

“干细胞研究与器官修复”重点专项 2025 年度项目申报指南

(征求意见稿)

“干细胞研究与器官修复”重点专项主要面向重要组织器官修复和重大疾病临床需求，围绕干细胞发育与器官修复关键科学问题，开展干细胞命运调控、器官形成与衰老、器官再生、功能重塑与制造、人类疾病干细胞模型等方面的基础理论研究和关键技术攻关，探索干细胞与再生医学研究成果的临床转化路径，加速干细胞相关技术和产品的研发和临床应用。

在前期实施四年基础上，本重点专项 2025 年拟进一步突出健康需求导向，强化自主创新和应用路径，在干细胞技术与相关产品研发及应用方面部署 2 个指南方向。申报项目的研究内容必须涵盖指南方向所列的全部研究内容和考核指标。项目执行期不超过 3 年。除特殊说明外，基础研究类项目下设课题数不超过 4 个，项目参与单位总数不超过 6 家；临床研究类项目下设课题数不超过 6 个，项目参与单位总数不超过 15 家。项目设 1 名负责人，每个课题设 1 名负责人。

1. 干细胞治疗组织退行病变

研究内容：针对肩周炎、腰椎间盘突出病变等某种运动系统退行病变，结合其发病机理及病理探索干细胞在疾病发生、发展与修复中的作用；筛选关键调控靶点，开发干细胞治疗上述疾

病的新产品、新技术或新策略；建立干细胞治疗疾病的规范性临床研究和评价体系，开展干细胞治疗上述疾病的临床研究。

考核指标：发现肩周、腰椎间盘突出等组织退变疾病状态下干细胞的表型转换、功能改变、演变路径及其与微环境相互作用并阐明相关机制；发现与潜在调控靶点相关的干/祖细胞新型标志物 2~3 个；开发 1~2 种能显著改善局部结构、功能或促进愈合的干细胞产品；建立标准化制备干细胞工艺和质量评价体系；开展并完成干细胞治疗上述疾病的小样本临床研究，形成 1 套干细胞治疗上述疾病的临床指南或规范体系。

有关说明：申请项目应已进行 IIT（研究者发起的临床研究）备案，或获得干细胞新药注册临床试验默认许可。申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

2. 肿瘤发生发展的干细胞起源及适应性重塑

研究内容：在具有明确干细胞分化路径的组织器官中，研究干细胞异质性、复杂细胞谱系协同致癌及克服选择压力推进其发展与演化的机制；发现干细胞中调控肿瘤发生、发展的关键靶点，探索肿瘤诊疗新策略。

考核指标：针对 2~3 种组织器官，分别建立 2 种以上特定细胞起源的原位肿瘤模型；揭示 3~5 个干细胞异质性或异常分化参与肿瘤发生发展的关键适应性重塑事件；开发 2~3 种通过调控干细胞阻断特定肿瘤发生及进展的新方案。