

博雅辑因（北京）生物科技有限公司

# 治疗 $\beta$ 地中海贫血基因编辑疗法

# 博雅辑因治疗 $\beta$ 地中海贫血基因编辑疗法 研究产品ET-01完成多中心临床启动及首例患者入组

博雅辑因首席技术官  
袁鹏飞 博士

生存质量差、治疗费用昂贵、家庭社会负担严重、现有治疗方案无法满足巨大的治疗需求

## 《中国地中海贫血蓝皮书》(2015)

- **3000万人** 地贫基因携带者
  - **16.8%** 广东省地贫基因携带者
  - **24.5%** 广西省地贫基因携带者
- **30万人** 中间型和重型地贫患者

## 北京师范大学中国公益研究院抽样调查

- **99%** 重型地贫患者中20岁以下占比

## 广东省梅州市新生儿疾病筛查中心

- **15岁** 重型地贫患者平均寿命

## 重型地中海贫血治疗费用

- **2,101,88元** 常规疗法 (红细胞和去铁剂) 20年
- **7,489,519元** 常规疗法 (红细胞和去铁剂) 55年
- **235,254元** 异基因造血干细胞移植 (相合)
- **345,317元** 异基因造血干细胞移植 (相合) 20年
- **465,975元** 异基因造血干细胞移植 (相合) 55年

## 异基因造血干细胞移植面临的问题

- HLA全配型供者比例低
- GVHD免疫排斥
- 清髓方案的副作用

# 基因修饰自体造血干细胞移植 vs 传统异基因造血干细胞移植

EDIGENE  
博雅辑因

## 无修饰异基因造血干细胞移植



## 基因修饰自体造血干细胞移植



# 基因修饰自体造血干细胞移植 vs 传统异基因造血干细胞移植

EDIGENE  
博雅辑因

## 无修饰异基因造血干细胞移植



## 基因修饰自体造血干细胞移植



# 基因编辑自体造血干细胞移植

## 输血依赖型β地中海贫血病

**EDIGENE**  
博雅辑因

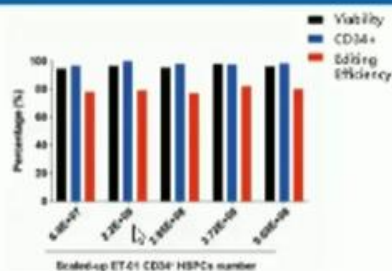
### 急需满足的治疗需求

国内 (主要南方) 有5万重型和25万中型地贫病人

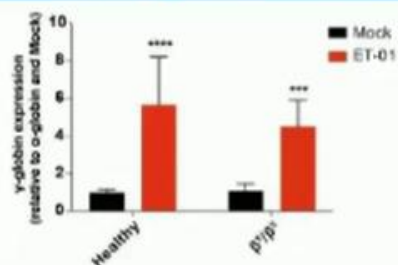
### 治疗方法

基因编辑自体造血干细胞内的 BCL11a 红系增强子, 以升高红细胞内的胎儿血红蛋白, 治疗β-地中海贫血病

### cGMP临床级别的生产工艺



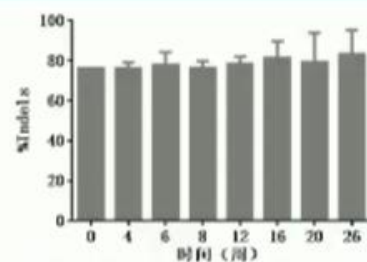
### 显著提高γ-珠蛋白 mRNA



### IND-enabling试验组合: 没有发现与基因编辑相关毒性、或成瘤性、或致瘤性



### 动物模型内高编辑效率保持稳定



## ET-01: 国内首个获国家药监局批准开展临床试验的基因编辑疗法产品和造血干细胞产品

**EDI GENE**  
博雅辑因

- **通用名称：**CRISPR/Cas9基因修饰BCL11A红系增强子的自体CD34+造血干祖细胞注射液
- **英文名称：**Autologous CD34+ Hematopoietic Stem/Progenitor Cells with the erythroid-specific enhancer of the BCL11A gene modified by CRISPR/Cas9
- **适应症：**输血依赖型 $\beta$ 地中海贫血
- **状态：**国内首个获国家药监局批准开展临床试验的基因编辑疗法产品和造血干细胞产品

国家药品监督管理局药品审评中心  
CENTER FOR DRUG EVALUATION, NMPA  
CENTRO PARA LA EVALUACION DE FARMACOS

当前位置: 信息公开 >> 临床试验注册许可

共有 1 条记录

受理号	药品名称	申请人名称	适应症	注册分类
CX2100009	CRISPR/Cas9 基因编辑 BCL11A 红系增强子的自体 CD34 <sup>+</sup> 造血干祖细胞注射液	广州博雅辑因科技有限公司	不依赖输血的红系增强的基因编辑型 $\beta$ 地中海贫血	I 类

共 1 条记录 每页 20 条 当前页 1 页 共 1 页

# 以基因编辑为中心的四大平台

EDIGENE  
博雅辑因

体外疗法：造血干细胞平台

体外疗法：通用型CAR-T平台

基因编辑  
治疗  
疾病

高通量  
基因组编辑  
功能性  
筛选

靶向疗法：高通量基因组编辑筛选平台

体内疗法：RNA单碱基编辑平台