

## 世界地贫日 | 正序生物关爱地贫患者，以创新型碱基编辑疗法助力 地贫患者脱贫

正序生物 2023/5/8

2023年5月8日是第30个“**世界地贫日**”。世界地贫日由国际地贫联盟于1994年发起设立，旨在纪念已故的地贫及其他血红蛋白病患者，鼓励地贫患者及其家属与该疾病积极斗争，提高公众对地贫的广泛关注和普遍认知，消除对地贫及其他遗传性疾病的歧视。



为了进一步宣传预防地中海贫血疾病知识，落实优生优育政策，做好地贫患儿的慰问工作，推动地贫和出生缺陷防治工作开展，东方市妇幼保健院、东方市妇联、东方市计划生育协会、东方市红十字会、海南省妇女儿童医学中心、正序（上海）生物科技有限公司、海南纯绿农业研发有限公司、海南八福公益基金会等单位联合主办**海南省东方市世界地贫日医患**

**交流座谈会**，倡导全社会共同关心和关注地中海贫血防控工作。

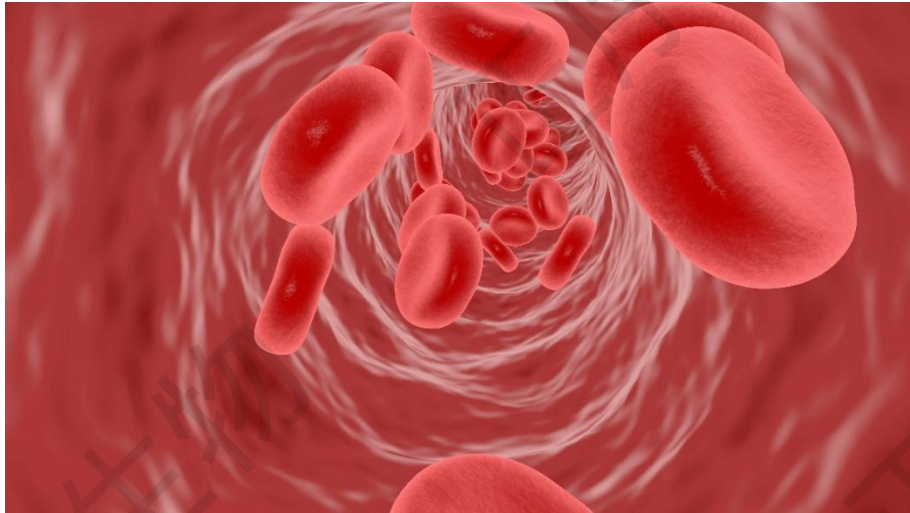
东方市妇幼保健院赵艳院长、东方市妇联周潇丹主席、东方市计生协会王忠卫会长、东方市红十字会卢灵强会长、东方市民政局符林红副局长、海南八福公益基金会熊嫦君秘书长、海南省妇女儿童医学中心董秀娟主任出席会议活动并作重要讲话。

**正序生物首席执行官牟晓盾博士**出席会议并向地贫患儿家长科普了**创新型碱基编辑疗法治疗 $\beta$ -地中海贫血症的原理和治疗优势**。通过与地贫患儿家长们的面对面交流，正序生物深入了解了地贫家庭面临的困难和关注的问题，表示将尽早开发出真正彻底治愈地贫且经济安全的药物，帮助患儿脱贫，共享健康生活！



▲ 正序生物 CEO 牟晓盾博士在向地贫患儿家庭科普创新型碱基编辑疗法

**地中海贫血症**因最早在地中海沿岸发现而得名，简称“地贫”，又称**海洋性贫血**或**珠蛋白生成障碍性贫血**，是由于**珠蛋白基因缺陷**导致**珠蛋白肽链合成障碍**所致的遗传性溶血性疾病，是一种常染色体隐性遗传病，患者主要表现为慢性、进行性、溶血性贫血。地贫是全球分布最广、累及人群最多的一种**单基因遗传病**，全球有**3.5亿人**为地中海贫血基因携带者（占总人口2%），我国地贫基因携带者约有**3000万人**，其中，重型和中间型地贫患者约为**30万人**。我国地中海贫血症多分布在南方领域，其中广西壮族自治区、广东省、海南省、云南省和贵州省发病率都在10%以上。



目前为止，对于地贫患者尚缺乏真正有效的治疗手段。传统的治疗手段为**规范性输血和除铁治疗**，需要患者长期依赖输血，可能会面临血源紧张、血制品供应不稳定等血源问题而中断输血，或发生铁过载导致的器官损伤甚至衰竭；另一种新兴疗法为**造血干细胞移植法**，该疗法的原理是将具有正常珠蛋白基因功能的干细胞移植到受者体内，并在受者体内成功表达以纠正地中海贫血患者体内异常血红蛋白的表达，从而实现地中海贫血症的永久性治疗。该疗法目前所用的造血干细胞来自其他健康成人/儿童，依赖配型，存在配型成功率低、年龄限制等问题。



正序生物正在利用自主研发的创新型碱基编辑系统，针对 $\beta$ -地中海贫血症开发**创新型**

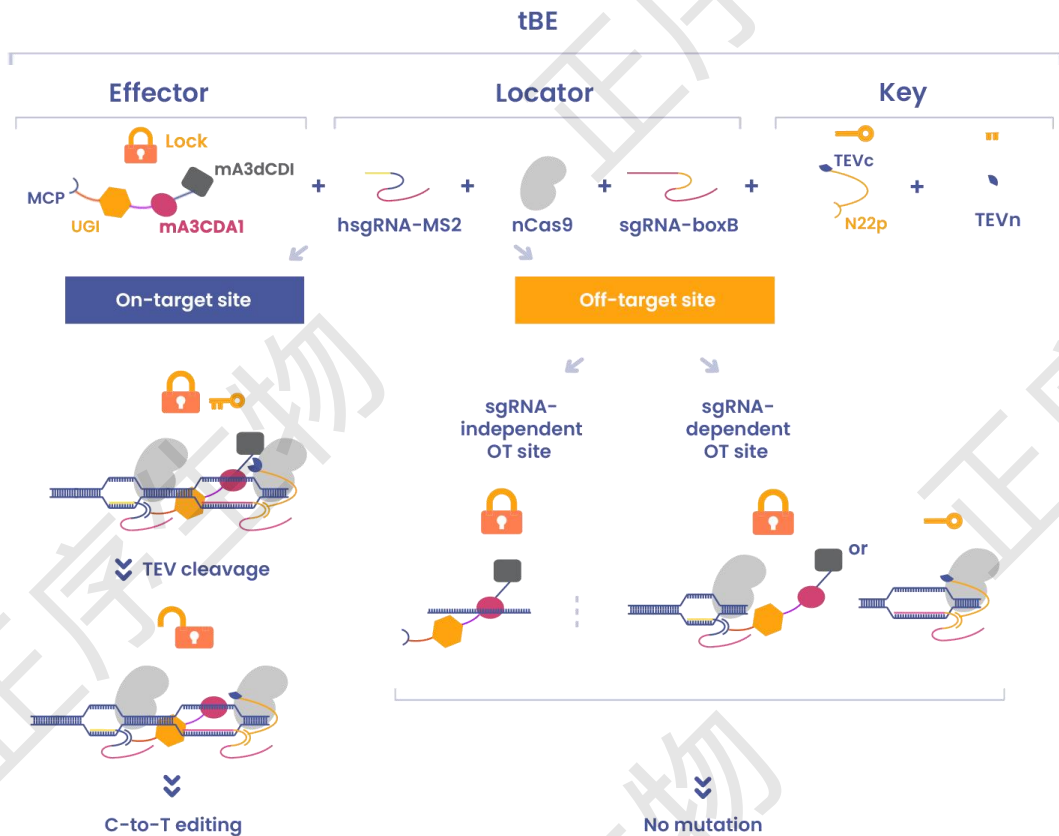


**精准疗法**，可避免传统造血干细胞疗法的配型依赖问题，适用于更广泛的患者人群，真正实现“**一次治疗，终身治愈**”的效果。碱基编辑技术（Base Editing, BE）是近几年快速发展起来的新一代基因编辑技术，它可以精准锁定遗传密码的单个碱基，通过将致病的突变碱基进行校正，从而实现疾病的彻底治愈。对于单碱基突变导致的遗传性疾病，碱基编辑技术具有精准修复的强大优势。碱基编辑技术为治愈点突变引起的遗传性疾病和罕见病带来了新的希望。



▲ 相比较 CRISPR/Cas9 基因编辑技术，碱基编辑技术不造成 DNA 双链断裂，实现了“化刀为笔”的精确修复

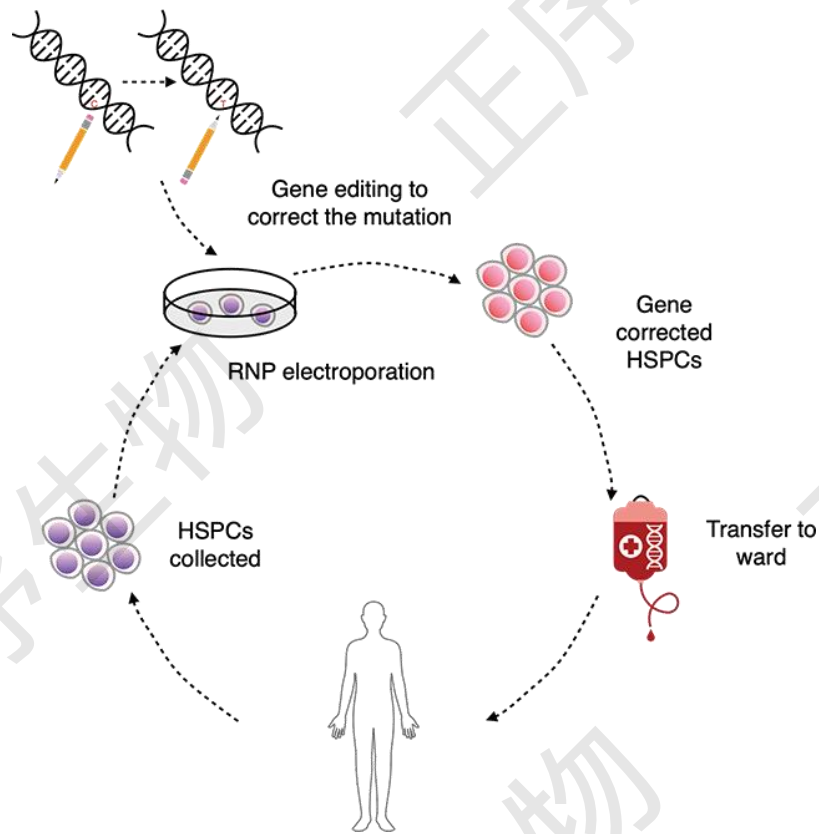
正序生物科学创始人团队开发的变形式碱基编辑器 tBE (transformer Base Editor) 具有“**高效编辑+零脱靶**”的显著优势，相比较分子剪刀型基因编辑技术和传统的碱基编辑技术，其**安全性和成药性都有质的飞跃**。在细胞编辑和 LNP 递送的双管线的动物体内实验中，tBE 实现了无脱靶的安全性和靶向位点的高效编辑。目前，tBE 通过 PCT 申请的方式已获得中、美、澳三个国家的专利授权，其他国家的专利也在持续申请中，**成为首个获得海外专利授权的中国自研碱基编辑器**。



▲ 正序生物创新型高精度型碱基编辑器 tBE

(transformer Base Editor, 变形式碱基编辑器)

正序生物首条管线 CS-101 基于 tBE 技术针对 $\beta$ -地中海贫血症开创了**体外基因编辑造血干细胞疗法**。 $\beta$ -地中海贫血症是由人体 11 号染色体上编码血红蛋白 $\beta$ 亚基的基因突变引起，该突变导致 $\beta$ -珠蛋白链合成受到抑制。由于 $\beta$ -珠蛋白链的缺乏，导致血红蛋白合成障碍从而产生贫血。正序生物的创新型碱基编辑疗法通过采集**患者自身造血干细胞**，利用 tBE 碱基编辑技术对 $\gamma$ -珠蛋白进行重新激活，从而替代 $\beta$ -珠蛋白发挥功能，经过一系列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。正序生物体外基因编辑造血干细胞疗法最大的优势是**不需要等待配型和异体移植**，同时与运用 Cas Nuclease 技术的疗法相比，该疗法以 tBE 技术为基础进行治疗，**不造成 DNA 双链断裂**，具有**更高的靶向编辑效率、更高的 $\gamma$ -globin 诱导表达、更低的细胞毒性以及极为安全的防脱靶保证**。



▲ 正序生物精准碱基编辑疗法流程-体外 (ex vivo) 疗法

正序生物正在快速推进这一管线进入 IND 申请和临床试验阶段。期待创新型碱基编辑疗法早日上市，助力地贫患者脱贫，享受健康生活！

- 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