

学术交流 | 正序生物资源管理部负责人武冰冰博士受邀出席 2023

广州国际生物医药产业大会发表主题演讲

正序生物 2023/6/5

2023年5月26日，由广州市黄埔区人民政府、广州开发区管委会主办的“**首届广州国际生物医药产业大会**”盛大开幕。本次大会以“打造硬核产业链，共创医药新格局”为主题，设置一场产业领袖峰会、一场主旨论坛以及十一场专业主题论坛，汇聚百余位海内外院士科学家、药企与生物技术公司创始人、投资机构合伙人，就CGT、AI制药、国际化等热门话题展开交流对话，吸引了千余位行业人士参会。**正序生物资源管理部负责人武冰冰博士**受邀出席会议并发表主题为《**应用创新型精准碱基编辑系统开发同类最好 (Best in Class) 基因编辑药物**》的演讲，介绍了正序生物基于自主研发的创新型变形式碱基编辑器 tBE (transformer Base Editor) 开发的突破性精准疗法在遗传性疾病、罕见病上的临床推进进展。

继小分子药物、抗体药物之后，基因疗法成为近两年来备受关注的创新疗法，有望解决目前未被满足的临床需求。沙利文报告显示，基因药物在2025年全球市场规模将达到约**300亿美元**。碱基编辑技术被称作下一代基因编辑技术，相较于现有其他基因编辑技术，它**不需要破坏DNA双链就可以对致病的碱基突变进行校正**，更加安全、精准和高效。在人类遗传性疾病中，有超过一半的疾病由单碱基突变造成。碱基编辑技术有望为这些遗传性疾

病的彻底治愈带来希望。



▲ 正序生物资源管理部负责人武冰冰博士出席 2023 广州国际生物医药产业大会发表主题演讲

正序生物专注于利用自主研发的创新型碱基编辑技术开发突破性精准疗法，拥有自主知识产权的**变形式碱基编辑器 tBE (transformer Base Editor)** 是国家“十三五”重点项目的科创成果。与运用 CRISPR/Cas9 和其他碱基编辑器的疗法相比，正序生物运用 tBE 技术可从治疗机制上选择更直接、更安全的靶点进行治疗，具有更高的编辑效率、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。

正序生物资源管理部负责人武冰冰博士介绍，tBE 碱基编辑技术的应用领域包括**血液系统疾病、感染性疾病、神经系统疾病以及肿瘤免疫**等。正序生物首条管线 CS-101 针对 β -地中海贫血症，以 tBE 技术通过 *ex vivo* 的方式精准编辑患者自身造血干细胞，实现了高效的靶向编辑效率，同时不造成脱靶。据《中国地中海贫血防治状况调查报告（2020）》统计，截至 2020 年，中国内地**地贫基因突变携带者约 3000 万**，其中**重型和中间型地贫患者人数**

约为 **30 万**。正序生物 CS-101 有望彻底治愈这项由基因突变引起的遗传性疾病，让患者摆脱输血依赖，享受正常生活。

武冰冰博士拥有超过 10 年的生物制药相关工作经验，在药物研发整体项目管理方面具有丰富经验，尤其擅长包括生物药的 CMC 工艺开发，项目管理，跨部门管理协同，药品研发法规和政策分析，快速推进项目至临床和商业化阶段。她强调，细胞和基因治疗产品的开发过程中，**CMC 最为关键**。与传统药物的开发不同，细胞和基因治疗产品的审批过程中将有 **80% 关注度聚焦于产品的生产制造环节**。前 FDA 局长 Scott Gottlieb 曾表示，对于细胞和基因治疗产品，工艺就是产品，对生产制造过程的评价是监管审批的限速步骤。正序生物拥有一支平均工业界经验达 10 年以上的生产制药团队，**成功的以成熟的分子类型和 CMC 工艺构建和表达了 tBE 碱基编辑器**，开发出一整套完善的碱基编辑产品的生产工艺流程。目前，正序生物 CS-101 管线已经完成了**商业化规模细胞生产的工艺开发和确认**，拥有稳定的工艺表现和产品质量数据，将在今年进入 IND 申请和临床试验阶段。

除了体外编辑疗法，tBE 还可完美契合 AAV、mRNA/LNP 等多种体内递送方式的需求，实现较高的靶向编辑效率，不产生脱靶风险。值得一提的是，tBE 还能同时实现多个靶点的精准高效编辑，具有巨大的临床应用价值。目前，正序生物布局了包括体外编辑疗法和体内编辑疗法近 10 条管线，不仅涉及**遗传性疾病、罕见病**，还包括**常见病领域，如感染性疾病、代谢疾病等**。

面临难以攻克的遗传性疾病、罕见病，科学家们正在积极探索有效的解决方案。下一代基因编辑技术——碱基编辑技术从源头上具有成药性的优势，安全性更有质的飞跃。正序生物的科学创始人团队开发的碱基编辑系统具有巨大的临床应用价值，研发和 CMC 团队正在积极利用碱基编辑技术筛选更安全有效的靶点，攻克细胞和基因治疗的 CMC 技术难题，开发“**一次治疗，终身有效**”的创新药物，解决目前未被满足的临床需求，为患者带来彻底治

愈疾病的希望。

武冰冰博士简介：

正序生物资源管理部负责人。获美国 Purdue University 生物科学博士学位，北京大学生命科学学士学位。拥有超过 10 年的生物制药相关工作经验，精通抗体、融合蛋白、ADC、DNA、mRNA 类药物分子的 CMC 工艺开发、生产和全球 IND/BLA 申报。在药物研发整体项目管理方面经验丰富，尤其擅长包括生物药的 CMC 工艺开发，项目管理，跨部门管理协同，药品研发法规和政策分析，快速推进项目至临床和商业化阶段。曾任药明生物微生物工艺开发部门负责人、项目管理部门负责人，组建和带领近 60 人的研发团队，带领近 50 个全球 IND/BLA 项目，顺利完成了美国、欧洲、澳洲、新加坡、韩国和中国申报的生物新药的临床和商业化申报。加入药明生物前，武博士曾就职于新加坡 A*STAR 研究院，进行代谢和心血管疾病机理和药物发现的研究，其研究成果发表在同行评议的国际期刊上。

- 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