目，通过作用于血管紧张素原基因 (AGT) 从源头上减少血管紧张素的产生，从而达到长效降压的作用，目前已推进到 2 期临床，对标 Alnylam 公司的同靶点降压 siRNA (Zilebesiran)，得到诺华下注。罕见病领域，BW-20805 是一款 siRNA 药物，目前该产品正在澳大利亚进行临床 I 期试验，该研究旨在评估安全性、耐受性，以及 PK/PD；于 2023 年 10 月获得 CDE 临床默示许可，用于治疗遗传性血管性水肿 (HAE)。抗病毒方面，BW-20507 是公司自主研发的一种靶向 HBV 的 siRNA 药物，瞄准了乙肝功能性治愈的市场，目前正在中国香港、澳大利亚和泰国进行 I/II 期临床，以评估在健康受试者及慢乙肝患者中的安全性、耐受性、药代特征及疗效。

表9：舶望制药部分管线及进展

领域	核心管线	适应症	进展
心血管	BW-00163	高血压	临床 II 期
心血管	BW-00112	血脂异常	临床 II 期

罕见病	BW-20805	遗传性血管性水肿 (HAE)	临床 II 期
抗病毒	BW-20507	乙肝	临床 I/II 期

资料来源：医药魔方，中国银河证券研究院

公司与诺华达成多个重磅 BD 交易和深度战略合作，产品有望快速推进。2024 年 1 月与 MNC 诺华达成重大合作，将数款处于临床早期阶段的 siRNA 候选药物许可给诺华，交易首付款达 1.85 亿美元，总潜在金额高达 41.65 亿美元，成为国内小核酸领域首个拿下大额国际授权交易的初创公司。BW-00163 注射液以高血压为适应症，通过 siRNA 高效降解掉血管紧张素原（AGT）基因的 mRNA，降低血管紧张素的产生，发挥长效降血压作用。2025 年 6 月 5 日 BW-00163 进入 II 期，船望已收到诺华的首笔里程碑付款。

2025 年 9 月 3 日船望制药宣布与诺华深化战略合作，加速心血管疾病新药研发。船望制药授予诺华两款处于早研阶段分子的中国以外权益的选择权，用于治疗重度高甘油三酯血症(sHTG)和混合型血脂异常，以及就 BW-00112(ANGPTL3)产品的优先谈判权。BW-00112 在美国和中国处于 II 期临床试验阶段，后续将由船望制药主导开展联合用药的临床试验。另一款处于临床前研究阶段的 siRNA 药物，船望制药授予诺华独家中国地区以外许可，并包含在美国和中国分享损益(P&L)的互惠选择权，预计 2026 年启动 I 期临床试验。根据协议，诺华支付 1.6 亿美元预付款，潜在里程碑总金额 52 亿美元。同时，诺华已经初步意向参与船望制药下轮融资。

4.瑞博生物

瑞博生物于 2007 年在苏州成立,专注于小核酸药物研究和开发。2012 年瑞博生物从美国 Quark 公司引进了 RBD1007/QPI-1007。2013 年瑞博生物从 Life Technologies Corporation（美国）引进小核酸递送技术，并在此基础上优化升级基于 GalNAc 的 RIBO-GalSTAR 肝靶向递送平台，目前公司已经获得中美等重要法域专利局对该技术的专利授权，并已有四款肝靶向的核酸药物进入临床阶段。瑞博生物还开发了小核酸肿瘤靶向递送平台技术 RIBO-OncoSTAR，以及 RSC2.0 核酸修饰平台。2017 年与 Ionis 公司开展合作，引进三款用于治疗代谢疾病和癌症的 ASO 药物管线。通过自主创新和国际合作打造了丰富的小核酸药物研发品种管线，覆盖了心血管和代谢、肝病、眼科疾病、罕见病和其他适应症等多个疾病治疗领域。2026 年 1 月 9 日公司在港交所主板上市。

2025 年总营收 1.49 亿元，同比增长 4.12%，主要来自与勃林格殷格翰合作及核苷单体销售。归母净利润-2.78 亿元，亏损主因研发开支 2.8 亿元（同比持平）及管理费用增长 28%至 1.18 亿元。

图14：公司拥有多个递送平台

- ### • RiboGalSTAR™

我们的肝靶向递送技术RiboGalSTAR™ 可将 siRNA 精准递送至多种源自肝脏的靶点，治疗相关适应症。

目前，RiboGalSTAR™ 技术已推动了六个项目进入临床开发，其高效、长效及良好的安全性已在临床中得到验证。这使其成为全球最成功的 GalNAc 递送技术之一，并已在包括中国、欧洲和美国在内的主要司法管辖区获得专利授权。
- ### • RiboOncoSTAR™

我们正在开发的 RiboOncoSTAR™ 是一项领先的肿瘤靶向平台，采用核酸缀合递送技术，支持我们多个潜在“同类首创”癌症治疗项目的开发。

在临床前研究中，RiboOncoSTAR™ 在特定癌症（包括胶质瘤、胰腺癌）中表现出优于标准治疗的抗肿瘤效果和安全性。
- ### • RiboPepSTAR™

RiboPepSTAR™ 是瑞博生物自主研发的递送技术平台，通过靶向分子缀合实现对多种肝外器官的靶向递送。

在肾脏和中枢神经系统（CNS）相关的多个临床前疾病模型中，该平台展现出优于现有疗法的显著疗效，并具有良好的安全性，支持我们在全球 siRNA 创新研究中处于领先地位。

资料来源：瑞博生物招股书，中国银河证券研究院

核心管线为二期临床阶段的 FXI 靶点 RBD4059，对标产品为全球最畅销抗凝药阿哌沙班，其 2024 年销售额达 206.99 亿美元，但阿哌沙班靶向 FX 而存在显著出血风险。靶向 FXI 的 siRNA 药物 RBD4059 通过阻断内源性凝血途径实现抗凝，不仅出血风险大幅降低，更具备“半年一针”的超长效优势。1 期临床试验数据显示，50mg、150mg、400mg 及 600mg 剂量队列中，FXI 活性最大降幅分别达 67.5%、81.0%、85.8% 及 91.6%，药效持续至 169 天，且未出现 3 级以上不良事件，即便抑制水平超 90% 也无出血风险增加迹象，显示了新型抗血栓疗法的巨大潜力。另有降脂管线（APOE3、PCSK9）、乙肝管线布局，肝内/外递送技术积累十余年；其中，PCSK9 靶点药物 RBD7022 在大中华区的开发、生产和商业化的独家权利已经于 2023 年 12 月授权给齐鲁制药，公司获得总价值超 7 亿元的首付款以及里程碑付款，商业化后还能再获得最高两位数的销售分成。2026 年 2 月瑞博生物及其子公司 Ribocure Pharmaceuticals AB 与全球 MASH 领域领军企业 Madrigal Pharmaceuticals 达成全球独家许可协议，基于瑞博生物自主研发的肝靶向 RiboGalSTAR™ 平台，联合开发六款针对代谢功能障碍相关脂肪性肝炎（MASH）的创新 siRNA 疗法。瑞博生物将授予 Madrigal 多款 MASH 领域单靶点及双靶点临床前 siRNA 资产的全球独家研发、生产与商业化权利，瑞博生物将获得 6000 万美元首付款，累计 44 亿美元包含首付款和里程碑在内的款项，同时可享受基于合作产品全球净销售额的特许权使用费。

图15：公司在研管线及进展

治疗领域	化合物	靶点	适应症	技术平台	临床前	临床前申报 试验阶段	I期	II期	III期	商业推广
心血管、代谢和 肾脏疾病	RBD4059	FXI	血栓性疾病	RiboGalSTAR™						全球
	RBD5044	APOC3	高甘油三酯血症	RiboGalSTAR™						全球
	RBD7022	PCSK9	高胆固醇血症	RiboGalSTAR™						全球（除中国地区外） ²
	RBD7007	C5	肾病 ³	RiboGalSTAR™						全球
	RBD2080	C3	肾病 ³	RiboGalSTAR™						全球
	RBD1119	血栓相关因子	血栓性疾病	RiboGalSTAR™						全球
	RBD3103	抗肾损伤	肾病	RiboPepSTAR™						全球
	SR122	双靶点	血脂异常	RiboGalSTAR™						全球
	SR126	双靶点	血脂异常	RiboGalSTAR™						全球
	RBD6096	血栓相关因子	血栓性疾病	RiboGalSTAR™						全球
肝病	SR118	未披露	代谢疾病	RiboPepSTAR™						全球
	RBD1016	HBV-X	CHB	RiboGalSTAR™						全球
			CHD	RiboGalSTAR™						全球
	RBD3133	未披露	体重减轻	RiboGalSTAR™						全球
	SR111	未披露	MASH ¹	RiboGalSTAR™						与勃林格殷格翰的全球合作
其他治疗领域	SR112/SR113	未披露	MASH ¹	RiboGalSTAR™						与勃林格殷格翰的全球合作
	RBD8088	侵袭性肝癌药物	神经胶质瘤	RiboOncoSTAR™						全球
	SR131	CNS	中枢神经系统疾病	RiboPepSTAR™						全球

资料来源：瑞博生物 2025 年报，中国银河证券研究院

5. 必贝特

公司核心产品 BEBT-908 是全球首个（First-in-Class）获批上市的小分子双靶点抑制剂，针对 HDAC 和 PI3Kα 两个关键靶点，用于三线及以上治疗 r/r DLBCL 于 2025 年 6 月 30 日获 CDE 附条件批准上市。此外，BEBT-209 和 BEBT-109 均进入 III 期临床试验阶段，5 个产品处于 I 期临床试验阶段具备差异化优势。BEBT-209 聚焦于血液肿瘤和实体瘤，BEBT-109 则针对特定肿瘤适应症，预计于 2027 年获批上市。公司还布局了 BEBT-305、BEBT-503 等创新药物，分别用于自身免疫性疾病和代谢性疾病，具备结构新颖、安全性高、疗效突出等特点。

必贝特布局差异化双靶点小核酸布局，肝脏靶向 BEBT-507（真性红细胞增多症，2024 年 11 月 IND 获批，2025 年 6 月启动 I 期临床）、双靶点 BEBT-701（全球首个 AGT+PCSK9，2025 年 11 月 IND 受理，2026 年 2 月 4 日获批 I-II 期临床试验，适应症为轻中度高血压合并低密度脂蛋白胆固醇升高）、临床前管线包括双靶点 BEBT-720（非酒精性脂肪肝）、CNS 靶向 BEBT-756（阿尔茨海默症）、肾靶向 BEBT-730（高尿酸血症/痛风）。

BEBT-701 是利用其专有 GalNAc 双寡核苷酸偶联（GDOC）技术平台开发的首个进入人体研究在研新药，通过单一分子同时沉默肝细胞内的血管紧张素原（AGT）与前蛋白转化酶枯草溶菌素 9（PCSK9）两个关键靶点，从机制上实现血压调控通路与血脂代谢通路的协同调控，以“一次给药、双通路联动”的方式，同时改善血压与血脂水平，旨在为高心血管风险人群提供长效、低给药频率、依从性更优的综合慢病管理方案。

非临床研究结果显示，BEBT-701 在人源化小鼠模型与非人灵长类动物中对 AGT 与 PCSK9 均实现高效且持久的基因沉默，在降压与降脂方面表现出协同药效优势，并具备良好的安全性特征。

表10：必贝特管线图

产品	产品来源	技术来源	靶点及类型	治疗领域	适应症	研发阶段	重要里程碑
----	------	------	-------	------	-----	------	-------

BEBT-908	外部引进	自主研发	HDAC/PI3K α双靶点抑制剂	抗肿瘤	复发或难治性弥漫大 B 细胞淋巴瘤（三线及以上）	获批上市	于 2025 年 6 月 30 日获 CDE 附条件批准上市
					复发或难治性弥漫大 B 细胞淋巴瘤（二线及以上，联合利妥昔单抗对比利妥昔单抗-吉西他滨-奥沙利铂或利妥昔单抗-异环磷酰胺-卡铂-依托泊苷）	确证性 III 期试验	已于 2025 年 1 月启动
					复发或难治性外周 T 细胞淋巴瘤	II 期	预计 2025 年进入 IIb 期临床试验
					复发或难治性滤泡性淋巴瘤、慢性淋巴细胞白血病/小淋巴细胞淋巴瘤、淋巴瘤细胞样淋巴瘤/华氏巨球蛋白血症和边缘区淋巴瘤	II 期	预计 2026 年进入 IIb 期临床试验
					晚期实体瘤（单药、联合氟维司群、联合 PD-1 单抗）	I 期	预计 2025 年进入 II 期临床试验
BEBT-209	自主研发	自主研发	CDK4 高选择性 CDK4/6 抑制剂	抗肿瘤	HR+/HER2-晚期乳腺癌（联合氟维司群）	III 期关键性试验	预计 2027 年提交 NDA
					CDK4/6 抑制剂和内分泌治疗后疾病进展的 HR+/HER2-晚期乳腺癌（联合 BEBT-908 和依西美坦或氟维司群）	I 期	预计 2025 年进入 II 期临床试验
					晚期三阴性乳腺癌（联合化疗）	II 期	已于 2024 年 11 月提交 III 期临床试验方案沟通申请
BEBT-109	自主研发	自主研发	泛突变型 EGFR 抑制剂	抗肿瘤	EGFR 20 外显子插入突变局部晚期或转移性非小细胞肺癌（二线及以上）	III 期	已于 2023 年 9 月获 CDE 同意开展 III 期临床试验
					EGFR 20 外显子插入突变局部晚期、复发或转移性非小细胞肺癌（一线治疗，联合化疗）	II 期	已于 2024 年 8 月进入 II 期临床试验

					第三代 EGFR-TKI 耐药的晚期非小细胞肺癌（联合 BEBT-908）	I 期	预计 2025 年进入 II 期临床试验
BEBT-260	自主研发	自主研发	选择性 ChK1 抑制剂	抗肿瘤	P53 突变的晚期实体瘤（单药或联合化疗）	I 期	预计 2025 年进入 II 期临床试验
BEBT-305	外部引进	自主研发	HSP90 抑制剂	自身免疫性疾病	中重度斑块型银屑病	I 期	预计 2025 年进入 II 期临床试验
					中重度化脓性汗腺炎	I 期	预计 2025 年进入 Ib 期临床试验
BEBT-503	自主研发	自主研发	泛 PPAR 激动剂	代谢性疾病	糖尿病合并非酒精性脂肪性肝炎	澳大利亚 I 期	预计 2025 年进入国际多中心 II 期临床试验
				自身免疫性疾病	原发性胆汁性胆管炎	国内 I 期	
BEBT-607	自主研发	自主研发	KRAS G12C 抑制剂	抗肿瘤	KRAS G12C 突变的非小细胞肺癌、结直肠癌、胰腺癌等晚期或转移性实体瘤	I 期	已于 2023 年 9 月进入 I 期临床试验
BEBT-507	自主研发	自主研发	小核酸（siRNA）药物	抗肿瘤	真性红细胞增多症	I 期	已于 2025 年 6 月获进入 I 期临床试验
BEBT-808	自主研发	自主研发	口服小分子 GLP-1 完全激动剂	代谢性疾病	糖尿病；肥胖症	IND	预计 2025 年提交 IND
BEBT-809	自主研发	自主研发	GPR75 通路抑制剂	代谢性疾病	肥胖症	IND	预计 2025 年提交 IND
BEBT-508	自主研发	自主研发	小核酸（siRNA）药物	代谢性疾病	非酒精性脂肪性肝病	新药发现	预计 2026 年提交 IND
BEBT-701	自主研发	自主研发	小核酸（siRNA）药物	代谢性疾病	高脂血症合并高血压	I - II 期	-

资料来源：必贝特招股书，中国银河证券研究院

此外，迈威生物其双靶点小核酸药物已于 2025 年完成超 10 亿美元的对外授权；阳光诺和通过投资方式布局小核酸赛道，覆盖减重、AD 等适应症；石药集团拥有小核酸技术平台，临床阶段管线覆盖 C5、ANGPTL3、Lp(a)等靶点。其 Lp(a)小核酸药物已成功授权出海；福元医药小核酸产品处于 I 期临床，同时在肾病、代谢肝病、心血管疾病等领域有广泛的临床前布局；圣因生物 SGB-7342 于 2026 年 1 月 13 日在治疗肥胖症的中国 I 期临床研究启动，于吉林大学第一医院完成首例受试者给药；靖因药业布局 FXI，其 VTE 适应症于 2025 年 9 月进入临床 II 期；圣诺医药布局差异化靶点，如双靶皮肤癌、减脂产品；中国生物制药收购赫吉亚，布局 MVIP 递送平台（获中美专利），临床 II 期 LPA 管线实现一年一针给药，产品布局心血管 LPA、PCSK9、代谢靶点等。

（三）海外小核酸巨头进入业绩兑现期，关注管线研发及商业化动向

海外小核酸巨头：Alnylam 获诺华 BD 后高增长，首款商业化品种普乐司兰获批，靶向布局全面；Arrowhead 减重产品数据部分读出，减重增肌效果受关注。

1. Alnylam:

Alnylam 成立于 2002 年，于 2004 年上市，是 RNAi 领域的龙头企业，近 4 年内有 5 款 siRNA 新药成功获批上市，计划推出 6 个或更多的商业化产品，目前公司在研管线已经包括高血压、乙肝、NASH、II 型糖尿病等慢性病。

Alnylam 是 siRNA 领域的龙头企业，已有 6 款 siRNA 新药成功获批上市。Alnylam 是目前在 siRNA 领域提交最多专利申请的公司，也是拥有最多 siRNA 在研产品的公司。Alnylam 从罕见病适应症出发，覆盖领域逐渐向常见病领域发展，针对靶点也从肝部向其他组织推进，在研产品聚焦于遗传性疾病、心脏代谢疾病、传染病、中枢神经系统（CNS）及眼部疾病领域。

图16：Alnylam 公司在研管线及进展

Industry Leading Pipeline of RNAi Therapeutics

		PHASE 1	PHASE 2	PHASE 3
TTR	Nucresiran	ATTR Amyloidosis with Cardiomyopathy		
	Nucresiran	hATTR Amyloidosis with Polyneuropathy		
CARDIOVASCULAR	Zilebesiran ²	Hypertension		
	Zilebesiran + REVERSIR ²	Hypertension		
METABOLIC	Rapirosiran (ALN-HSD) ¹	Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH)		
	ALN-ANG3 ¹	Diabetic Kidney Disease		
	ALN-4324 (GRB14)	Type 2 Diabetes Mellitus		
	ALN-2232 (ACVR1C)	Obesity & Weight Management		
	ALN-PNP ³	Non-Alcoholic Fatty Liver Disease (NAFLD)		
	ALN-APOC3 ¹	Dyslipidemia		
	ALN-CIDEB ¹	MASH		
NEUROSCIENCE	Cemdisiran ¹	Myasthenia Gravis		
	Mivelsiran	Cerebral Amyloid Angiopathy		
	Mivelsiran	Alzheimer's Disease		
	ALN-HTT02 ⁴	Huntington's Disease		
	ALN-5288 (MAPT) ⁴	Alzheimer's Disease		
	ALN-SOD ³	SOD1 Amyotrophic Lateral Sclerosis		
HEMATOLOGY	ALN-SNCA ³	Parkinson's Disease		
	Cemdisiran ¹	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria		
	ALN-6400 (PLG)	Bleeding Disorders		
	AG-236 (ALN-TMP) ¹	Polycythemia Vera		
OTHER	ALN-CFB ¹	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria		
	Cemdisiran ¹	Geographic Atrophy		
	Elebsiran ¹	Hepatitis D Virus Infection		
	ALN-BCAT	Hepatocellular Carcinoma		
	ALN-F1202 ¹	Healthy Volunteers		

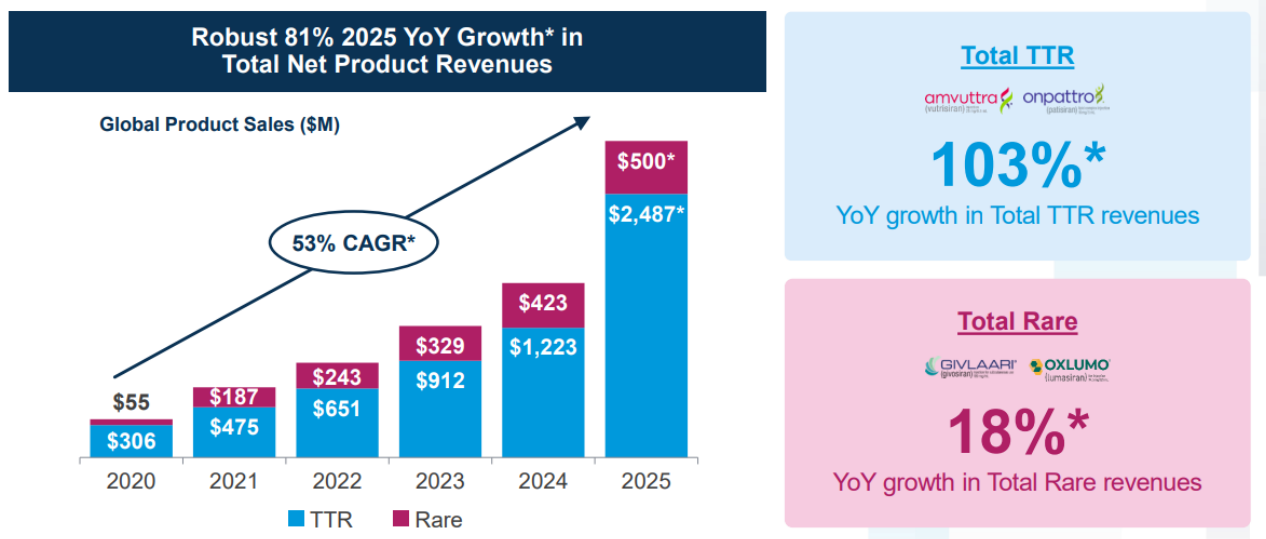
资料来源：Alnylam 官网，中国银河证券研究院

2025 年业绩表现亮眼。2025 年整体收入 30 亿美元，同比增长 81%；其中 TTR 产品线收入翻倍，实现 24.87 亿美元收入；罕见病药物收入超 5 亿美元，同比增长 18%。

图17: Alnylam 2025 年业绩表现

2025: Outstanding Commercial Performance

Doubled TTR Franchise Revenues in One Year



资料来源: Alnylam 官网, 中国银河证券研究院

Alnylam 2030 年规划: 加速创新, 扩大影响。1) 实现全球 TTR 领域领导地位: 预计到 2030 年主导 TTR 市场。

2) 推动可持续创新: 交付 2 种以上具有潜在重磅潜力的新型治疗药物; 扩展至 10 种以上组织类型和 40 项以上临床项目; 将约 30% 的非 GAAP 营收投入研发。

3) 扩大规模: 到 2030 年实现 25% 以上的总收入复合年增长率; 实现约 30% 的非 GAAP 营业利润率。

图18: Alnylam 公司 2030 年展望

Alnylam 2030

Accelerating Innovation. Scaling Impact.



Achieve Global TTR Leadership

BUILD A DURABLE TTR FRANCHISE

- Lead TTR market in revenue by 2030 and cumulatively across 5-year period
- Launch best-in-class, next-gen silencer, nudesiran, in PN by 2028 and CM by 2030



Grow Through Sustainable Innovation

DELIVER THERAPIES THAT PREVENT, HALT, OR REVERSE DISEASE

- Deliver 2+ new transformative medicines beyond TTR with blockbuster potential
- Expand to 10 tissue types and > 40 clinical programs
- Invest ~30% of revenues in non-GAAP R&D, including select external innovation



Scale with Discipline & Agility

DRIVE SUSTAINED, PROFITABLE GROWTH

- Achieve 25%+ total revenue CAGR through YE 2030
- Deliver ~30% non-GAAP operating margin

资料来源: Alnylam 官网, 中国银河证券研究院

2026 年业绩指引仍维持高速增长。销售额预计 49-53 亿美元，同比增速约 71%。其中，TTR 产品销售额 44-47 亿美元，同比增速约 83%；罕见病产品销售额 5-6 亿美元，同比增速约 10%。

图19: Alnylam 公司 2026 年业绩指引

2026 Net Product Revenue Guidance Reflects Robust Growth and Strong Commercial Execution

	2026 Guidance	YoY Growth at Midpoint
Total TTR Net Product Sales (AMVUTTRA, ONPATTRO)	\$4,400 to \$4,700 million	83%
Total Rare Net Product Sales (GIVLAARI, OXLUMO)	\$500 to \$600 million	10%
Total Combined Net Product Sales	\$4,900 to \$5,300 million	71%

Note: Additional financial guidance, including collaboration and royalty revenue and GAAP and non-GAAP combined R&D and SG&A expenses, will be provided on Alnylam's year-end earnings call in February 2026.

资料来源: Alnylam 官网, 中国银河证券研究院

2026 年临床规划:

推进 Nucleosiran 用于 ATTR-CM 和 ATTR-PN 的 III 期试验、推进 AGT siRNA 药物 Zilebesiran 用于高血压的 III 期 ZENITH 试验。

Mivelsiran: 26H1 完成用于脑淀粉样血管病的 II 期 cAPPricorn-1 试验; 26H1 启动用于阿尔茨海默病的 II 期试验。

ALN-2232 靶向脂肪组织 ALK7, 26H2 读出 I 期试验数据。ALN-HTT02 用于亨廷顿舞蹈症, 26H2 读出 I 期试验数据, 验证 CNS 递送。ALN-6400 用于出血性疾病, 26H2 读出 I 期 POC 数据和用于 HTT 的 II 期试验数据; ALN-4324 靶向 GRB14, 用于 T2D, 26H2 启动 II 期试验。

图20: Alnylam 公司 2026 年临床规划

2026 Pipeline Goals to Drive Our Next Phase of Growth

Nucleosiran	ATTR Amyloidosis	Advance TRITON-CM Phase 3 Trial	Ongoing
		Advance TRITON-PN Phase 3 Trial	Ongoing
Zilebesiran	Hypertension	Advance ZENITH Phase 3 Trial	Ongoing
Mivelsiran	Cerebral Amyloid Angiopathy	Complete Enrollment of cAPPricorn-1 Phase 2 Trial	H1
	Alzheimer's Disease	Initiate Phase 2 Trial	H1
ALN-6400	Bleeding Disorders	Phase 1 Data in Healthy Volunteers	H2
		Phase 2 Data in HHT	H2
		Initiate Phase 2 Trial in Second Bleeding Disorder	H1
ALN-4324	Type 2 Diabetes Mellitus	Initiate Phase 2 Trial	H1
ALN-HTT02	Huntington's Disease	Phase 1 Data	H2
ALN-2232	Obesity & Weight Management	Phase 1 Data	H2
Additional Programs		File 3-4 INDs	2026

资料来源: Alnylam 官网, 中国银河证券研究院

2.Arrowhead:

Arrowhead 成立于 1989 年, 专注于利用 RNAi 机制来开发治疗顽固性疾病的药物。Arrowhead 通过使用广泛的 RNA 化学修饰与高效的递送方式触发 RNAi 机制, 从而快速、深入、持久地实现靶基因的下调, 抑制靶蛋白的产生。Arrowhead 经过十余年开发, 建立了 TRiM 平台(Targeted RNAi Molecule), 利用配体介导的递送方式, 形成结构简单的具有组织靶向特异性的药物系统, 制造流程简单、成本低、支持多种给药途径。

图21: Arrowhead 公司 2026 年临床规划

Arrowhead's Targeted RNAi Molecule (TRiM™) Platform: The Broadest and Most Versatile in the Field



TRiM™ also has rules and algorithms to optimize trigger sequence and modification patterns

Activity

Characterized by depth & duration of effect

- Ability to unlock previously undruggable targets

Specificity

To maximize activity and innate stability with the potential for reduced off-target effects

Versatility

In structure and design offers multiple routes of administration and access to multiple tissues

- Facilitates rapid drug development and speed to patients

Simplicity

In design translates to relatively lower costs, and production at scale



For investor communication only. Not for use in product promotion

6

资料来源: Arrowhead 官网, 中国银河证券研究院

在研管线覆盖多个慢病领域:

高血脂领域: TG 方向 ApoC3 Plozasiran 用于 sHTG 在 III 期阶段, 预计 2026Q3 公布 III 期试验数据、2026 年递交 NDA; LDL 方向: ANGPTL3 siRNA 药物 Zodasiran 预计 26H1 完成 III 期试验入组; 其它: PCSK9/ApoC3 双靶 siRNA 药物 AR0-DIMER-PA, 预计 26H2 首次公布临床试验数据。

减重领域: 2026 年将持续更新 INHBE 和 ALK7 siRNA 药物, 1b 期试验将尽快启动, 探索在肥胖糖尿病患者种联合替尔泊肽或其他 GLP-1 的疗效, 以及停用 GLP-1 后的维持治疗效果; 未来还会推出针对肝脏细胞和脂肪细胞的双靶 siRNA 药物, 预计 2027-2028 年进入临床阶段。

CNS 领域: 开发的 ARO-MAPT 支持皮下给药, 适应症为阿尔兹海默症。

图22: Arrowhead 公司 2026 年规划

Arrowhead's Growth Drivers in 2026 and Beyond



Arrowhead's first **commercial sales of REDEMPLO** in familial chylomicronemia



Phase 3 studies of plozasiran in **severe hypertriglyceridemia (potential multi-billion-dollar opportunity)** on pace to readout in Q3 2026



ARO-DIMER-PA targeting PCSK9 and APOC3 first clinical **readout in 2H 2026**



Emerging potential high value **obesity and CNS pipelines** including systemic delivery across blood brain barrier



Robust pipeline and productive discovery engine provide opportunities for additional **capital inflows from business development**



Funded into 2028, potentially through **multiple independent and partner launches**



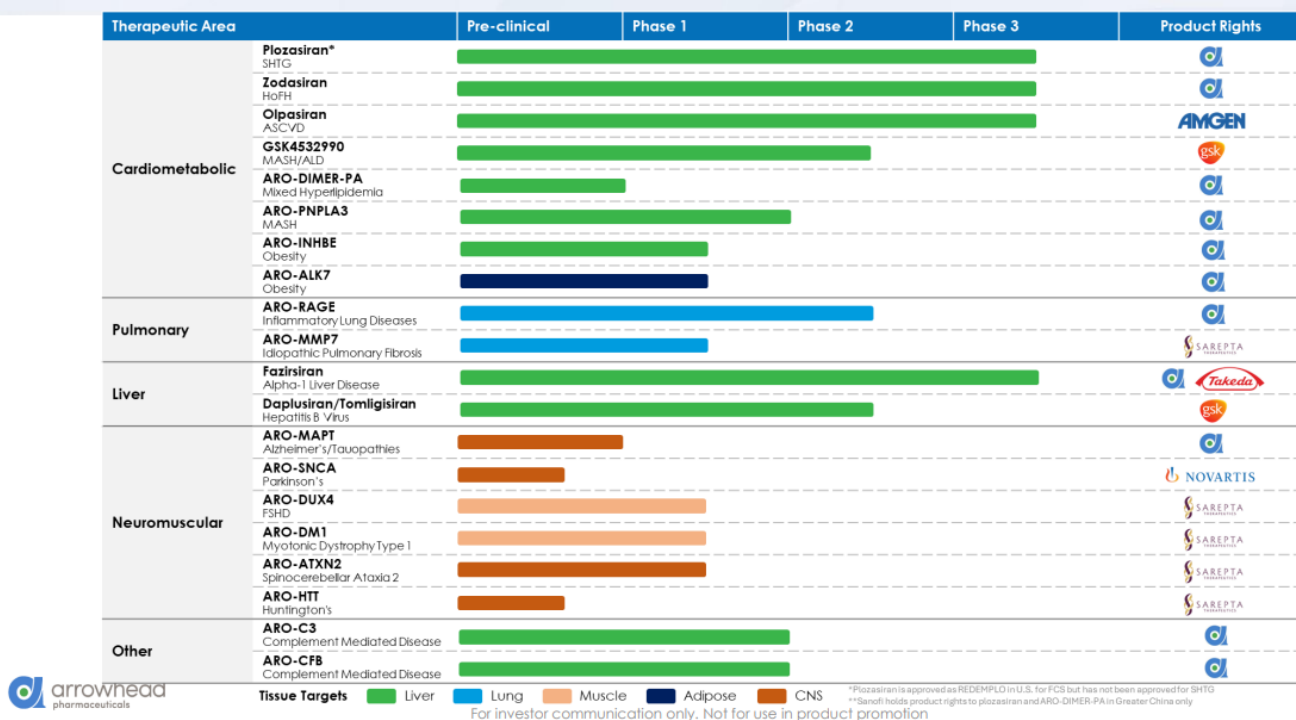
For investor communication only. Not for use in product promotion

5

资料来源: Arrowhead 官网, 中国银河证券研究院

图23: Arrowhead 公司研发管线

Robust Pipeline with Near-term Commercial Opportunities



资料来源: Arrowhead 官网, 中国银河证券研究院

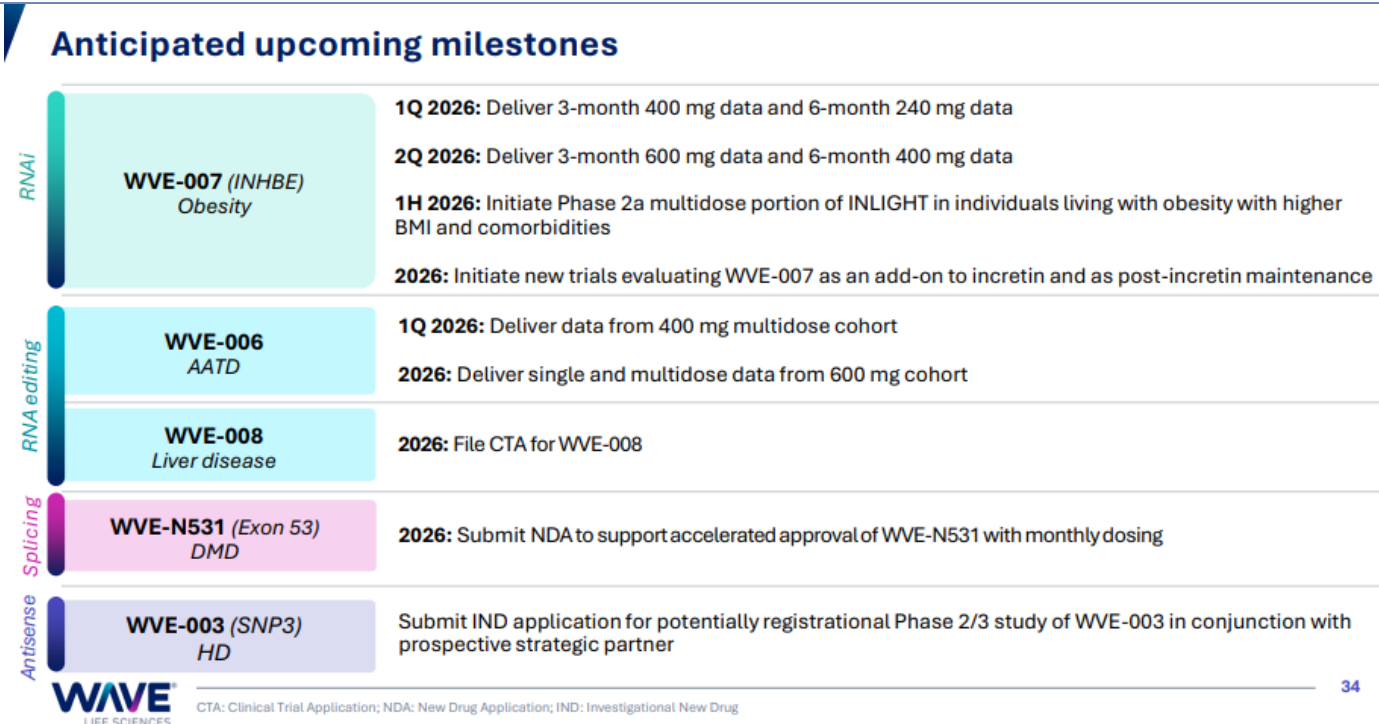
3. Wave Life Sciences:

Wave Life Sciences 专注于研发 RNA 药物，依托其平台 RNA 药物 PRISM®进行罕见病和常见疾病的药物研发。

2026 年规划：加速推进 INHBE siRNA 药物 WVE-007 的 Ia 期 INLIGHT 试验 MAD 阶段以及启动联合治疗和维持治疗的新临床；RNA 编辑领域 2026M1 将公布 WVE-006 用于 AATD 的 Ib/II a 期 Restor AATion-2 试验 400mg MAD 数据、600mg SAD 和 MAD 数据将于年内公布；用于肝病的 PNPLA3 siRNA 药物 WVE-008 将提交 CTA 申请。

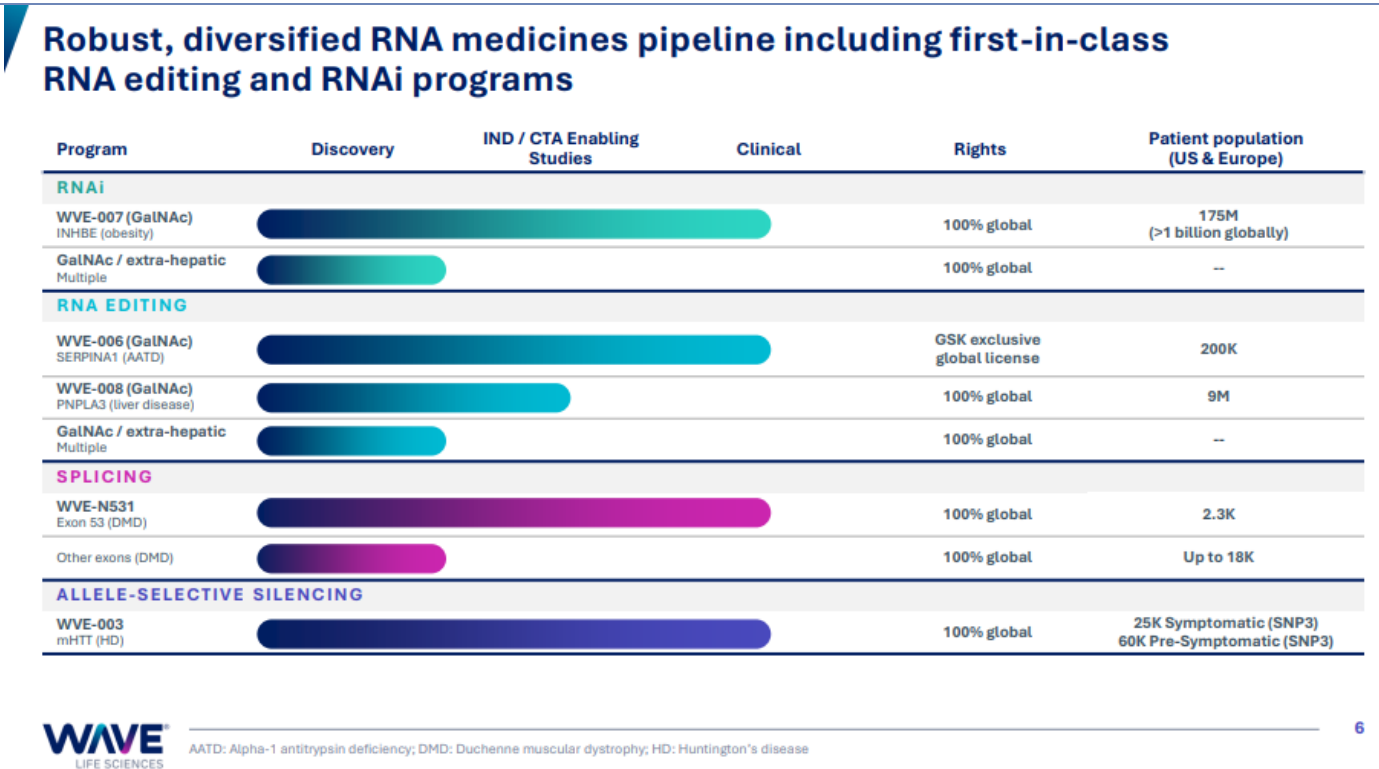
2026 年 3 月 26 日 Wave Life Sciences 公布 INHBE siRNA 新药 WVE-007 一期临床最新数据。240mg WVE-007 单次给药 3 个月内脏脂肪减少 7.8%，6 个月减少 14.3%，总脂肪分别减少 5.1%、5.3%，肌肉增加 2.2%、2.4%。400mg WVE-007 单次给药 3 个月内脏脂肪减少 5.0%，总脂肪减少 0.7%，肌肉减少 0.2%。

图24: Wave Life Sciences 公司 2026 年规划



资料来源: Wave Life Sciences 投资者交流材料, 中国银河证券研究院

图25: Wave Life Sciences 公司研发管线



资料来源: Wave Life Sciences 投资者交流材料, 中国银河证券研究院

三、小核酸产业链国内处于起步阶段，国产替代空间大

（一）国内小核酸产业链处于起步阶段，上游国产替代空间大

小核酸药物产业链涵盖了上游核酸单体和试剂生产，中游新药研发及药品生产和下游产品商业化服务患者的全部环节。从小核酸药物产业链来看，生产原料、工艺、技术专利及设备仪器，仍存在一定的进口依赖性，国产替代存在较大空间。中游药明康德和凯莱英等 CDMO 企业提供小核酸药物外包研发服务，助力国内小核酸药物行业的快速发展。

图26：小核酸药物产业链



资料来源：清华五道口，中国银河证券研究院

化学合成寡核苷酸（Oligonucleotide）药物是指通过化学合成方法制备的具有特定序列和功能的短链核酸药物，通常由十几个至几十个或更长的核苷酸构成，制备工艺包括固相合成、液相合成以及酶催化片段连接合成等方法。

寡核苷酸的合成技术起源于上世纪 50 年代的学术研究，80 年代实现了自动化和商业化，90 年代发展为基于高通量阵列的合成方法。早期的寡核苷酸合成采用的是磷酸二酯、H-磷酸酯和磷酸三酯化学策略。后来，Marvin Caruthers 于 80 年代初开发了磷酸胺法，加之固相合成技术和自动化设备的推广，使其成为目前最主流的方法。

图27：小核酸药物合成技术发展历程



资料来源：百力格生物，中国银河证券研究院

固相合成法在效率和应用范围上占据主流地位，而酶促法在生物相容性要求高的场景更具优势。

固相合成的优点：自动化程度高（全自动合成仪）、合成效率高（单步偶联率>99%）、适合长链（50-100 nt）及修饰核酸（如硫代磷酸酯）。缺点：成本较高（试剂和载体昂贵）、副产物多（需严格纯化）、偶联失败可能导致短链杂质。

表11：固相合成法在效率和应用范围上占据主流地位

方法	固相合成法（亚磷酸胺）	液相合成法（磷酸三酯）	酶促合成法
原理	固相载体逐步偶联单体	液相中化学偶联	酶催化模板依赖合成
链长限制	50-100 nt（适合长链）	<15 nt（短链）	无严格限制（长链更优）
修饰能力	高（可引入多种化学修饰）	中	低（依赖酶兼容性）
自动化程度	高（全自动仪器）	低	中（需模板设计）
成本	高（试剂/载体）	低	中（酶成本）
纯度要求	需严格纯化（HPLC）	需多次纯化	需去除模板/酶
适用场景	实验室及工业化生产（如 siRNA）	短链或特殊修饰	天然 RNA/DNA 长链合成

资料来源：生物制药合伙人，中国银河证券研究院

核苷酸不能直接用于化学合成寡核苷酸，因为其化学选择性不好。亚磷酸胺单体（Nucleoside Phosphoramidite）将核苷酸进行化学保护和修饰，用于化学合成寡核苷酸。

磷酸胺法合成是在装有固相载体的合成柱中进行的，载体上预先连接了一个核苷酸或通用连接分子。通用载体指可以在寡核苷酸 3'末端引入修饰或标记核苷酸的一类连接方式。亚磷酸胺单体合成法由脱保护（deprotection）、偶联（coupling）、加帽（capping）和氧化（oxidation）四步化学反应组成循环，通过分步活化结合在核苷酸 3'位和 5'位的化学活性保护基团实现可控合成，在固相载体上从 3'到 5'方向逐个延伸合成寡核苷酸链，每一轮合成循环添加一个碱基，每步反应完成后均需用溶剂洗涤，以去除副产物并准备下一步反应。整个流程由计算机系统控制，在合成仪器内，

试剂按程序顺序流过柱子，在固相上完成化学反应。

图28：小核酸药物合成方向

核苷 (Nucleoside)

↓ 磷酸化

核苷酸 (Nucleotide)

↓ 化学修饰 (DMT、保护基、亚磷酰胺化)

亚磷酰胺单体 (Phosphoramidite Monomer)

↓ 固相合成

寡核苷酸 (Oligonucleotide, 小核酸药物)

资料来源：中国银河证券研究院

小核酸原料药合成步骤：

0. 准备试剂：亚磷酰胺单体、活化剂（四唑）、氧化剂（碘溶液）、脱保护剂（三氯乙酸）、乙腈、氨水或甲胺、其他试剂/溶剂。

1. 载体固定：将第一个核苷酸通过连接臂固定在固相载体上。

2. 循环合成（每个核苷酸的延长需重复以下 4 个步骤）：

脱保护：用酸性试剂（如三氯乙酸）去除 5'-端 DMT 保护基。

偶联：加入亚磷酰胺单体（含 5'-DMT 保护基）和活化剂（四唑），与载体上的核苷酸形成亚磷酸三酯键。

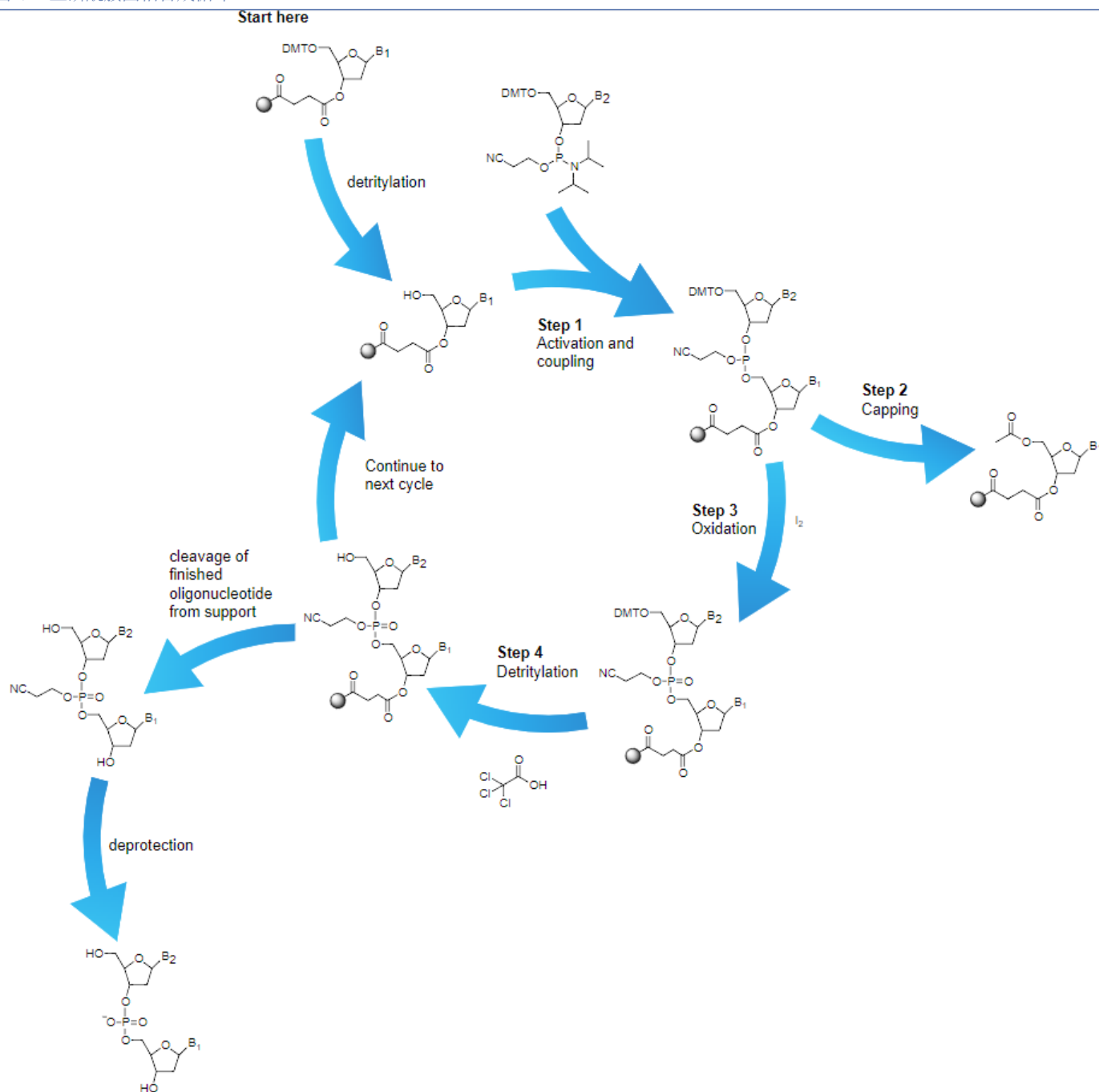
加帽：用乙酸酐封闭未反应的羟基，减少副产物。

氧化：用碘溶液将亚磷酸酯键氧化为稳定的磷酸三酯键。

3. 切割与脱保护：用氨水或甲胺裂解核酸链与载体的连接，并去除碱基保护基团（如苯甲酰基、异丁酰基）。

4. 纯化：通过 HPLC 或 PAGE 纯化目标产物。

图29：亚磷酰胺固相合成循环



资料来源：阿拉丁，中国银河证券研究院

图30：寡核苷酸合成的流程



资料来源：东富龙，中国银河证券研究院

反应过程中主要涉及固相载体、亚磷酰胺单体、乙腈溶剂、递送系统、合成设备、纯化设备、冻干设备等。以英克司兰为例，我们对其成本进行拆分。英克司兰国内上市价格为 9988 元/284mg/支，2026 年起实行医保价格 2790 元/支，2024 年全球销售额 7.5 亿美金，2025 年全球销售金额 11.98 亿美元。假设以产品国内初始上市价格为基准，参考创新药平均毛利率 80%，推算得出英克司兰药品成本约 2000 元/284mg/支，即 7034 元/g。英克司兰由 43 个核苷酸组成，参考核苷酸相对分子质量为 380-420g/mol，则英克司兰相对分子质量约为 18000g/mol。GalNAc 递送系统采用 L96 作为载体，即 GalNAc 以三价态的方式共价偶联至核酸 3' 末端。基于以上假设，我们进行如下成本测算。

目前成本占比较高的为亚磷酰胺单体、固相载体、递送系统等，试剂由于涉及的种类较多、且需要达到 GMP 级别，目前占比也较高。考虑到进口产品多选用高质量原料以确保产品品质的稳定性、均一性，减少杂质的生成，目前原料单价相对较高。当前部分原料、试剂、仪器已经实现国产化，待产品进一步量产及国产化规模扩大后，小核酸药物的合成成本将有较大下降空间。

表12：固相合成小核酸药物成本测算

小核酸成药（1g，以 18000g/mol 为例）							
原料药					制剂		
成本占比：60%					成本占比：40%		
价格：3000-4000 元/g					价格：2000-3000 元/g		
项目	占比	需求量	产品单价	成本（元）	项目	占比	成本（元）
亚磷酰胺单体	35%	30-40g	海外：3-4 万元/千克； 国产：2-3 万元/千克	1050	辅料	30%	750
固相载体	5-10%	0.1-0.2g(以每克树脂负载 20-30 μmol 核苷为例)	-	150	其他：包装、人 工及仪器等	70%	1750
溶剂与试剂	30%	-	-	900			
其中：乙腈	0.3%	1L	1 万元/吨	10			
递送系统（以 GalNAc- L96 为例）	5%-10%	0.15g	50-70 万元/千克	150			
其他辅料、人工及仪器	25%	-	-	850			

资料来源：中国银河证券研究院

（二）小核酸药物景气度上行，CXO 助力行业加速发展

产业链中游投资观点：小核酸药物研发目前仍面临多重挑战，核心难点集中于肝外递送载体、递送效率及靶点序列设计与优化等方面。小核酸行业处于高景气阶段，短期来看，上游及 CDMO 我们建议关注：1）海外产品——商业化产品的 M 端订单和 GMP 级别的原料/原料药供应，关注少数大订单落地情况，如药明康德、凯莱英、联化科技、奥锐特、蓝晓科技等；2）国内产品——临床前及早期临床，R 及 D 端订单或自研项目授权，关注项目数量及后期推进情况，如成都先导、st 诺泰等。

1、药明康德：

药明康德 2025 年实现营业收入 454.6 亿元，同比增长 15.8%，实现持续经营业务收入 434.2 亿元，同比增长 21.4%，实现经调整 Non-IFRS 归母净利润 149.6 亿元，同比增长 41.3%，公司收入和利润再创历史新高。

化学业务引领增长，TIDES 成为最强引擎。1）化学业务（WuXi Chemistry）是公司业务基石，2025 年收入 364.7 亿元，同比增长 25.5%，经调整 non-IFRS 毛利率提升至 52.3%，同比增长 5.9pct。其中，TIDES 业务（寡核苷酸与多肽）表现亮眼，实现收入 113.7 亿元，同比高增 96.0%，主要由于 GLP-1 多肽领域研发及商业化需求的快速释放，在手订单同比增长 20.2%，业务兑现的持续性及确定性较高。小分子工艺研发和生产（D&M）业务收入 199.2 亿元，同比增长 11.4%，D&M 管线持续扩张，其中 310 个项目转化自小分子药物发现业务。2）测试业务（WuXi Testing）收入 40.4 亿元，同比增长 4.7%。药物安全性评价业务保持亚太领先地位，新分子相关收入占比已提升至 30%以上。3）生物学业务（WuXi Biology）：收入 26.8 亿元，同比恢复正增长至 5.2%，体外及体内业务协同效应增强，持续为公司前端业务引流，为公司带来 20+% 的新客户。

凭借规模和全产业链布局优势，公司将其在小分子领域已验证的“端到端”服务模式成功复刻

至新兴的 TIDES（寡核苷酸和多肽）领域。公司在中国无锡、常州、上海等关键研发生产基地均建有寡核苷酸专用 GMP 车间，持续加码产能投资，拥有 27 条寡核苷酸生产线。

截至 2025 年 12 月底，公司在手订单 580.0 亿元，同比增长 28.8%，公司预计 2026 年公司整体收入达到 513-530 亿元，持续经营业务收入同比增长 18-22%，前景展望积极。

2、凯莱英：

凯莱英 2025 年实现营业收入 66.70 亿元，同比增长 14.91%，恒定汇率下同比增长 16.78%，其中第四季度实现收入 20.40 亿元，同比增长 22.59%，恒定汇率下同比增长 30.84%。实现归母净利润 11.33 亿元，同比增长 19.35%，经调整净利润 12.53 亿元，同比增长 56.09%，主要由于近年公司降本增效，以及新兴业务交付规模提升和产能利用率爬坡。

新兴业务持续高增长，2026 年迎多个商业化项目。从业务板块看，1) 小分子 CDMO 业务实现收入 47.35 亿元，同比增长 3.59%，毛利率 46.83%，交付商业化项目 59 个、临床及临床前项目 515 个，其中临床 III 期项目 70 个，持续巩固行业龙头地位。2) 新兴业务实现跨越式增长，总收入达 19.29 亿元，同比增长 57.30%，毛利率同比提升 8.45 个百分点至 30.12%。其中，化学大分子 CDMO 收入 10.28 亿元，同比增长 123.72%，包含多肽、寡核苷酸业务；生物大分子 CDMO 收入 2.94 亿元，同比增长 95.76%；制剂 CDMO 收入 2.84 亿元，同比增长 18.44%；临床 CRO 收入 2.82 亿元，同比增长 26.53%。多肽、寡核苷酸、ADC 等高增长赛道表现尤为亮眼：处于临床阶段的多肽药物 52 个，其中减重相关领域项目 19 个，8 个处于临床后期，首个多肽项目获批上市并提供商业化供货，根据在手订单预计 2026 年多肽 PPQ 项目有 4 个。寡核苷酸临床阶段项目 69 个，20 个处于临床后期。首个 ADC 药物通过 PAI 核查并进入商业化阶段，预计 2026 年将有 4 个项目进入商业化。

前瞻性布局全球产能网络，全面支撑订单高速增长。在产能建设方面，多肽固相合成总产能已达 45000L，预计 2026 年底将提升至 69000L；寡核苷酸产能达 120mol，计划 2026 年 6 月扩至 180mol；高活药物产能方面，OEB5 厂房已投入使用，显著增强高活性药物交付能力。生物大分子领域，500L GMP 车间已投产并成功交付 3 个 IND 项目，奉贤一期商业化抗体车间正式投产，ADC 商业化车间预计 2026 年第二季度交付。

在手订单增长迅猛，2026 年业绩增长加速。公司在手订单总额达 13.85 亿美元，同比增长 31.65%，其中化学大分子与生物大分子订单增速迅猛，为 2026 年业绩加速增长奠定坚实基础。公司在 2025 年重新进入业绩增长通道后，订单持续增长，经营态势持续向好，2026 年预计经营业绩将呈现加速增长态势，营业收入增长预计为 19%-22%，新兴业务将成为核心增长引擎。

公司是小分子 CDMO 巨头向新兴领域拓展的代表企业，将其在化学合成领域的工艺开发经验和成熟的商业化生产管理经验的系统性地平移至核酸领域。已建立寡核苷酸固相亚磷酸酯法合成平台，具备从核苷酸单体合成到复杂寡核苷酸修饰的全链条能力。凯莱英 2023 年上半年布局 10 条寡核苷酸中试至商业化生产线，寡核苷酸产能达 120mol，计划 2026 年 6 月扩至 180mol。

3、奥锐特：

公司长期从事特色原料药和核苷中间体的生产，具备核苷类关键起始物料的规模化、合规化生产能力。在寡核苷酸领域，2021 年 7 月公司设立上海奥锐特生物，专注于寡核苷酸药物研发，2025 年寡核苷酸原料药新品销售快速增长。目前与 Cytiva 合作建设的商业化生产级别 Oligo FlexFactory GMP 生产线已于 2024 年交付使用，公司在扬州规划三条产线最终产能可达 150-200 千克/年。同时，公司加快创新药业务布局，2025 年 3 月华东师范大学-奥锐特 AI 小核酸药物发现联合实验室成立，开启小核酸创新药的早期研究工作，聚焦肥胖、衰老、老年痴呆等病症。

2025Q3 收入创历史新高，毛利率同比环比提升明显。Q3 实现营收 4.15 亿元，同比增长 16.05%；归母净利润 1.19 亿元，同比增长 24.62%；扣非净利润 1.16 亿元，同比增长 22.50%，毛利率为



62.53%，同比提高 2.45pct，环比提高 3.02pct，净利率为 28.58%，同比提高 1.96pct，环比提高 1.08pct。

4、成都先导：

拥有全球领先的 DNA 编码化合物库（DEL）技术，在寡核苷酸早期发现与筛选层面具有天然优势，占据创新链条最上游。在产能上其控股子公司先东制药可提供商业化 GMP 级别的小核酸原料药 CDMO 服务，主要满足临床 I 期至 III 期的百克级需求以及商业早期的百克至公斤级需求，并可根据产品研发进度建立几十公斤级规模的生产线。

主业持续回暖，盈利能力大幅改善。2025 年公司实现营业收入 5.26 亿元，同比增长 23.09%，归母公司净利润 1.14 亿元，同比增长 122.01%，主要因 DEL 库业务高毛利收入持续贡献，英国子公司 FBDD/SBDD 平台项目达成里程碑，OBT 平台小核酸一站式服务及 ChemSer 自动化合成平台实现商业化落地。

布局 DEL+AI、小核酸等新赛道打开成长天花板。公司持续推进 DEL+AI/ML 在新药发现与优化方面的项目研发及能力建设（“HAILO”平台），取得成果包括 1）模型与数据：依托 DEL 海量筛选及自动化实验平台产生的多维度数据，迭代升级靶点-小分子活性预测模型，并同步构建适配高通量化学平台的分子生成模型；2）高通量化学平台：基于上述模型，快速完成以 TRIM21、CRBN 为 E3 配体的多靶点分子胶库设计与合成；3）项目管线：新增两个自研项目已经依托 HAILO 平台启动首轮 DMTA 循环并找到先导化合物进入评价环节和下一轮优化。小核酸作为化药以外的下一个潜力赛道，公司通过参股先衍生物进行布局，2025 年 8 月先衍生物 LDR2402（AGT 靶点）项目为国内首个进入 II 期临床的 siRNA 类降压药物，由上海交通大学医学院附属瑞金医院担任组长单位；2026 年 2 月用于成人肥胖或超重的体重管理的 LDR2515（INHBE 靶点）获批临床。

5、益诺思：

公司自 2018 年起前瞻布局小核酸与核药评价体系，承接多项国家级重大新药创制项目，与 CDE 联合开展前沿研究，是国内极早切入该赛道的临床前 CRO 企业。

2025 年公司营业收入为 8.11 亿元，同比下降 28.94%，主要由于 CRO 行业整体价格承压导致的收入收缩。归母净利润为-3051.59 万元，由盈转亏。2025 年新签订单金额达 11.35 亿元，同比增长 38.62%；其中海外市场新签订单为 7477.22 万元。截至 2025 年末，公司在手订单金额为 12.48 亿元，同比增长 28.23%。

6、蓝晓科技：

以固相合成载体为战略支点，已构建覆盖小核酸（siRNA/ASO）与多肽药物全链条的技术平台，其自主研发的氨基载体、羧基载体预载、Unylinker、预载 GalNAc 与 C6 等固相合成材料，配合反相与离子交换色谱填料，实现从高难度寡核苷酸合成到结构相似杂质分离的一体化解决方案。公司依托与头部药企近十年的深度联合研发，积累大量工艺数据，于 2025 年新增西安 3000 m²中试实验室，规划投资 11.5 亿元建设 GMP/类 GMP 标准生科产业园，同步在瑞典设立子公司，引进包括琼脂糖软胶专家 Hans Johansson 在内的 20 余位国际专家，全面强化全球技术协同与产业化能力，推动生命科学板块成为公司最强劲的增长引擎。

7、联化科技：

联化科技以农药 CDMO 为基础，医药小分子领域延伸至小核酸 CDMO 方向成果显著，且功能化学品领域的新能源材料布局潜力巨大。公司依托成熟的小分子 CDMO 体系，从传统小分子药物拓展到氨基酸、多肽、PROTAC/ADC 连接子、寡核苷酸等。联化科技为全球客户提供覆盖多临床阶段

及商业化全周期的 CDMO 服务，公司国际市场拓展取得突破性进展，已与两家全球医药领域头部企业深化研发合作；国内业务拓展也取得积极进展，已经与多家国内创新药公司展开业务合作。

公司凭借小核酸 CDMO 打开增量空间。公司在修饰性核苷、核苷酸方面具有丰富经验，其中亚磷酰化试剂、核糖 2'-位氟化及烷氧化修饰单体可实现规模化生产，并开发了稳定、高效的核酸药物运送载体例如 GalNAc 的生产工艺，收率高且纯化简单。核心客户诺华在研管线丰富，前瞻性布局小核酸领域，拥有 39 条小核酸管线，其中 3 款已获批上市，长效降脂药英克司兰进入国内医保目录，公司或有望受益。

2025 年前三季度实现营业总收入 47.18 亿元，同比增长 8.25%；归母净利润 3.16 亿元，同比激增 871.65%；扣非归母净利润 3.00 亿元，同比增长 1504.44%。2025 年业绩预告显示：2025 年预计归母净利润约 3.5 亿元-4.2 亿元，同比增长 239.35%-307.22%；扣非归母净利润 3.3 亿元-4.1 亿元，同比增长 171.87%-237.78%。

四、投资建议

小核酸药物在 2026 年将迎来大单品放量和多品种数据读出的重磅催化，其中减重领域和 CNS 领域预计将成为市场关注重点，若数据进一步验证将极大拓展 siRNA 药物的市场潜力，有望成为继 GLP-1 类药物后新一代超级重磅炸弹级别新药。建议关注国内小核酸相关上市公司如瑞博生物、前沿生物、悦康药业、必贝特等以及中上游产业链如药明康德、凯莱英、奥锐特、联化科技、蓝晓科技（银河环保公用覆盖）、成都先导等。

表13：重点公司估值及盈利（截至 2026 年 4 月 10 日）

证券代码	证券简称	当前股价 (元)	总市值(亿 元)	归母净利润/亿元			PE			投资评级
				2026E	2027E	2028E	2026E	2027E	2028E	
6938.HK	瑞博生物-B	67.45	101.00	-2.53	-2.83	/	/	/	/	/
688658.SH	悦康药业	18.73	84.29	-0.53	0.69	/	/	122.2	/	/
603259.SH	药明康德	106.33	3172.63	167.95	196.97	243.40	18.9	16.1	13.0	推荐
002821.SZ	凯莱英	121.27	437.63	13.94	17.25	22.52	31.4	25.4	19.4	推荐
688759.SH	必贝特-U	37.68	169.57	/	/	/	/	/	/	/

资料来源：Wind，中国银河证券研究院（注：瑞博生物-B 股价和总市值单位为港元）

五、风险提示

1.宏观经济压力增大致医药消费能力不足的风险。宏观经济压力可导致地方财政紧张，医保政策如 DRG/DIP 的严格执行对医药消费造成较大压力。居民自主消费意愿可能会下降，影响医药消费的增长。

2.创新药医保支付等政策不及预期的风险。医保基金的可持续性、支付标准、商业保险、政策执行以及监管等方面，共同影响创新药的市场准入和支付情况。

3.地缘政治带来的全球订单转移风险。贸易政策的变化以及地缘政治的不确定性对医药行业产生影响，导致市场成长天花板和订单持续性风险，全球医药创新链、产业链、供应链或加快重塑。

4.集采或收费降价超出市场预期的风险。集采或收费降价超出市场预期或导致企业的利润被挤压，影响市场竞争、药品质量和供应保障等。

图表目录

图 1: 细胞质中基于 ASO 的基因调节机制	4
图 2: siRNA 作用机制	5
图 3: 用于靶向给药系统的各种适配体偶联物	5
图 4: Alnylam RNAi 药物和靶向药研发成功率对比	7
图 5: 小核酸药物在研类型和适应症分布	8
图 6: 2019-2034 年全球小核酸药物市场规模	9
图 7: 按药物类型划分的全球小核酸药物市场明细	9
图 8: 小核酸药物发现到临床应用时间轴	10
图 9: GalNAc（三聚乙酰半乳糖胺）药物递送平台机制	11
图 10: 全球小核酸药物交易趋势（左轴：个；右轴：百万美元）	14
图 11: 诺华 2025 年达成的小核酸相关交易	15
图 12: 全球 RNAi 药物在研管线靶点汇总	19
图 13: 前沿生物在研管线	23
图 14: 公司拥有多个递送平台	25
图 15: 公司在研管线及进展	26
图 16: Alnylam 公司在研管线及进展	29
图 17: Alnylam 2025 年业绩表现	30
图 18: Alnylam 公司 2030 年展望	31
图 19: Alnylam 公司 2026 年业绩指引	31
图 20: Alnylam 公司 2026 年临床规划	32
图 21: Arrowhead 公司 2026 年临床规划	33
图 22: Arrowhead 公司 2026 年规划	34
图 23: Arrowhead 公司研发管线	35
图 24: Wave Life Sciences 公司 2026 年规划	36
图 25: Wave Life Sciences 公司研发管线	36
图 26: 小核酸药物产业链	37
图 27: 小核酸药物合成技术发展历程	38
图 28: 小核酸药物合成方向	39
图 29: 亚磷酰胺固相合成循环	40
图 30: 寡核苷酸合成的流程	41

表 1: RNA 药物的分类和特性	3
表 2: 小核酸药物的优势.....	6
表 3: 小核酸药物和小分子药物、抗体药物对比.....	6
表 4: 2026 年预期小核酸药物关键数据读出.....	12
表 5: 2023-2026 年小核酸领域全球交易情况（截至 2026 年 3 月）	15
表 6: 已上市小核酸药物（截至 2026 年 3 月）	17
表 7: 小核酸药物在靶点和拥挤度评价	20
表 8: 国内小核酸药物研发进度	21
表 9: 舶望制药部分管线及进展	23
表 10: 必贝特管线图	26
表 11: 固相合成法在效率和应用范围上占据主流地位	38
表 12: 固相合成小核酸药物成本测算	42
表 13: 重点公司估值及盈利（截至 2026 年 4 月 10 日）	46

分析师承诺及简介

本人承诺以勤勉的执业态度，独立、客观地出具本报告，本报告清晰准确地反映本人的研究观点。本人薪酬的任何部分过去不曾与、现在不与、未来也将不会与本报告的具体推荐或观点直接或间接相关。

程培，医药行业首席分析师。上海交通大学生物化学与分子生物学硕士，10年以上医学检验行业+医药行业研究经验，公司研究深入细致，对医药行业政策和市场营销实务非常熟悉。此前作为团队核心成员，获得新财富最佳分析师医药行业2022年第4名、2021年第5名、2020年入围，2021年上海证券报最佳分析师第2名，2019年Wind“金牌分析师”医药行业第1名，2018年第一财经最佳分析师医药行业第1名等荣誉。

宋丽莹，复旦大学公共卫生硕士，2024年入职银河证券研究院，在中医药、生物制品、创新药产业链等领域有深度的研究。

免责声明

本报告由中国银河证券股份有限公司（以下简称银河证券）向其客户提供。银河证券无需因接收人收到本报告而视其为客户。若您并非银河证券客户中的专业投资者，为保证服务质量、控制投资风险、应首先联系银河证券机构销售部门或客户经理，完成投资者适当性匹配，并充分了解该项服务的性质、特点、使用的注意事项以及若不当使用可能带来的风险或损失。

本报告所载的全部内容只提供给客户做参考之用，并不构成对客户的投资咨询建议，并非作为买卖、认购证券或其它金融工具的邀请或保证。客户不应单纯依靠本报告而取代自我独立判断。投资者应自主作出投资决策并自行承担投资风险，任何形式的分享证券投资收益或者分担证券投资损失的书面或口头承诺均为无效。银河证券认为本报告资料来源是可靠的，所载内容及观点客观公正，但不担保其准确性或完整性。本报告所载内容反映的是银河证券在最初发表本报告日期当日的判断，银河证券可发出其它与本报告所载内容不一致或有不同结论的报告，但银河证券没有义务和责任去及时更新本报告涉及的内容并通知客户。银河证券不对因客户使用本报告而导致的损失负任何责任。

本报告可能附带其它网站的地址或超级链接，对于可能涉及的银河证券网站以外的地址或超级链接，银河证券不对其内容负责。链接网站的内容不构成本报告的任何部分，客户需自行承担浏览这些网站的费用或风险。

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

银河证券已具备中国证监会批复的证券投资咨询业务资格。除非另有说明，所有本报告的版权属于银河证券。未经银河证券书面授权许可，任何机构或个人不得以任何形式转发、转载、翻版或传播本报告。特提醒客户及公众投资者慎重使用公众媒体刊载的证券研究报告。

本报告版权归银河证券所有并保留最终解释权。

评级标准

评级标准	评级	说明
评级标准为报告发布日后的6到12个月行业指数（或公司股价）相对市场表现，其中：A股市场以沪深300指数为基准，新三板市场以三板成指（针对协议转让标的）或三板做市指数（针对做市转让标的）为基准，北交所市场以北证50指数为基准，香港市场以恒生指数为基准。	行业评级	推荐：相对基准指数涨幅10%以上
		中性：相对基准指数涨幅在-5%~10%之间
		回避：相对基准指数跌幅5%以上
	公司评级	推荐：相对基准指数涨幅20%以上
		谨慎推荐：相对基准指数涨幅在5%~20%之间
		中性：相对基准指数涨幅在-5%~5%之间
		回避：相对基准指数跌幅5%以上

联系

中国银河证券股份有限公司 研究院	机构请致电：	
深圳市福田区金田路3088号中洲大厦20层	深广地区：	苏一耘 0755-83479312 suyiyun_yj@chinastock.com.cn 程曦 0755-83471683 chengxi_yj@chinastock.com.cn
上海浦东新区富城路99号震旦大厦31层	上海地区：	林程 021-60387901 lincheng_yj@chinastock.com.cn 李洋洋 021-20252671 liyangyang_yj@chinastock.com.cn
北京市丰台区西营街8号院1号楼青海金融大厦	北京地区：	田薇 010-80927721 tianwei@chinastock.com.cn 褚颖 010-80927755 chuying_yj@chinastock.com.cn

公司网址：www.chinastock.com.cn