

# 国家高技术研究发展计划（863 计划）生物和医药技术领域 干细胞治疗技术临床转化及应用研究主题项目申请指南

在阅读本申请指南之前，请先认真阅读《国家高技术研究发展计划（863 计划）申请须知》（详见科学技术部网站国家科技计划项目申报中心的 863 计划栏目），了解申请程序、申请资格条件等共性要求。

## 一、指南说明

### 1. 本项目设置的依据和意义：

干细胞研究与应用是心血管疾病、糖尿病、神经系统疾病、肝脏疾病等重大疾病再生修复治疗的新途径和新希望，是生命科学和医学领域国际竞争的热点。依据国家中长期科技发展规划和社会经济发展需求，加快干细胞治疗技术的临床转化与应用，将明显提升我国生物医药领域的持续创新能力，具有巨大的社会效益，同时也是建设和谐社会，提高人民健康水平的有力保障和重要指标。

### 2. 项目安排的总体考虑：

（1）项目的任务落实只针对项目整体进行，项目申请者应针对指南内容，围绕项目总体目标和任务进行申请，而不要只针对项目部分目标和任务进行申请。

（2）项目可以由一家申请，也可以由多家共同申请。对于多

家共同申请的主题项目，由研究单位自行组合形成项目申请团队（原则上一个单位只能参加一个申请团队），并提出项目牵头申请单位和申请负责人，由项目牵头申请单位具体负责项目申请。

（3）项目申请要提出项目分解（包括任务分解及经费分解）方案，提出项目课题安排及承担单位建议，并填写课题申请书（项目拟分解的课题数最多不超过 10 个）。

## 二、指南内容

### 1. 项目名称：

干细胞治疗技术临床转化及应用研究

### 2. 项目总体目标：

力争在关键技术研究方面取得重大突破，加速干细胞研究的进程，提高中国在国际干细胞研究领域的地位和影响，重点突破 4-5 项支撑临床应用产品开发的干细胞多能性标记物发掘、临床级干细胞分离鉴定、培养扩增、保存复苏等关键技术。重视产品开发与临床应用，建立干细胞技术与产品临床研究示范基地，力争 5-10 项治疗性干细胞技术和产品获得临床试验批文或临床准入，并按国际标准进行规范化临床试验研究，其中 2-3 项技术或产品实现广泛临床应用和规模化制备，技术水平达到国际先进；5-8 项产品逐步开展和完成规范化临床前研究；4-6 项产品和技术开展预研性研究，为“十三五”奠定基础。建立并完善国家干细胞治疗产业链，充分发挥科研院所和大学在自主创新、源头创新研

究中的骨干、核心作用，加强基础性研究成果向应用性研究转化，促进产学研与临床应用的紧密结合，推动干细胞技术与产品的临床应用和产业化。

### 3. 项目主要研究内容：

#### (1) 缺血性心脏病再生修复治疗

筛选适宜的移植细胞源，建立相关疾病动物模型与评价、细胞移植途径优化与剂量确定、移植后在体示踪技术、安全性及有效性指标检测等技术平台，开展治疗有效性的机制研究，提高移植细胞效率，完成相关产品的临床和临床前研究，制定相关临床准入标准。

#### (2) 终末期肝病的再生修复治疗

针对终末期肝病干细胞治疗中的干细胞规模化扩增、高效诱导分化、诱导细胞的功能鉴定与维持、诱导肝移植后免疫耐受等核心技术问题，开展多种来源干细胞促进肝再生效率的评价、肝移植前桥接治疗和临界肝切除等不同手术模式的干细胞治疗策略，以及有效性、安全性和可控性评价等关键技术和产品研究，完成相关产品临床和临床前研究，制定相关临床准入标准。

#### (3) 恶性血液病放化疗后造血损伤的再生修复治疗

针对恶性血液病放化疗后造血损伤干细胞治疗中不同血细胞定向诱导分化效率、靶细胞分选、规模化培养、体外微环境模拟、免疫耐受诱导、免疫排斥反应防治等关键技术，着眼于利用多种技术的组合从多能干细胞、造血干细胞、原始间充质干细胞等诱

导分化为多系造血细胞、终末血细胞及造血微环境细胞，研发具有自主知识产权的干细胞向多系造血细胞分化的关键技术及产品，完成相关产品临床和临床前研究，制定相关临床准入标准。

#### (4) 帕金森病等神经退行性疾病及中枢神经系统损伤再生修复治疗

针对帕金森病等神经退行性疾病和中枢神经系统损伤的再生修复治疗，研制用于帕金森病等神经退行性疾病和中枢神经系统损伤再生修复治疗的干细胞或前体细胞技术和产品，开展帕金森病及中枢神经损伤的干细胞种类选择、高效诱导分化、细胞功能维持、细胞移植种类与剂量、移植途径与示踪、安全性和有效性评价等核心技术研究，完成相关产品临床和临床前研究，制定相关临床准入标准。

#### (5) 糖尿病胰岛 $\beta$ 细胞再生修复治疗

针对糖尿病胰岛  $\beta$  细胞再生修复治疗所面临的主要关键技术问题，诱导干细胞高效定向分化，并维持功能细胞的血糖反应性和胰岛素分泌作用，建立相关疾病动物模型和安全性及有效性指标检测等技术平台，完成相关产品临床和临床前研究，制定相关临床准入标准。

#### (6) 干细胞多能性标记物发掘及其关键技术研发

比较研究不同来源的多能干细胞、成体干细胞、成体细胞的鉴定关键标记物，研究和建立可供移植的干细胞在蛋白水平、基因水平、microRNA 水平上的分子标记和关键调控单元。

## (7) 临床级干细胞分离、培养、保存、运输等产业化关键技术研发

研发干细胞临床应用中所面临的干细胞分离纯化、培养、保存等关键技术，包括悬浮扩增和三维扩增等技术，以实现干细胞的大规模扩增，细胞扩增规模同比增加 30-50%；改进干细胞保存、运输和复苏技术，实现不同来源干细胞的高效保存与复苏，使保存和复苏效率得到明显提高。

### 4. 项目主要考核指标：

发现 10-15 个干细胞多能性鉴定的候选标记物，并初步确定 3-5 个鉴定干细胞多能性的关键标记物，申报相关发明专利，并力争获得授权；突破 2-3 项干细胞保存、运输和复苏技术，重点建立 1-2 项不同干细胞分离纯化和干细胞临床应用的规模化培养扩增等关键技术；建立干细胞技术与产品临床研究示范基地；每类疾病研究应获得 1-2 项相关行政主管部门的临床批文或临床准入，开展临床试验研究，力争 1 项获批技术和产品实现规模化制备；1-2 项产品逐步开展临床前规范性评价研究，1-2 项产品和技术开展预研性研究，为“十三五”奠定基础。

### 5. 项目支持年限：2011-2015 年

6. 项目拟支持的国拨经费控制额：拟支持的国拨经费控制额为 1.3 亿元人民币。

## 三、注意事项

1. 项目申请单位应具有相关工作基础和相应的资质；团队申请的申请单位与协作单位之间在研发、临床试验、产业化等方面的分工要明确。企业单位牵头或参与的课题，企业应提供相应的自筹经费支持。项目下设每个课题的协作单位原则上不超过 5 家。

2. 临床实验类课题，应由临床单位牵头，产学研联合申请，团队内应包含科研院所或大学、企业、标准制定和临床准入机构及不少于两家的临床医院（医院级别应为三级甲等，并具有相应适应症的药监局 GCP 认证），对所申请的疾病治疗类课题应有系统性的临床前研究，初步完成有效性、安全性和可控性评价，拥有相关研究领域的发明专利，并发表过相关的研究论文。

3. 关键技术类课题，申请者应具备相关工作基础和积累，具有获得同行认可的重要成就，在有国际影响力的杂志上发表过高质量的文章，或拥有国内或国际发明专利；课题负责人研发的相关技术和产品应具有自主知识产权和创新性，严格遵守相关管理规定及伦理指导原则。

4. 受理时间：申请受理截止日期为 2010 年 12 月 9 日 17 时。

5. 申报要求：项目申请采用网上申报方式，申报通过“国家科技计划项目申报中心”进行，网址为 [program.most.gov.cn](http://program.most.gov.cn)。具体申请程序、要求及其他注意事项详见《国家高技术发展计划(863 计划) 申请须知》。

6. 咨询联系人及联系电话、电子邮件

郑玉果 010-88225196 zh@cncbd.org.cn

邱宏伟 010-88225161 [qiuhw@cncbd.org.cn](mailto:qiuhw@cncbd.org.cn)

863 计划生物和医药技术领域办公室

二〇一〇年十月二十一日