

## 附件 1

# 创新药物研发国家科技重大专项 2026 年度 项目申报指南

根据创新药物研发国家科技重大专项（以下简称“创新药物重大专项”）实施方案的部署，按照国家科技计划管理相关规定，现发布 2026 年度项目申报指南。

创新药物重大专项紧密围绕健康中国战略部署，面向药物研发向原始创新跨越的战略目标，发挥社会主义市场经济条件下关键核心技术攻关新型举国体制优势，加强源头创新和自主创新，提出重大原创理论，突破底层关键核心技术，围绕重大新药品种创制和创新体系建设两方面开展集成攻关。2026 年，围绕创新药物研发，坚持需求导向、问题导向，启动 33 个重点研究方向。

所有以人体为研究对象、涉及人类遗传资源的科学研究，须严格遵守《生物安全法》《病原微生物实验室生物安全管理条例》《人类遗传资源管理条例》《医疗卫生机构开展研究者发起的临床研究管理办法》《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》《科技伦理审查办法（试行）》《干细胞临床研究管理办法（试行）》等相关管理规范；严把科研诚信关，严

格按照《科学技术活动违规行为处理暂行规定》《科研失信行为调查处理规则》等开展工作。

创新药物重大专项采用前补助和后补助相结合的方式对项目进行支持，其中，以完成II、III期临床试验或获批上市为考核指标的项目（课题），需明确考核节点和标志性成果，并采取“里程碑”拨款方式予以后补助支持。坚持发挥中央财政资金的战略引导和资金牵引作用，各指南方向配套经费与中央财政经费按有关说明匹配。

### **1. 靶向治疗胶质瘤的化学创新药物研发**

**研究内容：**针对以神经胶质瘤为代表的脑部肿瘤的发病特征及治疗难点，开展靶向治疗的化学创新药物研发。针对已确证的致病突变，开发透脑性能更优的新一代小分子候选药物，前瞻性探索潜在的获得性耐药机制及克服耐药的策略。针对胶质瘤相关的“难成药”靶标，开展蛋白降解剂、分子胶等多种新型候选药物研发。综合运用临床大数据、多组学测序、空间组学等新兴前沿技术，发现和确证胶质瘤治疗新靶标，开展相应的小分子候选药物研发。

**考核指标：**发现 1-3 个具有明确治疗价值的新靶标或新机制；实现 2-3 个具有自主知识产权的新型胶质瘤治疗候选药物获批临床，1 个候选药物完成II期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：** 配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **2.肿瘤放疗组织防护与增敏的创新药物研发**

**研究内容：** 针对当前放疗伴随的放射性组织损伤及放疗远隔效应弱等放疗临床急需解决问题，解析组织放疗修复及肿瘤放疗增敏的核心机制，开发放射性损伤防护创新药物，提升治疗窗口，发展放疗增效低毒新模式，显著降低放疗对正常组织的损伤；发现和验证放疗拮抗及远隔效应调控的关键靶点，开发肿瘤靶向性免疫调控药物，实现对转移灶的协同杀伤，突破放射防护及放疗增敏的协同难题；建立疗效及防护作用的实时动态、无创在体检测等无缝嵌入式“防护-监测-调控”临床综合评价关键技术。

**考核指标：** 明确 2-5 个放疗拮抗及远端效应调控的干预靶点，开发 2-3 个靶向性免疫治疗候选药物，并完成临床前验证；研制出 2-3 个放疗损伤及疗效评估的核素显像探针，并完成 1-2 个探针的临床验证。获得 2-5 个放疗防护的候选药物，1-2 个候选药物开展 I 期临床试验。

**立项方式：** 公开竞争

**有关说明：** 配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **3.治疗出血性脑卒中的创新药物研发**

**研究内容：** 针对出血性脑卒中的发病特征及治疗难点，结合多组学技术、临床脑出血患者多时间点样本多组学大数据，

发现出血性脑卒中治疗新靶标。利用新靶标验证技术，开展“难成药”靶标验证，研发多种候选小分子药物，推动开展临床试验。

**考核指标：**建立出血性脑卒中多组学靶标发现技术，发现 1-3 个出血性脑卒中治疗新靶标；实现 1-2 个具有自主知识产权的候选药物获批临床，1 个候选药物完成 II 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

#### 4. 靶向治疗阿尔茨海默神经炎症的创新药物开发

**研究内容：**神经炎症是多种神经退行性疾病包括阿尔茨海默病（AD）的共性病理机制，有效控制中枢炎症是治疗 AD 的关键。针对仍未成药的原创新靶标研发高活性、高选择性、高透脑性的小分子药物，以实现 AD 中枢神经炎症的有效治疗；重点突出创新靶标的“可视化-可量化-可干预”特性；发现神经中枢炎症的新机制，建立调控神经中枢炎症的新理论，并运用新理论实现 AD 中枢神经炎症病人精准挑选，开发对炎症进程与药效动力学的原位动态监测与标准化定量新技术，确保药物在 AD 中枢神经系统中的真实靶向性，最终实现 AD 神经炎症的早期和精准干预。

**考核指标：**发现并确证调控阿尔茨海默病神经炎症的新靶标 1-2 个，建立和运用调控神经中枢炎症的新理论来实现 AD

中枢神经炎症病人的精准挑选，开发对炎症进程与药效动力学的监测与标准化定量的新技术；针对该原创新靶标研发安全有效、能透过血脑屏障，且与已进入临床试验药物药效机制不同的新型小分子候选药物 1-2 个；1-2 个品种获批临床，其中 1 个品种完成 I 期临床试验，并启动 1 项 II 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### **5.来源于天然产物的化学镇痛创新药物研发**

**研究内容：**针对具有明确镇痛疗效的天然产物单体化合物，进行深入的结构-活性和结构-毒性关系研究，发现疗效优异、无成瘾性、毒副作用较低、生物利用度良好的单分子候选镇痛药物，在临床前研究的基础上开展针对偏头痛、带状疱疹神经痛、三叉神经痛或癌痛等的临床试验；同步开展临床诊断相关生物标志物和作用机制研究，发现镇痛的新药靶，研发非阿片类受体调节剂的创新镇痛药物，并建立调节非阿片类受体镇痛的新理论和新机制。

**考核指标：**建立调节非阿片类受体镇痛的新理论和新机制。发现 2-3 个成药性良好，并且无成瘾、毒副作用低的非阿片类候选镇痛药物；2 个候选药物获批临床，其中 1 个候选药物完成针对偏头痛、带状疱疹神经痛、三叉神经痛或癌痛等适应症的 I 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **6.靶向治疗胰腺癌的化学创新药物研发**

**研究内容：**针对胰腺癌尚无有效治疗药物的重大临床未满足需求，通过胰腺癌发生发展的机制研究以及疾病的分子分型研究，解析胰腺癌的免疫、纤维化、血管、代谢、神经微环境特征，揭示治疗新靶点；开展规模化胰腺癌药物靶标筛选，研发胰腺癌创新药物；构建贴近临床病理特征的胰腺癌器官芯片模型，依据不同类型候选新药的特征，针对性开展成药性优化；开展候选新药的敏感标志物研究及克服耐药的用药策略研究，开展前瞻性综合治疗策略研究；推进候选新药的胰腺癌临床试验或联合用药研究，研发新型胰腺癌靶向治疗创新药物。

**考核指标：**发现 1-2 个胰腺癌治疗新靶标，突破 1-2 项胰腺癌治疗药物非临床评价关键技术；实现 1-2 个候选药物获批临床，1 个候选药物完成 II 期临床试验，1 个候选药物完成 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **7.代谢相关慢性肝病干预新靶标发现及化学创新药物研发**

**研究内容：**针对危害我国居民健康的脂肪性肝病、胆汁淤积性肝病、肝纤维化等代谢相关慢性肝病，围绕肝脏代谢紊乱、

酒精代谢异常、炎症与纤维化等关键环节，利用多组学技术发现并验证与疾病演进密切相关的新靶标。针对新靶标发现一批结构新颖、成药性良好的候选药物，并系统开展其临床前研究和临床试验。

**考核指标：**发现 1-2 个代谢相关慢性肝病新靶标；获得 3-5 个候选药物，1-2 个候选药物获批临床，其中 1 个完成 II 期临床试验，1 个完成 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **8.防治抑郁症的创新药物研发**

**研究内容：**针对临床高发且缺乏快速、高效、安全治疗药物的抑郁症，特别是青少年抑郁症防治未满足的临床需求，构建以犬等为代表的、高度贴近人临床抑郁症状且适用于快速药物评价的新型大动物模型，建立能更好模拟青少年抑郁症状的客观行为指标和生理指标的量化评价关键技术；或建立肠脑轴通路调控抗抑郁作用的新机制。经犬等新型大动物模型关键技术验证抗抑郁药效突出、安全性高、成药性好的天然药物组分、化学单体；阐明候选新药的作用机制，为发展全新青少年抑郁症防治候选新药提供支撑。

**考核指标：**发现 1-2 个抗抑郁药物新靶标；发现 1-2 个基于肠脑轴通路调控抗抑郁作用的新机制；建立高度贴近人临床

抑郁症状的大动物药物评价关键技术；2-3 个安全性好的青少年抑郁症防治候选新药获批临床，其中 1 个完成 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

### **9.治疗焦虑障碍的创新药物研发**

**研究内容：**针对焦虑障碍未满足的临床需求，整合临床样本、多组学分析及靶标垂钓等技术，发现新型潜在靶标。建立动物、脑类器官、细胞等多维评价技术。采用基于天然产物与人工智能等前沿技术的新药发现策略，设计合成治疗焦虑障碍的新结构类型小分子化学实体，通过成药性评价，确定新药候选化合物并进行系统性临床前研究。运用神经内分泌网络调控、结构生物学、光遗传学等新技术揭示已进入临床试验的治疗焦虑障碍小分子化学实体创新药物的作用机制，揭示其作用特点及临床优势。

**考核指标：**建立 1-2 项治疗焦虑障碍创新药物研发关键技术；发现和确证 1 个新靶标；研发 2-3 个候选新药，其中 1 个创新品种获批临床，1 个创新药物完成 III 期临床试验并获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### **10.靶向代谢性疾病复杂多重致病机制的创新药物研发**

**研究内容：**以系统论为指导思想，围绕能量代谢紊乱、氧化应激、炎症反应、胰岛素信号失衡及肠道微生态异常等关键环节，从整体调控和生物平衡的角度研究具有复杂病理过程的代谢性疾病的发生与干预。重点推进原创新分子实体（NME）的研发，解析原创候选药物在重建系统稳态与改善整体功能中的作用机制，研究药物在不同病理环节间的协同效应。通过机制与临床的融合研究验证候选药物在代谢疾病复杂多重致病机制下“一药多治”的价值，建立以系统整合为核心的新药研发模式，并进行临床应用转化。

**考核指标：**揭示 1 种原创新药的针对代谢性疾病多重病理下的协同效应机制，提出基于系统论的代谢性疾病防治药物研发新策略；2 个候选药物获批临床，其中至少 1 个原创新药获批上市，同时获得 2-3 个不同适应症的 III 期临床试验数据。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

## **11.治疗重大眼底疾病的创新药物研发**

**研究内容：**针对严重影响视力、可致盲的重大眼底疾病，进行深入的生物学和病理学研究，结合多组学技术及临床大数据，构建眼底病变“新靶标-创新药”技术体系。针对年龄相关性黄斑变性、家族性渗出性玻璃体视网膜病变或糖尿病视网膜病变等眼底疾病，筛选疗效确切的中药、天然产物小分子或生

物制剂等，并进行临床前研究，推进候选药物临床试验。

**考核指标：**发现 2-3 个眼底疾病治疗新机制和新靶标，突破 1-2 项眼底疾病靶向治疗关键技术；实现至少 2 个候选药物获批临床，其中 1 个完成 II 期临床试验；1 个创新药物在欧美完成 1 项临床试验；实现 1 个创新药物在中国获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

## **12. 实体肿瘤免疫治疗的抗体偶联药物研发**

**研究内容：**筛选肿瘤类型特异的抗体偶联药物（ADC）新靶标，开发双特异性 ADC，实现组织特异性靶向。拓展可被偶联的药物类型，通过研发新型小分子链接技术及大分子荷载技术，开发新型高效抗体偶联小分子、核酸、肽类等候选药物。针对难治性实体肿瘤，开发新型 ADC 药物，实现肿瘤针对性高效杀伤的治疗策略；推进新型 ADC 药物临床试验和获批上市。

**考核指标：**突破 1-2 项抗体偶联药物关键技术；研制 3-6 个新型抗体偶联候选药物；3 个新型抗体偶联候选药物进入 I 期临床试验，完成 2-3 个候选药物 III 期临床试验，实现 1-2 个创新药物获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### **13.肾癌、黑色素瘤等实体肿瘤治疗性 mRNA 疫苗研发**

**研究内容：**针对肾癌、黑色素瘤等实体肿瘤，开展肿瘤治疗性 mRNA 疫苗研发。通过内核优化和化学修饰等方式，优化脂质体递送系统提高靶向性，筛选具有肿瘤治疗作用的免疫原性强、特异性高的新抗原。突破新型治疗性疫苗序列优化设计、生产工艺、质量评价关键技术；通过与佐剂联合使用或开发联合免疫调节策略，高效激活抗肿瘤特异性免疫应答；开展临床前、临床安全有效性研究。

**考核指标：**突破 2-3 项治疗性肿瘤 mRNA 疫苗研发的关键技术，2-3 个全新候选药物获批临床，2 个创新品种完成 II 期临床试验，1 个创新品种进入 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### **14.治疗实体肿瘤的新型双/多功能抗体药物研发**

**研究内容：**针对肺癌等实体瘤未满足的临床治疗需求，采用肿瘤抗原表位和/或免疫检查点等不同组合策略，筛选亲和力适宜、靶向性强的抗体，采用抗体工程技术研发针对新靶点和/或新组合的双/多功能抗体药物。突破大规模生产工艺和质量控制的技术瓶颈。开展临床前、临床安全有效性研究，推进临床治疗优势显著的肿瘤新型双/多功能抗体品种上市。

**考核指标：**发现 5-8 个肿瘤相关新靶点，研制 3-5 个新组

合的双/多功能性抗体药物;2-3个创新品种完成III期临床试验,1-2个创新药物获批上市。

**立项方式:** 公开竞争

**有关说明:** 配套经费与中央财政经费比例不低于4:1。

### **15.治疗恶性血液肿瘤新型抗体药物研发**

**研究内容:** 针对B细胞淋巴瘤等恶性血液肿瘤治疗急需提高疗效的临床需求,采用肿瘤抗原和CD分子抗体/免疫分子及其抗体等新型组合策略或者新型抗体偶联药物(ADC),研发疗效显著的创新性抗体药物,开展临床前、临床安全有效性研究,推进创新品种临床试验和上市。

**考核指标:** 研制2-3个新型抗体候选药物或新型抗体偶联药物;1-2个创新品种完成III期临床试验,1个创新药物获批上市。

**立项方式:** 公开竞争

**有关说明:** 配套经费与中央财政经费比例不低于4:1。

### **16.CAR-T免疫治疗创新药物研发**

**研究内容:** 研制新型体内递送载体;针对靶向性、免疫原性及可控性问题,开展病毒和非病毒递送载体研究,利用人工智能技术,建立免疫细胞调控模块,实现体内精准干预,并在人源化和灵长类动物模型上完成疗效和安全性验证;在临床试验基础上,建立覆盖载体递送效率、免疫原性监测、抗肿瘤疗

效、安全性评估的综合评价系统，研制针对血液肿瘤和/或实体瘤 CAR-T 细胞治疗创新药物。

**考核指标：**建立 3 种以上不同机制的靶向 T 细胞的工程化体内递送技术，开发 5 种以上不同靶标的体内 CAR-T 治疗候选药物，建立 2 项体内 CAR-T 疗法安全性和有效性评估标准，2 个候选药物获批临床，1-2 个针对血液肿瘤的候选药物进入 II 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### 17. 治疗帕金森疾病等神经退行性疾病通用型 iPSC 衍生细胞药物研发

**研究内容：**针对帕金森疾病等神经退行性疾病的临床未满足需求，建立优化的重编程技术体系，提升 iPSC 重编程效率并降低基因组整合风险，运用免疫工程等策略改造 iPSC 表面抗原，突破免疫排斥瓶颈，构建通用型 iPSC 细胞库，开展通用型 iPSC 衍生功能细胞的药物研发。突破 iPSC 细胞定向分化、制备工艺瓶颈，提高生产批次一致性，解决质量控制关键技术难题；对候选药物开展临床前、临床安全有效性评价研究。

**考核指标：**突破 2-3 项通用型 iPSC 衍生细胞治疗的关键技术，1-2 个帕金森疾病等神经退行性疾病治疗的创新品种获批临床并完成 II 期临床试验，1 个创新品种进入 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

### **18.治疗心力衰竭的创新药物研发**

**研究内容：**针对难治性心衰的临床瓶颈，从心血管疾病临床数据分析出发，结合我国患者心衰进展的分子特征，利用 AI 技术，从调控炎症反应、保护血管内皮、修复心肌细胞、改善能量代谢等方面，挖掘能调节心肌功能的新靶标，并完成临床验证；基于新靶标研发抗心衰的新型核酸药物、小分子药物、重组蛋白/抗体药物、细胞因子基因工程药物等。

**考核指标：**建立心衰防治新靶标发现和确证的关键技术，发现 2-3 个心衰治疗新靶标并完成临床验证，2-3 个创新品种获批临床，1 个创新品种完成 I/II 期临床试验，1 个创新品种完成 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### **19.心脑血管栓塞性疾病防治创新药物研发**

**研究内容：**以心脑血管栓塞等重大心脑血管疾病临床创新治疗为方向，根据心脑血管血栓形成新机制，发现和验证抗血栓药物新靶标，开展靶向新靶点的小分子、抗体或小核酸等抗血栓候选药物的研发。采用多维组学和生物信息学等前沿技术，发现和确证心肌梗死、脑梗死后修复和促进血管生成及炎性微

环境调控等相关药物的新靶点；建立下一代核酸序列设计与优化的算法关键技术，开发新型优质核酸候选药物、新型多肽及蛋白类候选药物和来源于天然产物的新型小分子候选药物。

**考核指标：**建立心脑血管栓塞性疾病创新药物开发的新靶标发现及验证的关键技术；发现并确认 3-5 个治疗心脑血管栓塞性疾病的创新靶标，2-3 个创新品种获批临床；其中 1-2 个创新品种完成 II/III 期临床试验；1 个抗血栓创新药物完成 III 期临床试验或获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## 20. 治疗难治性慢性咳嗽的创新中药研发

**研究内容：**基于传统中医临床经验和中药活性评价，针对难治性慢性咳嗽，尤其是持续 8 周以上、缺乏有效治疗药物的慢性咳嗽，如咳嗽变异性哮喘等疾病，筛选疗效显著的中药单体、组分或复方；采用多组学技术等，开展作用机制研究；结合活性追踪等技术，进行物质基础和制备工艺研究；建立慢性咳嗽等体内外药效模型，进行药效评价；进行美国、欧盟等发达国家和地区 IND 注册申报，获得物质基础清楚、药效作用明确、药理机制清晰、具有完全国际知识产权的创新中药品种。

**考核指标：**突破难治性慢性咳嗽治疗关键技术 1-2 项，发现难治性慢性咳嗽新靶标 1-2 个，发现治疗慢性咳嗽新机制 1-2

个；1-2个创新中药候选药物获批临床，其中1个候选药物完成Ⅱ期临床试验，1个候选药物在美国或欧盟等发达国家和地区完成临床试验申请。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于2:1。

## **21.治疗肺纤维化的创新中药研发**

**研究内容：**针对肺纤维化治疗未满足的临床需求，基于中医临床经验和中药活性成分筛选，利用多组学与机器学习挖掘肺纤维化新靶标和新机制；依托肺组织导向分子捕捉与泛靶标膜色谱等技术解析临床有确切疗效的抗肺纤维化中药物质基础和作用靶标，探讨活性成分与靶标在肺组织中的动态相互作用；系统开展候选药物的临床前研究和临床试验。

**考核指标：**发现1-2个治疗肺纤维化的新靶标和新作用机制；建成1个中药来源抗肺纤维化新药智筛技术体系；从中药中筛选或优化出3-5个抗肺纤维化候选单体药物；完成2-3个候选药物的系统性临床前研究；1-2个中药来源候选药物获批临床，其中1个完成Ⅱ期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于2:1。

## **22.治疗高脂血症和动脉粥样硬化的创新中药研发**

**研究内容：**发挥我国中医药在治疗高脂血症方面的独特优

势，以清热化浊、活血化瘀等中药为资源，发现具有明显降血脂和抗动脉粥样硬化作用的有效部位或有效成分，阐明其药效物质和作用机制；开展临床前研究以及I、II期临床试验，并进行与他汀类药物联合用药的临床试验，降低他汀类药物的用药剂量和不良反应。研制有效成分明确、作用机制新颖、安全性高、质量稳定可控的治疗高脂血症和动脉粥样硬化的创新中药。

**考核指标：**研发2个作用机制新颖的治疗高脂血症和动脉粥样硬化的有效成分或有效部位中药创新药，2个候选药物获批临床，其中1个完成II期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于2:1。

### **23.治疗糖尿病严重并发症的创新中药研发**

**研究内容：**针对糖尿病肾病、糖尿病足病等糖尿病并发症，基于中医理论及具有明显临床优势的中药，结合人工智能分析临床多组学大数据，深入研究中药改善和治疗糖尿病严重并发症的共性机制，阐明确有临床疗效的中药改善糖尿病肾病、糖尿病足溃疡、糖尿病视网膜病变等常见并发症的关键机制，识别枢纽靶标或组合，构建中药“功效物质-靶标-疾病”网络，进而针对糖尿病常见并发症，研发出物质基础明确、靶标机制清晰的“异病同治”创新中药。

**考核指标：**突破基于大数据与多组学的糖尿病并发症创新

药研发关键技术 2-3 项；鉴定并功能验证 3-5 个新靶标；2-3 个候选药物获批临床，1-2 个具有明显临床优势的创新品种进入 III 期临床试验，1 个具有明显临床优势的创新品种获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

#### **24. 治疗难治性黏膜损伤的创新中药研发**

**研究内容：**针对放射性黏膜损伤及溃疡性结肠炎反复发作、迁延难愈、现有治疗药物黏膜愈合率较低、炎症改善不佳的重大临床需求，利用多组学技术结合临床样本大数据分析，优化当前治疗策略及药物选择，发现改善创面炎症、促进肠黏膜修复的新活性分子，并进行结构优化，在确有疗效的中成药或临床经验方中发现具有化合物新颖性的天然产物活性分子；建立从细胞、类器官到整体的多层次药效评价技术，形成“新靶标-创新药”关键技术体系；进一步深化“损伤-炎症-修复”的机制探索。开展新靶标及新型候选药物研发，开发兼具良好安全性及更好黏膜组织愈合能力的新一代治疗药物。推动新型难治性黏膜损伤创新中药研发。

**考核指标：**发现 1-2 个新靶标，突破 1-2 项黏膜修复及局部炎症改善评价关键技术；1-2 个候选药物获批临床，其中 1 个创新品种完成 II 期临床试验，1 个创新品种完成 III 期临床试验并提交上市许可申请。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

## **25.治疗代谢性疾病和神经系统疾病的糖类创新药物研发**

**研究内容：**围绕代谢性疾病和神经系统疾病，针对活性和物质基础明确、结构清晰的中药来源多糖、寡糖和糖苷等糖类药物开展功能机制研究、靶标发现和药理药效学研究；建立糖类药物的高效立体选择性合成和制备技术；构建糖类药物体内代谢评价体系；发现一批结构新颖、机制独特、成药性良好的候选药物，系统开展其临床前研究或临床试验。

**考核指标：**发现 1-2 个糖类药物的新靶标，突破 1-2 项糖类药物研究关键技术，1-2 个糖类候选药物获批临床，2-3 个候选药物完成 I/II 期临床试验，1 个候选新药完成 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

## **26.治疗心脑血管疾病的海洋来源创新药物研发**

**研究内容：**针对心脑血管疾病治疗未满足的临床需求，系统性开展海洋来源创新药物研发，构建覆盖人工智能精准预测、活性高效挖掘、分子成药性优化与规模化制备等关键环节的海洋来源药物研发技术体系，发现一批结构新颖、机制独特、成药性良好的候选药物，开展其临床前研究和临床试验。

**考核指标：**建立 3-5 项海洋药物研发新技术；发现 5-8 个

针对心脑血管疾病的海洋来源候选药物，阐明其作用靶点与机制，明确其生物学特性及临床应用潜力；2-3个海洋创新品种获批临床；2个海洋创新品种完成 I/II 期临床试验；1个海洋创新品种获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **27.治疗难治性皮肤病的特色民族药创新药物研发**

**研究内容：**针对银屑病、特应性皮炎等难治性皮肤病存在病因和发病机制复杂、治疗手段有限等临床问题，发挥藏、维、蒙等民族药治疗银屑病、特应性皮炎等疾病的临床优势，梳理古籍经典方、临床验方和人用经验，结合多组学技术及临床多组学大数据，开展药效物质基础解析、药效及作用机制研究、靶标发现和验证研究、安全性评价，阐释复方或药材-组分或成分-功效的科学性；完成源于民族药的复方、组分和单体的临床前研究和临床试验。

**考核指标：**发现 1-2 个新靶标，突破 1-2 项难治性皮肤病特色治疗的关键技术；3-4 个民族药候选创新品种获批临床，其中 1 个创新品种完成 III 期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

## **28.预防呼吸道合胞病毒的新型抗体药物和疫苗研发**

**研究内容：**针对呼吸道合胞病毒（RSV）导致婴幼儿呼吸道感染疾病缺乏有效预防药物的临床重大需求，开展预防用抗体药物研发，采用单 B 细胞等技术及高容量病毒库筛选具有高效价、广谱中和活性的抗体，通过 Fc 段结构改造实现长效化，突破大规模生产工艺和质量控制的技术难题，并开展临床试验。针对 RSV 导致成年人呼吸道感染疾病缺乏有效预防药物的临床重大需求，开展成年人预防用疫苗的研发，筛选具有高效表达、结构稳定的 pre-F 蛋白或 mRNA 构建载体，筛选高效免疫应答的佐剂或递送系统并完成稳定的制剂配制研究，建立用于评价药效的易感动物模型。建立完善的生产工艺及质量控制评价体系及标准物质，攻克 pre-F 蛋白及 post-F 蛋白定性定量技术难题。建立 RSV 疫苗免疫原性和保护效果的临床评价关键技术。

**考核指标：**建立 2-3 项呼吸道合胞病毒新型抗体药物和疫苗研发关键技术；2 个创新疫苗完成 III 期临床试验；2 个创新抗体药物完成 III 期临床试验，1 个创新抗体药物获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

## **29.多发性硬化症的靶向治疗化学创新药物研发**

**研究内容：**针对多发性硬化症疾病进展基本不可逆的重大临床问题，从抑制神经炎症、神经保护与修复、免疫调节等角

度研制新一代多发性硬化症靶向治疗创新药物。发现靶向治疗新靶标，研制原创性小分子化学药物，优化药物递送体系，增强药物的血脑屏障透过能力。推动原创性候选药物进入临床试验。

**考核指标：**发现 1-2 个多发性硬化症的靶向治疗新靶标；完成 1-2 个针对新靶标研发的原创小分子化学药物临床前研究，1 个创新品种获批临床。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

### **30.遗传性听觉障碍基因治疗创新药物研发**

**研究内容：**针对遗传性听觉障碍治疗未满足的临床需求，通过阐明基因突变多样性的致聋发病机制，发现关键分子靶点，研发特异性启动子，开发高效且特异的病毒或非病毒类的递送载体，研发通用型基因编辑系统，实现针对特定基因的精准靶向治疗。研发安全有效的遗传性听觉障碍基因治疗候选药物；形成具有自主知识产权的遗传性听觉障碍治疗新药。

**考核指标：**研发 3-5 种高效且特异的启动子或基因递送载体，1-2 种通用型基因编辑系统；研发 2-3 个遗传性耳聋基因治疗候选药物；1-2 个遗传性耳聋基因治疗候选药物获批临床，其中 1 个完成Ⅱ/Ⅲ期临床试验。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

### **31.重金属中毒驱排创新药物研发**

**研究内容：**针对重金属中毒无特效药治疗的临床需求，突破现有药物只能对血液中重金属驱排、无法清除细胞内重金属的瓶颈，发现可特异性清除细胞内镉、铅、铂等多种有害重金属的全新驱排机制，基于新驱排机制建立特效驱排剂的发现和评价关键技术，研制能特效清除细胞内重金属中毒的急救药物。

**考核指标：**发现 1 个全新的重金属驱排机制；发现 1 个全新的重金属中毒驱排剂的作用新靶标；建立细胞内重金属驱排剂成药性的关键评价技术；2-3 个候选药物获批临床，其中 1 个创新药物获批上市。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

### **32.复合应激条件下作业能力维护创新药物研发**

**研究内容：**针对多因素、高强度复合应激条件（如地震、洪水等严重自然灾害应急救援）下作业能力维护的需求，聚焦复合应激引发的多系统功能损伤，主要包括降低应激发生率，改善应激对体能、认知及抗病能力等损伤效应，以及防治创伤后应激障碍（PTSD）的发生。运用多种应激模型和技术（如光遗传和化学遗传学应激诱导或干预、生态效度的应激诱发等模型和技术），突破应激源引发的作业能力损伤防治技术瓶颈，

重点开展防治复合应急损伤和 PTSD 的创新药物研发。

**考核指标：**建立防治复合应激损伤及 PTSD 新药评价关键技术；针对复合应激诱发的体能降低、认知损伤以及 PTSD 防治，研发具有自主知识产权的候选药物 2-3 个，完成全部临床前研究；1-2 个候选药物获批临床。

**立项方式：**公开竞争

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

### 33. 基于合成生物学的名贵濒危动物创新中药研发

**研究内容：**针对熊胆、犀角等名贵濒危动物中药材开展合成生物学研究及创新中药研发。聚焦名贵濒危动物药材具有的特殊临床疗效的物质基础，解析天然药材中特殊疗效物质的合成生物学机制，挖掘其形成的基因和关键酶等关键技术；开发基于特殊疗效物质形成机制的高效工程化生产的关键技术；研发特殊疗效物质作用的化学生物学技术。基于理性设计和药效反馈，遴选特殊疗效物质的最佳配比，创制出与原药材疗效物质、药效等同的创新中药；构建体现名贵濒危动物药材特殊治疗作用的疗效评价关键技术，支持形成新药注册的高质量临床证据。

**考核指标：**阐明 3-4 种名贵濒危动物中药材的化学基础、特殊疗效物质及其形成机制与生物学分子机制；建立特殊疗效物质的工程化制造关键技术；研发出 2-3 个创新中药，其中 1 个名贵濒危动物中药材替代的候选中药获批临床，1 个创新药

物获批上市。

**立项方式：**定向委托，由中国医学科学院药物研究所组织申报。

**有关说明：**配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

中南大学 A00058