

**学术交流 | 正序生物 CEO 牟晓盾博士受邀出席第七届中国医药  
创新与投资大会发表主题演讲**

正序生物 2023/4/4



▲ 第七届中国医药创新与投资大会开幕式现场

2023年3月29日-3月31日，由中国药促会、香港交易所、艾美达咨询、鼎新医药共同主办的第七届中国医药创新与投资大会（以下简称“创投大会”）在苏州国际博览中心成功举办。全国政协常委、全国政协经济委员会副主任、中国国际经济交流中心常务副理事长毕井泉，国家药品监督管理局党组成员、副局长徐景和，苏州市委副书记、市长吴庆文，中国药促会会长、中国科学院上海药物研究所所长李佳，香港交易所集团行政总裁欧冠生发

表致辞。正序生物首席执行官牟晓盾博士受邀出席盛会并发表主题为《新型碱基编辑技术填补医疗需求空白，造福全球病患》的演讲，介绍了正序生物基于自主研发的 tBE (transformer Base Editor, 变形式碱基编辑器) 技术所开创的精准疗法的临床转化进展，并分享了细胞编辑和体内递送平台在多条管线上的最新动物体内数据。

中国医药创新与投资大会已经创办 7 年，一直受到国内外产业界与投资界高度关注和广泛好评，被誉为“亚太地区最受关注的医药创新与投资合作平台”。本届大会聚焦新形势下医药产业与资本融合创新，激发我国医药创新主体源头技术创新活力，以求塑造高质量发展的医药创新生态环境。大会邀请了来自国内外投资机构、医药创新企业及研究院等百余家机构和政府领导、业界领袖、专家学者、知名企业家、投资机构负责人等数千余人，共同交流和研讨医药创新技术、产业发展等，为现场观众带来一场知识盛宴。



▲ 正序生物首席执行官牟晓盾博士出席第七届中国医药创新与投资大会发表主题演讲

作为一家专注于新型碱基编辑技术的生物医药科技公司，正序生物孵化自上海科技大学，从 0 到 1 推动中国原创技术从高校实验室转化到临床 (Bench to Bedside)，致力于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疗法，造福人类健康。正

序生物首席执行官牟晓盾博士在大会上介绍了正序生物科学创始人开发的碱基编辑系统的优势以及基于该系统所开创的治疗 $\beta$ -地中海贫血症管线的临床转化进展。

在细胞和基因治疗领域，可应用于疾病治疗的前几代的基因编辑技术包括 ZFNs、TALENs 以及 CRISPR/Cas9 技术，其共同特点是在对基因组 DNA 编辑时会切断 DNA 双链结构，因此存在一些由于 DNA 双链断裂而造成的大片段染色体缺失、染色体易位等安全风险。相比较前几代基因编辑技术，碱基编辑技术在成药性上具有质的飞跃，它在确保 DNA 双链完整性的同时实现对错误碱基的校正，因此不会造成染色体异常等安全风险。正序生物科学创始人团队开发的创新型碱基编辑工具 tBE 可实现较高的安全控制，尤其是在控制脱靶方面，tBE 技术优于传统 CBE 技术，其在管线应用中的有效性和安全性，展现了成为同类最好 (Best in Class) 基因编辑药物的巨大潜能。tBE 还可结合多种递送系统实现体内和体外的高效编辑，为多种治疗靶点提供精准基因编辑治疗方案。



▲ 正序生物首席执行官牟晓盾博士介绍管线进展

正序生物正在基于以 tBE 为代表的碱基编辑系统开发多种创新型精准疗法。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。

正序生物首条管线 CS-101 针对 $\beta$ -地中海贫血症，通过体外基因编辑造血干细胞疗法实现对 $\gamma$ -珠蛋白的重新激活替代 $\beta$ -珠蛋白发挥携氧功能，从而达到彻底治愈的效果。CS-101 预计将在今年年底进行 IND 申请及临床试验。

目前，正序生物针对遗传疾病、肿瘤、代谢疾病、感染性疾病等布局了近 10 条管线，拥有十年以上生物制药经验的研发团队已经基于先进的碱基编辑系统搭建了一套成熟的 CMC 体系，所开创的创新型精准碱基编辑疗法将有望实现“一次治疗，终身治愈”的效果，造福全球病患。

#### **牟晓盾博士简介：**

正序生物首席执行官，获复旦大学化学学士学位，美国伦斯勒理工大学化学生物学博士学位。从事生物药的 CMC 开发、IND/BLA 项目管理和全球运营工作近 20 年，分别在美国的辉瑞和默沙东担任工艺开发、新药 CMC 和新技术评估引进的首席科学家和项目负责人。在美国工作近 10 年后回国加入药明生物，先后建立领导了全球项目管理部门、全球运营尤其是供应链部门、以及微生物和病毒产业化平台 (MVP)，从零建立了将近 1000 人的团队。先后参与了抗体类、ADC、fusion protein 和新型多价疫苗的产品开发以及全球首例抗 PD-1 注射液 (Keytruda) 的工艺优化工作。同时对 pDNA、enzyme、virus like particle、各种 viral vectors、mRNA 等多种 new modality 的 CMC 开发和临床应用积累了丰富的经验。于 2021 年底正式加入正序生物担任 CEO，领导公司将自主研发的碱基编辑创新药物带入临床应用。

- 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