

苏州克睿基因生物科技有限公司 项目介绍

一、公司概况

苏州克睿基因生物科技有限公司（英文名：Cure Genetics）成立于2016年，总部位于江苏苏州，是一家致力于开发针对实体瘤和常见遗传疾病的细胞与基因治疗的临床阶段生物科技公司。公司由徐元元（Y uanyuan Xu）在苏州创立，定位为以原创技术平台驱动的 gene & cell therapy（GCT）企业。公开信息显示，中国科学院院士饶子和为公司科学顾问委员会成员，提供科学顾问支持。

克睿基因建有两大核心技术平台：AIMS CAR-NKT 细胞治疗平台与 VELP™ AAV 基因治疗载体进化平台。公司自成立以来，搭建了从早期研究到临床转化的研发体系，并先后引入多位在细胞治疗、基因治疗领域有资深经验的研发与管理人员。截至目前，公司已有细胞治疗管线进入临床研究阶段，并与勃林格殷格翰（Boehringer Ingelheim）等跨国药企在AAV载体开发方面达成合作。

二、核心科学与技术

克睿基因的技术体系分为细胞治疗与基因治疗两条主线：

(1) AIMS CAR-NKT 平台。该平台基于 invariant natural killer T (iNKT, 恒定自然杀伤T) 细胞进行嵌合抗原受体 (CAR) 工程化改造。与传统CAR-T细胞相比，NKT细胞兼具适应性免疫与先天免疫特征，具有多重肿瘤杀伤机制（可识别CD70、CD1d、应激配体），并能调节肿瘤微环境（TME），如偏转巨噬细胞分化、抵抗TGF- β 抑制，因而在实体瘤浸润与持续扩增方面具有一定特点。针对实体瘤治疗中肿瘤异质性与抑制性微环境的难题，AIMS CAR-NKT 试图通过增强浸润与微环境调控来突破传统CAR-T的局限。

(2) VELP™ AAV 载体进化平台。该平台通过构建低错配率、高多样性的高质量质粒文库，以组织/细胞/细胞核特异分选为筛选压力，对组织DNA、核DNA、环状DNA、RNA进行逐级大数据回收，提升AAV进化效率，实现细胞特异性AAV的高效筛选。平台结合了理性设计（如N-糖基化位点组合、抗体片段定点修饰）与体内定向进化，旨在开发组织/细胞靶向的新型AAV血清型，提升基因治疗的递送精准度、降低肝脏、脾脏等脱靶分布。

三、主要产品与管线

克睿基因当前公开的在研管线主要包括：

- CGC729（抗CD70 CAR-NKT）：公司首个First-in-class管线，为一款自体抗CD70 CAR-NKT细胞治疗产品，针对复发/难治性转移性肾透明细胞癌（R/R mRCC）。该管线已在临床试验中展现出安全性与疗效信号，并正在扩展至其他自体/异体产品管线。2026年3月，公司公布CGC729在复发/难治性转移性肾细胞癌中的I期临床积极更新数据。

- CGC-602（PD-1-IL-2v 双特异性分子）：一款靶向PD-1与IL-2的 bispecific 分子，相关研究成果曾发表于 Frontiers in Immunology，属于肿瘤免疫治疗方向。

- AAV 载体开发合作项目：基于 VELP™ 平台，与勃林格殷格翰合作开发肝脏靶向新型AAV血清型（2021年1月达成合作）；与香港 Frametact Limited 合作开发脑神经元靶向AAV血清型（2023年达成合作与许可协议），用于神经系统疾病基因治疗。

此外，公司亦在推进针对心脏、大脑、肾脏等方向的基因治疗产品转化，具体管线的临床前/临床状态以监管披露为准（待确认）。

四、适应症与疾病背景

克睿基因的首个临床管线 CGC729 针对肾透明细胞癌（RCC），尤其复发/难治性转移性患者。肾细胞癌是全球常见的泌尿系统恶性肿瘤，其中透明细胞型占比最高。对于接受酪氨酸激酶抑制剂（TKI）与免疫检查点抑制剂（ICI）治疗后进展的患者，治疗选择非常有限，预后较差（公开报道提及晚期患者5年生存率约12%）。CD70在多种肿瘤细胞（包括部分RCC）上异常高表达，是实体瘤免疫治疗的一个潜在靶点。

在基因治疗方向，AAV载体是基因治疗领域常用递送工具，应用于遗传性眼病、血友病、神经系统疾病等。但天然AAV存在转导效率低、组织特异性不足、免疫原性高等问题，开发组织/细胞特异性的新型AAV载体是领域核心研发方向。克睿基因的 VELP™ 平台即面向该需求。

五、竞争格局

在 CAR-NKT / 实体瘤细胞治疗方向，全球范围内布局该技术的企业相对有限，克睿基因的 AIMS CAR-NKT 属较早进入临床的同类平台之一。传统 CAR-T 在血液瘤取得成功，但在实体瘤面临浸润难、微环境抑制等瓶颈，NKT、TIL、TCR-T、巨噬细胞疗法等差异化路径受到关注，竞争呈现多元化。

在 AAV 载体开发方向，行业内有多家专注于新型衣壳发现的公司（如利用定向进化、机器学习筛选组织特异性AAV），大型药企也通过合作或收购布局。克睿基因与勃林格殷格翰的合作，体现了其 VELP™ 平台获得国际药企认可。在肾细胞癌 CD70 靶点方面，已有其他企业在 CAR-T、抗体偶联药物等方向探索，竞争格局仍在演进。

六、团队与平台

克睿基因创始人徐元元主导公司创建。公司科学顾问委员会包含中国科学院院士饶子和，提供科学顾问支持。在管理团队方面，公开信息显示公司先后引入多位资深研发与管理人员：Dr. Shawn He 于2023年8月出任细胞治疗首席科学官（CSO）；Dr. Ren Li 于2023年9月出任细胞治疗首席技术官（CTO）；Dr. Pengcheng Zhou 于2023年8月加入任基因治疗研发副总裁，其在哈佛、Voyager、绿叶制药、方拓生物等机构有 AAV 基因治疗经验。2022年4月，Dr. Robert R. Ruffolo 加入科学顾问委员会。

公司平台层面同时运行 AIMS CAR-NKT 细胞治疗平台与 VELP™ AAV 载体进化平台，形成“细胞+载体”双引擎。其苏州基地承担研发与早期生产职能，并与勃林格殷格翰、Frametact 等建立合作开发关系。

七、融资与资本

根据公开信息，克睿基因于2022年2月完成6000万美元B轮融资，由尚城投资（Advantech Capital）领投，元禾控股、蓝海资本、启明创投、岚湖资本、聚明创投、盛鼎资本、青松资本、东土盛唐、尚信资本等参与。本轮融资支持公司技术平台建设与管理推进。

公司此前还曾获得早期融资，具体天使轮、A轮的金额与时间公开信息不完整（待确认）。briefing 中将最新轮次标注为“B轮（2022年1月，6000万美元，尚城投资领投）”，与公开报道的2022年2月时间基本一致。投资方名单与 briefing 所列（尚城投资、元禾控股、蓝海资本、启明创投、岚湖资本、聚明创投、盛鼎资本、青松资本、东土盛唐、尚信资本）基本一致。

八、发展展望

克睿基因以 CAR-NKT 实体瘤细胞治疗与新型AAV载体两大原创平台为特色，在临床进度与外部合作上已有阶段性成果：CGC729 作为 First-in-class 管线进入临床研究并公布积极数据，VELP™ 平台获得勃林格殷格翰等国际伙伴认可。若后续临床数据持续验证安全性与疗效，公司有望在实体瘤细胞治疗这一高难度领域建立差异化地位。

需要指出的是，实体瘤细胞治疗本身技术难度高、临床失败风险大；CAR-NKT 的大规模生产工艺、持久性与疗效仍需更多临床证据支撑。AAV载体业务则以合作授权为主，收入兑现周期较长。此外，公

司近一年公开融资信息有限，后续资本支持与商业化路径仍有待观察。

在细胞治疗机制层面，传统 CAR-T 在血液肿瘤取得突破，但在实体瘤遭遇两大瓶颈：一是 CAR-T 细胞难以有效浸润至实体瘤内部并被抑制性肿瘤微环境（TME）削弱；二是靶点同质化与脱靶风险。克睿基因的 AIMS CAR-NKT 平台选择恒定自然杀伤 T（iNKT）细胞作为工程化底盘，其特点在于 iNKT 细胞兼具 T 细胞的适应性免疫与 NK 细胞的先天免疫特征，可通过多种机制（识别 CD70、CD1d、应激配体）杀伤肿瘤，并通过分泌细胞因子、偏转巨噬细胞分化、抵抗 TGF- β 抑制等途径调节肿瘤微环境，从而理论上提升在实体瘤中的浸润与持续扩增能力。该平台的首个管线 CGC729 靶向 CD70——一种在多种实体瘤（包括肾透明细胞癌）上异常高表达的肿瘤相关抗原。在临床数据方面，克睿基因在 2024 年第 27 届 ASGCT 年会上以口头报告形式首次公布 CGC729 的 I 期中期结果：在可评估患者中总体缓解率（ORR）达 50%（2/4），疾病控制率（DCR）达 75%（3/4）；在 CD70 阳性患者中 ORR 为 66.7%（2/3），其中两名患者达到部分缓解（PR）；研究中观察到的细胞因子释放综合征（CRS）为 2 级并在 24 小时内恢复，未见与药物相关的严重不可逆不良事件；药代研究显示 CGC729 在体内可扩增并持续存续长达 20 周。2026 年 3 月，公司进一步公布 CGC729 在复发或难治性转移性肾细胞癌中的 I 期积极更新，显示其在重度既往治疗患者中的良好安全性信号与令人鼓舞的疗效信号。上述数据处于早期临床阶段，尚需更大样本与更长随访验证。在基因治疗平台层面，VELP 通过构建高多样性、低错配率的 AAV 文库并以组织或细胞核特异分选为筛选压力进行逐级大数据回收，提升新型 AAV 衣壳的进化效率，目标是开发组织或细胞靶向的 AAV 血清型以克服天然 AAV 转导效率低、脱靶分布、免疫原性高等局限。克睿基因已与勃林格殷格翰（2021 年，肝脏靶向）、香港 Frametact（2023 年，脑神经元靶向）达成合作开发或许可协议，体现该平台获得外部伙伴的认可。在竞争格局上，实体瘤细胞治疗与新型 AAV 载体均为高技术难度、高不确定性的领域；CAR-NKT 方向全球布局企业相对有限，克睿基因属较早进入临床者，而 AAV 新型衣壳发现则有众多企业与大型药企参与。公司成立以来引入多位在细胞与基因治疗领域具资深经验的研发管理者，科学顾问委员会包含中国科学院院士饶子和，整体研发组织较为完整。但实体瘤细胞治疗的临床失败风险、CAR-NKT 规模化生产工艺与持久性，以及 AAV 业务的合作授权收入兑现周期，仍是影响其发展的关键变量。

在公司布局上，克睿基因总部位于苏州，自 2016 年成立至今已完成从技术平台搭建到临床推进的积累，在苏州设有研发与早期生产设施，并组建了涵盖细胞治疗、基因治疗、工艺开发的专业团队。其细胞加载体双平台模式，使其既能在实体瘤细胞治疗这一高难度方向独立推进管线，又能通过 AAV 载体平台与外部药企合作，形成自主研发与外部授权并行的发展路径。

信息来源：

- 克睿基因官网（curegenetics.com）新闻与管线信息
- 克睿基因中文官网（curegenetics.com/cn）关于 ASGCT 年会数据公布的报道
- 智荟所/YesPress 关于克睿基因公司与管线的公开整理
- 公开报道中关于 B 轮融资（2022 年 2 月，6000 万美元，尚城投资领投）的信息