

纽福斯 项目介绍

一、公司概况

纽福斯（英文名 Neurophth）全称武汉纽福斯生物科技股份有限公司，成立于2016年7月11日，注册地为湖北省武汉市东湖新技术开发区，公司在光谷生物城设有研发与办公场所，并在上海和美国设立了子公司。工商登记显示，公司法定代表人为李斌，企业类型为其他股份有限公司（非上市），注册资本291.6258万元人民币，实缴资本258.0111万元人民币。

公司定位为专注眼科疾病基因治疗的生物技术企业，被多方公开资料称为中国首家眼科基因治疗公司。其技术起点来自创始人李斌教授团队自2008年起开展的Leber遗传性视神经病变（LHON）基因治疗研究。2011年，该团队完成了针对LHON的基因治疗临床研究，公开报道称其完成了全球样本量较大的LHON基因治疗临床试验之一，为后续产品化奠定了数据基础。

公司核心产品为NR082（在中国的研发/产品代号亦作NFS-01，通用名依哌艾多基，商品名纽惟佳[®]），是一款基于重组腺相关病毒2型载体递送ND4基因的体内基因治疗产品，用于治疗线粒体ND4基因突变引起的LHON。第二款产品NFS-02（rAAV2-ND1）针对ND1突变引起的LHON。

在标杆性描述上，公开资料提到：NR082是首个获得中美两国临床试验许可（IND）的中国基因治疗新药；是首个同时获得美国FDA与欧盟EMA孤儿药资格认定的中国自主开发体内基因治疗产品；在中国获得突破性治疗药物程序认定。NFS-02则被描述为目前全球唯一在研的针对ND1介导LHON的基因疗法。

二、核心科学与技术

纽福斯的技术核心是腺相关病毒（AAV）载体介导的线粒体基因缺陷补偿策略，也称“异位表达”（allotopic expression）。

LHON的致病机制在于线粒体DNA上编码呼吸链复合物 I 亚基的基因发生点突变，导致视网膜神经节细胞能量代谢障碍并发生凋亡。由于线粒体基因组难以直接进行体内编辑，主流技术路线是把线粒体基因的核编码版本装载到AAV载体中，经玻璃体腔注射递送至视网膜神经节细胞，在细胞核内转录、在细胞质中翻译出带线粒体定位信号的蛋白，再转运进入线粒体参与呼吸链组装，从而恢复细胞能量代谢功能。

围绕这一路线，公司公开披露的研发平台包含三个模块：基因（治疗基因序列的优化设计）、载体（AAV血清型选择与衣壳工程）、递送（给药途径与剂量方案）。眼球作为相对封闭、免疫豁免程度较高的器官，且可通过视力、视野、OCT等指标进行客观量化随访，是基因治疗较早取得突破的适应症领域之一——全球首个获FDA批准的体内基因治疗药物Luxturna（针对RPE65突变导致的Leber先天性黑矇）即属眼科。

CMC方面，公司披露已建立工艺开发与中试平台，上游工艺涵盖工作细胞库复苏、贴壁与悬浮扩增、三质粒瞬时转染、细胞裂解与病毒收获；下游工艺涵盖澄清、亲和层析捕获、超速离心或离子交换柱纯化、制剂配制与终端过滤。AAV类产品的产量、空壳率控制与批间一致性是行业共性难题，自建GMP生产平台对临床推进与后续商业化供应具有直接影响。

三、主要产品与管线

NR082（NFS-01，依哌艾多基，纽惟佳[®]）为公司最靠前的管线，药物类型为rAAV2-ND4基因治疗，靶点为MT-ND4，适应症为ND4突变型LHON。研发进程上：公司在2021年5月宣布，基于 I / II 期临床试验的安全性及有效性数据，与国家药监局药品审评中心（CDE）在 II 期结束会议（EOP2）上就 III 期方案的可行性达成一致。此后该产品在中国进入 III 期注册临床，并在美国开展 I / II 期研究。公开的临床试验登记信息显示，一项由武汉纽福斯发起的 III 期多中心、随机、双盲、假手术对照研究（登记号 NCT074

06854) 计划入组95例12至75岁的ND4突变LHON患者，主要终点为52周内视力改善情况，状态为"进行中、暂停招募" (Active, not recruiting)，研究中心包括首都医科大学附属北京同仁医院。药物数据库显示其最高研发阶段为临床3期，并已获得美国孤儿药、欧盟孤儿药、中国突破性疗法认定。关于上市时间，公开信息显示该产品尚未获批，此前一度有2025年国内获批的预期，后续更新的预计获批时间为2027年，具体以监管部门正式公告为准。

NFS-02 (rAAV2-ND1) 于2023年4月17日获得NMPA临床试验默示许可，用于治疗ND1突变引起的LHON。此前在研究者发起的临床研究中显示出安全性与有效性信号。公开资料称其为全球唯一在研的ND1-LHON基因疗法，目前处于早期临床阶段（药物数据库标注为临床1期），并在中美两地推进。

除上述两条主力管线外，第三方药物数据库记录显示，公司相关在研药物涉及腺相关病毒基因治疗、基因疗法、mRNA、DNA编码单抗等类型，靶点涉及VEGF等，覆盖眼底病等方向，多数处于临床前阶段。公司早期对外表述中也提到，将向视网膜色素变性、先天性黑矇等其他眼遗传病拓展。上述早期管线的具体代号、适应症与进度，公开披露有限，属待确认信息。

四、适应症与疾病背景

Leber遗传性视神经病变是一种母系遗传的线粒体疾病，主要影响视网膜神经节细胞及视神经。典型临床表现为青壮年（多在15至35岁之间）突发的无痛性中心视力急剧下降，通常先累及一眼，数周至数月内累及另一眼，最终形成中心暗点并造成严重视力损害甚至法定盲。约90%以上的病例由三个线粒体DNA原发突变引起，其中m.11778G>A (ND4) 最为常见，其次为m.3460G>A (ND1) 和m.14484T>C (ND6)。男性发病比例显著高于女性。

该病属于罕见病，目前临床可用的干预手段有限。艾地苯醌等药物在部分国家/地区用于LHON，但疗效有限；此前欧洲获批的另一款LHON基因治疗产品在全球范围内的可及性亦受限。整体而言，LHON患者在视力恢复方面存在明确且尚未被满足的临床需求，这构成了基因治疗介入的基本逻辑。

由于该病发病急、致残后果严重且患者年龄轻，社会与家庭负担较重。中国罕见病联盟眼科专业委员会于2023年5月成立，纽福斯创始人李斌教授当选该分会副主任委员，反映出行业与学术界对眼科罕见病诊疗体系建设的关注。

五、竞争格局

在LHON基因治疗这一细分领域，全球参与者数量有限。法国企业GenSight Biologics开发的lenadogene nolpharvec (Lumevoq) 是同类中推进较早的产品，针对ND4-LHON，其在欧洲的注册进程与商业化状况历经波折。国内方面，除纽福斯外，也有其他企业布局眼科AAV基因治疗，但公开信息显示，针对ND1突变的在研疗法目前仅有纽福斯的NFS-02。

从更宽的眼科基因治疗赛道看，竞争维度包括：载体工程与递送效率、临床数据质量（尤其是与自然病程或假手术对照相比的视力改善幅度与持久性）、CMC与产能成本、以及支付与商业化能力。基因治疗产品单价高、患者人群小，商业化路径高度依赖罕见病保障机制、慈善援助与创新支付方案的成熟度。

在国内产业链协同上，纽福斯的合作动作值得注意：2023年6月，公司与国药控股在上海签署战略合作协议，共同推动NFS-01等基因治疗产品在中国的上市与商业化。第三方药物数据库亦将国药控股列为该产品的权益关联机构之一。这类与全国性医药流通企业的绑定，是罕见病创新药在准入、渠道与患者可及性方面的常见安排。

六、团队与平台

创始人李斌为公司董事长兼首席执行官，从事眼科临床工作与基础研究20余年，在华中科技大学同济医学院取得眼科学博士学位，在中山大学中山眼科中心完成博士后研究，历任中山大学眼科中心临床医师、华中科技大学同济医院眼科教授与主任医师，研究方向为眼遗传病、神经眼科与眼底病，发表相

关论文50余篇（其中SCI收录30余篇），主持国家自然科学基金项目5项。

联合创始人肖溯博士担任首席技术运营官，在转化科学、基因治疗产品开发与生物制品生产方面具有多年经验，负责基因治疗工艺技术与技术运营管理。

公司其他公开高管信息包括：董事会秘书、运营高级副总裁林鹏；商业部副总裁李正斌（工商登记中为董事、经理）。工商登记显示的董事会成员还包括严伟（董事、财务负责人）、林倩丽、马自立、程斌、顾翠萍、杜方尧、冯致仲等，其中部分为投资方委派董事。

平台层面，公司在武汉光谷建有研发基地与GMP生产平台，并在上海、美国设有子公司以支撑国际临床与注册。原研背景方面，药物数据库将NR082的原研机构标注为华中科技大学同济医学院，反映其产学研转化属性。

七、融资与资本

纽福斯融资节奏较为密集，公开可查的历程如下：

2018年天使轮，投资方包括华大旗下奇迹之光基金、薄荷天使基金、北极光创投，金额未披露。

2020年4月A轮，融资1.3亿元人民币，由红杉资本中国基金、复星星未来资本领投，北极光创投跟投。

2021年2月B轮，融资约4亿元人民币，投资方包括国方资本、晟富华新投资、园丰资本、元禾控股、惠远资本、红杉中国、北极光创投等。

2021年11月C轮，融资近4亿元人民币，国投招商领投，红杉中国、阳光人寿、招银国际、武汉科创投等参与。这是国投招商首次进入该项目。

2023年8月C+轮，融资近7亿元人民币，投资方包括招银国际、光谷金控、武汉高科、光谷产投/光谷健康投、广州金控、国投招商、天堂硅谷、长江产投、湖北科技投资集团等，国投招商在本轮为跟投方。

2024年3月，工商与第三方数据库记录到新一轮股权投资/D轮，涉及复星医药、惠远投资等，具体金额未披露。

在国资/产业基金布局口径中，纽福斯被归入国投集团基金群（国投创合/国投创业/国投健康/国投生物制造）下的创新药方向，具体出资主体为国投招商。累计融资总额、最新估值与股权结构，公开渠道未完整披露。

八、发展展望

从公开信息看，公司近期的核心任务集中在三点。

一是NR082的注册推进。中国III期研究已完成入组并进入数据分析与上市准备阶段，后续关键节点是III期数据读出、上市申请递交与审评。若按公开预期，其获批时间指向2027年前后，但新药审批存在不确定性，实际进度以药监部门公告为准。同时，美国I/II期研究的推进关系到该产品的国际化路径。

二是NFS-02及后续管线的临床推进。作为全球唯一在研的ND1-LHON疗法，其临床数据将决定公司在LHON领域能否形成覆盖多突变类型的产品组合，也关系到公司从“单产品”向“平台型”过渡的可能性。

三是商业化准备。与国药控股的战略合作、罕见病诊疗网络建设（如眼科罕见病分会等学术组织参与）、以及支付方案设计，是产品获批后能否顺利放量的前置条件。

需要说明的是，公司当前无上市产品，收入来源有限，研发投入与产能建设持续消耗资金；公开渠道亦记录有若干劳动争议、合同纠纷类诉讼信息。本文仅陈述公开可查事实，不对其经营结果作预测。

信息来源：

1. 天眼查“武汉纽福斯生物科技股份有限公司”工商登记与主要人员信息
2. 动脉网/VBDATA 纽福斯公司条目及历轮融资记录

3. 智慧芽 Synapse/PharmSnap 药物数据库"依派艾多基 (Esonadogene Invoparvovec) "与纽福斯机构条目
4. ClinicalTrials.gov 登记号 NCT07406854 (NR082 治疗 ND4-LHON 的III期临床试验)
5. 医药魔方 ByDrug"纽福斯"新闻标签聚合 (含2023年6月与国药控股战略合作、2023年4月NFS-02获批临床等报道)
6. 36氪《获1.3亿元A轮融资, 「纽福斯」要推动眼科基因治疗药物产业化》
7. 湖北日报客户端相关报道 (news.hubeidaily.net)
8. 国资/产业基金医疗布局研究内部资料库详情页公开信息摘录 (更新于2026年8月5日)