



**学术交流 | 正序生物携创新型碱基编辑系统邀您共赴 BioCon
China Expo 2022 第九届国际生物药大会暨展览会**

正序生物 2022 年 9 月 6 日

2022 年 9 月 6 日，BioCon China Expo 2022 第九届国际生物药大会暨展览会在杭州国际博览中心盛大开幕，本次大会持续 3 天，国际国内知名生物药领域大咖齐聚盛会，共同分享生物医药最前沿的产品和技术。正序生物首席执行官牟晓盾博士受邀出席本次盛会，并将于 9 月 8 日 14:00-14:30 发表主题为《创新型碱基编辑系统引领的靶点筛选和多元化适应症体内研究》的演讲（地点：杭州国际博览中心，会场四，大宴会厅 C），诚邀您莅临观看！

ioCon China Expo 2022

第九届国际生物药大会暨展览会

杭州国际博览中心，2022年9月6-8日

车晚盾

正序生物CEO



话题：创新型碱基编辑系统引领的靶点筛选和多元化适应症体内研究

会场四，大宴会厅C



<<< 扫码查看最新日程

+86 180 1793 9885

biocon@bmapglobal.com

www.bmapglobal.com/bioconexpo2022

Correctseq
正序生物

关于正序生物：

正序生物（CorrectSequence Therapeutics）是一家专注于新型基因编辑技术的生物医药公司，利用世界先进的碱基编辑体系，为罹患严重疾病的人们开发突破性精准基因编辑疗法，造福人类健康。公司拥有自主知识产权的碱基编辑系统，所创建的多种精准基因编

辑疗法，在控制脱靶效应和提高体内编辑效率方面具有显著优势，相关研究成果发表于

Nature Biotechnology、***Nature Structural & Molecular Biology***、***Nature Cell***

Biology、***Cell Research***、***Cell Reports*** 等知名国际学术期刊上。自 2020 年 8 月创建以

来，正序生物全力推进来自上海科技大学、复旦大学和武汉大学的科学创始人团队先进科研

成果的技术转化，始终保持在基因编辑和治疗领域以及生物技术创新研究方面的国际前沿。

正序生物致力于发展成为一家集基因编辑创新药物的研发、生产、销售为一体的全球性生物制药公司，针对遗传疾病、肿瘤、代谢疾病、感染性疾病布局的多条管线正在顺利进行，并在上海高等研究院和张江细胞产业园拥有先进的研发和生产中心，以及在北京华贸拥有临床注册和运营中心，以世界一流的标准打造 R&D 实验室、CMC 工艺开发实验室、cGMP 生产车间等，有力保障创新研究成果的快速转化与应用。

为了实现以创新基因编辑技术造福全人类的美好愿景，正序生物汇聚了数十位来自全球基因编辑技术开发、药物研发、工艺开发与生产、临床开发和质量与合规等领域的优秀生物医药专家，打造了全球一流的新型基因编辑治疗药物研发和生产团队。管理团队和科研团队具有丰富的工业界经验、创新精神和国际视野，拥有平均十年以上工业界经验，博士学位比例超过 40%，核心技术人员毕业于国内外顶尖名校。

关于碱基编辑技术：

由正序生物科学创始人团队开发的一系列突破性的新型碱基编辑技术，不仅能够在庞大的基因组中精准、永久地改变单个碱基对，还克服了传统基因编辑技术导致的 DNA 双链断裂、编辑效率低、产生脱靶效应等问题，为点突变引起的遗传性疾病的治愈以及癌症的免疫治疗提供了新的可能。团队至今已开发出 5 大系列的碱基编辑系统，其中 eBE (enhanced Base Editor) 获得首个碱基编辑技术中国专利授权，tBE (transformer Base Editor) 获

得中国首个碱基编辑技术海外专利授权；另外，还有 7 项碱基编辑技术已提交 PCT 国际专利申请。

其中，tBE 通过巧妙的“锁”的设计，确保了其编辑功能仅在靶向位点处才能正常工作，而在脱靶位点处则失效。从而使得 tBE 成为目前已开发的胞嘧啶碱基编辑器中综合性能最好的碱基编辑器，精确性和安全性表现更佳，具有巨大的临床应用价值：

- 有效的消除脱靶突变，同时实现高效的靶向编辑；
- 灵活的“变形金刚式”多元件组合方法，完美地契合包括 AAV、mRNA/LNP 等多种体内递送方式的需求；
- 在可成药靶点处可同时实现多个靶点的精准高效编辑

关于碱基编辑疗法：

正序生物在自主研发的碱基编辑系统的基础上，搭建了融合多治疗领域的新药发现平台。基于该新药发现平台可长期开发和筛选针对多种遗传性疾病或罕见病的有效治疗靶点。目前，正序生物已经针对遗传疾病、肿瘤、代谢疾病、感染性疾病等布局了近 10 条管线。同时，碱基编辑技术可与细胞和基因治疗、抗体和 ADC 等多种药物联用，有效控制免疫反应，提高和延长治疗效果。



近期,正序生物已利用新型变形式碱基编辑技术 tBE 针对 β 型地中海贫血症开发了创新碱基编辑靶点的治疗方案,且造血干细胞和小鼠体内的数据已证实,相对于 Cas nuclease 的基因编辑疗法, tBE 具有更高的靶向编辑效率、更高的 γ -globin 诱导表达、更低的细胞毒性以及极为安全的防脱靶保证,这使得 tBE 碱基编辑疗法在众多针对 β 型地中海贫血症的基因编辑疗法中脱颖而出。目前,正序生物团队正全力推进针对 β 型地中海贫血症的 tBE 碱基编辑疗法进入临床试验阶段。

-完-

欲了解更多信息,请登录正序生物官网:

www.correctsequence.com

联系我们:

投资合作: IR@correctsequence.com

商务合作: BD@correctsequence.com

媒体垂询: PR@correctsequence.com



Website



WeChat