

项目榜单

榜单名称	基于非人灵长类数据的基因治疗载体AAV智能化筛选与评价系统		
行业领域	人工智能	专业方向	行业应用-智慧医疗
(计划)启动时间	2025年1月1日	计划完成时间	2027年12月31日
榜单提出目的	<p>腺相关病毒(AAV)是一种广泛应用于基因治疗的递送载体，其原理是通过基因工程方法将 AAV 基因组 ITR 之间序列替换成目的基因序列，经细胞感染传递到靶细胞，达到基因治疗目的。天然AAV血清型作为基因治疗载体存在较大缺陷，包括病毒产量低、较弱的组织感染能力、包装载量较小以及高剂量造成肝脏毒性等，因此需要对天然AAV进行必要的筛选改造。然而，传统的筛选改造技术成功率较低和耗时较长，无法利用实验数据内部隐藏的基因型和表型之间的固有关联信息来加速AAV衣壳筛选和设计过程，这导致目前全球范围内具有临床应用价值的 AAV变体总数不超过20种，且专利权几乎垄断在欧美国家手中。</p> <p>本榜单提出将人工智能与生物信息学技术交叉融合，通过开发AI模型代替传统生物实验的定向进化筛选方式，以期减少繁琐的AAV病毒文库体内外筛选和设计的生物学实验工作。通过AI模型获得更优特性的AAV文库序列或特定AAV重组衣壳，开发了一种基因递送新策略“AI引导基因治疗递送载体AAV筛选技术”（简称“AI-AAV技术”），筛选出高产量、高侵染和组织靶向等多目标特性的新型AAV载体，并建立成熟的非人灵长类验证评价体系，实现我国基因治疗载体递送技术自主可控，促进基因治疗产业高质量智能化发展。</p>		
榜单任务内容	<p>一、拟解决的问题</p> <p>开发人工智能(AI)引导基因治疗递送载体AAV筛选技术，高效率、低成本地筛选出高产量、高侵染和组织靶向等多目标特性的新型AAV载体，结合发榜单位生物学平台基础，建立对AI筛选的新型AAV进行验证的非人灵长类技术体系，解决基因治疗药物靶向递送的“卡脖子”问题。</p> <p>二、技术性指标</p> <p>1.开发人工智能(AI)引导基因治疗递送载体AAV筛选技术；</p> <p>2.实现病毒载体产量、侵染能力、靶向性等不少于3个维度的同时筛选；</p> <p>3.筛选周期较传统定向进化筛选缩短3倍以上；</p> <p>4.新型眼科领域的AAV载体在非人灵长类上的表达量达到野生型的5-8倍。</p> <p>三、产业化指标</p> <p>1.建立1项基于非人灵长类数据的基因治疗载体AAV智能化筛选与评价系统，包含2项靶向眼睛、神经系统等精准、海量且受法律保护的独家数据库。</p> <p>2.相关成果申请发明专利不少于3项。</p> <p>3.项目期2年，期间累计新增营业收入不少于3000万元。</p> <p>4.项目期2年，获得眼科领域并经非人灵长类验证的新型AAV载体1-2个。</p>		

榜单效益目标	<p>基因治疗作为生物医药最尖端的领域之一，根据Uresearch对全球基因治疗载体行业的市场研究报告显示：全球基因治疗病毒载体市场规模将从2021年的71.77亿美元增长至2026年的207.60亿美元，复合年增长率达23.67%。通过Precision Business Insights分析显示：腺相关病毒AAV占比整个病毒载体约58%，推算出仅AAV载体的市场规模至2026年逾120亿美元。</p> <p>基因治疗成功的关键是通过载体将基因治疗药物高效递送至靶组织或者靶器官，这也是AI新药研发的前沿领域。AI技术引导AAV载体递送机制已成为国际研究趋势，成为基因治疗产业发展的革新思路与必争高地。</p> <p>然而，因基因治疗载体研究技术门槛高，能提供新载体的公司较少（<20家），行业主流技术路线是传统定向进化筛选。在AI结合基因治疗递送载体AAV筛选技术路线上，国外存在主要竞争对手，国内暂未有已开展商业化运作的企业。</p> <p>本榜单问题的解决，突破了诺奖级别的定向进化筛选技术的局限性（包括文库容量有限、单目标维度、成功率低、筛选效率低），逐步建立非人灵长类验证评价体系，从而建立全国首个基于非人灵长类数据的基因治疗载体AAV智能化筛选与评价系统，助力我国基因治疗产业发展在AI变革浪潮中占据先机，未来有达到全球领先的可能性。</p>
--------	---

推荐单位（盖章）：

联系人和电话:

[illegible]