



# 构建中国医药创新生态系统

系列报告第二篇：推动基础研究，激活创新源头

中国医药创新促进会 (PhIRDA)

中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC)

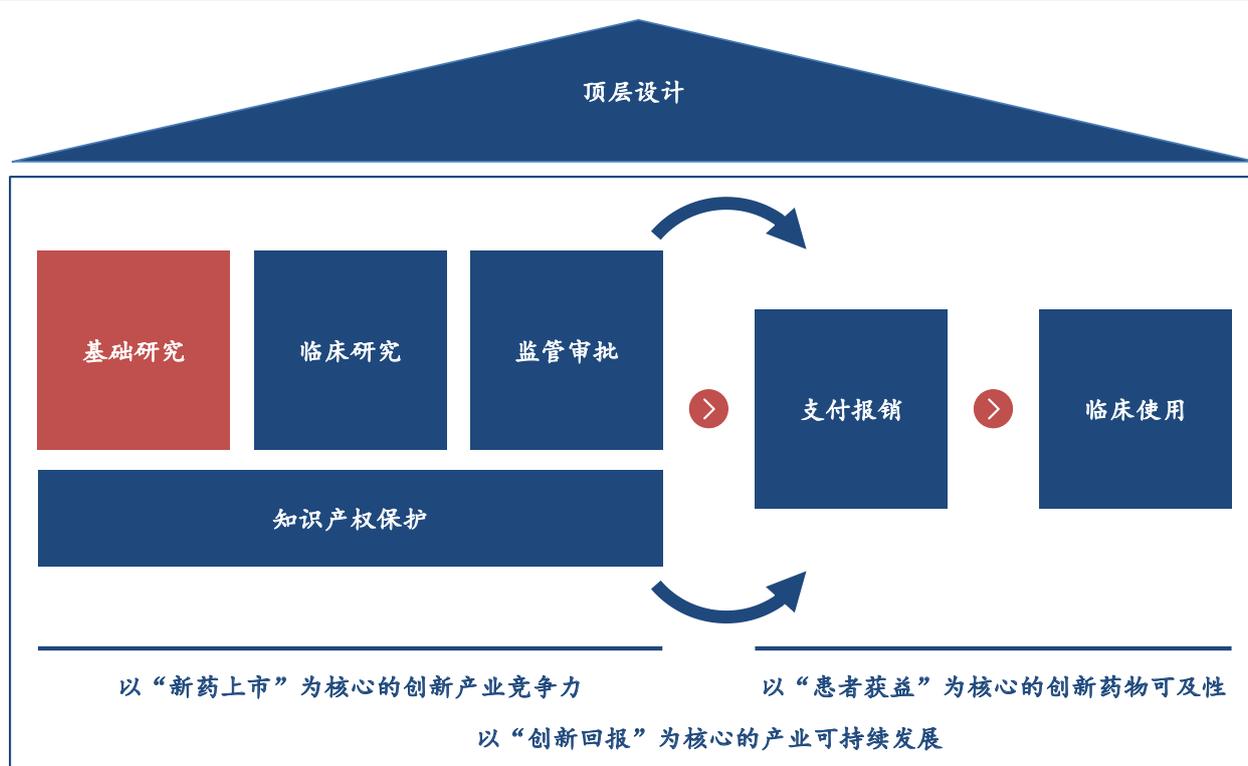
2021年6月



# 前言

《构建中国医药创新生态系统》为系列报告,其中《第一篇:2015-2020年发展回顾及未来展望》勾画了2021-2025年医药创新生态系统的框架,《第二篇:推动基础研究,激活创新源头》聚焦医药创新生态系统持续发展的源泉。“基础研究”作为前置于“临床研究”和“监管审批”的起始环节,主要包括对疾病机理的研究、靶点鉴别和验证、药物筛选和优化。本报告回顾过去五年中国医药基础研究所取得的长足进展,综合评估全球竞争力,总结基础研究各要素所面临的主要挑战,借鉴全球生物医药领先国家经验,针对未来五到十年如何推动中国基础研究提出建议。

图1: 2021-2025年中国医药创新生态系统: 基础研究是创新源头



为中国医药创新生态系统提供突破性和原始性创新源头,是基础研究无可取代的意义和作用。首先,基础研究通过先驱性的科学发现开拓、挑战未知领域,突破人类对于生命和疾病机理认知的边界;其次,基础研究通过颠覆性的技术发明实现工具效能的迭代更新,丰富并提升人类应对疾病威胁的手段;第三,基础研究是处于医药研发价值链最前端的创新源头,通过靶点鉴别和验证、药物筛选和优化等转化研究实现科技成果的产业转化、提供医药研发的创新引擎。

过去五年间,在创新驱动战略的落实指引下,依托不断加大的经费投入力度和持续优化的法规机制,中国生物医药基础研究成果斐然:科研机构实力强化、人才梯队充实壮大、科技成果转化加速、论文专利快速增长。然而在中国当前的医药创新生态系统中,基础研究还未能充分发挥创新源头的的作用,与世界领先水平也仍存差距。一方面,先驱性的科学发现和颠覆性的技术发明的贡献仍然偏低,在热点前沿领域以跟进研究为主;另一方面,基础研究向产业转化的体系和能力仍待构建,本土知识产权的产生和应用不足。

加强基础研究以促进医药研发，需要经费投入、核心资源、创新主体、人才结构等关键要素的落地支撑。当前四大要素均面临一定挑战：创新源头获得的经费投入相对不足，政府投入有待进一步统筹增效；生物医学信息数据存储和基础研究所需高端实验设备、试剂材料与实验动物等核心资源的生产和供给存在“卡脖子”风险；科研评价体系对创新活力存在一定制约，产学研研各类创新主体的跨界协作比较有限；全球人才竞争空前激烈，人才评价机制有待完善，交叉、复合人才缺口较大，难以满足创新链条的需求。

习近平总书记在近日召开的两院院士大会上指出，要把科技自立自强作为国家发展的战略支撑，加强原创性、引领性科技攻关，坚决打赢关键核心技术攻坚战。展望未来，持续推动中国基础研究需以提升人才体系为中心，战略方向、经费投入、创新主体多管齐下：面向世界前沿，布局国家战略研究方向；针对关键环节，提升经费管理使用效率；围绕创新链条，探索创新主体模式升级；应对未来需求，优化人才培养评价体系，以夯实基础研究的根基、守护科技创新的源头。

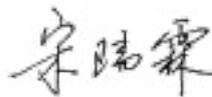
本报告在开展过程中获得了专家们的大力支持。特别感谢北京大学未来技术学院院长、和其瑞医药联合创始人肖瑞平、中国科学院上海药物研究所所长李佳和上海交通大学药学院院长张翱提出的深度见解和建议，在此对专家们的指导表示衷心感谢。

---

## 中国医药创新促进会 (PhIRDA)

会长 任晋生

执行会长 宋瑞霖



## 中国外商投资企业协会药品研制和开发行业委员会 (RDPAC)

执行委员会主席 安思嘉

执行总裁 康韦



---

# 目录

## 第一章

中国医药基础研究进展与国际对标

1

---

## 第二章

提升创新源头基础研究能力面临的主要挑战

15

---

## 第三章

国际案例及其启示

19

---

## 第四章

未来展望和政策建议

22

---

# 第一章

## 中国医药基础研究进展与国际对标

### 近五年来中国生物医药基础研究取得了长足进展

过去五年间，在国家创新驱动发展战略和一系列科技创新顶层规划的指引下，我国生物医药基础研究走上快车道。通过经费投入、创新主体、人才策略、制度环境等关键要素的持续提升，为生物医药基础研究产出的长足进展打下坚实基础。

#### 1. 落实创新驱动战略，加强科研顶层规划

**落实创新驱动战略：**为全面落实党的十八大提出的创新驱动发展战略，中共中央、国务院于2016年5月印发了《国家创新驱动发展战略纲要》，旨在新的发展阶段贯彻执行这一立足全局、面向全球、聚焦关键、带动整体的国家重大发展战略，也为我国生物医药产业步入创新发展快车道奠定了基调。

**加强科研顶层规划：**为承接创新驱动发展战略，国务院于2016年8月印发了《“十三五”国家科技创新规划》，首次将“科技创新”作为一个整体进行顶层规划。《“十三五”国家基础研究专项规划》和《“十三五”生物技术创新专项规划》随后于2017年5月出台，以在科技创新体系中加快推进基础研究与生物技术发展。从纲要到规划层层拆解，细化战略落地方案。

**强化国家战略重点：**迈入“十四五”，我国将开启第二个百年奋斗目标——全面建设社会主义现代化国家的新征程。我国科技发展的指导思想也从2016年的“三个面向”升级为2020年的“四个面向”，标志着“面向人民生命健康”已经上升到与“面向世界科技前沿”、“面向经济主战场”、“面向国家重大需求”同样的高度。在此背景下，《“十四五”规划和2035远景目标纲要》于2021年3月发布，指明强化国家战略科技力量的发力重点和发展目标，“坚持创新驱动发展”将成为中国未来五年乃至中长期的核心战略，并明确提出基础研究经费投入占研发经费投入比重提高到8%以上。

#### 2. 优化科技计划体系，发力重大新药创制

**优化科技计划体系：**自2015年初开始实施的中央财政科技计划（专项、基金等）管理改革取得了显著进展。为解决当时存在的重复、分散、封闭、低效等现象，国家从强化顶层设计、打破条块分割入手，优化原有科技计划（专项、基金等）体系和布局。新的科技计划体系于2017年初步成型，建立公开统一的国家科技管理平台，整合形成新五类科技计划（专项、基金等），包括国家自然科学基金、国家科技重大专项、国家重点研发计划、技术创新引导专项、基地与人才专项，提高科技资源的配置效率。

**发力重大新药创制：**作为中国中长期科技发展计划的重要组成部分，“重大新药创制”科技重大专项于2008年启动到2020年收官，中央财政共投入233亿元，对3,000多个课题提供了支持，针对10类重大疾病自主创新品种成果卓著。重大新药创制专项实施以来，中

国初步建成了药物创新技术体系，包括以科研院所和高校为主的国家级综合技术平台、企业药物创新技术平台、为新药创制提供评价和支撑的单元平台等。

**加大经费投入力度：**全社会持续加大对基础研究的支持力度。2020年中国研发总投入达到了24,426亿元，占GDP比重约2.4%。其中，基础研究投入为1,504亿元，基础研究投入占研发总投入的比重从2015年的5.1%上升至2020年的6.1%，五年年均复合增长率约为16.0%<sup>1</sup>，高于研发总投入增速。

### 3. 强化科研机构实力，探索新型研发模式

**强化科研机构实力：**国内研究机构国际排名上升，全球领先生命科学科研机构数量继续增加。在Nature Index全球生命科学领域领先研究机构的排名中，中国的机构数量有所增长。2015年仅有4家中国研究机构入围前100强，2019年中国入围机构数目达到9家，且2015年上榜的中国科学院、北京大学、清华大学、复旦大学的排名均有较大提升。

图2: 中国顶尖生命科学研究机构数量近年来有所增长

#### Nature Index全球生命科学研究排名前100名的机构数<sup>1</sup>

##### 2015年中国上榜机构

排名	机构名称	Logo
8	中国科学院	 中国科学院 CHINESE ACADEMY OF SCIENCES
67	北京大学	 北京大学 PEKING UNIVERSITY
74	清华大学	 清华大学 Tsinghua University
99	复旦大学	 复旦大学 FUDAN UNIVERSITY

##### 2019年中国上榜机构

排名	机构名称	Logo
5	中国科学院	 中国科学院 CHINESE ACADEMY OF SCIENCES
31	北京大学	 北京大学 PEKING UNIVERSITY
52	清华大学	 清华大学 Tsinghua University
54	浙江大学	 浙江大学 ZHEJIANG UNIVERSITY
60	中国科学技术大学	 中国科学技术大学 University of Science and Technology of China
65	复旦大学	 复旦大学 FUDAN UNIVERSITY
68	上海交通大学	 上海交通大学 SHANGHAI JIAO TONG UNIVERSITY
76	中山大学	 中山大学 SUN YAT-SEN UNIVERSITY
92	中国人民解放军大学	 中国人民解放军大学 PLA UNIVERSITY

1. 基于82种高质量自然科学类期刊的论文发表，反映高质量研究的产出情况  
资料来源: Nature Index

**健全国家学术机构：**我国已建成学科布局较为完备的国家自然科学和医学研究体系。中国科学院是国家自然科学研究最高学术机构、科学技术最高咨询机构和自然科学与技术综合研究发展中心。其基础研究体系由115个研究单位构成，研究领域涵盖数学、物理、化学、生物、工程、环境、信息等众多基础和应用学科。以研究单位为依托，中科院还设有多个创新单元，形式包括国家级和院级重点实验室、研究中心、重大科技基础

<sup>1</sup> 全国科技经费投入统计公报

设施和国家科技资源共享服务平台等。创新单元通过聚焦基础性、前沿性、交叉性的研究方向、提供科学技术基础支撑服务，起到了承接国家战略方向、引领科学进步的带头作用。中国医学科学院拥有23个研究所、6家医院、7所学院和56个创新单元，是集医、教、研、防、产为一体的国家医学科学中心和综合性医学科学研究机构。23个研究所是院内承担医学科学研究的主体，其研究领域涵盖临床医学、基础医学、药学、生物医学工程等多个学科方向，以及心血管、皮肤病、血液、肿瘤、神经科学等多个器官和疾病领域。创新单元是由医科院挂名资助，依托院外研究机构建立的研究主体，通过医科院和合作院校的资源互补，实现对院内研究方向的补充与延展。

**探索新型研发模式：**国内研究机构也在积极探索创新研发模式，以突破单纯的基础研究功能，研产结合促进基础研究成果向应用端的迁移，更好地实现创新源头作用，并进一步创造商业和社会价值。如中国科学院深圳先进技术研究院以产业为导向，聚焦智能技术与生物技术的融合，通过联合科研机构、地方政府等多方协作，构建集科研、教育、产业、资本为一体的微型创新研发生态系统，迄今已与企业累计签订700余份工业委托开发及成果转化合同，累计孵化企业1,186家。

又如中国科学院上海药物研究所，自2015年以来不断探索促进科技成果转化的机制体制改革举措，大力推动成果转化制度的实施与完善，实现成果转化的实质性提速。在成果转化制度颁布之后，又先后制定科研人员自主创业和兼职创业管理办法，并每年出资5000万元支持早期药物研发，从制度保障、流程规范、资金支持等多方面加速科技成果转化效率。自2015年至今药物所已有50项科技成果实现转化，其2019年科技成果转让合同金额高达17.17亿元，排名全国科研高校院所第一。

#### 4. 引导人才发展方向，充实领军人才梯队

**引导人才发展方向：**国家长期持续从顶层设计层面指引生物医学人才的发展方向。从2011颁布的《国家中长期生物技术人才发展规划（2010-2020年）》到2017年印发的《“十三五”国家科技人才发展规划》，在促进生物技术人才创新创业、鼓励跨领域跨地区流动、支持财税金融创新和国际合作、加强海外高层次人才引进力度等方面提出了行之有效的措施建议。各地方也在国家顶层设计的指导下，纷纷出台相关政策，从引进和培养两方面着手，加快本地生物医药人才队伍建设。

**充实领军人才梯队：**过去10年间，我国在生物医药领域实现了国际顶级奖项零的突破（屠呦呦2015年获拉斯克奖，2015年获诺贝尔奖）。作为生物医药基础科研中坚力量，高层次人才数量有所增加，优秀青年人才储备逐步加强。在高层次人才方面，论文被引频次位列全球前1%的生物医药领域从2015年的6人上升至2020年的22人；在优秀青年人才方面，截止2020年，中国共有15名生物医学领域的人才获得国际知名青年科学家奖项，获奖人才占全球总获奖人数比例的15.6%<sup>2</sup>。

#### 5. 优化法规机制环境，鼓励科技成果转化

**鼓励科技成果转化：**鼓励科技成果转化法律、政策和方案连续出台。首先，修订《促进科技成果转化法》，完善法律条款；其次，制定《实施〈促进科技成果转化法〉若干规定》，明确配套细则；第三，通过《促进科技成果转移转化行动方案》，部署具体任务。通过2015-2016年密集出台的科技成果转化“三部曲”，明确政府、科研机构、研究

<sup>2</sup> 包括Science & SciLifeLab Prize for Young Scientists和World Economic Forum Young Scientists

人员的关系，把科技成果的使用权、处置权、收益权下放给科研机构。2020年2月由教育部、国家知识产权局、科技部发布的《关于提升高等学校专利质量促进转化运用的若干意见》，进一步为全面提升高校专利质量，强化高价值专利的创造、运用和管理，更好地发挥高校服务经济社会发展的重要作用提出落地指导意见。根据《中国科技成果转化2020年度报告（高等院校与科研院所篇）》显示，2019年全国3,450家公立高等院校和科研院所以转让、许可、作价投资方式转化科技成果的合同项数为15035项，比上一年增长32.3%；与企业共建研发机构、转移机构、转化服务平台总数为10,770家，比上一年增长27.2%。

## 6. 提升优质论文产出，增加专利数量贡献

**提升优质论文产出：**基础科研顶级刊物发文数量持续增长。由中国研究团队主导或共同主导发表在《自然》、《科学》、《细胞》三大顶级学术期刊上的研究性论文数量从2015年的61篇上升至2020年的150篇，年均复合增长率达到19.7%。与此同时，基础科研顶级刊物发表论文的影响力也日益扩大。中国研究团队在三大顶级学术期刊发表论文

**图3:** 中国生物医药领域高被引学者数量近年来有较大增长

### ESI全球前1%生物医药领域<sup>1</sup>高被引学者中中国大陆上榜学者和其所在机构

#### 2015年

学者姓名	机构名称
沈红斌	上海交通大学
董晨	清华大学
陈化兰	中国农业科学院
王俊 <sup>2</sup>	华大基因
汪建	华大基因
杨焕明	华大基因

#### 2019年

学者姓名	机构名称
陈万青	国家癌症中心、中国医学科学院肿瘤医院
陈兴	中国矿业大学
邓燕	湖南工业大学
高彩霞	中国科学院遗传与发育生物学研究所
高福	中国科学院微生物研究所、中国疾控中心
何农跃	东南大学
贺永	北京师范大学
胡赤怡	深圳市精神卫生研究所、香港大学
李松	湖南工业大学
秦成峰	中国人民解放军军事科学院军事医学研究院
王金辉	华南师范大学
吴一龙	广东省肺癌研究所
李俊桦	华大基因
汪建 <sup>2</sup>	华大基因
徐讯 <sup>2</sup>	华大基因
杨焕明 <sup>2</sup>	华大基因
颜宁	清华大学（现任职于美国普林斯顿大学）
叶德全	香港中文大学（深圳）
赵立平	上海交通大学
周浩	中国人民解放军总医院
邹权	电子科技大学
左西年	中国科学院心理研究所

1.共8个子学科：Biology and biochemistry, Clinical medicine, Immunology, Molecular biology & genetics, Microbiology, Neuroscience & behavior, Pharmacology & toxicology, Psychiatry / psychology

2.王俊、汪建、徐讯、杨焕明均在Biology and biochemistry与Molecular biology & genetics两个子学科上榜

资料来源: Web of Science

的总体被引频次由2015年的52,944次，上升至2020年的140,131次<sup>3</sup>。在药物研发专业刊物方面给，中国研究团队发表在JMC<sup>4</sup>和EJMC<sup>5</sup>的论文数量由2015年的76篇和203篇增长至2020年的218篇和512篇，年均复合增长率分别为23%和20%。

**增加专利数量贡献：**中国医药创新相关的专利数量位居世界前列。根据世界知识产权组织发布的《世界知识产权指标》统计，2019年中国生物技术专利授权数达8,619件，药品专利授权数达7,104件，医疗技术专利申请数达7,503件，均名列全球前三位<sup>6</sup>。从全球占比情况来看，我国对全球专利的数量贡献也有所上升。我国医药创新相关（包括生物技术、药品、医疗技术）专利申请数量的全球占比从2015年的25.0%增长至2019年的29.2%。

**新兴领域弯道超车：**新兴生物技术领域的兴起较短，也正值我国生物医药基础研究高速发展时期。我国在众多此类领域，如干细胞、合成生物学、基因编辑等方面的论文数量和专利数量已进入全球第一梯队，是我国与美国差距最小的基础研究领域。

## 中国生物医药基础研究与全球领先水平仍存差距

尽管近五年来中国生物医药基础研究成果喜人，但与全球领先水平相比仍存差距，提供医药创新源头仍需突破。通过各项关键输入和研究产出的国际对标和量化分析，可以看出中国生物医药基础研究当前仍然存在基础研究经费占比偏低、顶尖科研机构数量有限、领军人才规模差距显著、优质论文占比有待提升、医药专利授权转化不足等弱势领域。“关键核心技术是要不来、买不来、讨不来的”，只有掌握基础科学灯塔性发现的能力，才能促使中国医药创新迈上新的台阶，并为全球医药创新做出源头性贡献。

### 1. 优质前沿研究有待提升

**优质论文占比偏低：**2015-2020年中国生物医学领域论文发表数量以14.3%的年均复合增长率快速攀升，稳居世界第二，2020年发表量达近29万篇。但是以《自然》、《科学》、《细胞》三大顶级学术期刊论文发表数量占总体论文发表数量的比例衡量，中国0.17%的比例明显低于欧美生物医学领先国家普遍高于0.6%的水平。相比于顶级学术期刊，中国在优质期刊上的论文发表比例和欧美生物医学领先国家相比同样存在差距。根据中国科学院文献情报中心期刊分区<sup>7</sup>，三年平均影响因子最高的5%期刊为一区期刊，其中影响因子大于10的综合类和生物类优质期刊共计51本<sup>8</sup>。2020年中国发表于此类优质期刊的生物医学领域论文占比1.5%，相较于欧美领先国家普遍高于3.0%的比例，仍处于较低水平。

<sup>3</sup> Web of Science

<sup>4</sup> Journal of Medicinal Chemistry

<sup>5</sup> European Journal of Medicinal Chemistry

<sup>6</sup> WIPO Statistics Database

<sup>7</sup> 美国科学情报研究所每年出版的《期刊引用报告》(Journal Citation Reports, JCR) 对全球主要期刊定义了影响因子指数。中科院分区首先将JCR中所有期刊分为包含综合类、生物类在内的13大类，然后按照影响因子划分为四个等级，影响因子排名前5%为该一类一区、6%至20%为二类二区、21%至50%为三类三区，其余的为四类四区。在综合类和生物类一区的80本期刊中，影响因子分布为2至45

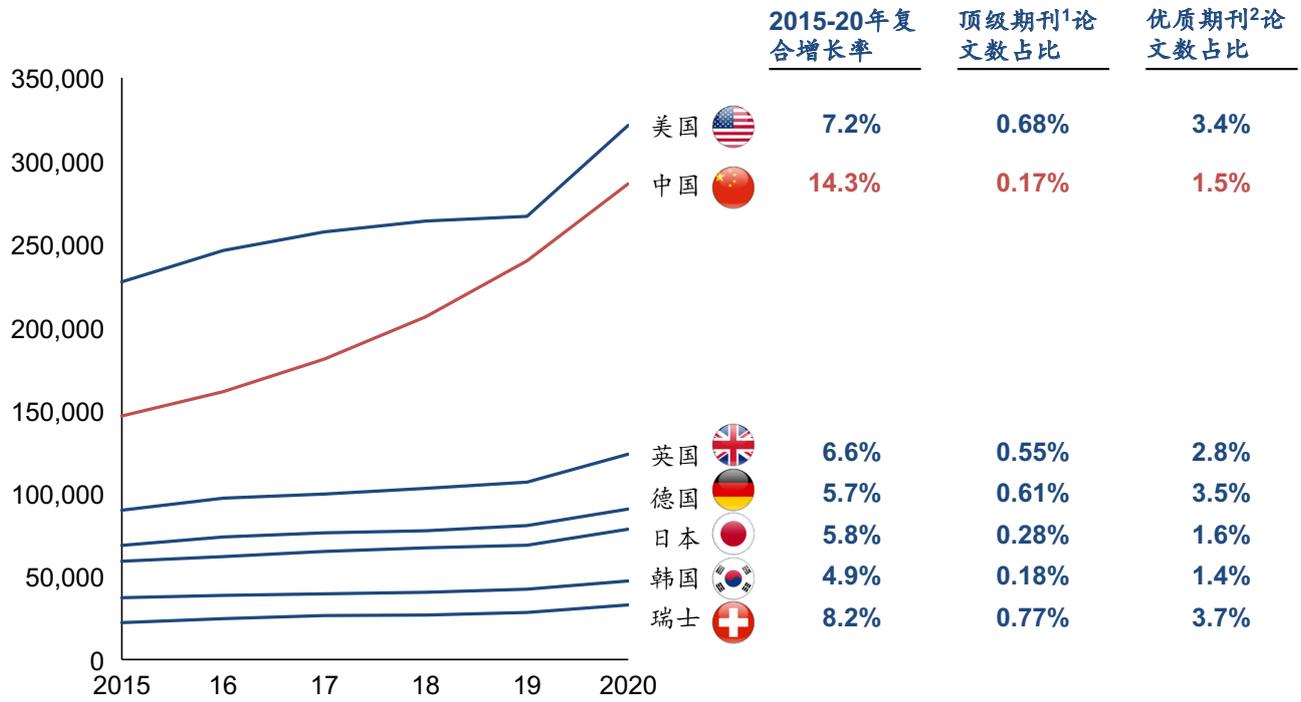
<sup>8</sup> 包括综合类5本：Nature, Science, National Science Review, Science Advances, Nature Communications; 生物类46本

**优质期刊影响不足：**中科院期刊分区的一区期刊中含综合类7本和生物类73本，合计80本。其中，中国主办的期刊分别有2本和11本，合计13本，影响因子高于10的期刊仅为5本。相比之下，美国和英国所出版的期刊分别为30本和25本，影响因子高于10的期刊分别达到18本和22本。在优质期刊的主办数量和学术影响方面，我国与传统优势国家相比仍存在较大提升空间。

**热点前沿跟进为主：**基于ESI数据库中的研究前沿，中国科学院科技战略咨询研究院、中国科学院文献情报中心和科睿唯安遴选出2020年生物学领域的前10大热点前沿。以已经开始走向商业化道路的“小分子PROTACs对蛋白质的靶向降解”研究前沿为例，中国贡献的高被引核心论文为3篇，占全部核心论文的7%，远远低于美国、英国等欧美领先国家。而从施引论文来看，中国引用了核心论文文献达215篇，占全部施引论文的14%，说明中国在该热点前沿中展开了较多的跟进研究。关于基础研究的创新性知识，我国仍然依赖从领先国家，尤其是美国获得输出。现代生命科学基础领域特别是前沿基础理论与技术创新大部分源自美国，我国多为改进式创新，一般是在已有产品或者已有技术的基础上做出一定的创新，原创性理论、技术和产品较少。在我国较为领先的基础领域如干细胞、合成生物学、基因编辑等领域也不例外，均缺乏原创颠覆性的理论发现和技术创新。从生物科技领域发表文献的国际合作来看，美国是我国最主要的合作国家，且大多合著成果均为美国为主导。例如，近年来，我国在基因编辑技术方面取得了瞩目的进展，论文总数和专利总数均接近美国水平。但是，基因编辑技术尤其是CRISPR/Cas9相关的核心专利基本都是掌握在其他国家手中。

图4: 中国生物医学论文发表数量高速增长, 但顶级和优质期刊论文数占比较低

2015-20年全球领先国家生物医学论文总发表数, 篇



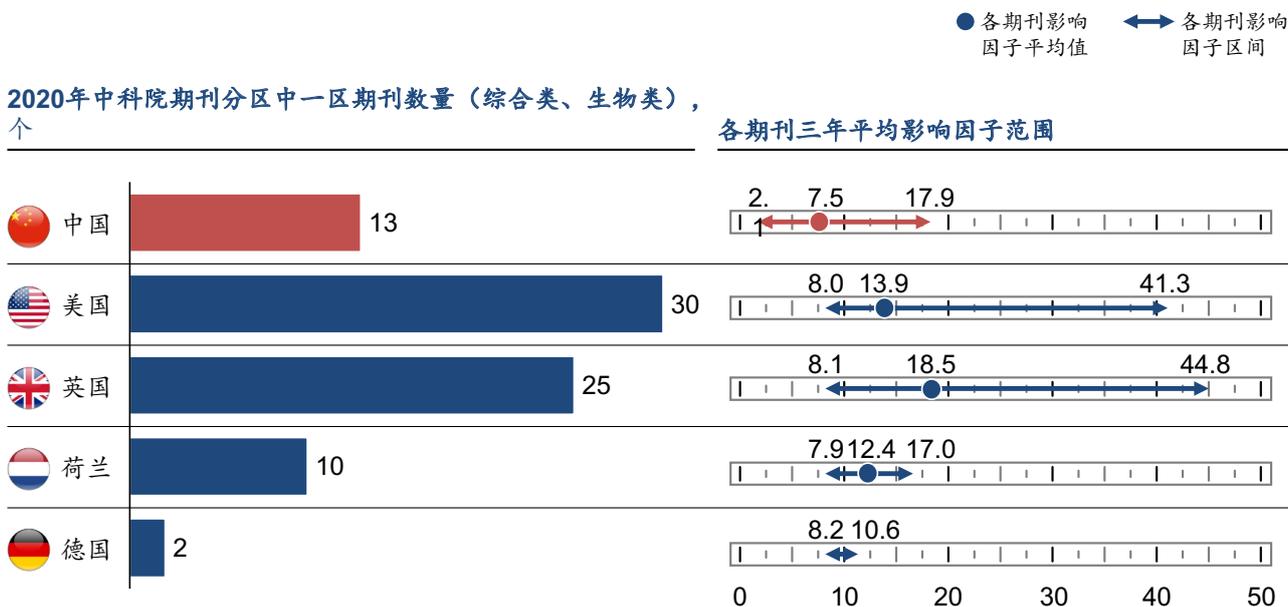
1.包括: Nature, Science, Cell

2.包括中科院JCR分区的综合性期刊一区 and 生物类期刊一区中影响因子超过10的51本杂志, 并涵盖了顶级期刊。具体包括综合性期刊一区影响因子超过10的5本: Nature, Science, National Science Review, Science Advances, Nature Communications; 生物类期刊一区影响因子超过10的46本: Nature Reviews Molecular cell biology, Nature reviews genetics, Cell, Nature biotechnology, Nature Reviews Microbiology, Nature methods, Nature genetics, Annual review of biochemistry, Cell stem cell等

资料来源: PubMed

图5: 中国优质期刊的主办数量和学术影响与传统优势国家相比仍存在提升空间

中国优质期刊的主办数量和学术影响与传统优势国家相比仍存在提升空间



资料来源: 中国科学院文献情报中心期刊分区表

图6: 在生物医学研究的热点前沿领域, 中国展开了较多的跟进研究

ESI 数据库遴选的2020年生物科学热点前沿: “小分子PROTACs 对蛋白质的靶向降解” 研究前沿举例

国家	开创研究: 核心论文 <sup>1</sup> 篇数	占全球比重	跟进研究: 施引论文 <sup>2</sup> 篇数	占全球比重
中国	3	7%	215	14%
美国	37	82%	838	55%
英国	10	22%	185	12%
德国	4	9%	153	10%
日本	2	4%	112	7%
瑞士	1	2%	55	4%
韩国	1	2%	0	0%

1.通过持续跟踪全球最重要的科研和学术论文, 研究分析论文被引用的模式和聚类, 特别是成簇的高被引论文频繁地共同被引用的情况, 可以发现研究前沿。当一簇高被引论文共同被引用的情形达到一定的活跃度和连贯性时, 就形成一个研究前沿, 而这一簇高被引论文便是组成该研究前沿的“核心论文”

2.引用核心论文文献

资料来源: 中国科学院科技战略咨询研究院、中国科学院文献情报中心、科睿唯安《2020研究前沿》

## 2. 知识产权转化产出不足

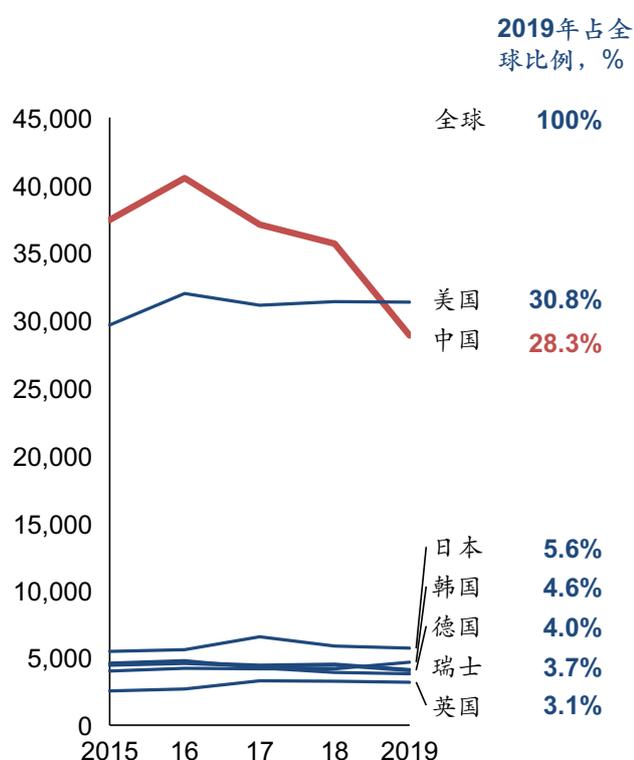
**医药专利贡献偏低：**近五年来中国的药品专利申请和授权数量均稳居全球前二。其中，药品专利申请数量占全球总数的比例为**28.3%**，而药品专利授权数量占全球总数的比例为**18.1%**，全球贡献占比相对降低。尽管绝对数量较高，但相对于中国总体专利申请和授权数量而言，医药创新相关领域的占比仍然较低。中国医药创新相关的专利申请和授权数量占中国专利总量的比例不足**7%**，和瑞士、英国、美国**15-25%**的比例相比还有较大差距。

**专利转化比例不足：**尽管中国专利产出数量较大，但转化实践未成气候，真正实现产品化和商业化的科技成果比例较低。《2020年中国专利调查报告》显示在**735**所受访高校和**381**所受访科研单位中，有效发明专利的实施率分别为**14.7%**和**28.9%**，低于美国高水平高校约**37%**的专利转化率<sup>9</sup>。

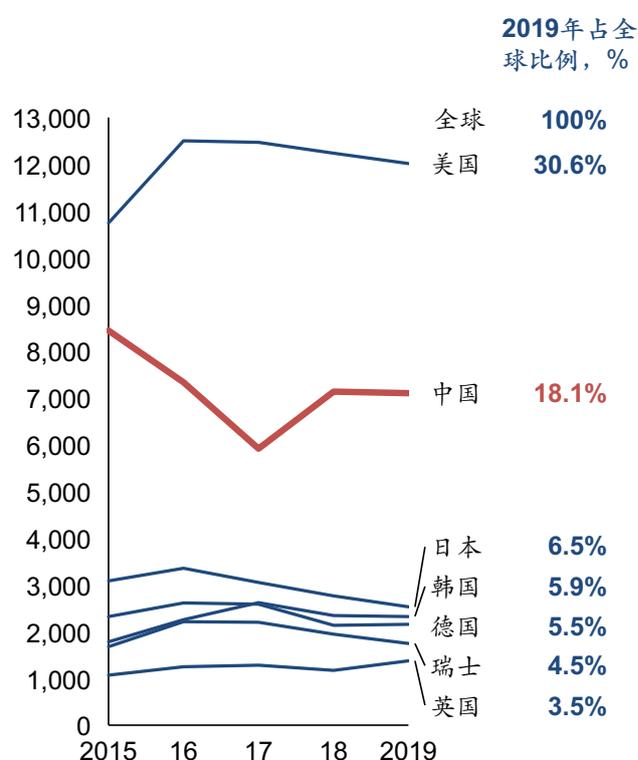
**知识产权逆差可观：**近年来中国的知识产权出口快速增长，五年复合增长率达**57%**，于2019年达到**66.5**亿美元<sup>10</sup>。但放眼全球，中国知识产权出口收入仍低于世界领先国家。反观知识产权进口，2019年中国知识产权进口额达到**343.3**亿美元，已位居世界第二。中国知识产权出口/进口额比仅为**0.2**，知识产权领域的贸易逆差十分可观。

图7: 近年来中国的药品专利申请和授权数均位列全球前二

2015-19年领先国家药品专利申请个数



2015-19年全球领先国家药品专利授权个数



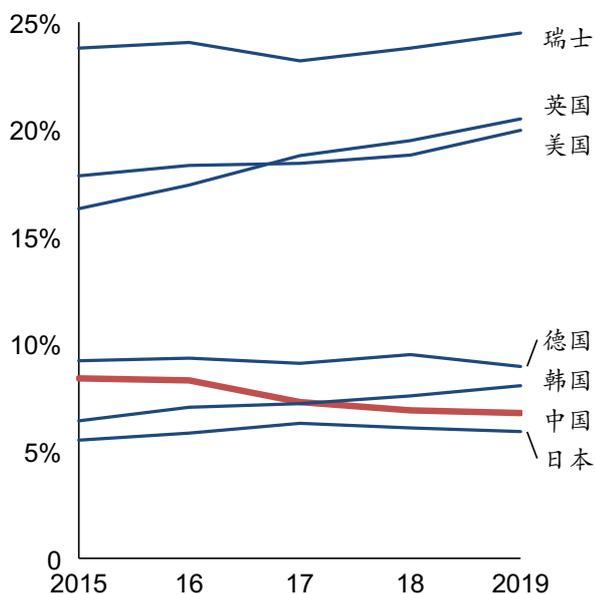
资料来源：WIPO Statistics Database

<sup>9</sup> The licensing and selling of inventions by US universities

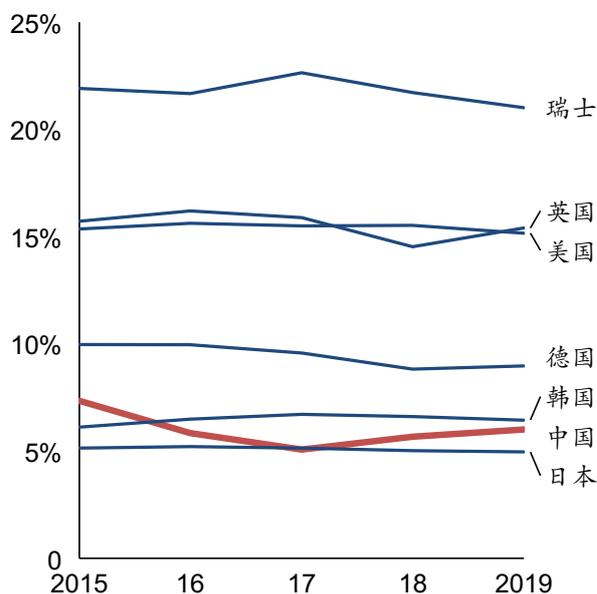
<sup>10</sup> WTO数据库

图8: 相较欧美领先国家, 中国医药创新相关的专利数量在本国总量中占比偏低

2015-19年全球领先国家医药创新相关<sup>1</sup>专利申请数占本国总体专利申请数比例



2015-19年全球领先国家医药创新相关<sup>1</sup>专利授权数占本国总体专利授权数比例



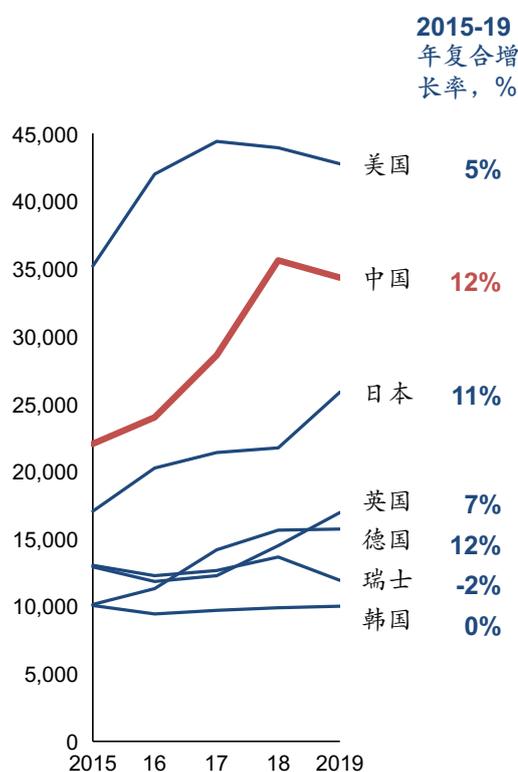
1.包括生物技术、药品、医疗技术  
资料来源: WIPO Statistics Database

图9: 近年来中国知识产权出口快速增长, 但仍远低于领先国家

2015-19年全球领先国家知识产权使用费出口额(即收入), 百万美元



2015-19年全球领先国家知识产权使用费进口额(即支出), 百万美元



2019年知识产权出口/进口额比



资料来源: WTO数据库

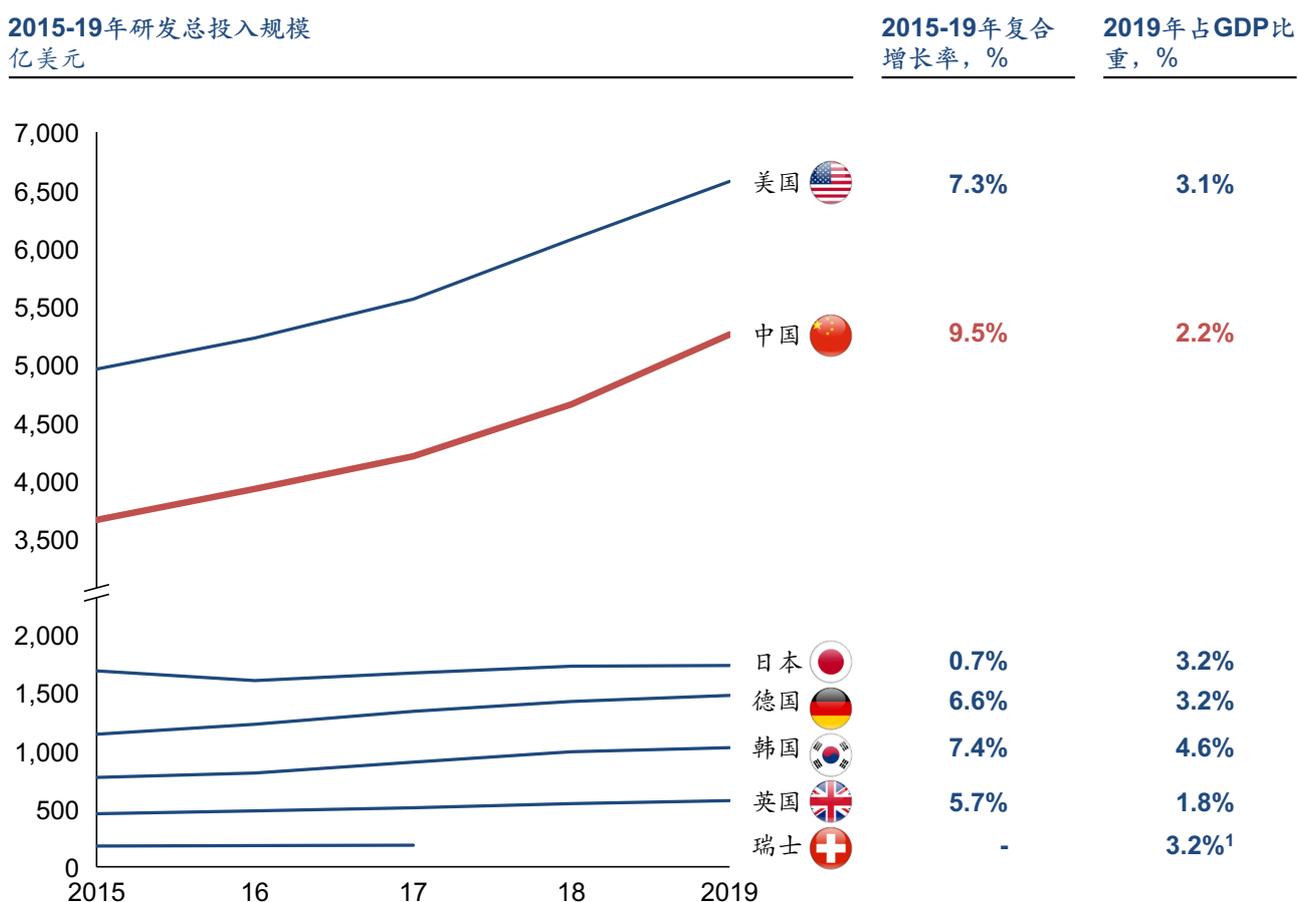
### 3. 经费阶段分布不尽合理

**研发投入规模可观：**从总量上看，中国研发总投入规模仅次于美国，近年来始终稳居世界第二。从GDP占比来看，略低于欧美生物医药领先国家约3%的投入水平，比例基本可比。

**基础研究占比偏低：**从资金来源来看，来自政府的研发投入占比与全球生物医药领先国家普遍高于20%的水平相仿。但从资金用途来看，2020年中国基础研究在研发总投入中的比例虽然达到了6%，但同全球生物医药领先国家普遍在15%以上的水平还有明显差距；同样，中国应用研究在研发总投入中的比例11%也远远落后于全球生物医药领先国家近20%的平均水平。

**孵化转化资金匮乏：**据PitchBook数据库统计，2016-2020年投资于中国各阶段医药和生物技术项目的风险投资累计金额已超过230亿美元，但其中99.5%的资金投资于A轮及以后轮次。用于支持基础研究成果产业转化和概念期项目孵化的种子和天使轮资金占比为0.5%，交易笔数占比为7.4%，远远低于欧美领先国家普遍超过4%的投资金额占比和超过35%的交易笔数占比。

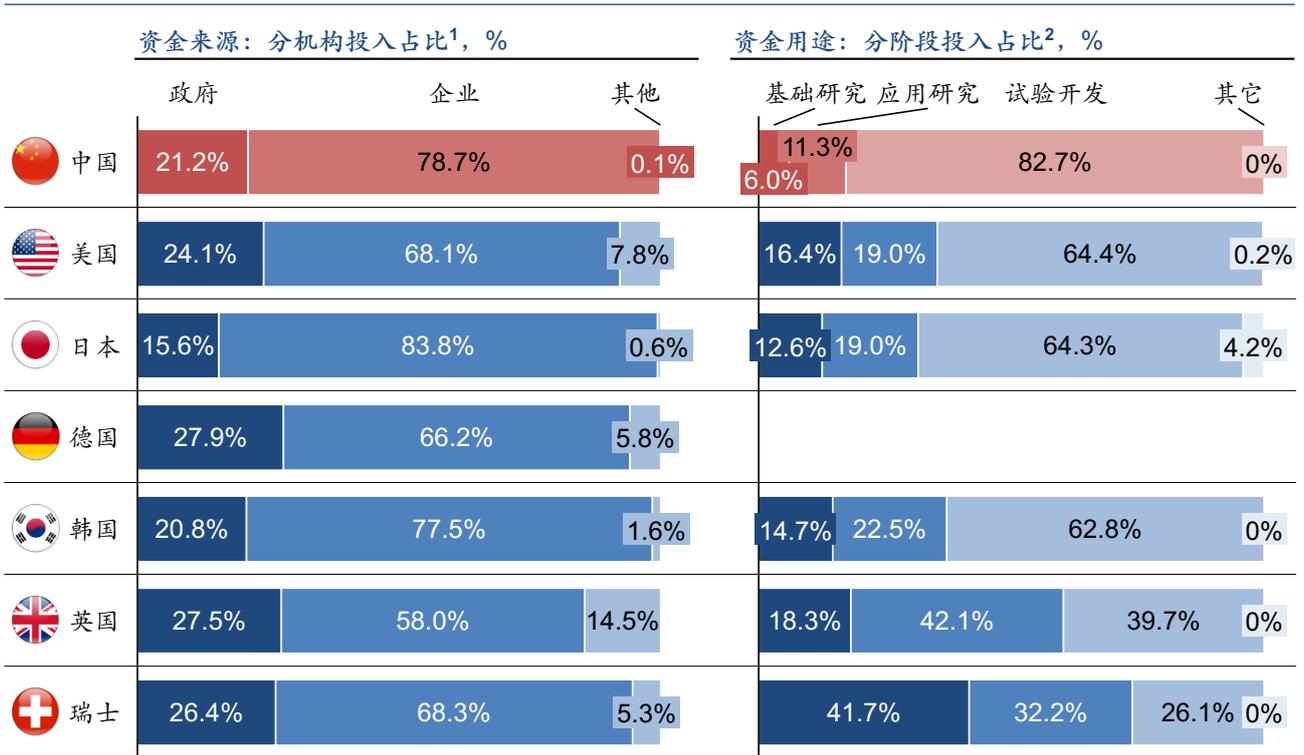
图10: 中国研发总投入规模稳居世界第二，占GDP比重与全球生物医药领先国家可比



1. 2017年数据，为瑞士最新可用数据

资料来源: OECD数据库

图11: 中国研发资金来源与全球生物医药领先国家相仿, 但基础研究投入力度待加强

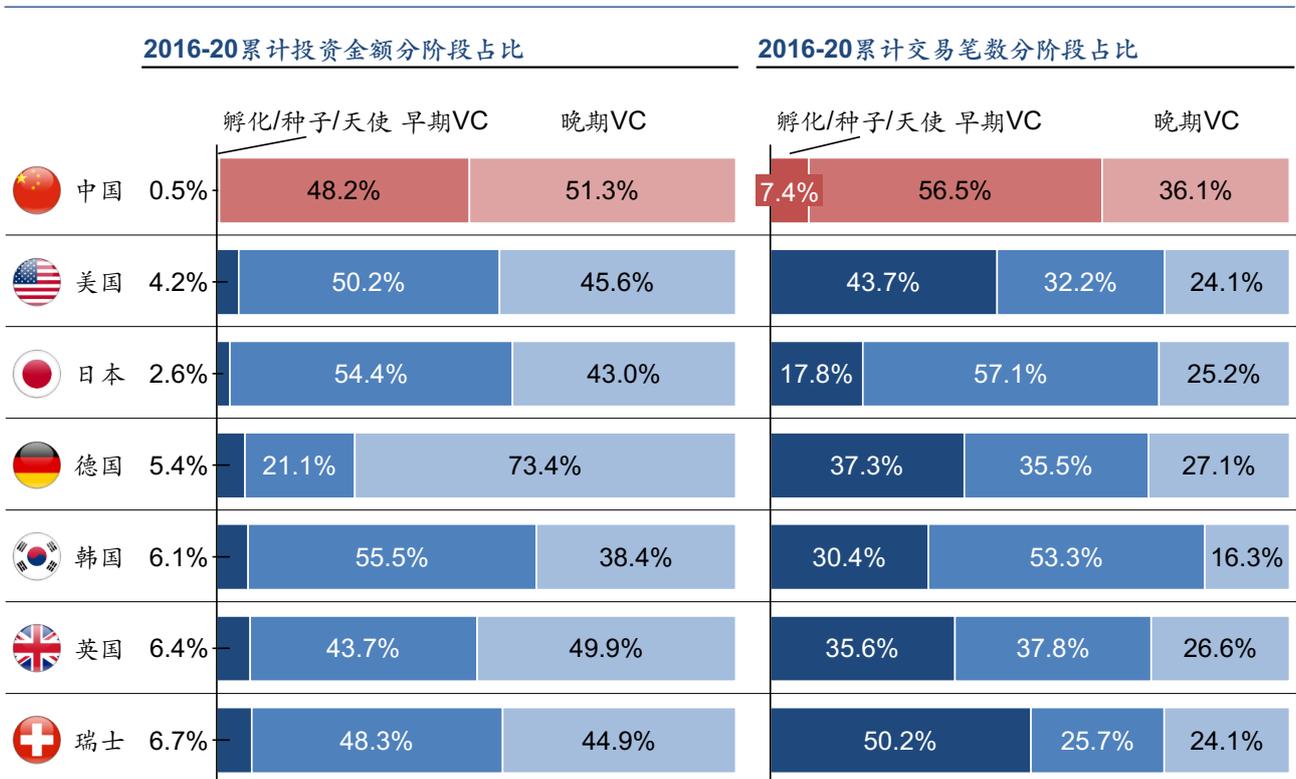


1. 2019年数据 (2018年为美国、德国、英国最新可用数据, 2017年为瑞士最新可用数据)

2. 2019年数据 (2018年为日本、英国最新可用数据, 2017年为瑞士最新可用数据)

资料来源: OECD数据库

图12: 中国用于支持孵化转化的风险投资资金占比远低于全球生物医药领先国家



资料来源: PitchBook数据库

#### 4. 顶尖科研机构数量有限

**生命科学研究机构：**在全球顶尖生命科学研究机构方面，美国所拥有的相关机构数量一枝独秀。在反映高质量研究产出的Nature Index全球生命科学领域领先研究机构的排名中，美国机构占据了2019年前100强的半壁江山，上榜机构数量达52家；中国虽名列第二，较2015年的第四位排名有显著进步，但上榜机构数量仅为9家。

**学术医学研究机构：**在全球顶尖的医学研究机构中，美国学术医学中心在科研能力上的领先地位更加显著。在反映高质量研究产出的Nature Index全球医学研究机构的排名中，美国机构在2019年前100强中占据62个，处于绝对的领先地位，德国以11个上榜机构占据第二名。中国在2019年有5个机构上榜，按排名先后依次为华西医院（第25名）、仁济医院（第31名）、中山大学肿瘤防治中心（第63名）、湘雅医院（第84名）和复旦大学中山医院（第89名）。2015年为仅有华西医院上榜。

图13：美国的顶尖生命科学和医学研究机构数量相比，中国仍有较大进步空间

	2019年Nature Index排名前100 生命科学研究机构数 <sup>1</sup>	与2015年相 比变化个数	2019年Nature Index排名前100医 学研究机构数 <sup>2</sup> ，个	与2015年相 比变化个数
 中国	9	+5	5 <sup>2</sup>	+4
 美国	52	-6	62	+1
 英国	8	-1	0	0
 德国	6	-2	11	0
 瑞士	6	+3	2	0
 日本	3	-1	0	0
 韩国	0	0	1	0

1. 基于82种高质量自然科学类期刊的论文发表，反映高质量研究的产出情况

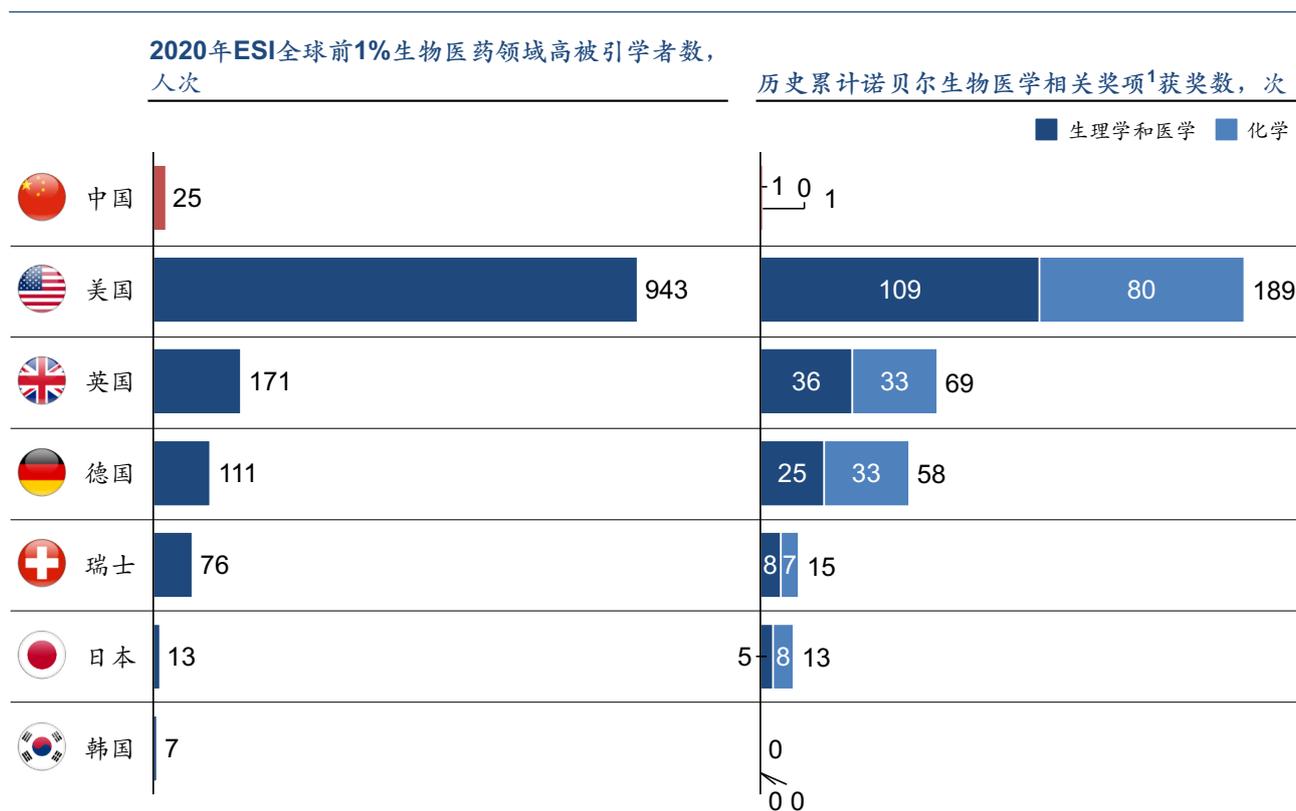
2. 华西医院、仁济医院、中山大学肿瘤防治中心、湘雅医院和复旦大学中山医院。2015年为仅有华西医院上榜

资料来源：Nature Index

## 5. 领军人才规模差距显著

领军人才缺口显著：尽管中国生物医学科研人员的基数已较为壮大，但领军人才和团队仍然稀缺。从顶级人才的历史积累来看，同为亚洲国家的日本累计获得过13次诺贝尔生物医学相关奖项（生理学和医学、化学），远高于中国。从高层次人才的发展现状来看，2020年ESI全球前1%生物医药领域高被引用学者共有1,790人次上榜，其中美、英、德位列前三，上榜人次分别为943、171、111，合计占比近70%，而中国上榜人次为25<sup>11</sup>。

图14：在生物医学领军人才数量方面，中国和领先国家相比差距显著



1. 生理学和医学、化学

资料来源：Web of Science; Nobel Prize

<sup>11</sup> 因有三名学者分别在两个子学科上榜，实际上榜学者数量为22人

## 第二章

# 提升创新源头基础研究能力面临的主要挑战

### 基础研究是提供医药创新源头的关键要素

加强基础研究以促进医药研发，需要国家战略规划和顶层设计的方向指引，也需要一系列关键要素和制度环境的落地支撑。国家战略规划指导基础研究的方向，设定为医药研发提供原始创新源头的目标。关键要素承接战略规划，并支撑基础研究的落地执行，包括经费投入、核心资源、创新主体、人才结构四大方面。其中，**经费投入**是满足基础研究所需各类软硬件资源的前提保障，**核心资源**为各类基础研究的展开提供必要输入，**创新主体**是从事基础研究执行和产出基础研究成果的核心组织，**人才结构**是保证基础研究所需各类人才资源和认知积累的先决条件。良好的制度环境进而融汇各关键要素、营造正向循环、优化资源配置、激发体系活力。

### 各关键要素所面临的主要制约

#### 1. 经费投入阶段和分配效率掣肘创新源头

**创新源头投入相对不足：**生物医药研发价值链的各个环节都需要充足而连续的资金支持，才可衔接基础研究和产业转化，形成创新链条。尽管在大量资金涌入医药创新领域的当下，融资金额和研发投入屡创新高，但沿价值链梳理即可发现其中存在的结构性错配，阻碍了创新链条的形成和贯通。从经费投入的阶段分布来看，中国研发总投入中超过80%用于后端的试验开发，基础研究所获得的资助与其关键地位不成比例，创新链条源头端的资金投入相对不足制约了原始创新的大量涌现；从经费投入的来源类型来看，公共投入支持基础研究，VC和PE资金支持产业发展，但公共投入和早期VC都未能有效支持基础研究成果产业转化的起步阶段。由于缺乏高容忍度的耐心资本和种子基金，创新链条上存在资金断层，同样制约了科研成果发挥创新源头作用。

**政府投入有待统筹增效：**一方面，目前的公共投入的资源统筹程度不足。尽管我国已整合形成新五类科技计划，但国家科技计划体系中的科技项目在具体管理上仍由科学技术部不同的司局分别开展。尽管实现了形式上的资源统筹，实际上仍然是多头分散的层级管理。在生物医学领域，中国尚无专门的国家生物医学专项基金，也没有相应的生物医学领域专业管理机构。反观美、英、日等全球生物医学领先国家，均设立了资源高度统筹的国家生物医学专项基金和能力高度专业的生物医学领域专业管理机构，以在资金层面承接国家意志、落实国家战略。

另一方面，政府资金在基础研究端和产业转化端的资源分配效率也有待加强。在基础研究端，尚待形成公允、高效的科研基金分配、管理机制以鼓励长期、新颖、开创性的原始创新工作，并避免在大型设备上的过度投入和在热点领域上的盲目重复投入和资源浪

费。在产业转化端，大量政府资金扎堆于短期可见回报的偏后期项目，耐心和容忍度不足，对优质基础研究成果早期产业转化的政策倾斜力度和遴选扶持效率仍待提升。

## 2. 核心资源生产和供给存在“卡脖子”风险

**生物学信息数据存储与标准：**近十几年来，生命科学的研究逐步向数据密集型转变。这一转变最主要的驱动力来自于基因组学、蛋白质组学、转录组学等多个“组学”研究深入并积累的大量数据，同时这些数据所体现的生命体复杂的关联也给科学新发现带来巨大挑战。存储在美国国立生物技术信息中心（NCBI）的高通量测序数据，多年来呈指数增长。而我国缺乏统一的生物学大数据平台，科研人员需要通过访问NCBI的生物学数据进行生命科学相关研究。

**基础研究所需高端实验设备：**从生物科技研究的关键设备来看，目前常用的核磁共振仪、高分辨质谱等大型分析仪器，以及大部分的生命科学仪器如磁共振成像仪、超分辨荧光成像仪、冷冻透射电镜等都大量依靠进口。

**基础研究所需试剂材料与实验动物：**中国生命科学和医学领域研究所用试剂和消耗品大量依赖进口。无论生化试剂、分子试剂、细胞试剂、抗体还是仪器耗材等市场，国产品牌所占份额仅为5%-10%。美国已拥有200余实验动物物种资源，2.6万余个基因工程动物品系，1万余种疾病动物模型资源，在实验动物学领域处于遥遥领先的地位。中国在实验动物资源总量上，实验动物物种仅有30余种，物种总数不及美国的六分之一；在基因工程动物、遗传多样性动物、突变系等实验动物品系资源上，中国仅有3000余种，不及美国总量的八分之一。对人类疾病、药物研发具有重要意义的新型动物模型，例如RasH2转基因小鼠、NOG免疫缺陷小鼠，也均由发达国家率先成功研制，而中国则依靠引进或仿制。

## 3. 创新主体机制和评价导向制约创新活力

**高校科研评价体系偏倚：**受过往评价指标导向的影响，“唯论文、唯职称、唯学历、唯奖励”的“四唯”风气在高校体系中较为普遍。其中，“唯论文”倾向尤为突出，造成科研价值的迷失和偏倚。在项目评审、人才评价、机构评估、资源配置、绩效考核等各类高校评价体系中，论文指标因简便易行而成为常见通用指标，容易造成评价手段简单粗放、评价标准片面失当，难以发挥“指挥棒”的正向引导作用。2020年2月，科技部会同财政部出台《关于破除科技评价中“唯论文”不良导向的若干措施（试行）》，意在破除科技评价中过度看重论文数量多少、影响因子高低，忽视成果质量、实际贡献等不良导向。然而“四唯”破而未立，建立多元、科学的评价体系仍需摸索。

目前，“唯论文”带来了对短期论文产出的盲目追求和对长期原始创新的重视不足，而基础研究恰恰需要开拓崭新领域、保证持续投入、坚持长期深耕，才可造就灯塔性的科研成果。“唯论文”导向下的高校科研大多聚焦于风险较低、产出明确的课题，如围绕已知靶点进行发掘，难以产生源头创新。

同时，“唯论文”也造成具备产业应用潜力的基础研究成果的转化不足。高校重基础研究轻应用研究、重论文轻成果转化的情况仍较普遍，既不了解市场情况和企业需求，也缺乏创新转化的动力。高校建设完善的知识产权交易和管理机制的能力和意愿不足，对于科研人员的技术转移和成果产业化的鼓励政策和落地举措也较为薄弱。根据《2020年中国专利调查报告》，针对职务发明或其他科技成果，已设立所有权分割相关规定或实际做法的高校占比26.8%，科研机构占比15.6%。

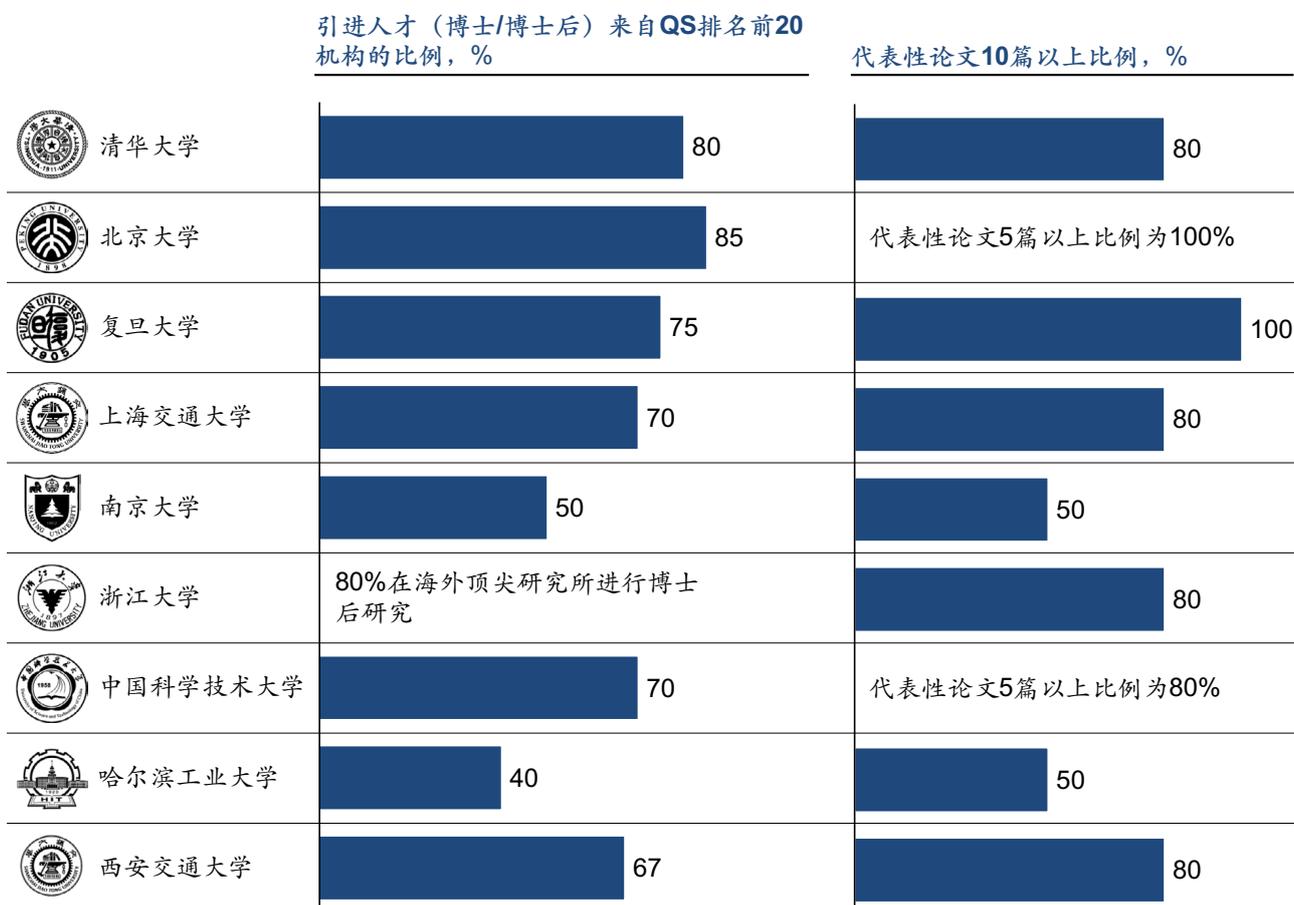
**医疗机构转化研究不足：**我国具备科研能力的学术医疗机构往往同时肩负繁重的医疗服务任务，医生的工作重心以临床医疗为主。同时，医疗机构的人才评价体系同样存“唯论文”的导向，临床工作和论文发表的双重压力进一步降低了医生从事医药研发相关转化研究的动力。尽管国家积极关注转化医学发展，国内转化医学研究中心建设也方兴未艾，但受制于能力、资源、机制等多方因素，许多转化医学中心尚有名无实，“从实验室到病床”和“从病床到实验室”的双向转化仍任重道远。

**产学研研跨界协作有限：**高校和科研机构、医疗机构、企业之间的项目合作和人员流动不够充分，创新主体之间尚未形成彼此融通的创新生态。在医研联动方面，基础研究和临床实践发展不平衡，尽管已形成部分合作，但基础研究者和转化研究者联动不够充分和深入，临床导向的医学研究优势资源无法有效整合；在产学协作方面，学术界和产业界的早期协作还比较有限，许多企业囿于风险和自身研发重点而对围绕新机制、新靶点发现的基础和转化研究的关注和投入较少。

#### 4. 人才能力结构和评价机制限制创新供给

**顶尖人才竞争压力巨大：**尽管科研人员基数已较为壮大，但顶尖人才和团队仍然稀缺。中国ESI全球前1%生物医药领域高被引用学者的数量仅为美国的1/38、英国的1/7、德国的1/4，对开创性和引领性研究的开展形成掣肘。目前，中国顶尖高校人才引进对于海外高层次人才依赖仍然较大。九校联盟近五年所聘教师多具有海外顶尖研究机构的经历，多数联盟成员引进人才中来自QS排名前20机构的比例超过了70%。世界主要领先

图15：中国一流高校近年引进人才多具有海外顶尖研究机构经历



国家间的人才军备竞赛空前激烈，纷纷将吸引全球人才上升至国家战略。面对这一长期挑战，中国作为传统人才输出大国，如何吸引海外人才归国并持续留存、培养、激励现有高层次人才，是提升基础研究的基础、追求源头创新的源头。

**人才评价机制有待完善：**越来越多的高校开始采用准聘长聘制度，根据教职人员的科研产出，在第3年和第6年分别设置中期和最终考核，决定是否长期聘用。尽管准聘长聘制度为科研人员提供了更多的动力，但对于某些研究领域的适用性也存在值得商榷之处。基础性和原创性的科学研究往往需要漫长的时间投入，以3-6年短期量化产出为主要评价指标的考核体系容易引导科研人员选择短期能够发表成果的研究课题，而无法投入虽然重要但需要长期潜心钻研的方向。如何完善现有人才评价机制，在有效激励的同时兼顾长远的科研价值导向，是进一步鼓励人才发展、推动人才创新的关键。

**复合人才难以满足需求：**医药研发涉及多学科交叉，而我国现有生物医学教育模式下培养的人才往往在一个领域有深入造诣，但多学科综合方面存在明显短板；医药研发也涉及多领域交叉，既需要学术领域的专业知识，也需要对产业领域的商业规律和监管规则建立经验。我国现有人才培养路径无法满足对交叉型、复合型人才的需求，造成国内开展产业转化的人才瓶颈。

在转化研究人才方面，尽管全球都面临转化人才缺乏的问题，中国所面临的挑战尤为突出。首先，高校的基础研究人员往往不了解临床需求和过程，科研方案的设计理念也与药物早期研究的理念不同；其次，医疗机构的临床研究人员大多只具备医学背景但科学训练不足，难以推动基础研究的转化；第三，产业界具备转化研究能力的研发人才面临诸多高薪选择，较少投身于风险高而回报极不可控的产业转化环节。究其原因，与交叉型、复合型人才培养的源头环节起步较晚、供给不足息息相关。以旨在培养医学科学家的MD-PhD项目为例，中国领先医学院的此类项目大部分开始于21世纪，落后于美国半个世纪。且无论从项目数量、学生规模，还是学制安排、培养路径上来看，都尚未进入快速发展期。

在高校和科研机构的技术转化部门，专业队伍的缺失已成为科研成果产业转化的重大瓶颈。根据《2020年中国专利调查报告》，56.7%的受访高校和43.5%的受访科研机构认为缺乏技术转移的专业队伍是专利转移转化的最大障碍。目前，高校和科研机构的技术转化部门多以行政职能为主，工作围绕风险控制展开。由于没有职业技术经理人，队伍中缺乏相应的产业经验来识别、发掘、推动最具转化价值和应用潜力的基础研究成果，无法形成专业判断，也无法建立健全的专利战略或主动进行专利成果的市场营销。

## 第三章

# 国际案例及其启示

### 国家战略规划, 引领研究方向

全球各个生物医学领先国家均通过国家层面的顶层规划, 明确基础研究及其在医药产业转化的战略价值, 梳理聚焦研究领域和战略重点项目, 并通过定期系统性更新, 实时引领国家研究和产业发展方向。

英国于2011年和2012年连续推出《生命科学战略》, 明确战略目标和顶层设计, 提出合成生物学、细胞治疗等聚焦领域, 指明转化医学基础设施、临床数据、基因数据和生物库信息系统的战略价值, 并由独立的生命科学咨询委员会推动战略举措实施。又于2017年和2018年连续推出《生命科学产业报告》, 强化生命科学研究对于产业发展的塑造和推动作用。历年的战略规划文件中均清晰指明了聚焦研究领域和战略重点项目, 引领投入方向。

美国在过去10年间从多个角度发布推动生物医学研究和医药创新的国家战略文件, 包括2012年《促进新药发现、开发、评价报告》、2018年《卫生部2018-22战略规划》、2021年《未来产业发展报告》。通过周期性、体系化的顶层战略设计, 建立保持大国先进性的原则方向。

### 高额经费投入, 保障科学分配

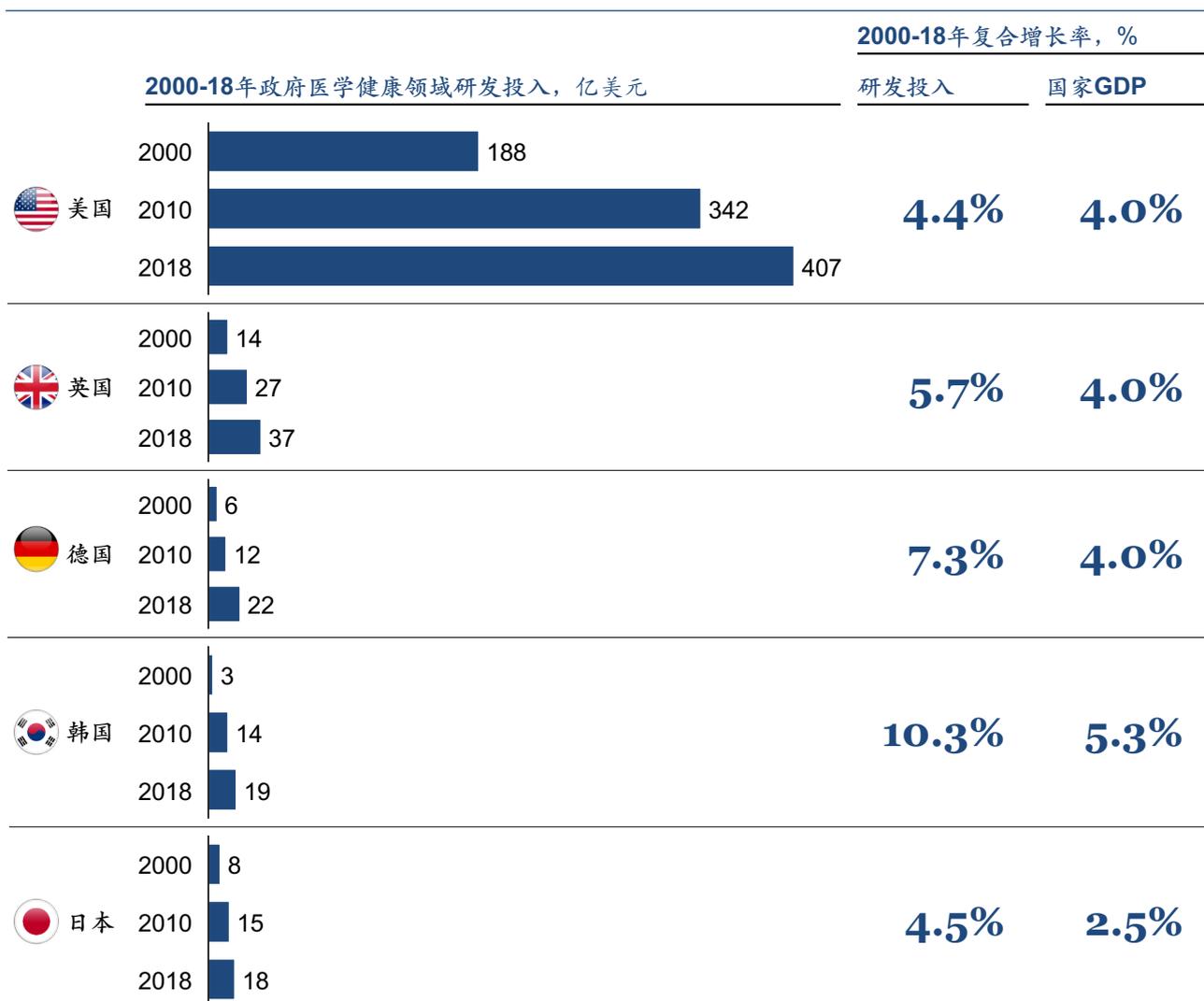
全球各个生物医学领先国家均一方面保障长期、持续、稳定、高额的政府资金投入, 另一方面通过专业机构管理实现阶段、领域上的科学配置, 旨在激励百花齐放的研究生态并统筹国家战略重点的协同落地。

**政府投入规模:** 美国是全球最庞大的医学科研资金投入主体, 2018年美国政府在医学健康领域的研发投入就已达407亿美元, 并保持每年4.4%的增速以稳固其全球第一的地位<sup>12</sup>。位列第二至五名的分别为英国、德国、韩国和日本, 2018年政府在医学健康领域的研发投入分别为37、22、19、18亿美元, 其中德国、韩国和日本的年均增速均几乎两倍于GDP增速, 体现了国家对于医学健康研发的重视程度。

**统筹分配主体:** 多个领先国家都设立了保障政府医学健康研发投入科学使用和分配的专业机构。在美国, 国立卫生研究院 (NIH) 统辖管理约87%的政府资金分配, 2020年经费高达417亿美元。通过竞争性项目制科研经费, 赋能全国研究机构, 促进百花齐放的创新生态; 通过建立多级制衡的评估机制, 保障资源以公平合理的方式分配给最合适的承接主体。据统计, 2010-2016年间共有210种新药获美国食品药品监督管理局 (FDA)

<sup>12</sup> OECD数据库

图16: 全球生物医药领先国家政府在医学健康领域的研发投入



资料来源: OECD数据库

批准, 所有新药的研发活动均曾获得NIH的资助<sup>13</sup>。其中, 超过90%的资助用于药物作用的生物学靶点相关的基础研究, 而非药物本身。由此可见NIH在美国医药创新研发中的关键地位和重点关注环节。在英国, 国立医学研究理事会 (MRC) 和国家健康研究所 (NIHR) 作为最主要的生物医学研究资助机构, 合计统辖管理约64%的政府资金分配, 通过竞争性项目的机制支持各类生物医学研究项目、以及基础设施建设<sup>14</sup>。

**风险投资基金:** 纵观欧美领先国家的风险投资基金阶段分布, 基本呈现出孵化期和种子期交易最为活跃, 项目数量随投资阶段逐步收窄的趋势。以美国为例, 2016-2020年美国累计孵化/种子/天使轮交易笔数占全部风险投资交易笔数的43.7%, 早期风险投资占比32.2%, 晚期风险投资占比24.1%。充足的公共投入保障基础研究中原始创新的产生, 成熟的社会资本从中发掘、孵化具备市场潜力的早期概念, 承担初始投资的高风险, 也从突破创新商业转化的市场回报中获得了丰厚收益, 反哺未来的投资。

<sup>13</sup> Contribution of NIH funding to new drug approvals 2010–2016

<sup>14</sup> UK Health Research Analysis 2018

## 多样创新主体，打造协作生态

全球各个生物医学领先国家均积极鼓励创新主体之间，尤其是学术界和企业界之间的充分联动，打通创新源头和商业化主体，促进产业化链条逐步形成、完善，以及创新主体自身能力的提升。

欧盟的创新医药计划（IMI）是迄今为止世界最大的医药领域公私（PPP）合作平台。2008年，IMI由欧盟委员会的研究创新总局和欧洲医药行业协会联盟（EFPIA）共同建立，至今总预算已达53亿欧元。作为一个国际化产学研一体协作平台，IMI旨在通过资助项目形式加速欧洲医药健康研究及创新事业发展。2013年以前，旨在通过显著提升药物研发效率及效益，从长远角度提高创新药物的安全性及有效性；2014年以后，相应欧盟“Horizon 2020”战略框架，则致力于加速解决社会及患者急迫健康难题的创新研究。

在美国，由加州政府牵头于2000年创立的加利福尼亚定量生物学研究所（qb3）集研究机构和创业加速器于一身，旨在利用量化科学整合对于各层级生物系统的理解，通过前所未有的新发现、产品、技术应对健康、环境、能源领域的最重大挑战，并加速加州的生物经济发展。由三所加州大学（伯克利、旧金山、圣克鲁兹）的校园科研总监领导、超过180名科学家参与科研，并为初创企业提供种子基金、孵化实验室等支持。企业与qb3之间形成了多样化的创新商业合作模式，如和参与大学联合成立创新中心、和风投资机构联合对初创企业进行投资，从而在第一时间以较小的代价了解、应用qb3中的科学发现。

在瑞士，洛桑联邦理工学院、日内瓦大学和两个家族基金会于2013年在日内瓦共同发起创立了新型协作创新平台Campus Biotech，其宗旨是保持瑞士在全球生物技术和生命科学研究上的领先地位。在约4万平方米的空间中，打造由学术中心、临床中心、初创企业、核心设施、催化基金共同构成的微生态，围绕神经科学、数字和全球健康这两大主题，推动15个研究团队和数十家初创公司并肩合作，加速从理论研究向产品应用的转化。

## 复合人才培养，促进双向流通

全球各个生物医学领先国家主要通过吸引全球优秀人才和自主培养复合人才这两种方式，壮大队伍并培育多层次、全领域、适应医药创新研发需求的人才梯队。同时通过搭建学术界、医学界、产业界之间的人才交流渠道，促进人才合理双向流通，联结基础研究、临床需求、商业应用。

为了培养能够融合科学研究和医学实践的医学科学家，美国从20世纪50年代开始启动MD-PhD双博士培养，至今已开设超过90个项目，目前约有5,400名在校生<sup>15</sup>。为了从国家层面鼓励规模化的人才培育和发展，NIH在1964年推出了医学科学家培养项目MSTP（Medical Scientist Training Program）专项基金。目前，MSTP覆盖范围已达全美约50%开设MD-PhD项目的学校，累计资助人数超过1万人。与接受单一基础科学或者临床医学训练的毕业生相比，MD-PhD项目毕业生同时具备坚实的基础科研经验和系统化的临床医学知识，往往更能胜任学术机构、生物科技企业、医药企业中的研发领导角色。在MD-PhD毕业生的研究工作中，约60%与转化研究相关、50%与基础研究相关，为美国的医药创新提供了持续的核心驱动力<sup>16</sup>。

<sup>15</sup> MD-PhD Program Graduates: Current Workplaces, Research Effort, and Types of Research They Do

<sup>16</sup> AMCC National MD-PhD Program Outcome Study

## 第四章

# 未来展望和政策建议

展望未来十年，提升中国的医药基础研究需以人才体系为核心，应对未来需求，优化人才培养评价体系；同时布局国家战略研究方向，提升经费管理使用效率，探索创新主体模式升级。

图17：以人才体系为中心，持续推动中国基础研究发挥医药创新源头作用



### 面向世界前沿，布局国家战略研究方向

在国家层面明确战略导向，引领研究方向，突出面向国际前沿领域和国家重大战略任务的战略领域和前瞻布局。展望未来，以下11类重要科技方向或将成为全球生物医药基础研究的活跃领域和发展趋势，是我国需重点关注和投入的研究方向。

#### 1. 前沿研究技术 / 方法

**基因编辑技术**提升药物研发效率，在药物研发领域，基因编辑技术大幅提高了药物靶点筛选、细胞株改造和动物模型构建等过程的效率，降低了药物研发周期和成本。

**合成生物学**以人工设计的基因线路改造人体自身细胞，或改造细菌、病毒等人工生命体，再使其间接作用于人体。这些经人工设计生命体能够感知疾病特异信号或人工信号、特异性靶向异常细胞和病灶区域、表达报告分子或释放治疗药物，从而实现对人体生理状态的监测，以及对肿瘤、代谢疾病、耐药菌感染等典型疾病的诊断与治疗。

**干细胞与再生医学**将提供慢病治疗与器官移植的解决方案，再生医学的发展为一系列重大慢性疾病的治愈带来希望，也为器官移植中缺乏器官来源的问题找到潜在解决方案。

**治疗性疫苗技术**是最新出现的革命性新药。现代生物医药在经历细胞因子类基因工程药物、抗体药物两个浪潮之后，即将掀起以治疗性疫苗为代表的第三个浪潮。治疗性疫苗具有较其他生物药物更独特的优势：一是不存在耐药性，从而避免了“超级病菌”的出现；二是利用自身免疫使类风湿性关节炎及多发性硬化病等疾病治愈成为可能；三是肿瘤治疗疫苗使人类看到了新的希望等。针对这些重大疾病的每一类创新药物的推出都将会成为未来的重磅药物。

**抗体药物**产业发展势头强劲，抗体药物的研究与开发已成为生物制药领域研究的热点，居近年来所有医药生物技术产品之首。抗体药物并不是近年来才出现的新型药物类型，经过几十年的技术迭代升级，单抗行业迎来快速应用发展的黄金期，特别是基于免疫疗法在肿瘤治疗领域已取得巨大成功。新一代的抗体药物的研发布局将集中在新适应症、新治疗靶点、新分子和新疗法。

## 2. 前沿研究领域 / 对象

**脑科学**研究成果可应用于脑疾病的诊断和治疗。未来通过分子、影像以及相关标记物，即可在大脑疾病的早期诊断和干预上发挥重要作用，通过大脑疾病的遗传、表观遗传以及病理性功能失调等方面的研究，掌握大脑疾病的发生机制，可能攻克目前常见的脑功能障碍疾病。通过对这些重大脑疾病的深入认识，可为这些重大脑疾病的防治提供新药研发靶点，为新药创制开辟新天地。

**人类微生物组**研发为健康保障提供新思路，人类微生物组研究推动基础学科和前沿技术的交叉创新，颠覆了人体组成、健康和疾病的传统认知，相关研究为应对人口老龄化挑战和重大慢性疾病以及癌症提供疾病检测、治疗和营养干预等新策略。

**免疫治疗**为肿瘤治疗带来希望，随着肿瘤新生抗原/新靶点的发现以及免疫细胞设计及改造、细胞大规模培养等关键技术的突破，免疫治疗产业将形成强劲的核心竞争力。

## 3. 前沿研究理念 / 方式

**精准医疗**促进疾病高效诊治。基于基因及其表观遗传修饰、组织细胞结构特征、组织细胞功能表征对疾病进行准确诊断与细致分型，基于细致全面的诊断结果进行个体差异性的精准医疗。

**转化医学**有效促进产业进程，未来随着多学科的交叉融合，各学科间的协作攻关能力及国际竞争能力的提升，从而带动相关学科的整体发展。

**生物技术和信息技术的交叉融合创新**，生物大数据与人工智能融合对产业发展有颠覆性影响，生物大数据的发展极大改变了生命科学，包括医疗健康及药物开发等行业和领域。近几年兴起的以深度机器学习为代表的人工智能浪潮，在各个方面对科学研究和产业发展均产生了极大的颠覆性影响。

## 针对关键环节，提升经费管理使用效率

**1. 优化公共投入方式：**我国研发总投入规模已位居世界第二，其中公共投入总量也已具备较大规模。未来如何通过有的放矢地强化关键环节、科学公平地资助高潜项目，或将成为撬动公共投入的产出质量的重要工作。

**在投入力度上，**为了改变我国占比仍落后于全球领先国家的现状，应持续加大在医药创新基础研究环节的公共投入规模，争取较“十四五”规划提前完成基础研究经费投入占研发经费投入超8%的目标。面向国家重大需求和战略发展方向（如前述重要科技方向），在投入力度上进行资源倾斜。

**在投入方式上，**借鉴领先国家的公共经费管理模式，设立专门的国家生物医学专项基金，并交由专业的管理机构通过科学、公平的评价机制统筹管理，提高资源分配效率。加强在竞争性经费和稳定性经费之间的统筹协调，避免重复资助和过度资助。同时，根据研究机构和研究领域的性质，平衡竞争性经费和稳定性经费的比例。如对于国立基础科研机构、国家重大科技基础设施等研究机构，以及具备战略性、前沿性、长期性特点的研究领域，应保障稳定性经费的供给，促进构建和维持高水平研究平台、引进和留存高水平研究人才，使研究人才能够心无旁骛地开展开创性工作。同时，国家生物医学专项基金中也应包含支持产业转化的专门经费，在社会资本尚缺位的情况下，提供高容忍度地耐心资本，促进基础研究成果的孵化转化。

**2. 提升经费使用效率：**基础研究经费投入的持续增加仅仅是赋能创新源头的的一个方面，提升基础研究经费的使用效率也需要做出巨大的努力。在经费使用和研究实施端，高校和科研机构应进一步健全经费管理组织和制度建设，提升经费管理的精细化程度，促进科研的增长模式从投入推动型转向成果拉动型。对于稳定性经费的再分配力求去行政化，以学术为导向，规避管理机制僵化、流程效率低下、资助方向盲目等弊端。

## 围绕创新链条，探索创新主体模式升级

**1. 新型科研管理模式：**为了激发高校和科研机构的创新活力，需要摒弃“四唯”，建立多元、科学的评价体系；需要打破学科壁垒，打造从上游原始发现到下游转化应用创新链条。通过探索新型科研管理模式，突破旧体制的桎梏，释放创新主体的主观能动性。

**改革评价体系，**校正考核指标的“指挥棒”作用，从科研评价机制和管理模式上引导顶尖高校追求原始创新，鼓励基础研究成果转化。可考虑将转化机制和转化成果纳入部分类别高校和科研机构的考核标准，通过自上而下的驱动和激励，提升创新主体的转化意愿，并提高科研成果的使用效率。

**打造创新链条，**串联高校和科研机构发挥创新源头作用所需的各个环节。在传统学科布局基础上，建立跨学科、跨领域交叉融合的新体制研发机构，促进资源共享和交流合作，建立基础研究原始创新和产业应用转移转化之间的桥梁。通过新型研发机构等创新体制和管理模式尝试，培育实现科研和产业化活动的组织能力，发展集成了科研、孵化等功能的微创新生态。

**2. 跨界协作联动融合：**在医研联动方面，建立国家转化科学促进中心，作为协调机构和示范机构，整合利用现有的碎片化的技术、资源、设施，搭建基础医学到临床研究的转化桥梁。在产学协作方面，完善高校和研究机构的产业转化能力，鼓励和支持行业组织建立第三方交易平台，通过健全灵活的知识产权交易和市场化机制对科研人员的技术转移和成果产业化提供服务。

## 应对未来需求，优化人才培养评价体系

**1. 完善多元评价体系：**在破除当前“唯论文”的单一科研评价方式基础上，参考借鉴国外科研人才评价体系的优秀经验，积极探索和完善更加多元化的科学评价体系，促进本土基础研究人员的成长和长期发展。

**分类评价。**针对从事不同类型、不同领域工作的专业人才制定符合其业务本质的科学评价维度和评价方法，重点关注真实研究和转化价值。对于从事基础研究的人才，主要考察其是否为回答重要科学问题、开拓前瞻研究领域做出了新颖尝试和实质贡献，并且充分尊重基础研究的长期性，避免以一刀切的短期量化指标（如论文发展数量）主导人才的考核与评价。对于从事转化研究的人才，主要考察其是否在突破技术瓶颈、解决临床实际和国家战略需求方面取得了相应产出，将成果转化等纳入标志性成果评价。

**小同行评议。**在人才评价方式上，由内外部小同行专家组成的委员会针对被评价人才的论文代表作或标志性成果进行评议，实现“内行评内行”。小同行评议的人才评价方式更易贴合学科领域的独特性，避免大同行评议中较为粗放、注重数量指标的评价导向，从而回归到对于研究质量和实际贡献的评价本身。

**2. 吸引留住海外人才：**搭建用于招募海外科研人才的有效、精准信息渠道，优化引进人才的科研和生活条件，完善引进后的配套政策落实力度。在激烈的国际人才竞争中，吸引更多领军人才，并能使这些领军人才引得来、留得下、用得好，并且继续保持高效和顶尖科研产出。

**人才认定和引进环节，**同样需要在评价体系中摒弃“唯资历、唯学历、唯职称、唯论文、唯奖项”的“五唯标准”，应以研究领域的发展需求和人才自身的能力潜力作为重点考察方向。

**人才启动和成长环节，**需重新衡量限定时期内的“非升即走”规定对于不同类型、不同领域人才的适用性，也应遵循分类评价原则，降低人才（尤其是青年人才）在国内启动、加速科研生涯的壁垒。除在科研方面给提供友好的起步期资助、帮扶措施，在生活方面也应为人才在落户、居留签证、子女入学、医疗等方面提供便捷高效的服务和保障。

**3. 培养本土科研队伍：**本土人才的培养和留存对于充实基础研究队伍基数和体量，孵育未来领军人物发挥着不可替代的作用。我国现有生物医学教育模式亟待升级，通过学科布局、培养路径、教学理念等方面的综合优化，打造面向未来的本土科研队伍。

**优化人才队伍布局。**基础研究离不开庞大的人才队伍。为使基础科研人才能够满足我国生物医药发展的要求，应优化科研人员培养方式和培养路径，与时俱进地调整学科布局，及时补充新兴交叉学科设置，从而实现加强科研人员队伍建设，使人才队伍适应科技前沿和产业培养的培养目标。

**培育新型复合人才。**基础科研正在朝着智能化、自动化和数据化方向发展。与此同时，我国应加大对兼具科学、医学、药学、信息技术等背景的复合型研究和产业人才的培养力度，包括完善教育培养模式、明确职业发展计划、匹配政策倾斜措施等，以捕捉新兴技术领域机遇，并填补如转化研究、技术产业转化等医药创新链条上关键环节上的人才缺口。另一方面，打通机制体制壁垒，提供人才在学术界、医学界和产业界之间流动的通道也是促进复合人才培育和成长的重要途径。



