

大摩闭门会：春季训练：生物技术行业展望 20260526

2026 美股生物医药投研展望：商业化拐点、并购加速与核心催化剂

摘要

- 美股中盘生物科技板块估值普遍存在约 24% 上涨空间，商业化阶段企业盈利能力现拐点，营收加速且利润率扩大。
- 1,500 亿美元专利到期风险驱动并购活跃，商业化阶段（如 Ascendis、Ionis）及上市期企业（如 CG Oncology、Insmed）为核心并购标的。
- Cytokinetics 的 Micorzo 非梗阻性 HCM 三期数据预计 2026Q2 发布，该适应症占 HCM 患者 50%，有望填补 BMS 竞品失败后的市场空白。
- RNAi 疗法热度回升，Ionis 用于 SHTG 的药物预计 2026 年 6 月获批，Arrowhead 三期数据预计 2026Q3 发布；基因疗法受安全性及预处理限制仍受冷遇。
- CG Oncology 膀胱癌产品 BLA 申报及关键数据、Ultragenix 的 Angelman 综合征三期结果均定于 2026 年发布，构成重大估值拐点。
- 代谢领域 GLP-1 外仍存机遇，Rhythm 在下丘脑性肥胖症具优势；I&I 领域关注 AbbyVax 溃疡性结肠炎三期数据及 Evoimmune 的 2b 期数据。

Q&A

请介绍当前美国中小型生物科技板块的投资前景、估值框架以及核心覆盖主题？

当前看好美国中小型生物科技板块主要基于四点理由：首先，监管环境更趋有利，NBI 指数表现已跑赢标普 500 指数；其次，估值仍具吸引力，股价较目标价普遍存在约 24% 的上涨空间；第三，商业化阶段的企业盈利能力出现显著拐点，营收加速增长，运营支出趋于稳定，利润率持续扩大；第四，商业化阶段企业的现金储备正在大幅增加。值得注意的是，美国中盘生物科技板块对利率变动较为敏感，在利率上升环境中通常表现不佳，而在利率趋缓时则表现优于大盘。商业化阶段企业作为资本产出方，在利率上升时表现通常优于作为资本消耗方的段企业。此外，大型生物制药企业面临约 1,500 亿美元的收入专利到期风险将推动并购活动保持活跃。为评估史克必成（Smith Capital）覆盖范围公司，我们采用三视角分析框架：第一类是风险较低的商业化阶段企业，拥



且增长的营收，代表公司包括 Argus、Ascendis、Ionis、BI Medicines 和 PTC Therapeutics。第二类是风险中等的上市期股票，其药物近期已获批或预计在 2026 至 2027 年获批上市，代表企业包括 CG Oncology、Denali、Insmed、Rhythm 和 BeLight Bio。第三类是风险较高的催化剂驱动型股票，其关键临床或监管催化剂可推动估值上涨，代表企业包括 Disc Medicine、Cytokinetics、Mirum、AbiVax 和 Silence Therapeutics。预计并购活动在第一和第二类企业中更为活跃。我们的覆盖范围聚焦三大核心主题：一、营收增长的可持续性：我们重点分析市场份额轨迹、竞争侵蚀、报销政策及处方行为，以及通过适应症扩展或生命周期管理实现的第二增长曲线，而非仅关注峰值销售额。典型案例包括对欧睿咨询、爵士制药羟丁酸钠业务线可持续性的分析。二、产品上市的执行风险：我们关注新获批产品能否将监管成功转化为营收增长，重点考察早期上市数据、处方医生行为与管理层指引的对比，以及商业化基础设施的准备情况。CG Oncology 的非肌层浸润性膀胱癌产品上市是典型案例。三、催化剂驱动的拐点与成功概率重估：我们明确区分真正改变 POS 假设的验证性数据与仅影响市场情绪的事件，并评估估值对成败的敏感性。Disc Medicine 在罕见血液病领域的拐点是典型案例。2026 年的核心催化剂事件包括：CG Oncology 膀胱癌滚动 BLA 申报及关键数据发布；BI Medicines 的 BTK 降解剂与 SunRocaLEx 在血液系统恶性肿瘤的数据；Disc Medicine 罕见血液病的后期数据；Arasaka 的多实体瘤 RAS 通路数据；以及 Neurocrine 的持续商业化执行与管线拐点。

在免疫学与炎症、眼科、血液学与肿瘤学等治疗领域，当前的关键趋势、未满足需求以及 2026 年值得关注的催化剂事件有哪些？

在我们覆盖的治疗领域中，关键趋势与催化剂事件如下：在免疫学与炎症（I&I）领域，尽管已有 Dupixent 等重磅药物，医疗皮肤病领域仍存在大量未满足的需求。Chimerix、Celldex、Evimune 和 Arcellx 等公司正致力于开发下一代药物。2026 年第二季度，Abby Vax 将公布其溃疡性结肠炎三期临床试验 ABTECT 的维持治疗部分数据，其口服药物的安全性可能引发战略投资兴趣。同样在第二季度，Evoimmune 将公布其差异化 X2 抑制剂用于慢性自发性荨麻疹的 2b 期数据。在眼科领域，针对已有较好治疗方案的疾病（如湿性年龄相关性黄斑变性）开展基因治疗试验，商业化难度较大。相比之下，治疗方案较少的罕见病领域更具投资吸引力，例如 Beam 公司正在开发 Stargardt 病的首款同类疗法。在血液学与肿瘤学领域，尽管竞争激烈，但头颈部癌症和膀胱癌的后期药物开发前景令人振奋，相关公司包括头颈部领域的 Kara 和 Genmab，以及膀胱癌领域的 NGEN。2026 年，Genmab 的双特异性抗体 Epkinly 用于一线治疗弥漫性大 B 细胞淋巴瘤的关键数据将公布，这为其已商业化的药物带来重要的销售扩张机遇。此外，专注于致幻药物研发的 Compass Pathways 也持续吸引投资者关注。

在 RNAi 疗法、基因疗法和代谢疾病领域，当前的市场情绪、技术进展和关键催化剂是什么？

在 RNAi 疗法、基因疗法和代谢疾病领域，当前的市场动态和关键催化剂如下：首先，市场对 RNAi 疗法的兴趣日益增长。Alnylam 的 Amvutsla（用于 ATTR 心肌病）等产品的上市表现强劲，显著超出预期，推动了市场关注度。此外，Ionis 公司针对重度高甘油三酯血症的突破性数据显示，其疗法能显著降低胰腺炎发生率。其次，基因疗法仍不受市场青睐。主要原因是安全性担忧，例如 2025 年 Sarepta 公司的 Elevidys 在治疗杜氏肌营养不良症时出现了肝毒性导致的死亡案例。同时，Rocket 和 Taysha 等公司仍需优化其预处理方案，这延长了开发周期并降低了市场热情。最后，代谢疾病领域在 GLP-1 类药物之外仍存在显著机遇。

Arrowhead 公司的 Inhibit E 和 ALX7 的早期数据显示了实现更高质量减重效果的潜力。在罕见肥胖症领域，近期并购活动证实了普拉德-威利综合征等细分市场的潜力，Rhythm 公司在即将推出下丘脑性肥胖症治疗方案方面处于有利地位。展望 2026 年下半年及 2027 年初，关键催化剂包括：Mirum 公司预计在 2026 年第二季度公布 Voxelab 用于 PSC 的 II 期注册性数据，随后在 2027 年上半年公布 PBC 数据。Ionis 公司用于 SHTG 的 Triglyceride 适应症预计在 2026 年年中获批（PDUFA 日期为 6 月 30 日），其用于 TTR 心肌病的 CARDIOTRANSFORM FURTHER 研究的 3 期数据预计在 2026 年下半年公布。Arrowhead 公司预计在 2026 年第三季度获得 SHTG 适应症的 3 期数据。Silence Therapeutics 公司预计在 2026 年第三季度获得真性红细胞增多症适应症的 2 期数据。

在罕见病、心脏病学和肿瘤学领域，2026 年有哪些重要的产品上市动态和临床试验催化剂值得关注？

在罕见病、心脏病学和肿瘤学领域，2026 年的关键动态和催化剂主要集中在以下几家公司：首先是 Cytokinetics 公司，我们将持续关注其于 2025 年初获批的梗阻性肥厚型心肌病药物 Micorzo 的上市进展，包括市场接受度、医生反馈及患者使用体验。该公司一个至关重要的临床催化剂是预计在 2026 年第二季度公布的针对非梗阻性肥厚型心肌病的 III 期试验 Akasia 的结果。该适应症占 HCM 患者总数的 50%，其主要竞争对手百时美施贵宝的 Camzyos 在类似适应症的 Odyssey 试验中未能达到预期。其次是 Ultragenix 公司，预计在 2026 年下半年（8 月至 9 月间）公布其 RNAi 疗法治疗 Angelman 综合征的 III 期试验结果。这对公司而言是一个重大的价值拐点机遇。此外，还有两家公司的商业化进展备受关注。第一家是 Ascendis，我们将重点跟踪其已上市药物 Yervoy 的季度销售额变化。第二家是 Inzyme，该公司于 2025 年底推出了首个获批的支气管扩张症药物 Brinasiro，市场对其上市初期表现高度关注。我们近期针对 75 名肺科医生的调研旨在深入了解其短期需求、潜在阻力及长期市场潜力。