新突破—CAR-T 治疗横纹肌肉瘤效果显著

——CAR-T 实体瘤治疗动态快评

强于大市（维持）

日期：2020 年 08 月 05 日

事件：

近日，在最新一项发表于 Nature Communications 的研究中，Hegde 团队使用 CAR-T 联合治疗横纹肌肉瘤(RMS)儿童患者。经过联合治疗，这名儿童到论文发表为止已经停止接受 CAR-T 细胞治疗 20 个月，依然保持健康且体内无癌症迹象。

投资要点：

- **突破血液肿瘤限制，实体瘤领域实现新突破**

CAR-T 作为目前炙手可热的抗肿瘤治疗的新产品，市场关注度逐步提升。CAR-T 细胞治疗在治疗血液肿瘤方面疗效表现惊人，但利用 CAR-T 治疗实体瘤仍面临诸多挑战。在本次的 HEROS 2.0 试验中，接受 CAR-T 治疗的 RMS 患者在停止 CAR-T 细胞治疗之后，患者表现出了持续缓解，并且目前仍无癌症迹象，这是 CAR-T 疗法在实体瘤领域的新突破。目前全球实体瘤患者数量庞大，如果此次实验结果能从 RMS 扩展到其他实体瘤领域 ，CAR-T 治疗的市场规模预计将迅速扩大。

- **临床结果值得关注，实体瘤应用仍任重道远**

虽然此次临床试验在实体瘤治疗有效性方面取得了进展，但在试验中，实验人员更倾向于治疗方案的优化而非在于 CAR 结构的优化，这就导致 CAR-T 细胞在体内的存续问题仍然有待解决，并在一定程度上导致了 CAR-T 治疗后的复发。但是在多次回输后，癌症复发再次得到缓解并且保持无癌状态。安全性方面，实验人员并没有进行相关的整体安全性测试，未来仍需安全性验证。同时，在部分应用 CAR-T 治疗的临床案例中，但是整体来看，我们谨慎乐观地看好 CAR-T 技术在部分实体瘤领域的发展和应用。

- **投资建议：**

随着 CAR-T 细胞疗法治疗实体瘤的不断突破，CAR-T 细胞疗法的市场热度和规模将进一步提升，建议持续关注 CAR-T 产品和进展较快的行业个股。

- **风险提示：**

后续研究成果没有达到预期的风险、安全性不足的风险、其他治疗实体瘤药物效果进一步显著提升导致的 CAR-T 疗法市场竞争力弱化的风险。

医药生物行业相对沪深 300 指数表



数据来源：WIND，万联证券研究所

数据截止日期： 2020 年 08 月 04 日

相关研究

万联证券研究所 20200803_行业周观点_AAA_医药生物行业周观点(07/27-07/31)

万联证券研究所 20200730_行业动态跟踪_AAA_CAR-T 行业动态追踪报告

万联证券研究所 20200727_行业动态跟踪_AAA_医药生物行业 2020H2 工作任务点评报告

分析师： 姚文
执业证书编号：S0270518090002
电话：02160883489
邮箱：yaowen@wlzq.com.cn

研究助理： 王政晔
电话：02160883489
邮箱：wangzm@wlzq.com.cn

万联证券

1、横纹肌肉瘤流行病学和治疗现状

流行病学：

RMS 常见于儿童与青少年，也有极少数病例发生于成人，10 岁以下的儿童占总病例的 50%左右。根据美国癌症研究中心的数据报道，RMS 在儿童中的发病率为每百万人中 4.5 例。不同病理类型的 RMS 有性别和人种发病差异。如:胚胎型 RMS 在男性中发病率更高；而间变型 RMS 在黑人中发病率略高于其他人种。

治疗现状：

RMS 的治疗需要结合多种治疗方法，如手术、放疗和化疗以及前沿治疗。手术一般是首选项，肿瘤难以完全切除时，可以通过放化疗使肿瘤缩小后，再进行手术。术后需进行化疗，大部分患者还需进行放疗。前沿治疗包括质子治疗、免疫疗法和靶向疗法。RMS 的预后总体不错，80%的儿童可以被治愈。但是，确诊时已经转移或初始治疗后复发的儿童，治愈率仅为 20-30%。

2、HER2 靶点简介和 HEROS 2 实验结果

HER2 靶点简介：

人表皮生长因子受体-2（HER2）是 20 世纪 80 年代分别由三个研究小组独立发现。HER2 基因的过表达不仅与肿瘤的发生发展相关外，还是一个重要的临床治疗监测及预后指标，并且是肿瘤靶向治疗药物选择的一个重要靶点。HER2 癌基因的致瘤机制是抑制凋亡，促进增殖；增加肿瘤细胞的侵袭力；促进肿瘤血管新生和淋巴管新生。目前的研究中，主要将 HER2 置于乳腺癌中进行研究，HER2 与乳腺癌的关系涉及到肿瘤的发生、发展、诊断与鉴别诊断、治疗和预后评价等方面，目前研究取得一定进展，使乳腺癌的诊治上了一个新台阶。

HEROS 2 实验结果：

在 HEROS 试验中，研究人员发现 HER2 CAR-T 细胞疗法尽管具有良好的安全性，但仅为一小部分患者带来了临床益处，且没有根除他们的肿瘤。

因此在 HEROS 2.0 试验中，研究人员通过额外回输了 4 次 HER2 CAR-T 细胞使患儿获得了持久的应答，但在 HER2 CAR-T 细胞回输停止 6 个月后，癌症出现复发。在这种情况下，患儿再次接受了 CAR-T 治疗并联合 PD-1 抗体帕博利珠单抗治疗，并最终保持了无癌状态。

行业投资评级

强于大市：未来6个月内行业指数相对大盘涨幅10%以上；
同步大市：未来6个月内行业指数相对大盘涨幅10%至-10%之间；
弱于大市：未来6个月内行业指数相对大盘跌幅10%以上。

公司投资评级

买入：未来6个月内公司相对大盘涨幅15%以上；
增持：未来6个月内公司相对大盘涨幅5%至15%；
观望：未来6个月内公司相对大盘涨幅—5%至5%；
卖出：未来6个月内公司相对大盘跌幅5%以上。
基准指数 ：沪深300指数

风险提示

我们在此提醒您，不同证券研究机构采用不同的评级术语及评级标准。我们采用的是相对评级体系，表示投资的相对比重建议；投资者买入或者卖出证券的决定取决于个人的实际情况，比如当前的持仓结构以及其他需要考虑的因素。投资者应阅读整篇报告，以获取比较完整的观点与信息，不应仅仅依靠投资评级来推断结论。

证券分析师承诺

本人具有中国证券业协会授予的证券投资咨询执业资格并注册为证券分析师，以勤勉的执业态度，独立、客观地出具本报告。本报告清晰准确地反映了本人的研究观点。本人不曾因，不因，也将不会因本报告中的具体推荐意见或观点而直接或间接收到任何形式的补偿。

免责条款

本报告仅供万联证券股份有限公司（以下简称“本公司”）的客户使用。本公司不会因接收人收到本报告而视其为客户。
本公司是一家覆盖证券经纪、投资银行、投资管理和证券咨询等多项业务的全国性综合类证券公司。本公司具有中国证监会许可的证券投资咨询业务资格。在法律许可情况下，本公司或其关联机构可能会持有报告中提到的公司所发行的证券头寸并进行交易，还可能为这些公司提供或争取提供投资银行、财务顾问或类似的金融服务。
本报告为研究员个人依据公开资料和调研信息撰写，本公司不对本报告所涉及的任何法律问题做任何保证。本报告中的信息均来源于已公开的资料，本公司对这些信息的准确性及完整性不作任何保证。报告中的信息或所表达的意见并不构成所述证券买卖的出价或征价。研究员任何形式的分享证券投资收益或者分担证券投资损失的书面或口头承诺均为无效。
本报告的版权仅为本公司所有，未经书面许可任何机构和个人不得以任何形式翻版、复制、刊登、发表和引用。
未经我方许可而引用、刊发或转载的，引起法律后果和造成我公司经济损失的，概由对方承担，我公司保留追究的权利。

万联证券股份有限公司 研究所
上海 浦东新区世纪大道1528号陆家嘴基金大厦
北京 西城区平安里西大街 28 号中海国际中心
深圳 福田区深南大道 2007 号金地中心
广州 天河区珠江东路 11 号高德置地广场