

生物医药 发展战略报告

科学技术部社会发展科技司 编写

计划篇



科学出版社
www.sciencep.com

生物医药

发展战略报告

CHINA BIOLOGICAL PHARMACEUTICALS DEVELOPMENT STRATEGY REPORT 2015

计划篇



国家高技术研究发展计划(863 计划)资助项目

生物医药发展战略报告

——计划篇

科学技术部社会发展科技司 编写

科学出版社

北 京

内 容 简 介

生命科学和生物医药与人类生存、健康生活、社会和谐发展和经济稳定增长密切相关。各国政府通过制定各种科学计划、规划、发展战略,引导和促进生命科学与生物医药的发展。本书对国内外生命科学与生物医药科学计划、规划、发展战略进行研究,揭示各国科学计划特点,为我国科技管理者、科研工作者在激烈的竞争中提供决策参考,进一步提高我国科学管理水平,提高科学计划的实施效能,更科学地引导我国生命科学与生物医药的发展,提升我国科学研究的国际影响力和国际地位。

本书可供决策部门、科研管理人员、研究人员、高校师生及其他广大读者参考。

图书在版编目(CIP)数据

生物医药发展战略报告——计划篇/科学技术部社会发展科技司编写. —北京: 科学出版社, 2009

ISBN 978-7-03-024176-4

I. 生… II. 科… III. 生物医学工程—研究报告—世界
IV. R318

中国版本图书馆 CIP 数据核字(2009)第 028581 号

责任编辑: 陈沪铭 谭宏宇 / 责任校对: 刘珊珊
责任印制: 刘 学 / 封面设计: 一 明

科 学 出 版 社 出 版

北京东黄城根北街 16 号

邮政编码: 100717

<http://www.sciencep.com>

南京展望文化发展有限公司排版

上海敬民实业有限公司长阳印刷厂印刷

科学出版社发行 各地新华书店经销

*

2009 年 4 月第 一 版 开本: B5(720 × 1000)

2009 年 4 月第一次印刷 印张: 16 1/2

印数: 1—1 800 字数: 317 000

定价: 48.00 元

《生物医药发展战略报告》

总策划：刘燕华

策 划：马燕合 杨 哲 闫 金

《生物医药发展战略报告》编写组

组 长：马燕合 杨 哲

副组长：王 震 刁天喜 高柳滨

成 员(按姓氏笔画排序)：孙继林 邹健强 张兆丰
周乃元 郑 忠 高 波

报告执笔人：

政策篇 王 震 阮梅花 高柳滨

计划篇 高柳滨 王 震 杨 渊 陈云鹏

投入篇 高柳滨 吴 慧 王 震 陈云鹏 杨 渊

机构篇 孙继林 王小理 杨 文 郑 淼

园区篇 熊 燕 杨 俊 高柳滨 高培德

技术篇 楼铁柱 刘 术 张 音 刁天喜 王 震 武士华 王松俊

产业篇 吴曙霞 高云华 庞乐君 刁天喜 王 震 武士华 王松俊

专利篇 王 磊 赵晓宇 蒋 霞 倪 娜 王 震 刁天喜 武士华

王松俊

新的科技革命在哪里

当前,一场历史罕见的金融危机正在蔓延加剧,给包括中国在内的全球经济带来很大冲击,我们正面临严峻挑战。温家宝总理指出:“历史表明,每一次大的危机常常伴随着一场新的科技革命;每一次经济的复苏,都离不开技术创新。通过科学技术的重大突破,创造新的社会需求,催生新一轮的经济繁荣。”人们不禁预测:“谁”将担负起新的科技革命的重担呢?

继信息技术革命之后,以生物技术为背景的技术革命序幕正慢慢拉开。

自1953年Watson和Crick阐明了脱氧核糖核酸(DNA)的双螺旋结构以来,生命科学和生物技术领域取得了突飞猛进的发展。重组DNA技术和杂交瘤技术的应用,转基因动植物的相继问世,克隆羊多莉的诞生,特别是人类基因组等生命组学计划的完成,为人类解决饱受困扰的健康和发展等重大问题带来希望。诊断试剂和疫苗技术的不断更新,为人类抗击诸如SARS、禽流感、艾滋病等新发传染病和重大传染性疾病提供了可靠的技术手段。重大疾病的全基因组关联分析和分子分型等技术的诞生为重大疾病治疗最终走向个体化奠定了基础。基于生物信息学的药物设计技术大大缩短了新药研发时间,降低了研发成本,极大提高了对新发疾病的反应速度。干细胞与组织工程技术的快速发展,正孕育着从技术到手段新的医学革命。生物基材料为材料领域带来了重大变革,生物能源减少了对不可再生能源的依赖,生物催化和生物转化正加速绿色制造技术革命。据统计,生物技术专利总数已占世界专利总数约30%;在近期上市的新药中,20%属于生物技术药物,而超过80%的新药都不同程度上利用了生物技术开发手段。

生物产业发展的脚步紧随其后。据世界权威医药咨询机构IMS Health近期发布的《2009年全球制药和医疗前瞻性报告》,2009年全球制药市场规模将超过8200亿美元。全球生物技术产业的销售额每五年翻一番,已成为增长最快的经济领域。预计到2020年,生物医药占全球药品的比重将超过1/3,10%~20%的化学材料将被生物材料替代,生物能源将占世界能源消费比重的5%。经过若干年的成长,生物产业完全有望与信息产业并驾齐驱。

我国生物技术经过近20年的迅猛发展,实力已今非昔比。

从技术成果上看,胡锦涛总书记在 2006 年全国科学技术大会上的讲话中提到的新中国成立以来特别是改革开放以来的七大科技成就中,人工合成牛胰岛素、杂交水稻、基因组研究三项属生物领域范畴。近年来,我国生物科技论文和专利数量成倍增加,在国际学术界产生了重要影响,提升了我国科技的国际地位。

从产业规模上看,我国生物医药产业正处于大规模产业化的开始阶段和上升时期。截至 2008 年 8 月,中国生物、生化制品行业销售收入达到 446 亿元,同比增长 30%。世界最畅销的前 20 位基因工程药物和疫苗大部分已在我国上市。目前,我国涉及现代生物技术的企业约有 500 家,从业人员超过 5 万人,每年新增企业近 100 家。北京、上海、广州、深圳等地已经建立起 20 多个生物技术园区。

我国生物技术和产业具有链条完整、资源丰富、发展潜力和消费市场巨大的优点,但也存在大而不强、全而不精、技术含量不高、低水平竞争等弱点。如何扬长补短,把握好生物产业特别是生物医药产业的发展机遇,为今后的产业腾飞打好基础,对于我国官产学研各界都是一个重大而十分紧迫的课题。

对此,科学技术部社会发展科技司组织专家进行了深入研究,查阅了大量国内外最新文献,积累了丰厚的研究成果,现集结成套与读者共享。

这套丛书共分政策、计划、机构、投入、园区、产业、技术、专利等 8 篇,从宏观政策思路、中观计划投入到微观技术专利等三个层面着眼,密切跟踪国内外发展动态,材料新鲜,科学严谨,言之有物。读者既可以将之作为生物医药技术和产业的普及读物,也可以将之视为专业研究工具书。

希望以此为起点,进一步开拓思路,拓展视野,深入调研,扩大战果,开展“十二五”生物医药领域的发展规划战略研究。我相信,在当前世界金融危机和经济危机波及我国的时候,在我国加紧扩大内需、增加就业、促进产业升级、确保经济增长的时候,如果我们把更多的力量投入到生物医药领域,我国生物技术和产业将完成一次脱胎换骨式的发展,我们得到的回报将是战略性的和历史性的。

刘燕华

中华人民共和国科学技术部副部长

2009 年 2 月 9 日

前 言

生命科学和生物医药与人类生存、健康生活、社会和谐发展和经济稳定增长密切相关。生命科学无数激动人心的研究成果,如人类基因图谱的完成、诱导性多功能干细胞的实现更进一步推动人类健康、长寿远景的早日到来。Frost & Sullivan 公司一份最新报告指出,当前全球生物制药市场的收入为 450 亿美元,到 2011 年有望达到 982 亿美元。预计到 2020 年,生物医药占全球药品的比重将超过 1/3。2005 年和 2006 年《中国生物技术产业发展报告》显示,我国生物制药产业经过近 20 年的发展,目前已有生物制药企业 400 余家,近两年生物技术药物的年销售收入在 240 多亿元人民币以上(其中包括一部分体外诊断试剂盒的销售额)。2007 年,我国生物医药行业实现工业总产值 6 340 亿元,同比增长 25.5%,比高技术产业的总产值平均增速高 5 个百分点。

生物医药产业诱人的前景吸引各国政府持续不断地支持生命科学与生物医药的发展,各国政府通过制定各种科学计划、规划、发展战略,引导和促进生命科学与生物医药的发展。本书对国内外生命科学与生物医药科学计划、规划、发展战略进行研究,揭示各国科学计划特点,为我国科技管理者、科研工作者在激烈的竞争中提供决策参考,做到“知己知彼”,从而进一步提高我国科学管理水平,提高科学计划的实施效能,更科学地引导我国生命科学与生物医药的发展,提升我国在该领域的国际影响力和国际地位。

本书采用定性分析方法、专家咨询法等情报分析方法,对美国、英国、法国、德国、日本、印度、韩国及中国相关领域的科学研究计划、规划、发展战略进行采集、加工整理和分析。科学计划、规划和战略在本质上有不同,本书取其对未来工作进行策划的同质性统称其为科学计划。精选具有国家代表性,及对其国家乃至国际有重大影响性,尤其是对我国具有重要借鉴性的计划、规划、战略进行详细概述。在此基础上,进一步对各国科学计划的重要特性进行深入分析,从计划的学科领域布局和科学计划的管理方面(组织形式、机制体制建设、保障

措施、资源建设、人才建设等)进行揭示。希望对我国科学计划科学化管理发展起到抛砖引玉之效。

本书共包括九章。第一章至第八章分别对美国、英国、法国、德国、日本、印度、韩国及中国科学计划进行了介绍和特点分析。第九章对各国科学计划的研究领域共同特点、差异性及管理特色进行了比较研究。在本书的撰写过程中,吴慧、王小理、阮梅花、黄菲参与了有关资料的采集和整理工作。陈云鹏参与了有关资料的采集、翻译及全书的校对工作,参与第七章韩国科学计划及第八章中国科学计划的编撰工作。杨渊参与了有关资料的采集、翻译及全书的校对工作,参与第一章美国计划的编撰工作,负责本书统稿工作。王震、高柳滨负责本书的策划、内容精选、编撰及审核。本书编撰过程中力求数据翔实、文笔简练。但由于时间仓促,编撰过程中难免存在不足之处,恳请广大读者指正。

目 录

新的科技革命在哪里

前言

第一章 美国科学计划	1
1.1 人类微生物群系项目(HMP)	2
1.2 表观基因组学研究计划	4
1.3 跨学科研究计划	6
1.4 组织科学与工程战略计划	7
1.5 美国国立卫生研究院路线图计划(2008)	10
1.6 美国癌症研究所 2015 年研究目标	13
1.7 癌症和肿瘤纳米技术计划	15
1.8 美国癌症研究所 2009 年计划	17
1.9 替代方法评价机构间协调委员会计划(2008 ~ 2012)	22
1.10 美国国立综合医学研究所战略目标(2008 ~ 2012)	25
1.11 环境健康科学新前沿与人类健康战略计划(2006 ~ 2011)	31
1.12 美国国家人类基因组研究所健康差异战略计划	35
1.13 美国国家自然科学基金会资助的 14 个高风险跨学科项目	41
1.14 国家计划: 人类营养(2009 ~ 2013)	46
1.15 基因组到生命: 系统生物学、能源与环境	54
1.16 国家资源研究中心转化型研究计划	59
1.17 美国科学计划特点	63
第二章 英国科学计划	69
2.1 英国国民医疗保健服务系统发展战略: “最好的研究, 为了最好的健康”	70
2.2 英国生物技术与生物科学研究委员会执行计划(2008 ~ 2011)	82
2.3 英国生物银行计划	88
2.4 英国科学计划特点	90

第三章 法国科学计划	93
3.1 法国 2007 年生物技术研究与创新项目	94
3.2 法国国家科研署健康相关项目	95
3.3 法国国家科学研究中心“展望 2020——CNRS 12 个目标：生命科学”	97
3.4 法国国家科研署医学生物学计划(2006 ~ 2008)	99
3.5 2015 年健康改革——勒姆(Leem)研究	101
3.6 法国生物医药局(2007 ~ 2010)	111
3.7 法国阿尔茨海默症及相关疾病计划(2008 ~ 2012)	114
3.8 法国科学计划特点	117
第四章 德国科学计划	119
4.1 德国高技术发展战略	120
4.2 德国药物计划(2007 ~ 2011)	124
4.3 德国科学计划特点	125
第五章 日本科学计划	127
5.1 日本第 3 期科学技术基本计划	128
5.2 文部科学省 2007 年度生命科学研究计划	130
5.3 日本科学计划特点	135
第六章 印度科学计划	137
6.1 印度国家生物技术发展战略	138
6.2 印度创新医药战略计划	142
6.3 印度科学计划特点	143
第七章 韩国科学计划	147
7.1 韩国医药发展第一个五年综合计划	148
7.2 韩国科技部《2025 年构想》：医药重点	150
7.3 生物工程育成基本计划	151
7.4 21 世纪前沿研究与开发计划	153
7.5 韩国科学计划总结	154

第八章 中国科学计划	157
8.1 《国家中长期科学和技术发展规划纲要》(2006~2020): 生命 科学和医药	158
8.2 国家“十一五”科学技术发展规划: 生命科学与医药	162
8.3 国家“十一五”基础研究发展规划: 生命科学与医药	164
8.4 国家科技支撑计划“十一五”发展纲要: 生命科学与医药	170
8.5 生物产业发展“十一五”规划: 生命科学与医药	172
8.6 中医药创新发展规划纲要(2006~2020): 生命科学与医药	177
8.7 国家科技重大创新专项重大新药创制实施方案及项目指南	183
8.8 艾滋病和病毒性肝炎等重大传染病防治	191
8.9 中国科学计划特点分析	193
第九章 国内外科学计划分析及我国科学计划发展的思考	197
9.1 各国学科与技术研究领域布局分析	198
9.2 各国科学计划管理特点分析	199
9.3 我国生物医药科学计划发展建议	201
参考文献	204
附录	207
附录一: “重大新药创制”科技重大专项第一批课题指南	208
附录二: “重大新药创制”科技重大专项第二批课题指南	216
附录三: “艾滋病和病毒性肝炎等重大传染病防治”科技重大专项第一批 课题指南	240
附录四: “艾滋病和病毒性肝炎等重大传染病防治”科技重大专项第二批 课题指南	246

第一章

美国科学计划

1.1 人类微生物群系项目(HMP)

一、背景及简介

数以万亿的微生物活跃在人体内部或体表,包括细菌、古细菌、真菌、寄生虫和病毒等。这些微生物占人体总重量的1%~2%,其中许多微生物对维持人体健康有重要作用,帮助我们消化食物,制造维生素,甚至帮助我们塑造肌肉系统。而同时还有一些微生物则可能导致人体疾病。有研究表明,微生物在疾病,如溃疡、心脏病和肥胖症等的发生、发展中扮演着重要的角色。然而,人类目前对健康和疾病状态下的这些细菌、真菌等微生物的作用却知之甚少。人体部位的微生物数量:嘴和喉咙——每毫升有1百万到10亿个微生物;皮肤——每平方厘米的干燥皮肤上有1千个细菌,湿润的地方最多有1百万个;胃——每毫升最多有1万个微生物;肠道——每克大肠最多有1万亿个微生物,是世界上生物密度最高的地方。为揭示人体健康和疾病状态与人体微生物群系的关系,美国国立卫生研究院(NIH)于2007年12月19日宣布,正式启动一项新的基因工程项目——人体微生物群系项目(Human Microbiome Project, HMP),作为NIH医学研究路线图的一部分,未来5年内将在HMP上投资1.15亿美元。

美国休斯敦 Baylor 医学院人类基因测序中心的 George Weinstock 称这是一个完全未知的领域,将对我们理解人类健康和疾病产生重大影响。NIH 主席 Elias Zerhouni 表示,HMP 项目的实施将对人类健康和一系列疾病的预防、诊断及治疗产生重大影响。

二、主要目标及实施步骤

人体微生物群系项目(HMP)有4个目标:

- (1) 确定不同个体之间是否有共同的核心人微生物群系的存在。
- (2) 加深对人体微生物群系的变化是否与人体健康状况相关的理解。

(3) 开发要实现上述目标所需要的新技术和生物信息学工具。

(4) 处理伴随 HMP 项目出现的伦理、法律和社会问题。

根据以上 4 个目标,NIH 给出了具体实施步骤:

(1) 对 600 种微生物测序,并合并由其他国际资助项目获得的微生物基因组信息,形成大约 1 000 种微生物基因组的数据库。

(2) 研究人员将对取自于健康志愿者机体组织样本中的微生物进行表征分析。样本来自于 5 个人体内微生物群落寄生的区域:消化道、口腔、皮肤、鼻腔和女性泌尿生殖道。

通过以上项目,从患有特定疾病的志愿者体内获取样本,建立人体特定区域微生物变化情况与特定疾病之间联系。

三、主要内容

设定微生物基因组测序的参照系(reference set)及进行人体微生物群系的初步表征分析。对 600 种可培养及不可培养的细菌及非细菌类微生物测序,与现有的微生物基因组及其他计划项目的研究结果合并后,构成由 1 000 种微生物基因组组成的参照系;对微生物群落进行宏基因组学复杂性分析,并确定在单个区域是否有核心微生物群系的存在。早期研究将运用 16S rDNA 测序,随后采取宏基因组测序。需要研究的区域包括:消化道、口腔、皮肤、鼻腔和女性泌尿生殖道。

疾病与人体微生物群系的关系。该计划通过展示项目,确定人体健康与微生物群系变化的关系。通过研究人员发起的项目,进一步推动 HMP 应用,对感兴趣的特定疾病与人体微生物群相互关系进行研究。

开发新的技术。利用测序的低成本优势,扩展对人类微生物群系的认识,进而推动微生物基因组测序技术的发展。由于目前部分微生物,还不能通过人工培养增殖,对其基因组进行完整测序就受到了限制。为了扩大(扩充)参照系中可以获得的序列条目的数量,需要针对目前尚不能培养的微生物开发出一些培养或分离分析技术。从长期来看,用于对个体微生物进行测序,或其他对复杂微生物群落的成员进行分析的技术就至关重要。

开发新的计算分析工具。由于来自宏基因组测序和其他相关部分的庞大数据量和数据复杂性,就需要新的分析工具从序列数据、功能基因组数据和主题元数据中抽取关键的信息。此外,如果下一代测序平台得到应用,产生的海量数据也需要新的分析工具。

建立数据分析和协调中心(Data Analysis and Coordinating Center, DACC)。DACC 将作为 HMP 项目的数据源、结果和结论存放点。DACC 具有以下功能:原

始数据、元数据和处理后的数据追踪、存储和发布;协调数据分析。DACC 在对数据的获取、分析等方面的协调具有重要作用。DACC 将为研究团体开发数据获取工具、协调元数据标准的建立以及为国际项目的活动提供平台。

建立资源存放点。需要建立一个主要的存放点,用于存储 HMP 项目中的材料和相关资源,包括:培养的微生物;从不能培养的生物体中扩增的 DNA;宏基因组 DNA 样品。存放点的建立,将使以合理的收费标准向其他研究组织提供材料和其他服务成为可能。

HMP 的伦理、法律和社会问题。包括临床和健康特征;可能的微生物群系的法律价值;生物袭击和生物防御方面的应用;HMP 推动的新技术的使用;个体微生物群系的所有权及个人隐私问题。

1.2 表观基因组学研究计划

一、背景及简介

表观遗传学是与遗传学(genetic)相对应的概念。遗传学是指基于基因序列改变所致基因表达水平变化,如基因突变和不稳定等;而表观遗传学则是指基于非基因序列改变所致基因表达水平变化,如 DNA 甲基化等与之相对应的表观基因组学(epigenomics),其涉及对单个细胞或整个组织,对多个基因的表观遗传变化分析,在基因组水平上,对表观遗传改变的研究。表观遗传过程控制人体生长和发育。在人体发育过程中,饮食以及暴露于其他环境因子将导致表观遗传变化,并导致特定基因表达的开启或关闭,使得原本在正常情况下保护人体免遭某种疾病的基因发生变化。研究人员相信,表观遗传变化可以代代相传。

2008 年 1 月美国国立卫生研究院(NIH)利用“路线图计划”(Roadmap Plan)管理的新基金,启动表观基因组学研究计划。计划在未来 5 年里投资 1.9 亿美元加速这一生物医学研究新兴领域——表观基因组学(Epigenomics)的研究。

表观基因组项目由 NIH 下属研究所共同执行,包括国家环境健康科学研究所(NIEHS)、国家药物滥用研究所(NIDA)、国家耳聋与其他交流障碍性疾病研究所(NIDCD)、国家糖尿病、消化病及肾病研究所(NIDDK)、国家神经疾病和脑卒中研究所和国家医学图书馆生物信息中心(NCBI)。按照 NIH 路线图规划,由策略分析与战略计划办公室(OPASI)负责统一协调。

二、主要目标

表观基因组学研究项目的主要目标:

- (1) 协调和开发一系列表观基因组基准图谱,并予以公布,加速对人类健康和疾病的研究。
- (2) 评价分析在发育、衰老、环境暴露因子、行为、社会环境和压力因素条件下,表观遗传机制的研究。
- (3) 开发新工具,用于单细胞表观遗传分析,活体组织表观遗传活动图像监测。
- (4) 促进国际同行确定标准、程序和研究平台,开发抗体等新的实验工具。

三、主要内容及研究经费

表观基因组研究项目的主要内容:

- (1) 表观遗传学技术开发项目:将在两年的时间里,为4~8名研究人员提供350万美元的经费。项目目的是促进开发出能明显改善表观遗传研究途径的创新型新工具。
- (2) 附属的表观遗传技术开发计划:提供350万美元资助3~5个项目开发更为成熟的工具。其目标是促进表观遗传学方法用于疾病研究、诊断和预防。
- (3) 创立“参考表观基因组图谱中心”:每年提供1000万美元的经费用于创立“参考表观基因组图谱中心”(Reference Epigenome Mapping Centers)。此项目致力于开发人类胚胎干细胞、分化细胞、细胞系和组织的参考表观基因组。
- (4) 建立“表观基因组数据分析和协调中心”:在5年内,每年提供150万美元发展和运作“表观基因组数据分析和协调中心”(Epigenomic Data Analysis and Coordinating Center, EDACC),主要负责传递表观基因组数据给美国生物技术信息中心,用于保存和公共使用。这个中心将会支撑参考表观基因组图谱中心。
- (5) “哺乳动物细胞新表观遗传标志物发现”计划:将会在三年中,每年提供350万美元,资助4~6个研究人员或研究中心进行哺乳动物细胞新表观遗传标志物发现研究。其目标是建立和利用哺乳动物细胞稳定、沉默和基因表达激活的新途径。
- (6) 真核生物中基因表达的活化、沉默和稳定的新途径:在两年里,每年提供350万美元给5~8名研究人员,以支持其确定出真核生物中,基因表达的活化、沉默和稳定的新途径,进而用于人类疾病病理学的研究。