

关注国际罕见病日：以“碱基编辑技术”之笔
点亮罕见病患者的生命色彩

正序生物 2023/2/28



每年2月的最后一天，被确定为国际罕见病日。今年2月28日是第16个国际罕见病日，主题是“点亮你的生命色彩”。



▲ 2023年国际罕见病日的主题海报（图源 rarediseaseday.org）

罕见病，又被称为“孤儿病”，是指仅在极少数人身上发生的稀罕病症，一般为慢性、严重性疾病，常危及生命。根据世界卫生组织定义，罕见病是指患病人数占总人口0.65‰~1‰之间的疾病或病变。至今，全球已确认的罕见病超过7000种，约占人类已知疾病的10%，包括渐冻症、“玻璃人”（血友病）、“木偶人”（多发性硬化症）、松软儿（脊髓性肌萎缩症）等。80%的罕见病为遗传性疾病。目前，全球罕见病患者达4亿，我国罕见病患者超过2000万。患病群体以儿童为主。

目前全球仅有不到5%的罕见病有药物可治疗，大多数罕见病患者面临无药可医的状况，即使有药可治，患者也由于高额的治疗费用而不得不放弃治疗。罕见病亟需能够彻底治愈并且经济安全的治疗方案。

随着科技的进步，碱基编辑技术有望成为彻底治愈罕见病的有效手段。碱基是生命的语言。四种碱基——腺嘌呤（A）、胞嘧啶（C）、鸟嘌呤（G）和胸腺嘧啶（T）是人体遗传密码的构成要素。碱基编辑技术在保证DNA双链完整性的同时，通过“效应器”和“定位器”相结合，在靶向位点对错误的碱基进行校正，实现基因突变的修正。相比较现有的其他“分子剪刀”型基因编辑技术，碱基编辑技术不需要切断DNA双链即可完成对突变基因的编辑和修复，因此不具有激活DNA损伤响应通路和造成染色体异常等安全风险，实现了“化刀为笔”的精确修复。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可能。



目前全球各制药企业正在尝试利用这项技术针对罕见病开发创新型疗法,所涉及的疾病包括镰刀型细胞贫血症、杂合子家族性高胆固醇血症等罕见病。

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,研发出真正治愈目前医疗水平无法治疗的疾病的创新型精准疗法。正序生物科学创始人开创的变形式碱基编辑系统(transformer Base Editor, tBE)通过一个巧妙的“锁”的设计,将普通碱基编辑器存在的全基因组以及全转录组的脱靶突变完全消除,进一步提升了碱基编辑技术的安全性和成药性。tBE于2022年7月正式获得美国专利商标局(USPTO)专利授权,成为首个获得海外专利授权的中国自主研发碱基编辑工具。

目前,正序生物正在将以tBE为代表的碱基编辑系统应用于临床治疗。基于tBE创建的多种精准疗法,在动物体内实现了在疾病治疗靶点上的高效编辑,同时保证了未检出脱靶突变的安全性。tBE具有从源头上安全高效的优点,不仅可以用于治疗单基因的遗传疾病、罕见病,同样也可以治疗和预防非遗传疾病、常见病。正序生物已经针对遗传疾病、肿瘤、代谢疾病、感染性疾病等布局了近10条管线。首条管线将在今年申请IND并开展临床试验。

期待未来人们能利用碱基编辑技术早日开发出真正治愈罕见病患者的药物,用碱基编辑技术这支“笔”点亮罕见病患者的“生命色彩”!

- 完 -

欲了解更多信息,请登录正序生物官网:

www.correctsequence.com

联系我们:

投资合作: IR@correctsequence.com

商务合作: BD@correctsequence.com

媒体垂询: PR@correctsequence.com



Website



WeChat