

耳聋·基因治疗

钟桂生
2021/12



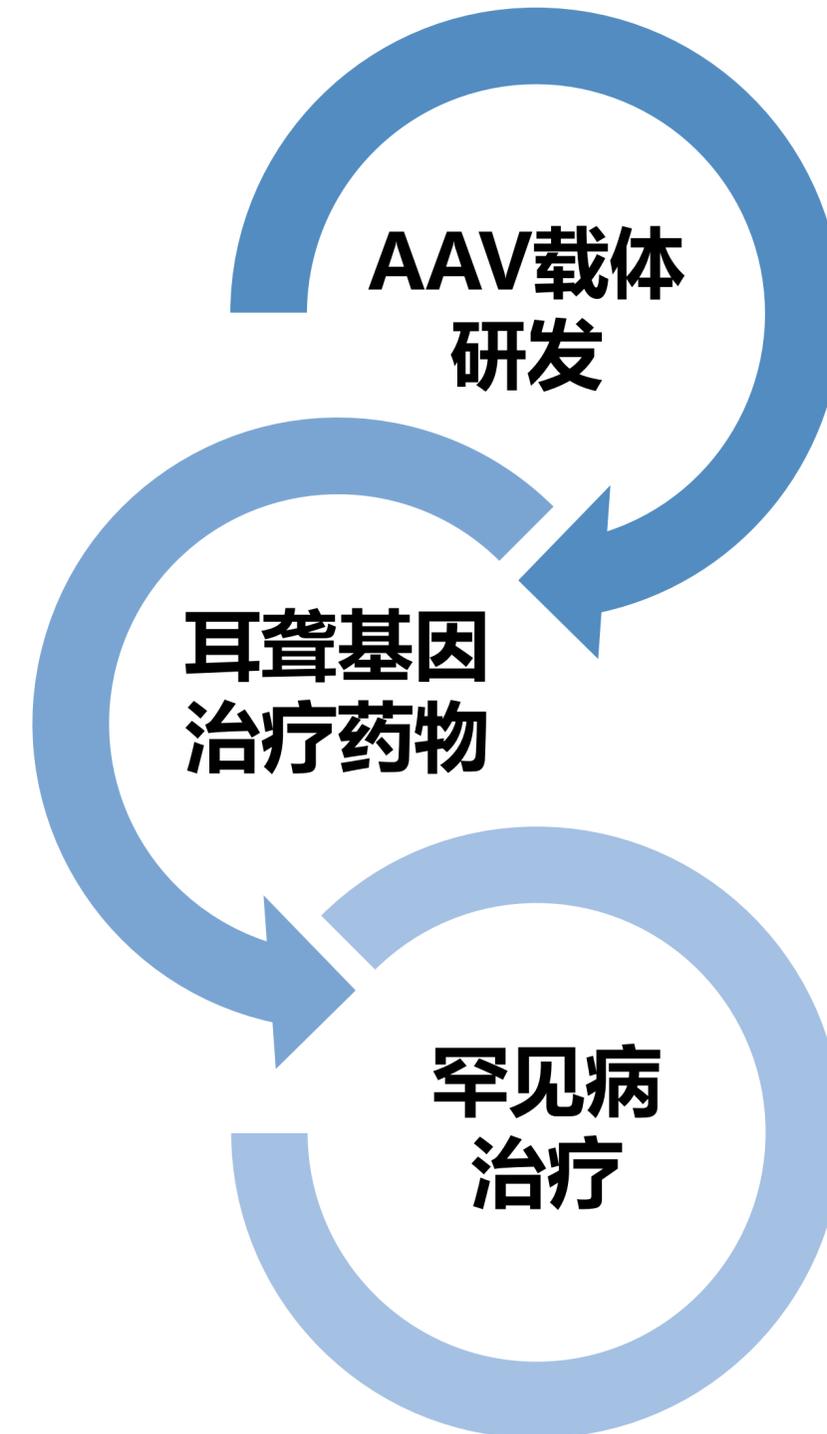
玮美基因
EmayGene

玮美基因

耕拓医药未来,

让每个人都能体会生命的美好

- **公司名称：玮美基因科技有限责任公司**
- **成立时间：2021年9月18日**
- **创始人：钟桂生**
- **研发方向：腺相关病毒载体（AAV）递送平台；耳聋基因治疗；罕见病基因治疗药物的研发。**



创始人简介



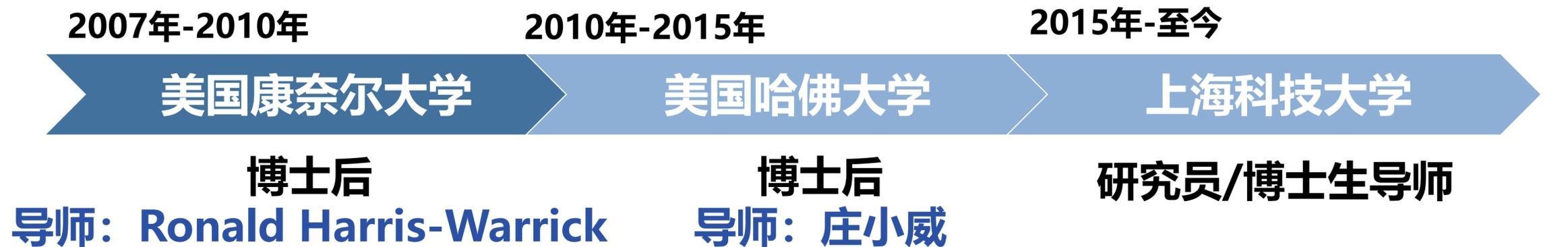
钟桂生



学习经历



工作经历



罕见病治疗是医学发展的赛道

全球有约**4亿**罕见病患者

已确定 **7000** 多种罕见疾病

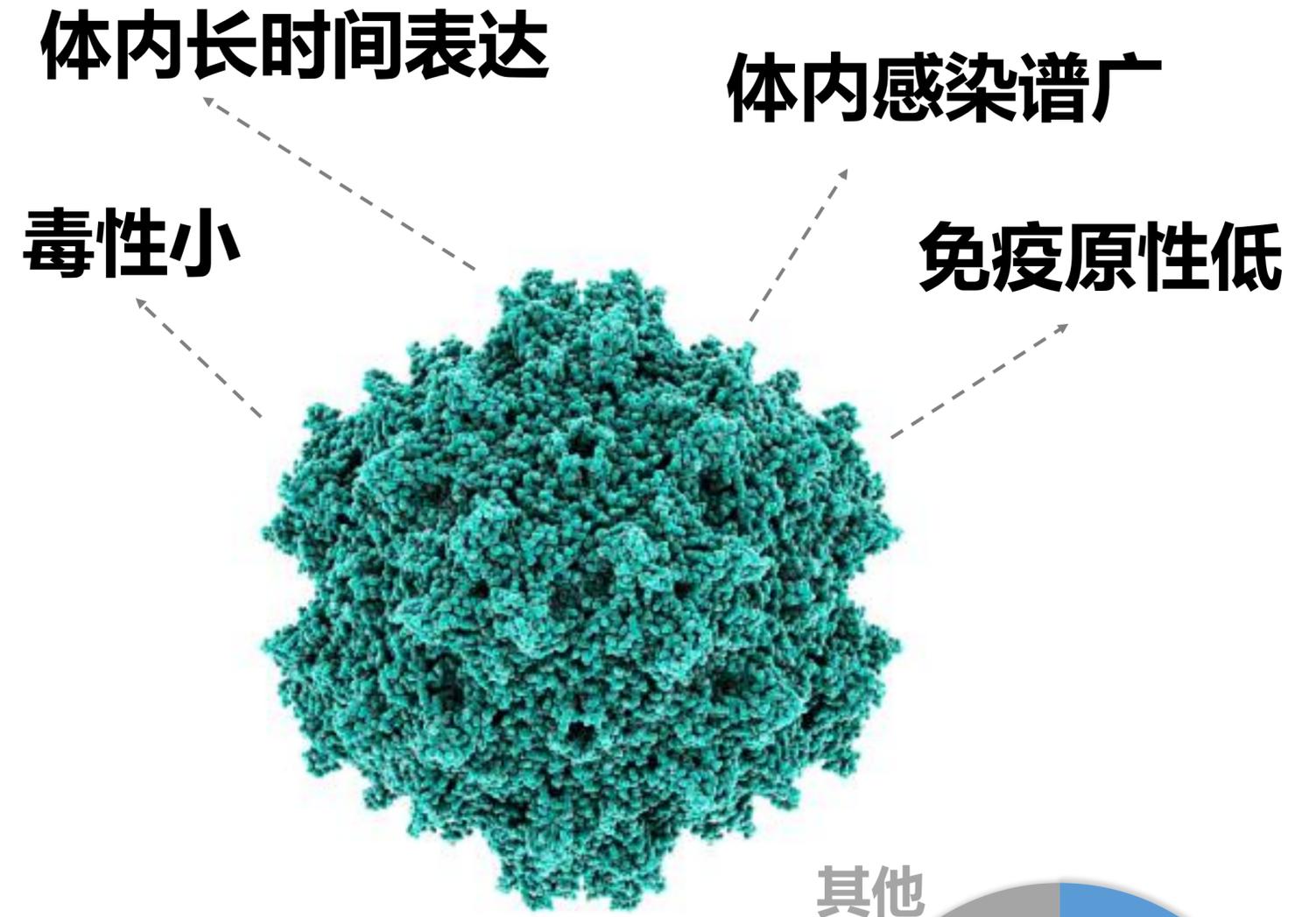
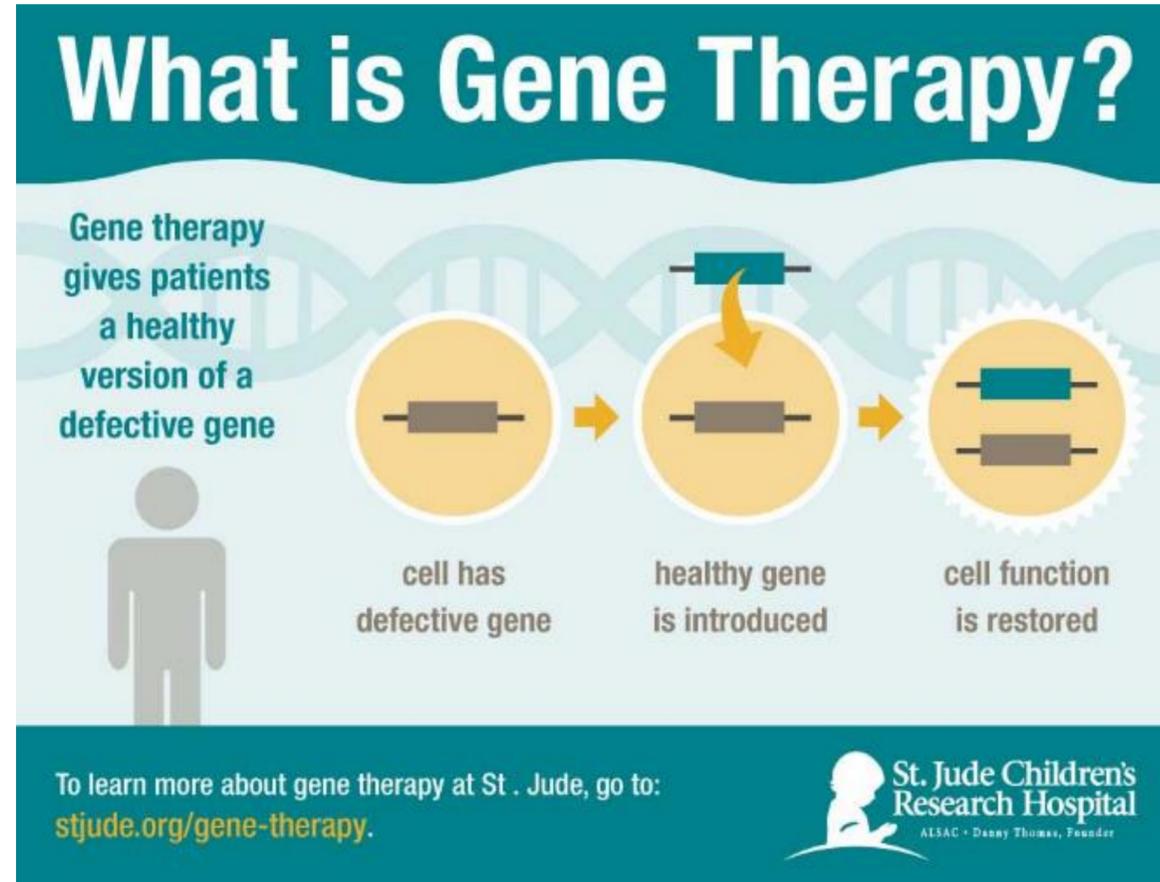
影响全球约 **8%** 的人类

占全人类疾病的 **10%**

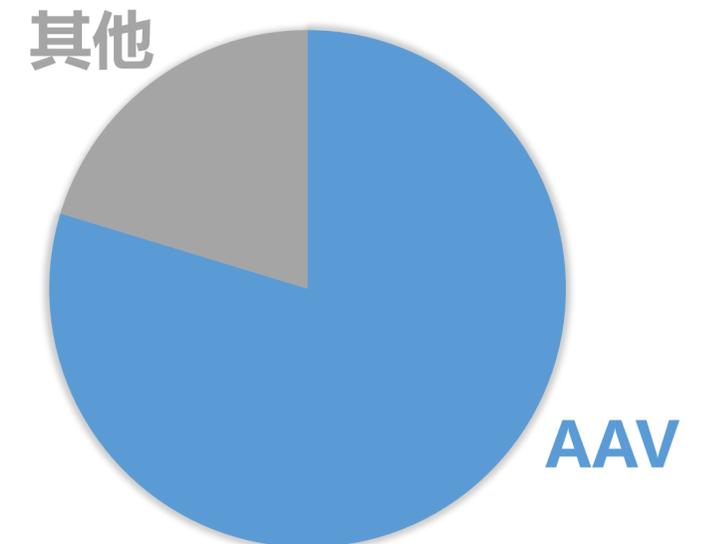
罕见病几乎都是先天基因突变引发

30% 的罕见病患者在**5岁**之前去世

希望之光：基因治疗



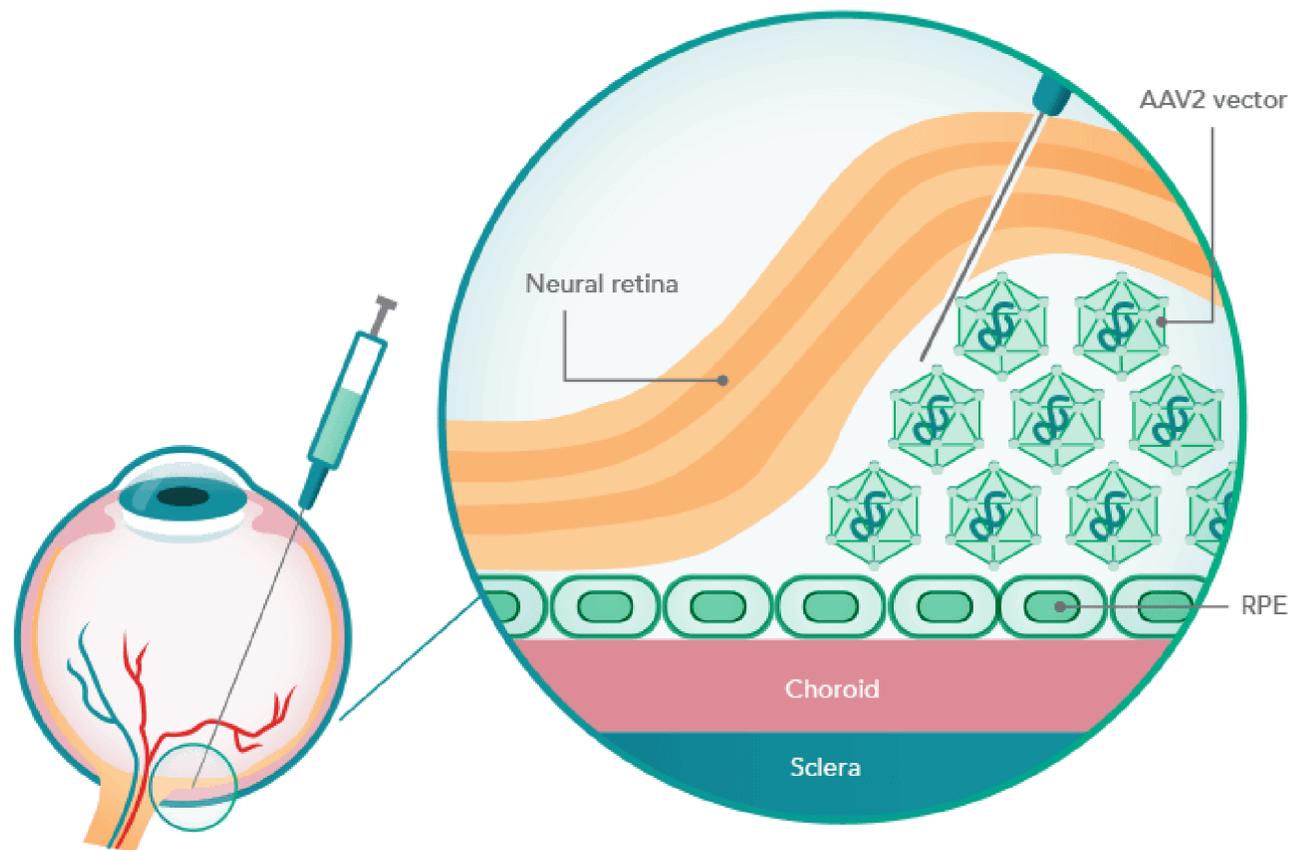
AAV是基因治疗的明星载体



➤ **基因治疗**将外源正常基因导入靶细胞以纠正或补偿缺陷和异常基因引起的疾病，达到治疗目的

基因治疗的蓝海广阔

Spark基于AAV2的眼科基因治疗



罗氏 (Roche) 公司2019年以约**43亿美元**的价格收购Spark公司及其基因疗法产品和研发管线。

仅有**2款**基于**AAV**病毒载体基因药物。

基因治疗罕见病的市场潜力和紧迫性

周末重磅! CDE发布基因疗法3大指导原则

药通社 2021-12-03 17:56

药通社
Newswire

药通社

药通社: 政策、资讯、产业、技术

139篇原创内容

公众号

导读: **CDE发布基因疗法3个指导原则**

1. 基因治疗产品非临床研究与评价技术指导原则 (试行)
2. 基因修饰细胞治疗产品非临床研究技术指导原则 (试行)
3. 基因治疗产品长期随访临床研究技术指导原则 (试行)

耳聋的基因治疗需求巨大



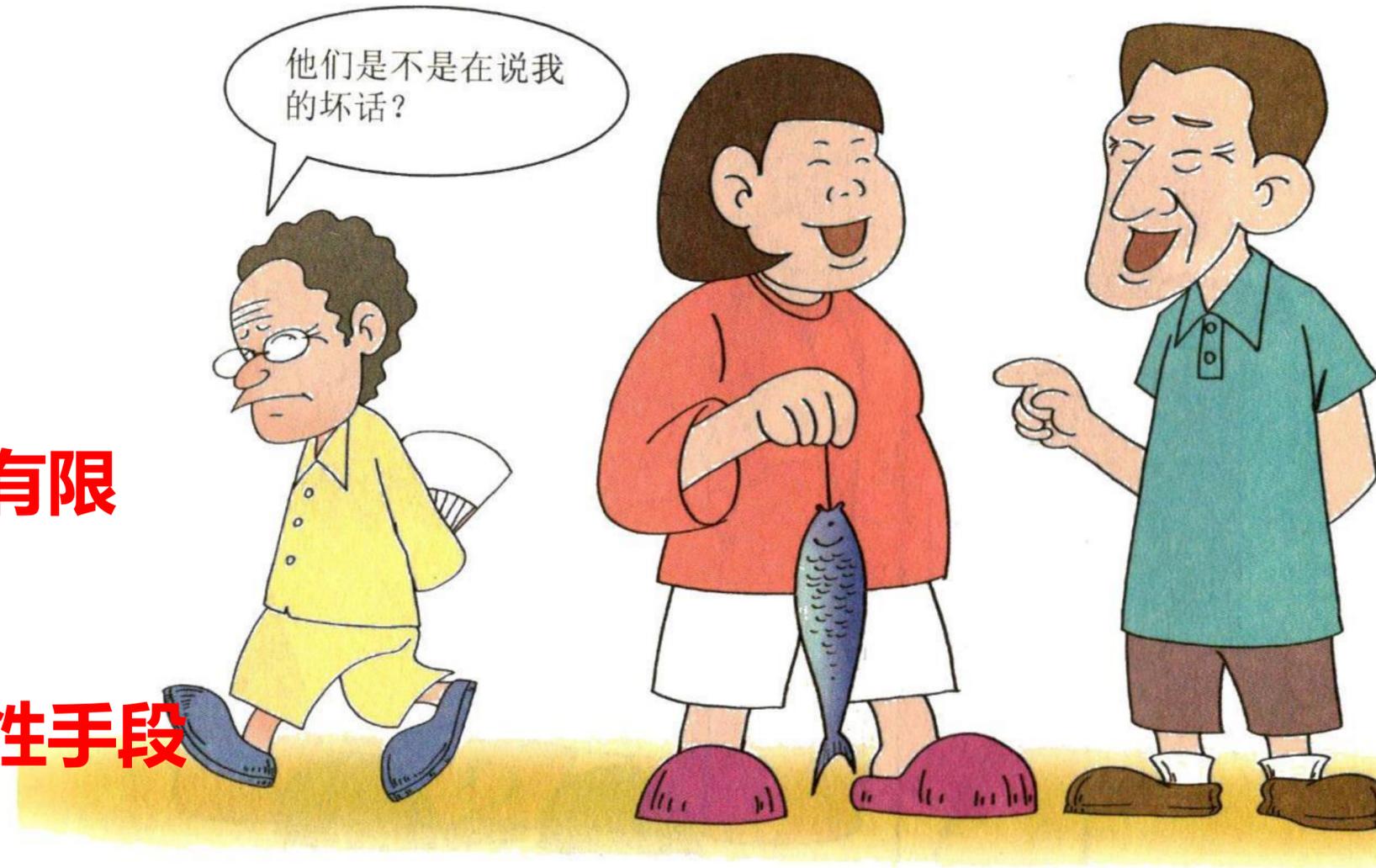
耳聋诱发多种神经系统疾病

1. 耳聋是一种常见的感觉神经系统疾病；
2. 据WHO统计耳聋已成为我国**残疾之首**；
3. **老年化，药物，噪音以及遗传因素**都会导致耳聋，目前临床上**暂无有效的治疗手段**；
4. **耳聋防治**已是医药健康领域的重大需求。

当前耳聋治疗的痛点

痛点一

- 临床急需
- 临床治疗手段有限
- 缺乏药物治疗性手段



痛点二

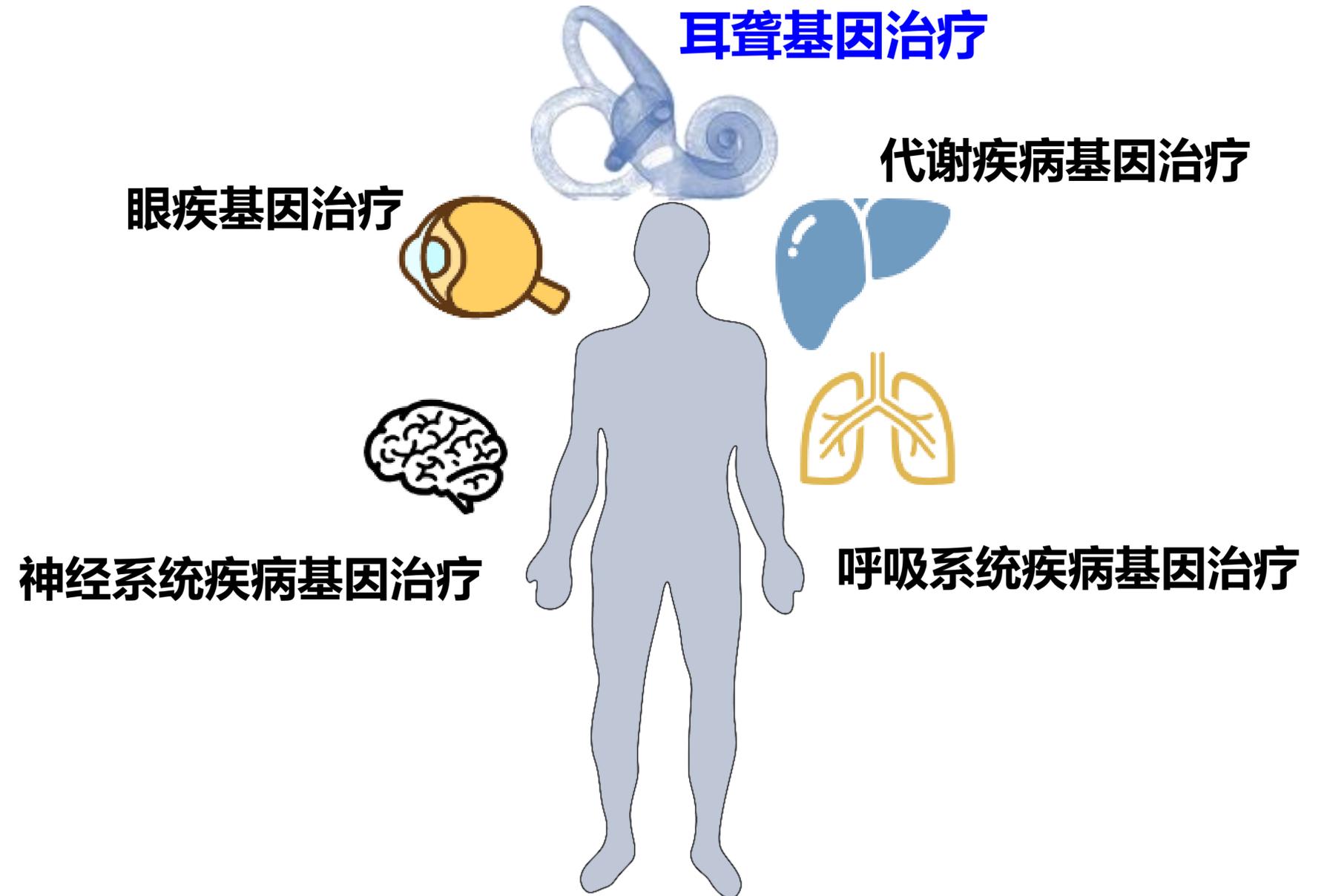
- 缺少有自主知识产权的AAV载体
- 缺少能高效感染内耳组织的AAV载体
- AAV规模生产技术

玮美-AAV基因递送平台

AAV载体平台



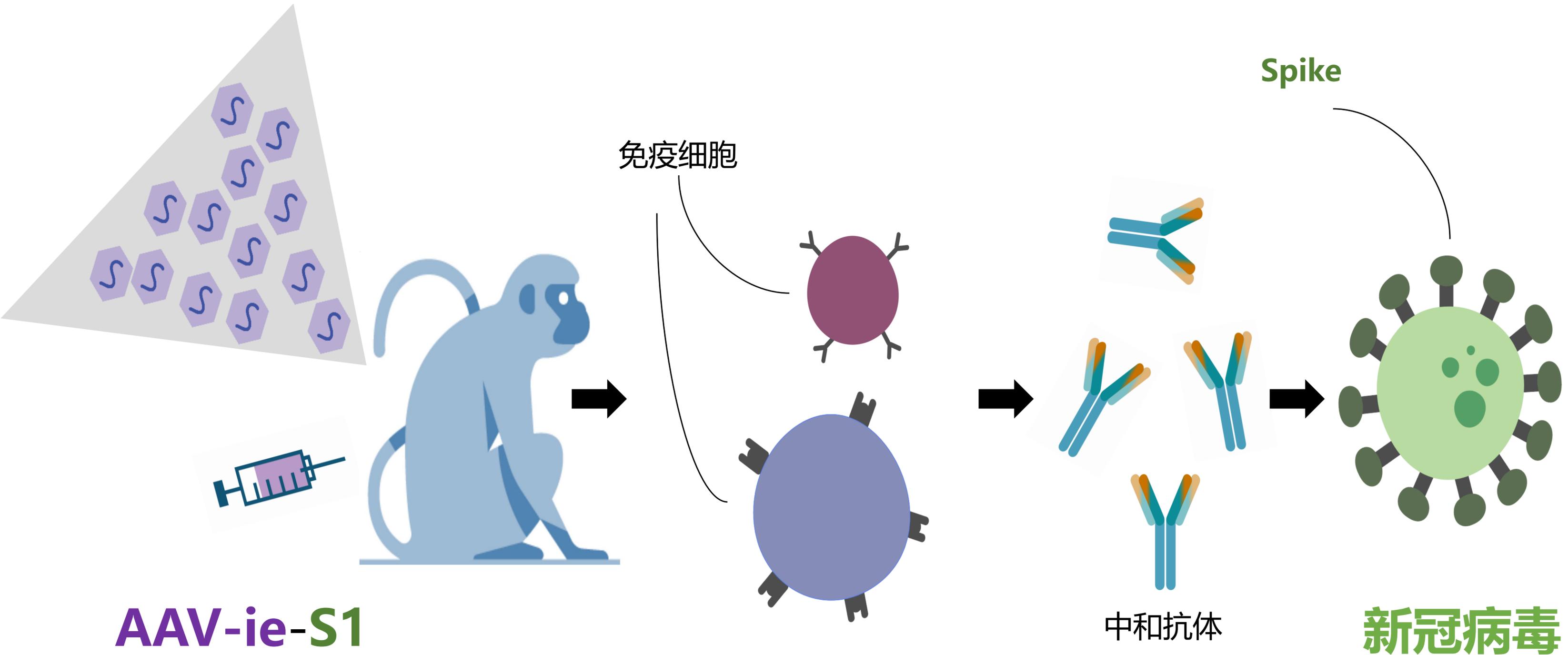
AAV载体平台的应用



AAV-**ie**(inner ear)是我国学者第一个自主命名的AAV载体
申请了发明专利, 以及PCT。

和国内外数家基因治疗公司洽谈基因递送载体的转让和战略合作

玮美-AAV-ie作为疫苗递送载体



AAV-ie高效感染肌肉，可以作为新冠疫苗的载体申请了发明专利，
和疫苗公司谈专利转让合作

玮美-耳聋药物研发管线-GJB2/SLC26A4/OTOF

基因治疗有望在耳聋疾病取得突破：耳聋治病机制、耳蜗的特征

2019年韩德民院士主导了一项大型临床检测实验，针对180,469个北京新生儿进行基因筛查，发现**4.508%** (8136/180469) 的新生儿携带听力损失相关基因突变，其中携带**GJB2**基因突变的占比高达**52.41%**，携带**SLC26A4**基因突变占比**34.75%**，两者合计**86.84%**

PROGRAM	TARGET ID & VALIDATION	DRUG DISCOVERY	IND ENABLING STUDIES(GLP)	PHASE1
AAV-WM1- GJB2				
AAV-WM2- SLC26A4				
AAV-WM3- OTOF				

AAV-**ie**(inner ear)可以高效靶向耳蜗表达**GJB2/SLC26A4**的细胞类型

玮美-耳聋药物研发管线-Atoh1-Wnt

诺华耳聋基因治疗 CGF-166临床试验 Ad5-Atoh1



summer of 2014 at the University of Kansas Medical Center. The one-shot dose is 20 microliters, or about half a droplet, which matches the volume of a cochlear implant device.

With this experimental drug, Staecker speculates that someone like the firefighter with severe hearing loss might improve to moderate hearing loss, potentially becoming a good candidate for a hearing aid, a solution that could provide more natural sound quality than a cochlear implant. A person with moderate loss might move to mild loss or normal hearing. Evaluation of the first patient will begin in a few months, but trial results are not expected for several years. Only then will researchers have a clear picture of the drug's efficacy and safety in patients.

2014年-无限希望和期待

Looking further into the future, if the trial results should be positive, this experimental drug might also pave the way for the development of a host of inner-ear medicines to treat hearing and balance troubles.

2020年-失望和展望



Andres Godinez/Flickr

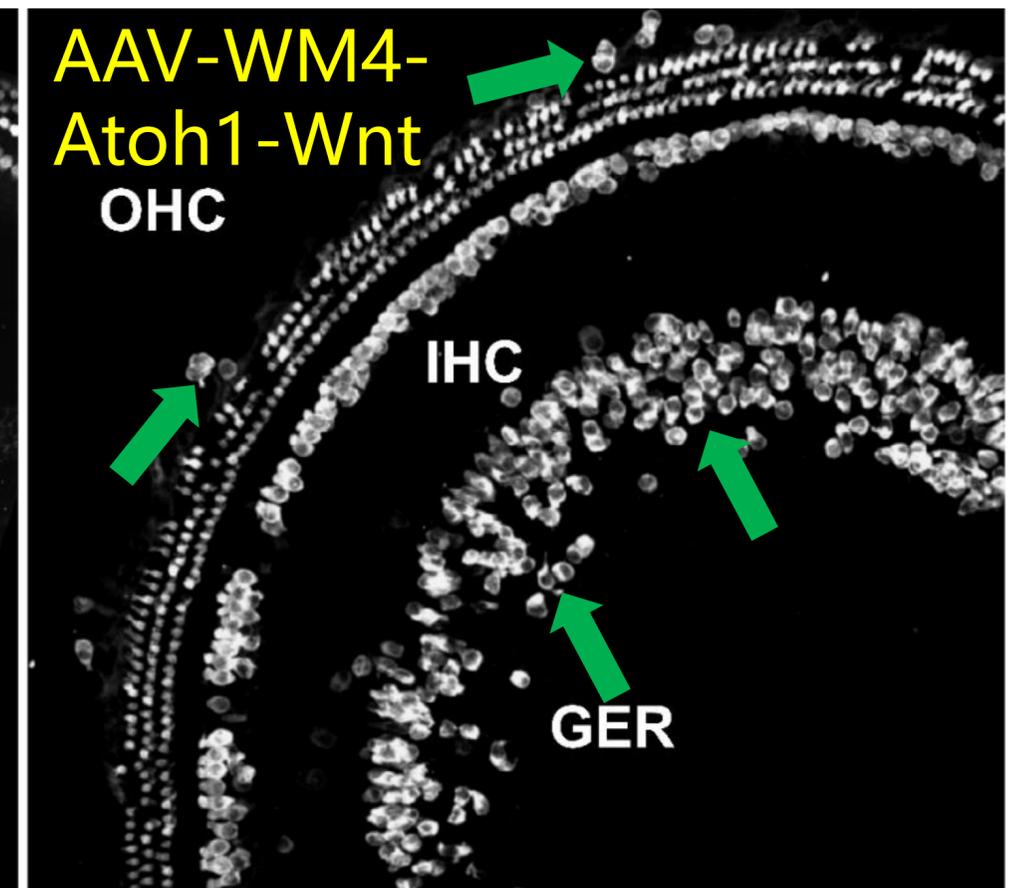
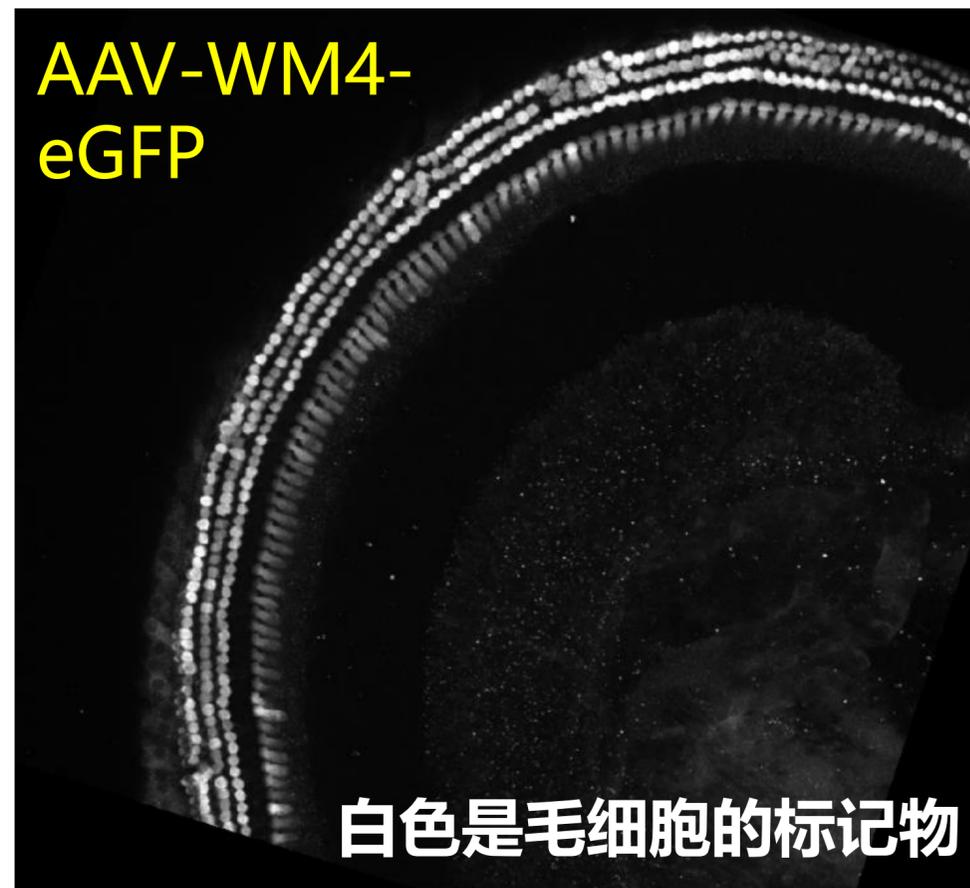
It held the promise of restoring lost hearing by prompting dead hair cells in the cochlea to revive and regrow but that hope has now been put on hold.

Pharma giant Novartis has suspended the clinical trials of the experimental treatment CGF166. One of the lead investigators, Columbia University's Dr. Lawrence Lustig, says, "We were not getting the results we'd hoped for."

成年毛细胞再生是耳科基础和转化研究的重大科学问题，到目前为止没有实质性的突破

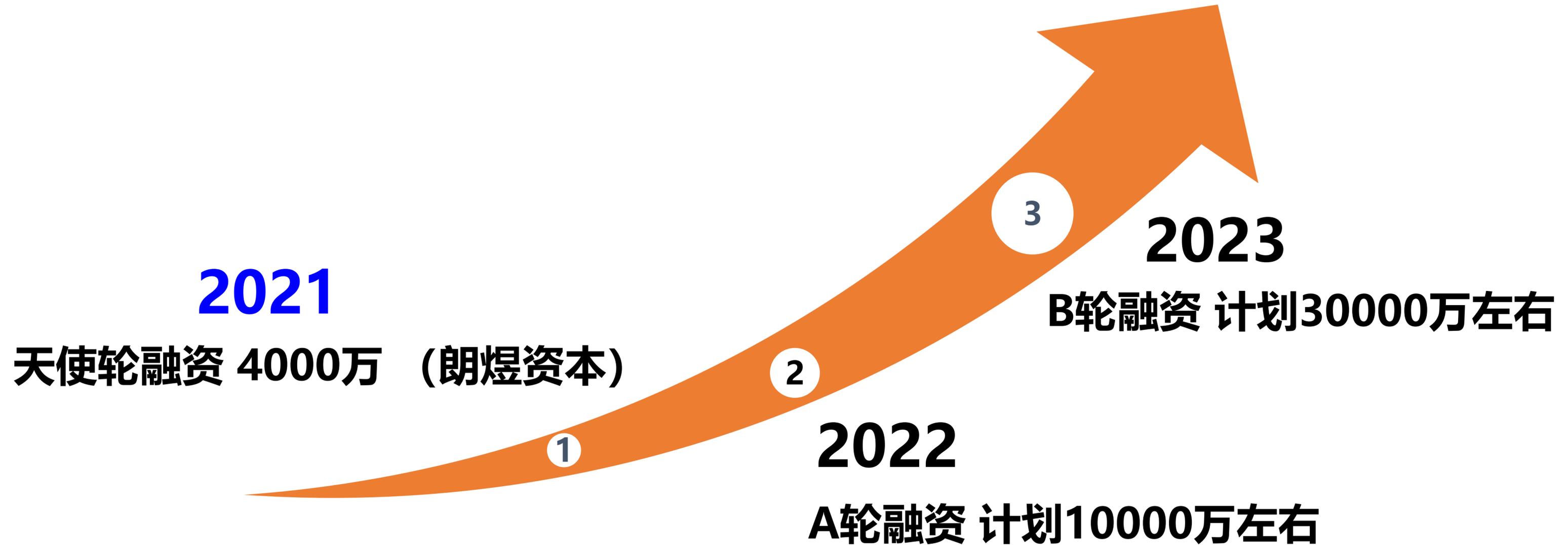
- 1) 研发新型AAV
- 2) 细胞再生因子的鉴定

成年毛细胞再生



我们的耳聋产品有潜力可以覆盖遗传性或者获得性导致的听力疾病

玮美-发展融资计划



2021年底进驻张江药谷孵化器

玮美-愿景

寂静黑暗的世界



有声有色的世界



玮美基因
EmayGene



感谢您的倾听和指导

