

# 天泽云泰生物 项目介绍

## 一、公司概况

天泽云泰生物，主体为上海天泽云泰生物医药股份有限公司（英文标识 VitalGen），成立于2020年3月31日，注册于中国（上海）自由贸易试验区，办公与研发主体位于上海浦东张江。公司注册资本1.8亿元人民币，是一家创新药品与新技术协同发展的先进治疗药品（ATMP）研发公司。根据国家统计局《国民经济行业分类》，公司所属行业为“医药制造业”中的“生物药品制造”（代码C2761）。

公司聚焦于无药可治或现有治疗手段无法满足需求的遗传性疾病和退行性疾病，致力于将前沿的基因递送与基因编辑技术转化为“一次干预即可治愈或长期缓解”的基因与细胞疗法（Cell and Gene Therapy, CGT）。在研产品管线覆盖神经系统、眼科、代谢及血液系统疾病等多个领域，并形成了涵盖设计、递送、编辑、再生及生产的完整创新技术体系。

在资本市场层面，公司科创板IPO申请于2026年6月17日获上海证券交易所受理，保荐机构为国泰海通证券股份有限公司。根据公开的招股文件，公司本次拟公开发行6000万股，占发行后总股本比例25%，拟募集资金约25.03亿元，其中16.67亿元用于新药研发项目、1.5亿元用于技术平台开发项目、2.75亿元用于总部及研发中心建设、2.61亿元用于商业化生产基地改扩建项目、1.5亿元用于补充流动资金；媒体测算其投后估值约43亿元。

财务方面，招股书披露，2023年度至2025年度公司分别实现营业收入0元、325.63万元、2167.63万元，归属于母公司股东的净利润分别为-2.74亿元、-2.23亿元、-2.17亿元。截至2025年末，公司尚无产品获批上市，营业收入主要来自技术授权及技术服务。

## 二、核心科学与技术

天泽云泰在技术层面建立了自主可控的递送与编辑底层平台，公开披露的三大平台如下。

**ViVec® AAV病毒载体递送平台。**该平台可自主开发新型血清型的重组腺相关病毒（rAAV）载体，围绕组织趋向性、免疫原性与转导效率进行改造与筛选，并支持AAV基因治疗产品的规模化生产。AAV是目前体内基因治疗最主流的递送载体，其血清型选择与工艺放大能力在很大程度上决定了产品的疗效边界与商业化可行性，因此该平台是公司现阶段核心管线的直接技术支撑。

**ViLNP® 脂质纳米粒递送平台。**LNP是核酸类药物（mRNA、siRNA、基因编辑组件）的主流非病毒递送手段，具有可重复给药、载量大、生产相对可放大的特点。公司以该平台拓展AAV之外的递送场景，并已开始对外技术授权。

**ViCas® 精准基因编辑平台（AaCas12bMax系统）。**据公开报道，AaCas12bMax系统是继Cas9、Cas12a之后第三类真正意义上的哺乳动物CRISPR基因编辑系统，由公司科学创始人李伟团队在国际上最早报道。该系统在知识产权自主性与递送适配性上具有潜在优势，是公司在“编辑”环节区别于同类企业的核心资产之一。

在商业模式上，公司实行“两条腿走路”：一方面推进自研管线冲刺临床与上市，另一方面以“首付款+里程碑+销售分成”的方式对外进行技术授权。截至2025年底，公司LNP、rAAV和AaCas12bMax技术对外授权已累计实现超2000万元收入，客户包括沙砾生物、艺妙神州等企业，公司预计2026年相关收入还将大幅提高。这一模式使公司在核心产品获批前即形成了一定的技术变现能力。

## 三、主要产品与管线

天泽云泰已有多款主要在研产品管线，公司表述其临床阶段产品研发进度均为全球首位或前三。

VGR-R01是公司进展最快的产品之一，为以rAAV为载体的基因治疗药物，用于治疗结晶样视网膜变性（Bietti Crystalline Dystrophy, BCD）。该产品于2022年11月获得NMPA临床试验默示许可；2024年8月被纳入CDE突破性治疗品种名单，并被纳入CDE“关爱计划”（以患者为中心的罕见疾病药物研发试点工作计

划) 试点; 2025年3月关键性III期临床完成全部患者入组; 此外获得美国FDA孤儿药资格认定及欧洲药品管理局(EMA) 优先药物认定(PRIME)。该产品是全球首个推进至注册阶段的BCD基因疗法, 公司预计其即将提交上市申请, 2027年在中国获批上市, 有望成为全球首个获批的BCD治疗药物。

VGN-R09b是一款双适应症基因治疗产品, 同样以rAAV为载体, 通过纹状体内局部注射给药。第一个适应症为芳香族L-氨基酸脱羧酶(AADC) 缺乏症。该产品的首个临床研究“VGN-R09b在AADC缺乏症患者中纹状体内注射用药的耐受性、安全性和有效性的开放、剂量递增的早期临床研究”于2023年1月30日在上海交通大学医学院附属上海儿童医学中心启动, 由该中心神经内科主任王纪文担任主要研究者, 这也是该中心首个作为牵头单位开展的基因治疗产品临床试验。该适应症的III期临床试验已于2025年7月完成入组, 被CDE纳入突破性治疗品种, 并获得美国FDA罕见儿科疾病认定及孤儿药资格认定。第二个适应症为原发性帕金森病, 公司称其为全球首个中美同步获批IND的双靶点基因治疗产品, I/II期临床已完成入组, 2025年6月获得美国FDA授予的快速通道资格认定(FTD), 预计2026年下半年启动国内III期临床试验及美国临床试验, 2029年有望在国内获批上市。公司预计VGN-R09b(AADC缺乏症适应症) 即将提交上市申请, 2027年在中国获批。

VGN-R08b针对神经病变型戈谢病及GBA1突变型帕金森病, 已在中国启动临床试验并在美国获批IND, 并已获得FDA快速通道及孤儿药等多项资格认定, 目前处于I/II期临床阶段。

VGM-R02b针对罕见病戊二酸血症I型, 正在开展I/II期临床试验。

监管资格方面, 公司在研产品共获得中国、美国、欧洲14项监管促进资格认定, 包括2项CDE突破性治疗品种认定、3项FDA快速通道资格、4项FDA孤儿药资格认定、3项FDA罕见儿科疾病认定及1项EMA优先药物认定。此外, 公司管线还涉及代谢及血液系统疾病等方向, 具体分子与开发阶段未公开披露/待确认。

#### 四、适应症与疾病背景

结晶样视网膜变性(BCD) 是一种由CYP4V2基因致病性突变引起的常染色体隐性遗传性视网膜变性疾病, 典型表现为视网膜及角膜缘出现黄白色结晶样沉积, 伴随进行性视网膜色素上皮萎缩、脉络膜毛细血管丢失, 患者通常在成年早期出现夜盲、视野缩窄与视力下降, 最终可致盲。该病在东亚人群中相对高发, 是我国较为常见的遗传性视网膜疾病之一, 目前全球范围内尚无获批的治疗药物, 临床以低视力康复与支持治疗为主。视网膜属于免疫豁免器官、体积小、可局部给药并可通过影像学及视功能检查客观评估, 因此被视为AAV基因治疗较为理想的靶器官。

AADC缺乏症是由编码芳香族L-氨基酸脱羧酶的DDC基因致病性突变导致的罕见遗传代谢病。AADC负责将L-DOPA(左旋多巴) 和5-HTP(5-羟色胺) 分别转化为神经递质多巴胺和5-羟色胺, 酶活性缺失会影响控制交感神经系统、情绪、认知和运动协调的关键神经递质合成, 患儿表现为运动功能障碍、智力障碍、警觉性减弱及睡眠障碍等, 并在生命的前十年内存在过早死亡风险。据公开信息, 中国尚无正式的流行病学研究, 台湾地区开展的一项新生儿AADC缺乏症筛查项目发现其出生发病率约为1/32,000。VGN-R09b通过局部纹状体注射递送有功能的AADC基因, 恢复多巴胺生成, 同时减少全身给药剂量与相应免疫反应等不良反应; 理论上基因治疗只需注射一次即可产生长期疗效。

原发性帕金森病是常见的神经退行性疾病, 现有药物以左旋多巴替代治疗为主, 长期使用后普遍出现疗效波动与运动并发症。基因治疗通过在纹状体内递送多巴胺合成相关酶基因以恢复局部多巴胺合成能力, 是该领域探索多年的路径之一。

神经病变型戈谢病与GBA1突变型帕金森病共享GBA1基因这一遗传学基础, 前者属于溶酶体贮积病中预后最差的亚型, 现有酶替代疗法难以透过血脑屏障、对神经系统受累无效。戊二酸血症I型是有机酸血症的一种, 患儿可因急性代谢危象出现不可逆的基底节损伤, 现有管理以饮食控制与急性期干预为主。上述适应症均属于典型的“无药可治或现有治疗手段无法满足”的领域, 与公司的战略定位一致。

## 五、竞争格局

在AAV基因治疗这一赛道，全球已有若干获批产品建立了监管与商业化范式，眼科方向的代表是Spark Therapeutics（罗氏）用于RPE65双等位基因突变视网膜病变的Luxturna；AADC缺乏症方向的代表是PTC Therapeutics的eladocogene exuparvovec（欧盟商品名Upstaza，美国商品名Kebilidi），该产品已在欧盟与美国获批，是全球首个获批的脑内直接给药基因治疗产品。上述产品的存在，一方面验证了AAV基因治疗在单基因遗传病上的成药性，另一方面也意味着后续者需要在适应症选择、区域可及性与给药方案上形成差异。天泽云泰的VGN-R09b在AADC缺乏症上的定位是在中国率先满足本土患者需求，并同步拓展至原发性帕金森病这一更大的适应症人群。

国内方面，基因治疗企业阵容包括纽福斯（NR082等，聚焦Leber遗传性视神经病变）、信念医药（血友病等）、锦篮基因、至善唯新、辉大基因、朗信生物、嘉因生物、本导基因、天泽云泰等，各自在适应症布局、载体平台与生产工艺上形成不同侧重。眼科基因治疗因给药便利与终点客观，成为国内多家企业共同聚焦的方向；而中枢神经系统的脑内给药基因治疗，则对递送、手术操作与长期随访提出更高要求，参与者相对较少。

天泽云泰的相对差异化体现在：其一，管线的“稀缺适应症+全球首位”定位，BCD与AADC缺乏症在全球范围内竞争者有限，公司在这两个方向上均处于注册阶段的领先地位；其二，技术体系的完整性，公司同时具备AAV、LNP与自主CRISPR系统（AaCas12bMax）三条技术线，覆盖病毒与非病毒递送以及基因编辑，理论上支撑更宽的适应症拓展空间；其三，技术授权带来的早期现金流与生态位，公司通过对外授权与沙砾生物、艺妙神州等企业建立合作，使底层技术在自研管线之外形成第二种价值兑现方式。

同时应当看到，基因治疗行业整体面临的共性挑战包括：AAV预存抗体导致的患者筛选限制、单次给药后长期疗效持久性的验证、大规模GMP生产的成本与产能、罕见病适应症的患者招募与商业化定价支付机制等。公司在招股书中亦披露了持续亏损的经营状况，反映出该行业前期投入大、回报周期长的普遍特征。

## 六、团队与平台

公司董事长赵小平拥有军事医学科学院药理学博士学位，深耕非临床与转化医学超过15年，曾在恒瑞医药、保诺科技任职，并执掌上海益诺思海门公司，具备药物非临床评价与研发管理的复合背景。科学创始人李伟在基因治疗与基因编辑领域有深厚的技术沉淀，其团队在国际上最早报道了AaCas12bMax系统，是公司ViCas®平台的技术源头。公司其他高管构成、研发人员数量及股权激励安排以招股书披露为准，本文未逐项引用。

平台设施方面，公司位于上海浦东张江，已建立涵盖设计、递送、编辑、再生及生产的完整创新技术体系，并规划以IPO募集资金推进总部及研发中心建设与商业化生产基地改扩建，其中商业化生产基地改扩建项目拟投入2.61亿元，指向AAV规模化生产能力的补强。

## 七、融资与资本

天泽云泰成立六年间完成多轮融资，投资方阵容包括IDG资本、高瓴创投、正心谷、招商局系、上海科创基金等知名机构。就本 briefing 关注的国资 / 产业基金视角而言，招商局集团体系通过招商健康于2023年3月参与公司B轮融资，具体投资金额未披露；此外，公司亦被杏泽资本等医疗产业基金参投。各轮次的具体融资金额、估值与股权比例以招股书披露为准，本文未逐项引用。

在资本市场路径上，公司选择科创板作为上市地，IPO申请于2026年6月17日获上交所受理，与同期受理或在审的信诺维、海和药物、燧原科技等企业同处科创板受理与问询流程之中。公司本次募资投向以新药研发为主（16.67亿元，占比约三分之二），体现出资金主要用于核心管线的临床推进与上市前准备。

## 八、发展展望

天泽云泰当前处于“两款核心产品冲刺上市申请、技术平台对外授权初步兑现、资本市场路径开启”的三线并进阶段。后续可关注的方向主要包括：

产品端，VGR-R01与VGN-R09b的上市申请提交时点、审评进度以及III期完整数据的公开发布，是决定公司能否在2027年前后实现从研发型企业向商业化企业转型的关键；VGN-R09b在原发性帕金森病适应症上国内III期与美国临床的启动情况，关系到公司能否将罕见病产品拓展至更大人群。

技术端，ViLNP®与ViCas®平台能否产出自研的临床阶段管线，而不仅停留在对外授权层面，将影响公司技术体系的完整价值兑现；AaCas12bMax系统的知识产权稳固性与国际认可度亦值得持续跟踪。

生产与商业化端，AAV商业化生产基地的改扩建进度、产能与成本控制，以及罕见病产品在国外的准入、定价与支付路径（包括是否纳入医保、罕见病用药保障机制或商业保险），是产品获批后能否放量的现实约束。

国际化端，公司已在美国、欧洲获得多项监管促进资格，其海外临床开发、注册申报与合作模式（自主推进或对外授权）尚待进一步披露。

信息来源：天泽云泰官网（[www.vitalgen.com](http://www.vitalgen.com)）新闻页《天泽云泰自主研发的VGN-R09b注射液治疗AADC缺乏症的早期临床研究顺利启动》；《科创板日报》《8家企业现新进展：天泽云泰获受理 信诺维上会在即 | 科创板IPO周报》（2026年6月21日）；医药魔方 / 药融云（[pharmexcloud.com](http://pharmexcloud.com)）《IPO获受理，多起融资、BD签约，浦东生物医药企业加速推进临床与全球化布局》《估值43亿、三年亏7亿：天泽云泰科创板IPO获受理》；同壁财经《天泽云泰科创板IPO获受理：两核心管线冲刺2027年上市，拟募资25亿加码基因治疗》（新浪财经转载）；上海证券交易所科创板IPO受理公告及公司招股说明书（申报稿）公开披露信息；briefing 提供的公开信息摘录（更新至2026年7月30日）。