

成都金唯科生物科技有限公司 项目介绍

一、公司概况

成都金唯科生物科技有限公司（英文名 Genevector，以下简称“金唯科生物”）成立于2017年12月22日，注册地为四川省成都市温江区永宁镇八一路北段18号，是一家专注于腺相关病毒（AAV）基因治疗新药研发的生物科技企业。公司官方网站为 www.jwksw.com。

根据公开工商信息，公司统一社会信用代码为 91510115MA6C8D163E，法定代表人为杨阳，注册资本约14666.10万元人民币，实缴资本约14575.73万元（另有口径为14666.1049万元全额实缴），企业类型为其他有限责任公司，登记机关为成都市温江区市场监督管理局。公开数据显示公司参保人数约23人、人员规模小于50人，拥有商标4条、专利6条、行政许可9个。

公司由中国科学院院士魏于全担任董事长，由杨阳研究员担任法定代表人并主导技术与经营。公司业务方向覆盖眼科疾病、神经肌肉疾病、遗传代谢疾病等领域的AAV基因治疗新药研发，公开表述称已建成集AAV基因药物研发、中试制备及质量控制为一体的3000平方米研发生产基地，形成高度整合的AAV基因治疗“技术链”。

在阶段性成果方面，公司公开信息称其制备的AAV基因治疗产品已完成超过100例患者的临床研究（含研究者发起的临床研究，即IIT），并入选福布斯中国投资价值初创企业百强榜。

二、核心科学与技术（或核心业务）

AAV是当前体内基因治疗最主流的递送载体，其产业化面临三个长期存在的技术瓶颈：一是有效剂量偏高带来的安全性风险与成本压力；二是生产工艺产率低、空壳率高、纯化回收率低，导致药物定价高企；三是AAV载体的装载容量上限约为4.7kb，无法容纳大基因。金唯科生物围绕这三个瓶颈公开展示了对应的技术平台。

第一，基因表达序列设计技术平台与衣壳筛选技术平台。公司公开表述称，通过基因表达序列设计提升目的基因的表达量，使管线实现“更低剂量起效”，并举例称针对湿性年龄相关性黄斑变性的JWK001管线起效剂量显著低于国外同类产品；在此基础上开发的新型衣壳筛选平台，用于获得起效剂量更低、组织靶向性更精准的自研衣壳。

第二，两质粒生产工艺平台。传统AAV生产普遍采用三质粒瞬时转染体系。公司公开表述其自主开发的“两质粒生产工艺平台”通过工艺设计提升病毒产率、降低空壳率、提升批次间稳定性，并称综合生产成本约为同行业的二十分之一。种子数据中“降本50倍以上”的表述与企业官网“成本为同行业1/20”的表述存在口径差异，具体量化结论以企业公开披露为准，且此类数据未见独立第三方验证。

第三，双AAV载体递送技术平台。针对DMD（杜氏肌营养不良症）、Stargardt病（眼底黄色斑点症）等大基因相关疾病，公司采用内含肽（intein）介导的蛋白剪接技术，将大基因片段拆分后由两个AAV载体分别递送、在体内实现精准重组，从而突破AAV容量限制。公司称针对Stargardt病的管线采用Split双AAV载体技术，已进入临床研究阶段。

上述技术平台的组合，构成公司从载体设计、衣壳筛选、序列优化到规模化制备与质量控制的一体化能力。

三、主要产品与管线

根据公开资料，金唯科生物的管线布局集中在三个疾病族群：眼科疾病、神经肌肉疾病、遗传代谢疾病。可查证的具体管线包括：

JWK001：适应症为湿性年龄相关性黄斑变性（wAMD）。公司称其起效剂量远低于国外同类产品。具体临床阶段与进展未见系统公开披露。

XLRS（X连锁视网膜劈裂症）管线：公司公开表述称其为国内首个进入注册临床的XLRS基因治疗药物；在研究者发起的临床研究（IIT）中，12例患者随访1年以上，公开表述称100%实现视网膜结构修复与视力提升；该管线即将完成I期临床患者入组并进入II期研究阶段。

DMD（杜氏肌营养不良症）管线：采用“肌肉靶向血清型衣壳+肌肉组织特异性启动子+迷你Dystrophin”的设计组合。公司称临床患者随访1年半以上运动功能显著改善，安全性良好。

Stargardt病管线：采用Split双AAV载体技术突破容量限制，已进入临床研究阶段。

JWK002注射液：公开资料显示其临床试验申请已获国家药品监督管理局药品审评中心受理，具体适应症与受理时间需以官方公示为准。

JWK010注射液：适应症为眼皮肤白化病1型（OCA1型）。根据百度百科条目引述，该产品已于2026年4月完成全球首例患者给药。

需要说明的是，上述疗效相关表述（如“100%实现视网膜结构修复与视力提升”）来源于企业自身发布的宣传材料，样本量小且多为研究者发起研究的阶段性观察，尚未见同行评议论文或注册临床终点数据的公开披露。管线整体的临床试验登记号、入组规模、主要终点设计等信息，公开资料中披露有限，属待确认。

四、适应症与疾病背景（如适用）

X连锁视网膜劈裂症（XLRS）是由RS1基因突变导致的遗传性视网膜疾病，主要影响男性，典型表现为视网膜内层劈裂、黄斑区囊样改变与中心视力下降，目前尚无获批的针对性药物治疗手段，属于典型的未满足临床需求。由于RS1基因较小、视网膜为免疫豁免器官且给药剂量需求相对较低，XLRS是AAV基因治疗的重要适应症之一。

杜氏肌营养不良症（DMD）是由DMD基因突变导致抗肌萎缩蛋白（Dystrophin）缺失引起的X连锁隐性遗传病，发病率约为每3500—5000名男婴中1例，患者通常在儿童期出现进行性肌无力，逐步丧失行走能力，并因呼吸肌与心肌受累而寿命缩短。由于全长Dystrophin基因远超AAV容量上限，业界主流方案是设计截短的“微小Dystrophin”（micro-dystrophin）或采用双AAV拆分递送。

Stargardt病由ABCA4基因突变引起，是最常见的遗传性黄斑变性，典型起病于青少年期，表现为中心视力进行性丧失。ABCA4

编码区约6.8kb，超出单个AAV的装载容量，因此双AAV或其他大容量递送方案是主要技术路径。

眼皮肤白化病1型（OCA1）由TYR基因突变导致酪氨酸酶功能缺失，患者表现为皮肤、毛发与眼部色素缺乏，并伴有中心凹发育不良、眼球震颤与显著视力低下。该适应症全球在研药物极少。

湿性年龄相关性黄斑变性（wAMD）是老年人致盲的主要原因之一，现行标准治疗为抗VEGF药物玻璃体腔注射，需长期反复给药。基因治疗的思路是通过一次性给药使眼内持续表达抗VEGF蛋白，减少注射频次，这一方向在全球范围内竞争较为激烈。

五、竞争格局

全球AAV基因治疗行业近年经历显著波动。公开报道使用“冰火两重天”形容行业现状：一方面，Hemgenix（血友病B）、Elevidys（DMD）等产品获批并定价突破300万美元；另一方面，辉瑞的血友病B基因疗法Beqvez因商业化不及预期而退市，多家跨国药企收缩基因治疗管线。行业的核心矛盾在于高昂的生产成本与有限的患者基数之间的商业化张力。

在国内，AAV基因治疗领域的参与者包括纽福斯生物（眼科，LHON等）、朗信生物（眼科）、信念医药（血友病）、天津云泰（血友病、遗传代谢病）、辉大基因（眼科、耳科）、嘉因生物（神经肌肉）、四叶草/本导基因等。眼科是国内AAV最集中的赛道，主要因为给药剂量低、免疫风险相对可控、疗效终点相对客观。

金唯科生物在竞争中公开强调的差异点集中在两方面：一是成本端的两质粒生产工艺；二是容量端的双AAV拆分递送技术。前者若能在GMP规模下稳定复现，对AAV产品的商业化定价具有实际意义；后者则决定其能否覆盖DMD、Stargardt等大基因适应症。

在国际对标上，DMD领域的主要产品为 Sarepta Therapeutics 的 Elevidys（delandistrogene moxeparvovec），该产品上市后会因安全性事件受到监管关注；Stargardt病领域尚无获批产品；XLRS领域此前有 Applied Genetic Technologies（AGTC）与 Biogen 的临床项目，均未取得确定性成功。

六、团队与平台

董事长魏于全为中国科学院院士（2003年当选），四川大学华西医院教授，生物治疗全国重点实验室（原生物治疗国家重点实验室）主要创建者与学术带头人，长期从事肿瘤生物治疗研究，是国内生物治疗领域的代表性学者之一。

首席执行官兼法定代表人杨阳为研究员，公开资料显示其曾在AAV基因治疗奠基人 James M. Wilson 教授实验室从事博士后研究，主导多项国家重点研发计划项目。企业公开表述称核心成员平均行业经验超过10年，核心管理层来自国内外知名药企、科研机构 and 高校，核心技术团队背景涵盖AAV载体设计、中试生产、质量研究及医学临床等环节。

平台方面，公司建有约3000平方米的研发生产基地，覆盖AAV基因药物研发、中试制备及质量控制。公司公开表述其基因治疗药物研发能力与AAV制备技术处于国内领先水平。团队人员规模按工商参保数据约为23人，与3000平方米基地及多条在研管线的匹配关系，公开资料中未作说明。

在区域生态方面，公司位于成都温江区，紧邻四川大学华西医学中心与成都医学城，与四川大学华西医院在临床资源上具有天然联系。

七、融资与资本

根据私募通（PEdaily）等公开数据平台的记录，金唯科生物累计融资金额约1.20亿元人民币，融资次数4次。最近一轮为2025年1月7日完成的B+轮，金额为“数千万人民币”，当轮涉及机构包括东湖高新、川创投。

种子数据中列示的历史投资方包括：睿景投资（睿景基金）、盈科资本、东湖高新（东湖资本）、小明投资（Ming Capital）、四川绘素、凌越资本、武汉生物技术研究院、光华梧桐、中成博泰、川创投（四川创新发展投资管理）。

天眼查工商信息显示公司“已于2025年完成B+轮，交易金额数千万人民币”。公司目前未上市，注册资本已由股东全额或近乎全额实缴。

各轮融资的估值、具体资金用途与投后股权结构，公开资料中未见披露，属未公开披露信息。

八、发展展望

从公开信息判断，金唯科生物当前处于从IIT研究向注册临床推进的阶段，未来的关键节点集中在几个方面。

一是XLRS管线的注册临床推进。该管线被公司表述为国内首个进入注册临床的XLRS基因治疗药物，若I期完成入组并顺利进入II期，将成为公司管线成熟度的重要标志。

二是DMD与Stargardt病管线对双AAV技术的验证。这两个适应症均依赖公司的拆分递送方案，其体内重组效率、表达水平与安全性数据将决定该技术平台的实际价值。

三是两质粒生产工艺的规模化验证。成本是AAV行业商业化的核心变量，公司公开宣称的成本优势若能在GMP生产规模下得到验证，将影响其管线的定价空间与合作谈判地位。

四是JWK010（OCA1）等罕见适应症的推进。公开资料显示其已完成全球首例患者给药，属于全球范围内极少数进入临床的OCA1基因治疗项目。

需要说明的是，公司当前公开披露的疗效与技术数据多来源于自身宣传材料，缺少同行评议论文或监管机构公示信息的交叉印证；公司人员规模、研发投入、现金状况等经营数据亦未公开。上述信息均待后续公开渠道确认。

信息来源：

1. 金唯科生物官网（www.jwksw.com）首页及新闻《全球 AAV 冰火两重天，金唯科生物凭借多项全球首创技术推动行业新破局》
2. 天眼查《成都金唯科生物科技有限公司》企业信息页
3. 投资界（PEdaily）VC 数据库《金唯科生物》企业条目
4. 百度百科《成都金唯科生物科技有限公司》词条及其引用来源