

大健康与新医疗

BIG DATA Health
and New Medical

2022 年

第21期



上海科学技术情报研究所
上海市前沿技术发展研究中心
技术与创新支持中心(TISC)

人工智能与细胞和基因疗法

编者按

细胞和基因疗法的前景广阔，但仍需要大量的创新让细胞与基因疗法的潜能充分释放。就当前而言，成功地运用细胞和基因疗法（CGT）治疗患者仍然具有一定的挑战性，其困难主要包括患者病情的复杂性和异质性，生产制造和供应链的挑战（特别是个性化治疗），以及与患者的匹配性。此外，尽管人工智能应用在更广泛的生物制药研发领域蓬勃发展，但是在细胞和基因疗法中的探索才刚刚开始。

目 录

目 录	2
行业动态	3
➤ 细胞治疗和基因治疗中的人工智能	3
➤ 人工智能如何加速细胞和基因疗法的研发	4
研究进展	8
➤ 早期诊断阿尔茨海默病及基因治疗方案取得突破	8
➤ 人工智能改善细胞和基因治疗产品的质量控制	9
➤ 人工智能如何降低细胞和基因疗法的制造成本	11
企业现状	13
➤ CYAGEN 和 NEUROPTH 利用 AI 开发眼疾基因治疗的 AVV 载体	13
➤ 本导基因与数因信科签署人工智能与基因治疗战略合作	14

行业动态

细胞治疗和基因治疗中的人工智能

细胞治疗和基因治疗包含了一系列技术方法和生产实践。例如，有体内和体外方法，以及自体 and 同种异体方法。尽管如此，在生物制造操作中存在一些共性。这包括存在许多相同的载体（包括病毒载体）和相同的挑战（包括无法对产品进行最终灭菌）。

支持人工智能的“智能制造”现在开始通过先进的制造过程数字化集成来支持基因治疗和细胞治疗处理，从供应链管理到过程控制再到最终产品的跟踪和追溯。它还为物联网等工业 4.0 技术赋能：实时、集成的大数据分析，自动化和网络物理系统，先进的传感技术（包括“软”传感技术）。最后，它支持数字孪生在设备和操作建模中的广泛应用。

人工智能可以增强许多基因治疗和细胞治疗中常见的系统，这些系统以前在传统的工艺设计和制造操作中都存在挑战（表 1）。这些挑战包括在病人分散的细胞处理中协调跟踪操作，以及对加工材料进行净化。

Table 1. Examples of gene and cell therapy systems that can be improved with AI

■ Therapy design and screening	■ Enhanced industrial sensors
■ Systems, or network, biology	■ Product characterization (detection of potential anomalies or approval of product release)
■ Product development	■ Product management and "Phase 4" activities
■ Clinical trial design and monitoring	■ Cryopreservation and shipping
■ Digital conversion of manufacturing operations	■ Multiplatform operations based omic data analysis and interpretation
■ Culture expansion, feeding, and control	■ Electronic records maintenance and quality control
■ Orchestration of distributed control	■ Sample reception and tracking
■ Process monitoring and advanced dynamic control	■ Materials shipping, storage, and traceability
■ Automation in closed manufacturing modules	■ Advice or action on data curation/transmission
■ Product quality control and release testing	■ Adverse effects detection
■ Entity research, target validation, and cell engineering	

不过，在建立和维护与病人有关的数据的安全、隐私、整理、储存和分配标准方面，人工智能也遇到了挑战。基因治疗或细胞治疗对确保患者隐私和数据安全的工具的要求特别严格。在将 AI 应用于基因治疗或细胞治疗时，需要同时实施以人工智能和机器学习为中心的数据治理、风险和合规协议，需要获得经验丰富的、以安全为重点的人工智能专家的专业知识和指导。

对于基因治疗和细胞治疗，关键的过程参数往往很难理解。

通常，基因和细胞疗法必须在一个疗程后才能发挥作用。为了确保第一次尝试尽可能有效，生产商面临着发现过程偏差的压力。

个体患者的细胞样本在其状况、活力和药物暴露方面是多种多样的。这会极大地影响样品的特性和性能，需要更强大的过程监测和先进的动态控制。在基因治疗和细胞治疗框架下，治疗药物的预期疗效、质量和安全性甚至比使用小分子或大分子实体更难实现。

此外，操作员和生物制药工程师的制造过程存在关键差异（具体取决于要应用于每个批次或病人应用的具体载体操作）。需要持续的监督来反复检查与这种制造相关的特殊性。因此，每个病人必须与一个批次相联系，而这个批次是通过个性（特定目标）和共性（通用规格）来制造和控制的。

由人工智能驱动的过程控制可以帮助感知或预测处理异常，将当前性能与过去的经验相关联，并确定哪些措施可以纠正偏差参数。现代数据连接和人工智能算法具有独特的能力，可以保持生物事件的实时和动态成像。由于可以对非线性功能关系进行建模，所以他们擅长减少模型-过程的不匹配。这样的系统可以结合生物过程和控制工程的专业知识来执行传感器验证、故障检测。

资料来源：GEN [EB/OL]. (2022-02-02). [2022-12-08].

<https://www.genengnews.com/artificial-intelligence/the-promise-of-ai-in-gene-and-cell-therapy-operations/>

人工智能如何加速细胞和基因疗法的研发

在过去的三到五年里，利用机器学习（ML）作为技术支持的早期生物技术公司开始出现，例如细胞疗法领域的 Modulus Therapeutics、Outpace Bio 和 Serotiny；基因治疗与腺相关病毒（AAV）领域的 Dyno Therapeutics 和 Patch Biosciences；基于 mRNA 治疗领域的 Anima Biotech 等等。尽管在未来十年中，

规模的限制可能会减缓纯粹专注于人工智能驱动的生物技术公司的成长速度，但鉴于最近人工智能在生物制药研发领域的广泛加速，上行空间可能是显著的。

01 将人工智能应用于细胞和基因疗法的三大挑战

首先，是实验数据的有限以及数据生成费用的昂贵。鉴于细胞和基因疗法的新颖性和多样性而言，现有的实验数据（包括公共和商业）是有限的，而从头开始为这些新模式生成大量的实验数据，通常是非常昂贵和耗时的。虽然这给训练大型人工智能系统带来了挑战，但是机器学习的方法可以帮助探索和开发这些模式的巨大设计空间，节省时间，并避免需要进行不必要的昂贵的实验。这也突出体现了人工智能作为平台技术的优势。

其次，是功能复杂性。正是由于细胞和基因疗法的复杂性，在治疗方案上具有巨大的潜力，而如何将分子序列（DNA、RNA 或氨基酸）、其结构特性以及观察到的功能行为之间建立准确的关系具有挑战性，而这也会影响到治疗行为以及治疗结果的预期。在这样的复杂机制中，人工智能和机器学习技术帮助解决了纯粹的以专家为驱动的研究局限性。

生物实验室和模拟研究之间的分离。药物的模拟研究需要一个不同的技能的组合，而细胞和基因疗法的生物实验需要的是深度专业知识。药物的模拟研究中，不同的团队通常是根据不同的目标、时间表、激励措施、次优数据和见解共享独立工作，而不是一起工作。为了使人工智能能够优化复杂的流程模式，需要建立一个闭环的研究系统，以便生物实验室和模拟研究相互协会并相互构建。

尽管存在这些挑战，但在研发中使用人工智能可能会进一步加速细胞和基因疗法的创新。该领域正在迅速成熟，并已开始获得大量人才和风险投资的涌入，预计很快就会进一步证明其适用性和可扩展性。

02 在研发价值链上应用人工智能的独特机会

就三种不同的新型制药模式——基于 mRNA 的治疗和疫苗，病毒治疗（如 AAV 基因治疗），以及体外治疗，重点是嵌合抗原受体（CAR）T 细胞——而言，人工智能可以在多个方面促进新型治疗方式在研发价值链中的发展，如目标识别、有效载荷设计优化、转化和临床开发，以及端到端（E2E）数字化。

将人工智能应用于细胞和基因疗法的研发，从目标识别开始。在这里，最大的挑战核心是选择合适的靶点来优化治疗成功的概率。考虑到大多数细胞和基因

疗法的高度个性化特性和下游的大量资源投资，在这个阶段拥有能够提高速度和准确性的鲁棒算法是至关重要的。人工智能和机器学习模型可以以各种方式使用。

对于旨在编辑基因组的病毒治疗方法，预测 CRISPR 靶点的算法可以帮助识别具有基因序列或表观遗传特征的基因组位点，从而以最小的脱靶活性提高编辑效率。基于机器学习和深度学习的新模型是在真实世界的实验数据上训练的，其性能优于旧模型。

对于旨在利用免疫系统靶向特定癌细胞或病原体的疗法（如基于 mRNA 的疫苗或 CAR-T 细胞疗法），人工智能和机器学习可用于预测可能被治疗分子结合的肿瘤表位。例如，对于 CAR-T 细胞治疗，人工智能和机器学习可用于促进识别适当的抗原和结合位点，从而设计能够提高靶活性和最小细胞毒性的 CARs 预测蛋白质结构的算法（如 AlphaFold 蛋白质结构数据库和系统）可以用来模拟患者特异性突变如何影响蛋白质结构，从而影响 CAR 结合。较新的功能基础模型（如 ProteinBERT）超越了结构，可以直接预估功能属性。一旦确定了一组可能的候选基因，人工智能和机器学习可以用于数千种 CAR 结构的大规模筛选，以识别具有高肿瘤特异性结合亲和力和同时激活免疫系统能力的候选基因。

在确定了一个合适的先导目标后，下一阶段涉及到有效载荷优化设计。这里的挑战是调节治疗分子的功能活性和组织特异性，同时最小化不必要的影响（如激活免疫系统）。人工智能和机器学习模型可用于快速筛选大量候选模型，并选择满足符合预期标准的设计，类似于它们在目标识别中的使用。

为了最大程度提高有效性，模型应该是人工智能的闭环研究系统的一部分，初步筛选结果自动输入机器学习程序。这个程序开始学习分析如何根据其计算特征响应每个有效载荷。然后，它建议下一批优化的有效载荷备选进行实验。由此产生的实验数据被自动反馈，继续学习，形成研究系统闭环。

03 正确地获得新兴的人工智能机会：平衡伙伴关系和内部化

细胞和基因疗法中，人工智能的机会是基于产业框架内的运行，允许弹性、适应性和可持续性。这包括一个实验性的数据生成引擎，它既运行良好，又紧密地嵌入在一个闭环中，以应对漫长而昂贵的生产计划。跨价值链的数据（例如，研究和 CMC 之间）需要很容易链接，因为该领域比经典模式更相互关联和相互依赖，在逐批的基础上可能有潜在的显著变化。这包括专注于设计 E2E 机器学

习系统部署（MLOps）解决方案，集成到研究系统中，并由用户体验驱动。最后，具体的数据科学、工程学、化学、功能生物学和疾病专业知识可以结合在一起，以解决处于科学理解边缘的挑战。

诸多的生物医药公司正在以不同的方式与生物技术初创公司合作，其中主要的三种方法为能力外化、选择性合作和能力内化，每一种都涉及不同的风险程度、人才需求和有效范围。

随着生物数据的爆发式增长、计算能力的提高、下一代体外模型、生物实验室自动化等发展，越来越多有影响力的案例表明应用人工智能的机会正在成熟，未来五年将对证明细胞和基因疗法作为广泛适用的治疗方式是可持续的至关重要。

仅肿瘤学领域，目前就有超过 500 项基于复杂模式的项目正在临床前和临床开发中，到 2030 年可能有多达 80 项上市。在研发与开发中嵌入数字化和解析学，对于促使项目成功和为患者提供价值至关重要。人工智能和先进分析将通过提高速度、减少临床失败、降低整个研发价值链的成本以及实现可持续的技术平台，成为提高细胞和基因疗法价值链研发投入回报的重要推动者。

资料来源：McKinsey&Company [EB/OL]. (2022-11-16) .[2022-12-09].

<https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/how-ai-can-accelerate-r-and-d-for-cell-and-gene-therapies>

研究进展

早期诊断阿尔茨海默病及基因治疗方案取得突破

阿尔茨海默病（AD）的诊断和治疗面临巨大挑战，患者常在晚期才被确诊。记者 5 月 12 日从香港科技大学获悉，由该校成立的香港神经退行性疾病中心研究团队在研发早期诊断 AD 及基因治疗方案方面取得突破，建立了一套人工智能风险预测评分系统，可用于预测人们患上 AD 的风险，有望为疾病管理带来变革。

AD 是一种严重的神经退行性疾病，也是最常见的认知障碍症，至今仍未有有效的治疗方法。目前，AD 的诊断和治疗面临巨大挑战，早期诊断至关重要。研究发现，生物标志物对于 AD 早期诊断具有重要作用。

据了解，香港神经退行性疾病中心致力推动神经退化性疾病研究及科研成果转化，以发展成为世界领先的科研中心。该中心目前已完成了全球首个针对中国人群 AD 全基因组测序研究，并建立起首个全面的中国人群 AD 患者基因数据库，同时发现了 AD 相关的遗传风险因子，这些成果推动中心设立了创新而可靠的生物标志物开发平台。

香港科技大学晨兴生命科学教授、香港神经退行性疾病中心主任叶玉如表示，该中心团队已建立了先进的生物标志物开发平台，识别出新型的血液生物标志物，并设计了一套创新的人工智能 AD 评分系统，可用于预测罹患 AD 的风险，早期诊断以及划分患病的阶段。团队还成功研发新型基因治疗策略，有助治疗 AD。

据介绍，香港神经退行性疾病中心的跨学科研究团队，由来自香港科技大学、伦敦大学学院及史丹福大学医学院的国际知名科学家组成，正合作展开一系列前沿研究，包括研发新型生物标志物、识别治疗靶点和系统因素，以及推动神经退化性疾病诊疗方法的发展。

研究团队在中国 AD 患者基因研究的基础上，进一步利用人工智能技术，开发出首个基于深度学习的多基因评分系统，用以预测罹患 AD 的风险；成功识别出血液蛋白生物标志物，并构建了特定的生物标志物组合，只需一滴血，即可筛查出 AD 患者，以及评估其病情发展阶段。

研究团队还致力研发新的 AD 治疗策略，尤其是基因疗法。团队近期开发出全新的运送工具，不仅可以跨越血脑屏障，还可以通过单次、无创的静脉注射，

将优化的基因编辑工具运送到整个大脑，实现高效的全脑基因编辑。借助这项技术，团队有效破坏 AD 转基因小鼠模型中的 AD 基因突变，并在全脑范围改善 AD 的病理症状。团队正开展研究，在非人类灵长类动物身上作临床前测试，进一步评估此技术的特异性和安全性。

资料来源：中国科学报[EB/OL]. (2022-05-12) .[2022-12-08].

<https://news.sciencenet.cn/htmlnews/2022/5/478936.shtml>

人工智能改善细胞和基因治疗产品的质量控制

ATMP 质量控制的未来概览

在 20 世纪 80 年代，基因工程的进步彻底改变了制药业，并创造了一种新的药物类别：生物制药。这一发展为自身免疫性疾病和癌症带来了许多突破性的治疗方法，并为目前针对 Covid-19 开发的 RNA 疫苗奠定了基础。

在过去十年中，技术进步创造了另一种有可能以类似方式影响制药业的新型药物：基于细胞的医药产品(CBMP)。CBMP 属于一大类先进治疗药物产品(ATMP)，并且基于来自患者自身或健康供体的活细胞。在大多数情况下，这些细胞经过基因修饰（例如，通过病毒载体）以发挥其治疗作用。

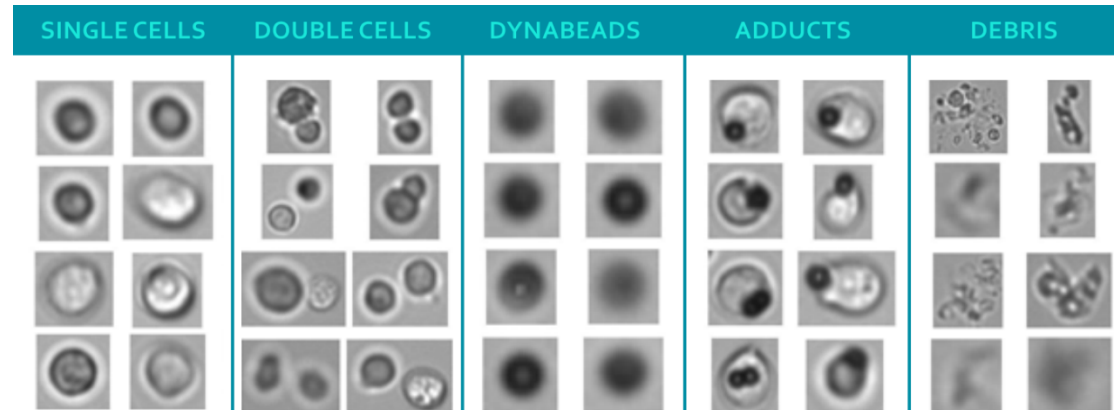
质量控制对 CBMP 至关重要

CBMP 的一个突出例子用于治疗癌症：嵌合抗原受体 T 细胞，也称为 CAR T 细胞。一般来说，T 细胞控制和指导免疫反应，是我们免疫系统的重要组成部分。在 CAR T 细胞免疫疗法期间，从患者身上采集幼稚（=未成熟）T 细胞并转移到实验室进行基因改造。修改后的基因将肿瘤特异性受体添加到 T 细胞表面，当将 CAR T 细胞回输给患者时，它们将诱导针对肿瘤的免疫反应。

对于所有医药产品，这种个性化医疗需要满足一定的质量标准。他们对 CBMP 的普遍实施是关键领域之一，正在对其进行广泛审查以确保患者的安全。在文献中，经常提到将药物质量控制应用于 CBMP 的困难。工艺的复杂性和稳定性问题使得产品可比性、稳定性和相容性分析极具挑战性。最近发布了几份指南草案（即 EMA/CAT/852602/2018）以供公众咨询，旨在巩固该领域的知识，以制定改进的 CBMP 开发战略。

细胞杂质，如细胞聚集体和加合物，可以通过使用神经网络方法轻松分类

CBMP 的质量控制包括检测是否存在颗粒杂质。对于非细胞药物，可以通过小孔径过滤简单地去除不需要的颗粒。但由于 CBMP 中的活细胞可以大到 $30\mu\text{m}$ （T 细胞的大小约为 $10\mu\text{m}$ ），过滤不是一个有效的选择。值得关注的是在 T 细胞激活过程中添加到 CBMP 中的微米级颗粒，例如 Dynabeads（ $4.5\mu\text{m}$ ）。由于存在一定毒性的风险，必须通过分析确认它们的存在（通过磁力去除后）。



该图显示了流式成像显微镜（FIM）拍摄的 CAR T 细胞样本中的颗粒图像，FIM 是一种用于确定颗粒大小、量化和可视化颗粒的技术。单个细胞是 CBMP 所需的化合物，而 Dynabeads 和加合物（Dynabeads 和细胞的聚集）是不需要的。目前的质量控制协议使用手动显微镜，吞吐量低，分析样本量小。最重要的是，药品生产和给药之间的时间非常短，在此期间进行质量控制。这导致了对新的和改进的分析的渴望。这就是为什么 Coriolis Pharma 的研究人员与莱顿药物研究学术中心（荷兰 LACDR）和莱顿大学医学中心（荷兰 LUMC）探索了提高 CBMP 颗粒分析速度、准确性和通量的方法。

首席科学家 Adam Grabarek 周围的研究小组使用 Jurkat 细胞和 Dynabeads 获得了图中所示所有粒子类型的代表性明场图像。为了将图像分类为单细胞、Dynabeads 和加合物，研究人员使用了手册以及基于卷积神经网络（CNN）方法的机器学习方法。对于手动方法，该团队应用了形态学参数的统计分析，例如大小、强度、纵横比和分类凸度。对于 CNN 方法，科学家们应用了预训练 VGG-19 网络的迁移学习，该网络使用标记粒子图像的数据集进行了改进。

人工智能优于手动方法

颗粒表征分类基于细胞的医药产品 CBMP 研究人员可以证明手动方法正确识别了 ca。然而，在细胞、珠子和碎片的混合物样本中正确识别珠子的能力急

剧下降。相比之下，CNN 方法能够正确识别具有单个粒子群的样本中>98%的珠子和细胞，并且对于由上图中显示的所有类别的粒子组成的样本，准确度保持相似。该团队最近在 *Cytotherapy Journal* 上发表了他们的所有结果。

“在我们的研究中，我们开发了一种基于 FIM 和 CNN 的可靠方法，用于检测、表征和量化相关颗粒杂质，特别是 Dynabeads。”亚当格拉巴雷克说。“我们证明可以在细胞悬浮液中检测到少量 Dynabeads，并且可以实现高精度计数 [...]。此外，使用 CNN 可以轻松对细胞和细胞杂质（例如细胞聚集体和加合物）进行分类。”

目前正在进行进一步的研究，以增强流动成像的能力，并结合机器学习对其他细胞系和颗粒类型的研究。该研究小组还希望其他团队能够评估他们的方法。这可以增加对分析方法的信心和理解，并可以支持其在产品开发中的使用以及支持制造过程控制。Adam Grabarek 解释说：“目前，我们还不知道其他具有类似性能的方法，我们相信 CBMP 的开发可以从我们的方法中受益。”

资料来源：Coriolis Pharma [EB/OL]. (2022-06-23) .[2022-12-08].

<https://www.coriolis-pharma.com/about-us/publications/ai-improves-quality-control-cell-and-gene-therapy-products>

人工智能如何降低细胞和基因疗法的制造成本

细胞和基因疗法是令人兴奋的新治疗范式，可针对多种适应症提供治愈性或潜在治愈性治疗，其中许多适应症对传统方法有抵抗力。然而，先进疗法的采用受到其高成本和随之而来的患者接触不良的限制。造成高成本的最重要因素之一是制造治疗的困难。Cambridge Consultants 一直在研究人工智能（AI）如何在降低细胞和基因疗法的制造成本方面发挥作用，从而让更多迫切需要这些疗法的患者能够获得这些疗法。

有许多小组在小分子和生物制剂的经典药物开发以及 CAR-T 疗法中的 CAR 结构设计等方面使用 AI。在基因治疗方面，还可以使用 AI 设计改进版的酶，以帮助克服患者的代谢缺陷。以这种方式使用 AI 进行蛋白质设计以提高酶的效率在工业生物技术领域已有很长的历史记录，但现在才刚刚开始应用于治疗开发。

人工智能开始产生回报的另一个重要方面是药物开发过程中的分析甚至实

验设计，允许探索 DOE 空间以开发最有效的治疗实体。

自体细胞疗法

产品制造是一个众所周知的问题，特别是在细胞疗法中，在某些情况下，患者自己的细胞被用作制造治疗产品的起始材料，这意味着只有一种产品的批量大小。在这些自体细胞疗法中，输入材料-从患者收集的白细胞，在质量、增殖潜力和活性方面可能会有很大差异。制造过程很难应对输入材料规格缺乏定义的问题。

我们看到，导致细胞疗法制造成本的一个重要因素是批次失败，其原因有很多，但肯定的是，输入材料的这种可变性是一个主要因素。使用 AI 来表征这些输入材料，以更好地预测细胞在制造过程中的生长方式，并在制造过程中尽早识别出不符合产品放行规范的批次，然后才产生全部制造费用，这是非常有吸引力的前景。

在这种情况下，人工智能的另一个令人兴奋的方面是能够将来自不同硬件平台上不同患者的不同细胞类型的制造过程中的大型数据集汇集在一起。这提供了更普遍适用于一系列治疗方法的理解和见解，进而在生物反应器中培养细胞以制造治疗产品时会产生更好的结果。这些数据可能导致无需用户干预的人工智能驱动的实时协议修改，从而减少昂贵的劳动力并实现更自动化的制造过程。出于这个原因，我们看到生物反应器公司越来越多地将人工智能作为其过程控制的一部分。

当然，一位患者与另一位患者之间的差异不仅仅影响制造的成功。不同的患者有不同的疾病严重程度，这对先进疗法成功治疗的可能性有很大影响。用于理解诊断数据以及如何将其应用于患者分层和选择（例如在临床试验中）的 AI 模型可能是一个强大的工具。它将帮助我们更快地了解哪些患者群体应该使用昂贵的新细胞和基因疗法。

资料来源：Cambridge Consultants [EB/OL]. (2022-08-18) .[2022-12-09].
<https://www.cambridgeconsultants.com/cn/node/38711>

企业合作

Cyagen 和 Neurophth 利用 AI 开发眼疾基因治疗的 AAV 载体

赛业生物科技 (Cyagen) 是一间总部位于加利福尼亚州圣克拉拉的委托研究机构 (Contract Research Organization, CRO)，近日宣布和中国的纽福斯 (Neurophth) 公司达成一项交易，双方将共同开发下一代腺相关病毒 (adeno-associated virus, AAV) 基因治疗载体，治疗眼睛的遗传性疾病，估计交易价值约 1.4 亿美元。

交易内容

在这项合作中，Cyagen 将利用人工智能驱动 AAV 载体侦测平台，识别出能以更高效率和专一功能瞄准目标组织的 AAV 载体。

两间公司都将在啮齿类动物及非灵长类动物 (NHP) 模型中评估这种壳体的功能和特性，而 Neurophth 将接手此交易中基因治疗产品的临床试验和商业化发展，并已经承诺支付 Cyagen 研究费和阶段性临床试验里程碑金，以及可能超过 1.4 亿美元的销售权利金。

AI 加速下一代 AAV 载体研发与试验进行

Cyagen 的 AAV 侦测平台使用人工智能及单细胞转录组定序 (Single cell RNA Sequencing) 技术，输入大量实验性数据来训练机器学习模型，并开发学习算法以加速 AAV 载体的认知功能和优化流程，除此之外，也希望透过更佳的组织靶向性克服传统 AAV 基因疗法的局限性。

Cyagen 进一步开发人源化动物模型，用于罕见病的临床前研究，并着重在遗传性眼睛疾病和神经系统失调 (nervous system disorders)。

Cyagen 的专业性与 Neurophth 开发基因疗法的眼科治疗的目标相辅相成。这家中国生物技术公司的主要候选药物 NR082，是用于治疗因 ND-4 基因突变导致的雷伯氏遗传性视神经病变 (LBON)，其已经在美国和欧洲获得了孤儿药 (Orphan Drug) 资格。这也是中国第一个获得中国药品监管机构 NMPA 批准的基因疗法。

资料来源: GENE ONLINE[EB/OL]. (2022-11-11) .[2022-12-08].
<https://geneonline.news/cyagen-neurophth-ai-aav-capsids/>

本导基因与数因信科签署人工智能与基因治疗战略合作

近日，上海本导基因技术有限公司（以下简称“本导基因”）与上海数因信科智能科技有限公司（以下简称“数因信科”）达成战略合作，双方将在基因治疗与人工智能领域建立长期全面的战略合作关系。

根据协议，数因信科将为本导基因提供包括但不限于疾病靶点发现、基因治疗载体靶向性预测与设计、核酸药物设计等技术服务；本导基因将基于数因信科的需求，为其提供靶点或药物验证、载体平台等技术服务。

此次，是两家交大系企业的专业联合，双方的科学家和技术专家将并肩协作，进一步发挥各自在平台型基因递送技术与人工智能核心算法领域的优势，共同引领基因治疗与人工智能在遗传性、获得性、感染性、肿瘤等难治性重大疾病领域的应用，开发出具有真正意义的 first-in-class 基因治疗药物。

本导基因创始人兼 CEO 蔡宇伽博士表示：“基因治疗创新药物研发是本导基因的核心能力之一，人工智能平台作为变革性的创新技术，能助力基因治疗载体设计、加强创新靶点发现、加速药物开发、降低研发成本。数因信科拥有业内领先的核心算法，相信与数因信科的合作将进一步提升本导基因创新药物的研发能力和速度，开发出更安全、更有效的差异化基因治疗创新药物。”

数因信科创始人兼 CEO 袁野博士表示：“数因信科追求药物研发范式理念的改变，借助 AI+高通量技术，实现真正彻底的端到端药物研发。继 AI+小分子药物之后，AI+核酸、AI+基因编辑已经开始展现无穷的发展潜力，AI 带来的创造力令人兴奋。AI 需要结合合适的应用场景才能发挥威力，本导基因拥有行业领先的基因编辑、基因导入平台，非常适合引入 AI 技术带来进一步创新。数因信科将为本导基因提供定制化的 AI 解决方案，助力本导基因在平台、管线方面进一步取得突破性进展；并为双方后续的管线合作打下基础。”

本导基因

本导基因是一家基因治疗创新药物研发商，拥有 VLP mRNA 递送平台、下一代慢病毒载体平台、基因编辑平台，致力于为眼科、神经系统、造血系统、肿瘤以及病毒感染等多领域的难治性疾病开发具有全球意义的创新药物。在国际上率先开展了抗病毒体内基因编辑治疗的临床研究，在眼科与血液系统疾病的基因

治疗上也取得重要的临床突破。公司的核心技术发表在 Nature Biotechnology、Nature Biomedical Engineering 等期刊上。

数因信科

数因信科是一家利用人工智能技术进行创新药物研发的高科技企业。公司借助基于生物信息的自有创新技术，加速疾病靶点发现、药物设计、药效预测等各阶段进程，建立了高效、可拓展、多管线的 AI 药物研发平台闭环。公司药物设计平台已经取得了全球领先的验证结果，相关技术成果发表在 Science、PNAS、Cell Reports、Genome Biology、NAR 等期刊上。

资料来源：本导基因[EB/OL].（2022-12-05）.[2022-12-08].

<https://www.bdgenetherapeutics.com/news/81.html>

