

## 学术交流 | 正序生物首席执行官牟晓盾博士受邀参加 BIO-FORUM

### 2023 发表主题演讲

上海科技 2023/6/21



6月13-15日，以“**发挥创新策源优势、打造研发经济高地**”为主题，**第25届上海国际生物技术与医药研讨会**成功举办，来自全球的顶尖生物医药人才和企业集聚上海，共同探讨生物医药产业的未来趋势。期间，举办了“**1+2+3+14+N**”场活动，即1场开幕式及主旨演讲、2场闭门会、3场同期活动、14场专题分会及N场同期路演活动，并打造了线上直播间，超过220万人次在线观看了大会开幕式及主旨演讲，反响热烈，引起了广泛关注。

**正序生物首席执行官牟晓盾博士**受邀出席大会并于基因治疗技术与药物研发分论坛发表题为《**应用创新型精准碱基编辑技术进行基因编辑药物开发的管线选择及工艺优化**》的主题演讲，同时参加圆桌讨论，分享了基因治疗产品的开发和临床转化过程中重点和难点以及相应的解决方案。

## 以梦为马

### 打造生物医药创新策源地

“上海国际生物技术与医药研讨会”这一品牌论坛已走过 25 载，纵观 25 年发展历程，今天的大会已成为观察中国生物医药创新前沿和推动产学研合作的重要平台。

### 开幕式&主旨演讲

开幕式上，中国科学院院士陈凯先先生，中国科学院院士董晨先生，中国工程院院士王军志先生，中国生物技术发展中心副主任沈建忠先生，中国生物技术发展中心医药生物技术处副处长何蕊女士，市科委副主任、一级巡视员朱启高先生，市药监局局长徐徠女士，市药监局副局长张清女士，上海市生物医药技术研究院院长傅大煦先生，市科创投（集团）党委书记、董事长傅红岩先生，上海市科技干部管理学院原院长王建平先生，上海市科学技术研究所协会理事长、市科委原副巡视员刘勤先生，市科委生物技术和医药处处长、二级巡视员曹宏明先生，市经信委生物医药产业处徐志祥先生，浦东科经委总工程师凌刚先生，宝山区科委主任阳晖女士等出席了本次活动。上海市生物医药科技发展中心主任李积宗主持了大会开幕式。



市科委副主任、一级巡视员朱启高



中国生物技术发展中心副主任沈建忠



上海市生物医药科技发展中心主任 李积宗

在 BIO-FORUM 的舞台上大咖专家云集、前沿思想激荡，分享全球最前沿的思考与实践，为中国生物医药科技发展贡献宝贵智慧。

### 专题活动

#### **“策源力”：引领创新趋势，打造行业新风口“核爆点”**

引领行业前沿，需要“敢为天下先”的勇气与魄力。在生物医药领域，只有不断坚持创新驱动发展，方能打造生物医药创新策源地。

从 PD-1、ADC 到细胞治疗、合成生物学、AI 制药，上海不断打造新赛道、新风口的“核爆点”，BIO-FORUM 也始终引领着全国生物医药产业的创新趋势。14-15 日两天活动期间，围绕产业前沿热点举行了“细胞治疗前沿技术与应用”、“合成生物学创新应用”、“核酸药物研发新趋势”、“基因治疗技术与药物研发”、“第一届上海全球健康与发展卓越中心特别论坛：科技赋能加速疫苗创新”等分论坛。

### “基因治疗技术与药物研发”研讨会

在“基因治疗技术与药物研发”研讨会上，多位学者、医生、企业负责人，以及监管部门专家济济一堂，围绕基因治疗的新技术开发、载体前沿突破、应用赛道选择、临床试验策略，以及基因治疗监管等话题展开讨论。



正序生物首席执行官牟晓盾博士发表主题演讲

正序生物首席执行官牟晓盾博士在圆桌讨论会上就关于基因治疗产品的开发和临床转化的问题分享了观点。牟博士表示，在基因治疗产品的开发和临床转化的过程中，最重要的是**安全问题**。一方面是开发基因编辑药物所利用的底层基因编辑工具是否安全；另一方面是CMC 工艺是否安全有效。牟博士引用了前 FDA 局长 Scott Gottlieb 关于细胞和基因产品的一句话：Manufacturing is likely to be the rate limiter for regulatory approval-The “Process” is the “Product”。（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。) 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。



正序生物首席执行官牟晓盾博士介绍 tBE 碱基编辑技术优势

在主题演讲环节, 牟博士分享了正序生物自主开发的 **tBE (transformer Base Editor, 变形式碱基编辑器)** 的优势和临床转化的管线开发进展。由于不需要破坏 DNA 双链就能对致病的碱基突变进行校正, 碱基编辑器相较于分子剪刀型基因编辑器 (如 CRISPR/Cas9 基因编辑技术) 在安全性、精准性和编辑效率上更具有优势。而 tBE 则在传统碱基编辑器上作了进一步优化, 通过一个巧妙地设计**将脱靶率降低为零**。该项极具突破性的原创技术被列为**国家“十三五”科技创新重要成就**, 目前已通过 PCT 申请的方式获得**中、美、澳**三个国家的专利授权。

正序生物正在将 tBE 碱基编辑技术进行临床转化。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 $\gamma$ -globin 诱导表达、更低的细胞毒性以及极为安全的防脱靶保证**。目前, 正序生物基于 tBE 技术针对血液系统疾病、感染性疾病、神经系统疾病以及肿瘤免疫等开发了近 10 条管线。首条管线 CS-101 针对 $\beta$ -地中海贫血症, 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。

25 年来，BIO-FORUM 与中国生物医药产业携手并进、砥砺前行。

迈向下一个 25 年，BIO-FORUM 期待不断为中国生物医药产业注入创新动能。

\*文章转载自上海科技、上海市生物医药科技发展中心

- 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