

# 中国原创无 DNA 损伤单碱基编辑技术药物研发转化平台

上海科技大学

## 一、转化对象

正序（上海）生物医药科技有限公司

## 二、服务机构

上海科技大学技术转移办公室

## 三、转化特色

许可、平台赋能科学家安心创业、研产共进

## 四、案例简介

本案例基于上海科技大学原创的变形式碱基编辑（tBE）技术，该技术通过独特的“锁-钥”控制机制，从根本上避免了传统基因编辑导致的 DNA 双链断裂与脱靶风险，实现了从“可编辑”到“安全、精准编辑”的跨越。针对该技术成功搭建药物转化平台，目前首款转化药物 CS-101 注射液已成功治愈近 20 例来自中国、老挝、马来西亚、巴基斯坦、尼日利亚等国内外  $\beta$ -血红蛋白病患者，疗效卓越、安全性高，是全球首创、并有望成为同类最优的基因治疗产品。同时，针对高乳糜微粒血症、高甘油三酯血症等代谢类疾病开发了体内基因编辑药物，实现“一次治疗，终身有效”，首位受试者已完成给药并顺利出院，这也是全球首次通过靶向碱基编辑 APOC3 基因治疗高血脂患者的案例。

## 五、转化过程

上海科技大学基于“双创实践教学+科技成果转化”的创新路径，通过专利运营、资本对接、跨学科协作，助力科学家发明人创立基因编辑公司，将 tBE 技术从实验室推向全球市场。首先，开展全球专利布局。上科大协助科学家发明人申请专利，成功获该技术国际专利授权，覆盖中、美、澳、日等全球 15 个国家和地区，形成技术壁垒；其次，创新创业生态搭建。上海科技大学举办创新创业大会，该技术项目获天使轮融资，并依托技术转移办公室成立创新型企业（正序生物），实现“实验室-企业”无缝衔接。再次，全球独占许可。上海科技大学通过全球独占许可协议将专利授权正序生物，开展产业转化。

## 六、转化效益

临床与社会效益：CS-101 为  $\beta$ -血红蛋白病这一重大遗传病患者提供了兼具根治性疗效与高安全性的治疗新选择。该疗法已成功治愈多名中外患者，并吸引了来自老挝、马来西亚、巴基斯坦等国家的国际患者自发来华寻求治疗，展现了强大的国际影响力与社会价值。

经济效益与市场前景：正序生物已完成 4.2 亿元融资，显示出资本市场对该原创技术及产品的高度认可。针对全球庞大的  $\beta$ -血红蛋白病患者群体，CS-101 凭借其技术独占性具有重大市场潜力。

## 七、成果完成人及团队

上海科技大学生命科学与技术学院陈佳教授团队主要研究集中于以下几个方面：1) 研究 DNA 修复在基因编辑过程中引发突变的分子机制；2) 创建具有高精准度的新型基因编辑系统；3) 开展人类疾病的基因编辑治疗探索。