



西湖大学
未来产业研究中心
WESTLAKE UNIVERSITY RESEARCH CENTER
FOR INDUSTRIES OF THE FUTURE

Research on Trends of Future Industry 2023:
Future Biomedicine

未来产业发展趋势研究2023 未来生物医药

西湖大学未来产业研究中心

“抓紧布局数字经济、生命健康、新材料等战略性新兴产业、未来产业。大力推进科技创新，着力壮大新增长点、形成发展新动能。”——**习近平总书记 2020 年 4 月在浙江考察时的讲话**

“要加大卫生健康领域科技投入，发挥新型举国体制的优势，集中力量开展核心技术攻关，持续加大重大疫病防治经费投入，加快补齐我国在生命科学、生物技术、医药卫生、医疗设备等领域的短板。”——**习近平总书记在《求是》杂志发表的重要文章《构建起强大的公共卫生体系，为维护人民健康提供有力保障》**

“前瞻谋划未来产业。在类脑智能、量子信息、基因技术、未来网络、深海空天开发、氢能与储能等前沿科技和产业变革领域，组织实施未来产业孵化与加速计划，谋划布局一批未来产业。在科教资源优势突出、产业基础雄厚的地区，布局一批国家未来产业技术研究院，加强前沿技术多路径探索、交叉融合和颠覆性技术供给。实施产业跨界融合示范工程，打造未来技术应用场景，加速形成若干未来产业。”——**《中华人民共和国国民经济和社会发展第十四个五年规划和 2035 年远景目标纲要》**



I 序

未来产业是由前沿技术所推动、以满足经济社会不断升级的需求为目标，会在未来发展成熟和实现产业转化并形成对经济社会发展产生全局带动和重大引领作用、但当前尚处于孕育孵化阶段或爆发增长前期的新技术、新产品、新业态所形成的产业，是用明天的科技锻造出的后天的产业。

随着新一轮科技革命和产业变革加速重构全球竞争格局，未来产业日益成为决定国家经济实力、科技实力、综合国力的“关键变量”。党的二十大报告做出了实现中国式现代化的战略部署，提出要建设现代化产业体系，构建生物技术等一批新的增长引擎。“十四五”规划纲要提出要前瞻部署一批未来产业。在此背景下，迫切需要加强对未来产业的超前谋划和系统布局，把未来产业发展方向和思路研究作为我国未来产业培育发展的“先手棋”，探索具有中国特色的未来产业发展之路。

在国家相关部门和浙江省大力支持下，西湖大学成立未来产业研究中心，重点聚焦生命原理及未来医药、分子智造与功能、未来材料设计及创造等领域，集科学研究、成果转化、产业培育、人才培养、战略规划于一体，致力于以基础科学研究和前沿技术突破催生未来产业，打造代表国家水平、具有国际影响的未来技术创新策源地、复合功能建设样板地、新型创新机制试验地。

未来产业研究中心立足西湖大学在我国生命原理、未来医药、分



子智造与功能等研究领域独一无二的研究实力，开展《未来产业发展趋势研究 2023：未来生物医药》研究，力求打造形成西湖大学在未来产业发展领域的重要品牌化、系列化产品。通过这一研究，我们将有效发挥西湖大学在生命健康领域丰富的专家团队资源，以大数据分析手段挖掘国际生物医药领域未来产业发展的热点技术，运用德尔菲法向生物医药领域专业人士开展问卷调查，分析找出热点技术中兼具技术领先性和产业可实现性的技术，提出有针对性的产业政策建议，供国家相关主管部门决策参考。

未来产业发展趋势研究是一项系统工程，要综合考虑政产学研等多方面因素，既要兼顾技术上的可能，又要兼顾产业化的可行，是一项需要社会各界广泛参与的工作。下一步，西湖大学将诚挚邀请社会各界共同参与到未来产业各主要领域的发展趋势研究工作中，共同为我国未来产业发展汇众智聚众力。

最后，我谨代表本报告编写组向各位问卷访谈专家、各参与单位所做的重要贡献表示衷心感谢！

西湖大学 施一公

2023年2月

摘要

未来生物医药产业主要指当前尚处于孕育和研发阶段的前沿生物医药技术推动的、未来在疾病预防、诊断和治疗方面具有广泛应用场景的产业。近年来，随着生物医药成为全球高技术产业中最为活跃的领域，美欧等主要发达国家政府的高度重视推动生物医药领域重大技术突破，力求不断巩固其在生物医药产业方面的领先地位。生物医药产业在我国虽起步较晚，但在一系列政策举措支持下呈现出快速发展之势。特别是随着党的二十大报告中把保障人民健康放在优先发展的战略位置，党中央国务院对推动生物医药产业创新发展、大力发展未来生物医药产业的重视程度明显提升，未来生物医药产业发展被提升到前所未有的高度。未来生物医药产业的发展方向受技术突破难度和产业发展前景等因素影响，具有巨大的不确定性。为了更加科学精准高效地培育构建我国未来生物医药产业体系，我们创造性的采用人工智能文本分析技术，对目前全球主要国家知名科研机构近 5 年所支持的生物医药技术研究项目进行数据挖掘和分析，梳理出当前全球生物医药技术研发重点布局的 30 个关键技术，最后运用专家问卷的方式从 30 个关键技术以及问卷中专家补充完善的技术中识别出对我国经济价值和社会价值均较高且具备良好的研发基础、实现突破的难度较低的 10 项关键技术领域（方向），作为我国未来生物医药产业发展的重点方向，从而有针对性的提出一系列政策建议。

contents

目录 |

第 1 章 未来生物医药产业的理论内涵	1
1.1 未来产业的概念与特征	1
1.2 未来生物医药产业的概念和特点	3
第 2 章 全球及我国未来生物医药产业发展基础分析	6
2.1 全球未来生物医药产业发展基础	6
2.2 我国未来生物医药产业发展基础	9
第 3 章 当前至 2035 年我国未来生物医药产业发展形势预测	14
3.1 面临新需求	14
3.2 面临新机遇	17
3.3 面临新挑战	19
第 4 章 全球未来生物医药产业布局及我国的重点研究方向	22
4.1 准确把握全球未来生物医药产业布局方向	22
4.2 科学谋划我国未来生物医药产业重点方向	29
第 5 章 我国未来生物医药产业值得关注的十大领域	37
5.1 领域一：人工智能等信息化技术在生物医药的应用	37
5.2 领域二：重组抗体技术	38
5.3 领域三：小分子抑制剂技术	40



5.4 领域四：高通量测序技术	41
5.5 领域五：药物偶联物技术	43
5.6 领域六：治疗性基因编辑技术	44
5.7 领域七：细胞治疗技术	45
5.8 领域八：新型药物递送技术	47
5.9 领域九：免疫检查点抑制剂	47
5.10 领域十：脑机接口技术	48
第 6 章 对我国未来生物医药产业发展的政策建议	50
6.1 加大对原创基础研究支持力度	50
6.2 打造国际化人才引育留用体系	51
6.3 加强打造系统化科研创新平台	51
6.4 推动智能化赋能未来生物医药	52
6.5 强化前沿基础研究的跟踪布局	52
6.6 进一步完善科研项目管理制度	53
附件：全球生物医药关键技术重点资助和被资助机构情况	54

第 1 章 未来生物医药产业的理论内涵

未来产业是用明天的科技锻造出的后天的产业，具有不同于传统产业以及战略性新兴产业的鲜明特征。未来生物医药产业是未来产业重要的组成部分，必须基于未来产业的概念和特征对未来生物医药产业的理论内涵进行梳理从而明确其相对于其它未来产业的鲜明特点。

1.1 未来产业的概念与特征



未来产业是由前沿技术所推动、以满足经济社会不断升级的需求为目标，会在未来发展成熟和实现产业转化并形成对经济社会发展产生全局带动和重大引领作用，但当前尚处于孕育孵化阶段或爆发增长前期的新技术、新产品、新业态所形成的产业，预计 10—15 年后可能实现爆发性发展并深刻改变世界，是用明天的科技锻造出的后天的产业。未来产业是一个动态的概念，处于一个历史的维度之中。一个产业现在被认为是未来产业，但几年后随着产业化进程加快，就会转变为战略性新兴产业。另外，也会有一些曾经被认为具有产业化前景



的前沿技术被市场证明没有经济价值，从而退出未来产业的行列¹。

表 1-1 主要国家未来产业方向选择

国家	未来产业主要方向
中国	类脑智能、量子信息、基因技术、未来网络、深海空天开发、氢能与储能高端装备制造、智能机器人等领域。
美国	人工智能、先进制造、量子信息和 5G。
欧盟	互联且清洁的自动驾驶汽车、氢技术及其系统、智能健康、工业互联网、低碳产业、网络安全。
日本	人工智能、新材料、宇宙航空、能源等领域。
英国	人工智能和数字经济、未来交通、老龄化社会、清洁增长四大领域。
德国	药物和疫苗、电动汽车、氢能、数字化和通信、人工智能和量子等领域。
韩国	人工智能、大数据、信息安全、食品、计算机、生物医药等领域。

未来产业发展总体呈现出与传统产业乃至战略性新兴产业不同的独有特征，主要体现在四个方面：

一是发展路径不同。相较于传统产业，未来产业发展的核心驱动因素是技术的突破，而作为核心要素的技术是否能够实现突破本身是存在较大不确定性，且技术的突破具有非线性的特征，难以得到确定的概率。**二是参与主体不同。**未来产业发展的高不确定性，使得这一领域容易出现市场失灵，必须既要充分依靠科学家对于科学技术的自由探索，又要充分发挥企业家对市场机遇的敏锐嗅觉，构建涵盖技术链、创新链、产业链等链条全流程的全新产业主体。**三是产业要素不同。**一方面要实现资金要素匹配，有效吸引长期专注且能够承担较高风险产业资本、金融资本、社会资本支持未来产业发展；另一方面要实现人才要素匹配，构建能够打破研究和产业化界限的“转化型”人

¹ 李晓华，王怡帆.未来产业的演化机制与产业政策选择[J].改革，2021（02）：54—68.

才队伍体系。四是政府角色不同。在技术突破存在高度不确定性的背景下，政府在推动未来产业发展方面的主要职责就应是降低不确定性成本，既要主动承担对科研活动和创新主体的全方位支持，又要有效培育激发市场需求形成对企业创新和产业化的有效激励。

表 1-2 传统产业、战略性新兴产业、未来产业的特征分析

	传统产业	战略性新兴产业	未来产业
发展路径	高度确定	具有一定程度的不确定性，但产业发展路径线性特征明显	具有高度不确定性，产业发展路径呈现出非线性特征
参与主体	企业等市场主体	企业特别是高技术企业等市场主体	市场主体和创新主体共同参与合作
产业要素	更多依赖资本要素	依赖资本和人才要素	高度依赖人才技术要素
政府角色	更多依赖看不见的手发挥作用	政府制定产业政策予以扶持，主要还是依靠市场机制发挥作用	高度依赖政府制定的创新政策和产业政策，以降低产业发展的外部成本和不确定性

1.2 未来生物医药产业的概念和特点

生物医药在理论界没有通用的定义概念，本文中的生物医药主要是指一类以现代生命科学为基础，结合基因工程、蛋白质工程、细胞工程、组织工程、器官工程、药物工程、生物信息学、人工智能等手段，用于开发适用于疾病预防、诊断和治疗的药物、医疗器械或其他医药产品的技术的总称。基于上述定义，结合未来产业的特点，本文中的未来生物医药产业主要指当前尚处于孕育和研发阶段的前沿生物医药技术推动的、未来在疾病预防、诊断和治疗方面具有广泛应用场景的产业，如基因治疗、免疫治疗、抗体治疗、药物工程、蛋白工程、基因组学、人工智能在生物医药领域深度应用等领域先进技术推

² 徐涛.强化国家战略科技力量在生物经济高质量发展中的骨干引领作用[J].中国生物工程杂志, 2022,42(05):1—3.



动的生物医药产业。

相比较数字经济、新能源、新材料等其他领域未来产业，未来生物医药产业具有四大鲜明特点：

一是发展不确定性更大。相比较其他产业而言，未来生物医药产业投入更大、周期更长、风险更高。国际普遍经验表明，一个新药物的研发周期在 10 年以上，需要投入的研发成本在 10 亿美元以上，从候选药物到最终产品上市其成功率不足一成。这一特点决定了领域选择、技术预测对于未来生物医药产业具有极端重要性。

二是与基础科学联系更紧。生物医药产业是新一轮科技革命和产业变革中公认最有望实现革命性突破的领域。究其原因，就是作为生物医药产业发展原动力的生命科学和生物技术基础研究一直是全球最活跃的研究领域。在《科学》杂志创刊 125 周年时公布的 125 个最具挑战性的科学问题中的 63 个都属于生命科学领域。随着生命科学领域基础研究范式的深刻变革，生物医药产业正在进入对生物大分子和基因的精准调控阶段，从认识生命、改造生命走向合成生命、设计生命，其对生物学以及物理学、化学等基础科学的依赖和联系程度显然将进一步提升²。

三是政策依赖度更高。由于生物医药产业既关系每个人的身体健康和生命安全，又关系到国家总体安全和民族兴亡，世界各国均对其采取远高于其他产业特别是高度竞争的数字经济产业的强监管，如研发过程中的专利保护和临床评价制度，生产环节的飞行检查制度等。

未来生物医药领域复杂、参与主体多元，面上政策无法有效构建支撑未来生物医药全生命周期研发转化生产过程，有必要针对未来生物医药不同领域建立一个独立且完备的产业支撑政策体系。

四是受突发需求影响更大。由于疾病的超国界特点，相对于其他未来产业，一旦发生危及全人类健康的疾病冲击或突发公共卫生事件，将很容易形成全人类科技创新资源来推动未来生物医药产业快速创新、快速产业化的局面。在过去 50 年里，无论是艾滋病、SARS、COVID-19 等全球流行性疾病，还是滥用抗生素导致的耐药菌，以及人口老龄化带来的肿瘤等慢性疾病发病率上升等问题，直接推动了各国政府和全球科技研发团队紧密合作，快速催生一系列生物医药新技术和新产品。



第 2 章 全球及我国未来生物医药产业发展基础分析

近年来，生物医药产业已经成为全球高技术产业中最活跃、竞争最激烈的领域，得到了各国政府的高度重视，呈现出规模扩大、创新涌现的总体格局。我国生物医药产业起步虽晚，但在一系列政策支持下，在全球生物医药产业发展格局中逐渐从落后变为追赶，迎来了生物医药产业的黄金发展期。

2.1 全球未来生物医药产业发展基础

根据弗若斯特沙利文公司（Frost&Sullivan）的数据，以市场收入计算的全球生物医药市场规模 2016—2021 年年均复合增长率为 3.9%，保持稳定增长态势，预期 2025 年全球生物医药市场收入将达到 1.71 万亿美元。

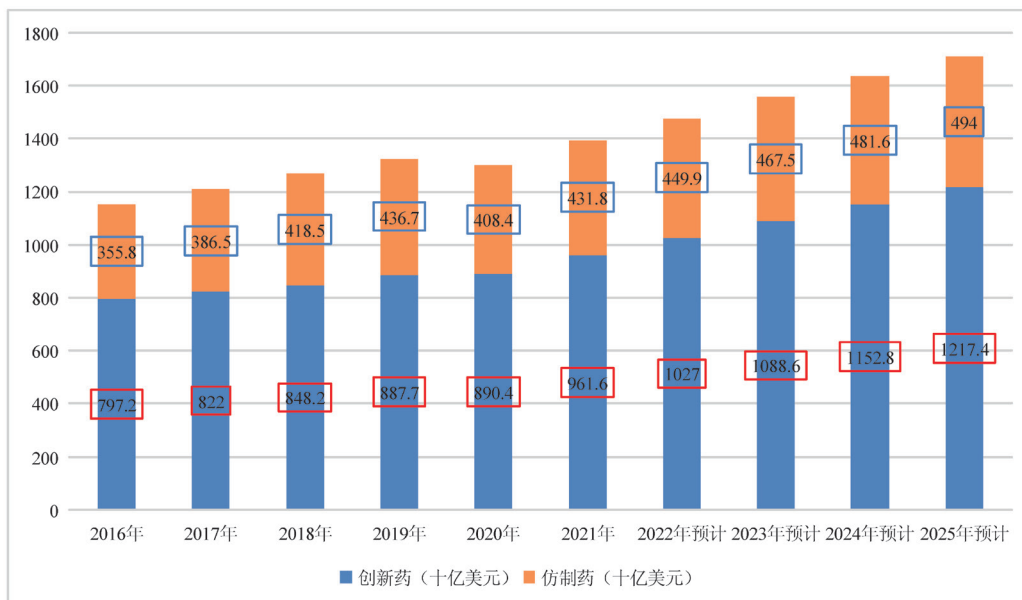


图 2-1 2016—2025 年全球生物医药行业市场规模情况

数据来源：Frost&Sullivan，华经产业研究院

总体看，基于未来生物医药产业的技术属性，全球未来生物医药产业发展基础呈现出鲜明的资本市场和研发创新相互促进的良性发展格局。

一方面**资本市场热度不减**。投融资保持高速增长，2022年，全球生物医药领域投资额高达217亿美元，明显高于新冠疫情爆发前2019年的157亿美元水平；其中单笔融资额超过5000万美元和1亿美元的投资项目数分别为149个和65个，均高于2019年水平（125个和37个）。并购重组频繁发生，2022年，全球生物医药领域并购交易活动TOP10的交易规模较2021年有所下降，TOP10并购事件的上榜交易金额为14.3亿美元，低于上一年的上榜门槛30.5亿美元，但排名第一的并购事件交易金额高达278亿美元，远高于上一年的174亿美元。从领域看，以辉瑞等为代表的头部医药企业通过收购来积极寻求在免疫治疗、神经疾病创新疗法、罕见病药物等前沿领域布局，这与上一年头部药企围绕CXO、医疗设备和数字医疗领域开展并购略有不同。

表 2-1 2022 年生物医药领域 TOP10 并购事件

序号	收购方	被收购方	交易金额 (亿美元)	交易时间	细分领域
1	安进	Horizon Therapeutics	278	2022 年 12 月	免疫治疗
2	辉瑞	Biohaven Pharmaceuticals	116	2022 年 5 月	神经疾病的创新疗法
3	辉瑞	Global Blood Therapeutics	54	2022 年 10 月	镰状细胞治疗
4	百时美施贵宝	Turning Point Therapeutics	41	2022 年 6 月	抗癌疗法



序号	收购方	被收购方	交易金额 (亿美元)	交易时间	细分领域
5	安进	ChemoCentrix	37	2022年8月	血管炎
6	葛兰素史克	Affinivax	33	2022年5月	细菌感染
7	葛兰素史克	Sierra Oncology	19	2022年4月	血液治疗
8	优时比	Zogenix	19	2022年1月	罕见病
9	住友制药	Myovant	17	2022年10月	女性健康和前列腺癌
10	因塞特医疗	Villarix Therapeutics	14.3	2022年10月	单克隆抗体药物

数据来源：医药魔方，NextPharma 数据库

另一方面研发创新持续升温。受 COVID-19 疫情等因素影响，全球生物医药企业研发投入呈现出快速增长态势。根据英国医疗健康领域的调研咨询机构（Evaluate Pharma）发布最新年度全球生物医药行业发展趋势报告显示，全球生物医药研发支出在 2020 年首次超过 2000 亿美元，2021 年达到 2241 亿美元。预计后续研发支出将继续保持稳健的增长态势，2022—2025 年总研发支出年均复合增长率为 7.6%，到 2025 年预计可达 3000 亿美元。受益于研发投入的稳健增长，2022 年成为全球创新药丰收的一年。美国 FDA 药品评估和研究中心（CDER）2022 年共批准了 37 款新药，欧洲药品管理局（The European Medicines Agency, EMA）人用药品委员会（CHMP）完成 92 款新药上市申请的审评，日本医药品和医疗器械局（PMDA）批准了一百多个新药的上市许可，我国国家药品监督管理局（NMPA）共批准了 49 款新药。



图 2-2 2016—2025 年全球生物医药研发规模及增速

数据来源：Evaluate Pharma

2.2 我国未来生物医药产业发展基础

近年来，我国生物医药创新能力已从全球第三梯队进入到第二梯队，为我国未来生物医药产业发展奠定了坚实基础，具体可概括为四个“持续”。

一是产业总体规模持续扩大。“十三五”以来，我国政府高度重视生物医药行业创新发展，医改政策密集调整推动中国生物医药行业发展保持较高景气水平，2017—2021年，我国生物医药总产值平均增速达到9%左右，2021年我国生物医药总产值增长至3.82万亿元。新冠肺炎疫情的暴发，病毒检测试剂、新冠疫苗与新冠药物研发等出现井喷式增长，使得我国生物医药行业产值保持强劲增长动力，预计2022年生物医药行业总产值突破4万亿元，增长速度同比超过7%。



图 2-3 2016—2022 年我国生物医药行业总产值及增速

数据来源：中商产业研究院

二是产业创新成果持续涌现。根据 Frost&Sullivan 数据，我国生物医药领域研发支出预计在 2022 年达到 343 亿美元，2016—2022 年平均增长速度为 20.0%。到 2025 年预计可达 496 亿美元。研发支出快速增长，推动我国生物医药领域不断取得技术突破，其中疫苗方面 2019 年沃森生物 13 价肺炎球菌结合疫苗、万泰生物国产 2 价 HPV 疫苗先后获批上市，打破国外相关进口疫苗市场垄断格局；细胞基因治疗方面，2021 年复星凯特、药明巨诺的首款和第二款 CAR-T 药物相继获 NMPA 批准上市，2022 年传奇生物 BCMA-CART 产品正式在美国获批上市，荣昌生物的维迪西妥单抗是我国首个同时获得美国 FDA、中国 NMPA 突破性疗法双重认定的原创抗体偶联（ADC）药物；抗体药物研究方面，2019 年底我国本土药企原研新药泽布替尼、马来酸左旋氨氯地平获美国 FDA 批准上市；双抗方面，2022 年 6 月我国首款自主研发的双抗药物 Cadonilimab 上市，正式开启了国内双

抗药物商业化进程；重组蛋白药物方面，石药集团具有自主知识产权的重组蛋白药物 PEG 定点修饰技术，实现了我国在该领域“零”的突破。

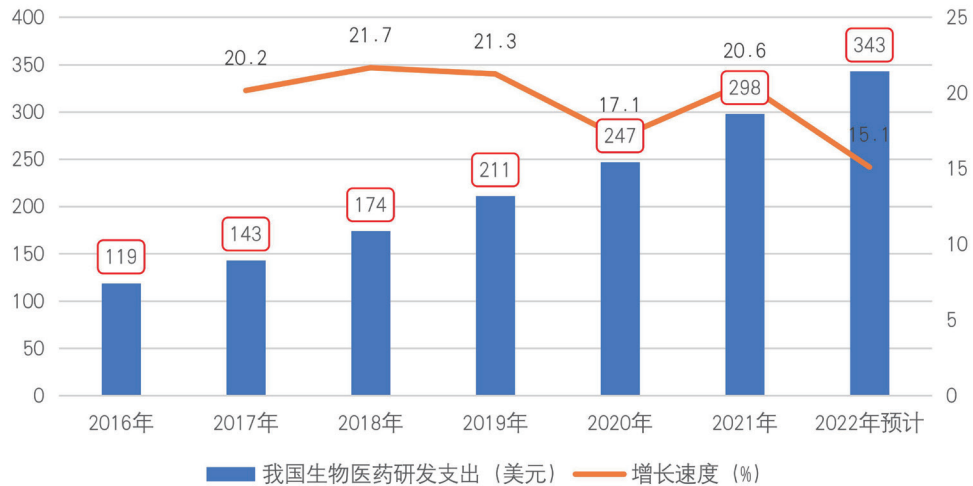


图 2-4 2016—2022 年中国生物医药研发支出规模及增速

数据来源：Frost&Sullivan，公开资料整理

三是区域发展格局持续优化。近年来，在国家政策导向以及市场机制的共同作用下，生物医药行业也得到了我国各级地方政府的高度重视，截至 2022 年 6 月，全国已批准成立的 173 个国家级高新技术产业开发区中，生物医药类创新产业集群共 75 个。在包括国家级高新区和国家级经开区在内的 390 多个国家级产业园区中，有超过 200 个将生物医药作为重点发展产业集群，占比超过一半。同时，各地区生物医药产业发展呈现出典型的集聚化特征，形成了长三角、珠三角和环渤海地区三个综合性生物医药产业基地。

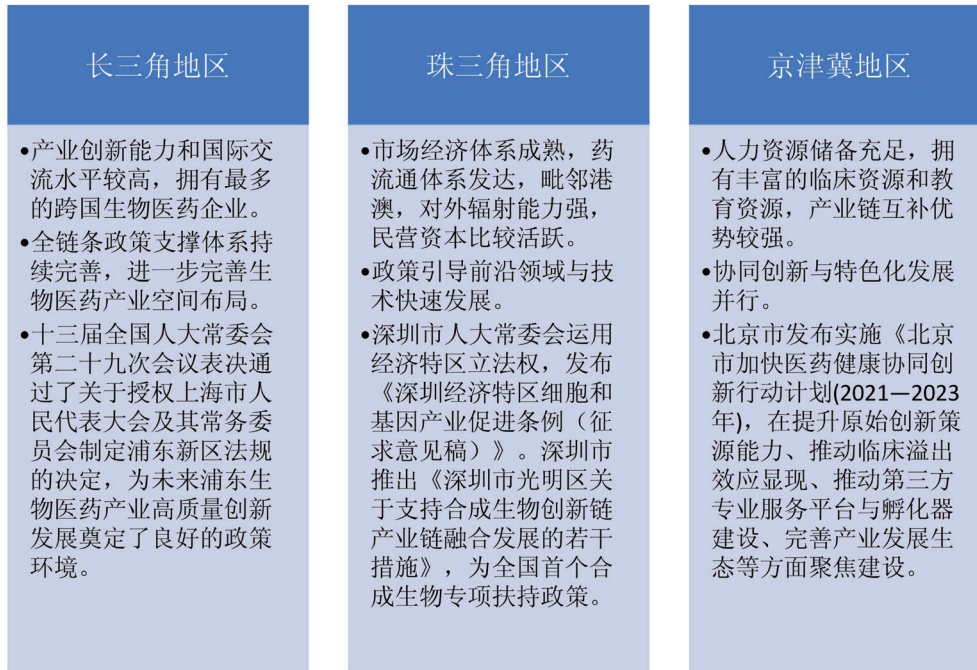


图 2-5 长三角、珠三角、京津冀地区生物医药发展态势

数据来源：公开资料整理

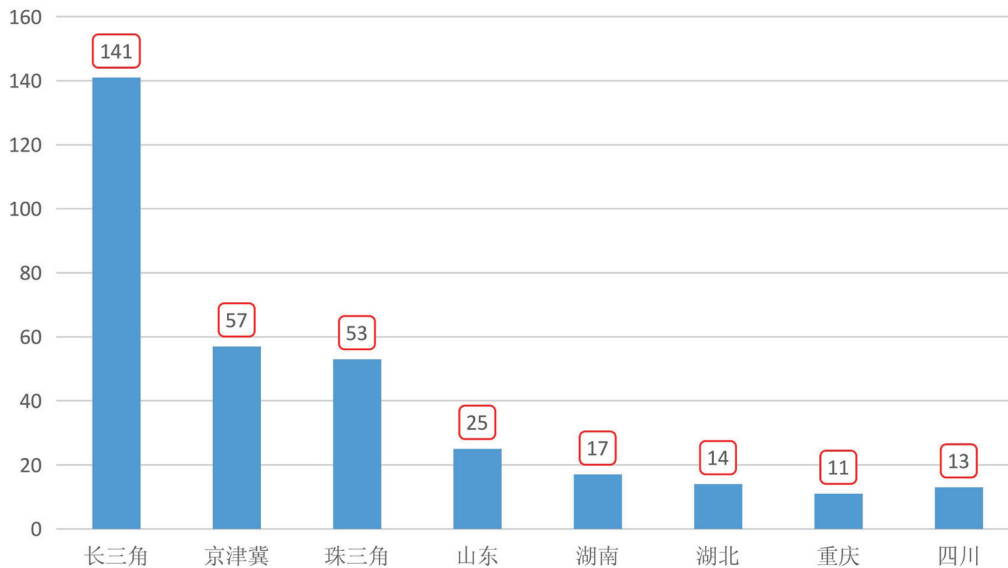


图 2-6 截止 2022 年中国生物医药上市公司区域分布数量

数据来源：公开资料整理

四是产业政策体系持续加强。近年来，我国不断加强对生物医药产业发展和创新的政策供给，特别是《“十三五”生物产业发展规划》《国务院关于改革药品医疗器械审评审批制度的意见》《关于深化审

评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》《健康中国行动（2019—2030年）》《“十四五”医药工业发展规划》《“十四五”生物经济发展规划》等政策规划的出台，为我国生物医药产业发展构建了“上下协同、左右互动”的生物医药产业政策体系。以新药上市注册为例，根据医药魔方 PharmGO 统计数据，2012年，我国创新药递交上市注册申请（New Drug Application, NDA）到获批上市的时间平均为 927.4 天，而 2022 年这一时间已经缩短至 485.7 天。



第3章 当前至2035年我国未来生物医药产业发展形势预测

党的二十大报告擘画了到二〇三五年基本实现社会主义现代化的宏伟蓝图，访谈专家认为，在这一进程中，我国将面临人口老龄化程度不断加深、健康中国建设全面推进、居民消费水平提升和健康消费理念深化的新形势，我国未来生物医药产业发展也将面临新需求、新形势和新机遇。

3.1 面临新需求

人口老龄化引致医疗需求变化。进入新世纪以来，我国人口老龄化进程明显加快。预计“十四五”时期，我国60岁及以上老年人口总量将突破3亿，占比将超过20%，进入中度老龄化社会。2035年左右，60岁及以上老年人口将突破4亿，在总人口中的占比将超过30%，进入重度老龄化社会³。随着人口老龄化程度加剧，与年龄密切相关的疾病，如高血压、糖尿病、癌症、脑卒中、关节炎和阿尔茨海默病等慢性病发病率将持续提高，相关疾病负担也将持续增大。根麦肯锡预测，2030年我国与老龄化相关的心血管疾病、肿瘤、肌肉骨骼疾病、心理障碍、神经系统疾病将占据疾病负担的前几位。

³ 国家卫健委，中国预计2035年左右进入重度老龄化阶段，<http://health.people.com.cn/n1/2022/0920/c14739-32530182.html>，2022年9月20日。

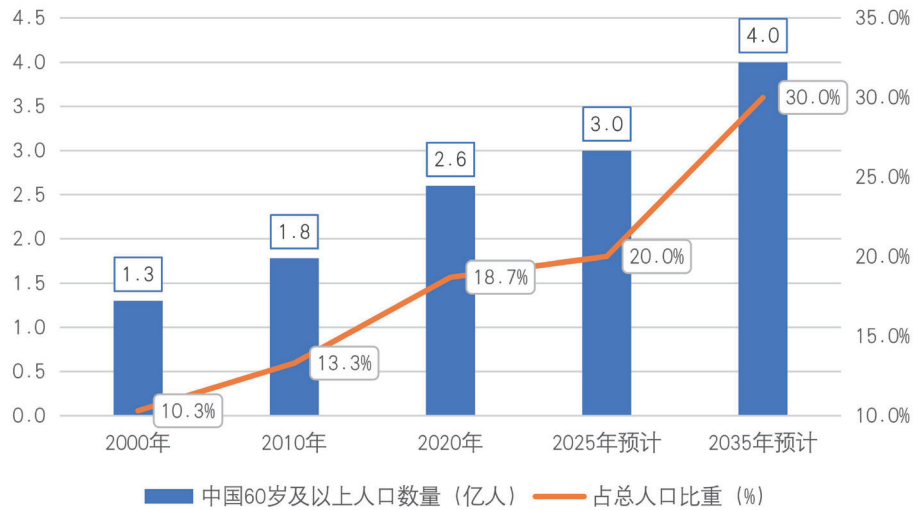


图 3-1 2000—2035 年我国 60 岁及以上人口数量及比重

数据来源：国家统计局

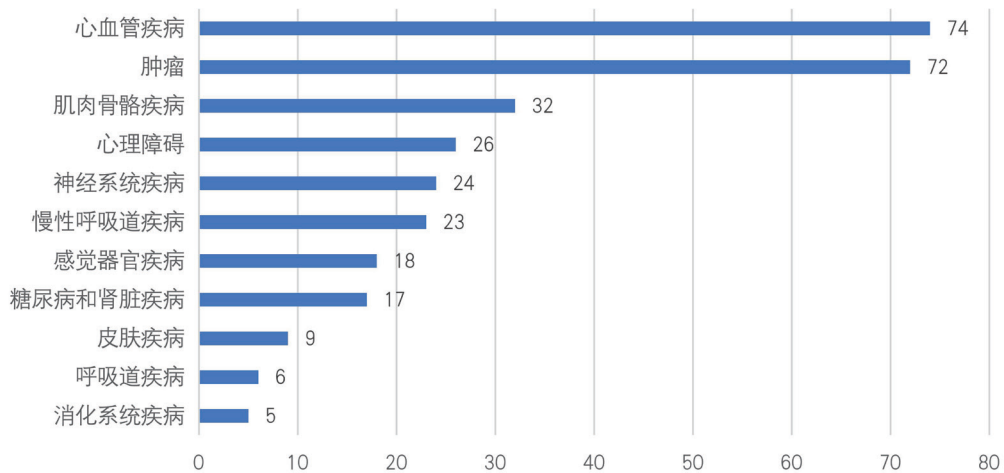


图 3-2 预计到 2030 年我国疾病负担（单位：百万伤残调整生命年 DALY）

数据来源：华盛顿大学 IHME，麦肯锡

突发大规模公共卫生事件以及环境变化导致预防性需求。近年来由于经济全球化、气候及环境变化、人类生产生活方式改变等因素影响，包括重大传染病疫情、群体性不明原因疾病、重大食物中毒、职业中毒、自然灾害健康危害以及其他严重影响公众健康事件等在内的各类突发公共卫生事件数量不断增加，事件规模日趋扩大，甚至危害



国家公共卫生安全乃至社会安定。国家癌症中心 2020 年 12 月公布的数据显示，大气污染在中国的肺癌死因中占到 23.9%，明显高于全球 16.5% 的平均水平。2019 年，《柳叶刀》杂志发表的研究表明，空气污染为中国排名第 4 的健康风险因素⁴。此外，我国是全球气候变化的敏感区和影响显著区，气候变化对公众健康造成的威胁亦尤为突出，我国居民的健康受极端降雨和登革热等疾病的影响在过去十年中呈现上升趋势⁵。

我国经济社会发展矛盾下的精神和心理疾病快速增长。近年来，我国精神心理疾病的患病率呈持续上升趋势，成为全球性的公共卫生问题和社会问题。从国际经验来看，未来相当长一段时间，我国精神心理疾病的患病率都将处于上升阶段，造成严重社会负担。根据《柳叶刀》杂志报道，2019 年我国精神心理疾病占疾病总负担的 22.8%，已超越心血管疾病跃居疾病总负担首位，估计 2020 年占我国疾病总负担的 25%⁶。而当前我国精神心理健康服务供给仍存不足，患者对于抑郁、焦虑、狂躁等治疗药物需求度较高，市场销售额也保持较快增长趋势。从 2016—2021 年，我国精神障碍用药市场销售额年均复合增长率达到 16.2%，预计 2022 年增长至 324.7 亿元⁷，随着患者人数的增加预计在未来仍有着巨大增长潜力。预计 2035 年，我国精神障碍用药市场规模会突破 800 亿元。

⁴ 刘倩,曲广波,陆达伟.我国环境污染与健康基础研究的若干新需求[J].中国科学院院刊, 2021, 36(05): 614-621。

⁵ 《2022 柳叶刀人群健康与气候变化倒计时报告》，2022 年 10 月 30 日。

⁶ 国家发改委高技术司，《中国生物产业发展报告 2022》，2022 年 6 月。

⁷ 2022 年中国精神障碍用药行业发展现状分析，<https://new.qq.com/rain/a/20220214A05OWJ00.html>，2022 年 2 月 14 日。

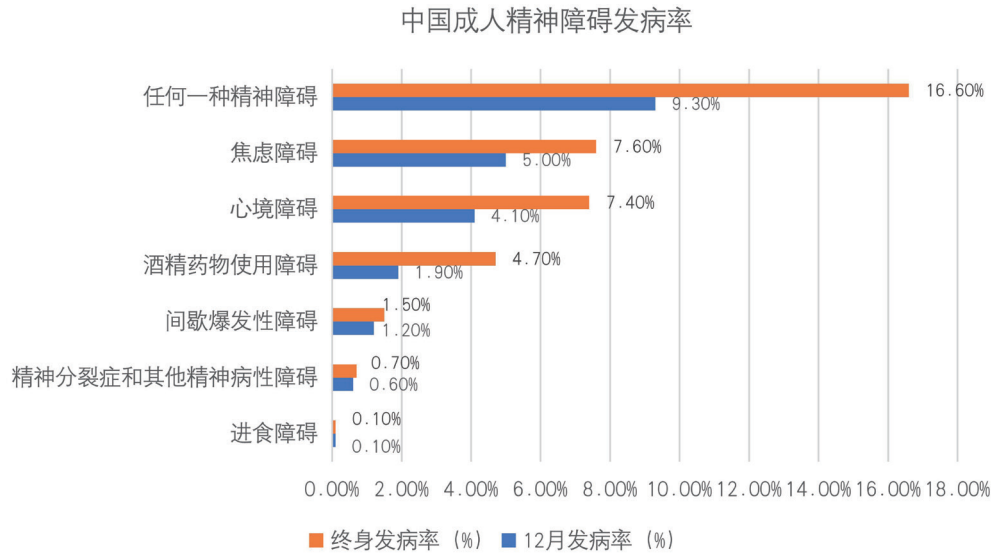


图 3-3 当前我国成人精神障碍疾病发病率

数据来源：《柳叶刀—精神病学》

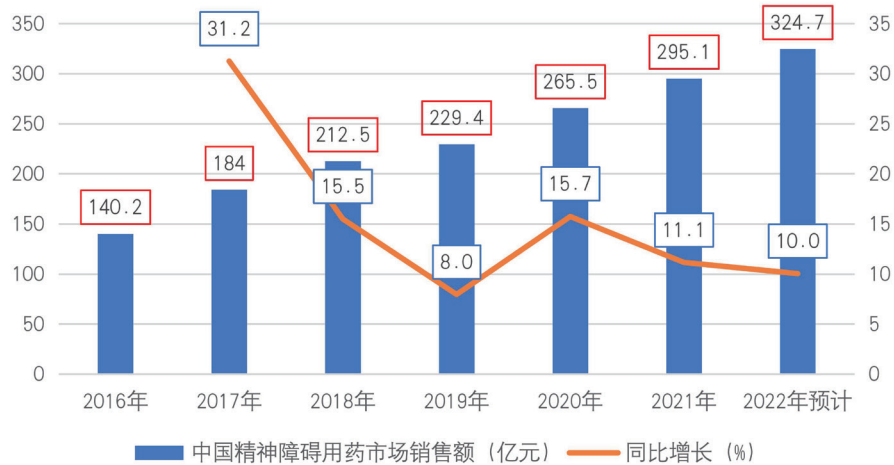


图 3-4 2016—2022 年我国精神障碍用药市场规模及增速

数据来源：NMPA 南方所、中商产业研究院整理

3.2 面临新机遇

首先，我国生物医药产业整体创新能力持续提升。过去十年，我国批准上市新药数量占全球 15%，本土企业在研新药数量占全球



33%⁸。国际上通常用研发管线产品数量指标来衡量一国对全球生物医药创新的贡献度。按照这一衡量标准，据《2022 医药研发趋势年度分析》白皮书数据，截至 2022 年 1 月，我国药物研发管线数量为 4189 条，仅次于美国，稳居全球生物医药研发第二梯队前列。全球知名药企高管普遍预测，尽管中国生物制药企业目前仍以跟随性创新开发为主，但在抗肿瘤、重组抗体和小分子药物研发方面有望在 2035 年前取得一系列突破性进展，推动我国成为世界医药创新重要源头。

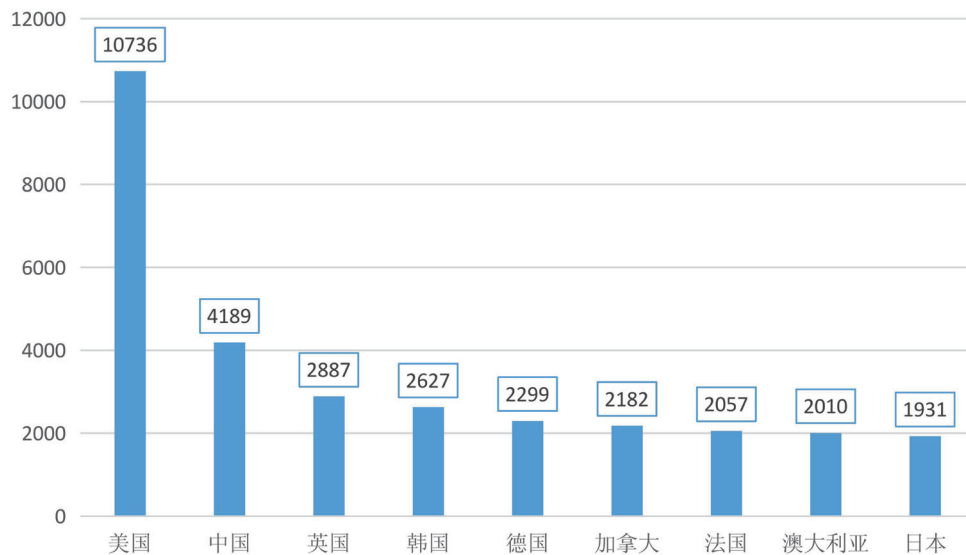


图 3-5 2022 年世界主要国家研发管线产品数量

数据来源：《2022 医药研发趋势年度分析》，Informa 集团

其次，技术融合将有效赋能“弯道超车”。所谓技术融合是指在产业创新很难有突破性进展时引进其他技术以融合方式推动超常规突破。这个过程将有效催生新的未来产业并产生巨大的经济效益。当前，人工智能（AI）已经成为重塑生物医药产业创新形态和全球竞争格局的关键因素。基于我国人工智能领域良好发展基础以及大规模量

⁸ 健康界，毕井泉：生物医药是科技含量最高、投资最活跃领域之一，<https://www.cn-healthcare.com/articlewm/20221107/content-1462452.html>，2022 年 11 月 6 日。

子计算投入应用,在未来3—5年我国“人工智能+生物医药”将进入“集成化AI药物研发”阶段,从AI模型优化分子到合成路线设计,再到自动合成、自动分析、自动筛选,让智能机器人在无人环境下完成各种化学和生物实验,彻底改变我国原创新药“十年个位数”的局面⁹。

第三,生物医药科技创新领域国际合作将进一步深化。长期以来,生物医药领域一直是我国国际交流最活跃的新兴产业之一。尽管当前全球高技术产业发展受政治因素影响导致“脱钩”“断链”“阻流”的情况时有发生,但在生物医药领域国际合作仍然是主旋律。一方面,相比较半导体等电子信息领域,美西方对我生物医药领域的“卡脖子”程度相对较弱,加之生命健康领域天然具有全球一体化属性,这一领域的“科技战”只会得到“伤敌一千自伤八百”的结果;另一方面,生物医药领域科研范式正在发生深刻变革,“生产”成为继“研究”“发展”后的第三创新环节;“市场需求——技术需求——科学突破”的反向互动为我国从生物医药生产大国向研发强国转变提供了非传统、非线性发展的可能。

3.3 面临新挑战

一是基础研发能力严重不足。基础研究以及基础设施投入是生物医药产业发展的重要基石,全球80%的药物都可追溯到基础科学发现。一方面,我国基础研发投入严重不足。2022年,美国仅国立卫生研

⁹ 蒋华良, AI制药有望改变我国原创新药“十年个位数”局面, 2022, <https://export.shobserver.com/baijiahao/html/560082.html>.

究院（NIH）一家机构的年度科研预算就可能达到 510 亿美元¹⁰，其中 80%投向了医学前沿基础研究领域，而同年我国生物医药领域全部研发支出仅为 343 亿美元，且主要投向试验发展领域；另一方面，我国生物医药领域领军型人才不足，有能力引领突破的创新型人才和能将产业、资本、医院、科学家这些要素串联起来的创业型人才仍然稀缺。

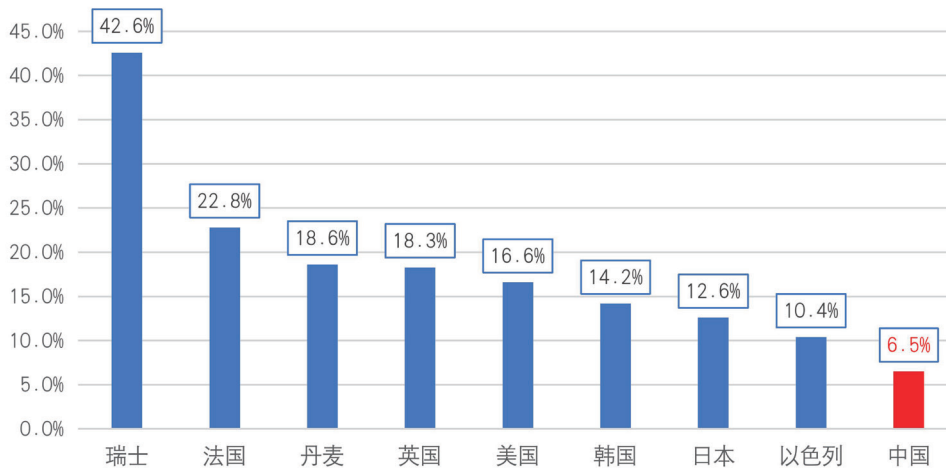


图 3-6 2021 年世界主要国家基础研究投入占总研发投入的比重

数据来源：OECD

2017-2020年间中国上市的37个I类新药原创性

全球在研401个靶点中国覆盖率

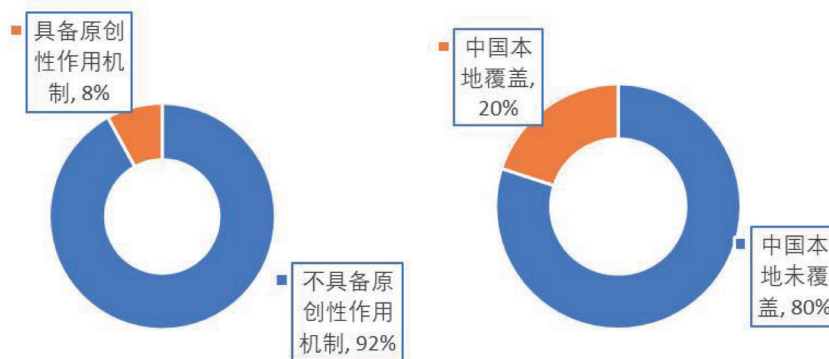


图 3-7 我国生物医药创新能力与全球的比较

数据来源：德勤，中金公司

¹⁰ <https://www.aip.org/fyi/2023/fy22-budget-outlook-national-science-foundation>。

二是研发创新风险不断加大。相比较其他产业而言，生物医药产业投入更大、周期更长、风险更高。近年来的全球经验表明，生物医药企业每 10 亿美元研发费用对应获批的新药数量大约每隔 9 年就会下降一半，即所谓“倒摩尔定律”（Eroom's Law）。由于起步较晚，我国专注于原创性新药研发的生物医药企业规模仍然不大，在当前国际生物医药原始创新白热化竞争中抵抗风险的能力比较脆弱，一旦研发上市失败将导致巨大损失甚至灭顶之灾。

三是“专利墙”制约日益明显。所谓“专利墙”是指企业针对某一领域凭借其研发优势地位通过专利布局打造的旨在防止同业竞争的防御机制。多年来，美国生物医药产业界凭借其快速追踪技术创新的能力，在率先开展产业布局的同时构建了严密的“专利墙”，以最大限度维持其产品超额利润。相比之下，我国生物医药企业在技术方向上大都处于追随模式，往往在国外成熟产品上市后才着手布局，受“专利墙”制约只能聚焦在少数领域进行快速跟进（fast follow）和改良模仿（me better），导致研发同质、过度竞争和临床资源浪费的“内卷”情况。



第 4 章 全球未来生物医药产业布局 及我国的重点研究方向

未来生物医药产业的发展方向受技术突破难度和产业发展前景等因素影响，具有巨大的不确定性。我们挖掘出对全球生物医药产业发展方向将可能产生重大影响的 30 项关键技术，通过专家问卷等方式遴选出在我国具有较好技术突破前景和较大产业培育价值的技术领域。

4.1 准确把握全球未来生物医药产业布局方向

了解把握全球生物医药研发热点技术对于我国科学布局生物医药关键技术研发方向、制定更有针对性的创新扶持政策具有重要现实意义。考虑到对已有专利等科研和产业化成果进行分析的传统研究范式无法突破“专利墙”制约，为了更好地分析研判全球主要国家正在开展且尚未形成“专利墙”的生物医药技术科研布局方向，我们创造性地从处于创新早期的全球科研项目立项入手，对目前全球主要国家的主要科研资助机构近 5 年（2018 年 1 月 1 日至 2022 年 8 月 31 日）所支持的 27911 个生物医药技术研究项目¹¹进行大数据挖掘和分析，综合运用无监督短语抽取、文本核心内容筛选、短语挖掘和扩充等

¹¹ 通过公开渠道获得以下 8 个机构的科研立项数据：美国国立卫生研究院（National Institutes of Health, NIH）、英国生物技术和生物科学研究委员会（Biotechnology and Biological Sciences Research Council, BBSRC）、英国医学研究理事会（Medical Research Council, MRC）、英国惠康基金会（Wellcome Trust, WT）、法国国家科研署（Agence Nationale de la Recherche, ANR）、德国科学基金会（Deutsche Forschungsgemeinschaft, DFG）、日本科学技术振兴机构（Japan Science and Technology Agency, JST）、瑞士国家科学基金会（Swiss National Science Foundation, SNF）。

AI 技术并结合领域专家验证，梳理出当前全球主要国家生物医药技术前沿重点布局的 30 个热点技术方向（见表 4-1 和图 4-1）。这 30 个热点技术既涵盖基因编辑（Gene editing）、药物递送（Drug delivery）、诱导型人工多能干细胞（Induced pluripotent stem cell）等主流热点，也包含空间转录组学（Spatial transcriptomics）、异种移植（Xenotransplantation）、相分离（Phase separation）等潜在研究热点，代表了发达国家未来生物医药产业的布局。

表 4-1 全球生物医药技术研究关键技术点

序号	关键技术点	中文译名	项目数	金额（美元）
1	Gene editing	基因编辑	620	583,499,984
2	CRISPR-Cas	CRISPR-Cas	1,478	835,656,289
3	Gene delivery	基因递送	220	223,349,613
4	Epigenetic therapy	表观遗传疗法	91	59,208,661
5	Immune checkpoint inhibitor	免疫检查点抑制剂	267	128,979,717
6	Chimeric antigen receptor	嵌合抗原受体	482	342,213,722
7	Recombinant antibody	重组抗体	174	175,865,009
8	Antibody drug conjugate	抗体药物偶联物	109	72,481,417
9	Targeted protein degradation	靶向蛋白质降解	114	55,974,261
10	Small molecule inhibitor	小分子抑制剂	328	336,834,823
11	Drug delivery	药物递送	607	408,357,578
12	Vaccine design	疫苗设计	193	451,131,791



序号	关键技术点	中文译名	项目数	金额(美元)
13	mRNA vaccine	mRNA 疫苗	47	57,828,014
14	Induced pluripotent stem cell	诱导型人工多能干细胞	491	454,274,103
15	Cell reprogramming	细胞重编程	114	92,159,499
16	Protein structure	蛋白质结构	351	299,333,783
17	Protein design	蛋白质设计	67	69,649,413
18	Proteomics	蛋白质组学	1,400	1,266,466,418
19	Whole-genome sequencing	全基因组测序	613	678,372,744
20	Whole transcriptome	全转录组测序	315	305,331,014
21	Spatial transcriptomics	空间转录组学	114	158,813,931
22	Single cell sequencing	单细胞测序	846	617,718,599
23	High throughput sequencing	高通量测序	237	165,610,173
24	Metabolomics	代谢组学	352	422,170,208
25	Anti-retroviral therapy	抗逆转录病毒疗法	46	53,207,055
26	Xenotransplantation	异种移植	49	34,864,963
27	Organoid	类器官	921	775,986,882
28	Phase separation	相分离	100	74,377,166
29	3D print	3D 打印	91	59,793,758
30	Artificial intelligence + Biomedicine	人工智能+生物医学	821	699,078,464
合计			11,658	9,958,589,052

数据来源：课题组整理获得

上述 30 个热点技术领域覆盖 11658 个在研科研项目，占全部样本的 41.8%，共计得到 99.59 亿美元的科研经费资助。其中，关于基因编辑工具 CRISPR-Cas 技术的研究项目最多，达 1478 项；关于蛋白质组学技术的项目资助金额最多，达 12.66 亿美元，占全部资助金额的 12.7%。显然，这些关键技术点或是当前生物医药的重点研究方向，或是涉及未来生物医药的关键共性技术，或是未来生物医药创新技术相关的基础原理研究。可以预见，这 30 个得到主要发达国家生物医学科研机构重点支持布局的技术领域将在未来 5 年左右产生重大技术突破并在未来 8—10 年具备产业化条件，从而创造出全球生物医药产业发展的新机遇。

不同技术研究热度不同。每类技术的项目数量与总资助金额高度正相关（见图 4-2），每类技术的研究项目数量和累计总资助金额基本可以反映该技术当前研究热度（见图 4-3）。其中，CRISPR-Cas 和蛋白质组学无论是资助项目数量还是总资助金额，都远超其它技术点，在癌症、艾滋病等研究领域有着极为基础性的应用。例如，天普大学 2021 年承接的，名为“CRISPR for Cure”的 NIH 资助研究项目（项目号：UM1AI164568），致力于开发基于 CRISPR 的 HIV 治愈方法。斯克利普斯研究所（Scripps Research）连续 5 年（2018—2022 年）承接名为“Chemical Proteomic Platforms for Radically Expanding Cancer Druggability”的 NIH 资助研究项目（项目号：R35CA231991），致力于持续建设可用于研究癌症成药性的化学蛋白质组学平台。

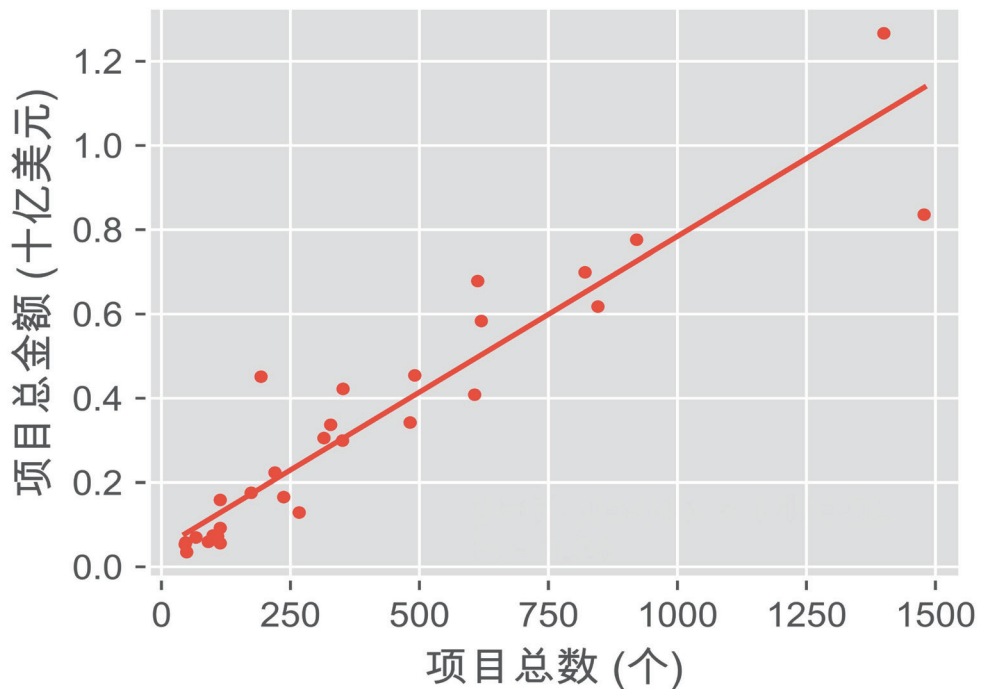


图 4-2 关键技术点资助项目数量与总金额线性关系图

不同技术资助强度不同。在全部 30 项关键技术中，疫苗设计（233.75 万美元）、空间转录组学（139.31 万美元）、mRNA 疫苗（123.04 万美元）、代谢组学（119.94 万美元）、抗逆转录病毒疗法（115.67 万美元）的项目平均资助金额较高；CRISPR-Cas（56.54 万美元）、靶向蛋白质降解（49.10 万美元）、免疫检查点抑制剂（48.31 万美元）技术的项目平均资助金额相对偏低。其中，疫苗设计研究项目的平均资助金额达 233.75 万美元，是所有技术点中平均资助金额最高的，既表明新冠疫情背景下疫苗研究的重要性，也说明疫苗研究耗资较大，需要较强的资金投入力度。而技术点之间投入强度的差异性表明，不同技术点对于资金投入的需求存在客观差异，需要根据技术点本身的科研特性确定资助强度。

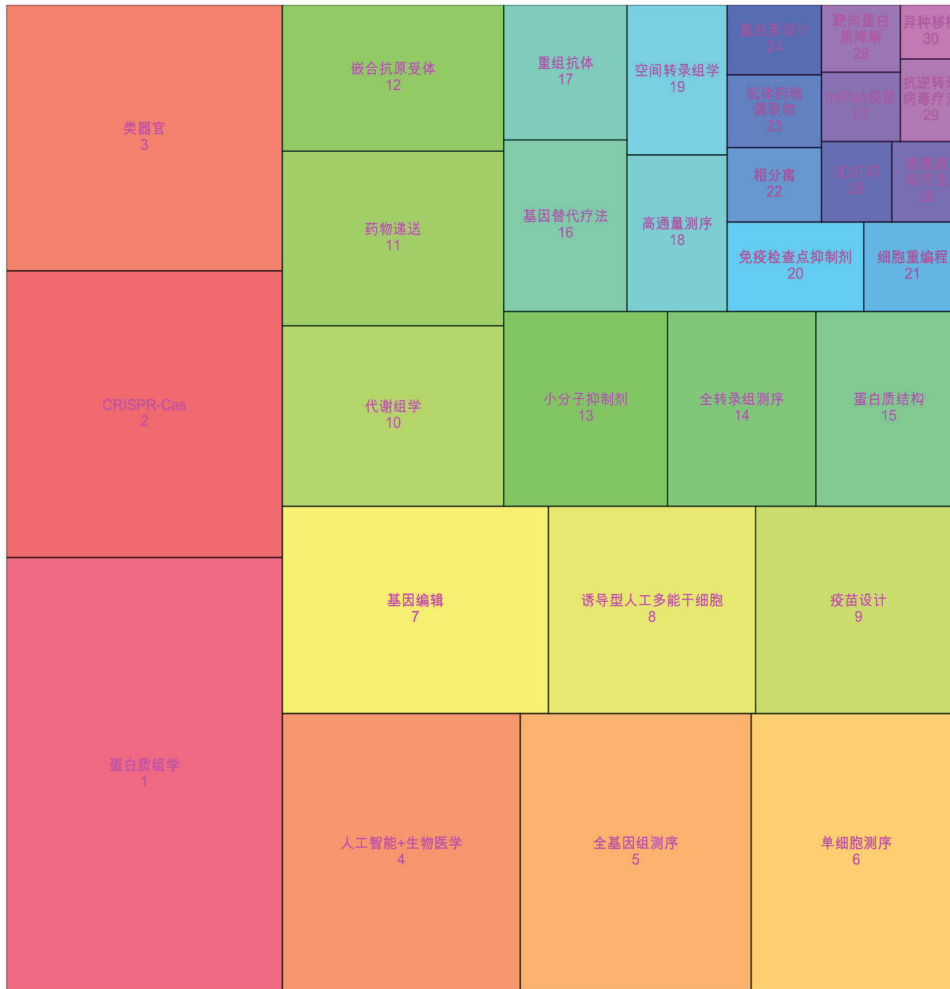


图 4-3 关键技术点研究热度图（图形大小与资助总金额正相关）

资助和承接主体呈现多样化。为了进一步了解挖掘出来的 30 项关键技术的主要资助机构和对应的被资助研究单位分布情况，有利于研究人员进一步追踪相关进展，课题组对重点资助机构和被资助机构排名前 3 的单位进行了分析（详见附件）。从资助方来看，美国国立卫生研究院（NIH）在大部分领域都是最大的资助方，各出资机构在基因编辑和药物递送等主流关键技术点上都有涉及，但在具体的关键技术点布局上存在差异。例如，日本科学技术振兴机构（JST）在 CRISPR-Cas、免疫检查点抑制剂（Immune checkpoint inhibitor）、类

器官 (Organoid)、异种移植 (Xenotransplantation)、药物递送 (Drug delivery) 技术点上的资助项目领先于其它研究出资机构, 德国科学基金会 (DFG) 则在表观遗传疗法 (Epigenetic therapy)、全转录组测序 (Whole transcriptome)、单细胞测序 (Single-cell sequencing)、高通量测序 (High-throughput sequencing)、代谢组学 (Metabolomics) 等技术点上的投入领先¹²。从被资助方来看, 高校是主要的项目承接方, 斯坦福大学、哈佛大学、耶鲁大学、杜克大学、宾夕法尼亚大学、剑桥大学、约翰霍普金斯大学等传统名校综合研究能力较强, 在诸多技术点上都有较强的技术储备。西奈山伊坎医学院 (Icahn School of Medicine at Mount Sinai)、贝勒医学院 (Baylor College of Medicine)、麻省总医院 (Massachusetts General Hospital)、波士顿儿童医院 (Boston Children's Hospital)、斯克利普斯研究所、索尔克生物研究所 (Salk Institute for Biological Studies) 等独立医学院、医院和非盈利研究机构在个别技术点上承接研究项目较多, 布局较为深入。

4.2 科学谋划我国未来生物医药产业重点方向

在上文中, 我们梳理挖掘出了全球主要国家重点资助的 30 个关键生物医药技术。可以预判, 这些重点投入的在研的关键技术中将会产生重大技术突破, 从而创造未来生物医药产业的众多发展机遇。当前, 我国正在迎来生物医药产业的黄金发展期, 生物医药创新能力已从全球第三梯队进入到第二梯队。在这一阶段, 我们不但要密切跟踪全球生物医药关键技术走势, 更要基于我国科研基础特点和潜在需求

¹² 美国国立卫生研究院 (NIH) 下属多家研究机构, 本文的对资助机构资助项目数量进行排名时使用的是 NIH 的下设机构。



规模，有所侧重地重点支持若干生物医药关键技术创新和产业化，以便在“健康中国”建设进程中进一步提升我国生物医药产业国际竞争力，进一步增进我国人民健康水平和福祉。

综上，我们基于上一节梳理挖掘的全球主要国家重点资助的生物医药关键技术，从未来生物医药产业的技术属性和产业属性两个维度出发，构建技术性（包括对我国人民普遍生命健康安全的重要程度、在我国的研究基础、我国通过自主研发或联合开发实现该技术突破的难度）和产业化（包括对拉动经济增长的重要程度、预期实现产业化或投入商业应用所需的时间、产业化综合成本）的二维指标体系（见表 4-2）。

基于这一指标体系，我们运用德尔菲专家咨询法面向来自西湖大学、北京大学、中国生物医学工程学会、国家信息中心、部分跨国生物医药企业和国内生物医药创业企业等单位的专家开展问卷调查，从而识别在我国具有较高技术突破可能性和较大产业化经济价值的关键技术，为制定更有针对性的未来生物医药产业扶持政策提供科学客观的依据。

此次生物医药未来重点方向和领域评价通过问卷星编辑问卷并在线上进行发放，累计发放问卷 50 份，实际返回有效问卷 44 份，问卷回收率 88%。在专家机构方面，高校生物医药领域专家占 59.1%，科研院所生物医药领域专家占 13.6%，企业生物医药领域专家占 20.5%，政府部门生物医药领域专家占 2.3%，其他生物医药领域专家占 4.6%。

表 4-2 未来生物医药关键领域技术评价指标体系

一级指标	二级指标	选项
熟悉度指标	对该技术的熟悉程度	A.非常熟悉, B.比较熟悉, C.一般, D.不太熟悉, E.不熟悉
技术性指标	对我国人民普遍的生命健康安全的重要程度	A.很重要, B.较重要, C.一般重要, D.不太重要, E.完全不重要
	该技术在我国的研发基础	A.很好, B.较好, C.一般, D.较差, E.差
	我国通过自主研发或联合开发实现该技术突破的难度	A.难度大, B.难度较大, C.难度一般, D.难度较小, E.难度很低
产业化指标	对拉动经济增长的重要程度	A.很重要, B.较重要, C.一般重要, D.不太重要, E.完全不重要
	预期实现产业化或投入商业应用所需的时间	A.5年, B.6—10年, C.11—15年, D.15年以上
	产业化综合成本	生物医药技术从最初研发到最终转化为市场商品整个过程中的投入。 ¹³
未来发展方向	未来生物医药产业发展方向和潜在技术	开放性问题

通过对问卷进行赋值分析,我们对技术池中 30 个关键技术从技术性得分(该技术的社会价值以及在我国实现突破的难易程度)和产业化得分(该技术的经济价值和在我国实现产业化的难易程度)两个维度进行刻画赋值,给出最终的生物医药领域关键技术的在我国实现突破可能性大小和产业化难度高低的总和排序结果。其中,技术性得分越高代表其社会价值越高且在我国实现突破的难度越小;产业化得分越高代表其经济价值越高且实现产业化的综合成本较低。

¹³ 由于生物医药技术在中试生产、临床试验、规模化生产等阶段的投入差别不大,且数据难以获得,故本项目以技术池 30 个关键技术 2018—2022 年五年间获得的全球主要国家资助经费作为产业化综合成本替代指标。



表 4-3 未来生物医药领域关键技术的技术性和产业化得分排名

	关键技术	技术性得分	排序	产业化得分	排序
1	基因编辑	0.5646	12	0.5576	17
2	CRISPR-Cas	0.6112	9	0.7423	9
3	基因替代疗法	0.2485	28	0.4174	27
4	表观遗传疗法	0.1046	30	0.3499	29
5	免疫检查点抑制剂	0.5878	10	0.8669	2
6	嵌合抗原受体	0.5747	11	0.7256	10
7	重组抗体	0.8297	2	0.8144	6
8	抗体药物偶联物	0.7521	3	0.8068	7
9	靶向蛋白质降解	0.4493	17	0.7011	12
10	小分子抑制剂	0.6429	7	0.8430	3
11	药物递送	0.5323	15	0.8155	4
12	疫苗设计	0.4095	21	0.5187	24
13	mRNA 疫苗	0.5508	13	0.7503	8
14	诱导型人工多能干细胞	0.6677	4	0.5519	18
15	细胞重编程	0.2612	27	0.4357	26
16	蛋白质结构	0.5401	14	0.5400	20
17	蛋白质设计	0.3426	24	0.5293	21
18	蛋白质组学	0.6432	6	0.7007	13
19	全基因组测序	0.4447	18	0.6102	14
20	全转录组测序	0.4268	19	0.5704	15
21	空间转录组学	0.3398	25	0.4086	28
22	单细胞测序	0.4172	20	0.5607	16
23	高通量测序	0.8517	1	0.7149	11
24	代谢组学	0.3865	22	0.5450	19

	关键技术	技术性得分	排序	产业化得分	排序
25	抗逆转录病毒疗法	0.2805	26	0.5199	23
26	异种移植	0.3554	23	0.4893	25
27	类器官	0.4592	16	0.5233	22
28	相分离	0.1811	29	0.2934	30
29	3D 打印	0.6141	8	0.8144	5
30	人工智能+生物医药	0.6638	5	0.9338	1

用二维坐标系来表现，见图 4-4。

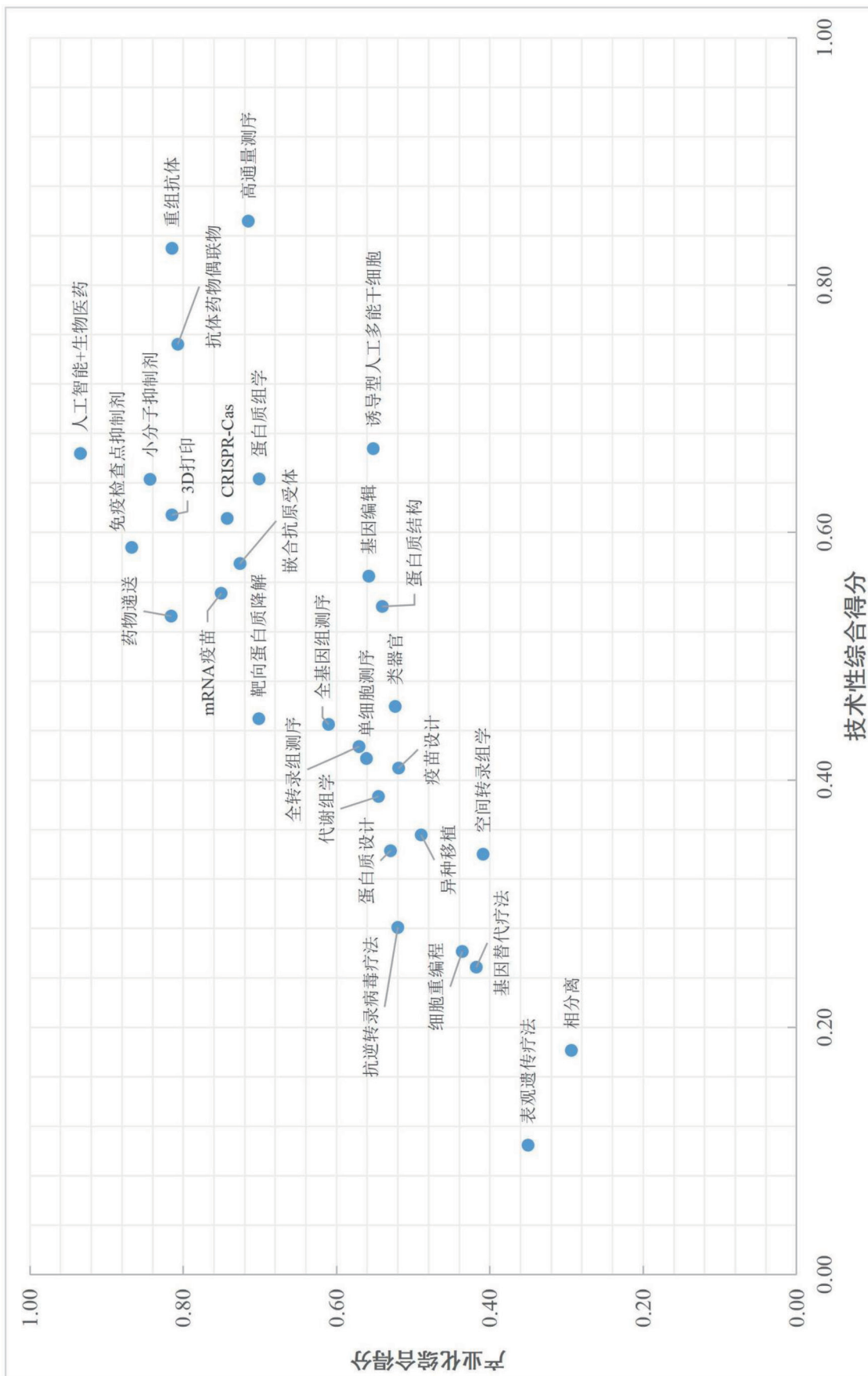


图 4-4 30 项关键技术综合得分图

从图 4-4 可知，在技术性方面，高通量测序、重组抗体、抗体药物偶联物、诱导型人工多能干细胞、人工智能+生物医药、蛋白质组学、小分子抑制剂、3D 打印、CRISPR-Cas、免疫检查点抑制剂、嵌合抗原受体、基因编辑、mRNA 疫苗等技术性综合得分排名相对靠前，反映了这些关键技术社会价值较高且在我国实现突破的难度较小。在产业化方面，人工智能+生物医药、免疫检查点抑制剂、小分子抑制剂、药物递送、3D 打印、重组抗体、抗体药物偶联物、mRNA 疫苗、CRISPR-Cas、嵌合抗原受体、高通量测序、靶向蛋白质降解、蛋白质组学等技术产业化综合得分排名相对靠前，反映了这些技术经济价值较高且实现产业化的综合成本较低。

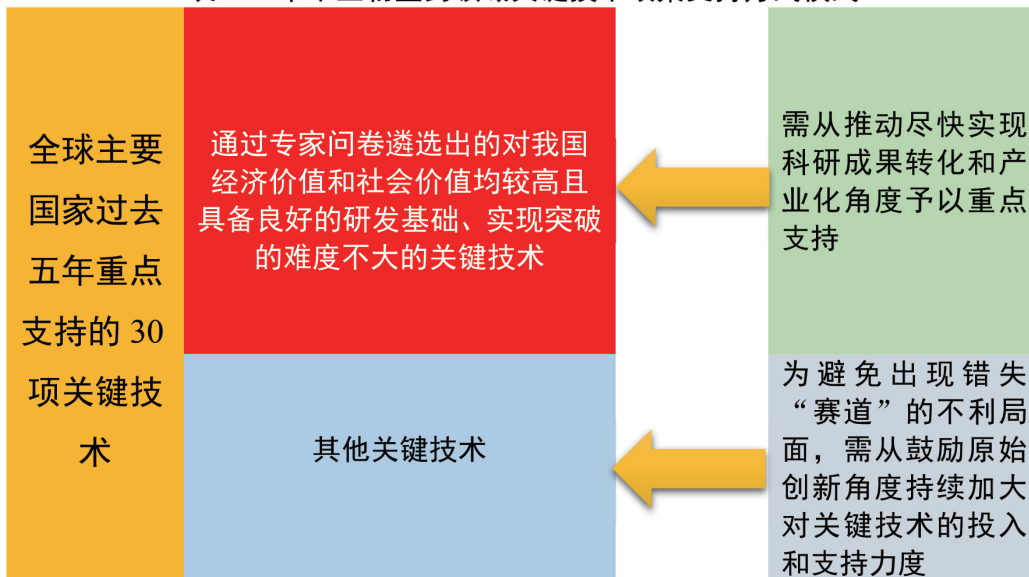
在图 4-4 上可以发现，未来生物医药产业关键技术的技术性综合得分排名和产业化综合得分排名具有一定的正相关性，即技术性综合得分排名靠前的关键技术，其产业化综合得分排名也相对靠前。基于这一特征，我们可以大致将图 4-4 划分为两个部分，即总体处于右上角的技术，包括人工智能+生物医药、重组抗体、高通量测序、抗体药物偶联物、小分子抑制剂、3D 打印、CRISPR-Cas、免疫检查点抑制剂、药物递送、蛋白质组学、mRNA 疫苗、嵌合抗原受体等。这些关键技术的经济价值和社会价值均较高，产业化综合成本较低，预期实现时间也较短，同时这些技术具备良好的研发基础，实现突破的难度不大。可以认为这些技术是我国未来生物医药产业中具有较好发展前景的领域，需要从产业发展方面予以特别关注和有力支持。

除上述关键技术以外的其他技术，如表观遗传疗法、相分离、细



胞重编程、基因替代疗法、空间转录组学、异种移植、抗逆转录病毒疗法、蛋白质设计、代谢组学等总体处于图 4-4 的左下区域。这些技术尽管得到全球主要国家的高度关注和大力支持，但受其在我国经济价值和社会价值总体相对较低、预期实现时间较长、技术研发基础薄弱、自主创新实现突破难度较大等因素影响，可以认为这些技术是我国未来生物医药产业中发展动能尚不足的领域。但必须看到，尽管这些技术仍然是全球主要国家高度关注并大力支持的领域，国内生物医药研发机构需要持续关注、密切跟踪这些关键技术发展情况，避免出现错失“赛道”的不利局面（见表 4-4）。为此，需要在科研层面进一步加大对这些关键技术投入和支持。

表 4-4 未来生物医药领域关键技术政策支持方式模式



第5章 我国未来生物医药产业值得关注的十大领域

基于上述分析结论，结合当前至2035年我国未来生物医药产业发展面临的形势，在充分考虑专家问卷中各位专家对开放性问题的回答基础上，我们探索性提出我国未来生物医药产业需重点关注和大力支持的十大领域（排序不分先后）。

5.1 领域一：人工智能等信息化技术在生物医药的应用

人工智能等信息化技术在生物医药领域的深度应用，即“人工智能+生物医药”（Artificial Intelligence + Biomedicine），是指企业和研究机构通过将人工智能与生物医药结合以实现生物医药领域的创新突破。

人工智能（Artificial Intelligence, AI）是全球重点发展的科技之一，其研究主题包括计算机视觉、自然语言处理、机器人、专家系统、推荐系统等。科技发展不断突破和快速迭代的今天，各行各业通过不同学科、领域间的交叉融合以进行深度创新已经成为一种新的产业发展和科学研究范式。生物医药（Biomedicine）是人工智能的重点交叉研究和应用领域。2017年，《自然》杂志报道了一种的具有专家级皮肤癌诊断能力的AI系统¹⁴，是人工智能赋能生物医药领域的开创性里程碑式事件。2020年，DeepMind公司发布了AI算法AlphaFold

¹⁴ Esteva A, Kuprel B, Novoa R A, et al. Dermatologist-level classification of skin cancer with deep neural networks[J]. Nature, 2017, 542(7639): 115—118.



2, 其能够基于氨基酸序列准确地预测蛋白质的 3D 结构, 其预测的精准程度可与实验技术解析的 3D 结构相媲美。该成果被认为解决了一个生物学 50 年来的重大挑战, 引发了科学界的震动, 也再次掀起了“人工智能+生物医药”的研究和产业化热潮。2022 年, Meta 公司基于最新的几何深度学习模型“EquiBind”开发的 ESMFold, 以比 AlphaFold 2 快 60 倍速度成功预测 6 亿多种蛋白质的结构。

“人工智能+生物医药”在生物医药的诸多子领域都有所应用(新药开发、酶及蛋白质设计、医学图像分析、疾病预测、疾病预防、智能诊断、精准医疗等), 并有望广泛重塑生物医药研究和产业现状。

“人工智能+生物医药”能够实现在生物医药产业自上游到下游的投入使用, 并且部分应用场景已经能够为企业带来实际收益。以新药开发为例: 在研究调研阶段, “人工智能+生物医药”可以通过对来自文献等的信息进行自动化的文本分析, 抽取和药物研发相关的关键信息, 以辅助研发人员在研究和产业化中的决策; 在药物开发阶段, 通过对生物医药试验和临床大数据的智能分析以缩短发掘新治疗靶点、新药用分子的周期, 降低药物研发成本; 在临床验证阶段, 通过人工智能对临床试验数据的智能化分析, 以更好了解新药对于不同患者的治疗效应。未来, 我们将看到更多人工智能应用于生物医药产业链中各环节的案例, 通过人工智能的应用来进一步增强生物医药相关单位的产业竞争优势。

5.2 领域二: 重组抗体技术

重组抗体 (Recombinant antibody) 是指利用重组 DNA 等分子生

物学技术产生的抗体。重组抗体的最大特点是编码其抗体蛋白质的氨基酸或 DNA 序列是已知的。因此，在制备重组抗体时，人们可以通过重组 DNA 等技术，将编码重组抗体的基因序列插入至表达载体，并将其转入至表达宿主中（如哺乳动物细胞、酵母或细菌），进而表达纯化以获得特定种类的重组抗体。不同于传统的多克隆抗体/杂交瘤技术产生的单克隆抗体，重组抗体具有无动物源生产、高批次间一致性等优点，能够满足抗体大规模生产的需求，并以标准化的生产流程控制抗体生产质量稳定性。

重组抗体的另一显著优势是其易于工程化改造。通过分子生物学、合成生物学等手段，人们对重组抗体进行人源化以降低免疫原性；或将重组抗体的重链、轻链或部分片段区域进行重排或替换，以设计出具有新抗体特性的重组抗体。通过噬菌体展示等技术手段，人们也能够高通量地对重组抗体进行抗体性能筛选，以快速筛选出那些能够特异性靶向具有治疗意义的特定靶点的具有潜在成药性的重组抗体。上述特性使得重组抗体能被改造成不同的形式，以适用于特定应用。例如，特异性靶向组蛋白翻译后修饰的重组抗体不仅加速并改善了表观遗传学研究，还有望带来新的研究突破。

重组抗体技术持续发展，单链抗体、纳米抗体、双特异性抗体等类型的重组抗体近年来也受到了广泛研究，许多产品也已被批准上市。人工智能等技术的蓬勃发展也使得人们能够更加理性和快速地设计出更高效的重组抗体。另外，重组抗体的制备和生产技术也在持续拓展，其中无细胞表达合成体系值得关注。无细胞表达合成体系由于可



以进一步实现无表达宿主式的抗体生产，因而有望在更短的时间产生更广范围的抗体产品。由于配方调节的灵活性，无细胞合成技术亦可适用于那些由人工智能设计产生的、但宿主表达难度高的抗体的制备和生产。

目前，基于重组抗体的药物研发也已成为生物制药的主流之一。未来，重组蛋白类药物将在癌症、传染病、免疫、内分泌代谢和神经系统等疾病防治领域发挥巨大作用。

5.3 领域三：小分子抑制剂技术

小分子药物一直在医学进步中发挥着重要作用，并解决人们未满足的需求，其也是每年新批准药物中占比最大的药物类型（2022年FDA批准的新药中，小分子药物占比超过五成¹⁵），未来，小分子类药物预计仍然将持续在新药研发中占有较大比重。小分子抑制剂（Small molecule inhibitor）属于小分子类药物，是指一类能够靶向作用于蛋白，降低蛋白活性或者阻碍生化反应的、分子量小于1000道尔顿的有机化合物分子。小分子抑制剂通过直接和靶蛋白结合，以底物竞争、改变蛋白结构，或者阻碍蛋白构象转变等方式降低靶蛋白活性。

小分子抑制剂常见于目前临床上使用的各种药物中，包括各类蛋白质、酶、激酶、转录因子、质子泵、离子通道抑制剂等。小分子抑制剂通常能够迅速使其靶标失活因而在精细调控细胞生命和功能方面具有显著优势，这也使其成为生命科学研究中重要的工具药。

¹⁵ 2022年FDA批准的37款新药中，小分子药有21种，占56.8%。Mullard A. 2022 FDA approvals[J]. Nature Reviews Drug Discovery, 2023.

得益于分子量较小的特点，小分子抑制剂在口服吸收性好、易于透细胞、透屏障（如血脑屏障）给药、成药性能好、药物代谢动力学性质佳等方面相比于其他类型药物有优势。这些特点使得小分子抑制剂获得市场和新药研发的青睐。近年来，得益于人工智能、计算化学、分子对接、蛋白质结构解析和预测等技术的发展，人们得以更有效地发掘小分子抑制剂的新靶点，并对小分子抑制剂进行理性药物设计，进而加速小分子抑制剂的新药研发。未来，小分子抑制剂将更广泛地应用于癌症治疗及其他治疗领域，更多类型的小分子抑制剂将问世。

5.4 领域四：高通量测序技术

高通量测序（High-throughput sequencing）是指以高通量、快速、高效、且经济的方式对各种生物序列（例如 DNA、RNA、蛋白质等序列）进行测序。在传统意义上，高通量测序通常是具体代指高通量基因测序，国家发展改革委印发的《“十四五”生物经济发展规划》中所提出的：“要加快发展高通量基因测序技术，推动以单分子测序为标志的新一代测序技术创新，不断提高基因测序效率、降低测序成本。”然而，随着近年来针对蛋白质等非核酸序列进行高通量测序的技术的涌现，高通量测序的含义也随之扩展。

高通量基因测序技术是许多研究（例如基因组学）的基石性技术，其出现对生命科学和医学的发展起到了革命性的作用。例如，得益于高通量基因测序，被誉为人类二十世纪三大科学工程之一的人类基因组计划得以在 2003 年完成。近年来高通量基因测序技术的发展已较为成熟，其测序对象和应用场景已十分多样化，例如：全基因组从头



测序、全基因组重测序、全基因组甲基化测序、全外显子组测序、全转录组测序、RNA 测序，等等；许多新型高通量基因测序技术也陆续涌现，长读测序、单分子测序、单细胞测序、空间转录组测序等技术为生物医药研究带来新的可能。

随着人类基因组测序工作的完成，生命科学的研究重心或将从基因组学拓展至蛋白质组学。想要深入了解蛋白质组全部的成分和序列信息，进一步认识生命活动和疾病发生的分子机制，其关键即在于要有合适的高通量蛋白质测序技术做支撑。目前，高通量蛋白质测序技术虽然尚不如高通量基因测序技术般强大。然而，非质谱类高通量蛋白质测序、蛋白质高分辨率质谱、单分子蛋白质测序等新型高通量蛋白质测序技术的不断涌现，也让该技术日趋成熟，并为其带来新的研究和产业化机遇。

我国在高通量测序领域具有较好的研发基础和巨大的潜在市场需求，为我国在该领域实现弯道超车奠定了坚实基础。另外，高通量测序技术发展的一大特点是同时依赖于生物医药硬件技术和信息化软件技术的协同发展。近年来，人工智能、生物信息学等软件算法的进步也为高通量测序技术的发展带来新的机遇。通过更智能的信息化技术，人们能够以更高效且自动化的方式对测序大数据进行分析，进而获取有意义的测序结果。未来，高通量测序技术将被更广泛地应用于生物医药领域，成为精准医疗等现代医学领域的重要基石；高通量蛋白质测序或将成为继高通量基因测序之后的新的产业化增长点。

5.5 领域五：药物偶联物技术

药物偶联物 (Drug conjugate) 是指一类运用特定的连接子 (通常是化学链) 将具有靶向定位性的配体和效应分子连接起来而产生的药物, 其核心理念是定位配体发挥靶向投递作用, 效应分子发挥治疗作用。总的来说, 药物偶联物的构成可以用“定位配体-连接子-效应分子”的公式进行概括, 根据定位配体的类型差异, 又可将药物偶联物进一步具体细分为: 抗体药物偶联物 (Antibody-drug conjugate)、多肽药物偶联物 (Peptide-drug conjugate)、蛋白药物偶联物 (Protein-drug conjugate)、小分子药物偶联物 (Small-molecule drug conjugate)、高分子药物偶联物 (Polymer-drug conjugate)、放射性核素药物偶联物 (Radionuclide-drug conjugate)、病毒样药物偶联物 (Virus-like drug conjugate), 等等。

以近年来发展较好的、具有代表性的抗体药物偶联物 (ADC) 为例, 通过将抗体用作定位配体, ADC 的构成即可表示为“抗体-连接子-效应分子”。相比传统药物, ADC 具有更好的给药靶向性。2000 年, 首个 ADC 被 FDA 批准用于治疗急性髓性白血病, 但存在具有致死性毒性等缺点。近年来, ADC 技术日益进步, 改进后的 ADC, 其不良反应的发生率也显著降低。随着 Brentuximab vedotin (商品名 Adcetris)、Trastuzumab emtansine (商品名 Kadcyla) 等新型 ADC 被 FDA 批准用于治疗霍奇金淋巴瘤和 HER2 阳性乳腺癌, ADC 药物再次广泛进入人们的研究视野。目前, ADC 依然存在巨大的发展空间。定向偶联、多价偶联、重组抗体和小分子药物等技术的进步, 为 ADC



的药物研发带来新的可能，基于单链抗体、纳米抗体、双特异性抗体等类型抗体的 ADC 药物也持续涌现。

随着药物偶联物技术的持续进步，药物偶联物的定位配体、效应分子和连接子的类型选择也将日趋多样化。未来，我们将看到更多类型的药物偶联物被批准应用于临床，新一代的药物偶联物将持续为患者带来福音。

5.6 领域六：治疗性基因编辑技术

治疗性基因编辑（Therapeutic gene editing）是指一类通过对基因进行靶向编辑（敲除、插入、替换、修饰等）进而获得治疗效果的疗法。

治疗性基因编辑技术的核心之一在于开发能够对基因进行高效编辑的分子工具。基因编辑工具的相关研究已经有数十年历史。2020年，诺贝尔化学奖授予法国科学家埃玛纽埃尔·沙尔庞捷（Emmanuelle Charpentier）和美国科学家珍妮弗·道德纳（Jennifer Doudna），以表彰她们“研发了一种基因编辑方法”，即基于 CRISPR-Cas 的基因编辑，该突破再次引爆了基因编辑相关研究的热潮。CRISPR-Cas 基因编辑技术具有可编辑范围广、易用、高效、廉价等特点，被广泛应用于生命科学、药物研发等方面的研究。近年来，由于该技术的日益成熟，其在治疗性基因编辑方面的直接性临床研究也日益增加。2020年3月，基于 CRISPR-Cas 基因编辑技术的基因疗法首次被直接用于人体，以治疗一名患有莱伯氏先天性黑蒙症的遗传性失明患者。2022年，Vertex Pharmaceuticals 和 CRISPR Therapeutics 公司开发的名为

exa-cel 的用于治疗 β 地中海贫血和镰状细胞病这两种遗传性血液病的 CRISPR-Cas 基因编辑疗法获得 FDA 审批快速通道认定, 该疗法有望成为首个被批准的 CRISPR-Cas 基因编辑疗法。另外, 许多新型 CRISPR-Cas 系统也被开发, 并应用于基因编辑相关的新兴领域, 如 RNA 编辑、单碱基编辑、先导编辑、CRISPR 干扰 (CRISPRi) 等等。

需要指出的是, 尽管目前基因编辑在疾病治疗领域的研究数量庞大, 但其中大部分研究尚处于临床前的实验室研究阶段, 如何进一步优化基因编辑的效率、准确性、可编辑基因序列范围, 并降低基因编辑脱靶效应所带来的安全风险或是促进其被广泛应用于治疗领域并实现产业化的关键。另外, CRISPR-Cas 也非实现治疗性基因编辑的唯一技术路径, 许多其他类型的基因编辑技术也仍值得持续关注, 如基于转座子、类转录激活因子效应物核酸酶、锌指核酸酶等的治疗性基因编辑技术。未来, 我们将看到更多治疗性基因编辑相关新技术的诞生, 人类将以前所未有的方式治愈一些目前尚无良好疗法的疾病 (如基因缺陷型疾病)。

5.7 领域七: 细胞治疗技术

细胞治疗 (Cell therapy) 是指一类将活细胞移植入患者体内以实现治疗效果的疗法。细胞治疗可以根据所使用的治疗用细胞的类型而进一步细分, 如基于免疫细胞的细胞免疫疗法、基于干细胞的干细胞疗法等。

细胞免疫疗法通过向机体移植工程化的免疫细胞以达到治疗效应。在细胞免疫疗法方面, 嵌合抗原受体 T 细胞 (Chimeric antigen



receptor T cell, CAR-T) 疗法近年来突破迅速。其主要原理是通过将工程化的 CAR (一种合成跨膜受体) 基因引入 T 细胞, 进而使 T 细胞对表达有特定肿瘤特异性抗原的肿瘤细胞进行特异性杀伤。2017 年, 首个 CAR-T 疗法 (由 Kymriah 公司开发) 被 FDA 批准以用于治疗急性淋巴细胞白血病。截止 2022 年 4 月, 其他 5 种 CAR-T 疗法又陆续获得 FDA 批准¹⁶。然而, 目前 CAR-T 疗法仅在血液瘤上取得较好的临床疗效, 其面临的主要挑战是如何使工程免疫细胞能够应用于更广泛癌症类型 (特别是实体瘤) 的治疗。针对于此, 人们也在持续开发许多新型细胞免疫疗法, 如: 基于非 T 细胞的 CAR 疗法 (如基于 NK 免疫细胞的 CAR-NK 疗法等)、基于非 CAR 合成跨膜受体 (如合成 Notch 受体等) 的细胞免疫疗法等。

干细胞疗法通过利用天然或诱导的干细胞的自我更新能力、多分化潜能等特性, 对病变/衰老的细胞/组织进行修复或功能重建, 进而达到治疗效应。在临床上, 除了可以将天然干细胞 (如脐带血干细胞、间充质干细胞等) 直接用于干细胞治疗, 诱导性多能干细胞、细胞重编程等技术也值得关注。通过诱导性多能干细胞、细胞重编程等技术, 人们能够将已分化的细胞在特定条件下逆转恢复到类干细胞状态 (或直接转分化为目标细胞类型) 以用于治疗。这类技术由于具有逆转细胞命运的潜能, 因而也可能为目前市场前景巨大但尚无显著突破的抗衰老领域带来希望。

未来, 更多类型的细胞将被开发用于细胞治疗; 从患者出发的个

¹⁶ Saez-Ibañez A R, Upadhaya S, Partridge T, et al. Landscape of cancer cell therapies: trends and real-world data[J]. Nature Reviews Drug Discovery, 2022, 21: 631.

性化、定制化细胞治疗有望为更多的不治之症提供新的治疗方案。

5.8 领域八：新型药物递送技术

药物递送系统（Drug delivery system）是指在空间、时间及剂量上全面调控药物在生物体内分布的技术体系，通过增强治疗药物对其目标部位的递送，最大限度地减少目标外积累，从而改善患者的健康。相对于常规口服片剂、胶囊、静脉注射剂、吸入制剂和透皮贴剂等为主的传统药物递送系统，新型药物递送系统是指采用整体具有较高技术壁垒的新型药物递送技术（如基于脂质体、纳米粒、微球、外泌体、工程 AAV 载体、3D 打印药物制剂等的药物递送技术）对各类药物进行递送的系统。新型药物递送系统能够通过调节药物的递送和释放位置，改变药物体内代谢行为，改善药物缓释控释特性、透生理屏障（如血脑屏障）特性等方式，提高药物的疗效，并降低毒副作用。2018 年，FDA 批准脂质纳米粒作为递送载体的首款 RNAi 药物 Onpatro 上市；2021 年批准脂质纳米粒作为递送载体的首款 mRNA 疫苗 Comirnaty 上市。总体而言，至今已开发上市的新型药物递送系统产品数量仍较少。未来，为满足各种新型药物（如基因药物、mRNA 药物、多肽及蛋白质类药物、细胞药物等）的药物递送需求，我们也需要更多创新的新型药物递送系统。

5.9 领域九：免疫检查点抑制剂

免疫检查点抑制剂（Immune checkpoint inhibitor）是指一类针对肿瘤的免疫治疗药物，其主要机理是通过阻断一类被称为免疫检查点的蛋白质，以恢复免疫系统对肿瘤细胞的杀伤能力，从而起到肿瘤治



疗的作用。2018年，美国科学家詹姆斯·艾利森（James Allison）和日本科学家本庶佑（Tasuku Honjo）因在免疫检查点抑制剂方面的贡献而获得诺贝尔生理学或医学奖。

目前上市的免疫检查点抑制剂主要是针对免疫检查点PD-1/PD-L1或CTLA-4的单克隆抗体型药物。2011年，FDA批准了首款免疫检查点抑制剂，即靶向CTLA-4的Ipilimumab单抗，以用于治疗黑色素瘤。之后，陆续有靶向PD-1/PD-L1的，适用于黑色素瘤、肺癌、肠癌等肿瘤的免疫检查点抑制剂被批准。除此之外，目前还有多种针对LAG-3、TIM-3、TIGIT、VISTA等免疫检查点靶点的免疫检查点抑制剂在研；另外，双特异性抗体也是免疫检查点抑制剂的一个研发关注点，有多种能够同时靶向PD-1/PD-L1和CTLA-4的双特异性抗体在研。未来，随着人们对肿瘤免疫调节机理的更深入研究，有望开发出更多能够适用于不同肿瘤治疗的免疫检查点抑制剂。

5.10 领域十：脑机接口技术

专家问卷反馈中，脑机接口技术是被相对较多提及的，对未来生物医药将有潜在重大影响的技术。脑机接口（Brain-Computer Interface, BCI）是指一种人机连接方式，其可以将脑信号直接与机器（最常见的是计算机、芯片或机器人肢体）建立通信通路。通过脑机接口技术，人们能够通过机器，对大脑中神经系统编码的记忆、决策、情感等信息进行提取和识别；基于机器接收的脑信息，人们又可以进一步对脑活动进行调控。

脑机接口在脑科学、神经精神疾病的研究和临床治疗等方面有着

丰富的应用前景，例如：通过脑机接口，人们能够更好捕捉大脑不同区域在不同时间、不同状态下产生的神经活动信号，进而研究大脑的信息编码机制，这也有望启发新型人工智能算法的开发；通过脑机接口，人们也可以更好监测不同神经精神疾病在生理和病理情况下的脑信号，破解疾病发病的机理，进而针对性地开发相关疾病的治疗方法；人们也可以通过植入可刺激神经的脑机接口芯片，以纠正错误的神经活动或促进正常神经信号的重建，从而有望治疗一些难治的脑部相关疾病（如癫痫、视力损失、听力损失、阿尔茨海默病等）；脑机接口也用于恢复残疾或瘫痪病人的活动能力，残疾病人可以通过无创性脑机接口控制外部肢体，以替代残疾肢体的功能。

根据《中华人民共和国国民经济和社会发展第十四个五年规划和2035年远景目标纲要》，脑科学和人工智能为国家战略科技力量，而脑机接口技术（脑机融合技术）是其中的关键技术。未来，脑机接口技术有望促进脑科学和人工智能领域的研究突破，并在神经精神疾病的诊断、治疗、康复等临床领域取得更广阔的应用。



第 6 章 对我国未来生物医药产业发展的政策建议

统筹谋划未来生物医药产业发展是中国式现代化在生命健康领域的具体体现，我们针对未来生物医药产业全球发展形势、我国发展现状以及未来关键技术领域预测等分析结论，从加大对原创基础研究支持、打造国际化人才引育留用体系、加强国际前沿基础研究跟踪布局、系统化打造科研创新平台、完善科研项目管理制度等方面提出相关政策建议。

6.1 加大对原创基础研究支持力度

一是加大财政对原创基础研究的经费投入与保障力度。基础研究的开创性和颠覆性直接决定了人类对生命科学的认知水平，提升基础研究水平已成为我国的重要科技战略目标。我国基础研究经费投入规模世界第二，资助效能提升需要转向原创基础研究领域布局。中国生物医药已经进入原始创新阶段，需要围绕未来生物医药产业发展方向新建一批国家实验室，推动生物医药重点领域实现跨越式发展。二是健全多元的基础研究资金投入机制。建立政府投入引导、社会力量参与基础研究的畅通渠道，从税收优惠、政府采购、知识产权保护、风险投资、成果转化等多个方面充分激发企业和基金会等民间资本开展生物医药领域基础研究活动的积极性，鼓励社会资本以捐赠或建立基金，对用于资助生物医药产业的基础研发、技术攻关、成果转化、重大项目建设等的公益基金予以资金支持。

6.2 打造国际化人才引进留用体系

一是加强人才“引育”体系建设。未来的核心竞争力是高层次人才，支持引进一批站得高、看得远、可以掌管全局的世界顶尖人才和团队。支持青年科技人才挑大梁、当主角，造就规模宏大的青年科技人才队伍。基于生物医药领域的华人全球顶尖领军人才，推动我国人才到国际顶尖科研机构、高校和企业进行学习深造和培训交流，进一步推动国内科研机构与国际顶尖科研机构间的团队合作与互动。支持前沿交叉学科体系建设，培养生命科学复合型人才。二是优化人才“用留”评价和激励。健全生物医药领域人才投入保障机制，以培养拔尖创新人才为目标，实现从支持“项目”向支持“人”转变，为人才松绑，支持科研人员开展自由探索研究。进一步深化人才评价制度改革，尊重生物医药未来技术研发规律，根据研究类型建立相应的分类评价标准体系，完善学术共同体和同行评议制度，引导和激励广大科技工作者尤其是优秀青年科技人才聚焦原创性、突破性、引领性成果进行科研创新。

6.3 加强打造系统化科研创新平台

一是依托西湖大学等具备前沿研究基础和创新人才队伍建设的单位，集聚全球顶尖医学战略科技人才，以生命健康领域基础前沿重大科学问题突破为导向，重点引进能够引领世界科技前沿、善于整合科研资源的“帅才型”战略科学家。二是在生物医药技术前沿领域布局“超链接”型新型研发机构，重点聚焦复合型、跨领域，布局建设若干生物医药前沿科学中心和交叉学科中心，建设若干产医融合创新



示范基地，打破学科壁垒，开展前瞻性、战略性研究，探索生物医药源头性技术创新路径。三是构建生命健康创新联合体，依托北京、广东、浙江等地良好的生物医药研发产业化基础，构建科技领军企业牵头、高水平大学（院所）支撑、医疗机构和科技领军企业相互协同的生命健康创新集群，重点打造一批具有全球影响力的生命健康创新集聚区与国际一流的诊疗中心。

6.4 推动智能化赋能未来生物医药

一是要加快完善数据要素治理体系，不断创新数据要素流通机制。二是要推进新一代信息技术与生物医药产业深度融合，加快人工智能赋能创新研发。建设国家生命健康大数据中心，实现全国范围的医疗数据统筹用于生命科学和医学专业领域的 AGI 系统的开发，通过通用人工智能技术（AGI）在生命健康领域的应用，赢得 AGI 发展主动权，同时显著改善基层医疗诊治水平，低成本普及医疗分诊，降低医疗负担并增进广大群众的健康水平。

6.5 强化前沿基础研究的跟踪布局

一是要提高对技术的敏感性，对主流技术要从安全性、可评估性、扩大适用范围、提升技术效率等角度进行评估，避免因为“审美疲劳”“缺乏理论创新”而停止对技术的投入。对新兴技术要从应用潜力、原创性、突破性等角度进行评估，避免在技术发展的早期因可行性和风险降低投入。二是要重视技术点跟踪，对全球生物医药关键技术点进行长期跟踪，更好地指导我国开展相关领域的基础研究布局，避免技术层面出现代差，并力争在新兴技术点上有所突破。三是要提

升决策客观性，加强生物医药基础研究与应用场景对接，立足整个技术体系和与对标国家的竞争来布局基础研究领域。

6.6 进一步完善科研项目管理制度

一是建立生物医药科研项目持续性资助制度，对暂时没有明确应用场景的技术研究保持足够宽容。美国国立卫生研究院(NIH)自 2018 年起连续 5 年资助亚细胞基因组学研究，且每年资助金额都超过 200 万美元。但截至到 2022 年 12 月 20 日，该项目尚没有任何公开的专利或临床研究产出，表明出资机构对基础技术研究有着充分的耐心。二是促进项目资助方和承接方多元化，鼓励满足一定标准的药企、医院、生物科技初创企业、非营利研发机构和新型研发机构作为第一申报人单位承接国家科研课题。允许同一科研项目通过自筹、捐赠、协议开发等方式扩充科研资金来源。三是建立完备高效的科研项目查询和发布机制，可借鉴“RePORTER”网站实时发布美国 NIH 资助项目的基本信息这一形式建立我国生物医药科研立项和成果展示平台，以方便其他研究者跟进和产业界发掘潜在成果转移转化机遇。

附件:

全球生物医药关键技术重点资助 和被资助机构情况

关键技术点	资助机构 (Top 3) /数量	被资助机构 (Top 3) /数量
Gene editing	National Heart Lung and Blood Institute:71 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:60 Biotechnology and Biological Sciences Research Council:56	Stanford University:15 Yale University:15 University of California, San Francisco:14
CRISPR-Cas	Japan Society for the Promotion of Science:183 Deutsche Forschungsgemeinschaft:168 National Institute of General Medical Sciences:143	University of Pennsylvania:33 University of Cambridge:25 University of California, Berkeley:24
Gene replacement therapy	National Heart Lung and Blood Institute:30 National Institute of Neurological Disorders and Stroke:21 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:20	Johns Hopkins University:8 University of North Carolina at Chapel Hill:6 Duke University:6
Epigenetic therapy	Deutsche Forschungsgemeinschaft:16 Japan Society for the Promotion of Science:9 National Institute of General Medical Sciences:6	Duke University:8 Baylor College of Medicine:3 Washington University in St. Louis:2
Immune checkpoint inhibitor	Japan Society for the Promotion of Science:117 National Cancer Institute:93 Deutsche Forschungsgemeinschaft:14	The University of Texas MD Anderson Cancer Center:8 Stanford University:5 Johns Hopkins University:5 University of Tokyo:5

关键技术点	资助机构 (Top 3) /数量	被资助机构 (Top 3) /数量
Chimeric antigen receptor	National Cancer Institute:210 Japan Society for the Promotion of Science:78 Deutsche Forschungsgemeinschaft:54	University of Pennsylvania:19 Stanford University:19 University of California, San Francisco:7
Recombinant antibody	National Institute of Allergy and Infectious Diseases:64 National Cancer Institute:28 Japan Society for the Promotion of Science:15	University of California, San Francisco:7 Vanderbilt University Medical Center:6 Mucommune, llc:5
Antibody-drug conjugate	National Cancer Institute:47 Japan Society for the Promotion of Science:19 National Institute of General Medical Sciences:11	Stanford University:5 The University of Texas Health Science Center at Houston:5 University of California, San Francisco:5
Targeted protein degradation	National Cancer Institute:42 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:15 Deutsche Forschungsgemeinschaft:8	Dana—Farber Cancer Institute:4 Scripps Research Institute:4 Lifesensors (United States):4 Icahn School of Medicine at Mount Sinai:4 University of leicester:4
Small-molecule inhibitor	National Cancer Institute:116 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:57 Deutsche Forschungsgemeinschaft:21	University of Michigan—Ann Arbor:8 Northwestern University:7 Yale University:7
Drug delivery	Japan Society for the Promotion of Science:104 National Cancer Institute:91 National Institute of General Medical Sciences:57	Massachusetts Institute of Technology:17 University of North Carolina at Chapel Hill:9 University of Washington:8
Vaccine design	National Institute of Allergy and Infectious Diseases:135 Biotechnology and Biological Sciences Research Council:13 Deutsche Forschungsgemeinschaft:10	Duke University:9 Scripps Research Institute:9 Icahn School of Medicine at Mount Sinai:9



关键技术点	资助机构 (Top 3) /数量	被资助机构 (Top 3) /数量
Induced pluripotent stem cell	National Heart Lung and Blood Institute:102 Deutsche Forschungsgemeinschaft:68 National Institute of Neurological Disorders and Stroke:47	Stanford University:21 University of California, San Francisco:13 NewYork Presbyterian Hospital:12
Cell reprogramming	National Cancer Institute:26 Japan Society for the Promotion of Science:9 Eunice Kennedy Shriver National Institute of Child Health and Human Development:8	University of Pittsburgh:3 Emory University:3 Northwestern University:2 New York University:2 The University of Texas MD Anderson Cancer Center:2 University of birmingham:2 University of Tübingen:2 Boston University:2 Stanford University:2 University of Sheffield:2 Riken:2 University of Birmingham:2 Baylor College of Medicine:2 The Ohio State University:2 Harvard University:2 Cornell University:2 The University of Texas Southwestern Medical Center:2 University of Michigan–Ann Arbor:2 Josep Carreras Leukaemia Research Institute:2
mRNA vaccine	National Institute of Allergy and Infectious Diseases:25 Japan Society for the Promotion of Science:6 Biotechnology and Biological Sciences Research Council:5	University of Pennsylvania:4 Stanford University:3 University of Colorado Anschutz Medical Campus:2 Virginia Commonwealth University:2 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:2 University of Edinburgh:2 Nagasaki University:2
Protein structure	National Institute of General Medical Sciences:65 Biotechnology and Biological Sciences Research Council:52 Deutsche Forschungsgemeinschaft:21	University of California, San Diego:5 University of Alabama at Birmingham:4 University of California, Los Angeles:4 Scripps Research Institute:4 University of Tokyo:4

关键技术点	资助机构 (Top 3) /数量	被资助机构 (Top 3) /数量
Protein design	National Institute of General Medical Sciences:22 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:15 Biotechnology and Biological Sciences Research Council:8	University of Washington:7 Albert Einstein College of Medicine:3 University of Georgia:3
Proteomics	Deutsche Forschungsgemeinschaft:256 National Institute of General Medical Sciences:144 National Cancer Institute:142	University of California, San Francisco:28 Technical University of Munich:20 Massachusetts General Hospital:18
Whole-genome sequencing	Deutsche Forschungsgemeinschaft:100 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:56 National Cancer Institute:53	University of California, San Francisco:13 University of Pennsylvania:12 Massachusetts General Hospital:12
Whole transcriptome	Deutsche Forschungsgemeinschaft:66 National Cancer Institute:46 National Heart Lung and Blood Institute:21	University of California, San Francisco:8 Boston Children's Hospital:6 Yale University:6
Spatial transcriptomics	National Cancer Institute:18 National Human Genome Research Institute:13 National Institute on Aging:12	Stanford University:6 Icahn School of Medicine at Mount Sinai:6 Broad Institute:5
Single-cell sequencing	Deutsche Forschungsgemeinschaft:116 National Cancer Institute:103 National Heart Lung and Blood Institute:50	University of California, San Francisco:38 Stanford University:20 Icahn School of Medicine at Mount Sinai:16
High-throughput sequencing	Deutsche Forschungsgemeinschaft:52 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:31 National Institute of General Medical Sciences:27	University of Pennsylvania:8 Johns Hopkins University:8 Case Western Reserve University:5

关键技术点	资助机构 (Top 3) /数量	被资助机构 (Top 3) /数量
Metabolomics	Deutsche Forschungsgemeinschaft:54 National Cancer Institute:39 National Institute of General Medical Sciences:31	Duke University:8 University of Florida:7 University of California, San Francisco:7
Anti-retroviral therapy	National Institute of Allergy and Infectious Diseases:27 National institute on drug abuse:8 National Heart Lung and Blood Institute:6	Massachusetts General Hospital:6 Temple University:6 University at Buffalo, State University of New York:2 University of California, San Diego:2
Xenotransplant ation	Japan Society for the Promotion of Science:13 National Institute of Allergy and Infectious Diseases:9 National Cancer Institute:5	Massachusetts General Hospital:5 University of Cambridge:3 University of Utah:2
Organoid	Japan Society for the Promotion of Science:211 National Cancer Institute:164 Deutsche Forschungsgemeinschaft:116	Stanford University:21 University of California, San Diego:17 University of Michigan–Ann Arbor:15
Phase separation	National Institute of General Medical Sciences:32 Japan Society for the Promotion of Science:15 Deutsche Forschungsgemeinschaft:14	Johns Hopkins University:6 Isolere Bio, inc.:5 University of California, San Diego:5
3D print	Biotechnology and Biological Sciences Research Council:10 National Institute of General Medical Sciences:8 Deutsche Forschungsgemeinschaft:8	University of Illinois at Chicago:4 Johns Hopkins University:4 University of Washington:3
Artificial intelligence + Biomedicine	National Institute of General Medical Sciences:104 National Cancer Institute:78 Deutsche Forschungsgemeinschaft:47	Stanford University:20 University of California, San Diego:12 University of Pennsylvania:11 University of California, San Francisco:11

数据来源：课题组通过数据挖掘整理获得

《未来产业发展趋势研究 2023：未来生物医药》编写组

组 长：施一公

副组长：朱晓芸 黄嘉兴

成 员：詹御涛 张 巍 张振翼 王慧敏 丁元胜 裘卉青

(以下按姓氏笔画为序)

尹伟华 王 硕 刘 鹏 肖 文 郭 放 杨子杰

温志超 蔡松峰





西湖大学
未来产业研究中心
WESTLAKE UNIVERSITY RESEARCH CENTER
FOR INDUSTRIES OF THE FUTURE

西湖大学未来产业研究中心是首家由国家批准设立、前瞻谋划未来产业的科研机构，重点聚焦生命原理及未来医药、分子智造与功能、未来材料设计及创造等领域，集科学研究、成果转化、产业培育、人才培养、战略规划于一体，致力于以基础科学研究和前沿技术突破催生未来产业，打造代表国家水平、具有国际影响的未来技术创新策源地、复合功能建设样板地、新型创新机制试验地。

RCIF explores new paradigms of technological innovations for the industries of the future. It facilitates the connections between curiosity-driven basic research, problem-driven applied research, and goal-driven translational research, to broaden the impacts of our scientific discoveries on the human society.



西湖大学
未来产业研究中心
WESTLAKE UNIVERSITY RESEARCH CENTER
FOR INDUSTRIES OF THE FUTURE

西湖大学未来产业研究中心

浙江省杭州市西湖区墩余路 600 号

邮编：310030 邮箱：RCIF@westlake.edu.cn

网址：<https://rcif.westlake.edu.cn/>