



中国科学院干细胞与再生医学创新研究院
INSTITUTE FOR STEM CELL AND REGENERATION

干细胞与 再生医学 月报

Monthly Report

2021 | 第10期 总第10期

科研业务办公室

声 明

《干细胞与再生医学月报》（以下简称“本刊”）由中国科学院干细胞与再生医学创新研究院（以下简称“本院”）主办，旨在跟踪干细胞与再生医学领域国内外发展动态，分析干细胞与再生医学领域发展现状与趋势，反映我国干细胞与再生医学领域创新研究发展前景与挑战。通过摘译科研论文主要内容，报道相关国际重要战略、政策、项目部署方面的信息综述，以及领域产业市场发展动态信息等，为干细胞创新院科研规划和院内科研工作者提供参考。

本院对本刊内所有刊载内容均保持中立立场，无倾向性意见，所摘译内容主要用于说明科研论文本身，客观真实反映原文情况，起到供使用者参考的目的。本刊主办方对任一篇科研论文的摘译并不代表对这篇科研论文的认可，即本院不对科研论文中所述内容的有效性或准确性负责。请使用者通过文献、网页来源线索获取具体的原始内容，并自行甄别和使用。此外，本刊所刊载内容不应被视为相关科研论文的全部，不应拿来作为基础研究、临床医学和健康指导，也不应被当做既定事实于新闻媒体上报道。

本刊授权读者为学术研究、学术科普等正当、合理目的的转载行为。对于转载《干细胞与再生医学月报》中的任何内容，转载者需在文章开头标明“本文转载自中国科学院干细胞与再生医学创新研究院院刊《干细胞与再生医学月报》，未经原著作权人许可，不得二次转载。”，并附加当期月报网页链接。

目录

战略与政策

上海市发文建设干细胞再生医学中心及相关新兴技术产业集群	1
美国加州干细胞研究所资助创新干细胞疗法研究 600 万美元	2
澳大利亚政府提供 2500 万澳元促进干细胞研究	2

研究与开发

法国科学家揭示 Glia-to-Neuron 的重编程有望用于治疗抗药性癫痫	3
耶鲁大学医学院揭示胚胎发育中期前额叶皮层加速扩张的分子机制	3
日本科学家综述哺乳动物体外配子发生的研究	5
中科院和上海交大合作揭示心肌细胞的增殖活性具有区域性特点	5
美国科学家传导电流以保持心脏跳动的细胞具有再生能力	6
中国科学家揭示促癌基因 NEAT1 抑制白血病发生和发展	6
苏州大学利用工程化的间充质干细胞外囊泡治疗自身免疫性疾病	7
中国团队揭示毛干通过 Piezo1 信号通路调控毛囊干细胞的分子机制	7
瑞典科学家确定了人类大脑进化的非编码 DNA 遗传因素	8
德国科学家揭示应激如何调节毛囊干细胞	9
厦门大学揭示调控胸腺成熟 T 细胞迁出到外周的新机制	9
浙江大学阐明 H3K27me3 调控细胞不对称分裂的重要作用	10
南加州大学经过基因编辑的胚胎神经干细胞帮助蜥蜴再生尾巴	11
西班牙科学家揭示一种不依赖干细胞的受损肌肉自我修复机制	12
美国西北大学拓展三维微流控组装方法制备血管网络	12
武汉大学揭示 IGF2BP2 在造血干细胞功能稳态中的重要作用	13
英国剑桥大学发现大脑类器官切片模型显示 ALS/FTD 病理特征	13
中英团队合作开发 StemBond 水凝胶控制多能干细胞的机械微环境	14
英国科学家利用干细胞技术和 DNA 测序发现 GBM 新治疗靶点	15

产业与市场

首款重建先天性无胸腺症免疫的再生组织疗法 RETHYMIC 获批	15
丹望医疗完成 1.2 亿人民币 A 轮融资加速类器官研究	16
Resilience 和哈佛大学成立五年研发联盟以开发复杂药物	16
Vertex 完成世界首例干细胞成功治疗糖尿病患者	17
Mammoth 与 Vertex 达成近 7 亿美元基因编辑治疗合作协议	18
Quris 通过新的临床预测 AI 平台弥补关键药物开发的差距	18
Curi Bio 和 NEXEL 成立合资企业 Celogics 开发 iPSC 衍生产品	19
晶泰科技与希格生科再续癌症靶向药新管线合作	20

战略与政策

上海市发文建设干细胞再生医学中心及相关新兴技术产业集群

2021年9月29日，上海市人民政府正式发布《上海市建设具有全球影响力的科技创新中心“十四五”规划》，规划中明确对于干细胞与再生医学的研究不仅要加强基础研究还需要进行前瞻布局。未来上海将在干细胞与再生医学前沿重大科学问题与关键技术上有所举措，以取得新突破，打造干细胞再生医学中心及相关新兴技术产业集群。

文件中表明将以退行性疾病、代谢性疾病、肿瘤等重大疾病治疗需求为牵引，推进多能干细胞、组织干细胞、干细胞定向分化与细胞转分化、基于干细胞的组织器官功能修复与微器官构建、干细胞治疗及基于干细胞的药物发现等研究。同时结合人工智能赋能生命制造、神经制造与脑生命更新工程化新方向，推进干细胞与再生医学的创新链与产业链融合发展。

同时文件中将生物医药列为三大重点领域核心技术攻关之一，将给予人才、技术、资金等全方位多领域的政策倾斜和支持，对标国际最高标准、最好水平，聚焦生物医药前沿，围绕关键平台建设、核心技术突破、临床验证与转化、新产品应用等方向，打造生物医药产业创新高地。

重点方向包括：在创新药物和疫苗研发领域，突破细胞治疗、基因治疗、药物靶标发现与确证、新型抗体药物研发、糖类药物研发、靶向制剂、核酸干扰药物研发等关键技术，促进在再生医学、重大慢病治疗、肿瘤免疫治疗、传染病预防与治疗等方向的应用。构建贴近临床特征的重大疾病模型，加快基于新型及共性生物标志物的原创新药发现和药物、疫苗设计新技术的研究与应用，推动新技术、新材料、新剂型在新药和疫苗研发与生产中的应用。

生物医药领域关键核心技术攻关涵盖：细胞治疗及基因治疗。建立从实验室到临床阶段的细胞治疗及基因治疗关键技术体系，覆盖载体研发、生产工艺、质量控制等核心技术以及临床转化等多个环节，满足国内和国际市场日益扩大的细胞与基因治疗产业化需求，推动细胞治疗与基因治疗产品的技术创新与产业化进程。

规划出台，一方面将对地区的产业发展以及机构运营起到积极效应，同时

上海作为全国金融中心、高新技术产业集聚高地，也能在全国范围内起到打榜、示范作用。其有关干细胞与再生医学的政策将有利引导行业健康有序发展，给产业以信心和发展动力。

信息来源：<https://baijiahao.baidu.com/s?id=1713378770984915367&wfr=spider&for=pc>
<https://www.shanghai.gov.cn/nw12344/20210928/5020e5fdf5ac4c6fb4b219da6bb4b889.html>

标题：政策速递 | 上海将推进干细胞与再生医学前沿重大科学问题
上海市建设具有全球影响力的科技创新中心“十四五”规划

美国加州干细胞研究所资助创新干细胞疗法研究 600 万美元

2021年10月19日，加州再生医学研究所（CIRM）的管理委员会投票决定资助近600万美元用于一种创新的干细胞治疗方法，以帮助修复膝关节软骨。

南加州大学凯克医学院爱泼斯坦家庭运动医学中心主任Frank Petrigliano博士正在将多能干细胞制造软骨细胞（负责软骨形成的细胞）接种到支架上，然后通过手术将支架植入膝关节损伤部位。根据科学数据，植入的支架有可能使受损的软骨再生，从而降低发展为膝关节骨关节炎的可能性。这种新的治疗方法可能是一种现成的方法，成本更低、更易于管理，并且还可能降低进展为骨关节炎的可能性。这是一个后期的临床前计划。目标是制造临床级产品，进行广泛的研究以证明该方法的安全性，然后向FDA提交IND申请，请求批准在人体临床试验中测试该产品。该计划是CIRM在基础生物学和转化阶段资助的早期工作的延续。

编译自<https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/newsroom/press-releases/10192021/stem-cell-agency-funds-research-repair-damaged-knee-0>

原文标题：Stem Cell Agency Funds Research to Repair Damaged Knee Cartilage

澳大利亚政府提供 2500 万澳元促进干细胞研究

2021年10月20日，澳大利亚卫生部发布消息称，莫里森政府正在通过2500万澳元的资助促进澳大利亚主导的干细胞研究，以帮助寻找和开发创新、安全和有效的治疗方法来治疗毁灭性的疾病和伤害。

通过政府的医学研究未来基金（MRFF），干细胞治疗任务将在10年内投资1.5亿澳元，以支持世界领先的干细胞研究，与患者和护理人员合作，改善健康结果。

从2021-22年开始的五年内，通过两个资金来源可提供高达2500万澳元的资金：

1) 1500万澳元：支持以疾病为中心的大型多学科团队开发基于干细胞的新型疗法。

2) 1000万澳元：支持大型项目，这些项目将侧重于使用由干细胞制成的人体组织进行的新疗法的临床前评估和筛选，涉及大型多学科团队。

要获得资助，项目必须致力于最终产品或治疗，有可行的上市途径，并考虑与治疗相关的伦理、法律和社会问题。

编译自<https://www.health.gov.au/ministers/the-hon-greg-hunt-mp/media/25-million-to-boost-stem-cell-research-in-australia>

原文标题：\$25 million to boost stem cell research in Australia

研究与开发

法国科学家揭示 Glia-to-Neuron 的重编程有望用于治疗抗药性癫痫

2021年9月29日，来自法国里昂大学的Christophe Heinrich团队在*Cell Stem Cell*杂志在线发文，报道他们在MTLE小鼠模型中，通过共表达转录因子Ascl1和Dlx2将海马区的反应性胶质细胞重编程为GABA能神经元（iNs），有效地减少了慢性癫痫发作。

在这项研究中，研究人员通过表达Ascl1和Dlx2，成功地将内源性和移植的神经胶质细胞重编程为MTLE-HS小鼠模型中的GABA能iNs。这些iNs可以在功能上整合到癫痫网络中，并在海马GCs细胞上建立GABA能突触。GABA能iNs在疾病的慢性期显著降低MTLE-HS小鼠自发性癫痫复发活动。该研究揭示了在体内的胶质细胞到神经元的重编程是一种潜在的基于细胞的治疗策略，而对于MTLE-HS患者来说，采用有效的治疗策略控制癫痫发作是非常必要的，因此该策略为抗药性癫痫疾病患者带来了新的曙光。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/uMuUZR2p1SJNxuf7Lhm9gw>

标题：Cell Stem Cell | Glia-to-Neuron重编程策略有望应用于治疗抗药性癫痫

原文链接：<https://doi.org/10.1016/j.stem.2021.09.002>

原文标题：Reprogramming reactive glia into interneurons reduces chronic seizure activity in a mouse model of mesial temporal lobe epilepsy

耶鲁大学医学院揭示胚胎发育中期前额叶皮层加速扩张的分子机制

2021年9月29日，耶鲁大学医学院Nenad Sestan团队以背靠背的形式在*Nature*杂志上发表2篇论文，共同揭示了人类胚胎发育中期，大脑神经元突触发生和轴

突发生的分子开关。

第一项研究通过分析和比较Brain-Span和PsychENCODE计划中来自人类和猕猴新皮质发育的转录组数据和实验数据，发现在人发育过程中，只有胚胎中期PFC脑区的小脑蛋白CBLN2的表达瞬时上调，而在非PFC的皮质区域并未发现此类变化。对CBLN2的基因进行分析，发现只有CBLN2的增强子2（CBLN2 E2）只在胚胎发育中期具有活性，对人、猕猴和小鼠的CBLN2 E2序列进行分析，发现Hominini支系（包括人类、普通猩猩和矮黑猩猩）的CBLN2 E2序列存在两个独立的缺失，并且CBLN2 E2上存在SOX5的结合位点。SOX5能以剂量依赖的方式，抑制猕猴和小鼠CBLN2 E2的激活，但是对于人的CBLN2 E2并没有抑制作用。

通过构建人源化的CBLN2 E2（hCBLN2 E2）的转基因小鼠，发现转入hCBLN2 E2后能特异性的促进小鼠PFC脑区CBLN2的表达，并且荧光标记发现hCBLN2 E2能促进PFC脑区兴奋性神经元的树突棘密度的增加。进一步对树突棘进行量化，发现hCBLN2 E2增加浅层和深层PFC的总树突棘密度，通过对树突棘进行分型，发现hCBLN2 E2主要增加细长型树突棘和蘑菇型树突棘的密度，并促进PFC神经元与其他投射神经元形成突触结构。

在第二项研究中，通过使用 human BrainSpan RNA-sequencing数据，筛选获得胚胎发育过程中皮质部位显著上调的差异基因，通过GO分析和实验发现维甲酸（RA）、RA相关基因和RA相关信号通路在胚胎发育中期的PFC显著上调，并且CBLN2和维甲酸受体RARA、RARB均为其调节的下游靶点。进一步研究发现RA通过RARA和RARB诱导PFC脑区神经元的发育，促进轴突生长，来增加PFC神经元和丘脑的连接性。

两项研究共同揭示了在人类大脑发育过程中，胚胎发育中期前额皮层脑区神经元突触发生和轴突发生爆发式增加的神经生物学机制，通过生物信息学手段找到胚胎发育中期特异性促进树突发生的RA-CBLN2信号通路和促进轴突发生的RA-RARA/RARB信号通路，为理解人类胚胎发育提供了分子机制，也为治疗发育障碍相关的精神疾病提供了潜在的干预靶点。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/U-ZrgcQsCREOxNlmODLYgA>

标题：Nature背靠背 | 胚胎发育中期人类前额叶皮层加速扩张的分子机制

原文链接：<https://www.nature.com/articles/s41586-021-03952-y>
<https://www.nature.com/articles/s41586-021-03953-x>

原文标题: Hominini-specific regulation of CBLN2 increases prefrontal spinogenesis
Regulation of prefrontal patterning and connectivity by retinoic acid

日本科学家综述哺乳动物体外配子发生的研究

2021年10月1日, 京都大学MITINORI SAITOU和九州大学KATSUHIKO HAYASHI合作在*Science*期刊发表有关哺乳动物体外配子发生(in vitro gametogenesis, IVG)的综述。文章展望道, 小鼠IVG的概念验证和人类IVG的基本框架已经建立, 为探索小鼠和人类生殖细胞的发育机制(包括那些在技术和伦理上都难以解决的发育机制)创造了机会。IVG技术可以应用于包括濒危物种在内的其他动物, 从而实现物种保护。实现人类IVG需要进一步的进展, 但将为诊断和模拟不孕不育症、探索其补救措施和改进人工生殖技术创造可能性, 从而推动生殖医学的发展。人类IVG也可以扩展为生殖应用, 但在这被认为是允许的之前, 分析必须包括对IVG衍生的动物模型(最好是灵长类动物模型)进行适当的“正常性”评估, 以及对hPSC和所产生的配子进行遗传和表观遗传评估。一旦所有的技术问题得到解决, 在全社会范围内讨论是否使用IVG衍生的配子进行人类生殖是至关重要的, 因为这种应用将改变对人类起源和生命延续的理解。

信息来源: <https://news.bion.com/article/6791620.html>

标题: Science: 探究哺乳动物体外配子发生

原文链接: <https://www.science.org/doi/10.1126/science.aaz6830>

原文标题: Mammalian in vitro gametogenesis

中科院和上海交大合作揭示心肌细胞的增殖活性具有区域性特点

成体哺乳动物在心脏损伤后不能及时再生, 给心脏造成不可逆的损伤, 同时极低的增殖速率也给检测心肌细胞的增殖带来了挑战。传统检测心肌细胞增殖的方法面临多种问题: 只能检测单一时间点, 无法进行长时程的追踪; 心肌增殖的信号被其他类型细胞增殖的信号干扰, 无法进行明确分辨; 若借助流式细胞技术则很难提供原位的细胞增殖信息; 长时间的核酸类似物掺入可能导致细胞的正常分裂受到影响。因此建立一种可以长时间特异性追踪心肌细胞增殖的技术对于解决心肌细胞增殖的问题至关重要。2021年10月1日, 中国科学院分子细胞科学卓越中心周斌团队与上海交通大学胸科医院何奔团队在*Nature Communications*在线发文, 为的研究论文。该工作利用细胞增殖示踪技术ProTracer研究了哺乳动物成体小鼠心脏中心肌细胞的增殖活性, 揭示了成体后

心脏心肌细胞增殖的位置具有特异性，为心肌细胞增殖和心脏修复再生研究提供了新的检测工具以及研究思路。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/dj35GIyoRj-DjjmaxC4vFw>

标题：Nat Comm | 周斌/何奔团队合作揭示心肌细胞的增殖活性具有区域性特点

原文链接：<https://www.nature.com/articles/s41467-021-25933-5>

原文标题：Cell proliferation fate mapping reveals regional cardiomyocyte cell-cycle activity in subendocardial muscle of left ventricle

美国科学家传导电流以保持心脏跳动的细胞具有再生能力

2021年10月1日，美国德克萨斯大学西南医学中心Nikhil V. Munshi团队在*Journal of Clinical Investigation*期刊发文，报道他们以小鼠为研究对象，发现在出生后的日子里，传导电流以保持心脏跳动的特定细胞具有一种以前未被认识到的再生能力。

Munshi团队使用基因工程来培育出当给予乳腺癌药物他莫昔芬（tamoxifen）时位于心脏四室交叉点附近的房室结细胞（atrioventricular node cell）就会死亡的小鼠。在给予他莫昔芬的这种品系的成年小鼠中，组织样本和心电图显示，在接下来的几周和几个月里，由于房室结细胞的死亡而造成了渐进性的心脏损伤。然而，在给新生小鼠提供他莫昔芬大约一个月后，三分之一的小鼠的心脏功能似乎完全正常。测试显示，许多小鼠的心脏在最初受到了损伤后逐渐自我愈合，虽然愈合并没有导致成年后的心脏完全正常，但这足以使小鼠拥有正常的心律。进一步的调查显示，非肌肉心脏细胞是结细胞死亡后发生增殖的主要细胞类型。这些细胞似乎调节了帮助心脏细胞进行电连接的蛋白的产生。这一发现最终可能导致对心律失常的治疗，并通过促进心脏自我愈合来避免对侵入性起搏器或药物的需求。

信息来源：<https://news.bion.com/article/6791629.html>

标题：JCI：在新生小鼠中，传导电流以保持心脏跳动的细胞具有再生能力

原文链接：<https://www.jci.org/articles/view/138637>

原文标题：Inducible cardiomyocyte injury within the atrioventricular conduction system uncovers latent regenerative capacity in mice

中国科学家揭示促癌基因 NEAT1 抑制白血病发生和发展

2021年10月6日，中国科学院生物物理研究所卜鹏程课题组和解放军总医院第五医学中心胡亮钉教授团队合作在*Advanced Science*杂志上发文，报道他们首次发现实体瘤中被认为是促癌基因的长链非编码RNA NEAT1（Nuclear Enriched

Abundant Transcript 1), 通过抑制AML干细胞自我更新, 抑制AML的发生和发展。有意思的是, NEAT1对正常造血和造血干细胞的功能没有影响。研究人员发现定位于旁斑中的NEAT1从细胞核穿梭到细胞质中, 与Wnt通路接头蛋白DVL2和E3泛素化连接酶Trim56结合, 通过促进DVL2降解, 抑制Wnt信号通路, 进而抑制AML干细胞的自我更新。该研究发现了实体瘤中的促癌基因NEAT1在AML中具有抑癌功能, 揭示了NEAT1_1出核新机制, 为AML靶向治疗提供理论依据。

信息来源: <https://mp.weixin.qq.com/s/x0W2oOoMgK8hs6kAS-DFow>

标题: Adv Sci | 卜鹏程/胡亮钉合作研究揭示促癌基因 NEAT1 抑制白血病分发生和发展

原文链接: <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/advs.202100914>

原文标题: Cytoplasmic NEAT1 Suppresses AML Stem Cell Self-Renewal and Leukemogenesis through Inactivation of Wnt Signaling

苏州大学利用工程化的间充质干细胞外囊泡治疗自身免疫性疾病

当机体自身免疫耐受机制失调或被破坏而不可控制地激活后, 会影响受累组织和器官的功能引发自身免疫性疾病。目前常用的免疫抑制类药物通常是非特异性的且具有多种副作用, 因此迫切需要开发精准化的免疫耐受失调干预措施。2021年10月6日, 苏州大学功能纳米与软物质研究院的汪超课题组在 *Advanced Materials* 期刊发文, 报道他们开发了一种靶向病理组织并维持机体免疫耐受的基因工程化细胞外囊泡。

该研究利用慢病毒介导构建了高表达PD-L1的间充质干细胞起源的细胞外囊泡, 通过与活化免疫细胞的PD-1相互作用启动免疫抑制信号, 维持机体免疫耐受。通过构建小鼠溃疡性结肠炎和银屑病模型, 该研究发现此细胞外囊泡可以特异性靶向病变部位, 通过调控免疫微环境重塑病变部位的正常生理功能。

信息来源: <https://mp.weixin.qq.com/s/1MXPftPmhfh6cC-IsQ9Ltw>

标题: Advanced Materials: 工程化的间充质干细胞外细胞囊泡高表达PD-L1可用于自身免疫性疾病治疗

原文链接: <https://doi.org/10.1002/adma.202106265>

原文标题: Mesenchymal Stem Cell-derived Extracellular Vesicles with High PD-L1 Expression for Autoimmune Diseases Treatment

中国团队揭示毛干通过 Piezo1 信号通路调控毛囊干细胞的分子机制

2021年10月7日, 北京生命科学研究所/清华大学陈婷团队在 *Cell Stem Cell* 期刊在线发文, 报道他们发现毛干的脱落或直径的减少会导致物理微环境大小

的缩小，从而导致在衰老过程和疾病情况下毛囊干细胞受到机械挤压和凋亡性的丢失。

该项研究结果确定了物理结构毛干的一个新的功能，其作为微环境的一部分控制毛囊干细胞的存活。研究也揭示了一个新的机械感受信号通路，可以调节物理微环境萎缩引起的体内干细胞损耗。研究也发现了在组织再生过程中一个自我调节的供需机制：终产物（毛干）和起源（干细胞）。像许多再生组织一样，毛囊干细胞不直接参与导致终产物毛干形成的增殖和分化的一系列过程。这些过程受控于复杂局部微环境信号，如真皮乳头（Dermal Papilla）、激素、神经和免疫系统。虽然通常被认为是一种惰性结构，毛干作为一个微环境组成部分，将所有这些复杂的调控信息直接输送给毛囊干细胞。在衰老和渐进性低毛症的情况下，来自持续毛干缩小的负反馈，反映的是毛干产生过程中的持续异常信号。在这种情况下，毛囊干细胞将丢失，并因此而被耗尽。这一发现展示了一个组织终产物直接调节干细胞活性的通用范例。总之，这一研究揭示的分子机制也显示了机械敏感通道Piezo1作为潜在的治疗干细胞丢失的药物靶点。

信息来源：https://3g.163.com/baly_x/article/GLPOAUUU0532BT7X.html

标题：陈婷团队揭示毛干通过Piezo1信号通路调控毛囊干细胞的分子机制

原文链接：<https://doi.org/10.1016/j.stem.2021.09.009>

原文标题：Hair shaft miniaturization causes stem cell depletion through mechanosensory signals mediated by a Piezo1-calcium-TNF- α axis

瑞典科学家确定了人类大脑进化的非编码 DNA 遗传因素

2021年10月7日，瑞典隆德大学Johan Jakobsson团队在*Cell Stem Cell*期刊发文，报道他们确定了人类大脑进化的非编码DNA遗传因素。

该研究利用人类与黑猩猩的前脑神经前体细胞，检查了使人类和黑猩猩大脑发生改变的非编码DNA。该研究发现差异转录因子ZNF558仅在人类大脑中高度富集，顺势作用因子可变数目串联重复序列（VNTR）这种非编码DNA是导致ZNF558差异的原因，这可能是人类与黑猩猩大脑不同的根源所在。

人类DNA有着30亿碱基对，但其中仅有2%会编码蛋白质，其余的98%为非编码DNA，这项研究表明，影响大脑发育，分开人类和黑猩猩的重要因素可能隐藏在了这被忽视的98%的非编码DNA之中，这无疑是一个重要发现。该研究确定了人类大脑进化的非编码DNA遗传因素，即一种顺势作用因子——VNTR，

VNTR通过调控一种ZNF558蛋白，进而影响靶基因SPATA18，从而调节线粒体的降解自噬，最终对人类大脑进化做出贡献。

信息来源：https://www.thepaper.cn/newsDetail_forward_14883827

标题：Cell子刊：是什么让我们成为人类？非编码DNA发挥了关键作用？

原文链接：<https://doi.org/10.1016/j.stem.2021.09.008>

原文标题：A cis-acting structural variation at the ZNF558 locus controls a gene regulatory network in human brain development

德国科学家揭示应激如何调节毛囊干细胞

2021年10月8日，德国马格德堡大学医学院附属医院Sven R. Quist团队在*Nature*期刊发表研究亮点文章，报道他们证实皮质酮（小鼠体内相当于人类皮质醇）通过调节Gas6基因表达，控制毛囊干细胞（HFCS）的沉默活动。

毛囊是一个高度交互调节的小器官，使干细胞功能的研究成为可能。高通量干细胞的生态位被称为隆起区，该隆起区是静止高通量干细胞所在的区域。HFSCs被短暂激活，并增殖形成毛芽。毛球的基质细胞增殖和分化，在生长（生长期）阶段使毛干伸长。在各种小鼠模型中，通过腺病毒相关注射激活基因表达和细胞培养实验，他们研究了皮质酮对高脂干细胞活性的影响。经过手术摘除肾上腺（肾上腺切除术）的小鼠的毛发仍然是增生性的，它们的毛干和毛囊变长了，与腺体完整的小鼠相比，它们的毛囊进入生长期的结果更同步，周期更长。

信息来源：<https://www.zhihu.com/pin/1436021450675634176>

标题：【生物科技最新研究速递】

原文链接：<https://www.nature.com/articles/s41392-021-00772-4>

原文标题：Keep quiet—how stress regulates hair follicle stem cells

厦门大学揭示调控胸腺成熟 T 细胞迁出到外周的新机制

2021年10月8日，厦门大学生命科学学院刘文贤教授、肖昌春教授和医学院付国教授合作在*Science Advances* 期刊上发文，揭示了GSK3/ β -catenin信号通路在调控胸腺成熟T细胞从胸腺迁出的重要功能和调控机制，为T细胞发育和迁移的信号调控提供新的分子机制解析。

研究团队利用GSK3^{afl/fl}, GSK3^{bfl/fl}; CD4Cre (DKO) 小鼠分析发现，DKO小鼠外周免疫器官中T细胞几近消失，利用胸腺细胞示踪技术发现，DKO小鼠胸腺成熟T细胞迁移出现明显缺陷。通过转录组学结合蛋白水平分析发现，DKO小鼠胸腺T细胞中Foxo1/KLF2/S1P1信号通路出现明显缺陷，该通路是已知

的调控胸腺成熟T细胞迁出的重要通路,进一步分析发现,GSK3缺失后导致Akt激酶异常激活,是介导Foxo1/KLF2/S1P1通路缺陷的主要原因。为了证明该条信号通路的正确性,研究人员利用骨髓改造降低Akt激酶活性,或者引入持续激活的转录因子Foxo1AAA,均能够有效的回补GSK3缺失导致的迁移缺陷。

研究团队接下来探究GSK3如何调控Akt激酶活性,结果发现,胞浆内高表达的 β -catenin可以直接促进Akt激酶激活,机制上研究人员发现,胞浆内的 β -catenin主要减低Akt和其去磷酸酶PHLPP2和PP2A的互作,从而抑制PHLPP2和PP2A对Akt的去磷酸化,以此促进了Akt激酶活性。综上,该研究首次报道了GSK3在调控胸腺成熟T细胞迁出的重要作用,并且在免疫细胞中首次揭示了 β -catenin不依赖经典的转录调控而直接在胞浆内激活Akt的新型调控机制。

信息来源: <https://mp.weixin.qq.com/s/11h4uoGJ0mlGXK0ljSnCag>

标题: Science子刊: 厦大刘文贤团队揭示调控胸腺成熟T细胞迁出到外周的新机制

原文链接: <https://www.science.org/doi/10.1126/sciadv.abg6262>

原文标题: Glycogen synthase kinase 3 drives thymocyte egress by suppressing β -catenin activation of Akt

浙江大学阐明 H3K27me3 调控细胞不对称分裂的重要作用

2021年10月12日,浙江大学生命科学研究院方东实验室在*Nature Communications*在线发文,报道他们建立了一种新的测序方法——SET-seq (same cell epigenome and transcriptome sequencing),该方法可以同时单个细胞中捕获蛋白-染色质互作和基因表达信息。利用SET-seq,作者对Wnt3a诱导小鼠胚胎干细胞的不对称分裂进行了深入分析研究,揭示了在分化过程中维持和重置干细胞命运的基因调控机制。

SET-seq首先分离同一细胞的细胞核以及细胞质RNA,之后基于Tn5转座酶,在细胞核中对目标蛋白结合的染色质片段进行表观文库构建;同时反转合成细胞质RNA的cDNA,使用Tn5转座酶对cDNA/RNA杂交链进行转录组文库构建。SET-seq不仅能够在少量细胞中进行,并且能够应用到单细胞水平。其建库方法简单,能够在实验室内快速建立实验系统。在Wnt3a诱导的小鼠胚胎干细胞不对称分裂过程中,作者在单细胞水平上利用SET-seq联合检测了子细胞中H3K27me3、H3K4me3以及对应的基因表达。通过基因表达的差异性将子细胞分成了“Mix”,“Proximal”以及“Distal”三个不同的细胞亚群,并且发现其中的“Proximal”以及“Distal”两个亚群中主要分布了非对称分裂的子细胞,

而“Mix”亚群中则主要分布了对称分裂的子细胞。作者进一步分析了在子细胞中H3K27me3、H3K4me3与基因表达之间的关系，发现H3K27me3与不对称细胞分裂中的基因表达变化具有较强相关性，并且在对称分裂的“Mix”细胞亚群中的marker基因上具有更高的富集程度，说明H3K27me3在细胞非对称分裂中起到了关键作用。在H3K27me3甲基转移复合物PCR2的相关元件中，只有AEBP2在对称分裂的“Mix”细胞亚群中表达量远高于其他两个细胞亚群。敲除Aebp2后产生不对称分裂细胞的比例升高，进一步证实了H3K27me3作为关键调控因素在Wnt3a诱导的细胞不对称分裂过程中起着重要作用。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/ywvvR46EvaR9dYxVx8poXg>

标题： Nat Commun | 方东课题组阐明 H3K27me3 调控细胞不对称分裂的重要作用

原文链接：<https://doi.org/10.1038/s41467-021-26203-0>

原文标题： Joint single-cell multiomic analysis in Wnt3a induced asymmetric stem cell division

南加州大学经过基因编辑的胚胎神经干细胞帮助蜥蜴再生尾巴

2021年10月14日，美国南加州大学 Thomas P. Lozito 团队在 *Nature Communications* 期刊发文，首次描述了干细胞如何能够帮助蜥蜴再生更好的尾巴。

团队分析了与胚胎发育相比，蜥蜴尾巴在成体再生过程中是如何形成的。在这两种情况下，神经干细胞（构建神经系统的干细胞）都起着核心作用。成体神经干细胞产生一种分子信号，阻断骨骼和神经形成，促进软骨生长，有效地“腹侧化”尾巴两侧。这导致软骨管是典型的再生尾部。即使在没有这种腹侧化信号的情况下，成体神经干细胞也不能为尾部背侧产生新的神经组织。相反，胚胎神经干细胞只在成为尾巴下侧或腹侧的软骨区域产生这种“腹侧”信号。同时，在没有该信号的情况下，上侧或背侧发育骨骼和神经组织。因此，尾部获得了原始胚胎附属物错综复杂的背腹式特征。然而，如果将胚胎神经干细胞植入成体尾部残端，它们会对腹侧化信号作出反应，并且不能发育成背侧结构。为了克服这些障碍，Lozito的团队利用基因编辑工具使胚胎神经干细胞对腹侧化信号无反应，并通过手术将这些细胞植入成体尾部残端，从而再生出完美的尾巴。

作者认为，这项研究为了解如何提高生物体再生潜力的必要实践。完善不完美的再生蜥蜴尾巴为用于改善不能自然再生的伤口的愈合提供蓝图，如切

断的人类肢体和脊髓。作者希望该研究将为治疗难以愈合的损伤带来医学突破。

信息来源：https://www.sohu.com/a/495291194_183834

标题：【Nature子刊】在干细胞的帮助下，蜥蜴2.5亿年来首次长出完美尾巴

原文链接：<https://phys.org/news/2021-10-aided-stem-cells-lizard-regenerates.html>

<https://www.nature.com/articles/s41467-021-26321-9>

原文标题：Aided by stem cells, a lizard regenerates a perfect tail for the first time in 250 million years

Introducing dorsoventral patterning in adult regenerating lizard tails with gene-edited embryonic neural stem cells

西班牙科学家揭示一种不依赖干细胞的受损肌肉自我修复机制

2021年10月15日，西班牙庞培法布拉大学William Roman团队在*Science*期刊发文，报道他们发现运动所致的局部肌肉损伤会激活一种不依赖于肌肉干细胞的肌纤维自我修复机制。小鼠的肌肉损伤触发了涉及钙离子、CDC42和磷酸激酶C的信号级联反应，并通过微管和动力蛋白将细胞核吸引到受损部位。细胞核的迁移加速了肌纤维的修复，在局部递送mRNA以进行肌细胞的重建。这种细胞自主的保护机制是更全面、更深入地了解生理和疾病中的肌肉修复的一种替代模型。而*Science*期刊同期的一篇展望文章则认为，这个发现还有着更为深远的意义：在这项研究中出现的关键蛋白，例如HSP27、CDC42，有可能成为修复损伤或帮助患者康复的新靶点。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/X7qB3xq-tkzaV3ocLiwUrw>

标题：撸铁过猛肌肉酸痛？别担心，Science揭示受损肌肉自我修复的秘密

原文链接：<https://www.science.org/doi/10.1126/science.abe5620>

<https://www.science.org/doi/10.1126/science.abm2240>

原文标题：Muscle repair after physiological damage relies on nuclear migration for cellular reconstruction

Resealing and rebuilding injured muscle

美国西北大学拓展三维微流控组装方法制备血管网络

2021年10月20日，美国西北大学John A. Rogers团队和黄永刚团队合作在*Science Advances*期刊发文，报道了他们对由力学引导压缩屈曲形成的复杂三维微流体网络的研究。

作为一种可精确操控微尺度流体的技术，微流控（microfluidics）能通过微小尺寸的流体通道，定量输送液体和气体，它在化学分析、药物输送、人造血管等领域都有重要作用。由于可实现更大范围的养分输送，基于微流控技术的人造血管网络，在实现较大尺寸的三维细胞培养、再生组织、人造器官等方面

都有明确意义。

然而即便前景明朗，制备复杂三维微流控的众多方法比如3D打印，在此前都面临着一定局限，典型挑战在于：难以形成复杂可控的三维形状、难以达到和毛细血管（直径约10微米）相当或更小的流道尺寸、难以具备通透的几何构型、难以实现快速高通量的制备工艺、难以集成用于感测和致动的高性能电子器件等等。而在本次研究中展示的方法突破了上述限制。第一作者栾海文认为，这一研究为实现智能人工微血管网络迈出了一大步。

信息来源：https://m.sohu.com/a/496870862_354973/

标题：90后同济毕业生拓展三维微流控组装，可用于体外组织培养和人造器官输送养料等

原文链接：<https://www.science.org/doi/full/10.1126/sciadv.abj3686?af=R>

原文标题：Complex 3D microfluidic architectures formed by mechanically guided compressive buckling

武汉大学揭示 IGF2BP2 在造血干细胞功能稳态中的重要作用

2021年10月21日，武汉大学免疫与代谢前沿科学中心/医学研究院/口腔医学院张好建教授团队在*Cell Stem Cell*期刊在线发文，报道他们开发了一种针对少量细胞的高灵敏性m6A测序方法SLIM-seq，并利用该方法首次绘制了小鼠血液系统包括造血干细胞、祖细胞、成熟血细胞等16种不同细胞群体的m6A修饰图谱；揭示了血液系统m6A变化规律，并解析了其中潜在的机理；阐明了IGF2BP2-Bmi1通路调控线粒体活性、维持造血干细胞功能的分子机制。

该研究系统绘制了小鼠血液系统中不同细胞群体的m6A修饰图谱，并揭示了其变化规律，发现了IGF2BP2在造血干细胞功能稳态中的重要作用，并阐明了其作用机制，将有助于深入理解血液系统稳态和造血干细胞功能调控。另外，该研究突破了领域的技术瓶颈，建立的微量样本m6A测序技术SLIM-seq，将大大助力RNA m6A修饰在干细胞、发育、免疫等其他领域的相关研究。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/Kh2XFPX0i4alxjCRc1tT8g>

标题：Cell Stem Cell | 张好建团队揭示 IGF2BP2 在造血干细胞功能稳态中的重要作用

原文链接：<https://doi.org/10.1016/j.stem.2021.09.014>

原文标题：Differential m6A RNA landscapes across hematopoiesis reveal a role for IGF2BP2 in preserving hematopoietic stem cell function

英国剑桥大学发现大脑类器官切片模型显示 ALS/FTD 病理特征

2021年10月21日，英国剑桥大学András Lakatos、Gabriel Balmus等研究人员合作在*Nature Neuroscience*期刊发文，报道他们发现人类肌萎缩性侧索硬化症与

额颞叶痴呆症（ALS/FTD）大脑类器官切片培养物显示出明显的早期星形细胞和可靶向神经元病理特征。

研究人员报告了从人类诱导多能干细胞（iPSC）中获得的大脑类器官切片模型，该模型再现了成熟的皮质结构，并显示了C9ORF72型ALS/FTD的早期分子病理学。利用单细胞RNA测序和生物测定的组合，研究人员揭示了星形胶质细胞和神经元中不同的转录、蛋白稳定和DNA修复障碍。结果表明，星形胶质细胞显示自噬信号蛋白P62的水平增加，深层神经元积累二肽重复蛋白poly（GA）、DNA损伤和发生核分裂，这些都可以通过GSK2606414进行药理救援。因此，患者特异性iPSC衍生的皮质类器官切片培养是一个可重复的转化平台，可以研究临床前ALS/FTD机制以及新的治疗方法。

据介绍，ALS/FTD是一种致命的、目前无法治疗的疾病，其特点是认知能力迅速下降和瘫痪。阐明最初的细胞病理是治疗目标发展的核心，但从无症状的病人身上获取样本并不可行。

信息来源：<http://news.sciencenet.cn/htmlpaper/2021/10/2021102420575073167299.shtm>

标题：ALS/FTD 大脑类器官切片培养物显示早期星形细胞和可靶向神经元病理特征

原文链接：<https://www.nature.com/articles/s41593-021-00923-4>

原文标题：Human ALS/FTD brain organoid slice cultures display distinct early astrocyte and targetable neuronal pathology

中英团队合作开发 StemBond 水凝胶控制多能干细胞的机械微环境

机械信号的研究通常是通过比较在软和硬水凝胶基质上培养的细胞来进行的。然而，独立和稳健地控制基底刚度和细胞外基质与基底的束缚是具有挑战性的，这使得基质束缚成为机械信号研究中潜在的混杂变量。此外，不稳定的基质束缚会导致细胞附着不良和细胞粘附作用较弱。为了解决这个问题，广州再生医学与健康广东省实验室José C. R. Silva团队和英国剑桥大学 Kevin J. Chalut团队合作开发了StemBond 水凝胶，其中的基质束缚是强大的，并且可以独立于刚度而变化。团队通过证明 StemBond 水凝胶为培养小鼠和人类多能干细胞提供了最佳系统来验证它们。团队进一步展示了软 StemBond 水凝胶如何调节干细胞功能，部分是通过刚度敏感的ERK 信号。该研究结果强调了底物力学如何影响调节自我更新和分化的机械敏感信号通路，表明优化完整的机械微环境将更好地控制干细胞命运规范。该研究于 2021年10月21日在*Nature Communications*期刊上发表

信息来源：<https://new.qq.com/omn/20211024/20211024A01G6F00.html>

标题：《自然·通讯》剑桥大学：StemBond 水凝胶控制多能干细胞的机械微环境

原文链接：<https://www.nature.com/articles/s41467-021-26236-5>

原文标题：StemBond hydrogels control the mechanical microenvironment for pluripotent stem cells

英国科学家利用干细胞技术和 DNA 测序发现 GBM 新治疗靶点

多形性胶质母细胞瘤（GBM），为最常见且特别致命的脑部肿瘤，常渗入邻近组织，且形状多变而无确定范围。研究人员一直以来依赖从不同患者获得肿瘤样本。2021年10月21日，伦敦大学玛丽分校卓越脑肿瘤研究中心Silvia Marino团队在*Nature Communications*期刊发表的研究表明，利用最先进的干细胞技术和下一代DNA测序方法比较来自同一病人的患病细胞和健康细胞，这种方法可以揭示GBM发展过程中出现错误的新分子，这种显著的分子差异从而可以确定新的治疗靶点。

在该项工作中，研究人员已经建立了一个全新的实验研究管道，在一项涉及十名IDH-野生型GBM患者的试验中，揭示了GBM如何发展的新见解，为治疗确定潜在的新靶点。它还可以帮助预测患者对目前临床上用于治疗其他疾病的药物的反应，这将是非常有价值的，因为这种类型的脑瘤平均生存时间只有12到18个月。通过结合实验室工作和复杂的分析计算机程序，研究团队发现了显著的分子差异，可以利用这些差异开发新的治疗方法。这是一种创新的方法，能够比较同一患者的正常细胞和恶性细胞，帮助识别在肿瘤生长中发挥作用的基因。

信息来源：<https://baijiahao.baidu.com/s?id=1714451325133864922&wfr=spider&for=pc>

标题：「Nature 子刊」突破！干细胞技术和下一代 DNA 测序发现最常见、难治的脑肿瘤——多形性胶质母细胞瘤的新治疗靶点播

原文链接：<https://www.nature.com/articles/s41467-021-26297-6>

原文标题：Comparative epigenetic analysis of tumour initiating cells and syngeneic EPSC-derived neural stem cells in glioblastoma

产业与市场

首款重建先天性无胸腺症免疫的再生组织疗法 RETHYMIC 获批

2021年10月8日，专注罕见病创新性疗法开发的生物医药公司Enzyvant宣布，美国食品药品监督管理局（FDA）批准了其研发的RETHYMIC（allogeneic

processed thymus tissue-agdc，重构胸腺组织），用于治疗先天性无胸腺（一种罕见的免疫疾病）的儿童患者。

RETHYMIC由人同种异体（供体来源）胸腺组织组成，胸腺组织经过处理和培养，然后植入患者体内，以帮助无胸腺患者重建免疫（提高免疫功能）。剂量由患者定制，根据RETHYMIC切片的表面积和患者的体表面积确定。RETHYMIC不适用于重度联合免疫缺损病患者的治疗。

至今为止，RETHYMIC 是 FDA 批准的第一种也是唯一一种用于先天性无胸腺儿童患者免疫重建的治疗方法。

信息来源：<http://med.china.com.cn/content/pid/295664/tid/1026>

标题：先天性无胸腺症免疫重建！首款再生组织疗法RETHYMIC获批

原文链接：<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-innovative-treatment-pediatric-patients-congenital-athymia>

原文标题：FDA Approves Innovative Treatment for Pediatric Patients with Congenital Athymia

丹望医疗完成 1.2 亿人民币 A 轮融资加速类器官研究

2021年10月13日讯，丹望医疗科技（上海）有限公司（D1Med，简称“丹望医疗”）成功完成1.2亿人民币A轮融资。本轮融资由国方资本领投，德联资本、昆仑资本跟投，上一轮投资方凯风创投、领衍健康基金持续追加投资。BMD资本担任本轮融资独家财务顾问。这是丹望医疗在12个月内完成的第2轮融资，所募集资金将主要用于加速类器官标准化自动化技术升级，产能提高与优化、产品注册申报、临床试验推进和新药研发服务拓展。

丹望医疗是一家定位全球的生物医药公司，致力于将领先的类器官技术用于临床转化，包括对疾病的诊疗、新药筛选、肿瘤标志物开发与鉴定，为临床患者提供个性化的精准治疗方案，同时为药企提供“一站式”精准、高效、优质的类器官新药研发服务，是专注类器官疾病模型的平台型公司。国际类器官领域的鼻祖Hans Clevers院士以联合创始人和首席顾问科学家身份加盟丹望医疗，奠定了丹望医疗在类器官技术领域的全球领先地位。

信息来源：<http://app.myzaker.com/news/article.php?pk=616773e88e9f0965f97ba586>

标题：丹望医疗完成1.2亿人民币A轮融资，加速推进类器官临床用药指导和新药研发服务

Resilience 和哈佛大学成立五年研发联盟以开发复杂药物

2021年10月15日，美国制造和技术公司National Resilience 与哈佛大学建

立了一个为期五年的研发联盟，Resilience 承诺提供 3000 万美元致力于开发复杂的药物，包括生物制剂、疫苗、核酸以及细胞和基因疗法。

根据哈佛大学技术发展办公室协调的联盟协议，Resilience 将资助教师发起的研究，重点是大学实验室开创的某些新型治疗和生物制造技术。该联盟还预计，这些哈佛创新可能会由 Resilience 成立的新公司进行商业推进，以推动这些技术进入临床开发和商业化。

该联盟已经确定了一个初步的技术平台进行孵化，在骨骼肌疾病方面具有广阔的应用前景。在哈佛干细胞和再生生物学教授 Lee Rubin 博士的实验室中，研究人员开发了一种方法，可以在体外培养数百万个细胞，这些细胞的行为类似于骨骼肌干细胞（卫星细胞），保留其再生潜力，用于可能的细胞疗法。Resilience 现在正在资助实验室在该平台上的持续工作，旨在进一步验证它。与此同时，Resilience 成立了一个名为 Circle Therapeutics 的实体，预计 Circle 可能会在许可下推进该技术。

编译自<https://www.businesswire.com/news/home/20211015005231/en/Resilience-and-Harvard-University-Announce-Five-Year-RD-Alliance-to-Incubate-New-Technologies-Launch-Companies-to-Advance-the-Manufacture-of-Complex-Medicines>

原文标题：Resilience and Harvard University Announce Five-Year R&D Alliance to Incubate New Technologies, Launch Companies to Advance the Manufacture of Complex Medicines

Vertex 完成世界首例干细胞成功治疗糖尿病患者

2021年10月18日，Vertex 制药公司宣布，一名严重的1型糖尿病患者在接受其名为 VX-880 的干细胞来源的完全分化的胰岛细胞替代疗法后，实现了胰岛细胞功能的“稳健恢复”，这些恢复的胰岛细胞可以让患者调节胰岛素甚至自己产生胰岛素，每天的胰岛素使用量减少91%，血糖控制得到显著改善。

VX-880 是一种干细胞来源的胰岛细胞替代疗法，Vertex 于2019年9月以9.5亿美元的价格收购 Semma 疗法公司后获得了该疗法。该疗法旨在通过为患者提供基于供体干细胞来源的胰岛细胞产生胰岛素来恢复身体调节葡萄糖的能力，从而取代胰岛素注射治疗和长期护理。

据了解，Vertex 正在开发其封装胰岛细胞疗法，这一疗法将无需对患者进行免疫抑制，并计划在2022年向FDA提交临床试验申请。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/ITroiUWWNRm6INCAFhti0w>
标题：世界首例：干细胞成功治疗糖尿病患者，让其重新产生胰岛素

原文链接：<https://news.vrtx.com/press-release/vertex-announces-positive-day-90-data-first-patient-phase-12-clinical-trial-dosed-vx>

原文标题：Vertex Announces Positive Day 90 Data for the First Patient in the Phase 1/2 Clinical Trial Dosed With VX-880, a Novel Investigational Stem Cell-Derived Therapy for the Treatment of Type 1 Diabetes

Mammoth 与 Vertex 达成近 7 亿美元基因编辑治疗合作协议

2021年10月26日，Vertex制药公司和Mammoth生物科学公司宣布达成合作，未来将使用Mammoth的CRISPR系统开发两种遗传疾病的体内基因编辑疗法。根据协议条款，Mammoth将获得4100万美元的预付款，并有资格获得高达6.5亿美元研发和商业里程碑金。

Mammoth的CRISPR平台专注于两种超小型Cas酶：Cas14和Cas ϕ ，Cas酶是CRISPR基因编辑系统的核心元件。基因编辑器常用的递送工具是腺相关病毒（AAV），但是AAV的负载量有限，所以更小尺寸的Cas酶更易递送，并且有希望增加体内基因编辑的范围。

Mammoth成立于2017年，2020年诺贝尔化学奖得主Jennifer Doudna是Mammoth的联合创始人之一。截至目前，Mammoth已获得了总额超2.6亿美元的多轮融资。除了多家知名投资机构，Mammoth还获得了Brook Byers（生物技术领域知名投资人）、Tim Cook（苹果CEO）和Jeff Huber（前任谷歌工程副总裁）等个人投资者的资金支持。

Vertex成立于1989年，由Joshua Boger和Kevin J. Kinsella共同创立，最初专注于囊性纤维化的治疗，近年来逐步向细胞疗法、基因疗法靠拢。

信息来源：<https://mp.weixin.qq.com/s/HfzfOxQk06RRj15T3KPjGA>

标题：1.5亿美元融资后，又获近7亿美元合作！诺奖得主公司“牵手”Vertex，开发体内基因编辑疗法

原文链接：<https://www.businesswire.com/news/home/20211026005322/en/Vertex-and-Mammoth-Biosciences-Announce-Collaboration-to-Develop-In-Vivo-Gene-Editing-Therapies-for-Serious-Diseases>

原文标题：Vertex and Mammoth Biosciences Announce Collaboration to Develop In Vivo Gene-Editing Therapies for Serious Diseases

Quris 通过新的临床预测 AI 平台弥补关键药物开发的差距

2021年10月18日，颠覆制药领域的人工智能创新公司Quris推出了首个临床预测AI平台，以预测哪些候选药物能够安全地作用于人类——显着提高疗效并降低药物开发成本。Quris使用人工智能驱动微型“patients-on-a-chip”（芯

片病人），避免了失败临床试验的巨大风险和成本，并消除了对无效动物试验的依赖。

Quris最初专注于无法在动物身上建模的罕见遗传疾病，还宣布它正在准备在该平台上开发的首个药物用于治疗脆性X综合征（FXS），将于2022年进行临床试验。

与纽约干细胞基金会（NYSCF）研究所合作，受益于其干细胞自动化技术，Quris正在开发一个全自动、自我训练的AI平台，可以更好地预测新候选药物的临床安全性和有效性。其芯片平台拥有18项已授予和正在申请的专利，采用低成本、一次性的“微型生物”芯片和新型实时纳米传感器和纳米循环芯片的独特组合，不断训练Quris AI引擎和候选药物安全性/有效性的预测因子。结合NYSCF和Quris基于AI的临床预测、高通量筛选和干细胞疾病建模的强大功能，Quris平台将接受已知安全和有毒药物的训练，因此它可以快速筛选数千种潜在的药物配方数百个基因多样化、小型化的“芯片病人”，以极低的成本测试疗效。

编译自[https://www.globenewswire.com/news-release/2021/10/18/2315564/0/en/Quris-](https://www.globenewswire.com/news-release/2021/10/18/2315564/0/en/Quris-Closes-Critical-Drug-Development-Gaps-With-New-Clinical-Prediction-AI-Platform.html)

[Closes-Critical-Drug-Development-Gaps-With-New-Clinical-Prediction-AI-Platform.html](https://www.globenewswire.com/news-release/2021/10/18/2315564/0/en/Quris-Closes-Critical-Drug-Development-Gaps-With-New-Clinical-Prediction-AI-Platform.html)

原文标题：Quris Closes Critical Drug Development Gaps With New Clinical Prediction AI Platform

Curi Bio 和 NEXEL 成立合资企业 Celogics 开发 iPSC 衍生产品

2021年10月26日，韩国胚胎干细胞和诱导性多功能干细胞技术公司NEXEL和美国一家基于人类干细胞的药物发现平台开发公司Curi Bio宣布成立合资公司Celogics，专注于人类iPSC衍生细胞产品的开发和商业化，用于药物发现、药物安全测试和生物研究。Celogics iPSC生产和分销总部将位于华盛顿州西雅图。

美国占全球干细胞市场的近50%，而Celogics与市场领导者Curi Bio的合资伙伴关系将代表NEXEL进入美国的重要战略入口。Celogics将向美国和全球市场提供NEXEL的iPSC衍生细胞产品，包括Cardiosight®-S心肌细胞，并将在西雅图启动iPSC生产设施，以支持快速增长和iPSC合同开发和制造服务。Celogics还将开发和商业化下一代iPSC衍生细胞产品。

编译自<https://www.businesswire.com/news/home/20211026006164/en/Curi-Bio-and-NEXEL-Announce-Celogics-Joint-Venture-to-Develop-Leading-iPSC-derived-Cell-Products>

原文标题：Curi Bio and NEXEL Announce Celogics, Joint Venture to Develop Leading iPSC-derived Cell Products

晶泰科技与希格生科再续癌症靶向药新管线合作

2021年10月26日讯，近日AI赋能的药物科技公司晶泰科技（XtalPi）与基于疾病模型的癌症创新靶向药研发公司希格生科（Signet Therapeutics）签订新的管线研发合作，将“AI药物发现+疾病模型平台”的药物研发模式用于一个全新靶点的药物发现，助力Signet Therapeutics拓展其癌症靶向药管线。

XtalPi将AI算法、专家经验与药物试验深度结合，探索出一条完善的AI药物发现流程，并在合作中一再验证其价值。其AI算法平台涵盖从靶点验证、药物发现到临床前开发的上百种算法，结合公司资深的药物专家团队，与虚实结合、为算法快速提供验证和反馈的前沿药物实验室，使其在创新药物发现中具有独到的优势。Signet Therapeutics拥有癌症与生物功能学领域深厚的研究积累，针对癌症种类定制开发类器官疾病模型平台，两者强强结合，既能跳脱现有分子库的限制，在广阔的化学空间中搜索具有创新性的分子骨架，也可以使XtalPi AI平台对药物功能水平的预测准确度获得提升，提早预测并优化对临床成败起关键影响的药物性质，从而加速新靶点向靶向药的转化。

信息来源：<https://www.163.com/dy/article/GN80VLAM0538DF19.html>

标题：AI制药+疾病模型，晶泰科技与希格生科再续癌症靶向药新管线合作