

首次出海，中国自主研发的碱基编辑工具首次获得海外专利授权

中国医药创新促进会 2022/7/13

导语：正序生物科学创始人团队创建的变形式碱基编辑系统 tBE (transformer Base Editor) 正式获得美国专利商标局 (USPTO) 专利授权，成为首个获得海外专利授权的中国自主研发碱基编辑工具。

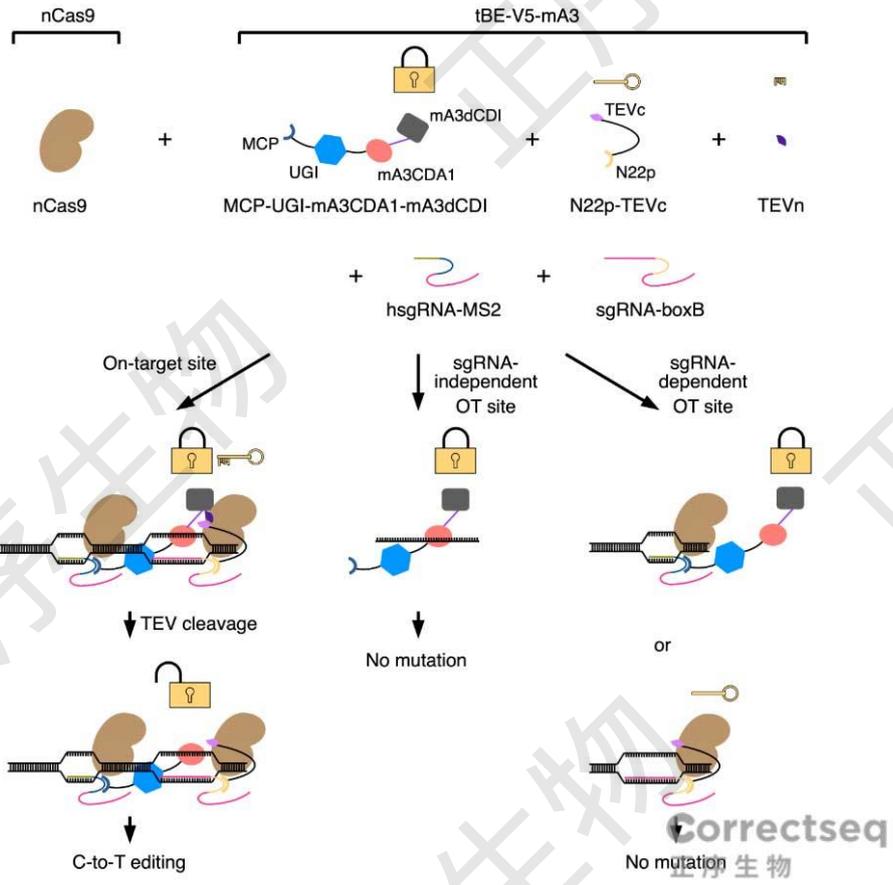
当地时间 2022 年 7 月 12 日，正序生物科学创始人团队创建的变形式碱基编辑系统 tBE (transformer Base Editor) 正式获得美国专利商标局 (USPTO) 专利授权，成为首个获得海外专利授权的中国自主研发碱基编辑工具。正序生物已从上海科技大学获得 tBE 的全球独家许可，成为独家拥有这一底层平台型碱基编辑系统专利全球权益的生物医药公司。正序生物已利用 tBE 针对 β 型地中海贫血症开发了创新碱基编辑靶点的治疗方案，并全力推进该疗法进入临床试验阶段，成为了首个将中国自主研发且获得海外专利的碱基编辑技术应用在创新型基因编辑疗法管线中的生物医药公司。此前，正序生物已经从上海科技大学独家许可了首个在中国获得授权的碱基编辑技术专利（增强型碱基编辑器，eBE）。与此同时，正序生物已自研开发并提交了多项碱基编辑技术的 PCT 国际专利申请，覆盖多个国家和地区。正序生物具有国际国内自主知识产权的多项碱基编辑技术将为下一步的管线布局铺平道路，并确立其在国内碱基编辑领域的优势地位。

近几年来，作为生物医药领域闪耀的明星，CRISPR/Cas9 技术成为各新兴医药企业争

相开发新药所运用的基因编辑技术。然而，越来越多的研究发现，CRISPR/Cas9 技术引发的 DNA 双链断裂修复途径很难实现高效稳定的单碱基编辑，且 DNA 双链断裂会引发细胞凋亡和染色体大片段丢失等不可避免的毒副作用，其在临床治疗领域的安全性受到越来越多的挑战。碱基编辑技术是针对某些单一的碱基错误（即点突变）进行修复，并不会在 DNA 中造成双链断裂，可以对 DNA 进行精确修复。相较于现有其他基因编辑技术，碱基编辑技术有望填补 CRISPR/Cas9 技术无法涉及的空白领域，实现更高的编辑效率和更好的安全性。

正序生物科学创始人团队自主研发的变形式碱基编辑器 tBE，更是碱基编辑技术中的佼佼者。该技术在原有的碱基编辑系统上融合表达一种脱氧胞苷脱氨酶抑制剂

(deoxycytidine deaminase inhibitor, dCDI) 和一个拆分的 TEV 蛋白酶，通过巧妙的设计，使得 tBE 的所有元件会在靶向位点处组合，进而切除 dCDI 并获得编辑活性。而在脱靶位点处，由于 dCDI 的存在使得 tBE 的效应子丧失编辑活性，从而将普通碱基编辑器存在的全基因组以及全转录组的脱靶突变完全消除，同时还保持了在靶向位点处的高编辑效率。这也使得 tBE 成为目前已开发的胞嘧啶碱基编辑器中消除脱靶突变和实现靶向编辑综合能力最好的碱基编辑器。同时，tBE 灵活的“变形金刚式”多元件组合方法更完美地契合包括 AAV、mRNA/LNP 等多种体内递送方式的需求，大大提高了其体内碱基编辑的效率。此外，tBE 在可成药靶点处还可以同时实现多个靶点的精准高效编辑。相对于现有的碱基编辑系统，这些优势都极大地扩展了 tBE 在临床治疗的应用范围。tBE 的开发与建立也得到了科技部的源头创新支持，是国家重点研发计划资助的科研成果。在由科技部、国家发展改革委等政府部门主办的国家“十三五”科技创新成就展中，tBE 以国家科技创新重要成果进行展示。tBE 工作发表后还受到了学术界的广泛关注，国际顶级学术期刊近期发表的多篇文献和综述都引用并肯定了 tBE 技术。



图：新型高精度变形式碱基编辑系统 tBE (transformer Base Editor)

随着基因编辑疗法渐入大众视野，基因编辑技术在国际上的专利之争变得异常激烈，底层平台型基因编辑技术专利具有巨大的商业价值。据智慧芽专利数据系统统计，目前全球在基因编辑技术 CRISPR 领域的相关专利约 1.5 万件，美国技术密集程度最高，中国排名第二。对于专注于基因编辑技术的中国生物医药企业来说，研发成果的知识产权获得海外专利保护将为企业未来向全球市场进军夯实基础。

为此，正序生物一直以来十分重视自主研发技术在海内外的专利布局。正序生物科学创始人团队所开发出的 5 大系列碱基编辑系统，有 3 项碱基编辑技术已申请中国专利，其中 2 项已经分别于 2020 年和 2021 年获得中国专利授权，7 项碱基编辑技术已提交 PCT 国际专利申请。正序生物已经于 2020 年成为拥有首个碱基编辑底层技术中国专利的企业，而今又成为中国首家拥有碱基编辑底层技术海外专利的企业。这一好消息无疑让正序生物从众多国

内外开发碱基编辑新药的企业中脱颖而出。

(感谢中国医药创新促进会对正序生物的关注和报道)

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