

尧唐生物（YolTech）项目介绍

一、公司概况

尧唐生物（YolTech Therapeutics）的运营主体为上海尧唐生物科技股份有限公司，成立于2021年7月8日，注册地位于中国（上海）自由贸易试验区丹桂路799号，法定代表人、董事长兼总经理为吴宇轩。工商信息显示公司注册资本425.3574万元人民币，实缴资本341.2674万元，企业类型为股份有限公司（港澳台投资、未上市），人员规模50至99人，参保人数约77人，主营方向登记为mRNA药物和基因编辑药物开发。

公司定位为以创新为驱动、专注开发基于mRNA-LNP递送的体内基因编辑药物的生物医药公司，愿景表述为开发具有"一次给药、终身治愈"潜力的药物，企业口号为"一针愈一生"。公司自建了两大核心平台：高通量基因编辑器挖掘与进化平台，以及靶向不同组织器官的非病毒载体LNP（脂质纳米颗粒）递送平台。基于这两个平台，公司开发了具有全球自主知识产权的基因编辑工具YolCas™（新型Cas核酸酶）、碱基编辑器YolBE™以及脂质纳米颗粒递送系统Yol-LNPs™（含肝外递送）。

公司已建成符合中国与美国双报标准的GMP商业化生产基地，为管线的临床试验和后续商业化提供支撑。截至公开报道，公司已成为全球范围内进入临床阶段的体内基因编辑药物管线数量最多的公司之一。知识产权方面，第三方工商数据显示公司拥有专利信息74条、商标信息31条、著作权信息3条。

二、核心科学与技术

基因编辑药物按给药方式可分为体外（ex vivo）与体内（in vivo）两类。体外编辑需将患者细胞取出、在体外完成编辑后回输，工艺复杂、成本高、可及性受限；体内编辑则将编辑工具直接递送至患者体内目标组织，理论上可实现标准化生产与更广泛的可及性，但对递送系统的组织靶向性、编辑效率与脱靶安全性提出更高要求。尧唐生物选择的是体内编辑路径。

公司的技术体系由三块构成：

其一，编辑器。传统CRISPR-Cas9依赖制造DNA双链断裂并借助细胞修复机制实现基因敲除或替换，存在染色体易位、大片段缺失等潜在风险。碱基编辑（Base Editing）通过将脱氨酶与失活或切口酶形式的Cas蛋白融合，实现单个碱基的定点转换而不产生双链断裂，安全性特征与传统编辑不同。尧唐生物自主开发了YolCas系列新型Cas蛋白与YolBE系列碱基编辑器，拥有全球权益。公司创始人团队在该方向有学术产出，例如吴宇轩团队在Nature Communications发表研究，证实通过更广编辑范围的碱基编辑技术有望治疗由 β -globin突变引发的系列遗传性血液病。

其二，递送系统。LNP是目前mRNA药物最成熟的非病毒递送载体，其组分通常包括可电离脂质、辅助磷脂、胆固醇与PEG脂质。可电离脂质的分子设计直接决定包封效率、体内逃逸能力、组织分布与耐受性，是LNP技术的核心壁垒。公司公开披露其自主开发的新型可电离脂质专利已获授权。与病毒载体（如AAV）相比，LNP具有免疫原性相对可控、可重复给药、生产工艺相对成熟等特点。LNP天然易于富集在肝脏，因此肝脏靶向适应症是体内基因编辑最先突破的方向；尧唐生物的差异化重点之一在于Yol-LNPs™的肝外递送能力，试图突破肝脏靶向局限，向代谢、神经、肌肉等组织拓展。

其三，工程化与生产。公司建成符合中美双报标准的GMP生产基地，并规划建设年产万剂规模的体内基因编辑商业化基地。同时，公司表示将升级AI驱动的编辑器进化平台。

三、主要产品与管线

YOLT-201注射液是公司的核心管线，用于治疗转甲状腺素蛋白淀粉样变性（ATTR）。2024年，该产品的临床试验申请获批，成为国内首个获批临床的体内基因编辑药物；同年完成首例受试者给药。公司披露的I/IIa期结果显示，高剂量组血清TTR蛋白下调约90%，低剂量组经二次给药后接近完全清除。第三方研究资料记载YOLT-201已完成I/IIa期所有患者给药，并成为中国首款进入注册临床阶段的基于LNP递送

的体内基因编辑药物。适应症方面公开信息中提及ATTR心肌病（ATTR-CM）。

YOLT-203注射液为公司另一条重点管线，第三方资料显示其适应症涉及原发性高草酸尿症（PH1）等方向，并已获FDA批准在美国进入确证性临床。

YOLT-101为公司首个中美双报项目，已获得美国FDA和中国CDE的新药临床试验（IND）批准，方向为家族性高胆固醇血症（HeFH）等心血管代谢适应症。该产品的中国区权益已授权给国内心血管领域企业深圳信立泰药业，借助后者的临床和商业化体系推进国内开发与落地。公开报道提及信立泰以10亿元量级引进该临床前阶段产品，为国内基因编辑领域较早的重大授权交易之一。

整体管线覆盖方面，公司管线适应症包括：转甲状腺素蛋白淀粉样变性（ATTR）、家族性高胆固醇血症（HeFH）、原发性高草酸尿症（PH1）、 β -地中海贫血/镰刀状细胞贫血（ β -Thalassemia/SCD）等。2025年9月B轮融资时公开表述为4条管线进入临床；2026年C轮融资时公开表述为6条管线进入临床，为全球该领域进入临床阶段管线最多的公司。

四、适应症与疾病背景

转甲状腺素蛋白淀粉样变性是由TTR蛋白错误折叠形成淀粉样纤维沉积于组织器官所致的进行性疾病，可分为遗传型与野生型，主要累及心脏（ATTR-CM）与周围神经（ATTR-PN）。ATTR-CM表现为限制性心肌病与心力衰竭，预后较差。现有治疗策略包括TTR四聚体稳定剂、siRNA与反义寡核苷酸类沉默剂等，多数需长期反复给药。基因编辑通过一次性敲低肝脏TTR基因表达，试图实现单次给药的长期效果。

家族性高胆固醇血症是常染色体显性遗传的脂代谢疾病，由LDLR、APOB或PCSK9等基因突变导致LDL-C显著升高，患者早发动脉粥样硬化性心血管疾病风险高。杂合子型（HeFH）患病率在人群中并不罕见，长期用药依从性是治疗中的现实问题，"一次给药"的基因编辑方案在此类慢性病中具有延展性。

原发性高草酸尿症1型是由AGXT基因突变导致肝脏乙醛酸代谢异常、草酸过量生成的罕见遗传病，可导致肾结石、肾钙质沉着直至终末期肾病。 β -地中海贫血与镰刀状细胞贫血是全球范围内患者基数较大的单基因遗传性血液病，已有体外基因编辑疗法获批上市，体内编辑路径若能实现将显著改善可及性与成本结构。

五、竞争格局

体内基因编辑是近年生物医药领域关注度较高的方向。国际上，Intellia Therapeutics的NTLA-2001（ATTR）与NTLA-2002（遗传性血管性水肿）是该路径的标杆项目；Verve Therapeutics在体内碱基编辑降脂方向布局；Beam Therapeutics在碱基编辑领域拥有核心专利。国内方面，第三方研究资料将尧唐生物与锐正基因并列为"LNP体内基因编辑国内第一梯队"，并认为尧唐在管线数量上领先。

该赛道的核心竞争要素包括：编辑工具的自主知识产权（CRISPR基础专利长期存在归属争议，自主编辑器可降低授权成本与法律不确定性）、递送系统的组织靶向能力（尤其是肝外递送）、临床推进速度与安全性数据、以及GMP生产能力与成本结构。尧唐生物在公开表述中强调的三点差异化为：全球自主知识产权的编辑器与LNP系统、肝外递送能力、以及多管线并行进入临床的执行效率。

政策环境方面，公开评论提到国家卫健委、药监局近年就体内基因治疗持续出台指导性文件，上海、北京等地设立基因编辑相关专项支持，为该领域提供了外部条件。行业整体仍面临长期安全性随访、脱靶评估方法学、生殖细胞影响的伦理边界以及支付方式等共性议题。

六、团队与平台

创始人、董事长兼首席执行官吴宇轩博士为公司核心人物，具有基因编辑与递送技术的学术背景，其团队研究成果发表于Nature Communications等期刊。公司公开表述拥有基因编辑领域的全球一流研发团队。工商信息显示董事包括ZI

JUN WANG、YANG JUN、张红玲、童晓航、廖娇阳，监事为任文丹，财务负责人为姚丽丽。

科学顾问方面，公司于此前宣布正式任命Tony W. Ho博士为科学顾问。

平台方面，公司已建成符合GMP标准的体内基因编辑药物商业化生产基地，符合中美双报标准；B轮融资资金用途之一即为建设年产万剂规模的商业化基地。公司同时表示将升级AI驱动的编辑器进化平台，并拓展肝外靶向递送技术，为代谢、神经、肌肉等疾病储备候选药物。

七、融资与资本

公开可查的融资历程包括：A+轮，完成超亿元人民币融资，用于加速体内基因编辑药物开发；2025年9月，B轮，逾3亿元人民币，由阿斯利康中金医疗产业基金领投，松禾资本、天创资本、芯能创投跟投，老股东险峰淇云、远翼投资、德诚资本追加；2026年（第三方研究资料记为2026年5月），C轮，近5亿元人民币，由正心谷资本领投，上海国投先导、闵金投、德岳投资等机构参与，老股东险峰淇云、远翼投资、天创资本跟投。

B轮融资中，阿斯利康中金医疗产业基金董事总经理陈冰表示，体内基因编辑正从"科学神话"走向"临床现实"，基金将依托阿斯利康全球临床与商业化网络支持公司国际化；中金资本董事长、该基金执行事务合伙人委派代表单俊葆亦对项目作出公开表述。第三方研究资料记载该项目的具体出资方为"阿斯利康中金（被投资企业）"，投资轮次C轮，投资时间2026年5月，投资金额近5亿元，当前阶段为临床推进。

对外授权方面，YOLT-101的中国区权益已授权给深圳信立泰药业，为公司带来合作收入并加速国内开发。

八、发展展望

从公开信息看，公司后续方向包括：推动核心管线进入全球多中心确证性临床阶段，其中YOLT-201在中国推进注册临床、YOLT-203在美国推进确证性临床；加速商业化落地布局，建设年产万剂规模的生产基地；升级AI驱动的编辑器进化平台，拓展肝外靶向递送技术，向代谢、神经、肌肉等疾病领域储备候选药物；借助与信立泰等合作伙伴的协同加快产业化与国际化。创始人公开表述的原则是"坚持原创驱动、临床价值导向"，长期方向是深耕"一次给药、终身治愈"的体内基因编辑新药。具体临床数据读出时间、上市申报节奏、财务表现与资本市场安排等信息未公开披露，待确认。

信息来源：尧唐生物官网（yoltx.com，含网站地图所列新闻与媒体报道条目）；天眼查"上海尧唐生物科技股份有限公司"工商信息页；Readhub《尧唐生物完成近五亿元人民币C轮融资》；商道创投网《尧唐生物·完成逾3亿元B轮融资》（2025-09-14）；蔻德罕见病中心（rare-disease.cn）《尧唐生物完成逾三亿元B轮融资，阿斯利康中金医疗产业基金领投》；国资/产业基金医疗布局研究内部资料摘录（更新于2026-08-05）。