

创新药物研发国家科技重大专项 2027 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 2027 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。**2027 年，以公开竞争、定向择优、定向委托等方式启动 42 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《中华人民共和国生物安全法》《病原微生物实验室生物安全管理条例》《中华人民共和国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）》《生物医学新技术临床研究和临床转化应用管理条例》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调查处理规定》《科研失信行为调查处理规则》等工作。

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，调动社会力量积极性，加强多元化投入，各指南方向配套经费与中央财政经费按有关说明匹配。

1.广谱性肿瘤的放射靶向治疗药物研发

研究内容：放射靶向治疗为癌症患者提供了治疗手段，研制广谱高效的新型放射靶向治疗药物具有重要临床意义。研发 Cu-64、Ac-225 或 Pb-212 等核素和 first-in-class 广谱放射靶向治疗药物，对靶向多肽分子和抗体进行修饰，满足核药研发要求；开展螯合剂结构优化和标记前体工艺研究，满足新药申报要求；开展所研发核药的工艺研究，并完成临床前研究，开展相关临床试验。

考核指标：建立放射性药物 AI 辅助设计平台，研发 2-3 个抗体、多肽或小分子的放射靶向治疗候选药物，并完成临床前研究、获批临床试验，其中 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。

2.耐药急性髓性白血病及骨髓增生异常综合征的原创化学药物研发

研究内容：针对急性髓性白血病（AML）及骨髓增生异常综合征（MDS）耐药急需全新治疗靶标及安全有效药物的重大临床需求，基于基因组学、细胞组学、单细胞测序等靶标发现技术，开展耐药 AML 及 MDS 的新靶标、新机制研究，为临床提供新治

疗策略；综合应用 AI 药物设计技术、合成致死/蛋白降解/降解抗体偶联等新兴前沿技术，设计开发针对新靶标的全新结构的小分子靶向药物或降解剂，结合耐药 AML、MDS 的临床特点，开展新设计开发的小分子靶向药物或降解剂的临床试验。

考核指标：发现 1-2 个耐药 AML 或 MDS 治疗新靶标或新机制；1 个创新品种进入Ⅱ期临床试验，1 个创新品种进入Ⅲ期临床试验，1 个创新品种获批上市。

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。

3.靶向 RIPK1 精准诊疗阿尔茨海默病神经炎症的创新药物研发

研究内容：针对阿尔茨海默病（AD）神经炎症早期诊断与治疗临床需求，研发高活性、高选择性、高透脑性且能有效识别及抑制病理激活态 RIPK1 的正电子发射断层扫描（PET）探针与小分子靶向抑制剂，以实现 AD 神经炎症的早期精准诊断与有效治疗。基于 RIPK1-PET 探针和影像学手段构建 AD 分层分型新技术和新标准，并实现 RIPK1 小分子靶向抑制剂的原位动态监测及体内动力学研究，对候选药物开展临床试验。

考核指标：建立 1 项基于 RIPK1 的 AD 神经炎症早期预测分型新理论；建立 1 项基于 RIPK1-PET 探针的 AD 神经炎症诊断分型新技术和新标准及专家共识，以及 1 项原位动态监测神经炎症进程以及体内动力学研究新方法；研发 2-3 个靶向 RIPK1 的候选药物，1-2 个候选药物获批临床试验，1 个创新品种完成 I 期临床

试验，1-2 个创新品种完成Ⅱ期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由中国科学院上海有机化学研究所作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

4.多靶标协同干预阿尔茨海默病的创新药物研发

研究内容：针对阿尔茨海默病（AD）发病的复杂性，发展以多靶标协同干预为核心的新策略。构建“组合靶标精准干预”新理论，依托人工智能、多维度疾病模型与多层次成药性评价体系，针对 A β 沉积、Tau 异常磷酸化、神经炎症、衰老及神经损伤等病理进程，开发多通道、多维度的靶标预测模型，构建能够真实模拟患者脑内多病理进程的细胞和动物模型。筛选具备“一药多靶”、安全性好、成药性优良的抗 AD 新分子，验证候选分子在 A β 沉积、Tau 异常磷酸化、神经炎症与神经元凋亡等关键病理环节上的协同调控效应，研发全流程遏制 AD 恶性循环的多靶标原创分子，并对候选药物开展临床试验。

考核指标：建立多通道人工智能赋能的多维度靶标预测模型；建立新型多靶标细胞模型；阐明 2-3 个 AD 发生发展新机制，确证至少 2 个新靶标；基于新靶标研发 2 个候选药物，其中 1 个创新品种获批临床试验并完成 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。

5.针对帕金森病和多系统萎缩诊疗的创新药物研发

研究内容：针对当前帕金森病（PD）及多系统萎缩（MSA）等突触核蛋白病缺乏早期诊断与病程延缓策略的重大临床问题，围绕疾病进程中的关键致病蛋白，开展分子发现、在体示踪与精准靶向调控的创新药物设计研究，构建 AI 辅助的疾病精准分型、分期与有效治疗一体化的临床诊疗新体系。以 PD 及 MSA 关键病理标志物与致病因子-病理蛋白聚集体为靶标，研发高活性、高选择性、可有效延缓并阻断疾病进展的原创小分子药物；同时研发兼具高灵敏性与高血脑屏障穿透能力、可精准靶向病理聚集体的原创小分子正电子发射断层扫描（PET）探针，借助 AI 驱动的脑 PET 影像分析技术，构建 PD 及 MSA 精准分型、分期的临床诊断新标准。对候选药物开展临床试验。

考核指标：发现并确证 1-2 个 PD 及 MSA 关键病理标志物与致病因子；建立 1-2 项 AI 辅助的基于原创小分子 PET 探针的疾病精准分型、分期新标准及专家共识；研发 1-2 个原创 PET 探针，2-3 个靶向结合原创小分子化合物，2-3 个候选药物获批临床试验，其中 1 个创新品种完成 III 期临床试验并获批上市。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由思努赛生物科技（上海）有限责任公司作为牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

6. 治疗难治性癫痫的创新药物研发

研究内容：针对临床难治且缺乏高效、安全治疗药物的癫痫，特别是儿童等特殊人群防治未被满足的临床需求，开展原创靶标发现与新机制研究，关注癫痫早期发病机制和高选择性激动钠、

钾通道，整合多组学等技术挖掘新靶标，并验证其作用机制；开展新药研发与评价，基于天然产物库、AI 辅助发现以及药物化学手段设计合成小分子化合物和核酸药物，构建细胞器-细胞-类器官-动物-计算多维评价技术体系，筛选高效安全新型候选药物，并完成临床前研究，开展临床试验。

考核指标：发现 3-4 个抗癫痫药物的原创靶标并阐明其作用机制；建立高度贴近临床症状的多维度抗癫痫药物评价技术；研发 3-4 个高效安全候选药物，其中 1-2 个获批临床试验，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。

7. 针对代谢相关慢性肝病与肥胖及其并发症的原创靶标与创新药物研发

研究内容：针对代谢相关慢性肝病与肥胖症及其伴发的高脂血症、糖代谢紊乱及相关心肝肾代谢异常等多器官共病并发症，围绕肝脏代谢稳态重塑关键分子节点、多器官代谢信号交叉网络、中枢-外周代谢信号整合通路等，发现并确证具有转化潜力的原创治疗靶标；围绕原创靶标开展先导物发现、成药性优化，研发候选药物；系统验证候选药物在代谢性脂肪性肝病、减重控糖、肌肉保护及心肝肾多器官获益中的疗效和安全性，开展临床试验。

考核指标：发现 3-4 个慢性代谢性疾病原创靶标；基于发现的原创靶标研发 2-4 个候选药物，其中 2 个原创候选药物获批临床试验；1-2 个创新品种进入Ⅲ期临床试验，其中至少 1 个创新品

种完成关键临床试验并申请上市。

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。

8.针对乙肝功能性治愈的创新药物研发

研究内容：服务于乙肝防治的国家重大需求，聚焦持久清除乙肝表面抗原、重塑宿主抗乙型肝炎病毒免疫、靶向沉默共价闭合环状 DNA 和整合 DNA 等实现乙肝功能性治愈的重大关键问题，以临床治愈为终点开展新机制和新结构抗乙肝药物研究，通过“病毒清除-免疫重建”实现乙肝功能性治愈的突破。对具有自主知识产权的候选药物开展临床试验。

考核指标：对比现有反义寡核苷酸类药物对慢性乙肝的临床治愈率，建立以提高慢性乙肝临床治愈率为目标的新机制、新结构抗乙肝药物设计和成药性评价关键技术；研发 2-3 个候选药物，其中 1-2 个具有自主知识产权的候选药物获批临床试验，1 个创新品种完成 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。

9.抗病毒新靶标的发现与抗艾滋病等广谱抗病毒创新药物研发

研究内容：以“高效发现抗病毒新靶标、研发可临床转化的创新药物”为核心目标，整合多组学、AI、类器官、智能递送等新技术，构建宿主药靶 AI 虚拟类器官筛选模型，挖掘广谱、高特

异性宿主靶标。开展基于类器官多病毒感染模型的多组学数据研究，解析病毒-宿主互作网络，揭示抗病毒宿主靶标与机制；构建多病毒感染 AI 虚拟类器官药靶筛选模型，发现潜在宿主靶标；针对潜在靶标开展候选药物筛选、设计、药效及安全性评价，研发基于新化学实体的抗艾滋病等广谱抗病毒创新药物，对具有自主知识产权的候选药物开展临床试验。

考核指标：建立不少于 8 种病毒的感染类器官模型和 1 个多病毒感染 AI 虚拟类器官药靶筛选模型；发现不少于 4 个广谱、高特异性潜在宿主靶标；研发不少于 4 个新型广谱抗病毒候选药物，其中至少 1 个创新品种获批临床试验，1 个创新品种完成 I 期临床试验，1 个创新品种完成 III 期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由抗病毒性传染病创新药物全国重点实验室（郑州大学）作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

10.严重发热伴血小板减少综合征、基孔肯雅热和登革热的化学创新药物研发

研究内容：针对新纳入我国乙类传染病管理的严重发热伴血小板减少综合征（SFTS）和基孔肯雅热，对引发该两类传染病的大别班达病毒、基孔肯雅病毒开展高效、低毒的创新小分子治疗药物研究，发现药物新靶标，研发针对不同靶标的创新候选药物并开展临床试验；针对登革热，研发创新候选药物并开展临床试验。

考核指标：针对大别班达病毒、基孔肯雅病毒发现 1-2 个创新药物靶标；基于新靶标，研发 1-2 个抗大别班达病毒、1-2 个抗基孔肯雅病毒的候选药物获批临床试验，其中 1 个创新品种完成Ⅱ期临床试验；针对登革热研发 1-2 个新结构候选药物获批临床试验，并完成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。

11.基于原创靶标的抗结核化学创新药物研发

研究内容：针对结核病治疗周期长、患者依从性差，临床耐药严重以及治疗新靶标匮乏等问题，挖掘针对非复制期菌群的脆弱基因，发现新靶标；基于新靶标、新机制开展抗耐药结核原创新药研发。基于新靶标及现有重要治疗靶标，研发高效安全的抗耐药结核创新药物，开展临床试验。

考核指标：突破 2-3 项新靶标发现的关键技术；发现和确证 2-3 个治疗结核病的新靶标；基于新靶标研发 1 个原创品种获批临床试验，2-3 个抗耐药结核的创新品种完成Ⅲ期临床试验，其中 1 个创新品种获批上市，实现耐药结核病 4 个月超短程治疗目标。

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。

12.儿童高发呼吸道病毒防治创新药物和数智化临床评价关键技术研究

研究内容：针对儿童易感染、高致病率、高住院率的呼吸道传播流感病毒、呼吸道合胞病毒、人偏肺病毒等，研发适合救治儿童患者的创新药物；研发创新药物在儿童中精准暴露智能预测和临床评价关键技术；发展新发突发重大传染病数智化决策体系和多元化临床终点评价研究关键技术，开展替代模拟模型药物评价技术、去中心化临床试验评价技术研究；建成覆盖流感病毒、呼吸道合胞病毒、人偏肺病毒等主要致呼吸道感染重大传染病的全国应急临床试验平台；对候选药物开展临床试验。

考核指标：建立 2-3 项数智化、多元化临床评价技术，特别是多元化临床终点评价研究关键技术；建立 1-2 项儿童创新药物精准暴露智能预测和临床评价关键技术；针对儿童流感患者研发流感病毒 RNA 碱性聚合酶-2 抑制剂并获批上市；针对呼吸道合胞病毒、人偏肺病毒等主要致呼吸道感染的病毒研发 1-2 个候选药物并获批临床试验，针对感染后呼吸道慢病并发症研发 1 个创新品种并获批上市。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由国家呼吸医学中心（广州医科大学）作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

13.治疗儿童川崎病和肾母细胞瘤的创新药物研发

研究内容：针对儿童川崎病临床上无特异性治疗药物、儿童肾母细胞瘤临床仅有细胞毒类抗肿瘤药可用且毒性大、安全性差等不足，开展川崎病、肾母细胞瘤致病机制与靶向特异性药物新

靶标发现及成药性验证；针对遗传性特定突变或致病通路，开展“精准修复”的创新候选药物研发；对候选药物开展临床试验。

考核指标：发现和确证 2-3 个治疗儿童川崎病、肾母细胞瘤的新靶标、新机制；基于发现的新靶标、新机制开展创新药物研究，其中 1-2 个儿童川崎病候选药物获批临床试验；1-2 个儿童肾母细胞瘤候选药物获批临床试验。

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。

14.罕见心血管疾病以及单基因罕见病创新药物研发与转化应用体系建设

研究内容：面向国家罕见病防治重大需求，以罕见心血管疾病与单基因遗传病为突破口，聚焦 Fabry 病、Danon 病以及心脏离子通道病等罕见心血管疾病和单基因遗传病缺乏有效治疗药物的临床未满足需求，依托国家罕见病协作网构建标准化临床资源库，开展转化研究，整合基因组、转录组、蛋白质组数据，筛选上述罕见心血管疾病与单基因遗传病的关键靶标。构建靶标发现与药物研发一体化平台，为 Fabry 病等罕见心血管病以及单基因罕见病提供创新候选药物和临床转化路径。针对新靶标开展基因治疗药物设计优化，完成系统性临床前研究，对候选药物开展临床试验。

考核指标：建成覆盖罕见心血管疾病以及单基因遗传病的多组学整合靶标库，发现 10 个以上候选靶标；建立标准化临床资源库和药物研发平台；研发针对罕见心血管疾病以及单基因罕见病

的创新候选药物，其中 2-3 个候选药物获批临床试验，1 个创新品种进入 III 期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由中国医学科学院北京协和医院作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

15. 肌病类罕见病治疗的化学创新药物研发

研究内容：针对我国罕见病目录中进行性肌营养不良、先天性肌无力综合征、强直性肌营养不良等肌病类罕见病原创性靶标匮乏、“无药可用”且异质性大的临床重大需求，依托肌病类罕见病临床队列和大数据开展研究，构建肌病类罕见病“全新靶标识别-原创新药发现-虚实结合临床验证”AI 技术体系；开展致病机制研究，确证药物干预新靶标的成药性；开展对遗传性特定突变或通路进行“精准修复”的新型药物研发，改善骨骼肌、心肌及周围神经功能异常、代谢障碍和肌肉损害；研发肌病类罕见病新靶标及“靶向治疗”候选药物，对候选药物开展临床试验。

考核指标：建立 2-3 种肌病类罕见病 AI 靶标识别、药物发现和虚拟临床的关键核心技术；发现 2-3 个新靶标；研发 2-3 种不同肌病类罕见病的候选药物获批临床试验，其中 1 个创新品种完成 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。

16. 广谱麻醉苏醒的创新药物研发

研究内容：针对全身麻醉苏醒延迟、恢复质量不佳且缺乏有效干预药物的重大临床需求，开展广谱麻醉苏醒的创新药物研发。依托临床队列与围术期大数据，结合多组学、神经生物学等技术，解析麻醉苏醒转换的分子机制，发现并验证新靶标；构建贴近临床场景的麻醉苏醒“新靶标-创新药”研发体系，以及涵盖器官、动物等多维度的药物筛选和药效评价关键技术平台，开展麻醉苏醒先导化合物发现、优化及成药性评价，开展候选药物的临床前和临床试验，推动快速、安全、广谱逆转全身麻醉的麻醉苏醒创新药物研发。

考核指标：建立 2-3 项药物筛选与成药性评价关键核心技术；发现 2-3 个广谱麻醉苏醒新靶标；获得 1 个以上具有自主知识产权的候选药物，其中至少 1 个创新品种完成 I 期并进入 II 期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由四川大学华西医院作为牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

17. 基于人工智能的原创新药研发

研究内容：聚焦 AI 赋能药物发现，利用深度学习优化化合物筛选、预测分子与靶标相互作用；持续迭代生成式 AI 技术平台，构建自动化实验室，通过大模型设计全新分子结构，打通干湿实验闭环，强化多组学与精准医疗融合，加速临床管线推进与药物开发。对 AI 设计的候选创新药物品种开展临床试验。

考核指标：自主创建生成式 AI 创新药物研发平台，建立覆盖

药物研发全链条的技术；发现 2-3 个疾病防治的新靶标、新机制；2-3 个 AI 发现和设计的候选药物获批临床试验，1 个创新品种进入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 5:1。

18.针对非小细胞肺癌治疗的生物创新药物研发

研究内容：目前非小细胞肺癌免疫治疗已进入一线临床应用，但临床响应率仍需提高，耐药性仍是临床面临的重要问题。筛选肺癌特异性新靶标，研发高亲和力、高靶向性的新型抗体分子，研发疗效更佳的双功能性单抗或抗体偶联药物，对候选药物开展临床试验。

考核指标：发现 1-2 种肿瘤免疫治疗耐药新机制；基于新机制研发 1-2 个候选药物并获批临床试验，1 个创新品种完成Ⅲ期临床试验并获批上市。

立项方式：定向择优，拟支持 3-5 项

有关说明：该项目由企业作为项目牵头单位组织申报，申报时企业自主研发的非小细胞肺癌 1 类创新药物品种应已进入Ⅲ期临床试验阶段。配套经费与中央财政经费比例不低于 5:1。

19.针对肝癌治疗的生物创新药物研发

研究内容：目前肝癌免疫治疗面临疗效欠佳和免疫耐药问题。通过技术体系创新及临床药物反应的多组学大数据，运用单细胞、空间转录组与空间蛋白组等组学技术，解析肝癌免疫治疗原发性

与获得性耐药密切相关的肿瘤及其微环境特征图谱，阐明原发性和获得性耐药新机制，发现新靶标。针对不同类型的机制与靶标，研发新型抗体及抗体偶联药物，对候选药物开展临床试验，构建肝癌免疫治疗新疗法和克服耐药新策略。

考核指标：发现 4-5 种肝癌免疫治疗耐药新机制，2-3 个原发性或获得性耐药新靶标；基于发现的新机制和新靶标研发 1-2 个候选药物并获批临床试验，其中 1 个创新品种完成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。

20.治疗结直肠癌和前列腺癌等实体瘤的树突状细胞药物研发

研究内容：针对结直肠癌和前列腺癌等实体瘤未满足的临床治疗需求，采用细胞工程技术，优化自体树突状细胞（DC）的分离、培养、扩增、纯化方法，提升 DC 细胞激发特异性抗肿瘤免疫活性，优化肿瘤抗原提取与纯化工艺，构建标准化的制备流程与质控体系。自主研发抗原致敏的新型高效 DC 细胞药物并开展临床试验。

考核指标：突破 3-4 项肿瘤抗原致敏的新型高效 DC 细胞药物的工程化制备关键核心技术；2 个 DC 细胞药物进入Ⅱ期临床试验，1-2 个 DC 细胞药物进入Ⅲ期临床试验，1 个创新品种完成Ⅲ期临床试验并申报上市。

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。

21.治疗心力衰竭的干细胞药物研发

研究内容：针对严重心力衰竭等心血管疾病存在的重大未满足临床需求，开展干细胞或诱导多能干细胞（iPSC）衍生功能细胞药物研发。针对干细胞药物，构建干细胞规模化生产体系；针对 iPSC 衍生功能细胞药物，开发干细胞定向分化关键核心制备技术；构建标准化质量控制体系。对候选药物开展临床试验。

考核指标：突破 2-3 项干细胞、iPSC 衍生功能细胞治疗的关键核心技术；1-2 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。

22.基于心梗后心肌细胞及微环境双功能修复的创新药物研发

研究内容：基于心梗和心梗后心衰的心室重构病理演变过程，针对心肌细胞修复与微环境改造的关键科学问题，利用人源标本挖掘的调控心肌细胞修复的细胞周期新靶点及心肌微环境重塑（血管再生、纤维化逆转等）的关键原创靶点，从天然产物中筛选新型小分子化合物，并利用人工智能对其进行结构优化；研发基于细胞衍生物的新型核酸药物及创新递送系统，并优化生物药的核素示踪标记与影像采集技术，开展体内无创定量评价；开展心梗后心衰双功能修复的系列创新药物（小分子药物、核酸药物）研发。

考核指标：研发 2-3 个基于原创靶标的新型小分子药物，1 个获批临床试验，1 个完成I/II期临床试验，1-2 个完成III期临床试验或获批上市；研发 1-2 个原创性核酸药物，完成I期临床试验；建立 1 套新型生物药分子影像临床标准化评价技术。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由国家心血管病中心（中国医学科学院阜外医院）作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

23.缺血性心脑血管疾病抗栓及再灌注损伤防护的创新药物研发

研究内容：围绕缺血性脑卒中、冠心病、心肌梗死等心脑血管疾病防治的重大临床需求，针对抗栓与出血风险防控，以及血管再通后缺血再灌注损伤等关键环节，开展高选择性抗栓药物、新型抗心脑血管再灌注损伤药物等研究。针对抗栓治疗反应差异性及再通后损伤，开展多组学及生物信息学分析，解析精准抗栓、出血风险及再灌注损伤相关的关键分子机制，发现并验证新靶标。研发原创特异性双靶标抗体药物、siRNA 核酸递送等关键核心技术；开展候选药物（抗体药、小分子化合物等）成药性评价和转化研究。

考核指标：发现 3-4 个基于新机制和原创靶标的缺血再灌注损伤修复与保护候选化合物；1 个创新品种进入 I 期临床试验，1-2 个创新品种进入II期临床试验，1-2 个原创抗体药进入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。

24.治疗高血压和心律失常的创新药物研发

研究内容：针对高血压和心律失常治疗的重大临床需求，靶向高血压主要发病机制的肾素-血管紧张素系统和内皮系统，从血管重构、偏向性调节、内皮保护等方面，挖掘高血压治疗新靶标；基于新靶标研发治疗高血压的新型生物制剂，包括治疗性疫苗、小干扰 RNA、抗体药物等。突破传统的离子通道理论，创建心脏内源性递质系统控制心电活动的新机制；发现基于递质系统的代谢酶、受体、转运蛋白有效控制心律失常的新靶标；基于原创新靶标，完成先导化合物的设计、合成、优化，并进行有效性及安全性研究，研发室性心律失常治疗创新药物。

考核指标：发现 1-2 个治疗高血压的新靶标或新机制；研发 2-3 个基于新靶标或新机制的抗高血压候选药物，1-2 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；1-2 个抗心律失常候选药物获批临床试验，1 个创新品种完成Ⅰ期临床试验，1 个创新品种完成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。

25.难治性癫痫基因治疗药物研发

研究内容：针对难治性癫痫治疗的临床未满足需求，通过腺相关病毒载体将受体基因精准导入病灶区神经元细胞并表达，利

用特定的化学配体小分子作为开关，特异性地抑制癫痫病灶内神经元的活性从而抑制癫痫疾病的发作，并且不影响脑组织的正常功能，为患者提供一种全新的、可调控的靶向治疗药物。针对难治性癫痫设计与研发新型基因治疗药物，完成候选药物的临床前研究，开展药物临床试验。

考核指标：发现 1-2 个难治性癫痫原创治疗靶标；研发 1-2 个治疗难治性癫痫的候选药物，1 个候选药物获批临床试验，1 个创新品种进入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。

26.治疗重症肾脏病的生物创新药物研发

研究内容：针对现有疗法难以从病因源头和核心机制阻止重症肾脏病导致肾衰竭的重大临床问题，针对急性肾损伤细胞线粒体破坏和免疫稳态破坏、重症肾小球疾病致病性抗体及其诱发的补体激活发现新靶标，研发重组蛋白、抗体、核酸药物，攻克急性肾损伤能量代谢与免疫稳态重塑及重症肾小球疾病的致病性抗体靶向降解难题。通过研发系列原创新药，填补重症肾脏病治疗的共性机制生物药空白，构建从急性损伤阻断到慢性进展逆转的一体化治疗体系，对候选药物开展临床试验。

考核指标：发现 2-3 个肾脏病靶向病因干预的新机制、新靶标；研发 4-5 个重组蛋白、抗体或核酸创新药物，其中 2-3 个候选药物获批临床试验，1 个创新品种进入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。

27.B 群脑膜炎球菌的新型疫苗研发

研究内容：针对 B 群脑膜炎球菌抗原多样性高、现有疫苗覆盖范围有限、交叉保护能力不足等临床难点，筛选免疫原性强、保守性高的抗原表位，提升疫苗交叉保护谱与免疫持久性。构建体外抗原检测模型与动物免疫评价模型，开展临床前免疫原性、安全性评价等研究；优化疫苗配方与接种程序。构建大规模生产体系及质量控制新方法；对候选疫苗开展临床试验。

考核指标：筛选 4-5 株国内流行菌株；突破 1-2 项 B 群脑膜炎球菌疫苗研发评价关键核心技术；建立 1-2 种创新疫苗的规模化生产技术和 1-2 种质量控制新方法；1-2 个创新疫苗完成 I 期临床试验，1 个创新疫苗完成 II 期临床试验，1 个创新疫苗进入 III 期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由康希诺生物股份公司作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

28.遗传性视网膜疾病和溶酶体贮积症的基因治疗药物研发

研究内容：针对遗传性视网膜疾病和溶酶体贮积症（法布雷病、庞贝病等）研发基因治疗药物。系统解析疾病基因突变谱系与表型异质性的关联，深入阐明其分子发病机制。设计并构建安全高效的基因治疗载体（如腺相关病毒），将正常功能的拷贝基

因或基因编辑工具精准递送至靶细胞，以替代、修复或调控缺陷基因。构建大规模生产体系及质量控制新方法；对候选药物开展临床试验。

考核指标：突破 2-3 项基因治疗关键核心技术（如新型 AAV 衣壳开发、规模化生产）；1-2 个候选药物获批临床试验，1 个创新品种进入Ⅲ期临床试验，1 个创新品种获批上市。

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。

29. 针对遗传性心血管疾病的基因治疗创新药物研发

研究内容：聚焦遗传性心血管疾病（包括遗传性心肌病、家族性高胆固醇血症等）治疗药物缺乏的临床问题，利用队列人群及遗传资源库，系统解析疾病基因突变谱系与表型异质性的关联，深入阐明其发病分子机制；利用诱导多能干细胞及单细胞基因组学技术精准挖掘并验证关键受体和突变基因创新靶标；针对新靶标构建新的特异性启动子，开发高效且特异的病毒及非病毒类递送系统，构建通用型基因编辑系统，实现针对特定致病基因的精准修复或调控；研发安全有效的基因治疗创新药物，对候选药物开展临床试验。

考核指标：研发 2-3 种高效且特异的启动子及基因递送系统，1-2 种通用型基因编辑系统或其他基因突变干预技术；研发 3-5 个原创基因治疗候选药物，其中 2-3 个候选药物获批临床试验，1 个创新品种获批上市。

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。

30.针对重大疾病的创新药物递释系统研发

研究内容： 聚焦靶向、控释、多机制组合和复杂结构的创新药物递释系统开发及其在恶性肿瘤、自身免疫性疾病、代谢性疾病以及神经精神疾病等重大疾病治疗中的应用，以高效、特异、安全以及针对临床重大需求为核心目标，结合新型递释系统结构、材料和工艺的创新，开展创新药物递释系统的研究与开发，并通过系统的临床前和临床研究，证明其临床价值和体系优势，推动创新药物获批上市。

考核指标： 建立 2-5 种新型药物递释系统的研发平台和规模化生产技术；开发 5-6 项具有自主知识产权的创新药物递释系统，1-2 个基于新型药物递释系统的创新品种获批临床试验，2-3 个基于新型药物递释系统的创新品种获批Ⅱ期临床试验，2-3 个用于重大疾病治疗的、基于新型药物递释系统的创新品种获批上市。

立项方式： 定向委托

有关说明： 该项目由北京大学作为项目牵头单位组织申报。
配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

31.典型急性和慢性高原病防治创新中药研发

研究内容： 针对长期移居或世居高原人群中急性和慢性高原病（包括高原睡眠障碍、高原性心脏病、高原红细胞增多症、高原生殖功能减退等）的临床防治需求，基于低氧应答与适应调控差异，系统解析上述疾病的发生发展机制，锚定其中关键的跨尺

度、多维度病理表型，研发防治候选创新药物；利用表型-靶标耦合药物筛评等前沿技术，揭示候选方药的药效物质基础及其作用靶标，并开展候选复方、活性组分或单体的临床前研究及临床试验。

考核指标：建立急性和慢性高原病防治的创新药物研发平台技术；发现 1-2 个新作用靶标，完成 3 项基于新靶标或靶标组的中药复方、活性组分或单体的临床前研究，并获批临床试验，1 项完成Ⅱ期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由中国人民解放军军事科学院军事医学研究院作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

32.治疗风湿病和骨关节病的创新民族药研发

研究内容：围绕民族药在风湿病及骨关节病治疗中具有的优势，开展创新民族药研发，重点突破民族药药效物质基础、作用机理、炮制及生产工艺、质量标准等关键科学问题，研发创新民族药并构建切实可行的创新民族药研发技术体系。聚焦民族药基础研究和质量标准等，开展民族药现代化示范研究，选择 10 种典型民族药药材和 1-2 种民族药成药，开展资源调查、品种鉴定、化学成分、药理作用、炮制机理、质量标准等系统研究；对创新品种开展临床试验。

考核指标：明晰 10 个民族药药材品种基原、资源分布及化学成分等信息，建立现代质量控制标准，其中 5 个纳入地方标准、

团体标准或国家药典标准；形成 1 套可推广应用的民族药现代化研究技术；研发 3-5 个民族药候选药物，其中 2-3 个获批临床试验，1 个获批上市。

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。

33.非小细胞肺癌免疫治疗天然小分子创新药物研发

研究内容：聚焦肿瘤免疫治疗药物的重大需求，从天然产物出发，研发具有多途径免疫调控机制、兼具免疫激活与阻断免疫耐受双重功能的小分子肿瘤免疫治疗药物。采用化学生物学等前沿技术鉴定和发现调控肿瘤免疫的新靶标和新机制。在此基础上，构建多维评价技术，系统评价新型天然小分子免疫调节剂在“冷/热”肿瘤模型中抗肿瘤效果，确定高效候选药物，开展临床前研究及临床试验。针对已处于临床试验的小分子免疫治疗药物，解析其逆转免疫抑制微环境、重塑机体抗肿瘤固有免疫与适应性免疫应答格局的核心分子机制，并寻找免疫响应的精准生物标志物，挖掘其与免疫检查点药物联用治疗非小细胞肺癌产生最佳协同效果的作用特点及临床优势。

考核指标：发现 2-3 种新型免疫调控靶标与机制；研发 2-3 个具有自主知识产权和免疫治疗新机制的抗肿瘤创新药物，其中 1 个创新品种完成临床前试验，1 个创新品种进入 I 期临床试验，1 个创新品种获批上市。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由中国医学科学院药物研究所作为项目牵

头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

34.多靶标整合调控治疗帕金森病的创新中药研发

研究内容：针对帕金森病（PD）治疗的临床重大需求，结合 PD 病程复杂的影响因素，利用多组学技术及临床大数据，构建“成分-靶标-创新药”技术体系；深度挖掘临床经验方剂、天然产物的生物学信息，确认候选创新药物的分子结构，开展成药性优化，确证作用靶标并进行功能验证，解析作用机制、分子配伍机制，突破多靶标整合疗效评价关键技术瓶颈，推动体系创新中药的研发；开展中药复方、组分及单体化合物的临床前研究及临床试验。

考核指标：建立 2-3 项基于多组学技术发现与靶标确证的关键核心技术；研发 2-3 个中药复方、组分及单体化合物的创新中药，并揭示其多靶标协同调控作用机制；2-3 个候选药物获批临床试验，其中 1 个创新品种进入 II 期，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。

35.治疗代谢性疾病的糖类创新药物研发

研究内容：围绕代谢性疾病，突破复杂糖类分子提取分离、结构解析、化学和生物合成、靶标分子发现、药效评价、体内药代动力学研究等技术瓶颈，针对活性和物质基础明确、结构清晰的中药或经典名方来源多糖、寡糖或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；突破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，开展候选药物临床前研究及临床试验。

考核指标：突破 1-2 项糖类药物研发关键核心技术；发现 1-2 个糖类药物的新靶标；1-2 个糖类候选药物获批临床试验，1 个创新品种完成Ⅰ期临床试验，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。

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。

36.治疗慢性肾病的创新中药研发

研究内容：针对慢性肾病（IgA 肾病、糖尿病肾病、慢性间质性肾炎、膜性肾病等）治疗未满足的临床需求，基于中医经典名方和临床治疗经验，结合中药活性部位/成分筛选，利用色谱-质谱联用、多组学、人工智能等技术开展“物质基础表征-药效物质发现-作用机制解析”整合研究，明晰临床疗效确切的中药复方药效物质基础和治疗慢性肾病的新靶标和新机制；开展源于传统中药的复方、组分和单体的现代中药临床前研究和临床试验。

考核指标：突破 1-2 项慢性肾病治疗关键技术；发现 1-2 个新靶标；2-3 个创新中药品种获批临床试验，其中 1 个获批上市。

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。

37.基于 G 蛋白偶联受体的创新中药筛选和研发

研究内容：基于中药研发新策略，构建天然多样性成分库和以 G 蛋白偶联受体（GPCR）为核心的全基因组泛受体靶标库；融合人工智能、多组学、化学分析技术构建化合物与靶标的动态作用调控网络和天然药物筛选技术平台；基于配体-受体互作，明确中药的多靶标作用机制，阐明中药多组分协同作用的网络药理学机制；利用高通量筛选技术揭示临床有效中药物质基础和作用靶标；针对消化系统疾病、过敏性和炎症性疾病等中医药优势病种，研发靶标明确、机制清晰的中药复方、组分及单体化合物的创新中药，开展临床前研究及临床试验。

考核指标：建立 1 个 5 亿数据规模的基因解码中药多样性全成分库，1 个 GPCR 为核心的全基因组泛受体靶标库，1 个天然药物筛选技术平台；阐明 5 个化合物和中药复方多靶标作用机制；发现 10 个活性分子并确证其靶标；3 个创新中药获批临床试验，其中 1 个为基于新靶标的创新药物，1 个创新品种获批上市。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由成都中医药大学作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

38. 稀缺中药资源质量保障及其供给可及性原料研发

研究内容：针对临床急需、市场使用量大、疗效确切、具有不可替代性的关键稀缺中药材，围绕野生（天然）资源获取困难、人工种植（养殖）技术难度大及现有技术无法人工合成、勾兑等现实产业问题，开展其基原鉴定、种源繁育、新品种培育、精细栽培（养殖）、生物合成途径解析等研究。通过多组学技术，挖

掘优良种质关键抗逆基因和分子标记，定向筛选和快速繁育优良种源；明确重点品种的药效物质生物合成途径及调控规律，揭示道地药材生物学实质；结合产地生态适宜性、无公害种植（养殖）、合成生物学等技术，构建高品质稀缺野生（天然）中药原料绿色生产技术体系，研制与野生（天然）产品品质相近的生态仿生中药材产品并评价其有效性和安全性。

考核指标：解析 3-5 种关键中药材野生资源稀缺的生物学原因，突破人工繁（培）育关键技术；阐明野生资源繁育障碍的生物学机制并突破 3-5 项关键核心技术；制定 3-5 项种子（品系）繁（培）育技术规程、3-5 项高品质药材质量标准；制定 5-8 项新药所需原料资源相关的技术规范或标准；获得 2 个国家级植物新品种权，含近 3 年已获得但需要进一步扩大繁（培）育规模；新增 3-5 个符合种植（养殖）规范化（GAP）的中药材繁育基地 200 亩，规模化示范基地一万亩以上；解析 2-3 个已临床应用或已获得临床试验批文的中药活性成分生物合成途径，并实现中药活性成分的异源高效制备，并完成其动物水平的药效学、毒理学等评价。

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。

39.中药与天然产物中的药用成分资源挖掘及创新药物研发

研究内容：针对新药源头分子化学空间覆盖不足、多样性不好，全新骨架结构药物先导分子匮乏等关键科学问题，聚焦我国中草药与民族药等特色资源，通过天然药物化学、药理学和化学

生物学等技术深度挖掘药物活性分子，并进行成药性优化，构建具有多样性、覆盖更广泛成药性化合物空间的“实体库+数据库”的中药与天然产物药用新分子资源平台。突破药用资源结构多样性化学成分定向分离、多维数据整合和成药性提升技术，建立“挖掘-成药性评价-优化-作用机制解析”的技术体系，围绕炎症与免疫病理机制，针对急慢性肝/肺损伤等重大疾病以及类风湿性关节炎、干燥综合征等自身免疫性疾病，开展 AI 赋能的创新药物研发，为原创新药研发提供源头分子储备与核心技术支撑。

考核指标：突破智能化天然分子获取和衍生化的高效研究关键技术；建立区别现有商业库、不低于 20000 个天然分子的智能化实体样品和数据资源平台；发现 5-10 个具有多样性全新骨架结构的药物先导化合物，获得 3-5 个具有自主知识产权的原创候选药物，完成 1-3 个候选药物的临床前研究，其中 1-2 个获批临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由中国科学院上海药物研究所作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

40.新药创制战略研究平台

研究内容：针对我国医药创新同质化、原创理论与关键技术滞后、基础研究临床转化偏弱、产业国际化进程受限等结构性难题，推动完善创新药发展战略布局 and 宏观医药政策顶层设计。聚焦药物源头创新，以提高创新药成果转化效率为目的，开展新药创制政策研究，加强对创新成果“从 0 到 1”转化的服务支持，

以释放新药创制发展动能；聚焦原创理论发展路径和关键技术创新策略，研究形成新药创制良好生态的关键影响因素与政策制度协同机制，包括创新激励机制、知识产权保护、药品定价与医保政策、国际合作等，以强化战略统筹能力；深度研究国际（包括欧美发达国家和“一带一路”沿线国家）创新药物监管生态体系，分析各国监管政策、技术要求和审批路径，研究制定支持国内企业国际化发展的策略和方法，包括总体研发策略、桥接研究设计、国际多中心临床试验协调等，助力我国创新药产业国际化发展。

考核指标：搭建 3-5 个新药创制成果转化、生态建设、国际化发展战略研究平台；在本专项实施全周期内，从国家政策导向、重大疾病领域临床需求等方面，对新药研发部署开展前瞻性分析研判，每年形成正负向清单不少于 2 份；从创新激励机制、知识产权保护、国际合作、入院应用、供应保障等角度，每年形成至少 5 份具有较强内在联系、能够支撑创新药前瞻战略研究体系的政策研究专题报告；为相关国家科技计划组织实施提供支持。

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。

41.创新药成果转化政策和监管科学平台

研究内容：为将生物医药打造成为新兴支柱产业，进一步推动全链条支持创新药发展相关工作，以强化国家科技计划对医药创新引领作用、提升医药创新成果转化效率为目的，构建数智化、平台化分析工具和相应数据资料底座。开发国内外医药创新竞争格局与创新环境数智化分析平台，为我国医药创新体系建设以及

医药创新企业布局和发展提供支撑，助力全链条支持创新药发展相关工作；开发医药创新研发项目全链条、全生命周期、多维度风险与价值数智化动态预测平台，为医药相关国家科技计划战略布局、评估及成果转化提供工具，提高国家科技计划专项管理效能；开发药品监管多场景生成式 AI 辅助平台，优化药品监管资源利用，挖掘药品监管痛点、难点，催生监管科学研究成果，推动临床试验审批、药品审评等监管环节监管模式变革，提升我国医药创新成果转化效率。

考核指标：完成 3-5 个基于 AI 的医药创新格局分析、价值研判、监管辅助数智化工具；建立覆盖不少于 10 个国家的药物临床试验、药品审评审批、药品研发管线格局、药品市场竞争格局、药品监管与创新政策制度等方面与国际接轨的综合数据库，并投入使用；在本专项实施全周期内，形成多个关键领域国内外药品监管与创新生态、药品创新格局、技术风险与价值、药品监管科学理论与工具开发等专题研究报告不少于 20 项，并被相关部门采纳。

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。

42.埃博拉病毒应急药物攻关研究（应急立项）

研究内容：构建本迪布焦型埃博拉病毒啮齿类、雪貂及非人灵长类动物感染模型，系统界定包括半数感染剂量、感染途径、病毒载量动态变化及组织病理学特征在内的核心评估参数；研发覆盖扎伊尔型、苏丹型、新型本迪布焦型等埃博拉病毒的新型人

源化广谱中和抗体，在动物感染模型上完成不同候选抗体的有效性评估，筛选出最优中和抗体和抗体组合，并完成高表达生产细胞株的构建及生产工艺开发；针对埃博拉病毒致病的关键机制和靶点开展具有自主知识产权的新型广谱、特效小分子药物的研究，完成细胞和动物感染模型药理药效评价，解析药物作用机制，针对性进行改构优化，完成候选小分子药物的临床前研究；同时在动物感染模型上针对重症感染致病机制及宿主炎症反应的综合处置方案开展探索性研究，为申报临床试验打下基础。

考核指标：1年内完成至少2种能体现临床症状的本迪布焦型埃博拉病毒动物感染模型（6个月内完成至少1种），至少1种动物感染模型能体现临床重症特征；1年内至少1种覆盖本迪布焦型埃博拉病毒的新型广谱中和抗体组合方案完成动物水平药效评估，2年内完成候选抗体的安全性评价、生产工艺开发等研究，并获得临床批件；1年内至少1种新型广谱小分子药物完成临床前开发，对扎伊尔型、苏丹型、本迪布焦型等埃博拉病毒均有效，并提交临床试验申请，2年内获得临床批件；2年内至少1种重症救治组合方案完成动物水平有效性评估，动物感染模型上重症存活率超70%。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由中国科学院武汉病毒研究所作为项目牵头单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于1:1，项目实施周期为2年。