

附件 1

创新药物研发国家科技重大专项 2025 年度定向委托项目申报指南

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，以定向委托的方式启动 9 个研究方向。

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，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.实现功能治愈和完全治愈的新型抗乙肝药物研发

研究内容：开展靶向 HBV 的核酸药物、表观遗传调控药物、自体 T 细胞受体 TCR-T 细胞治疗产品、小分子免疫调节剂、治疗性抗体和治疗性疫苗等研发，通过诱导 HBsAg 水平显著降低、清除 cccDNA 和整合 HBV DNA 转录活性、恢复患者抗 HBV 免疫等策略实现慢性乙肝临床治愈率、阴转率的显著提升；最终实现乙肝患者功能性治愈和完全治愈。

考核指标：建立抑制 cccDNA 和整合 HBV DNA 转录活性药物发现关键技术 3-5 项，发现清除 cccDNA 和整合 HBV DNA 新机制 1-2 项；明确能清除 cccDNA 和整合 HBV DNA 的抗乙肝反义寡核苷酸、表观遗传调控药物等 2 个品种完成Ⅱ期临床研究，将慢性乙肝的临床治愈率由现在不到 20%提高到不低于 40%；治疗性抗体和治疗性疫苗至少 1 个获批临床。

立项方式：定向委托

有关说明：由厦门大学作为项目承担单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

2.高危病毒所致烈性传染病防治创新药物研发

研究内容：针对克里米亚-刚果出血热（CCHFV）、尼帕和亨尼帕、拉沙等高危病毒，美高致病禽流感（为可能引起 X 疾病的高危病原），建立更贴近人致病症状的模式动物和体外高通量筛选关键技术（具备四级、三级生物安全等级实验室资质），发现和验证高危病毒所致疾病的药物治疗性新靶标 1-2 个，研发防治

克里米亚-刚果出血热(CCHFV)、高致病禽流感或尼帕和亨尼帕、拉沙等高危病毒的创新药物。

考核指标：发现和确证抗高危病毒的药物新靶标 1-2 个；建立兼具治疗和长效预防作用的化生融合药物关键技术 2-3 项；针对 CCHFV、尼帕和亨尼帕、拉沙获得 3-5 个候选药物，其中 1 个抗 CCHFV 候选药物获批临床；针对高致病禽流感的化生融合防治药物 1 个获得临床批件。

立项方式：定向委托

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

3.空天作业能力保障创新药物研发

研究内容：针对空天作业人员执行长期在轨（>150 天）重大任务，造成由体液重分布致耳、眼功能损伤，听觉平衡觉紊乱等问题，研发创新防治药物。

考核指标：发现因重力因素导致体液重分布所致耳、眼功能损伤，听觉平衡觉紊乱的新机制 1-2 项；发现和确证太空环境因素致听力损伤药物防治新靶标 1-2 个；发展 3-5 个候选药物，其中 1-2 个创新品种获批临床。

立项方式：定向委托

有关说明：由中国航天员科研训练中心作为项目承担单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

4.核化损伤防治创新药物研发

研究内容：重点开展新型核辐射损伤防治创新药物的研发、用于大规模辐射造血损伤救治的创新品种的研发；重点开展经典神经化学损伤防治药物、呼吸系统化学损伤治疗药物、皮肤及软组织化学损伤防治药物等创新药物的攻关。

考核指标：发展核辐射损伤、化学毒剂损伤防治药物评价关键技术 3-5 项，2 个针对重度骨髓型急性放射病防护药物和急性放射病多组织器官损伤防护药物获批临床；2 个针对传统神经性化学毒物、皮肤化学损伤、刺激性化学毒物等的创新防治药物获批临床。

立项方式：定向委托

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

5.肿瘤领域原创靶标及创新药物发现

研究内容：聚焦中国人群高发难治性肿瘤，发现肿瘤原创靶标和原创候选药物。整合前沿新兴技术和临床样本资源，建立贴近临床、反映临床疾病特点的类器官/人源化小鼠模型等体内外抗肿瘤研究模型；利用基因编辑、化学遗传学等功能基因组学研究手段，开展肿瘤靶标筛选；整合多组学技术，构建疾病动态网络图谱，解析可干预关键环节，评估靶标临床转化潜力；建立涵盖在分子、细胞和/或菌群、器官及动物水平的多维度药物筛选和药

效评价关键技术，多途径开展先导分子发现和成药性研究。

考核指标：突破基于恶性肿瘤原创靶标的药物筛选和评价关键技术，发现我国高发难治肿瘤治疗的原创靶标 5-10 个，发现针对原创靶标的先导药物分子 10-15 个，完成 3-5 个候选药物的临床前研究，2-3 个候选药物获批临床。

立项方式：定向委托

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

6.新型佐剂与创新疫苗研发

研究内容：突破高效、低毒佐剂技术壁垒，支撑创新预防性疫苗、肿瘤治疗性疫苗等战略产品开发。开发全新机制或全新结构的免疫佐剂、纳米载体佐剂、可编程多肽佐剂等精准免疫激活佐剂，建立 AI 辅助佐剂-抗原适配性预测平台，构建佐剂配方库，突破佐剂原料规模化生产（脂质体、乳液等）及 GMP 工艺；新佐剂推动人用预防性疫苗和治疗性疫苗等创新疫苗研发。

考核指标：开发 3-5 种新型机制佐剂；完成 3 种新佐剂 GMP 量产，新佐剂支撑 2-3 个创新疫苗获批临床，1 款新佐剂疫苗获批上市。

立项方式：定向委托

有关说明：由成都威斯克生物医药有限公司作为项目承担单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 4:1。

7.多联多价等新型联合疫苗的研制

研究内容：针对百日咳、百白破、麻风腮、脊髓灰质炎、流行性脑脊髓膜炎、链球菌等，研发创新多联多价疫苗。建立联合疫苗中各组分的纯化工艺、脱毒工艺、制剂配方筛选关键技术，解决研制过程中有效抗原、佐剂及辅料之间的相互影响。建立联合疫苗中各组分定量方法和效力评价关键技术。重点突破以百白破为基础的五联及六联国际主流联合疫苗的研制，以及其他多联多价等新型联合疫苗的研制。

考核指标：突破联合疫苗纯化工艺、脱毒工艺、制剂配方配伍等工艺开发及质量控制关键技术、抗原相容性评价等关键技术 5 项以上；重点研制以组分百白破疫苗为基础的联合疫苗和其他多联多价新型疫苗，3-4 个获批临床，2 个完成Ⅱ期临床试验。

立项方式：定向委托

有关说明：由中国生物技术股份有限公司作为项目承担单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 3:1。

8.基于中医药知识库的大模型和创新中药的研发

研究内容：开发以人工智能为核心的新型高效中药新药研发关键技术和工具，系统收集不同中药功效领域的古籍、文献、专利及专家经验等信息，构建中医药知识库，研发中医药通用大语言模型，支撑基于知识推理的中药新药发现；围绕心脑血管疾病、恶性肿瘤、慢性呼吸疾病、糖尿病与代谢性疾病以及精神类疾病等中医优势病种，构建涵盖中药药效物质识别、中药药效物质结

构优化、中药药效物质作用靶标筛选以及中药药效物质协同预测等核心功能的算法库，针对不同疾病方向开展垂直小模型研究，推动数据驱动下的中药复方与中药新药全流程智能化研发；通过 1 个通用大模型，结合 N 个疾病特异小模型，兼顾“异病同治”与“同病异治”理念，探索发现具有多靶标、多通路作用机制的中药复方作用机制与中药候选药物。

考核指标：建立 1 套基于智能化分析的中药候选药物筛选与评估平台，形成创新药物的发现和优化流程；建立 1 个中医药通用大语言模型，以及围绕 1-2 个具有中医药治疗优势的疾病，构建一套算法预测模型；开发临床前动物模型选择及药效评价的智能决策模型；发现 2-3 个中药候选药物，揭示其靶标及作用机制，明确其生物学特性与临床潜力；研发 3-5 个毒性与药代动力学预测模型，提升毒性评估的精准性与药物安全性；开展 2-3 个创新中药单体、有效组分或复方的临床前研究，其中 1-2 个获批临床。

立项方式：定向委托

有关说明：该项目由现代中药创制全国重点实验室作为项目承担单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

9.基于“药靶同筛”的创新中药筛选和新药开发

研究内容：基于“药靶同筛”的中药研发新策略，建立基因编码天然多样性成分库和以 GPCR 为核心的全基因组泛受体靶标库；融合人工智能、多组学、化学分析技术构建成分库中化合物与靶标库中受体的动态作用调控网络和天然药物筛选技术平台；

基于中药有效成分和临床疗效进行靶标确证和疾病的发生发展机制，利用高通量筛选技术获取最具潜力的药物候选物；运用辅助药物设计技术和动态模拟分析技术，优化先导中药活性药物的选择性和药代动力学性质；基于配体-受体互作，明确中药成分的多靶标作用机制和阐明中药多组分协同作用的网络药理学机制；针对特定临床疾病，开发靶标明确、机制清晰的中药创新药物，实现从经验导向到机制导向的现代中药研发范式转变。

考核指标：完成亿量级基因编码天然成分库 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 1 个；从优势方药中挖掘潜在活性分子 10 个并确证其靶标；阐明 5 个化合物和中药复方多靶标作用机制；3 个创新中药品种获批临床。

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承担单位组织申报。配套经费与中央财政经费比例不低于 2:1。