

## 学术交流 | 正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚受邀出席细胞和基因治疗产品的 CMC 和 GMP 监管和产业研讨会发表主题演讲

正序生物 2023/4/14

2023 年 3 月 30-31 日，IPEM 教学项目和识林知识平台，联合中国药品监督管理局研究会细胞与基因治疗产品监管研究专委会，邀请药品 GMP 指南再版修订专家，及中美药监和产业专家，在北京大学举办“细胞和基因治疗产品的 CMC 和 GMP 监管和产业研讨会”。

会议由我国药品 GMP（2010 年修订）起草小组主要执笔人之一，药品 GMP 指南再版修订无菌制剂分册小组组长张华老师主持。

正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚先生作为药品 GMP 指南无菌制剂分册细胞治疗部分的编委之一，受邀出席会议并发表主题为《基因编辑体外产品工艺开发和 CMC 考量》的演讲，报告以治疗 $\beta$ -地中海贫血症的管线为例，从机制和靶点、基因编辑工具（CRISPR/Case 9、Regular BE、tBE 等）、关键原材料（基因编辑体系）、电转体系和细胞工艺五个方面展开，深入探讨了 mRNA、sgRNA、细胞工艺、电转工艺等 CMC 考量。蓝科蔚先生还参与了嘉宾问答环节，对厂房变更时间点、无菌工艺模拟试验要点、工艺验证要点、产能扩增的方式和风险、细胞培养工艺变更等问题进行了解答。



▲ 正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚出席基因治疗产品的 CMC 和 GMP 监管和产业研讨会  
发表主题演讲



▲ 正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚参加嘉宾问答环节  
(右一：正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚)

当前，我国细胞和基因治疗行业发展迅速，创新技术的不断涌现，为药品的生产质量管理带来挑战。国家药监局核查中心于 2022 年 10 月 31 日正式发布了《细胞治疗产品生产质

量管理指南（试行）》，为细胞治疗产品生产企业提供了指导意见，也为监管机构开展各类现场检查提供了重要参考。随着科学技术的发展、认知的深入和经验的积累，该指南也将逐步修订和完善。

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，首条管线即利用自主 IP 碱基编辑技术 tBE（transformer Base Editor）结合细胞疗法来进行。进行符合 GMP 标准的生产是细胞和基因治疗产品研发的关键步骤。正序生物严格遵守国际 GMP 标准搭建了一套完善的 CMC 流程体系，对于细胞和基因治疗产品的生产质控管理具有实操经验，对行业 GMP 标准的制定具有重要的借鉴和参考意义。



▲ 细胞和基因治疗的 CMC 和 GMP 监管和产业研讨会嘉宾合影  
(右三：正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚)

与会人员认真听取了正序生物体外平台 CMC 负责人蓝科蔚先生关于体外基因编辑疗法工艺开发和 CMC 考量的报告。正序生物基于以 tBE 为代表的碱基编辑系统开发创新型精准疗法，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 $\beta$ -地中海贫血症开创了体外基因编辑造血干细胞疗法。该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 $\beta$ -珠蛋白发挥携氧功能，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。其工艺存在如起始细胞数量有限、防混淆、污染和交叉污染要求高、工艺表征难度大、无菌工艺挑战高等挑战。正序生物基于先进的碱基编辑系统所搭建的一套成熟的 CMC 体系可有效应对这类挑战，确保产品的高质量生产。

高标准 GMP 生产平台是细胞和基因治疗企业的重要竞争优势。正序生物不仅拥有硬核技术实力——原创、高效、安全的碱基编辑技术，还具备先进的 CMC 工艺体系、符合国际标准的基因药物质量管理体系，在细胞和基因治疗赛道中具有显著优势，将积极推动我国细胞和基因治疗产品 GMP 不断升级完善，助力我国生物医药产业发展。

#### **蓝科蔚简介：**

正序生物体外平台 CMC 负责人，获北京大学硕士学位和南京大学学士学位。具有近 16 年的工业界经验，精通抗体、CAR-T 细胞治疗、无菌制剂等产品的 CMC 工艺开发和生产，曾在药明巨诺担任 MAH 生产负责人和集团 MSAT（生产科学与技术）负责人，参与了国内第二个获批的 CAR-T 细胞治疗产品（也是国内首个 1 类新药的 CAR-T 细胞治疗产品）瑞基奥仑赛注射液的研发和上市工作。在此之前，蓝先生还曾在信达生物、百特、阿斯利康、费森尤斯-华瑞制药等多个创新药企和跨国制药企业负责工艺和生产相关工作。

- 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