

健达九州 项目介绍

一、公司概况

健达九州（北京）生物科技有限公司（简称“健达九州”）成立于 2022 年 3 月，是一家专注于中枢神经系统疾病与眼科疾病基因治疗解决方案的源头创新型生物医药企业。公司由北京脑科学与类脑研究所所长、神经生物学领域知名科学家罗敏敏教授创立，总部位于北京中关村生命科学园，并入驻中关村（昌平）脑科学与脑机接口产业园。公司围绕重大脑疾病、眼科疾病及脑肿瘤等方向，依托神经科学、基因工程、病毒载体递送、功能性蛋白筛选和疾病模型评价等技术平台，持续开发具有自主知识产权的创新药物。

在国资/产业基金医疗布局的研究口径中，健达九州被归入创新药细分赛道，中关村资本被记录为其天使轮领投方，投资时间约为 2023 年（公司成立当年），投资金额未透露；当前阶段记录为获批临床（GA001/GA002 获 CDE 默示许可），总部城市为北京。需要说明的是，公开报道对公司成立时间的表述存在 2022 年 3 月与“成立当年获天使轮”两种口径，工商登记与投资记录的具体对应关系以官方披露为准。

二、核心科学与技术

健达九州的技术基础是重组腺相关病毒（rAAV）递送系统与神经调控技术的结合。rAAV 是当前基因治疗领域应用最广泛的体内递送载体之一，具有免疫原性相对较低、可长期表达、可通过不同血清型实现组织趋向性等特点，在眼科（如视网膜下腔注射）与中枢神经系统（如脑内定向注射）局部给药场景中具有天然优势，因为这些部位相对免疫豁免且给药剂量需求较低。

公司的差异化在于所递送的功能性蛋白。其技术路线可归纳为两条：

其一是化学遗传学（chemogenetics）调控技术。化学遗传学通过在特定神经元中表达人工设计的受体（如 DREADDs，即仅由设计药物激活的设计受体），再由外源性小分子配体特异性激活或抑制该受体，从而实现对目标神经元活动的可控调节。这一技术的优势在于“可开可关、剂量可调”，相较不可逆的手术损毁或全身给药的药物治疗，具有更高的时空精准性。健达九州将该技术应用于难治性癫痫，通过 rAAV 将人工设计的抑制性 G 蛋白偶联受体递送至癫痫病灶区的目标神经元，再通过配套小分子配体实现对异常兴奋神经元活性的选择性抑制。

其二是光遗传学与光敏蛋白技术。公司自主发现了新型高灵敏度光敏蛋白，并通过 rAAV 定向转导至视网膜神经节细胞，使原本不具感光功能的细胞获得光感受能力，从而在感光细胞已经变性丢失的患者中实现视觉功能的部分重建。这一策略的意义在于其不依赖特定致病基因，因而理论上可覆盖多种基因型的遗传性视网膜变性患者。

公司已建立 rAAV 载体平台、功能性蛋白筛选平台、神经系统疾病模型开发和药物评价平台，形成多条具有差异化的基因治疗管线，覆盖从原创发现、药物设计、临床前验证到临床转化的全链条。

三、主要产品与管线

GA001

注射液是公司进展最快的管线，目标适应症为遗传性致盲眼病视网膜色素变性（RP）。GA001 基于公司自主发现的新型高灵敏度光敏蛋白，通过定向转导至视网膜神经节细胞实现视觉功能重建。公开信息记录的里程碑包括：2025 年 3 月获得美国 FDA 孤儿药资格认定（ODD）；2025 年 10 月 24 日获美国 FDA 授予快速通道资格（Fast Track Designation），用于治疗由视网膜色素变性导致的晚期盲症；公开报道称 GA001 已获美国 FDA 临床 II 期许可及中国 CDE 临床 I 期许可，并于 2026 年 7 月正式启动注册临床试验。受试者数据方面，公开报道称 GA001 展现出安全性与有效性特征，多名极低视力受试者治疗后视功能恢复至可辨识多行视力表。该项目入选

2025 年中关村论坛十项重大科技成果。

GA002 注射液针对病灶明确、现有药物难以控制的局灶性难治性癫痫。公开信息显示，2026 年 6 月前后，GA002 注射液作为 1 类创新药正式获得国家药监局药品审评中心（CDE）临床试验默示许可，被公开报道描述为全球首款基于化学遗传学的基因治疗药物进入注册临床阶段。前期研究者发起临床（II T）数据初步显示该疗法可有效控制癫痫发作。公开报道称 GA002 为全球首个进入人体验证阶段的难治性局灶性癫痫精准疗法，并已于 2026 年 7 月正式启动注册临床试验。

GA008 为针对难治性中枢神经痛的精准疗法。此外，公司研发管线还覆盖抑郁症、神经退行性疾病与恶性脑瘤等方向，后备管线向帕金森病、重度抑郁症、药物成瘾、恶性脑瘤等领域延伸。GA001、GA002 等核心管线均已在首都医科大学宣武医院、天坛医院等机构开展探索性临床。各管线的详细设计、入组规模与数据读出时间未公开披露完整信息。

四、适应症与疾病背景

视网膜色素变性是一组以感光细胞进行性变性为特征的遗传性视网膜疾病，具有高度的遗传异质性，已知致病基因超过百个，患者通常自夜盲起病，逐步出现视野缩窄，最终可发展为失明。目前全球仅有针对 RPE65 双等位基因突变的基因替代疗法获批，覆盖患者比例有限。对于感光细胞已大量丢失的晚期患者，基因替代策略不再适用，而通过光遗传学手段赋予下游视网膜神经节细胞或双极细胞感光能力，成为一种不依赖致病基因型的通用性策略。

难治性癫痫是指经过两种及以上规范使用的抗癫痫药物治疗后仍无法控制发作的癫痫，约占癫痫患者的三分之一。对于病灶明确的局灶性难治性癫痫，外科切除或热凝毁损是重要选择，但适用条件严格，且存在不可逆损伤功能区风险。化学遗传学基因治疗试图在不进行组织破坏的前提下实现“病灶定位、细胞靶向、功能可控”的抑制，理论上可覆盖药物难治且手术损毁不能覆盖的患者群体，并在控制发作的同时减少非靶组织影响与认知功能损伤风险。

五、竞争格局

眼科基因治疗领域的国际参与者包括 Spark Therapeutics（Luxturna，已被罗氏收购）、Nanoscope Therapeutics 与 GenSight Biologics（光遗传学方向）、Beacon Therapeutics、MeiraGTx 等；国内则有纽福斯、中因科技、朗信生物、辉大基因等企业布局遗传性眼病基因治疗。中枢神经系统基因治疗方面，国际上有 uniQure、Voyager Therapeutics、Encoded Therapeutics 等公司推进；针对癫痫的基因治疗方向，Encoded Therapeutics（Dravet 综合征）、CODA Biotherapeutics 等在探索不同技术路径。健达九州在化学遗传学用于癫痫治疗方向的进度，被公开材料描述为全球首个进入人体验证阶段；在光敏蛋白视觉重建方向，与国际上的光遗传学疗法形成并行探索格局。竞争要素包括蛋白工程性能（灵敏度、动力学、免疫原性）、载体与递送方案、临床终点设计与监管路径，以及生产工艺与成本。

六、团队与平台

健达九州由北京脑科学与类脑研究所所长罗敏敏教授创立。罗敏敏在神经环路与神经调控领域具有长期研究积累，同时也是脑机接口企业芯智达的发起人之一。公司研发团队长期深耕脑科学基础研究与转化医学。公开报道中提及的公司管理层还包括副总经理于涛，其在公开采访中介绍了公司在昌平区产业园的入驻情况与国际化考虑。

平台方面，公司已建立 rAAV 载体平台、功能性蛋白筛选平台、神经系统疾病模型开发和药物评价平台。临床合作方面，公司与首都医科大学宣武医院、北京天坛医院等神经领域三甲医院开展探索性临床研究。产业协同方面，公开报道提及健达九州与同在昌平的脑机接口企业芯智达存在深入合作，两家公司技术路线不同、形成互补：芯智达以电子工程、软件工程路径解决脑疾病问题，健达九州以生物工程

、生物技术应对神经系统及脑疾病需求，双方在基础研发端相互支撑。

七、融资与资本

公开信息显示，健达九州在成立当年即获得中关村发展集团旗下中关村资本领投的天使轮融资，昌发展基金等机构亦为早期投资方。2024 年 6 月，公司获得由北京市医药基金领投的融资。2026 年 7 月 30 日，公司宣布完成数亿元人民币 A 轮融资，本轮由太平医疗健康基金领投，高榕创投、达晨财智、中信资本、博拓生物脑机基金等多家机构跟投。本轮资金将重点用于推进多条核心管线的临床验证，加速后备管线研发及中美双报进程，并进一步强化公司在化学遗传学、光遗传学等前沿脑科学技术领域的平台能力。

在国资/产业基金医疗布局的研究口径中，中关村资本被记录为天使轮领投方，投资时间约为 2023 年，投资金额未透露。中关村发展集团在公开表述中说明，其在天使轮投资后积极协助企业链接产业资源，为初创期研发与运营提供支持。各轮次的具体金额、估值与股权结构未公开披露。

八、发展展望

从公开信息看，健达九州后续的工作重心包括：一是推进 GA001 与 GA002 的注册临床试验，两条管线均已于 2026 年 7 月启动注册临床；二是加速中美双报进程，利用已获得的 FDA 孤儿药资格与快速通道资格推进国际化开发；三是推进 GA008 等后备管线，并向帕金森病、重度抑郁症、药物成瘾、恶性肿瘤等未满足需求突出的领域延伸；四是持续强化化学遗传学、光遗传学等平台能力，将基础研究成果转化为可临床应用的治疗方案。公司创始人罗敏敏在公开表述中提到，将继续坚持源头创新，推动基础研究与临床转化深度融合。行业层面，中枢神经与眼科基因治疗的产业化仍需在长期安全性随访、生产放大与工艺一致性、以及高值疗法的支付路径等方面持续探索。上述规划的具体时间表与量化目标，公开信息中未作完整披露。

信息来源：新浪财经转载中关村发展集团《中关村发展集团投资企业创新药获批临床，癫痫治疗有望迎来新选择》（2026 年 6 月 4

日）、《中关村发展集团投资企业健达九州GA001注射液获FDA快速通道资格认定》（2025 年 10 月 29 日）；中关村（昌平）脑科学与脑机接口产业园《脑科学与脑机接口产业园入驻企业健达九州核心管线GA002注射液获CDE临床许可》；北京日报《京企创新药加速跑，健达九州完成数亿元A轮融资》（2026 年 7 月 30 日，记者魏婧）；中国证券报《聚焦前沿赛道 北京打造全球脑机接口创新与产业高地》（2026 年 5 月 20 日）；制药网行业动态（2026 年 8 月）。以上信息均来自公开检索，未公开披露的数据在文中已注明“未公开披露/待确认”。