

## 美中生物醫藥協會 2017 年會暨十週年慶典報道

美中生物醫藥協會 2017 年會暨十週年慶典於五月六日在坐落於牛頓市查爾斯河邊的波士頓-牛頓萬豪酒店（Boston-Newton Marriot）圓滿落幕。

上午 10 點年會准時開始，容納 250 人的演講大廳座無虛席。大會主席方凱文博士首先致開幕詞，然後由會長史相國博士向與會者介紹美中生物醫藥協會（CABA）。作為協會第十任會長，他簡要回顧了協會的歷史，並總結了過去十年裡協會所取得的成就，並特別重點介紹了協會發展的里程碑事件。



聽眾聚精會神。攝影：朱正東

### 第一部分：CRISPR 和 AON：創新基因療法

年会上午的主題是癌症和神經類疾病的創新療法，由曹瀾博士 和 Cindy Yang 博士主持。

嘉賓演講由 CRISPR Therapeutics 的總裁和首席商業官 Samarth Kulkarni 博士開始。



Samarth Kulkarni 博士作報告。攝影：範艾琳

Samarth 詳細介紹了 CRISPR 技術的機理，當前發展趨勢，和該公司目前基於 CRISPR 技術重點開發的幾個基因和細胞治療產品，比如針對血液紅細胞基因疾病的基因修復產品，和通過 CRISPR 基因修飾的免疫細胞的腫瘤免疫治療產品。特別值得一提的是，Samarth 总结了 CRISPR 技术目前在亞洲，特別是在中國的發展。他提到中國已經是全世界第一個把 CRISPR 技術運用到人體 b 臨床試驗的國家，比如 2016 年在四川大學華西醫院和 2017 年在南京大學鼓樓醫院開展的 CRISPR 臨床試驗。Samarth 提到，未來 CRISPR 醫療應用的發展更多是比拼哪個公司和哪個市場發展速度最快，這將是未來競爭的決定因素。Samarth 同時更加深入具體的描述了當前中國市場的變化，已經從勞力密集型產業的推動逐漸轉變為高

新技術，特別是新型生物醫藥技術和國家資本的推動。中國生物醫藥海歸人才的大量加盟和中國政府藥品政策的一些列改革更加速了這個轉變。Samarth 還引用了不久前華爾街日報關於中國生物醫學市場的一篇報導，指出 2015-2020 年中國生物醫學投資額增長速度超過 18%，遠遠高於美國和歐洲不到 10% 的增長幅度。在演講結束前，他提到中國醫藥市場未來的一些挑戰，包括尚未完全成熟的資本市場，外資企業進入中國市場的一些限制等等。Samarth 表示他本人非常感興趣與對 CRISPR 技術感興趣的中國公司和學術機構接觸合作，共同推動這個新技術在亞洲醫療市場的應用。

第二位演講嘉賓 Ken LeClair 博士，是 Editas Medicine 主管技術開發和生產的副總裁。Editas Medicine 由 MIT 著名華人生物學家，CRISPR 人體應用領域開創者張鋒教授於 2013 年參與創辦。Ken 的演講從他個人經歷講起，他在耶魯大學取得免疫學博士學位後，曾經擔任哈佛大學醫學院教授。之後離開學術界先後在幾個生物製藥公司擔任研發職位。在諾華公司工作期間，他親身參與了賓州大學 CART 技術轉讓給諾華公司的過程，親眼目睹了一個叫 Emily whitehead 的急性白血病患者小女孩是如何從無計可施的生死邊緣被 CART 技術救回一命。這個患者到今天已經不帶任



Ken LeClair 博士作報告。攝影：範艾琳

何癌症症狀的健康生活了5年。接下來，Ken 話鋒一轉，提到細胞和基因治療中後期生產工藝開發和生產需要注意的一些問題。因為細胞產品這個領域產品生物機理的複雜性和特殊些，生產過程對於最終產品有很大的影響，以至於有“生產過程就是產品”的說法。所以，後期生產工藝和產品檢測方法的開發人員應當在細胞和基因產品研發的早期就參與到產品設計和開發中，以確保產品從開發早期到晚期以及到最後商業化生產的質量一致性。最後 Ken 介紹了 Editas Medicine 公司基於 CRISPR 技術的開發的一系列管線產品，包括針對眼睛的基因疾病治療產品，以及和位於西雅圖的 Juno Therapeutics 公司合作的免疫細胞治療產品。

第三位講演嘉賓是 Carmen Bozic 醫學博士，Biogen 公司主管全球藥物開發的高級副總裁。



Carmen Bozic 博士作報告。攝影：範艾琳

Bozic 博士不僅負責公司 Biogen 公司新藥的研發，還領導了 Biogen 主要新藥產品的報批。在她領導下通過美國及其他國家藥檢批准的藥物包括治療多種硬化症的 Tysabri, Tecfidera, Plegridy, Zinbryta 以及治療血友病的 Eloctate 和 Alprolix。這次 Bozic 博士的報告聚焦 Biogen 最近獲得批准的新藥 Nusinersen，世界上第一個也是唯一的一個治療脊髓性肌萎縮獲批藥物。脊髓性肌萎縮是一種致人衰殘的神經肌肉罕見病。這種疾病經常在人很小的時候就表現出來，是造成嬰幼兒死亡最主要的遺傳病。Bozic 博士首先講述了使用反義寡核苷酸技術來治療這種疾病的科學依據。這一技術是由 Ionis 製藥公司早期研究並和 Biogen 共同開發。Bozic 博士接著給大家介紹了 Nusinersen 的臨床試驗的設計和結果。這些二期和三期臨床試驗表明，Nusinersen 能有效

地調控與疾病相關的 SMN2 基因的 mRNA 前體，增加 SMN2 全長蛋白的表達，促使病人恢復正常的肌肉功能，降低死亡率。這些臨床結果數據非常強，以致於美國 FDA 在接受 NDA 申請後僅僅用了三個月的時間就批准了 Nusinersen 在脊髓性肌萎病人上的使用。最後，Bozic 博士回答了聽眾的提問。Nusinersen 的成功開發從科學和臨床上證明了反義寡核苷酸技術是治療神經性疾病的一個有效的，創新的工具。

本次會議，CABA 得到了來自中美兩地二十余家企事業單位的讚助。午餐期間，贊助企業 TC Scientific 的 CEO 姚俊志博士，PAT Vitamin 的 CEO Steve Huang 博士，以及中國深圳市駐北美經貿代表處的資深顧問 Paul Xu 分別介紹了他們的業務及相關行業的發展趨勢。

## 第二部分：全球創新，投資及創業

下午 1 點半，年會第二部分準時開始。此部分主題為全球創新、投資及創業，邀請到的演講嘉賓有藥明康德副總裁蔡輝博士、Abpro 中國總裁兼首席執行官楊建國博士、先聲藥業集團常務副總裁兼製藥總裁王永忠博士，以及來自紅杉資本中國的楊雲霞董事總經理。會議由 CABA 的副會長邵劍主持。

來自 CABA 多年的合作夥伴藥明康德的蔡輝博士做了題為 "平台 and 生態系統研發轉型" 的報告。蔡博士在強生公司工作多年，在 2009 年加入藥明康德之後負責和新藥研發相關的業務拓展工作。基於她多年的工作沉澱和在藥明康德的經歷，蔡博士和大家分享了藥企研發團隊如何能夠更好地建立良性生態系統，以更好的支持企業長期戰略發展的目標。

戰略合作在任何行業都非常關鍵，尤其在當下飛速發展、技術突飛猛進的生物製藥領域。結合 Abpro 的全球戰略及國內發展策略，楊建國博士首先回顧了生物製藥的現狀和前景，隨後闡述了在面對複雜的生物製藥行業發展特點時，戰略合作夥伴關係可以更有效的實現多方互利高效發展。楊博士還舉例闡述了當下可行的幾種戰略合作模式，並以 Abpro 為例，說明了多方戰略合作在生物製藥行業中的重要性和前景。



王永忠 博士作報告。攝影：範艾琳

隨後的報告很特別，CABA 早期的核心團隊成員，目前任職先聲藥業集團常務副總裁的王永忠博士，基於自身多年的海內外公司任職和個人職業發展經歷，從在 CABA 的美好記憶開始，回顧了他從 Genzyme 到 Sanofi，隨後回國加盟康弘藥業領導康柏西普

(Conbercept) 的開發，以及 2017 年加入先聲藥業的經歷。基於海內外藥企科研及高管工作歷練，王博士和大家分享了跨國界創新的重要性，並提及公司運營和創業中需要關注的幾大關鍵要素，最後結合中國藥監局 CFDA 目前推進的改革，給出了他個人對創新藥研發所面臨挑戰的理解。

此部分最後給大家帶來精彩報告的是來自國內頂級風險投資之一紅杉資本中國的楊雲霞董事總經理。楊總歷任 GE 醫療產品經理及強生公司的業務拓展經理，隨後加入君聯資本從事醫療風險投資工作，2015 年春加入紅杉資本負責醫療投資團隊。從介紹如何從創業者的角度去選擇、理解和支持創業公司的理念，楊總分享了紅杉資本在醫療領域紅杉的相關佈局及投資理念。

### 第三部分：藥業大勢，CFDA 改革，和 PD-1 研究進展

年會的最後一個主題是全球性藥業趨勢，中國藥物食品監督體制改革，和 PD-1 研究新進展，由曲芸和 Wendy Yang 主持。

首先由 Kenneth Kaitin 博士做了題為“全球醫藥研發景觀：當前趨勢 - 未來機遇”的精彩報告。Kaitin 博士是 Tufts 大學的醫學教授，Tufts 醫學院藥物開發研究中心主任。Kaitin 博士還擔任中國復旦大學上海醫學院顧問教授，並在美國國會提供了有關藥物開發和政策問題的公開證詞。Kaitin 博士是藥物開發科學和政策方面的專家。他認為，生物創新的新面貌依賴於綜合戰略合作夥伴關係，使利益相關者能夠傳播風險，利用知識和資源，為尋找未來突破性藥品提供最佳希望。



Kenneth Kaitin 博士作報告。攝影：範艾琳

接下來，中國駐美使館一等秘書翁新宇博士談到“CFDA 藥物監管改革概況”。翁博士是中國食品和藥物管理局（CFDA）在美國的主要聯絡人。他的講話集中在四個重點領域：優先審查程序，同步審查，更嚴格的 GLP / GCP 要求和人力資源改革。



Gordon Freeman 博士作報告。攝影：範艾琳

最後一位演講嘉賓，也是此次年會最為知名的科學家，哈佛大學醫學院教授，Gordon Freeman 博士，在年會開始的時候，還在從北京飛回波士頓的航班上。將近下午 4 點鐘，晚點的航班終於著陸，Freeman 博士一出關便帶著行李火速趕往 CABA 年會會場。當他神采奕奕地出現在會議大廳時，沒有人能夠看出他剛剛經歷了近 14 小時的飛行，又專程趕來為大家講解“PD-1 癌症免疫療法”。

Freeman 團隊在發現 PD-L1 和 PD-L2 作為 T 細胞上 PD-1 受體的配體後，又證實了 PD-L1 和 PD-L2

強了 T 細胞激活，增殖和細胞因子產生。進一步的研究表明 PD-L1 由許多實體瘤/血液惡性腫瘤上有高度表達，PD-L1 的阻斷增強 CD8 T 細胞對 PD-L1 陽性靶

標的殺傷作用。Freeman 教授及其團隊有關 PD-1 的研究成果開創了癌症免疫療法的新紀

元，許多公司都在這個發現的基礎上，開發針對 PD-1，PD-L1，PD-L2 的抑制抗體，並且已有產品成功上市，更多的產品在臨床和基礎研發階段。

儘管已是下午五點半，演講大廳仍然是座無虛席，許多慕名而來的聽眾站在大廳的側面和後面，以一睹大師風采。在短短半小時裡，Freeman 教授先是把 PD-1 癌症免疫療法的研究歷史和分子生物學層面作用機理深入淺出地介紹給大家，然後又講述了臨床研究的現狀並輔以具體臨床數據，接著更是以美國前總統卡特於 90 高齡接受了結合放療的 PD-1 抗體治療得以恢復健康的有力例證，來闡述 PD-1 免疫療法的強大功效。PD-1 癌症免疫療法的優點並不止步於它對大量不同腫瘤類型的有效性，Freeman 教授還用數據顯示了同化療相比，接受 PD-1 癌症免疫療法的病人因為副作用小，生活質量得以大幅度提高。Freeman 教授還介紹了在他眼中有潛力的五個單抗，同時強調了精準檢測預測性生物標誌物是為相關病人尋得正確治療的關鍵，並以 PD-L1 表達陰性人群和陽性人群對四個 PD-1，PD-L1 抗體藥的不同有效反應率加以佐證。Freeman 教授認為單靠 PD-L1 在腫瘤表面的表達不足以成為足夠完全的生物標誌物，還要有更多的分析手段來識別哪些其它生物標誌物與免疫治療的反應相關，比如 CD8 的滲透和增殖，及乾擾素-g 的特徵。緊接著，Freeman 教授用癌變細胞新抗原的產生來解釋了為什麼免疫療法會成為新的熱點，以及為什麼需要封鎖 PD-1 才能使免疫系統針對腫瘤發起有效攻擊。最後，Freeman 博士對 PD-1 療法同其它療法相結合來治療癌症的前景進行了展望，並再次強調了腫瘤基因組測序對選擇正確療法的重要性。

演講過後，Freeman 教授還針對聽眾提出的有關抗體治療可能引起的人體免疫原性反應，以及同 CAR-T 細胞治療法相結合的可能性等問題進行了進一步探討。以及同 CAR-T 細胞治療法相結合的可能性等問題進行了進一步探討。



會後部分 CABA 會議組織者與演講嘉賓合影。攝影：Emile Bellott

## 晚宴及十周年庆祝活动

晚上六點半，CABA 十週年的慶祝活動正式開始，两百多名宾主汇聚一堂，共同庆祝协会发展的这一特别时刻。兄弟協會 NECINA, OCEAN, HKAMA 等的嘉宾们来了；已经“退休”了的的协会早期团队成员来了，甚至远在中国创业的的协会创会“元老”及老会长们也来了。一张张笑脸，一句句问候，让大家抛却了忙碌一天的疲惫，轻松地欢度我们自己的“节日”。

作為十週年慶典的一部分，协会会刊编委组织撰写出版了 CABA Connect 十年特刊。刚刚印刷出炉的限量版特刊静静的擺放在每一个晚宴的餐桌上。内中收錄了数十篇回忆类文稿和总结。图文并茂，令人爱不释手。每一页文字，每一张照片背后承载了 CABA 志愿者们多年的辛勤的工作和努力。

晚會開始時，主持人 Wendy Yang 和張有欣博士宣讀了兄弟協會 NECINA, CBA, CABS 的賀信。

過去 10 年來，有許多令人難忘和有意義的時刻。晚餐前播放了一部紀錄了十年來歷任會長訪談的紀錄短片。

CABA 是一個非盈利組織。所有的執行委員會成員及董事都是志願工。每個人都為社區作出了傑出貢獻。在這個特別的晚會上，部分錶現突出的獲得表彰並獲頒發獎牌。

CABA 董事長張引主持了新舊會長交接儀式。會長史相國將 CABA 標誌交到下任會長方凱文手中。



新舊會長交接儀式。從左至右：史相國，張引，方凱文。攝影：朱正東

晚餐期間，播放了在日間節目中錄製的現場採訪視頻片段並穿插了一些有趣的遊戲。晚餐後，來賓們觀看了 CABA 預備的特別節目。

首先是東北大學的 IMIX 帶給來賓一個美好而驚豔的表演。13 名舞蹈演員是東北大學的學生。IMIX 是在東北大學成立的最早的中國舞蹈團。他們專攻爵士樂，嘻哈，LA 風格，Kpop 和現代舞。

CABA 執行委員會成員獻上的一出幽默黑白舞蹈逗得滿堂大笑。他們穿半個黑色和半個白色的衣服。編舞創造了視覺幻覺。他們只有兩天時間準備這個節目，只能在下班後練習幾個小時。

另外兩個中國傳統節目，相聲生物學家和三句半，均受到熱烈歡迎喝彩。

整個晚會進行得有條不紊。新朋老友齊聚一堂，共憶往事，舉杯互飲，共同探討進一步繁榮社區活動的良策。晚會在輕鬆愉快的氣氛中結束。

\*\*\*\*\*

报道由方凯文，史相国，范艾琳收集材料整理。感谢主持曹瀾, Cindy Yang, 邵劍, 曲芸, Wendy Yang 提供各部分的小结。特别感谢车庆林的修改润色。