

**学术交流 | 正序生物 CEO 牟晓盾博士受邀出席  
2023 国际细胞与基因治疗中国峰会发表主题演讲**

正序生物 2023/3/14

2023 年 3 月 9-10 日, 由触界生物主办的**第四届国际细胞与基因治疗中国峰会 (CGCS 2023)** 在南京顺利召开。百名国内外细胞与基因治疗领域的专家学者汇聚一堂, 深度剖析行业发展瓶颈与解决方案、政策导向和行业标准, 推动产业规范化发展, 促进企业多元合作, 共创行业美好未来。正序生物首席执行官牟晓盾博士受邀出席本次盛会, 发表主题为《**碱基编辑产品 CMC 考量**》的演讲, 并参加圆桌论坛, 探讨基因治疗生产与质控环节中需要关注和考量的问题。大会线上直播与线下同步进行, 吸引了 8000+人次生物医药领域的专业人士参与。



▲ 正序生物 CEO 牟晓盾博士出席**第四届国际细胞与基因治疗中国峰会**发表主题演讲



▲ 正序生物 CEO 牟晓盾博士介绍变形式碱基编辑器 tBE (transformer Base Editor)

牟晓盾博士首先介绍了正序生物创始人团队开发的创新型碱基编辑系统的代表技术——变形式碱基编辑器 tBE (transformer Base Editor) 的原理和优势。相比较 ZFNs, TALENs, CRISPR 等分子剪刀类基因编辑技术, 碱基编辑技术在对错误的碱基进行校正的同时没有产生 DNA 双链断裂, 因此不会促发 p53 通路激活和染色体异常等安全风险, 实现了“化刀为笔”的精确修复。正序生物创始人团队自主研发的变形式碱基编辑器 tBE 相比其他碱基编辑器, 在全基因组和全转录组均具有无脱靶性和更高的编辑效率, 而且还能完美契合 AAV、mRNA/LNP 等多种体内递送方式的需求, 同时实现多个靶点的精准高效编辑, 具有巨大的临床应用潜能。

正序生物正在将这一原创技术进行临床转化。在会上, 牟晓盾博士向与会者首次展现了细胞编辑和 LNP 递送的双管线的动物体内实验结果——靶向位点的高效编辑效率和无脱靶的安全性, tBE 碱基编辑器具有开发出同类最好 (Best in Class) 基因编辑药物的巨大可能性, 非常振奋人心。(正序生物将于 2023 年 3 月 19 日在 2023EBC 第八届易贸生物产业大会上再次分享这些数据。)

在圆桌讨论环节，牟晓盾博士与嘉宾们围绕“基因治疗生产与质控中的关注与考量”的话题，分享了正序生物碱基编辑产品 CMC 策略，工艺开发的难点和挑战以及如何进行质量控制。



▲ 正序生物首席执行官牟晓盾博士参加圆桌论坛

目前，正序生物利用 tBE 为代表的碱基编辑系统开创了可应用于体外 (*ex vivo*) 和体内 (*in vivo*) 的精准碱基编辑疗法。与运用 Cas nuclease 和 conventional BE 技术的疗法相比，正序生物运用 tBE 进行治疗时具有更高的靶向编辑效率，更低的细胞毒性以及极为安全的防脱靶保证。

正序生物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。在体外疗法中，针对 mRNA、sgRNA 和细胞工艺的 CMC 流程，正序生物克服了不同的工艺挑战，确保治疗的安全性和有效性；在体内疗法中，正序生物则通过 LNP 递送 tBE 碱基编辑系统实现了高效且无脱靶的编辑效果。

正序生物基于以 tBE 为代表的碱基编辑系统针对遗传疾病、肿瘤、代谢疾病、感染性疾病等布局了近 10 条管线，第一条管线针对  $\beta$  型地中海贫血症，计划于今年申请 IND，同年开展临床试验。

从安全性、生产工艺、递送技术、专利权以及毒理性几方面来看，tBE 都显著优于其他基因组编辑系统，未来可在各类疾病领域发挥临床治疗的潜能。期待早日利用碱基编辑技术开发出创新精准治疗方案，实现“一次治疗，终身治愈”的效果，为遗传病患者带来福音！

### 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