

附件 1

创新药物研发国家科技重大专项 2025 年度公开竞争项目申报指南

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。2025 年，围绕创新药物研发的关键问题，坚持需求导向和问题导向，以公开竞争的方式启动 37 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》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》《医学科研诚信和相关行为规范》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 期临床研究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.针对耐药基因突变的非小细胞肺癌靶向治疗创新药物研发

研究内容：针对基于分子分型的非小细胞肺癌靶向治疗药物敏感群体有限且极易产生耐药的重大临床问题，结合多组学技术及临床多组学大数据，建立肺癌“新靶标-创新药”技术体系；针对重要或新型激酶靶标产生的耐药突变，开发可克服耐药突变的新一代激酶抑制剂，推动开展临床研究，同步开展临床诊断相关伴随性生物标志物研究，以及相关创新药物与免疫检查点抑制剂的联用方案研究。同时，针对非小细胞肺癌“难成药”靶标，开展靶标发现及候选药物发现研究，推动新型肺癌靶向治疗创新药物研发。

考核指标：发现 1-2 个新靶标，突破 1-2 项非小细胞肺癌靶向治疗的关键技术，实现 1-2 个候选药物获批临床，其中 1 个完成Ⅱ期临床研究，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。

2.肺癌治疗的蛋白新型药物研发

研究内容：针对肺癌治疗后存在的耐药、骨转移、脑转移等需要药物治疗的临床未满足需求，开展新治疗靶标研究与确认，针对现有重要靶标和新靶标，开发对晚期肺癌疗效好、安全性高

的双功能/多功能抗体药物、ADC 抗体药物、抗体类似物等新型蛋白药物。

考核指标：突破 1-2 项非小细胞肺癌治疗的关键技术，开展 1 项针对新靶标设计的肺癌蛋白药物的临床前研究，并获批临床；3-5 个创新蛋白品种获批临床，1 个治疗非小细胞肺癌的创新蛋白药物获批上市。

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。

3.胃癌治疗新型小分子创新药物研发

研究内容：针对中国人群胃癌的各类型分子分型，开发贴近临床的胃癌疾病新模型。围绕特定遗传和表观遗传特征开展胃癌发生发展的机制研究，揭示胃内微生物和肠道菌群参与胃癌进展的分子机制，描绘胃癌免疫微环境的特征和关键通路。以分子机制为基础，开展胃癌治疗靶标发现确证及小分子药物研发；开展候选药物的敏感标志物研究及克服耐药的用药策略研究。发现难治性胃癌的原创药物靶标，及原创候选药物，推进临床治疗优势显著、具有自主知识产权的胃癌创新品种进入临床。

考核指标：发现 2-3 个胃癌相关新机制、新靶标和新疗法及其候选药物；2 个胃癌治疗创新候选品种获批临床。

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 2:1。

4.食管癌靶向治疗化学创新药物研发

研究内容：针对中国人群高发的食管癌未满足临床需求，基于食管鳞癌和腺癌特定遗传特征，开展靶向治疗化学创新药物研发。以目前已确证的与食管癌密切相关的激酶靶标为核心推动候选药物快速临床开发，同步开展临床诊断相关伴随性生物标志物研究，开展相关药物与免疫检查点抑制剂的联用方案研究，以及与一线“化疗+免疫检查点”新辅助治疗方案的对比性研究。综合运用临床大数据、组学技术、机器学习及人工智能等新兴前沿技术，开展相关新靶标的发现和确证研究、确定候选药物并完成临床前研究。

考核指标：发现 1-2 个新靶标，获得 1-2 个具有自主知识产权的新型抗食管癌候选药物，1-2 个候选药物获批临床，1 个完成 II 期临床研究。

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。

5.结直肠癌治疗化学创新药物研发

研究内容：系统探究结直肠癌转移和耐药的关键机制，揭示转移微环境中多种细胞及非细胞组分的动态互作对结肠癌免疫逃逸和治疗抵抗的影响。系统解析促进结直肠癌转移和耐药的微环境核心信号网络，开展治疗靶标发现和验证研究。构建贴近临床的药物筛选模型，针对创新靶标开展能克服结直肠癌转移难题、显著改善患者生存期的创新化学药物研发。

考核指标：明确结直肠癌转移机制新机制 1 项，发现 2-3 个

全新靶标，开发候选药物 3-5 个，其中 2 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 2:1。

6.抗乳腺癌转移创新中药研发

研究内容：针对乳腺癌发生时伴随免疫微环境紊乱的特征，开展中药增强肿瘤免疫识别和杀伤功能、阻断肿瘤转移的临床前药效评价；基于多组学技术、靶标垂钓等生物学技术，开展治疗靶标发现和验证研究；建立动物、类器官、细胞等多维评价模型，评价药效并阐释作用机制；解析、筛选中药药效成分，开展药效物质基础研究；开展中药复方、组分或单体的成药性评价及临床前或临床研究。

考核指标：突破抗乳腺癌转移原创靶点发现等关键技术 3 项以上，2-3 个创新中药品种获批临床，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 2:1。

7.难治性白血病的干预新靶标发现与新型药物研发

研究内容：针对白血病治疗现有药物临床响应率低、患者易复发、耐药的问题，研发具有自主知识产权的抗白血病创新药物。综合运用“多组学+”大数据驱动的药物靶标发现技术、人工智能技术、蛋白降解技术等新兴前沿技术，开展复发难治白血病的干预新靶标发现；基于新靶标，研发较现有药物临床响应率显著提高、克服易复发、耐药的创新候选药物，并完成临床前研究。

考核指标：针对白血病发现 1-2 个新靶标，完成 2-3 个候选药物或者新联合用药组合的临床前研究；2 个创新品种获批临床，其中 1 个完成临床 I 期研究。

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。

8.实体肿瘤的免疫细胞治疗新型药物研发

研究内容：针对实体肿瘤异质性强、肿瘤免疫耐受微环境、免疫细胞难以有效浸润到肿瘤内部等难点，研发新的治疗靶标和免疫细胞基因工程修饰方法，开发疗效显著、安全性好、患者可及性好的 CAR-T/TCR-T 等新型高效免疫细胞治疗药物并实现工程化。

考核指标：突破 2-3 项免疫细胞治疗的关键技术，2-3 个创新免疫细胞治疗产品获批临床，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 3:1。

9.肿瘤治疗新型溶瘤病毒药物研发

研究内容：针对现有溶瘤病毒药物大部分难以系统性给药，单独的治疗还有待提升等治疗困境，开展溶瘤病毒筛选，病毒的基因工程修饰、改造等研究，重点研发肿瘤靶向性好、免疫原性低、能够系统给药、溶瘤和免疫治疗效果好的耐化疗或晚期黑色素瘤、脑胶质瘤的新型溶瘤病毒药物。

考核指标：突破 2-3 项溶瘤病毒修饰改造关键技术，2-3 个创

新溶瘤病毒药物获批临床，其中至少 1 项能够系统给药；1 个溶瘤病毒药物获批上市。

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。

10.自身免疫性疾病与消化系统疾病“共病”的创新中药研发

研究内容：针对自身免疫性疾病与消化系统疾病的共病状态，从关键致病过程的表型及潜在共性靶标入手，探索共病的中医证候特征及演变规律，发现其共性及特异性靶标；基于体内外细胞与动物模型，结合多组学及人工智能预测验证，发现蛋白质、核酸等共病治疗新途径；选择 1-2 种具有新靶标或新机制的共病临床有效方药或组分，开展规范临床试验验证，获得高级别循证证据。利用多组学、人工智能与大数据分析等多学科新方法，系统鉴定有效方药的药效物质，阐明其调控共病的关键作用机制。

考核指标：发现和确证共性特异性靶标 1-2 个；发现共病治疗途径，建立共病创新中药研发关键技术 1-2 个；2 个创新中药获批临床，1 个进入Ⅱ期临床研究。

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.自身免疫性疾病治疗新型蛋白类药物的研发

研究内容：针对我国高发、严重危害我国居民健康的类风湿性关节炎、系统性红斑狼疮、自身免疫性肾病、银屑病等严重自身免疫性疾病治疗周期长、易复发、长期用药副作用大的治疗难

题，发现和确证新的特异性治疗靶标。针对现有重要的治疗靶标和新的靶标，开发疗效较现有药物具有明显临床优势、作用更持久、副作用小的抗体药物、重组蛋白药物、融合蛋白等新型的蛋白类药物。

考核指标：发现 1-2 个新靶标，完成 1 个针对新靶标研发的生物药临床前研究并获批临床；3-5 个创新品种获批临床，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。

12.治疗阿尔茨海默病的化学创新药物研究

研究内容：发现和验证治疗阿尔茨海默病（AD）的新靶标，针对新发现的原创靶标，研发具有良好成药性、特别是能透过血脑屏障的小分子候选药物。针对新靶标和现有重要治疗靶标，开展基于高精度结构涵盖分子、细胞和动物模型等多模态的治疗阿尔茨海默病创新药物评价关键技术研究。

考核指标：发现治疗阿尔茨海默病的新靶标 1-2 个并解析其蛋白晶体结构；发现治疗阿尔茨海默病的新作用机制 2-3 个；开发候选药物 2-3 个；1 个候选品种获批临床，1 个创新品种进入 II 期临床研究。

立项方式：公开竞争

有关说明：鼓励相关领域优势团队牵头申报，并组织跨学科团队联合攻关。配套经费与中央财政经费比例不低于 4:1。

13.治疗阿尔茨海默病的新型生物药研发

研究内容：针对严重危害我国居民健康的阿尔茨海默病（AD），开展新治疗靶标和作用机制研究。针对新靶标和现有重要治疗靶标，研发疗效好、副作用低的抗体药物、重组蛋白/多肽药物以及干细胞替代治疗、免疫细胞治疗、基因治疗、小核酸药物等创新生物治疗药物。

考核指标：发现治疗阿尔茨海默病的新靶标和新作用机制 1-2 个；1-2 个创新品种获批临床，1 个创新品种进入Ⅱ期临床研究。

立项方式：公开竞争

有关说明：鼓励相关领域优势团队牵头申报，并组织跨学科团队联合攻关。配套经费与中央财政经费比例不低于 4:1。

14.治疗帕金森疾病多靶标创新中药研发

研究内容：联合多学科及多组学等技术方法，对可干预帕金森病（PD）的候选药物进行药效物质基础及多靶标相关干预的系统研究；确认候选药物的分子结构、成药性优化和确证作用靶标并进行功能验证，构建成分-靶标-疾病关键技术，解析分子配伍机制，突破疗效评价技术瓶颈；对于候选单体或有效组分开展全面临床前研究，完成新药临床试验申报。

考核指标：突破 2 项以上中药组分靶标发现和确证关键技术；获得帕金森疾病治疗靶点有效活性成分或组分 3-4 个，2-3 个创新品种获批临床且至少 1 个品种完成Ⅱ期临床试验。

立项方式：公开竞争

有关说明：鼓励相关领域优势团队牵头申报，并组织跨学科团队联合攻关。配套经费与中央财政经费比例不低于 4:1。

15.治疗骨衰老的创新中药研发

研究内容：基于中医药防治“骨痿”“骨痹”理论和人用经验，围绕骨关节退行性病变、骨质疏松、类风湿性关节炎等慢性病，对临床有效中药、民族特色药、经典名方进行组分解析，诠释“活性药味-活性成分-临床功效”关联的科学内涵，优选出作用机制明确的复方制剂、单体或有效组分，确定候选中药新药；完成临床前研究和临床研究。

考核指标：系统构建骨衰老多模态模型及多层次定量评价指标体系，确认 2-3 种临床有效治疗骨质疏松症、类风湿性关节炎或骨关节炎等中药复方药效物质基础及新作用机制；1-2 个创新中药品种获批临床，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 2:1。

16.人工智能和数据驱动的慢性心力衰竭中药新药研发

研究内容：针对慢性心力衰竭或与慢性心力衰竭相关的常见共病（如心肾综合征、糖尿病心肌病等），基于分子、细胞、类器官、人体等多维度生物组学数据，构建人工智能和数据驱动的防治慢性心力衰竭或其相关共病的药效、安全性评价等数据模型，对中药，尤其是民族药进行筛选和评价，并结合体内外实验研究明确具有药效的单体分子或有效组分、调控机制和关键靶标，鼓

励新机制、多途径整合调控的新药研发；在此基础上，完成新药的临床前研究，形成中医药理论指导下的人工智能和数据驱动的中药研发新范式。

考核指标：形成 2-3 项人工智能和数据驱动的中药新药发现关键技术；1 个慢性心力衰竭中药新药品种进入Ⅲ期临床研究。

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。

17.抗抑郁症原创化学创新药物研发

研究内容：针对抑郁症临床未满足需求，发展疾病干预和治疗新策略。采用人工智能和多维组学等前沿技术，发现和确证全新有效、低毒的快速抗抑郁原创药物的靶标；结合分子生成和虚拟筛选，发展结构新颖、高选择性且成药性良好的抗抑郁小分子抑制剂；挖掘神经胶质细胞、神经元细胞的交互作用通路并进行功能验证；开展抗抑郁药效和成药性评价，系统评估优选抗抑郁药物的治疗效应和起效时间，综合体内药效、药代特征和安全性，确定临床前候选药物并推进系统性临床前和临床研究。

考核指标：发现快速、低毒、有效抗抑郁新靶标 1-2 个，获得 3-5 个候选药物，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。

18.治疗中风、抑郁症的创新中药研发

研究内容：基于中医药多成分、多靶标、多途径的作用特点，

研发通过调控脑肠轴等途径治疗中风、抑郁症的中药新药。系统梳理中医药古籍文献、临床验方及现代研究成果，筛选疗效确切的中药单体分子、有效组分或复方，结合人工智能、多组学等技术，进行处方优化和成药性评价。通过多学科交叉融合，构建中风、抑郁症评价模型，明确中药对肠道菌群结构、代谢产物及血脑屏障通透性的调节作用，解析“肠道菌群-代谢产物-神经靶标”调控网络。开展新药临床前药效学、安全性评价等研究，完成新药注册相关材料申报。

考核指标：形成基于脑肠轴等的新药研发关键技术 2-3 项；1-2 个创新中药品种获批临床，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 4:1。

19.基于多途径整合调控的治疗失眠、焦虑障碍创新中药研发

研究内容：基于经典名方、临床经验方等，筛选在治疗失眠、焦虑障碍方面具有显著疗效的有效方剂或有效组分和单体分子；建立动物、细胞、类器官多维模型，综合运用分子生物学、系统药理学等新技术新方法，开展药效物质基础及作用机制研究，结合中医药理论阐释其多途径整合调控的作用特点及临床优势，在此基础上开展临床前药学、药理、毒理研究；对于已取得药物临床试验批准并具有较好创新性的品种，开展相应的临床研究。

考核指标：构建失眠、焦虑障碍药效多途径评价关键技术 2 项以上；1-2 个创新中药品种获批临床，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 4:1。

20.糖脂代谢紊乱相关代谢性疾病防治创新药物研发

研究内容：利用大规模人群队列遗传因果关联信息，分析关联共病间共享与差异的遗传驱动特征，系统阐明糖尿病为代表的糖脂代谢紊乱相关代谢性疾病多病共患致病机制，筛选关键节点与协同靶标，实现异病同治。识别糖脂代谢紊乱相关的多病共患枢纽靶标或组合；揭示关键靶标协同调控糖脂代谢及器官损伤的代谢重编程机制，针对糖尿病等糖脂代谢紊乱相关代谢性疾病开展创新药物研发。

考核指标：鉴定并功能验证 2-3 个针对糖尿病等糖脂代谢紊乱相关代谢性疾病的原创靶标，2-3 个候选药物品种获批临床；1 个具有明显临床优势的创新品种进入临床Ⅲ期。

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。

21.代谢性疾病新型生物药研发

研究内容：针对糖尿病、高脂血症等代谢性疾病治疗持续时间长、用药频繁、长期用药副作用较大的困境，研发新的治疗靶标并进行转化，针对现有重要的治疗靶标和新靶标，研发比上市同类药物在减重、降脂、降糖等方面的效果更显著、安全性更好、更长效化的多肽药物、创新抗体药物；针对遗传性代谢障碍疾病，

开展基因治疗、小核酸药物开发；针对严重糖尿病，开展干细胞替代治疗药物研发。

考核指标：突破 2-3 项关键技术，1 个针对新靶标研发的新型生物药获批临床；3-5 个创新品种获批临床，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。

22. 心血管疾病治疗新型生物药研发

研究内容：针对冠心病、心肌梗死等心血管疾病，结合中国人群特有发病特征，挖掘与抗炎、降脂、促进血管生成相关的原创靶标，针对新靶标开发重组蛋白、抗体药物、小核酸药物等新型生物药，产出重大新药品种，提高治疗的有效性和安全性。

考核指标：确认 3-5 个治疗心脑血管疾病的创新靶标，2-3 个创新品种获批临床，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。

23. 抗纤维化新靶标发现与新型蛋白药物的研发

研究内容：针对肝纤维化、肺纤维化等严重的纤维化相关疾病，基于纤维化信号通路的关键分子和创新靶标，开发抗体药物、融合蛋白等抑制剂类创新药物，延缓或逆转纤维化进展，延长患者生存期。

考核指标：确认 1-2 个与纤维化治疗药物的新靶标，完成 3-5

项创新品种的临床前研究，2-3 个创新品种获批临床且其中 1 个进入Ⅲ期临床。

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 4:1。

24.抗多药耐药革兰氏阴性耐药菌新型化学药物研发

研究内容：围绕革兰氏阴性菌耐药性问题，针对革兰氏阴性菌外膜脂多糖、脂蛋白、生物膜、毒力因子等重要结构物质的合成或转运机制开展系统性研究，开发有效透过/破坏革兰氏阴性菌外膜的新型广谱抗菌药物。针对全新靶标开展先导发现与结构优化，对优选候选药物开展系统的药效、药代以及安全性评价研究，发现高效、低毒、广谱的抗耐药菌候选药物并进入临床研究。

考核指标：获得 5-10 个抗革兰氏阴性菌耐药的候选药物，2-3 个创新品种获批临床，其中 1-2 个创新品种进入Ⅲ期临床研究。

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。

25.抗耐药结核创新药物研发

研究内容：开展耐利福平结核杆菌耐药机制以及新作用靶标研究；克服现有结核治疗药物疗程长（18-24 个月）、疗效差、存在心脏毒、肝肾毒和生殖毒等副作用大的不足，实现耐药结核 6 个月的超短程治疗，研发从疗效和安全性优于现有抗耐药结核药物德拉马尼、贝达喹啉、利奈唑胺的全新抗耐药结核药物。

考核指标：发现和确证 1 种以上新靶标、发展抗耐药结核创

新药物发现和成药性评价关键技术 3-5 项；1-2 个抗耐药结核创新品种获批临床，其中 1 个完成Ⅱ期临床研究并进入Ⅲ期临床研究。

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。

26.广谱抗冠状病毒创新药物研发

研究内容：针对冠状病毒及跨科属 1-2 种病毒，开展广谱抗病毒作用机制研究；针对具有广谱抗病毒作用潜力的靶标开展人工智能虚拟筛选结合实体库筛选；围绕苗头化合物开展理性分子设计和构效关系研究；开展初步药代研究和早期安全性评价，确定候选药物；围绕候选药物开展系统临床前研究；开展具有广谱抗病毒作用潜力候选药物的临床研究和新适应症拓展。

考核指标：确定 1-2 个具有广谱潜力的抗病毒药物作用靶标；获得 5-7 个药效显著，成药性良好的候选药物；完成 2-3 个候选药物系统性的临床前研究并获批临床；其中 1 个完成Ⅲ期临床研究。

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。

27.渐冻症的基因治疗药物和纳米酶药物的创新研发

研究内容：挖掘并改造适合单 AAV 递送的小型可编程核酸酶，优化其编辑效率、特异性、靶向范围；基于此开发小型衍生工具，构建具有自主知识产权的基因工具箱。开发新型 AAV 载体及非病毒载体，实现基因编辑工具高效、精准递送。针对渐冻症等罕见病，设计并验证靶向致病基因或关键病理环节的基因编辑

（修复/调控）策略。发展新型纳米酶药物，完成候选纳米酶药物系统的药效、药代、毒理（含脱靶）等临床前研究。

考核指标：获得 2 项具有自主知识产权、性能优越的小型基因编辑工具和高效递送技术；完成渐冻症的基因编辑和纳米酶治疗药物临床前有效性和安全性评价，1-2 个渐冻症的基因编辑药物或纳米酶药物获批临床。

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。

28.重症肌无力等疾病的基因治疗新型药物研发

研究内容：开展罕见病致病机制研究，建立可呈现疾病表型的疾病模型；针对重症肌无力等疾病，开发疗效好、安全性高的新型基因治疗药物。

考核指标：建立 2-3 种突变基因筛选平台，开发 3-5 种危重罕见病的疾病模型，突破 2-3 项新型基因递送载体关键技术；针对 3-5 项危重罕见病开展基因治疗临床转化研究；1-2 个创新基因治疗药物获批临床，其中 1 个进入Ⅲ期临床；1 个治疗重症肌无力的创新药物获批上市。

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。

29.儿童用药专用新剂型研发

研究内容：针对儿童用药依从性差、代谢系统未成熟及现有剂型儿童给药剂量不精准、口感差、辅料毒性等问题，聚焦儿童

专用新剂型，提升适口性和服药依从性；研制能实现精准给药并减少给药频次，降低血药浓度波动风险的新型儿童剂型；筛选生物相容性高的新型辅料代替传统防腐剂，减少对儿童肝肾的潜在毒性；开发新型分龄剂型。

考核指标：建立 2-3 种自主知识产权的儿童药物制剂新技术；研发 2-3 种儿童适用新辅料；5 个儿童专用新剂型获批临床。

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。

30.高原环境致脑水肿、肺动脉高压防治创新药物研发

研究内容：聚焦高原缺氧所致的严重“脑肺疾病”，如高原肺水肿、脑水肿等，重点发展高原脑水肿急救药物；全新机制的抗肺动脉高压药物等，以解决高原生活环境健康维护以及高原作业防治药物缺乏的重大需求。

考核指标：2-3 个针对高原脑水肿、全新机制的抗肺动脉高压药物获批临床。

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。

31.靶向蛋白降解的抗肿瘤原创药物研发

研究内容：针对我国高发肿瘤，以获得高选择性、低毒副作用、具有良好靶向蛋白降解的原创药物研发为核心，构建类降解剂分子库；开发定向发现的药物筛选体系，实现对靶标蛋白的高通量定向降解剂筛选；发现并确证新 E3 连接酶以及非 E3 连接酶

及其降解机制；建立蛋白降解剂合理设计和快速发现的关键技术；建立新降解剂的精准靶向递送技术、体内代谢、系统性的药效学评价和安全性评价技术，建立药效与毒副作用快速评估体系。

考核指标：发现 E3 连接酶高亲和力的新配体，扩展可用于降解的 E3 连接酶 1-2 个；发现 2-3 个新靶向蛋白降解剂，其中 1-2 个新型降解剂获批临床。

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。

32.人工智能技术驱动的创新靶标发现和候选药物发现

研究内容：聚焦重大慢性疾病治疗的关键临床需求，构建多模态大模型驱动的多源医药数据化自动提取和解析关键技术；结合深度学习、图神经网络、知识图谱、生成式预训练模型、架构与迁移学习、跨模态知识融合等人工智能关键技术，开展新靶标发现和高特异性分子探针设计，建立 AI 虚拟肿瘤细胞和药物响应关键技术。建立“靶标预测-药物筛选-药物设计与生成-成药性评价与优化”一体化关键技术，形成“虚拟筛选-湿实验”闭环，加速新药靶的发现与成药性验证，提高候选新药发现的有效性和准确性。

考核指标：建设支持药物靶标发现需求的多模态生物医药数据库；建立支持靶标发现与机制推断的核心算法等 2-3 项关键技术；发现 4-5 个全新靶标，基于新靶标研发 1-2 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 2:1。

33.通用细胞治疗产品研发

研究内容：针对传统自体免疫细胞治疗存在周期长、成本高等瓶颈，利用自主知识产权的多基因编辑技术构建模块化通用型细胞治疗底盘，系统性开发用于异体或“货架型”通用细胞疗法的通用细胞平台。基于模块化的嵌合抗原受体（CAR），针对多种抗原靶标优化开发 CAR-T 及 CAR-NK 细胞治疗产品，能有效克服异体排斥并实现工程化，将多基因编辑技术的细胞治疗产品应用于疾病治疗的研究。

考核指标：应用自主知识产权基因编辑工具，实现针对肿瘤、自身免疫性疾病等 2 个通用型细胞治疗新型药物获批临床，1 个创新品种，完成Ⅱ期临床研究。

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。

34.治疗心脑血管疾病、代谢性疾病的天然产物来源创新药物的研发

研究内容：充分发挥我国药用植物资源优势，以传统功效为导向，针对具有化合物新颖性和结构多样化的天然产物活性分子，开展小分子新药快速发现技术研究；与现代药物分离分析、药理药效评价等最新前沿技术相结合，搭建“天然产物小分子定向挖掘-结构优化-机制解析-成药性评价”技术体系，在心脑血管疾病、代

谢性疾病等领域快速发现先导化合物和候选药物，获得具有自主知识产权的原创新药。

考核指标：形成基于天然产物活性分子的小分子药物快速发现技术体系，阐明 3-5 个天然产物活性分子治疗重大疾病的精准作用机制。在心脑血管疾病、代谢性疾病等领域获得 5-10 个具有良好成药性的候选药物，1-2 个药物获批临床。

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。

35.放射性药物成药性关键技术和创新品种研发

研究内容：围绕消化道肿瘤的精准诊断与治疗，发展放射性药物，特别是放射性药物的活性分子发现、设计方法学和成药性评价体系，突破肿瘤靶向放射性药物临床转化瓶颈，加速原创放射性药物研发；针对多种核素发展新型螯合剂及高效标记技术，提升放射性药物比活度、体内稳定性与生物安全性，降低放射性药物的非特异性毒性；针对放射性药物特征与优势，建立基于大模型等先进技术的放射性药物前体分子快速发现和筛选评价关键技术，建立放射性药物体内 ADMET 的快速精准预测和微剂量同位素示踪药代动力学评价关键技术。

考核指标：建立 3-5 项消化道肿瘤靶向放射性药物发现、设计及调控策略与微剂量同位素示踪药代动力学评价等临床前关键技术，3-5 个对特定肿瘤具有高选择性、高疗效/诊断能力的原创候选放射性药物品种获批临床。

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 1:1。

36.新型生物表达体系来源的重组人白蛋白药物研发

研究内容：针对新型生物表达体系如酵母表达体系、基因工程水稻等表达体系等来源的重组人白蛋白，重点突破大规模放大生产和纯化工艺等关键技术，解决稳定性研究、纯化过程中生产及产品相关杂质控制研究、糖基化或糖化控制研究等产业化难题；推动完成产品的临床安全性和有效性评价研究；建立不同新型生物表达体系来源的重组人白蛋白产品的质量控制关键技术，解决工艺和产品相关痕量杂质检测方法等技术瓶颈。

考核指标：突破 2-3 项新型生物表达系统工程化制备和质量控制等关键技术；1-2 个新型生物表达体系来源的重组人白蛋白获批上市。

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.人工再生血小板药物关键创新技术及创新品种的研发

研究内容：针对单采血小板资源紧缺，存储周期短，质量不稳定，有潜在微生物病毒感染风险的难题，建立基于 iPSC 等的人工再生血小板药物的研发、制备、规模生产、分离纯化等关键技术和大规模生产制备关键技术。建立人工再生血小板药物的体内外功能评价技术，完成创新品种相关动物安全毒理，药理药效评

价；建立人工再生血小板药物的产业化指标关键技术。

考核指标：开发 2 种以上 iPSC 等诱导分化人工血小板技术；建立单批次 50 升以上放大工艺并获得 3 批次稳定性数据；完成临床前研究，形成 10 项以上具有自主知识产权的核心技术；1-2 个创新品种获批临床，其中 1-2 个品种开展 II 期临床研究。

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。