



科技点亮生活 创新改变未来

生物医药

上海正“加速跑”

俗称“老年痴呆症”的阿尔茨海默病，全球已有 17 年无治疗该病的新药上市，这一空白有望被上海科研人员填补。去年 7 月 17 日，老年痴呆治疗新药“GV-971”顺利完成临床 3 期试验。药监部门表示，正大力推进审评进程。

中科院在沪布局药物创新研究院、G60 脑智科创基地、传染病免疫诊疗技术协同创新平台等高水平研究基地。目前，上海已有 35 个品种获得国家药监局批准成为药品上市许可持有人试点品种。联影获批首台国产一体化 PET/MR，创领获批首个国产心脏起搏器，微创获批首个国产血流导向装置。五年来，上海生物医药产值从近 2500 亿元增长到 3434 亿元，年均增长 9.9%。生物医药产业的增长速度和行业利润率，在上海战略性新兴产业中位居前列。目前，上海在生命科学、药学、化学等领域，已集聚一批具备国内领先水平的科研院所，拥有一支面向国际前沿的科学家队伍，该领域仅两院院士就有 64 位。生物医药产业总体处于全国领先水平，研发创新能力领跑全国，细胞治疗、高端医疗装备等领域已达到世界领先水平。

新药市场

被国际大公司垄断

“谁家没个病人，你就能保证你这一辈子不生病吗？”这句台词曾引发无数人的共鸣。可现实确实残酷：许多疾病缺医少药，老百姓呼唤普惠的好药。我国看似是医药大国，但制药企业多而散、销售额和利润低、研发投入不足的事实还是告诉我们，目前中国还不是医药强国。“仿制药达 95%，原创药物寥寥无几，新药市场被国际大公司产品垄断。”中科院院士、上海药物所研究员蒋华良如是说。

出路在哪里？答案只有一个：原创新药！衡量一个国家生物医药强弱，原创新药是一条硬指标，可原创新药研发难度大，国际上平均每年仅产出 10 个左右。我国新药研发历经了跟踪仿制和模仿创新阶段，现正逐步走向原始创新。“研发原创新药的源头在于理论创新和突破，一旦在某一疾病发病机制方面取得理论突破，将产生一批具有重要临床应用价值的原创新药。”蒋华良介绍。但遗憾的是，自西药出现以来的 130 多年间，与新药研发相关的 30 余项原理突破，无一出自中国本土科学家。究其根本，我国生物医药基础研究薄弱，生命科学基础研究与新药发现不能有机衔接。此外，我国在新药研发原创技术方面还尚未实现零的突破。“原创新药研发从实验室到临床的整个过程，离不开筛选、药效、药代、安评、制剂等多种技术的联合应用。只有掌握关键核心技术，创新颠覆性技术，加强理论创新突破，才能加快原创新药的研发。”蒋华良指出，“药丸子必须掌握在自己手里。”

今年以来，中科院上海药物所就有不少好消息传来：抗肿瘤 1 类新药、抗良性前列腺增生新药和抗艾滋病新药先后获准进入临床研究。

牢守底线

保证质量加速研发创新

“请相信我们，在保障产品安全有效的前提下，药监部门在尽 120% 的努力推进 GV-971 的尽快上市。”上海市药品监督管理局副局长张清恳切地回应现场市民对新药进程的关切，“上市申请一提交，我们就将其纳入快速审评通道。即便如此，技术审评是个科学评估过程，本着对患者负责的态度，还是应该严格完成，一个都不能少的药学、药理毒理、临



新民科学咖啡馆
主办：市科协 新民晚报

图
东方 IC

将「药丸子」握在自己手里

新民科学咖啡馆聚焦生物医药创制的上海进行时

去年 7 月，张江药物实验室成立。申城的新药研发人定下了这样的目标：在 2025 年前达到每年 3-5 个创新药进入临床研究的科创产出水平，并有 2-3 个创新药获得药证。在研发老百姓吃得起、疗效好、副作用小的原创新药这条关乎人民健康福祉、科创中心建设和经济发展动能的道路上，上海行进得如何？

5 月 24 日晚上第 216 期的新民科学咖啡馆，由上海市科协、新民晚报和中科院上海药物研究所联合主办，走进“科技工作者之家”科学会堂，聚焦生物医药创制的上海进行时，与市民一起热烈讨论了人人关注的“药事”。因研发失败率极高，全球都缺乏原创新药。数位主讲与对话嘉宾均表示，从跟踪仿制、模仿创新到原始创新，中国的药物研发人多年来一直在努力，也请大家尊重科学规律，给予更多理解和支持。

►上海市药监局副局长张清

►中科院院士、上海药物所研究员蒋华良



▲ 第 216 期新民科学咖啡馆现场座无虚席 本报记者 郜阳 摄

床、生产现场检查等核查也需要时间。”

目前，上海共有药品生产企业 192 家，药品经营企业 4101 家；医疗器械生产企业 926 家，医疗器械经营企业 24866 家；化妆品生产企业 219 家。保障药品、医疗器械和化妆品的安全有效、质量可控，市药监局是“把门人”。“我们有两项重点工作，一是大力促进生物医药产业高质量发展，二是大力推进药品监管转型发展。”张清介绍。

制药企业和医院感受得到，临床试验管理和以前不大一样了。“我们将临床试验申请由明示许可调整为默示许可。”张清说，“这是我们监管理念的调整，并通过加强事中事后的监管来管理。”这一与国际接轨的举措赢得了不少点赞，也让企业增强了主体意识。

国务院于 2015 年 11 月授权包括上海在内的十个省市开展药品上市许可持有人制度试点。在试点推进过程中，上海市药监局通过实施提前介入，畅通绿色通道，提供全程跟踪服务，积极支持和推动上海新药申报上市。“和记黄埔医药（上海）有限公司自主研发的 1 类创新药吠唑替尼胶囊，得益于改革试点，审批时间从以往的两三年缩短为 15 个月，于 2018 年 9 月批准上市，填补了晚期结直肠癌三线靶向治疗领域的空白。”张清举例说。

此外，本市新药将优先纳入上海医保目录，价格昂贵的创新医疗器械，探索通过谈判纳入医保支付范围。

新药研发

盼更多关注与支持

值得高兴的是，目前我国在 G 蛋白偶联受体 (GPCR) 的结构生物学研究已达到国际领先水平。要知道，G 蛋白偶联受体有个庞大“家族”，其受体相关的疾病数量众多，大约 40% 的现代药物都以 G 蛋白偶联受体作为靶点。在 G 蛋白偶联受体结构与功能研究的基础上，中科院上海药物所建立了基于“靶标结构解析、功能确证、新药设计、新药研究”的研发模式和相应技术平台，不断产生新的靶向 GPCR 的候选新药并开展系统临床前研究。

瑞金医院也有喜报传来，经过一年多国内外同步的临床试验，通过新型 CAR-T 技术，该院在复发/难治多发性骨髓瘤取得了显著疗效。今后，患者也有望在瑞金医院成立的“国家转化医学中心”内，获益于这一前沿技术。

“风险”“不确定性”“科学的态度”，也是本期新民科学咖啡馆的热词。“新药研发的投入和产出很可能不成正比。”上海交通大学医学院附属瑞金医院院长、上海市医学会副会长瞿介明表示，“有些研究前期很有希望，但在临床阶段的表现如何，我们真的不知道，无法预估，这才是科学的态度。”市医学会临床药学分会主任刘皋林教授呼吁，“不要今天的投入还没有完全到位，明天就问科学家成果和高质量论文。”

“新药研发的整个历程很漫长，希望更多的老百姓能看到科研人为实现‘健康中国’和科技强国梦而付出的不懈努力，也请大家理解新药研发的难度，给予我们更多的关注与支持。”中科院上海药物所研究员柳红说。她希望，能有更多的青年力量加入到药物研发的队伍中，让创新的接力棒代代传承。

本报记者 郜阳 马丹 董纯蕾 马亚宁

【名词解释】

原创新药 基于全新发病机制和全新靶标研发出来的新型药物，是针对某一疾病的第一种治疗性药物，或与现有药物相比具有颠覆性治疗效果的药物，国际上统称“First-in-class Drug”。



扫描二维码
回看现场视频