

“常见多发病防治研究”重点专项 2023年度“揭榜挂帅”榜单

为深入贯彻落实党的二十大会议精神，切实加强创新链和产业链对接，“常见多发病防治研究”重点专项聚焦国家战略亟需、应用导向鲜明、最终用户明确的重大攻关需求，凝练形成2023年度“揭榜挂帅”榜单，现将榜单任务及有关要求予以发布。

一、申报说明

本批榜单围绕2方面问题，一是骨衰老发生机制及治疗策略，拟解决骨衰老早期诊断技术、新型关键靶点、新型生物材料、变革型治疗策略等问题；二是脑胶质瘤防治的重大应用场景，拟解决脑胶质瘤手术治疗、诊断技术、综合治疗等关键实际问题。拟各安排国拨经费总概算2000万元，合计4000万元。研究期限为3年，立项18个月后开展“里程碑”考核。除特殊说明外，每个榜单任务拟支持项目数为1项。项目下设课题数不超过5个，项目参与单位总数不超过10家。项目设1名负责人，每个课题设1名负责人。

榜单申报“不设门槛”，项目牵头申报和参与单位无注册时间要求，项目（课题）负责人无年龄、学历和职称要求。申报团队数量不多于拟支持项目数量的榜单任务方向时，仍按程序进行项目评审立项。明确榜单任务资助额度，简化预算编制，经费管理

探索实行“负面清单”。

二、攻关和考核要求

揭榜立项后，揭榜团队须签署“军令状”，对“里程碑”考核要求、经费拨付方式、奖惩措施和成果归属等进行具体约定，并将榜单任务目标摆在突出位置，集中优势资源，全力开展限时攻关。项目（课题）负责人在揭榜攻关期间，原则上不得调离或辞去工作职位。对于同时支持多支团队“赛马攻关”的，在关键节点考核后择优进行支持。

项目实施过程中，将最终用户意见作为重要考量，通过实地勘察、仿真评测、应用环境检测等方式开展“里程碑”考核，并视考核情况分阶段拨付经费，实施不力的将及时叫停。

项目验收将通过研究报告、现场验收、用户和第三方测评等方式，在真实应用场景下开展，并充分发挥最终用户作用，以成败论英雄。由于主观不努力等因素导致攻关失败的，将按照有关规定严肃追责，并依规纳入诚信记录。

三、榜单任务

1. 骨衰老发生机制及治疗策略研究

需求目标：基于老年人群队列，探索骨衰老相关疾病，包括骨质疏松症、骨质疏松性骨折及骨关节炎等的早期生物分子标志物，研发适宜于临床应用的早期诊断技术，开发疾病预测模型；对骨衰老相关疾病人群进行全基因组测序分析，确定表达谱，筛

选骨衰老易感基因；利用影像学、病理学、生物信息学等技术，深度解析骨衰老发生和进展新机制，利用单细胞测序，空间转录组学等先进分子生物学技术深入探索骨及关节组织中细胞衰老的发生机制，明确衰老细胞与周围细胞间的交流机制，发现调控骨衰老的新型关键靶点；利用人类多功能干细胞及人源化小鼠等建立骨衰老研究的细胞及动物模型；探索干细胞及外泌体等创新治疗骨衰老相关疾病的新技术；开发多种具有自主知识产权的骨修复重建新型生物材料，用于对抗骨衰老，并形成骨衰老相关疾病治疗的变革型治疗策略；促进形成较为完善的骨衰老及骨折的“三级医院—社区—家庭—个人”的预防控制体系。具体指标如下：

（1）建立全国性的老年人群健康调查队列，纳入不少于10000例65岁以上受试者；建成覆盖1万例以上患者、具有代表性的（20个省市以上）、多中心（30家以上综合性医院）骨衰老相关专病库6~8个，初步形成1个全国性的老龄人群骨衰老疾病监测体系。形成软件著作权5~10项。

（2）发现骨衰老相关疾病的早期生物分子标志物3~5种；开发1套骨衰老相关疾病的临床及分子预测模型；研发自主知识产权的特异性抗骨质疏松免疫调节剂1~2种，并在至少2种动物模型中进行安全性、有效性验证，申请2~4项发明专利。

（3）探索骨衰老相关疾病中细胞衰老发生的关键分子机制，明确衰老细胞与周围细胞间的交流机制，筛选3~5种潜在干预的新靶点，在动物实验、细胞水平等多个模型系统中进行生物

验证；研发基于新靶点的骨衰老相关疾病早期诊断技术 2~3 项，灵敏度、准确度均达 90%以上，并申请 1~2 项发明专利。

(4) 建立基于干细胞及外泌体或细胞囊泡对抗骨衰老新技术 2~3 种；创新 3~5 种基于干细胞生物修复方案的新型骨修复重建生物材料并申请相应专利；研发适合中国人解剖特点的系列骨折内固定产品 5~8 种，启动 2~5 项多中心临床研究，申请 5~10 项发明专利，打造具有示范带动效应的国产品牌。

(5) 形成对骨衰老相关疾病的诊断和治疗实践具有指导意义指南和共识 5~10 项，在 30 家以上综合医院进行推广，并在 10~20 个省市建立骨衰老相关疾病的综合预防、诊疗体系的试点。主编专著 1~2 部。

2. 脑胶质瘤综合诊疗新技术的开发及转化研究

需求目标：针对脑胶质瘤，特别是包括胶质母细胞瘤、弥散内生性桥脑胶质瘤在内的高级别胶质瘤整体预后较差的现状，在手术治疗层面：针对脑干/丘脑等手术难度极高脑区的胶质瘤，应用脑网络及光遗传学神经环路等研究方法，探索病损状态下脑功能改变的机制与关键节点，结合术中多模态技术，建立脑干/丘脑等重点脑区的精准神经外科操作流程及围手术期神经功能保护策略；在诊断技术领域：开展前瞻性临床研究以评价液体活检、分子影像学等脑胶质瘤新型无创/微创诊断方法的敏感性与特异性，并开发临床适宜的、能直接指导临床诊疗的诊断新方法；在综合治疗方面：应用多组学技术进一步探索脑胶质瘤的发病机制，并

利用高通量筛选技术发掘化疗药物、靶向治疗药物及细胞免疫治疗的新靶点，开发纳米材料等突破血脑屏障的新方法，并开展早期临床研究评估新型治疗方案的安全性及有效性，以期最终改善脑胶质瘤的整体诊疗效果。具体指标如下：

（1）针对侵犯脑干和丘脑等重要脑区的胶质瘤，完成 200 例以上病例规模的手术前后脑网络和神经环路研究，逆向推演，建立至少 1 套精准神经外科操作流程及围手术期神经功能保护策略，完成多模态神经功能保护手术 400 例以上，在项目后期（最后 100 例）达到上述脑区胶质瘤手术相关的神经功能永久性障碍发生率较国际公认水平下降 50% 以上。

（2）建立 1000 例以上规模的脑胶质瘤液体活检前瞻性研究队列，开发胶质瘤分子分型、治疗监测和预后的体液诊断标志物，要求标志物的敏感性和特异性都超过 85%，研发不少于 3 个诊断试剂盒，并申报不少于 2 个医疗器械证。

（3）开展 300 例以上规模的脑胶质瘤新型分子显像技术的临床应用研究，完成超过 200 例的分子显像指导下精准肿瘤切除手术，要求新型分子显像靶点的诊断灵敏度和特异性均超过 85% 或者超过国际通用显像技术水平，并申报不少于 1 个分子显像剂医疗器械证。

（4）完成 500 例以上规模的重要脑区胶质瘤多维组学研究，建立 200 例以上规模的原代细胞和类器官培养库，借助生物信息学、人工智能和高通量筛选技术等方法发掘新型治疗靶点，要求

发现不少于 5 个脑胶质瘤的新型治疗靶点并在动物模型中得到验证，治疗靶点应覆盖化疗、靶向药物治疗及细胞免疫治疗全部三种形式；开发至少 2 种治疗用纳米材料，在动物模型完成验证，并申请相应专利。

(5) 基于上面发现的新型治疗靶点，启动至少两个新型治疗靶点的临床试验，临床试验结果能初步显示新型治疗方法安全和有效。

(6) 编写不少于 2 项脑胶质瘤综合诊疗规范或指南，并向不少于 10 家三级以上医院推广。