

# 国家生物药技术创新中心 核酸药物“揭榜挂帅”技术攻关项目指南

为深入贯彻落实党的十九届六中全会精神和“十四五”规划，切实加强创新链和产业链对接，国家生物药技术创新中心技术攻关榜单任务聚焦国家战略亟需、应用导向鲜明、最终用户明确的重大攻关需求。

国家生物药技术创新中心是国家科技部于2021年3月批准建设的全国生物医药领域首个国家技术创新中心，中心聚焦治疗性抗体、新型疫苗、核酸药物、细胞和基因治疗等生物药重点领域和关键环节，以关键技术研发攻关、公共平台体系建设、产业环境生态营造、机制体制政策创新作为四大重点建设任务。中心将以苏州工业园区为主阵地，通过联合、协同全球顶级创新资源，积极构建全球创新网络，努力建设成为世界一流的生物药综合性技术创新平台和我国生物药领域的国家级战略科技力量。

第一批核酸药物技术攻关项目旨在通过对核酸药物全产业链和创新链进行对接，开展核酸药物技术方面的前瞻性和创新性的研究，推动核酸药物全产业链亟需、专利技术受限、临床应用导向鲜明的重大技术攻关突破，为实现核酸药物满足临床需求奠定坚实基础。

## 一、2022 年度重点攻关方向及考核要求

本攻关研究计划重点关注核酸药物全产业链的相关前瞻性和应用性技术研究，围绕核酸药物的生产和应用技术研究以项目支持的方式进行攻关资助。主要资助攻关方向如下：

### 1. 开发新型高效递送系统，形成专利突破。

- (1) 开发脂质纳米颗粒(LNP)、脂质多聚体(LPP)、多肽纳米颗粒(PNP)等新型高效载体递送系统；
- (2) 探索外泌体、红细胞等新型载体系统在核酸药物递送方面的应用；
- (3) 开发拥有自主知识产权的 GalNAc 分子和连结物偶联技术；
- (4) 探索多肽-siRNA、AOC 抗体偶联、寡核苷酸的适配体偶联等其他新型缀合物递送技术以获得新型非肝靶向型递送系统。

**考核要求：**拥有自主知识产权，提高靶向递送能力，提高递送效率，提高安全性。考核方式为完成概念验证，完成PCC，申报IND或获得临床批件等形式。

### 2. 以临床需求为导向，针对新靶点、新机制开展创新核酸药物发现研究。

- (1) 通过 AI 和云平台新型高效序列优化技术、环状 mRNA、自扩增 RNA 等技术，提高 mRNA 稳定性和蛋白表达效率，开发更加安全、有效 mRNA 药物；
- (2) 针对我国重大临床未满足需求，开发国际首创靶点、国内首个品种创新型核酸药物，包括但不限于 ASO、siRNA、saRNA、tRNA、Aptamer 等核酸药物。

**考核要求：**拥有自主知识产权，探索创新型核酸药物在重大未满足临床需求适应症方面的基础和应用研究。考核方式为完成概念验证，完成PCC，申报IND或获得临床批件等形式。

### **3. 核酸药物原液生产主要原材料、仪器设备国产替代。**

- (1) 通过高效、绿色化学合成或生物酶促反应，规模化制备修饰改造的新型 5' 端帽子类似物、骨架、核糖五元环、碱基和核苷；
- (2) 探索新型加帽酶及开发酶库筛选或者定向进化技术提升蛋白酶生产工艺；
- (3) 开发拥有自主知识产权的核酸药物合成、分离纯化、分析国产仪器设备。

**考核要求：**自主研发化学修饰技术和蛋白酶制备技术，形成规模化产业化能力，完成仪器设备样机，获得不少于2项自主核心专利。

## 二、项目组织及要求

### 1. 项目申报条件

- (1) 在中国境内注册、具有独立法人资格，符合条件且有研发实力的高校、科研院所、企业等创新主体，可根据项目指南要求申报项目。多个单位联合申报的，应签订联合申报协议，并明确一家单位作为项目承担单位，负责牵头组织项目实施。
- (2) 申报单位应具备良好的研究开发能力和产业化条件，有稳定增长的研发投入。
- (3) 申报单位资产及经营状态良好，具有较高的资信等级和相应的资金筹措能力。

### 2. 项目申报要求

- (1) 项目符合本攻关榜单定位要求，技术突破性较高，项目有明确的研发任务和创新目标，符合国家核酸药物产业、技术政策，项目属于榜单支持领域方向、符合相关要求。

- (2) 项目设 1 名负责人，每家单位最多申报两项项目。申报单位自筹经费与支持经费比例不低于 1:1。国创中心将依据专家评审意见，结合年度资金预算，确定项目支持经费，原则上支持资金额度不超过 300 万元，重大项目可突破上限。
- (3) 项目申报重点突出创新性，原则上项目实施期为 3 年，一般允许延期一次，延长期限最长不超过 1 年。项目验收重点评价承担单位形成拥有自主知识产权的新技术、新方法、新产品，在创新能力提升、标志性成果产出、人才培养等方面的成效，突出其在解决前沿前瞻关键共性技术问题、引领产业发展中发挥的作用。

### 三、申报说明

- (1) 榜单申报“不设门槛”，项目申报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。
- (2) 明确榜单任务资助额度，简化预算编制，经费管理实行“一篮子”计划同时探索实行“负面清单”。

- (3) 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。
- (4) 攻关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。
- (5) 项目实施过程中，通过实地勘察、专家委员会评审等方式开展“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。

#### 四、申报流程

项目的申报材料须在国创中心申报系统进行网上报送，书面材料内容和网上填报的内容必须完全一致（网址：<http://www.nctib.org.cn/>）。申报材料统一用A4纸打印，按封面、项目申报书、相关附件顺序装订成册，一式两份（纸质封面，平装订），递交至国创中心，地址：苏州工业园区星湖街218号A1楼北座5楼。

本批次拟立项项目将在国创中心网站（<http://www.nctib.org.cn/>）进行公示，未立项项目不再另行通知。

本批次项目申报材料网上填报截止时间为2022年4月28日17:30，逾期将无法提交。项目申报纸质材料受理截止时间

为2022年4月30日17:30，逾期不予受理。

国家生物药技术创新中心 联系电话：0512-62956666