

## 正序生物体外工艺平台负责人蓝科蔚参加 2022 第四届生物工艺产业年度峰会并发表主题演讲

正序生物 2022/11/18

2022 年 11 月 17-18 日，由中国微生物学会指导，华东理工大学、佰傲谷 BioValley 主办，上海市生物工程学会、“科创中国”生物医药产业科技服务团支持的“Bio-ONE 2022 第四届生物工艺产业年度峰会”在上海顺利召开。正序生物体外工艺平台负责人蓝科蔚先生受邀参加峰会并发表主题为《**体外基因编辑产品工艺开发**》的演讲。本次大会邀约 60+ 生物工艺大咖、50+ 知名供应链企业、1300+ 行业同仁、50+ 行业媒体齐聚现场，共创中国生物制药盛会，共谋产业化发展之路。



图：2022 第四届生物工艺产业年度峰会现场

正序生物体外工艺平台负责人蓝科蔚先生以 $\beta$ -地中海贫血症为例，介绍了目前全球基因治疗和基因编辑产品采用的技术方式和工艺流程。目前我国地贫基因突变携带者约有3000万人，其中重型和中间型地贫患者人数在30万左右。导致地中海贫血症的病因是来自于 $\beta$ -珠蛋白链基因突变，目前针对地中海贫血症一般采用输血的对症疗法，然而这种治疗方法需要长期进行，而且还有诱发溶血的风险，对患者造成巨大的心理压力和经济负担。随着基因治疗技术的发展，人们针对病因开发出自体干细胞移植法，根据技术原理又分为基因治疗、以CRISPR/Cas9技术为基础的基因编辑疗法和碱基编辑疗法。

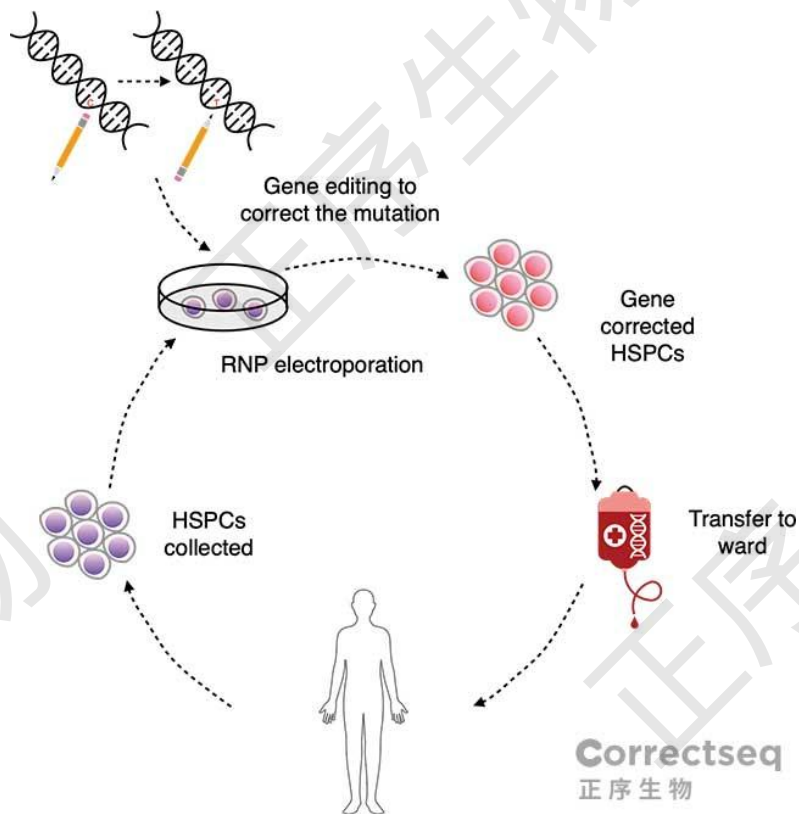
正序生物以自主IP碱基编辑技术tBE (transformer Base Editor) 为基础，针对 $\beta$ -地中海贫血症开发了创新型精准基因编辑疗法。相比较Cas nuclease和Regular BE的基因编辑疗法，tBE具有最为安全的防脱靶保证、更高的靶向编辑效率以及更低的细胞毒性。

蓝科蔚先生还介绍了体外基因编辑造血干细胞疗法的原理和工艺流程。正序生物开发的体外基因编辑造血干细胞的工艺，是通过采集患者自体造血干细胞，利用tBE碱基编辑技术对 $\gamma$ -珠蛋白进行重激活，从而替代患者自身突变的 $\beta$ -珠蛋白发挥功能，经过一系列的工艺处理后再将编辑后的干细胞回输至患者体内，从而达到彻底治愈的效果。

蓝科蔚先生同时对体外基因编辑造血干细胞产品与自体CAR-T产品的工艺进行了对比，总结了两者的共同挑战和基因编辑干细胞疗法的特殊挑战。体外基因编辑造血干细胞这项开创性的疗法，其工艺过程存在着如起始细胞数量有限、防混淆、污染和交叉污染要求高、工艺表征难度大、无菌工艺挑战高等挑战。对此，正序生物积极挑战该疗法的工艺难题，提供了相应的解决方案，确保其治疗的安全性和有效性。



图：正序生物体外工艺平台负责人蓝科蔚先生发表题为《体外基因编辑产品工艺开发》的主题演讲



图：正序生物体外基因编辑疗法原理

蓝科蔚先生具有近 16 年的工业界经验，精通抗体、CAR-T 细胞治疗、无菌制剂等产品的 CMC 工艺开发和生产，曾在药明巨诺担任 MAH 生产负责人和集团 MSAT（生产科学与

技术) 负责人, 参与了国内第二个获批的 CAR-T 细胞治疗产品 (也是国内首个 1 类新药的 CAR-T 细胞治疗产品) 瑞基奥仑赛注射液的研发和上市工作。在此之前, 蓝先生还曾在信达生物、百特、阿斯利康、费森尤斯-华瑞制药等多个创新药企和跨国制药企业负责工艺和生产相关工作。蓝科蔚先生将带领具有丰富工业界经验的体外工艺平台 CMC 团队为正序生物的开创性精准基因编辑疗法开发出安全高效的工艺流程, 为后续产品的临床和商业化生产提供高质量的保障。

-完-

欲了解更多信息, 请登录**正序生物官网**:

[www.correctsequence.com](http://www.correctsequence.com)

**联系我们:**

投资合作: [IR@correctsequence.com](mailto:IR@correctsequence.com)

商务合作: [BD@correctsequence.com](mailto:BD@correctsequence.com)

媒体垂询: [PR@correctsequence.com](mailto:PR@correctsequence.com)



Website



WeChat