

新芽基因 项目介绍

一、公司概况

新芽基因（苏州新芽基因生物技术有限公司，英文名 GenAssist Therapeutics）成立于 2020 年 7 月，注册及运营地位于江苏省苏州市苏州工业园区生物医药产业园，是一家以碱基编辑（base editing）技术为核心、专注开发遗传性疾病基因治疗药物的生物技术公司。公司由何春艳博士与常兴博士共同创办，何春艳博士任董事长兼首席执行官，常兴博士为科学家创始人。

在公开信息中，新芽基因被描述为国内首家利用碱基编辑技术进行基因治疗药物研发的公司。与传统 CRISPR-Cas9 依靠制造 DNA 双链断裂、再由细胞自身修复机制完成基因改写的路径不同，碱基编辑不切断双链，而是在特定位点直接完成碱基的化学转换，被业界视为第二代基因编辑技术。公司将这一技术定位为“精确修复”工具，并强调其可通过全身性给药（systemic delivery）触达骨骼肌、心肌等此前难以覆盖的组织。

公司首个也是目前推进最快的适应症方向为杜氏肌营养不良症（Duchenne Muscular Dystrophy, DMD）系列基因突变疾病。围绕这一方向，新芽基因逐步搭建起从编辑工具、剪接调控方法到递送载体、适应症管线的完整链条。根据公司对外披露及合作方公告，其在研候选药物 GEN6050X 的美国新药临床试验申请（IND）已于 2025 年 3 月获得美国食品药品监督管理局（FDA）许可。

在中金资本体系的投资版图中，新芽基因归属于“创新药”细分赛道，具体出资主体为阿斯利康中金医疗产业基金（领投）。按公开检索资料，该笔投资对应公司 A 轮融资，投资时间为 2022 年，投资金额为数千万美元，公司彼时研发阶段处于临床前。

二、核心科学与技术

新芽基因的技术底座由两个相互协同的原创平台构成：TAM 碱基编辑器平台与 HOPE 高通量人类基因组 AAV 展示平台。

TAM（Targeted AID-mediated Mutagenesis，靶向 AID 介导突变酶）平台源自科学家创始人常兴博士的长期研究积累。常兴博士任职于西湖大学，是国内较早开展碱基编辑技术开发与应用研究的研究者之一。其课题组自主开发了 CRISPR-AID（TAM）碱基编辑器，相关工作发表于《Nature Methods》（2016 年）；此后又在此基础上建立了针对 RNA 剪接的遗传操作体系，成果发表于《Molecular Cell》（2018 年）。2021 年 10 月 26 日，常兴课题组在《Circulation》在线发表题为“Therapeutic Exon Skipping via a CRISPR-guided Cytidine Deaminase Rescues Dystrophic Cardiomyopathy In Vivo”的研究论文，证明利用 CRISPR-AID（TAM）碱基编辑器可在小鼠模型中高效诱导外显子跳读、恢复 Dystrophin 蛋白表达；常兴研究员为通讯作者，助理研究员李甲博士为第一作者。研究中团队还鉴定了一种新的小鼠模型 DmdE4*，该模型表现出寿命缩短约 50%、进行性心肌病、脊柱形态异常、肌肉功能衰退等症状，被认为更好地模拟了 DMD 患者的心脏病理进程。

技术路径上，TAM 属于胞嘧啶碱基编辑器（CBE）范畴。其治疗 DMD 的思路并非直接修复致病点突变，而是通过编辑剪接相关位点，诱导特定外显子在 mRNA 成熟过程中被“跳过”，从而恢复 DMD 基因的开放读码框，使细胞得以表达部分缺失但仍保留生物学功能的 Dystrophin 蛋白。2023 年发表于《Cell Reports》的研究进一步显示，TAM 胞嘧啶碱基编辑器不仅可以破坏传统的剪接位点，还可以通过识别外显子剪接增强子（ESE）诱导多个 DMD 热点外显子发生高效跳跃，从而扩大了可干预的突变范围。公司近期还获得一项美国专利授权，其覆盖的是一种调控 RNA 剪接的方法，而非单一药物分子，属于平台层面的知识产权布局。

另一项关键工程化指标是编辑器体积。公开材料称新芽基因的一体化 TAM 碱基编辑器小于 4.7 kb。这一尺寸对于 AAV（腺相关病毒）递送具有实际意义——单个 AAV 载体的装载容量约为 4.7 kb，能否将完整编辑元件“塞进”单一载体，直接决定了给药方案的复杂度与制造可行性。

HOPE（高通量人类基因组 AAV 展示）平台则针对递送环节。通过该平台筛选得到的原创衣壳 LD-8S09，在非人灵长类动物（NHP）实验中表现出比 AAV9 高约 10 倍的功能性肌肉转导效率（心脏约为 9 倍），同时肝脏 DNA 转导仅为 AAV9 的约 3%，即近乎完全“去肝脏化”。系统性 AAV 基因治疗长期面临高剂量下肝毒性与免疫反应的安全性挑战，衣壳的组织特异性改造是缓解这一问题的主要工程手段之一。公开材料还提到，HOPE 平台亦产出了靶向 T 细胞以及非 TIR1 依赖的中枢神经系统（CNS）靶向衣壳。

三、主要产品与管线

GEN6050X 是新芽基因目前推进最靠前的候选药物，为一款针对 DMD 的胞嘧啶碱基编辑注射液，面向适合外显子 50 跳跃的 DMD 患者群体。根据合作方明迅生物发布的公开信息，GEN6050X 的美国 IND 已获 FDA 批准，成为全球第一个进入临床阶段的基因编辑 DMD 候选药物；公司表示正在计划在全球范围内开展针对 GEN6050X 的临床研究。ClinicalTrials.gov 登记信息显示，相关研究正在评估 GEN6050X 在该类 DMD 患者中的安全性和耐受性。具体入组进度、给药剂量与读出时间未公开披露。

在 GEN6050X 之外，公司披露的临床前管线包括：DMD 基因编辑药物的外显子 51、53 跳跃项目——公司表示这些外显子跳跃项目合计将覆盖超过 30% 的 DMD 患者群体；以及针对肥厚型心肌病（HCM）的基因替代疗法。具体分子编号、临床前数据细节与申报时间表未公开披露。

在外部合作方面，新芽基因与挪威公司 Circio 达成合作，拟构建整合新芽基因组织靶向 AAV 衣壳与 Circio circVec 环状 RNA 表达盒的新一代 AAV 载体，目标是在减少载体负载（即降低给药剂量）的同时维持表达水平，并在体外、体内及动物模型中进行临床前验证；除肌肉疾病外，双方还将合作探索用于癌症治疗的体内 CAR-T 疗法，即以整合 T 细胞靶向衣壳的 AAV 载体在体内直接生成 CAR-T 细胞。若验证成功，候选药物将推进至临床前开发阶段。此外，公司与明迅生物在罕见病基因编辑小鼠模型方面存在合作关系。

四、适应症与疾病背景

杜氏肌营养不良症是一种 X 连锁隐性遗传病，由 DMD 基因突变引起，导致对维持肌肉细胞膜稳定性至关重要的抗肌萎缩蛋白（Dystrophin）缺失。DMD 主要影响骨骼肌与心肌：患儿在童年时期骨骼肌功能开始弱化，约 10 至 12 岁失去行走能力，随病情进展出现心力衰竭与呼吸衰竭等并发症，最终使患者平均预期寿命降至约 26 岁。

流行病学方面，公开资料显示 DMD 发病率约为每 3500 至 5000 名新生男婴中出现一例，全球患者超过 20 万人。疾病进展的量化描述方面，公开材料提到患者在约 6.3 岁时达到北极星移动评估量表（NSAA）峰值约 26 分，此后每年下降约 3 分。

治疗策略上，人类遗传学与分子生物学研究已证明，通过诱导外显子跳读恢复 DMD 基因的读码框，从而产生部分缺失但保留生物学功能的 Dystrophin 蛋白，是治疗 DMD 的一条有效策略。根据 LEIDEN 突变数据库的统计，大约 80% 的 DMD 患者可能从外显子跳跃治疗中获益，其中约 4% 的 DMD 人群特别适合外显子 50 跳跃治疗——这也正是 GEN6050X 所面向的患者亚群。尽管过去三十年学术界积累了大量针对 DMD 的基础与临床研究成果，但公开评述普遍认为目前尚未出现高效、精准且可根治的治疗手段，患者的生命预期与生活质量改善有限。

。

五、竞争格局

DMD 治疗领域目前形成了若干条并行的技术路线。第一条是反义寡核苷酸（ASO）介导的外显子跳跃，代表企业为美国 Sarepta Therapeutics，其多款产品分别针对外显子 51、53、45 跳跃；该类药物需要长期反复给药，且蛋白恢复水平存在争议。第二条是 AAV 介导的微小肌营养不良蛋白（micro-dystrophin）基因替代疗法，通过递送经过截短的功能性基因拷贝实现表达补偿。第三条即基因编辑路线，包括 CRISPR-Cas9 切割介导的外显子删除，以及新芽基因所采用的碱基编辑介导的外显子跳跃。

碱基编辑路线相较于传统 CRISPR-Cas9 的差异在于：不产生 DNA 双链断裂，理论上降低了大片段缺失、染色体易位等基因组不稳定风险；同时公开材料强调其脱靶风险显著降低。相较 ASO 路线，基因编辑属于一次性给药、永久性修复的思路，若安全有效则可为患者提供长期获益，但同样意味着不可逆性带来的安全性门槛更高。

国内层面，基因编辑药物开发企业数量近年明显增加，覆盖碱基编辑、先导编辑（prime editing）、表观编辑等多个方向，适应症集中在血液病、眼科、代谢病与神经肌肉疾病。在企查查、爱企查等平台列示的新芽基因竞品清单中，出现了 Graphite Bio、Shape Therapeutics、Korro Bio、Senti Biosciences 等海外基因编辑/RNA 编辑企业，以及苏州克睿基因等国内精准基因编辑技术研发商。各家在编辑器类型、递送载体与适应症选择上的具体差异，需以各公司自身披露为准。

公开评述亦指出，当前基因编辑产业的竞争正从“谁拥有某一条明星管线”逐步转向“谁拥有能够持续生成管线的底层平台”。就此而言，新芽基因将 TAM 编辑器与 HOPE 衣壳筛选平台并列为技术双底座的布局思路，与这一趋势相符。同时需要指出的是，获得专利授权并不等于药物已被证明安全有效——生物医药领域的知识产权必须与实验可重复性、递送效率、产品工艺、脱靶评估、临床开发和监管能力共同构成价值闭环。

六、团队与平台

何春艳博士为公司董事长兼

CEO。公开信息显示，其拥有较为丰富的病毒类产品研制开发、商务拓展、投资孵化经验。在 GEN6050X 获 FDA IND 批准后，何春艳博士公开表示，FDA 对公司首个 IND 的批准验证了 TAM 胞嘧啶碱基编辑技术的能力，该技术可以靶向治疗此前无药可治的疾病，从而扩大基因编辑技术在全身范围内的应用。

常兴博士为科学家创始人，任职于西湖大学，主持 TAM 碱基编辑器的原创开发工作，在利用碱基编辑技术治疗肌肉相关疾病领域有较长的研究积累，相关成果发表于《Nature Methods》《Molecular Cell》《Circulation》《Cell Reports》等期刊。

公司注册及总部地址为中国（江苏）自由贸易试验区苏州片区苏州工业园区星湖街 218 号生物医药产业园。第三方数据平台显示公司规模信息未公开披露。公司官网为 www.genassistx.com。

七、融资与资本

新芽基因自成立以来完成的公开融资包括：

天使轮，2020 年 12 月，融资金额数千万元人民币，投资方为丹麓资本。

Pre-A 轮，2021 年 7 月，融资金额数千万元人民币，由红杉资本中国基金领投，西湖大学产业投资、中新苏州工业园区产业投资、王加权家族基金跟投，老股东丹麓资本持续追加投资。该轮完成后，公司累计融资额达近亿元。

A 轮，2022 年 12 月，融资金额数千万美元，由阿斯利康中金医疗产业基金领投，BV 百度风投及某知名股权投资机构跟投，老股东红杉资本持续追加投资，泰合资本担任独家财务顾问。部分第三方数据平

台在该轮投资方列表中亦记录了元禾控股。公司表示，本轮融资将用于推进多个碱基编辑技术治疗管线的临床前研究、IND 申报和临床试验。

阿斯利康中金医疗产业基金是中金资本与阿斯利康共同发起设立的产业基金，在本项目中担任领投资方。此外，第三方平台显示公司在 2022 年后另有战略投资类记录，具体条款未公开披露。截至目前，公司融资总额、最新估值与股权结构的完整信息未公开披露，不同第三方数据平台对累计融资金额与估值的记录存在差异，宜以公司正式披露为准。

八、发展展望

从公开信息看，新芽基因当前的工作重心可归纳为三条主线。

其一是 GEN6050X 的全球临床推进。作为全球首个进入临床的基因编辑 DMD 候选药物，其早期临床的安全性及耐受性数据、以及 Dystrophin 蛋白恢复的生物标志物读出，将是外界观察该技术路线可行性的首要节点。公司已表示计划在全球范围内开展针对该产品的临床研究，中国境内的申报安排未公开披露。

其二是外显子跳跃管线的横向扩展。公司披露正在积极推进其他 DMD 外显子跳跃项目（包括外显子 51、53），目标覆盖超过 30% 的 DMD 患者群体。若 TAM 平台在一个外显子上得到临床验证，理论上可通过更换向导 RNA 快速衍生出面向其他外显子的候选药物，这也是平台型技术相较单一管线的潜在效率优势所在。

其三是递送技术的持续迭代与对外合作。HOPE 平台衍生的 LD-8S09 衣壳已在非人灵长类中展示出肌肉高转导、肝脏低转导的特征；与 Circio 在环状 RNA 表达盒方向的合作，则指向进一步降低 AAV 给药剂量。此外，公司将 HOPE 平台产出的 T 细胞靶向衣壳延伸至体内 CAR-T 方向，以及将基因替代思路应用于肥厚型心肌病，显示其在肌肉/心脏之外亦有拓展意图。上述项目多处于临床前或早期验证阶段，具体时间表与里程碑安排未公开披露。

信息来源：

1. 猎云网/看点快报：《新芽基因完成数千万元 Pre-A 轮融资，红杉资本中国基金领投》，<https://m.ikanchai.com/article/114795>
2. 投资界（PEdaily）：《新芽基因完成数千万美元 A 轮融资，阿斯利康中金医疗产业基金领投》，<https://m.pedaily.cn/first/84703.shtml>
3. 西湖大学官网：《西湖大学常兴团队成功利用碱基编辑，在小鼠模型中治愈杜氏肌营养不良症》，https://westlake.edu.cn/news_events/westlakenews/academics/202111/t20211102_14507.shtml
4. 明迅生物：《祝贺合作伙伴新芽基因 DMD 胞嘧啶碱基编辑新药 GEN6050X 获美国 FDA 临床试验许可》，<https://cn.mingceler.com/why/24.html>
5. 医药魔方 BYDRUG/丹麓资本：《新芽基因获美国专利授权，让“出错”的基因重新正常工作》，<https://bydrug.pharmcube.com/news/detail/e8b9713a80e18b84e500899c53f65f40>
6. 药融云/丹麓资本：《新芽基因携手 Circio，破解 AAV 基因治疗剂量难题》，https://www.pharnexcloud.com/zixun/shiye/gs_318320
7. 启信宝、爱企查、亿欧数据（EqualOcean Data）新芽基因企业档案页
8. Chang X. et al., Circulation, 2021；Cell Reports, 2023；Nature Methods, 2016；Molecular Cell, 2018
9. 项目 briefing 详情页公开信息摘录（国资/产业基金医疗布局研究，更新 2026-08-05）