

2019 年度广东省重点领域研发计划 “新药创制”重点专项申报指南

为全面贯彻落实《“十三五”国家战略性新兴产业发展规划》《“十三五”生物产业发展规划》将生物医药作为重点发展领域的战略规划，鼓励创新药物研发，促进广东省医药产业结构升级、规模增长，完善全省医药科技创新体系，启动实施广东省重点领域研发计划“新药创制”重点专项。

本专项以科技成果转化和产业发展为导向，针对广东省新药创制亟需突破的关键技术，围绕严重危害我省人民健康的重大疾病，重点支持新药创制核心技术研发及应用、新药评价的关键技术及体系建设、仿制药一致性评价的关键技术及体系建设、开放项目等研究专题。通过本专项实施，突破一批新药创制相关的关键技术，研制具有自主知识产权的新药和市场竞争能力强的仿制药，完善我省新药创制体系，提升自主创新能力，加速我省由医药大省向医药强省转变。

专题一：新药创制核心技术研发及应用

本专项专题一主要支持技术就绪度 4-6 级的项目，项目完成时技术就绪度一般应达到 7-9 级。

项目 1：小分子创新药物研发

（一） 研究内容。

针对广东省高发重大疾病，研制拥有自主知识产权、临床价值大、市场前景好的小分子创新药物，通过开展Ⅱ/Ⅲ期临床研究，对药物临床疗效、安全性、治疗方案合理性进行全方面考察，对药物机制进行验证；重点围绕代谢性疾病、肿瘤、心脑血管疾病、呼吸系统疾病、神经退行性疾病、变态反应性疾病、器官纤维化、病毒感染等重大疾病的新机制，以分子靶向、表观遗传及免疫相关治疗的新靶标进行创新药物开发，突破相关新靶标研究的技术瓶颈，合理运用多靶点药物设计等新策略加速推动相关药物研究；重点突破新药设计与发现研究的前沿关键技术，鼓励运用蛋白动态、DNA 编码化合物库、蛋白降解靶向联合体、基因转录模拟及小分子辅助受体靶向等新技术，设计、合成和筛选出一批具有全新骨架的先导化合物；立足我省长远发展需求，积极转化和应用国内外相关基础研究的最新成果，基于新靶标、新作用机制开展相关创新品种研发；以进入Ⅱ/Ⅲ期临床的药物为引领，同时建立药物研发的新技术体系，加速发现新候选药物，实现新药研发的持续发展。

（二） 考核指标。

项目执行期内获得至少 1 个 1 类创新化药的新药证书或上市许可；在小分子创新药物研发领域突破关键技术 10 项以上，获得 5 个以上临床前候选化合物，申请化合物核心发明专利 10 项以上。

（三） 申报要求。

企业牵头申报,申报品种须进入Ⅱ/Ⅲ期临床研究阶段,1类创新化药品种与国际标准治疗药物相比具有显著临床优势的(须提供可靠的临床研究数据或相关证明)优先支持。项目申报须覆盖全部考核指标,鼓励产学研联合申报。

(四) 支持方式及强度。

本项目执行期3年。拟支持3项,每项支持800万元。

项目2: 生物技术药物研发

(一) 研究内容。

针对广东省高发的恶性肿瘤、心脑血管疾病、不孕不育症、自身免疫性疾病等重大疾病,重点支持进入Ⅱ/Ⅲ期临床研究阶段具有国内外自主知识产权、临床价值大、市场前景好的生物创新药、生物类似药及其相关关键技术研究;鼓励开展新型治疗性抗体药物、新型基因工程重组蛋白及多肽药物、新型疫苗、核酸类药物等生物技术药物的研发和临床研究;突破抗体药物的新靶点筛选、蛋白修饰及抗体偶联、重组蛋白高效表达、大规模无血清高密度细胞培养和纯化等前沿关键技术;加强生物技术药物研发及产业化技术体系建设,增强我省生物技术药物领域的自主研发能力和产业竞争力。

(二) 考核指标。

项目执行期内获得生物药新药证书或上市许可,或者至少1个生物类似药上市许可;在生物技术药物研发领域突破关键技术10项以上,获得5个以上临床前候选生物药品种,申请生物药核心

发明专利 10 项以上。

（三） 申报要求。

企业牵头申报，申报品种须进入Ⅱ/Ⅲ期临床研究阶段，生物创新药品种与国际标准治疗药物相比具有显著临床优势或生物类似药在质量、安全性和有效性方面与参比制剂具有相似性的（须提供可靠的临床研究数据或相关证明）优先支持。项目申报须覆盖全部考核指标，鼓励产学研联合申报。

（四） 支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 3 项，每项支持 800 万元。

项目 3：中药及天然药物新药研发

（一） 研究内容。

针对广东省高发的恶性肿瘤、心脑血管等重大疾病及疑难杂症，研制具有自主知识产权、临床价值大、市场前景较好的中药及天然药物新药；突破能同时实现中药脂溶性和水溶性有效物质提取的前沿关键技术，开展复杂成分的多靶点治疗作用研究，加速多组分或复方中药的研究开发；突破中药有效成分定向提取分离及其作用的新靶点研究关键技术，推动中药及天然药物新药研究开发；鼓励开展难溶性有效成分的纳米等新型制剂的研发，以提高药物的溶解性及生物利用度；开展高效节能、低温、绿色技术的研究开发，解决现有技术存在的能耗高、污染大、药材利用率低等问题；加强中药及天然药物新药研发及产业化技术体系建设，增强我省在中药及天然药物新药研究领域的产业竞争力。

（二） 考核指标。

项目执行期内获得中药及天然药物新药证书或上市许可;在中药及天然药物新药研发领域突破关键技术 10 项以上,申请核心技术发明专利 10 项以上。

（三） 申报要求。

企业牵头申报,申报品种须已进入临床研究。项目申报须覆盖全部考核指标,鼓励产学研联合申报。

（四） 支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 3 项, 每项支持 500 万元。

项目 4：新药创制的核心技术

（一） 研究内容。

主要支持小分子药物、生物技术药及创新中药的创新性应用基础研究; 重点支持能够获得自主知识产权的生物活性物质的合成、分离、鉴定、药理机制、药代动力学、毒理学、质量标准、药物制剂及相关科研新试剂研究; 支持药物早期临床试验领域相关研究; 鼓励新技术和新方法在新药创制及医药工业中的应用研究。

1.创新药物新靶点、新机制、新合成方法及新适应症研究;

2.运用“基因组学”、“蛋白质组学”、“表观遗传组学”、“生物信息学”及“基因与环境交互作用”等在药学相关领域的基础研究成果, 揭示复杂疾病调控网络的核心机制, 发现和确证新靶点, 并据此开展创新药物研发;

3.结构生物学及药物设计新方法、新策略的应用研究；

4.药物原辅料、新试剂及医药中间体，鼓励发展高效、实用的绿色合成催化技术，特别是新型药用手性化合物试剂的关键技术研究；

5.药物新工艺、筛选技术、成药性评价、质量标准及安全性评价的关键技术和应用研究；

6.研究具有自主知识产权的药物创新制剂关键技术，非注射给药途径的生物大分子药物递送技术，以及新型药物制剂产业化核心关键技术。

（二） 考核指标。

项目执行期内不少于 2 个基于创新结构或新作用机制的新药候选药物获临床批件；在新药研发领域获得不少于 5 项可推广的新方法、新试剂、新技术，申请发明专利 10 项以上。

（三） 申报要求。

项目申报须覆盖全部考核指标，鼓励产学研联合申报。项目承担单位须具备推动研究成果转化应用的基础（须提供相关证明材料）。已获得国家科技重大专项和重点研发计划资助的研究内容不得重复申报。

（四） 支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 10 项，每项支持 200 万元。

专题二：新药评价的关键技术及体系建设

本专题主要支持技术就绪度 3-6 级的项目，项目完成时技术就

绪度一般应达到 6-9 级。

项目 1：药物早期毒性评价的关键技术研发

（一） 研究内容。

针对小分子药物、生物技术药物、现代中药、纳米药物等创新药物及现有品种药物的新剂型，建立精准的药物早期毒性评价关键技术、评价方法和预警指标。采用高内涵活细胞成像、二代测序、代谢组学、人工智能和大数据等技术，以细胞功能学指标和细胞微环境指标为指征，建立 3D 细胞培养、类器官培养、器官芯片等新型早期人源化毒性评价模型；开展药物对肝、肾、心、生殖器官等重要靶器官的早期毒性影响研究；依托人源化动物模型、基因敲除小鼠等病理模型，建立更接近于临床的早期毒性评价模型和技术体系；通过对外泌体、LncRNA、miRNA 的研究，寻找靶器官毒性标志物，实现药物毒性的早期检测和预警。

（二） 考核指标。

项目执行期内针对创新药物、现有品种的新剂型，建立药物毒性快速、灵敏的早期评价新技术；建立至少 3 项主要毒性靶器官毒性早期评价技术，确定早期、敏感的评价指标和毒性预警指标，并建立评价技术体系；依托疾病病理模型，建立至少 2 项新型人源化动物毒性评价模型；申请核心技术发明专利 3 项以上；承担相关技术服务 10 项以上。

（三） 申报要求。

项目申报须覆盖全部考核指标，鼓励产学研联合申报。在药

物早期毒性研究方面承担过国家级重大或重点项目（课题）或具有国家级药物研发平台的优先支持，项目承担单位须具备推动研究成果转化应用的基础（须提供相关证明材料）。已获得国家科技重大专项和重点研发计划资助的研究内容不得重复申报。

（四） 支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 2 项，每项支持 500 万元。

项目 2：靶标建立及新药成药性评价的关键技术研发

（一） 研究内容。

重点支持 2 个方向的一体化建设：**一是**重大疾病新靶标体系建设及关键技术研究。以广东省高发重大疾病的靶标体系建设为基础，研究重大疾病创新性靶标建立的关键技术。利用通用性的基因及蛋白芯片，获取化合物介导基因差异表达的相关信息，采用生物信息学手段分析、归纳与靶标蛋白编码基因及信号通路相关基因，发现与重大疾病相关的系列生物分子，并以此基础制备化合物筛查芯片，建立靶标筛选体系，确定靶标技术参数。**二是**新药成药性评价的关键技术突破。在化合物活性筛选的基础上，重点进行化合物成药性评价关键技术研究及体系建设，开展活性化合物的靶标选择性研究、类药性评估、物化及理化特性分析、药代动力学特性及安全性评价等多个方面的系统研究，实现对活性化合物的早期评估，快速确定候选化合物作为新药的研发前景。

（二） 考核指标。

项目执行期内建立 5~10 个重大疾病相关新靶标的评价和筛

选体系，突破靶标建立及成药性相关核心技术 5 项以上，建立包括靶标选择性、类药性、物化及理化特性、初步药代动力学特性及安全性测试的系统成药性评价体系，获得至少 10 个成药性良好的候选化合物，其中至少 2 个候选化合物获批新药临床试验批文或进入临床研究。

（三） 申报要求。

项目申报须覆盖全部考核指标，鼓励产学研联合申报。具有多样性化合物库建设基础且库容不低于 5000 个化合物或具有国家级药物研发平台的优先支持，项目承担单位须具备推动研究成果转化应用的基础（须提供相关证明材料）。已获得国家科技重大专项和重点研发计划资助的研究内容不得重复申报。

（四） 支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 2 项，每项支持 500 万元。

专题三：仿制药一致性评价的关键技术及体系建设

本专题主要支持技术就绪度 3-6 级的项目，项目完成时技术就绪度一般应达到 6-9 级。

（一） 研究内容。

突破仿制药原料药合成、制剂处方工艺、工业化生产及其相应的质量控制研究核心技术，建立及验证关键项目的分析方法，构建完善的仿制药与原研产品的体内生物等效性试验对比研究体系；针对制剂处方前研究，加强仿制药原料药、制剂与相应参比制剂的杂质谱对比分析、原料药精制处理及内控标准的建立；围

绕制剂处方工艺开发研究，重点突破实验室小试、中试及大生产处方工艺研究和验证的关键技术；构建完整的固体制剂、注射剂等多种制剂的一致性评价体系，突破人体生物等效性试验研究中样品处理、方法学验证的关键技术壁垒，快速强化广东省仿制药一致性评价体系建设。

（二）考核指标。

项目执行期内不少于 1 个仿制药品种通过一致性评价，突破药物一致性评价相关核心技术 10 项以上。

（三）申报要求。

企业牵头申报，申报企业已申请仿制药一致性评价品种须超过 3 个（须提供相关证明材料）。仿制品种为全球年销售额超过 10 亿美元的原研药优先支持。项目申报须覆盖全部考核指标，鼓励产学研联合申报。已获得国家或广东省科技专项资助的仿制药品种不得重复申报。

（四）支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 5 项，每项支持 200 万元。

专题四：重大新药创制领域开放项目

本专题主要支持技术就绪度 4-6 级的项目，项目完成时技术就绪度一般应达到 7-9 级。

（一）征集对象。

“十二五”以来，经由国家重点科技计划立项支持，现已验收或即将验收，取得了重要进展和突破，符合广东经济社会发展

需要，技术成熟度较高，相关成果可到广东示范推广和产业化应用的新药创制项目；“十三五”以来，中央财政科技计划管理改革后启动的国家重大重点科技计划项目，相关研发具有阶段性进展，能与广东形成协同合作，可开展工程化应用和测试形成典型示范的新药创制项目；2017 年以来申报国家科技重大专项、重点研发计划重点专项等的项目，评审结果名列前茅，答辩成绩优秀，但受财政预算投入所限等原因未获立项，符合广东协同创新需求或可在广东研发和应用的新药创制项目；其他得到国家部委重要计划支持的新药创制项目或成果。

（二） 支持方式及强度。

本项目执行期 3 年。拟支持 2 项。每项支持 1000 万元。