



# CRISPR组学药筛平台和AD靶向药物研发

赛瑞诚（苏州）生物科技有限公司

# 行业分析

## 社会

- ◆ 中国是唯一老年人口超过2亿的国家，老年人口基数大、增长快，老年疾病医疗需求增长迅速
- ◆ 退休延迟，老年人看护压力激增，伴随老年人自理需求持续上升
- ◆ 国民对AD/PD认知能力越来越充分

## 经济

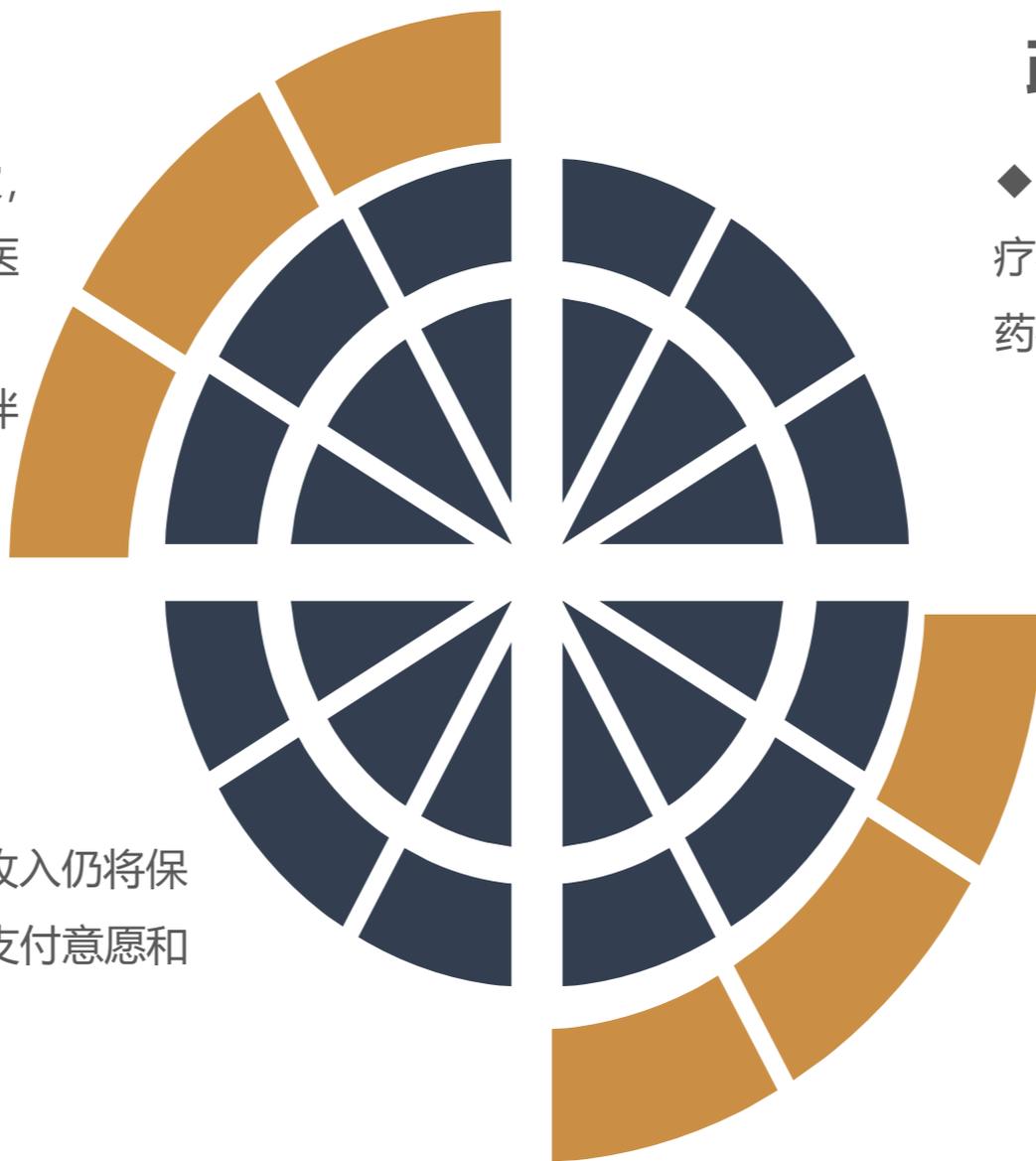
- ◆ 未来中国的经济体量及居民可支配收入仍将保持较高的增长速度，老年人及家属的支付意愿和支付能力在不断提高

## 政策

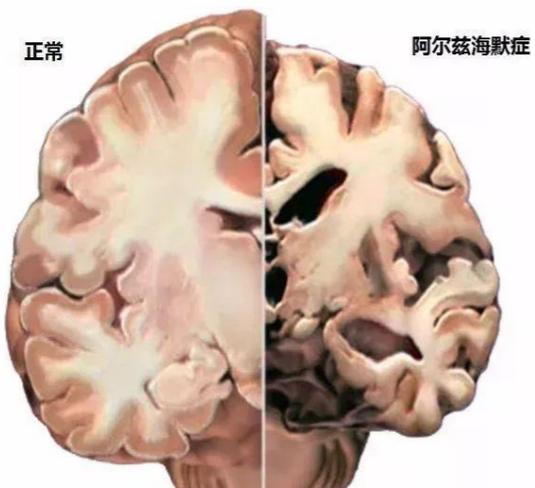
- ◆ 国家食品药品监管总局已将诊断或者治疗老年人特有和多发疾病的医疗器械和新药列入优先审批程序

## 技术

- ◆ 随着对疾病分子机制的深入研究和分子诊断技术的不断进步，精准医疗已经成为未来医疗发展的重要趋势
- ◆ 基因编辑技术快速成长，在新型药物靶点筛选和靶向药物评价领域展现出优势
- ◆ **AD/PD目前尚无特异性靶向药物上市**

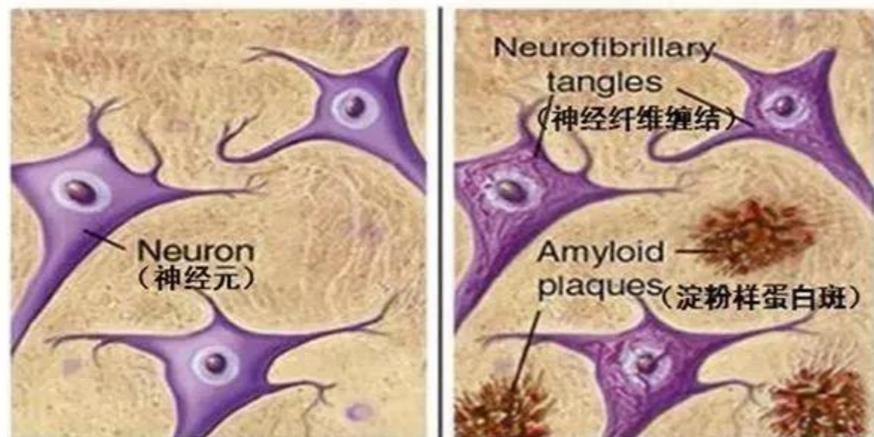


# 市场痛点—颠覆生活



正常

阿尔兹海默病



- 1、记忆丧失：阿尔茨海默病的主要症状，常逐步丧失记忆，因此很难发现。
- 2、家务障碍：倾向于简单重复，或突然忘记为什么要做手头正在做的事。
- 3、定时和定位障碍：不清楚当前的时间和位置。
- 4、人格改变：没有明确原因地沮丧、烦恼、恐惧或急躁。
- 5、问题解决障碍：过去很容易回答的问题现在却难以回答。
- 6、图像和空间障碍：失去空间立体感，对镜中的镜像很迷惑。
- 7、语言障碍：很多患者只是偶然出现语言错误，所以不易被察觉。
- 8、判断力障碍：缺乏自主判断。别人说什么就是什么，比如轻易给很多钱。
- 9、社交障碍：对于和他人打交道缺乏兴趣，拒绝群体活动。
- 10、放错东西：不记得东西放哪里，常以为丢了或被偷了。

# 市场痛点—临床困境

## 30年不变的治疗手段

### 1. 胆碱乙酰转移酶(AChE)抑制剂

- 他克林(tacrine)
- 多奈哌齐(donepezil, 安理申)

### 2. NMDA 受体拮抗剂

- 美金刚(Memantine)

### 3. 神经保护性治疗

- 维生素E
- 单胺氧化酶抑制剂:司林吉兰(selegillin)
- 银杏(*Ginkgo biloba*), 金纳多
- 脑复康
- 都可喜

方法学的突破  
治疗靶点创新

## 制药巨头多方突破, 寻求创新

➤2012年, 强生/辉瑞的单抗药物**bapineuzumab**在III期临床**惨遭失败**

➤2017年2月, 默沙东开发**BACE**抑制剂药物**verubecestat****宣布停止**

➤2018年6月, 礼来/阿斯利康**lanabecestat** (口服**BACE**抑制剂) 治疗阿尔茨海默病的全球III期项目**宣布终止**



# 产品全景

## 赛瑞诚科技产品地图

### 核心技术

#### AD/PD药物靶点及靶向药物

- AD治疗及检测靶点
- PD治疗及检测靶点
- AD靶向性治疗药物
- PD靶向性治疗药物

#### AD/PD等神经系统疾病精准检测试剂

- PCR技术平台
- 免疫荧光技术平台
- 基因芯片技术平台

- Paris检测试剂盒
- ApoE试剂盒
- PD外泌体试剂盒
- AD外泌体试剂盒
- AD/PD快速筛查芯片
- 常见精神疾病基因及基因分型筛查芯片

#### 基因编辑技术、产品及服务

- 人6000种常用基因编辑文库定制
- 泛素化修饰（615种）
- 磷酸化酶（198种）
- 表观遗传（507种）
- 激酶（477种）

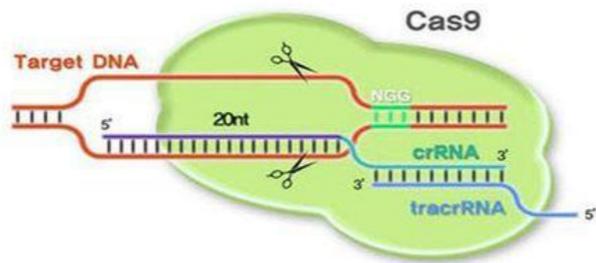
- 遗传疾病的基因治疗
- 药物筛选、研发
- 传染病的防治研究
- 临床及基础科学研究

#### 基因治疗

- 基因编辑工具酶及制剂技术
- 基因编辑核酸原件（sgRNA）筛选及鉴定技术
- 罕见病基因治疗技术研发（细胞及动物模型）

# 核心技术-方法学创新

## CRISPR 基因编辑组学



- 模式细胞株
- Crispr-cas9载体
- **编辑效率经筛选验证的、可自由组合的sgRNA文库 (核心原材料)**
- 稳定高效的基因检测方法 (转录组测序、QP array、基因芯片等)
- 生物信息分析

# 核心技术-生物材料创新

独有的生物学验证技术，实现**基因编辑核酸元件 (sgRNA)** 有效、高效编辑的同时，确保每个核酸元件仅对应一个功能基因。是市场上第一家提供独立、可自由组合定制的sgRNA编辑文库的企业。

**独立：** 每个功能基因经生物学实验筛选得到一个编辑效率最高的sgRNA，质粒单独保存，不与其他功能基因的sg混合。

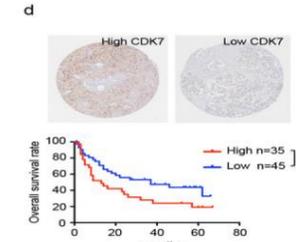
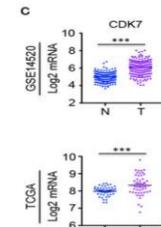
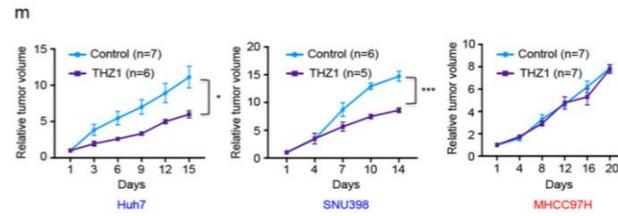
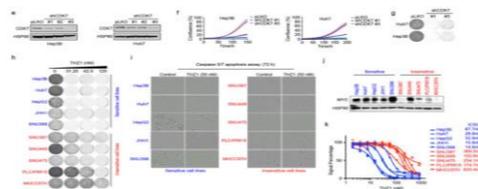
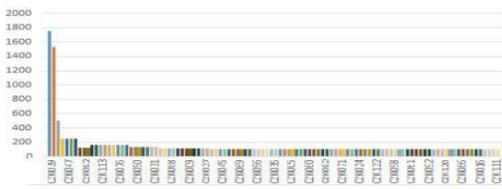
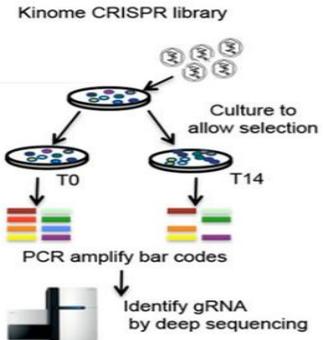
**自由组合定制：** 根据研究目的和筛选对象不同，可针对的设计panel，避免了每个研究、每次筛选都要从2万个基因的混合型大库起始的被迫性选择。



| Species | Genes  | gRNAs /gene | Total gRNAs |
|---------|--------|-------------|-------------|
| Human   | 18,080 | 4-6         | 90,709      |

1. 单个基因独立构建的
2. 每个基因筛选出一个高效sgRNA
3. 保证了sgRNA覆盖度和均一性
4. 文库大小可以根据需求定制，比如可以构建激酶文库、癌基因文库等等

1. 所有基因混合构建的
2. 每个基因通过计算机设计6-10 sgRNA，容量巨大
3. 基因的敲除效果未经验证，随着多次传代无法保证覆盖全基因组
4. 无法定制，只有全基因组一种形式



# 知识产权

|                         | 撰写文书     | 申请受理     | 实质审查 | 专利授权 |
|-------------------------|----------|----------|------|------|
| 一种基因编辑用sgRNA生物学筛选方法及其应用 |          | √ (升级优化) |      |      |
| 阿尔兹海默症敏感基因及其应用          | √ (专利沟通) |          |      |      |
| 帕金森综合症敏感基因及其应用          | √ (专利沟通) |          |      |      |
| 阿尔兹海默症靶向化合物及其组合物        | √        |          |      |      |
| PD基因芯片Panel             | √        |          |      |      |
| AD基因芯片Panel             | √        |          |      |      |

# 商业模式

| 产品类型       | 目标客户   | 销售模式                    | 预计收入占比            |
|------------|--------|-------------------------|-------------------|
| 检测产品       | 各级医院   | 重点医院自建销售网络<br>其他通过代理商渠道 | 预计2022年底占比30%     |
|            | 区域检验中心 | 代理商渠道                   |                   |
|            | 保险机构   | 直接销售                    |                   |
|            | 体检机构   | 直接销售                    |                   |
| AD/PD研发    | 大型药企   | 合作开发/授权转让               | 前期平稳增长<br>后期爆发式上升 |
|            | 重点医学院校 | 临床科研/学术合作               |                   |
| 基因编辑组学新药研发 | 大型药企   | 合作开发/授权转让               |                   |
|            | 重点医学院校 | 临床科研/学术合作               |                   |

注：基因编辑组学高通量筛选平台作为我们的核心技术，可根据不同病种和临床需求灵活组合成各种业务和产品模式。例如：联合用药方案评估、成熟化合物靶点拓展、适应症挖掘以及全新的敏感基因筛选等。

# 核心成员



**修朝阳 核心创始人&法人**

中科院上海生命科学研究院博士  
中科院上海生命科学研究院知识产权  
调研员  
中科生物医学高科技开发有限公司总  
经  
具有丰富的临床科研、临床研究和药  
物开发经验和资源



**江海松 核心创始人**

上海交通大学生命科学院理学士  
(少年班)  
美国约翰霍普金斯大学神经科学博  
士后&资深研究员  
河南省人民医院神经内科客座研究  
员  
四川省人民医院神经内科客座研究  
员



**尹芳 联合创始人&临床总监**

上海中医药大学博士  
上海同济大学助理研究员  
上海第十人民医院 医师  
长期从事衰老导致的认知障碍研究,  
擅长从调节人体肠道微生态的角度  
调整老年人认知衰退、障碍等神经  
系统疾病



**桑伟健 联合创始人&总经理**

中科院昆明动物所博士  
曾在多家大中型民营企业担任中高层  
管理岗位, 具备丰富的运营管理、人  
力资源管理以及战略投资经验

# 战略合作



上海市第六人民医院  
上海交通大学附属第六人民医院  
上海市红十字第六人民医院



上海市第十人民医院  
同济大学附属第十人民医院  
SHANGHAI TENTH PEOPLE'S HOSPITAL  
TENTH PEOPLE'S HOSPITAL OF TONGJI UNIVERSITY



# 竞争壁垒

## 研发



- 基础研究能力强，拥有创新的生物标志物
- 研发管线丰富，横向拓展潜力大，成长空间大
- 方法创新结合生物材料创新，技术门槛高
- 专利保护完善，确保核心技术安全

## 临床



- 满足临床迫切需求，填补相关空白
- 适应症人数众多，且潜在市场规模不断增大
- 通过科研合作，获得广泛KOL的支持

## 产业化



- 团队配置合理，产业化经验丰富
- 立足基因编辑组学方法学优势，深耕老年病精准医疗，细分市场明确，先发优势明显

## 渠道



- 产业上下游衔接合理顺畅
- 获得顶级医院的认可，样板示范效果明显
- 市场竞品少，对代理商议价能力较强

# 融资计划

公司成立  
注册资金1000万元

2019.7

完成2款基因芯片测试工作，启动申报和市场推广工作，成熟一个AD/PD药物靶点并完成FDA已上市化合物文库的靶向性评价，进入Pre-A轮融资，拟融资金额3000万元，转让股份比例10%

2021.12

基本完成在常见老年病精准诊疗领域的产品开发和布局，丰富和拓展基因编辑技术的更多产业应用开发战略。拟进行B轮融资

2025.12



2020.12

完成基因编辑组学高通量药物评价平台的自动化设计和整合

2023.12

两款基因芯片产品进入审批流程，市场网络下探至三线城市。完成一项AD/PD靶向药物的临床前评价工作，申报新药或适应症拓展。基因治疗技术验证和储备基本完成，启动罕见病基因治疗探索，拟进行A轮融资，预计融资规模2亿元

# 资金用途

01

1050万元

## 申报及验证费用

- AD/PD快速筛查芯片申报500万元
- 常见精神疾病基因及基因分型筛查芯片申报300万元
- 基因编辑组学高通量自动化平台250万元

## 研发费用

- 实验室仪器设备添置320万元
- 购置研发试剂耗材350万元
- 专利申请费用30万元
- 临床测试及联合研发300万元

02

1000万元

03

300万元

## 市场推广费用

- 会议营销费用200万
- 医学顾问费用80万元
- 自媒体建设费用20万元

## 运营费用

- 场地租金及能源消耗500万元
- 其他各项杂项费用150万元

04

650万元

# 赛瑞诚科技

联系人：修朝阳  
电 话：13816870319



阳

上海 徐汇



扫一扫上面的二维码图案，加我微信