

“重大新药创制”科技重大专项 “十二五”计划 2012 年新增课题申报指南

根据“重大新药创制”专项“十二五”实施计划的总体部署，2012 年将在对“十一五”计划第一批、第二批课题进行评估与验收的基础上，对“新药候选药物研究”、“新药临床前研究”、“综合性新药研究开发技术大平台建设”、“单元技术平台建设”及“关键技术研究”五类任务完成优秀的部分课题给予滚动支持，同时新增部分课题。

现发布“重大新药创制”科技重大专项“十二五”计划 2012 年新增课题申报指南。采取“自由申请、专家评审、择优支持”的方式组织实施，实施期限为 2012-2015 年。

一、“十二五”计划 2012 年课题申报范围及研究内容

项目一 创新药物研究开发

(一) 概述

重点针对恶性肿瘤、心脑血管疾病、神经退行性疾病、糖尿病、精神性疾病、自身免疫性疾病、耐药性病原菌感染、肺结核、病毒感染性疾病，以及其他严重危害人民健康的多发病和常见病等 10 类（种）重大疾病，紧密围绕临床用药需求，开展“候选新药研究”和“新药 IV 期临床研究”两类研究课题，新药类别包括化学药、中药和生物药，鼓励开展药物新剂型和新释药系统的创新研究。

（二）项目内容

1. **新药候选药物研究。**新药候选药物研究应当结合国际新药研发前沿和发展动态，更加突出药物的创新性、优效性和安全性，以及新策略、新技术和新方法的应用，注重知识产权保护。

研究目标：产生一批具有自主知识产权、进入临床前研究阶段的创新品种。

研究内容：开展新药候选药物的主要药效学初步研究，完成初步制备工艺及质控方法、早期药代动力学和安全性评价，以及初步作用机理研究；积极开展可作为临床前药效和替代临床疗效评价指标、以及可用于个体化治疗的生物标志物及诊断试剂盒的研究。

（1）化学药。支持采用新策略、新机理、新技术发现的具有新机制、新结构的创新药物研发。重点支持通过新靶点或多靶点、分子靶向或信号网络机制产生药效的新化学实体。申报品种必须是1类新药，优先支持1.1类新药。鼓励孤儿药和具有突出临床价值或明显协同作用的固定剂量比例的复方新药研究。

（2）中药。支持具有较好研究基础的中药有效组分和有效成分新药的成药性研究，重点支持组方合理、治疗病症明确、药效确切、具有明显的特色和优势、主要活性物质相对清楚、具有较大市场前景的创新复方中药的成药性研究。

(3) 生物药。支持新物质结构、新载体、新靶点、新机制、以及运用新技术开展的创新型生物技术药物的研究，重点支持人源或人源化治疗性单克隆抗体药物、新型基因工程重组蛋白质及多肽药物、基因治疗药物、核酸类药物、新型疫苗、以及传统疫苗更新换代新品种等候选新药的研究。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为 100-150 万元。

有关要求：

(1) 申报品种须具有创新性，已申报发明专利或具有可实现专利保护的自主知识产权；

(2) 生物活性明确，初步药效学和毒理学研究结果显示具有明显特点和优势。

2. 新药 IV 期临床研究

新药 IV 期临床研究重点支持我国自主研制、具有自主知识产权、防治重大疾病的创新品种，按照国际标准和规范要求，开展多中心、大规模临床研究，为进一步阐明大量人群长期用药的安全性及优化临床合理用药方案提供依据，促进国产品牌药物的培育。

研究目标：遴选防治重大疾病的优秀创新品种，按照国际标准和规范要求，完成 2000 例以上的 IV 期临床研究，为进一步阐明大规模长期用药的安全性及优化临床合理用药方案提供依据，促进国产品牌药物的培育。

研究内容：按照国际新药 IV 期临床研究的标准、规范和要求，进行规范的临床研究方案设计，并严格按照国际新药临床评价研究（GCP）规范要求执行，系统评价广泛使用条件下药物的疗效及安全性，在长时间、大规模人群使用中发现其疗效特点和适宜人群，同时进一步考察其在普遍或特殊人群中的安全性及其不良反应发生的相关因素和风险防范措施。高度重视转化医学研究成果的应用，鼓励将疾病生物标志物作为替代临床疗效评价指标进行研究。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为 300-500 万元，地方投入经费与中央财政经费的比例不低于 1:1，承担单位投入经费与中央财政经费的比例不低于 3.5:1。

注：由企业牵头申报，鼓励 GCP 机构及相关实验室联合申报。

项目二 药物大品种技术改造

（一）概述

为满足我国重大疾病防治和医药产业发展的需要，选择疗效好、需求量大、市场占有率高或增长潜力大、附加值高的药物大品种，通过技术创新和技术升级等研究，提升药物大品种的质量，为保障人民健康和战略性新兴产业发展作出贡献。本批安排“大品种药物的技术升级”和“专利到期药物大品种技术再创新”（包括化学药、中药及生物药物）两个专题。

（二）项目内容

1. 大品种药物技术升级

研究目标：完成一批重要药物大品种的技术改造，进一步提高药品质量、疗效和安全性，降低能源消耗、废物排放及生产成本，做到环境友好生产，为重大疾病防治提供质优、价廉的大品种药物，并通过国家食品药品监督管理局相关审批，形成具有产业规模和国际竞争力的大品种。

研究内容：重点针对前述 10 类（种）重大疾病，选择市场需求量大、技术改造需求迫切的化学药、生物技术药物和经典中成药等大品种，通过加强技术研究开发、设备改造、生产工艺优化、生产管理科学化、吸纳国际先进技术等措施，提高药品质量与标准，切实保证药物疗效和安全性，降低生产成本。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为 100-400 万元，地方投入经费与中央财政经费比例不低于 1:1，承担单位投入经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

有关要求：

(1) 由企业牵头申报，支持使用量大、具有明显创新性、成本明显降低的技术改造研究。优先支持由大型、骨干医药企业申报的课题；优先支持具有自主知识产权、国际影响力较大、在国际市场占有一定份额的品种；

(2) 中成药必须疗效确切、市场需求量大、应用历史长。

2. 专利到期药物大品种技术再创新

研究目标：研制一批专利到期、临床需求重大、国内暂无

产业化的药物大品种。经过技术创新，达到原研药的标准，并获得新药证书，实现产业化。

研究内容：通过引进消化吸收与再创新，进行生产工艺、质量标准、疗效和安全性的系统研究，按照有关国际标准规范和质量等要求，进行研制并实现产业化。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为 200-600 万元，地方投入经费与中央财政经费比例不低于 1:1，承担单位投入经费与中央财政经费比例不低于 2:1。

有关要求：

(1) 所申报的专利到期药应当是国内防治重大疾病需求量大、国际市场年销售额大的药物大品种；

(2) 由企业牵头申报，优先支持获得国际认证、有国际化基础的企业。

项目三 创新药物研究开发技术平台建设

(一) 概述

在“十一五”计划建设的基础上，“十二五”计划将进一步突出技术平台的两大特征：一是拥有技术先进性；二是要为本专项及国家药物研发提供有效技术服务。“十一五”期间已立项各类技术平台将在任务验收的基础上择优滚动支持。2012 年只新增 GCP 技术平台。

(二) 项目内容

新药临床评价研究（GCP）技术平台

建设目标：针对防治 10 类（种）重大疾病新药临床研究的需求，建设一批符合国际标准、与国际接轨的 GCP 技术平台，实现多国、多边互认；优先为专项支持的新药研发提供服务。

建设内容：完善创新药物 I-IV 各期临床试验实施 GCP 规范，探索开展 0 期临床研究、药物警戒学等研究；建立符合国际规范要求的电子临床试验数据管理、临床试验设计、评价技术体系、数据管理、统计分析平台和随访系统；强化临床评价技术体系建设及转化医学研究，深入开展受试者基因型、临床试验替代性终点指标（包括生物标志物）检测方法及相关试剂盒的研究；建立国际公认的人体生物医学伦理规范；建立和完善实施创新药物临床评价的实验室，达到国际实验室质量管理标准；建立适应于中药疗效特点的临床评价技术体系；建立优先为专项支持的新药研发提供技术服务的机制及相关保障措施；加强人才培养和培训，使 GCP 机构主任和各级专业人员达到国际认证资质要求。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为 1000-1500 万元，地方投入经费与中央财政经费比例不低于 0.5: 1，承担单位投入经费与中央财政经费比例不低于 0.25: 1。

有关要求：

（1）申请课题单位具备由国家食品药品监督管理局认定的相关疾病药物临床试验资质，并具有良好的运行机制和很强的综合服务能力；

(2) 近 5 年内，作为主持单位开展过多项新药各期临床研究；

(3) “十一五”计划立项的 GCP 技术平台将在验收基础上择优滚动支持，不再本次申报范围内。“十二五”计划期间，同一医疗机构只能牵头承担一个 GCP 技术平台，可以包括不同的专业领域。

项目四 企业创新药物孵化基地

(一) 概述

支持创新成果显著的中小型生物医药企业成长，重点支持优秀留学生（团队）回国创建的创新型企业，使其成为我国新药创制中最具活力的重要力量之一。

(二) 项目内容

建设目标: 通过重点支持专注于创新药物研发的创新型医药企业和留学生（团队）创建的创新型企业，聚集优秀创新创业人才，形成一批创新目标明确、技术特色鲜明、创新药物研发成果显著、市场适应能力较强、发展前景良好的成长型企业，使之成为我国药物自主创新的一支重要力量。

建设内容: 建立以企业投入为主、杰出人才领军、技术与产品特色鲜明、研发能力强、研究方向明确的专业化新药研发队伍，逐步建成装备先进、技术完善、功能配套及人才聚集的中小型企业创新药物孵化基地，研究开发具有自主知识产权的创新药物，发展药物研究核心技术，推进创新药物成果转化和

产业化。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为600-1200万元，地方投入经费与中央财政经费比例不低于2:1，承担单位投入经费与中央财政经费比例不低于4:1。

有关要求：

(1) 申报单位必须为独立法人单位，具有合理的注册资金，具有固定设施和稳定研究团队，创新目标明确、思路活跃、特色鲜明、创新能力突出的创新型医药企业；

(2) 申报单位应拥有自主研发新药的专利和成功研发创新药物的经验，正在从事不少于3-5种具有自主知识产权的创新药物研发，其中至少1种已完成新药全部临床前研究，正在申报或已获得临床研究批件；

(3) 已获得本专项资助的品种和研究内容，不得重复申报；

(4) 优先支持拥有“千人计划”引进人才、已开展新药国际临床试验或与实力较强的海外团队建立稳定的合作关系、知识产权明晰的优秀创新团队。

项目五 新药研究开发关键技术研究

(一) 概述

紧密结合创新药物品种研发需求，瞄准我国创新药物研发的技术瓶颈，凝练目标，突出重点，突破和掌握一批新型核心关键技术，支撑和引领我国创新药物的研发与产业化。

(二) 项目内容

1. 有关要求

(1) 紧密结合创新药物品种研发，针对重大技术瓶颈，采用多学科的新理论、新策略和新技术，产生创新药物品种、软件、动物模型、试剂盒等实质性成果；相关技术达到国际先进水平，并申报发明专利，获得自主知识产权；技术标准达到国际同类技术标准的要求；

(2) 优先支持企业为主体，由多学科组成的产学研结合的联合研究。在遵循知识产权规则和保护合作各方合理权益的前提下，鼓励开展多种形式的国际合作研究；

(3) 申报单位应当具备以下基本条件：一是具有从事课题相关研究的良好基础，研究水平处于国内同类研究的领先地位；二是拥有先进的仪器设备和技术设施条件，课题研究所需样品、材料等相关资源，或具有获得相关资源的能力和可靠途径；三是近5年在本研究领域SCI收录的专业学术刊物上发表了一定数量高质量研究论文或拥有相关技术的发明专利；四是国际合作项目应当有专利许可的协议。

3. 项目内容

(1) 早期成药性评价关键技术

研究目标：针对多因素复杂疾病如肿瘤、心脑血管病、神经退行性疾病等防治药物的研发需求，研究并建立更灵敏、更

可靠、更快捷的早期成药性评价的新技术和新模型，评价一批创新药物品种。

研究内容：运用基因组等“组学”、生物芯片、生物信息学等多学科新技术和新模型，重点进行创新药物早期药效、药代动力学等早期成药性评价和预测新技术、新方法研究，建立快速、灵敏、准确的新评价体系；关注药物配对基因与生物标志物等研究，建立与临床疗效相关性更好、更有利于揭示多靶点药物和复方新药成药性评价的新技术和新方法。

（2）糖类药物制备及质量控制关键技术

研究目标：重点突破多糖、寡糖及其修饰物等糖类药物制备及多糖药物质量控制等关键技术，产生一批有良好发展前景的糖类药物。

研究内容：结合结构均一多糖类药物分离、分析、制备、质量控制，以及糖类药物合成（包括化学合成和生物合成）、规模化制备及质量控制等问题，结合重点产品研发开展新策略、新技术研究。

（3）网络药理学及相关软件技术研究关键技术

研究目标：研究建立网络药理学研究的技术与方法，并研制相关软件；完成1-2个重大疾病网络及药物作用靶点网络的构建，并结合药物作用靶点、药效及作用机理等研究进行初步验证；提出1-2个基于网络药理学的候选药物。

研究内容：运用生物网络、疾病-基因或蛋白网络以及药

物-靶点网络等研究的最新成果，重点开展网络药理学新技术新方法的研究，建立新药发现、药效评价及作用机理研究的新体系，并研制相关分析软件。通过分析靶点及其组合在网络中的作用和地位以及对网络平衡的影响等，为新药研发提供基于生物网络平衡的新靶标；运用团聚和子群分析等网络分析技术，寻找和发现基于生物网络平衡、通过干扰组合靶标或多靶标、具有多向药理学效应的候选新药。

(4) G 蛋白偶联受体靶向药物关键技术

研究目标：建立 G 蛋白偶联受体（GPCR）靶向新药设计、筛选、评价及作用机理研究的新技术和新方法，建立 40 种以上 GPCR 功能研究的新细胞系及 20 种以上筛选和评价的新模型，并获得一批创新候选药物。

研究内容：针对不同亚型 GPCR 的特定立体结构和活性构象，重点开展新型靶向 GPCR 新化合物设计、合成、结构优化及筛选等新技术、新方法研究；建立稳定表达多种 GPCR、具有不同种类 G 蛋白及信号转导通路等新细胞体系；针对不同 GPCR，建立结构与功能、以及 GPCR 内吞和脱敏、偶联和脱偶联等分子机制研究的新技术和新方法；采用替代放射性同位素标记等新技术，开展靶向新药对多种 GPCR 的亲合力和选择性研究；针对不同受体信号转导通路，建立新型 GPCR 靶向药物筛选和评价的新模型。对本专项一些重要项目提供评估。

(5) 毒性生物标志物与人源化动物模型关键技术研究

研究目标: 建立发现和确证潜在毒性生物标志物的新技术和新方法, 确立一批临床前评价药物对重要靶器官毒性的候选生物标志物; 培育一批预测与评价药物毒性和代谢相关的人源化小鼠。

研究内容: 运用毒理基因组等“组学”、分子成像、基因芯片等新技术, 重点开展评价药物对肝、肾、心、免疫系统等重要靶器官毒性的生物标志物研究, 并通过确证研究及临床前与临床毒性评价的桥接等研究, 确立一批临床相关性好、可预测药物对人体毒性的新生物标志物, 建立 In silicon 等药物毒性快速筛选和评价的新技术, 以及斑马鱼、细胞、线粒体等新模型; 针对药物遗传与生殖毒性、免疫毒性、重要靶器官毒性评价以及安全药理、代谢相关等研究的需要, 开展具有良好预测作用人源化小鼠模型的研究。对专项提供有效技术服务。

注: 由通过国家食品药品监督管理局认证的药物安全性评价 (GLP) 实验室牵头、整合相关学科优势团队联合申报。

(6) 个体化用药相关重要生物标志物及其新型检测试剂盒研发关键技术

研究目标: 研究建立以基因、生物标志物等为导向的个体化用药研究与分析新技术, 产生一批相关检测试剂盒等新产品。

研究内容: 运用药物基因组学、全基因组关联分析等研究的新成果和新技术, 重点开展药物代谢酶、转运体、作用靶点

等基因多态性与药效、药物代谢及不良反应等相关性研究，确定一批与药物疗效密切相关的重要基因和生物标志物；建立灵敏、准确、以基因和生物标志物为导向的个体化用药配套分析技术，结合相关检测试剂盒等新产品开展研发工作。

项目六 国际合作项目

有关要求：

1. 国际合作项目应当体现平等互利的原则，合作双方依据中国知识产权相关的法律法规，签署知识产权保护与分享的协议，明确双方法律责任与义务，确保合作方所在国及人民的利益。

2. 支持国内相关机构联合国外大学与研究机构、跨国制药公司在华研发机构等联合申报。

研究目标：通过国际合作研究，产生若干进入临床研究和取得新药证书的创新品种。

研究内容：重点支持严重危害人民健康重大疾病（如结核病、肿瘤、代谢性疾病、神经精神疾病以及罕见病等）防治急需药物（包括化学药和生物药）的临床前和临床研究。

课题经费：每个课题中央财政经费资助范围为 300-500 万元，承担单位投入经费与中央财政经费比例不低于 1:1，外方合作单位应有明确的技术或不低于 1: 1 比例的经费投入。

研究期限：从立项开始，为期 3 年。

二、申报单位的基本条件和要求

（一）课题必须由法人（单位）提出申请，法人（单位）是课题的责任主体，且必须由一名自然人担任课题负责人。课题可由一个单位单独申报，亦可多个单位联合申报。鼓励企业与科研院所、高等院校以产学研联盟的方式联合申报。联合申报各方须签订共同申报协议，明确约定各自所承担的工作、责任和经费。

（二）申报单位应当为在中华人民共和国境内登记注册1年以上、过去5年内在申请和承担国家科技计划项目中无不良信用记录的企事业单位。

（三）国内课题申报单位可以与境外（包括港澳台地区）研究机构联合申请。但境外研究机构所需研究经费须自行解决，并应当有明确的知识产权归属协议。

（四）申报单位须拥有结构合理、具有专业资质的科技人员团队和良好的相关工作基础。

（五）申报单位须承诺为课题研究提供必要的支撑条件，并能够按照课题要求投入资金，同时出具投入资金的证明和承诺书。

（六）已在本专项“十一五”计划支持的候选药物不得作为本次候选药物重复申报。“十二五”计划中立项支持的研究内容不得重复申报。

（七）其他申报条件详见各类课题申报要求。

三、课题负责人的基本条件和要求

（一）课题负责人应当符合以下基本条件

1. 具有中华人民共和国国籍；
2. 为申报单位在职人员，年龄原则上在 57 周岁（含）以下；
3. 具有副高级以上专业技术职务，或已获得博士学位 2 年以上并有固定单位（不包括在站博士后）；
4. 在课题执行期间，每年（含跨年度连续）累计离职或出国时间不超过 6 个月；用于所申请课题的研究时间不少于本人工作时间的 50%；
5. 过去 5 年内在申请和承担国家科技计划项目中无不良信用记录。

（二）具备以下条件的港澳台和海外华人科技人员（包括取得外国国籍和永久居留权的）可作为课题负责人：满足上述课题负责人基本条件中 2-5 项条件；有正式的合作协议或受聘于课题责任单位，合作期或聘任期覆盖课题的执行期，且每年在课题责任单位工作时间不少于 6 个月；必须由课题责任单位出具相关证明材料。

（三）在“十二五”计划中，每人最多可参与两项本专项课题，且只能作为课题负责人承担一项本专项课题。作为本专项“十一五”计划第一批、第二批课题的课题负责人，且申请延期验收者，不得牵头申报本批课题。本专项“十一五”计划第三批在研课题负责人不得牵头申报本批课题。

(四) 申请者应当遵守科学道德, 实事求是地填写课题申报书, 保证课题申报书的真实性, 不得弄虚作假。不得将研究内容相同或者近似的课题进行重复申请。专项实行信用记录制度, 对故意提供虚假资料者, 一经查实, 记入信用档案, 并在3年内取消个人申报专项课题资格, 并根据实际情况, 对申报单位给予相应处理。

四、课题申报书撰写要求

(一) 课题申报资料构成

1. 国家科技重大专项项目(课题)可行性研究报告(申报书)(格式见附件1)。

2. 附件: 申请单位营业执照或法人代码证复印件。附件与课题申报书合订成册。

3. 课题申报书基本情况简表电子版(格式见附件2)。

(二) 相关要求

1. 课题申报要求采用统一申报软件填报。各申报单位应当通过国家科技重大专项门户网站(<http://www.nmp.gov.cn>)下载区中下载课题申报软件, 下载系统登录用户名: admin, 密码: zdzx2010_kybg。软件咨询服务电话: 010-68526556, 咨询服务邮箱: zdzx@most.cn。

申报软件的原始登陆用户名和密码与下载系统的登陆用户名和密码相同, 软件登录后可自行修改密码。

2. 课题申报书以中文编写, 要求语言精炼, 数据真实可靠。

课题申报书及有关资料应有法定代表人（或委托授权人）签字并加盖公章。

3. 课题申报书中的课题预算和筹资方案应当结合研究任务的实际需要编制，坚持目标相关性、政策相符性和经济合理性原则，经费申请额应当在指南控制范围内，并应当按照指南要求投入相应的经费。课题申请单位财务部门会同申请负责人依据《民口科技重大专项资金管理暂行办法》共同编制经费预算，并对预算编制的真实性负责。申请单位上级或业务主管部门能承诺投入经费的请在相应表格中签署意见并加盖公章。

4. 课题申报资料填报结束后应当通过申报软件用 A4 纸打印，左侧平装成册，同时通过申报软件以光盘形式导出电子版（.KAS 格式）。

5. 如邮寄课题申报资料，请将全部申报材料完好包装，并在外包装上注明申报专题编号（申报专题编号表见课题申报书中第 3 页的附表）、申请课题名称（创新药物研究开发项目需注明新药分类）、申请单位名称、地址、邮政编码、申请人、联系人、联系电话等信息。

6. 课题申报材料原则上不定密级，确属保密课题须按照有关规定办理并提交相应的证明材料，派专人送达。课题部分内容须保密的，如新化合物等，须将该部分内容用专用信封封存标注后，由专人送达。

五、申报受理

(一) 课题申报受理采取开放式, 随时受理申请。2011年两个受理时间节点分别为: 2011年7月8日17:00和2011年10月31日17:00。只接收在申报截止日期前由申报人或委托代理人面交或邮寄的申报材料。邮寄时间以到达北京的邮戳为准。专项实施管理办公室对申报材料在邮寄过程中出现的遗失或损坏不负责任。

(二) 请将课题申报材料一式10份(含2份原件)及电子版(光盘)寄/送至本专项实施管理办公室(地址: 北京市海淀区西四环中路16号4号楼, 100039)。

(三) 联系人及电话:

综合: 华玉涛 010-88225138; 孙伟新 010-88225195;

陆峰 010-88225195; 肖诗鹰 010-88225126;

贺晓慧 010-68792588。

创新药物研究开发: 赵阳 010-88225129;
肖诗鹰 010-88225126。

药物大品种技术改造: 许扬 010-88225129;
程翔林 010-88225189。

创新药物研究开发技术平台建设: 张靖 010-88225160;
范玲 010-88225158。

企业创新药物孵化基地: 王凌 010-88225195;
敖翼 010-88225127。

新药研究开发关键技术研究: 文思远 010-88225160;

郑玉果 010-88225196。

- 附件: 1. 国家科技重大专项课题可行性研究报告(申报书)
2. 课题申报书基本情况简表(1-3)