

中因科技 项目介绍

一、公司概况

中因科技（北京中因科技有限公司，后变更为北京中因科技股份有限公司）成立于2016年1月18日，注册地位于北京市昌平区生命科学园生命园路27号1号楼D区4层D401室（另有信源记录注册地址为北京市海淀区上地信息路26号1层0100室，可能对应不同时期的登记变更）。统一社会信用代码为91110108MA0036544R，注册资本约907.93万元人民币，法定代表人记录为钟显成。经营范围涵盖技术推广、医学研究和试验发展、第二类与第三类医疗器械生产、检验检测服务、人体基因诊断与治疗技术开发、细胞技术研发和应用、人体干细胞技术开发和应用等。

中因科技是一家专业从事遗传性眼病临床基因诊断和基因治疗药物研发的国家高新技术企业，被业内视为国内眼科基因治疗药物研发的先行者，同步开展基因替代治疗与基因编辑治疗的多个项目管线。公司的业务模式呈现“诊断+治疗”一体化特征：一方面建立遗传性眼病临床基因诊断平台，为患者提供精准基因检测与生育预防服务；另一方面基于诊断积累的家系与突变位点数据，开发对应的基因治疗药物，形成所谓“BD一体化诊疗数据壁垒”。

在国资与产业基金布局视角下，中因科技被列入中关村发展集团（中关村资本/中关村创投/中关村科学城/北脑基金）的医疗健康标的库。内部研究资料将其归入“高端器械”细分赛道（实际业务更接近基因治疗与体外诊断的交叉领域），出资主体记录为中关村资本，投资时间为2025年，投资金额未透露，当前阶段标注为临床（待核实）。中关村发展集团在公开报道中，将“北医三院研究员杨丽萍的中因科技”列为其2025年重点科技成果转化投资项目之一。

内部资料同时记录了公司的标杆地位表述：“BCD AAV赛道国内第一（与天泽云泰VGR-R01直接对标，但中因率先获FDA国际多中心III期+RMAT）”。

二、核心科学与技术

中因科技的技术平台建立在腺相关病毒（AAV）载体介导的视网膜基因治疗与CRISPR/Cas9基因编辑两条主线之上。

眼球是基因治疗的经典靶器官，原因在于：眼内存在血-视网膜屏障，具有相对免疫豁免特性，可降低系统性免疫反应风险；眼球体积小，所需载体剂量低；视网膜下注射或玻璃体腔注射可实现局部精准给药；视力、视野、微视野、视网膜结构等指标可通过无创手段客观量化，便于疗效评估；同时，双眼结构使对侧眼可作为天然对照。

在载体选择上，公司核心产品ZVS101e采用AAV2/8嵌合血清型。该血清型对视网膜色素上皮（RPE）细胞具有天然高亲和性，靶向性强、免疫原性相对较低，是眼科基因治疗领域较为成熟的递送系统之一。ZVS101e的全称为重组人CYP4V2基因腺相关病毒注射液（rAAV2/8-hCYP4V2），通过视网膜下给药后可高效感染视网膜细胞，并在细胞中特异性表达CYP4V2蛋白，弥补因基因突变导致的蛋白功能缺失。

在基因编辑方向，ZVS203e采用CRISPR/Cas9技术编辑RHO基因，用于治疗常染色体显性遗传的视网膜色素变性（adRP）。与基因替代不同，显性遗传疾病的致病机制多为突变蛋白的毒性获得功能，单纯补充正常基因难以奏效，需要通过基因编辑敲低或敲除突变等位基因，因此技术路径与ZVS101e存在本质差异。

技术来源方面，ZVS101e是北京大学第三医院眼科杨丽萍课题组与中因科技合作开发的产品，于2021年3月完成知识产权转化，公司主张拥有全球完整知识产权。

三、主要产品与管线

中因科技的管线呈梯队式布局：

ZVS101e（第一梯队核心产品）。适应证为携带CYP4V2双等位基因突变的结晶样视网膜变性（Bietti Crystalline Dystrophy，BCD）。其研发时间线较为清晰：2021年3月完成知识产权转化；2021年首次开展临床试验（NCT04722107），为国际范围内针对BCD疾病的第一个基因治疗临床试验；2021年8月获得美国FDA孤儿药资格认定；2022年12月分别获得中国与美国的I/II期临床试验许可（IND），是世界范围内针对BCD开展的首个注册性临床试验；2023年2月完成I/II期临床试验首例受试者入组；2024年4月，相关临床试验成果发表于《Signal Transduction and Targeted Therapy》；2024年6月28日被中国CDE纳入突破性治疗药物程序；2024年7月获美国FDA再生医学先进疗法（RMAT）资格认定，公开资料称其为国内第一个获FDA授予该认定的基因治疗产品；2024年11月获CDE III期临床批准；2025年1月获FDA批准开展国际多中心III期临床试验，计划在美国、日本、欧盟及亚太地区同步开展注册性临床试验；2025年底在中国完成III期临床试验；2026年8月，CDE官网公示ZVS101e注射液拟纳入优先审评程序，拟定适应症为治疗携带CYP4V2双等位基因突变的结晶样视网膜变性，成为全球研发进度最快、首个进入注册申报阶段的BCD治疗产品。

ZVS203e。基于CRISPR/Cas9编辑RHO基因，用于视网膜色素变性（RP）。公开资料称该药已进入I/II期临床研发，是国内首个获FDA IND批准的同类基因编辑治疗产品。

第二梯队管线。包括ZVS204e、ZVS105e、ZVS106e等项目，具体适应证与研发阶段公开披露有限，属于待确认事项。

诊断业务。公司建立了遗传性眼病临床基因诊断平台，为患者提供临床基因诊断服务，并延伸至生育预防（如产前诊断、胚胎植入前遗传学检测的配套检测）。2025年9月的B+轮融资公告中提及，资金将主要用于加强公司在遗传性眼病基因诊断领域的研发能力，并进一步拓展临床应用服务。

在临床数据方面，2024年4月发表于《Signal Transduction and Targeted Therapy》的研究共入组12例受试者，接受单眼单次ZVS101e视网膜下注射。主要终点为药物安全性，次要终点为有效性。随访结果显示：最佳矫正视力（BCVA）平均提高9.0和11.0个字母，80%的受试者BCVA较基线提升，其中40%的受试者提高≥15个字母；微视野、视觉功能问卷等其他有效性指标亦显示改善趋势。截至2025年前后的公开表述，ZVS101e已完成3项临床试验，共计入组29例受试者，被称为截至当时样本量最大、观察时间最长的BCD基因治疗产品。

四、适应症与疾病背景

结晶样视网膜变性（BCD，Bietti Crystalline Dystrophy / Bietti Crystalline Corneoretinal Dystrophy）是一种常染色体隐性遗传的罕见退行性视网膜疾病，致病根源为CYP4V2基因双等位基因突变，导致其编码的脂肪酸代谢相关蛋白酶功能缺失。

流行病学特点方面，该病在欧美人群中发病率极低，而在中国、日本等东亚人群中相对高发。公开资料给出的国内患病率约为1/24000，对应患者规模约6万至14万人。

临床表现方面，患者多在20至40岁的青壮年时期发病，早期表现为夜盲、畏光、视力进行性下降与视野缩窄；眼底检查可见特征性的黄白色闪光结晶样物质沉积于视网膜。随病程进展，视网膜色素上皮（RPE）与脉络膜毛细血管持续萎缩，感光细胞发生不可逆凋亡，绝大多数患者在40岁左右进展为双眼失明。由于发病年龄集中在劳动年龄段，该病被视为我国工作年龄人群不可逆双眼盲的重要罕见病病因之一。

治疗现状方面，自疾病被发现至今，全球范围内尚无获批的有效治疗药物，临床仅能通过营养补充、视力矫正等方式缓解症状，无法阻断或逆转病变进程，属于高度未满足临床需求的领域。

从疾病机制看，BCD由单基因功能缺陷直接导致，病变部位局限于眼底视网膜，被认为是基因替代治疗的理想适应症——通过补充正常的功能基因，即可从根源修复代谢异常，阻断疾病进展。ZVS101e的一个技术主张是覆盖所有携带CYP4V2双等位基因突变的BCD患者，即不受具体突变位点类型限制的全人群适用性。

更广义的遗传性视网膜变性（IRDs）涵盖视网膜色素变性、Leber先天性黑矇、Stargardt病、无脉络膜症等数十种疾病，涉及致病基因超过280个。公开资料称国内IRDs患者规模在数十万级，BCD为其中一个明确亚群。

五、竞争格局

眼科基因治疗是基因治疗领域商业化推进最快的方向之一。全球范围内，Spark Therapeutics（现属罗氏）的Luxturna（voretigene neparvovec，针对RPE65双等位基因突变导致的视网膜营养不良）于2017年获FDA批准，是首个获批的体内基因治疗产品，为该领域提供了监管与商业化路径的先例。此外，MeiraGTX、Beacon Therapeutics、Atsena Therapeutics、4D Molecular Therapeutics等公司在IRDs与湿性AMD等方向布局。

国内方面，纽福斯生物、天泽云泰、朗信生物、信念医药、锦蓝基因、辉大基因等企业在眼科或神经系统AAV基因治疗方向推进管线。内部研究资料明确提及天泽云泰的VGR-R01为BCD适应症的直接对标产品，并记录了中因科技在FDA国际多中心III期与RMAT认定上率先取得进展的相对位置。

从竞争维度看，眼科基因治疗的关键要素包括：适应症选择与患者可及性（罕见病诊断率决定实际可治疗人群）、载体血清型与转导效率、给药术式的安全性（视网膜下注射对手术技术要求较高）、疗效终点的设计与监管接受度、AAV生产工艺与产能（CMC是行业共性瓶颈）、以及定价与支付路径。

产业配套方面，内部资料引用的市场数据称，眼科AAV国内CDMO市场2025年预计约12亿元，年增速约40%。该数据来源与测算口径未在公开渠道充分披露，本文仅作转述。

六、团队与平台

中因科技的团队结构体现“临床科学家 + 产业化管理”的组合特征。

科学创始人 / 核心科学顾问方面，杨丽萍为北京大学第三医院眼科研究员、博士生导师，长期深耕遗传性眼病的临床和基础研究，主持4项国家自然科学基金项目等多项科研课题，发表SCI论文20余篇，在眼科基因相关技术研发方面具备积累。ZVS101e即源自其课题组与公司的合作开发。

管理团队方面，第三方数据平台记录的核心创始人包括王浩，其背景为连续创业者、前阿里巴巴天猫创始团队成员，曾任美丽说高级副总裁，在平台运营与商业化方面有经验。工商登记的法定代表人为钟显成。团队被描述为具备“互联网运营经验 + 眼科科研专业能力”的互补结构。其他核心成员的公开信息有限。

公司公开表述称，核心团队从事基因治疗研究多年，在基础研究、临床工作、AAV生产和药物申报等领域具备技术和经验积累，致力于为遗传性眼病患者提供精准基因检测、生育预防和基因治疗的全程“一站式”服务。

平台层面，公司建立了遗传性眼病临床基因诊断平台与AAV载体平台。投资方在公开表述中提及，中因科技拥有眼科基因治疗的完整研发平台及丰富的基因药物管线，AAV载体平台处于国内领先水平；其基因治疗位点的选择基于已建立的数千个家系中的高频位点，具有临床应用价值与数据壁垒。公司注册地位于中关村生命科技园，并已建立完整的药物开发体系。

七、融资与资本

根据公开的融资记录，中因科技累计融资金额约1.80亿元，融资次数10次（该统计截至2025年7月C轮，后续轮次未计入）。主要轮次如下：

2018年11月19日，种子轮，金额未披露，投资方为海创园金种子基金。

2019年3月6日，天使轮，1000万元人民币，投资方包括同创伟业、普华资本、奇伦创投、首都科技发展有限公司。

2020年12月28日，股权融资，金额未披露，投资方包括隆门资本、荷塘创投、苇渡投资。

2021年3月23日，Pre-A轮，7000万元人民币，投资方为荷塘创投领投，隆门资本、苇渡资本等跟投。该轮资金主要用于ZVS101e产品线GMP级病毒生产、药理毒理和临床试验的开展，以及第二梯队产品线ZVS203e、ZVS204e、ZVS105e、ZVS106e等项目的推进。

2021年6月21日，Pre-A+轮，金额未披露，投资方包括荷塘创投、苇渡资本、隆门资本。

2022年3月30日，A轮，亿级人民币，投资方包括龙磐投资、盈科资本、华医资本、隽赐投资。

2022年10月9日，A+轮，金额未披露，投资方为海容资本。

2023年9月29日，B轮，金额未披露，由昆仑资本领投，金浦投资等共同参与。该轮资金用于推进药物管线的临床和产业化进程。

2024年6月16日，B+轮，金额未披露，投资方为北京市医药健康产业投资基金。

2025年7月30日，C轮，金额未披露，投资方为中关村发展启航产业投资基金、龙磐投资。这与内部资料中“中关村资本 / 2025年投资”的记录相印证。

2025年9月16日，宣布完成由龙磐投资支持的B+轮融资（该轮次命名与前述C轮的时间序列存在口径差异，可能为不同数据源对轮次的不同标注）。

此外，公开报道显示，2026年5月，希玛医疗（港股上市的眼科医疗服务机构）拟以约1.1亿元领投中因科技B轮融资，持股10.23%成为其第二大股东。该轮次命名同样与前述记录存在差异，具体以双方正式公告为准。

综合来看，中因科技的股东结构涵盖财务型VC（同创伟业、普华资本、荷塘创投、隆门资本、龙磐投资、盈科资本、华医资本、昆仑资本、金浦投资、海容资本等）、国资与政府引导基金（首都科技发展集团、北京市医药健康产业投资基金、中关村发展启航产业投资基金）以及产业方（希玛医疗）三类。各轮具体金额与投前投后估值多数未公开披露。

八、发展展望

从公开信息看，中因科技当前处于核心产品由临床向注册申报过渡的关键阶段。可跟踪的公开节点包括：

ZVS101e的注册审评进展。产品已于2026年8月被CDE公示拟纳入优先审评程序，后续的正式纳入、技术审评、现场核查与最终获批时点，是最直接的里程碑。若获批，将填补全球BCD治疗领域的空白。

国际多中心III期的推进。公司已与FDA就国际多中心III期临床试验方案达成一致，计划在美国、日本、欧盟及亚太地区同步开展。海外临床的入组进度、各地区监管沟通情况与后续注册路径，决定其全球化布局的实现程度。

第二产品ZVS203e的临床推进。作为基因编辑类产品，其I/II期临床数据的读出，将检验公司在基因替代之外的技术延展能力。

商业化能力建设。基因治疗产品的商业化涉及患者识别（依赖基因诊断网络）、给药中心建设（视网膜下注射需具备资质的术者与手术室）、定价与支付方案设计（罕见病高值药物的可及性问题）等环节。公司“诊断+治疗”的一体化模式在患者发现端具备设计上的关联性，实际转化效果需观察。

产能与CMC。AAV的规模化生产、质量控制与成本下降，是行业共性课题。公司GMP级病毒生产能力的建设进度与是否采用自建或外包（CDMO）模式，公开信息披露有限。

需说明的是，本文所引用的临床数据来自公开发表论文与企业公告，具体以正式发表文献与监管公示为准；公司融资轮次在不同信源间存在命名与时间口径差异；公司收入、成本、产能等经营数据在公开渠道未见披露，标注为未公开披露 / 待确认。

信息来源：北京市科学技术委员会 / 中关村科技园区管理委员会网站转载《中因科技ZVS101e注射液获美国食品和药品监督管理局再生医学先进疗法资格认定》（2024年7月）、中国医药创新促进会网站（phirda.com）《全球首款BCD基因疗法 ZVS101e 拟纳入CDE优先审评

》、药融云（pharnexcloud）北京中因科技有限公司企业页及《企业资讯 | 中因科技ZVS101e注射液正式进入国际多中心3期临床试验阶段》、动脉网（vbdata.cn）《中因科技重组AAV基因疗法获FDA再生医学先进疗法（RMAT）资格认定》、《Signal Transduction and Targeted Therapy》2024年4月刊载的BCD基因治疗临床试验论文相关报道、中关村生命科学园（zgcatch.com）《前沿企业中因科技完成7000万元Pre-A轮融资》、清科·投资界（vc.pedaily.cn）中因科技企业页、新浪财经《北京有这些企业获得融资（9.15-9.21）》、制药网关于希玛医疗领投中因科技融资的报道、中关村发展集团《深耕科技服务 激活发展动能（一）》，以及本项目内部“国资/产业基金医疗布局研究”详情页公开信息摘录（更新日期2026-07-30）。