

## 附件 3

# 2025 年自治区生物医药领域重大科技专项、 重点研发任务专项项目申报指南

### 一、重大科技专项

#### (一) 新疆高发病的化学药新药创制及原料药产业化

##### 研究内容：

以临床价值为导向，聚焦肿瘤、心脑血管、神经退行性疾病等新疆高发病的治疗，系统性开展创新药物研发与临床转化研究，包括化学药新药临床前研究（含成药性评价、药学研究、药理毒理研究），严格遵循 ICH（国际人用药品注册技术协调会）、CTD（通用技术文件）规范，确保研究数据的国际互认性与科学性；系统性开展原料药中试及规模化生产关键技术突破研究，涵盖合成工艺优化、质量控制体系构建、绿色生产技术应用等领域，形成从实验室到中试到工业化生产的全链条技术支撑能力；搭建“人工智能（AI）赋能的化学原料药及制剂创制平台”，集成计算机辅助药物设计（CADD）、绿色化学合成技术等，实现新结构、新机制药物高效发现与开发。

优先支持利用我区优势资源、具有新靶点、新机制的创新药物研发。

##### 关键指标：

(1) 获得 1-2 个化学药新药（1 类、2 类）临床试验

批准通知书；

(2) 完成 1-2 个化学原料药在 NMPA (国家药品监督管理局) 平台登记；

(3) 获得 6-8 个成药性高的候选药物；

(4) 突破化学原料药中试及规模化生产关键技术 8-10 项；

(5) 建成 AI 赋能的集药物设计、合成工艺开发、制剂研发、中试验证于一体的化学原料药与制剂创制平台 1 个；

(6) 授权发明专利 5-8 件；发表高水平论文 5-8 篇；培养研究生 5-8 人；培养技术骨干 20-25 人。

## **(二) 新疆高发病的中药 (民族药) 创新药研发、大品种二次开发与产业化**

### **研究内容：**

以中医 (民族医) 理论为指导，针对心脑血管疾病、自身免疫疾病、泌尿系统疾病等新疆高发病，应用空间多组学整合分析其对疾病关键通路的调控网络，运用“计算模拟-细胞模型-类器官与器官芯片-动物验证-临床反馈”智能系统阐明其作用机制，开发新型靶向递送系统；开展创新药物的制备工艺、质量标准、药理毒理等临床前研究和已上市品种的物质基础、标准提升、增加适应症等二次开发研究；开展创新药与改良型新药随机、对照、双盲临床试验，明确安全性与有效性；构建形成中药 (民族药) 创新药和中药改良型新药的产品矩阵，实现“理论-技术-产业-影响力”四位一体突破，培育代表性大品种，推动我区中药民族药产业从

“资源依赖型”向“创新驱动型”转变。

### **关键指标：**

（1）阐明 6-8 个地产中药（民族药）候选药物的药效物质基础及作用机制，开发新型靶向递送系统 2-3 个；

（2）开展创新药及改良型新药的临床前研究，获得 3-5 个新药临床试验批准通知书，其中 1-2 个实现成果转移转化；

（3）完成 3-4 个已获临床试验批准通知书品种的临床试验研究，提交临床研究总结报告，获得 1-2 项药品注册受理通知书及药品注册证书；

（4）培育单品种年产值 5-10 亿元的大品种 1 个；

（5）授权发明专利 5-8 件；发表高水平论文 5-8 篇；培养研究生 5-8 名，其中博士研究生 2-3 名；培养技术骨干 8-10 名。

## **（三）新疆特色食药资源保健功效的挖掘、大健康产品研发与产业化**

### **研究内容：**

开展新疆特色食药物质资源功效挖掘。围绕罗布麻、红花、恰玛古等新疆特色资源，系统性挖掘其作用功效，明确其功效成分与作用机制，为后续产品研发提供科学依据；针对有食用历史但缺标准的新疆特色食药资源，开展食品安全标准研究，为产品的开发提供依据；突破高附加值产品研发与产业化关键技术，以新疆特色食药资源为主要原料，开发并转化一批保健食品、特殊用途化妆品、特殊膳食用食品等大健康产品，满足市场多元化需求；开展特色大健康产品培

育与产业化，推进已有批文的保健食品、特殊化妆品等的生产上市和已上市产品的二次开发，并构建从资源评价、产品研发、生产加工、质量控制及到终端产品的全产业链体系，加强各环节协同，提升产业整体效能。

### **关键指标：**

（1）筛选罗布麻、红花、恰玛古等 5-8 种新疆特色食药资源，明确功效成分及作用机制；完成至少 5 种食药物质与国家已批准保健功效相对应的功能挖掘研究（保健功能不重复）；

（2）开发新疆特色食药资源大健康产品不少于 15 个，其中保健食品不少于 5 个（产品保健功能不重复），特殊用途化妆品、特殊膳食用食品不少于 10 个；

（3）开展新疆特色食药资源食用安全标准研究 3-5 个，制定食品安全地方标准 2-3 个；

（4）生产转化已有批文但未上市的新疆特色食药资源为主要原料的保健食品/特殊膳食用食品/特殊用途化妆品 2-4 个，二次开发已上市的新疆特色食药资源保健食品/特殊膳食用食品/特殊用途化妆品 1-2 个，培育 2-3 个特色大单品，累计产值 2 亿元以上；

（5）构建“新疆特色食药资源大健康产品研发技术平台” 1 个；

（6）授权发明专利 3-5 件；发表高水平论文不少于 15 篇；培育大健康产品研发协同创新团队 1 个。

### **（四）新疆管花肉苁蓉趁鲜加工、功效挖掘与创新药、**

## 保健品等系列产品开发

### 研究内容：

依托神经退行性疾病、代谢综合征等领域前期研究基础，融合天然产物化学、制剂工程、药理毒理学等多学科技术，开展管花肉苁蓉化学药 1 类创新药原料药、制剂临床前及临床研究；开展管花肉苁蓉中药 1 类创新药临床前研究；开展管花肉苁蓉保健品、化妆品等大健康产品及原料开发；开展涵盖清洗→切片→灭酶→干燥→包装的趁鲜切制与产业化关键技术研究，构建全产业链质量控制与标准体系。

### 关键指标：

- (1) 获得中药、化学药 1 类新药临床试验批准通知书 1-2 项；
- (2) 获得化学原料药 NMPA 注册登记 1 项；
- (3) 取得创新药物Ⅰ期、Ⅱ期临床伦理报告及研究总结报告 2-3 份；
- (4) 获得保健食品注册受理通知书 2-3 项，批件 1-2 项；完成 10-15 个特殊用途/普通化妆品的研发、备案和商品化；完成化妆品原料安全信息登记 1 项；
- (5) 研发管花肉苁蓉趁鲜切制技术 2 项以上，制定 1-2 项地方标准或团体标准，培育管花肉苁蓉不同种植基地品种评价技术团队；建成年产 1 万吨趁鲜切制自动化生产线 1 条，实现农民经营性收入 5000 万元以上；
- (6) 授权发明专利 3-5 件；发表高水平论文 3-5 篇；培养技术骨干 8-10 名。

## 二、重点研发任务专项

### （一）新疆高发病、包虫病的生物技术药物研发与应用 研究内容：

开发新疆高发病及包虫病抗体药物、抗体偶联药物，开展治疗靶点筛选、抗体功能评价、临床前疗效与安全性评估等研究；基于 mRNA 疫苗技术路线，研发特异性、靶向性和治疗性疫苗等新型候选品种，揭示佐剂增效、抗原呈递和长效防护等作用机制，开展 mRNA 疫苗成药性研究；进行干细胞药物治疗重大免疫相关疾病的临床前和临床研究，探索干细胞药物在重大免疫相关疾病以及包虫病引起的肝脏损伤、免疫耗竭中的治疗作用。

#### 关键指标：

- （1）开展干细胞药物临床前/临床研究 1-2 项；
- （2）获得新疆高发病及包虫病的新型治疗性抗体/抗体偶联候选药物 1-2 个；
- （3）获得疫苗候选品种至少 1-2 种，至少 1 种疫苗完成中试制备、有效性和安全性评价，并建立 mRNA 疫苗制备技术平台和相应的质量控制方法；
- （4）授权发明专利 2-4 件；发表高水平学术论文 5-8 篇。

### （二）中医（民族医）古代经典名方制剂与医疗机构制剂的研发与产业化

#### 研究内容：

基于中药“整体质量特征”核心，构建药材-饮片-中间体-制剂链条追溯式全过程质量控制体系。开展 3.1 类或 3.2 类古代经典名方制剂的关键信息考证、资源评估、基准物质、生产工艺及质量标准、安全性评价等研究，获得注册证书；基于“三结合”注册审评证据体系，开展中药创新药物临床前研究，揭示其临床价值和科学内涵，包括人用经验、药学、药效学、毒理等研究、获得临床试验批准通知书。开展基于临床价值的医疗机构制剂备案制/注册制研发。构建基于“三结合”为核心的中药创新药研发平台，促进中药（民族药）创新体系的协同发展和整体升级。

### **关键指标：**

- （1）获得 3.1 类或 3.2 类古代经典名方复方制剂药品注册证书 1-2 个；
- （2）获得 1.1 类中药创新药临床试验批准通知书 2-3 个；
- （3）获得医疗机构制剂备案/注册 6-8 个；
- （4）完成 2-3 个古代经典名方或医疗机构制剂的人用经验信息的评估和收集整理，建立一套具有实操性的人用经验信息收集整理技术规范；
- （5）搭建中药（民族药）古代经典名方药物研发平台，培育古代经典名方药物研发联合创新团队 1 个；
- （6）授权发明专利 2-3 件；发表高水平论文 6-8 篇；培养研究生 3-5 名；培养技术骨干 6-8 名。

### **（三）基于生物合成与人工智能等技术的珍稀、濒危药**

## 用植物保护及可持续利用研究

### 研究内容：

围绕天山雪莲、新疆紫草等珍稀濒危药用植物的新来源与产业化需求，构建“合成生物学-人工智能解析-多组学机制-产业应用”的民族药研发创新体系。聚焦植物细胞同源生物合成技术研发，筛选具有特定代谢通路的底盘细胞，通过纳米颗粒多肽激酶诱导子作用，强化愈伤组织次级代谢水平，实现活性成分高效表达和精准合成。通过植物细胞反应器逐级放大串联系统，实现年生产吨级植物人工替代原料品。结合人工智能(AI)与多组学(Multi-omics)大数据分析技术，开展天然产物与合成产物的化学成分比对及药理活性预测，实现目标成分的定向优化与功能强化。加强种质资源保护与细胞工厂构建，建立珍稀药用植物细胞种质库，推进种质资源离体保存与智能化扩繁技术应用。围绕大品种产业化目标，开展创新药物、功能食品及民族特色日化产品开发，突破“资源保育-绿色合成-高值转化”全链条关键技术，形成标准化生产技术体系，推动新疆特有的珍稀药用植物资源的可持续利用与现代生物制造产业的升级。

### 关键指标：

- (1) 完成 1-2 种珍稀、濒危植物人工替代原料升级开发，确保与原植物特征性成分相似度达 95%以上；
- (2) 形成 2-3 套标准化生产技术规范；
- (3) 建立生产关键技术 8-10 项；
- (4) 建立 1-2 套人工替代原料品的制备技术标准；

- (5) 筛选 2-3 个珍稀、濒危植物潜在适应症；
- (6) 建立 1 个珍稀、濒危药材细胞库和基因库；
- (7) 开展 1-2 项动物学功能评价和人体试食评价、安全性评价；
- (8) 开发 3-5 个保健品，培育销售额超 5000 万的特色大健康品种 1-2 个；
- (9) 授权发明专利 2-3 件；发表高水平论文 6-8 篇；培养研究生 3-5 名；培养技术骨干 6-8 名。

#### **(四) 基于中亚特色药用植物资源挖掘及新药国际临床研究**

##### **研究内容：**

与“一带一路”沿线国家联合开展新药国际临床评价研究、国际标准合作研究和国际注册研究。筛选确定特色药材品种，构建特色药材“生态-遗传-成分-药效”数据库，联合申报药材标准、对照品和对照药材，逐步建立互认统一的药品标准体系；围绕“一带一路”重大高发疾病所需，精准对接中亚国家民生改善需求，联合中国制药企业，以快速满足“一带一路”国家重大高发疾病药物所需为目标，优选中药（民族药）经典方药、候选药物，按照我国和“一带一路”国家新药注册技术要求，开展新药临床前研究和多国家多中心临床试验研究，进行新药双边注册，取得一批新药注册批件，并在“一带一路”国家生产上市。

##### **关键指标：**

(1) 构建不少于 10 种中亚特色药材、不少于 3000 个成分的“生态-遗传-成分-药效”实物、图谱、特征成分数据库；

(2) 研究制定中亚国家认可的药材标准、对照品和对照药材 4-6 个；

(3) 获得 3-5 个新药海外临床研究批件，实现 1-2 个新药在中亚上市；

(4) 完成 2-3 个中国药品的中亚注册和上市；

(5) 搭建中国-中亚药物注册推广技术平台，形成国际药物注册联合团队。

#### **(五) 抗 D 人免疫球蛋白关键技术与临床转化**

##### **研究内容：**

开展规范化原料血浆筛选，运用免疫学等技术，明确免疫应答影响因素，建立标准化免疫程序与筛选质量标准，引入先进技术实现采集现代化管理；开展抗 D 人免疫球蛋白生产工艺研究。突破抗体提取等关键步骤，中试验证工艺可重复、可放大；开展抗 D 人免疫球蛋白质量控制与标准研究。针对原料、半成品、成品制定质量标准，建立数字化生产检验系统，构建全流程质量控制体系；开展临床研究。完成申报、伦理审查、受试者招募及数据分析，科学评估药物体内过程、安全性与有效性，为产品产业化与上市提供技术、质量及临床依据。

##### **关键指标：**

(1) 获得生物制品 3.2 类临床试验批准通知书 1 件；

(2) 获得抗 D 人免疫球蛋白效价检测国家标准品证书，并协助完成标准品的标定；

(3) 完成 5 种模式病毒的病毒去除/灭活有效性验证，获得权威机构出具的有效性评价报告；

(4) 完成 100 例以上 Rh(D)阴性供体红细胞基因筛查，建立红细胞抗原免疫技术平台，提交权威机构认定的红细胞免疫安全性评价报告 1 份；

(5) 构建不少于 2 个单采血浆站的血浆智能管理系统；

(6) 建立抗 D 人免疫球蛋白数字化生产、检验管理系统 1 套，形成完整的数字化生产、检验电子批记录；

(7) 提交权威机构认定的临床应用评价报告 3-5 份；

(8) 搭建特异性免疫球蛋白研发平台培育血液制品研发创新团队 1 个；

(9) 授权发明专利 1-2 件，发表高水平学术论文 2-3 篇；培养技术骨干 3-5 名。

## **(六) 特色孕马资源的高值化产品开发**

### **研究内容：**

开展已上市结合雌激素制剂新适应症的临床试验，获得结合雌激素制剂新适应症在中国人群安全有效性数据，研发化药 2.4 类含有已知活性成份的新适应症的药品；为提高用药安全性与有效性，开展结合雌激素与孕激素的复方制剂、结合雌激素与新型选择性激素受体调节剂的复方制剂关键技术及优效性临床研究，研发化药 2.3 类具有明显临床优势的新复方制剂。

### 关键指标：

(1) 完成结合雌激素乳膏增加适应症的有关药学、临床和循证医学有关研究,获得化药 2.4 类药品注册批件 1 件。

(2) 完成结合雌激素复方制剂研发,制定产品标准 1-2 个;完成研究者发起的真实世界临床研究(IIT),获得临床试验研究伦理审查批件和权威单位认可的临床研究报告 1 份。

(3) 授权国家发明专利 1-2 件。

(4) 开拓结合雌激素系列药品的国际和国内市场,项目执行期内累计实现药品产值 5000 万元以上。

(5) 随着药品生产规模扩大,带动农牧民增收,年均兑付孕马养殖户的孕马尿款 800 万元以上。