

小核酸药物递送系统，突破血脑屏障迎来“中国时刻”

南京大学

一、转化对象

深圳艾码生物科技有限公司

二、服务机构

南京大学技术转移中心

三、转化特色

小核酸专利的里程碑独占许可

四、案例简介

基于张辰宇团队在细胞外 RNA 领域的系列突破性科学发现（获国家自然科学二等奖），创建了新一代的 RNAi 体内递送平台技术：即通过静脉注射携带目标小 RNA 的 DNA 载体，利用肝脏作为生物反应器，实现 RNAi 分子的体内靶向递送。该系统具有三大优势：1）无毒副作用，无免疫原性；2）可突破血脑屏障等生理界面，靶向性解决小 RNA 药物肝外递送瓶颈；3）持续产生治疗性小 RNA 实现长期疗效。该原创技术使得小 RNA 药物的大规模临床应用变为可能。基于该平台技术研发的全球首个能够突破血脑屏障的 RNAi 治疗药物，用于治疗亨廷顿舞蹈症，研究者发起的临床研究结果(IIT)显示，3 次静脉注射即可显著改善患者症状，该药物现已同时获得中美双批进入新药临床试验(IND)，正开展临床 I 期试验。

五、转化过程

张辰宇团队的转化实践，正是“天时地利人和”的生动写照。在与鼎晖投资接洽的关键节点，团队的重要论文恰逢发表，科研成果获得权威认可，为技术转化赢得“天时”。艾码生物应运而生，完成数千万元融资并获得专利授权。而支撑资本信心的，正是团队构建的完整理论与专利体系。广州医科大学附属第一医院临床试验中心，成为 ER2001 药物研发的“地利”所在。团队成员前瞻性地布局临床资源网络，与顶尖医疗机构建立深度合作，确保技术转化阶段快速获得临床支持，显著缩短研发周期。艾码生物资深行业管理者的加盟，为团队匹配了更专业的商业化路径，规避了科研型创业常见的路径依赖，真正实现以“人和”聚势，让技术价值在市场中落地生根。

六、转化效益

团队成立艾码生物科技有限公司，与南京大学签订超亿元的专利独家许可合同，仅用 3 年时间成功研制了靶向亨廷顿舞蹈症的小核酸药物 ER2001。研究者发起的临床试验(IIT)数据表明，ER2001 治疗数周后所有患者运动功能、精神状态及认知能力等核心指标均显著改善，部分患者甚至出现病程逆转，疗效远超所有竞品药物，引发业内轰动。目前，ER2001 已获得中、美临床试验批准，成为国内首个获中美“双报双批”的原创小核酸药物，并拿下 FDA 孤儿药资格认定，药物

临床 I 期试验正在顺利进行中。

七、成果完成人及团队

张辰宇，南京大学生命科学学院院长，长江学者，国家杰青。发现血液等细胞外环境稳定存在 RNA 分子，开创 “细胞外小 RNA” 新研究领域，被《自然》杂志称为 “改变生物学研究范式” 的发现，获国家自然科学奖二等奖等奖项。