

“干细胞研究与器官修复”重点专项 2024 年度项目申报指南

“干细胞研究与器官修复”重点专项主要面向重要组织器官修复和重大疾病临床需求，围绕干细胞发育与器官修复关键科学问题，开展干细胞命运调控、器官形成与衰老、器官再生、功能重塑与制造、人类疾病干细胞模型等方面的基础理论研究和关键技术攻关，探索干细胞与再生医学研究成果的临床转化路径，加速干细胞相关技术和产品的研发和临床应用。

本重点专项在前期实施三年基础上，2024 年拟突出重大疾病与健康需求导向，强化自主创新和应用路径，在干细胞技术与相关产品研发、器官修复与制造、重大疾病的干细胞治疗、确证性干细胞临床研究、新型组织方式试点项目、揭榜挂帅项目等 6 个板块部署 19 个指南方向，支持若干个常规项目、3 个青年科学家项目、1 个新型组织方式试点项目、1 个揭榜挂帅项目。拟安排国拨经费概算 4.3 亿元。

申报项目的研究内容必须涵盖指南方向所列的全部研究内容和考核指标。项目执行期一般为 3 年。除特殊说明外，基础研究类项目下设课题数不超过 4 个，项目参与单位总数不超过 6 家；技术开发类项目下设课题数不超过 5 个，项目参与单位总数不超过 10 家；临床研究类项目下设课题数不超过 6 个，项目参与单位总数不超过 15 家。项目设 1 名负

责人，每个课题设 1 名负责人。

带有*标记的 3 个指南方向设立常规项目和青年科学家项目各 1 项。青年科学家项目除要求项目所有人员年龄均不超过 40 周岁以外，其他与常规项目要求保持一致（包括但不限于申报项目的研究内容必须涵盖指南方向所列的全部研究内容和考核指标、项目执行期、下设课题数、参与单位数量等）。

1. 干细胞研究及相关产品研发

1.1 新型全能性干细胞及类胚胎构建（基础研究类）*

研究内容：优化全能性干细胞培养体系，获得具有更多发育潜能和更高安全性的新型全能性干细胞；开发胚胎体外构建与发育体系，基于新型全能性干细胞构建启动原肠运动的类胚胎；探索胚胎植入、早期发育和器官发生机理。

考核指标：发现 2~3 个维持干细胞全能性或能诱导向特定谱系分化的基因和关键分子；构建全能干细胞培养与全能性维持体系，新建 3~5 株遗传背景清晰、可溯源的人类新型全能性干细胞系；构建可长期培养并启动原肠运动的类胚胎，揭示细胞命运调控的基本模式，体外获得特定器官原基。

有关说明：本指南方向设立常规项目和青年科学家项目各 1 项，同一法人单位内人员不得同时牵头申报常规项目和青年科学家项目。本指南方向常规项目和青年科学家项目国拨经费概算参考数各约 1800 万元。

1.2 人多能干细胞分化调控及功能细胞制备（基础研究类）

研究内容：研究人体多能干细胞向特定胚层和谱系定向分化中表观遗传调控、基因表达及其与细胞命运改变和类型演变的关系，发现精准调控干细胞分化方向和速度的关键靶点；针对特定适应证鉴定新型治疗用细胞的功能标志物，制备可用于疾病治疗的功能细胞；结合细胞质量体系，规模化制备并系统评价其临床前安全性、有效性。

考核指标：选择人多能干细胞向特定功能细胞定向分化中的 3~5 个重要节点，揭示细胞命运改变及功能建立的协同调控网络；建立 2~3 种精准调控干细胞分化方向和速度的技术；发现 3~5 个新型功能标记物，针对神经、代谢、呼吸、造血等系统疾病，鉴定 1~2 种具有疾病治疗前景的全新功能细胞；建立规模化制备技术，完成系统性临床前评价并明确其用于疾病治疗的可行性。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元。

1.3 多功能工程化干细胞药物研发与评估（技术开发类）

研究内容：建立具有组织响应和功能增强的工程化干细胞及其在体评估技术平台；结合新型体内示踪技术，研究干细胞的体内分布、迁移、驻留和命运转变规律，在大动物模型中进行验证；研发新型多功能工程化干细胞药物，开展治疗组织损伤和器官衰竭的疗效评估。

考核指标：建立 2~3 种可用于干细胞药物药代动力学

和疗效评估的新模型或新技术，结合大动物模型实现工程化干细胞药物组织响应和功能增强的在体评估，形成相关标准；研究多功能工程化干细胞的体内分布、迁移、驻留和命运转变规律，探索 2~3 种治疗性干预措施，开展 2 种以上新型多功能工程化干细胞药物治疗组织损伤和器官衰竭的临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

1.4 干细胞及其衍生物创新药的监管技术研究（技术开发类）

研究内容：针对以干细胞或其衍生物为原料研发的细胞药或干细胞衍生物产品，根据目标产品的研发阶段或成熟度，建立相应的质量及非临床评价技术，或符合上市申报要求的质量监管评价技术，为干细胞或衍生物产品获批上市提供支撑。

考核指标：针对 1~2 个由成体干细胞或多能干细胞研发的细胞产品，完成 3~4 个符合上市要求的质量监管评价技术。针对 2~3 种干细胞衍生物产品，建立至少 5 种质量评价新技术，1~2 种质量控制用参比品，1~2 种特异性临床前评价技术，形成 1~2 个专家共识或评价技术要求。形成干细胞或衍生物产品审评审批技术指南或规范，推动 1~2 个产品获批上市。

有关说明：本任务采用定向委托方式，由国家药品监督管理局组织推荐申报。本指南方向国拨经费概算参考数约

1600 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

1.5 干细胞疾病模型及药效评价（技术开发类）*

研究内容：针对我国常见的重大疾病，研究干细胞变异或损伤机制，解析干细胞在其病理过程中的作用及机制；基于病变干细胞建立细胞或类器官疾病模型，探讨病变干细胞的药物治疗反应或耐药机制；基于干细胞疾病模型建立高通量药物筛选体系，评价药效和安全性，指导疾病治疗。

考核指标：建立 2 种以上基于干细胞的疾病模型，揭示疾病发生发展中的病理变化及机制，包括但不限于干细胞变异、干细胞损伤和干细胞分化异常等；鉴定 8~10 个相关的发病关键因子及潜在干预靶点，探讨其与药物治疗反应或耐药的关系；结合该疾病一线药物和临床研究失败药物，验证干细胞疾病模型的效能，创建药效和安全性评估平台；利用平台进行药物筛选，获得 3~5 个可逆转疾病表型的候选新药并开展临床前研究。

有关说明：本指南方向设立常规项目和青年科学家项目各 1 项，同一法人单位内人员不得同时牵头申报常规项目和青年科学家项目。本指南方向常规项目和青年科学家项目国拨经费概算参考数各约 1800 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

2.组织修复及器官制造

2.1 基于干细胞的器官制造（基础研究类）*

研究内容：参照心、肺、肠、肝、肾等人体重要器官的结构和功能，构建形态结构相似、能模拟人体生理功能的器官模块、原位再造或体外人工器官；建立器官模块或人工器官的功能评价体系，开发原位再造或异位移植新技术，开展干细胞源性人工器官的临床前研究。

考核指标：创建器官制造所需细胞扩增体系和材料筛选体系，能支撑 3-5 种人体重要器官或其功能模块的制备；构建 2-3 种具有基本生理功能的厘米级尺度以上的功能化器官模块、再造器官或体外人工器官，并在 1-2 种大动物模型中验证其功能，形成可用于机制研究、疗效评估和生理替代的人工器官或模块。

有关说明：本指南方向设立常规项目和青年科学家项目各 1 项，同一法人单位内人员不得同时牵头申报常规项目和青年科学家项目。本指南方向常规项目和青年科学家项目国拨经费概算参考数各约 1800 万元。

2.2 干细胞软骨分化及器官重建（技术开发类）

研究内容：研究干细胞向软骨细胞定向分化的调控机制和关键技术；设计开发含干细胞源性软骨成分的仿生组织（器官），研发促进移植后软骨修复和功能重建的生物兼容材料；研制具有复杂结构形态、针对不同临床应用场景的大尺度软骨组织工程移植物，建立组织修复和器官功能重建技术体系。

考核指标：建立干细胞向软骨定向分化调控技术，研发 2~3 种具有促软骨修复和功能重建的生物兼容材料；构

建 2 种以上含软骨组织的大尺度组织工程移植物和复杂结构功能器官（如外耳、气管等），结合大动物实验完成临床前评价，获得支撑进入 IND（新药临床试验申请）许可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案的数据。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

2.3 多细胞谱系人源化的异种嵌合技术（基础研究类）

研究内容：结合猪和非人灵长类等大型哺乳动物原肠运动和器官发生的物种保守性与进化特异性，鉴定能够在大动物模型中发生高效嵌合的多能干细胞系，建立人源干细胞嵌合的关键技术；研究干细胞来源器官在异种胚胎内的命运及与宿主的相互作用，优化异种嵌合方案，实现人源化器官在大动物胚胎的长时程发育和功能维持。

考核指标：揭示影响干细胞与大动物模型异种嵌合效率的因素及其调控机制；获得 2~3 种具有高异种嵌合能力的大动物模型；建立 2 种以上特定器官发育缺陷或功能衰竭的大动物模型；建立适合伦理规范的干细胞异种嵌合技术体系，获得人源细胞比例不少于 50% 具有功能的嵌合组织器官，形成 1~2 个技术规范。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元。

2.4 复合脑类器官模型及其应用（基础研究类）

研究内容：针对阿尔兹海默病、帕金森病等脑重大疾病的防治需求，开发复合有多细胞类型、多脑区组织的脑

类器官构建技术，建立脑类器官模型及类器官库；研究上述脑重大疾病发生的跨脑区机制，并探索复合脑类器官在重大脑疾病防治策略和药物研发中的应用。

考核指标：开发含不少于 3 种细胞、不少于 2 个脑区的复合脑类器官构建技术；构建含 5 种以上重大脑疾病类型的脑类器官库；评价脑类器官模型在脑重大疾病发病机制的研究、防治药物的筛选和药效评价中的应用（不少于 10 个基于发病机制的新药候选物），完成 2~3 个候选药的临床前评价。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元。

3.干细胞治疗重大疾病

3.1 针对生殖干细胞微环境的生育力重塑（基础研究类）

研究内容：研究生殖干细胞及其微环境在性腺稳态维持、损伤和再生修复中的作用；揭示性腺细胞及其微环境异常影响生育力的关键机制，筛选并验证促进生育力维持及修复的候选靶点；建立性腺微环境干预与生育力重塑的新策略与修复新技术，开展临床研究。

考核指标：建立 3 种以上生殖功能损伤模型、2 种以上性腺功能相关干细胞标记和活体实时追踪技术体系；构建性腺细胞及其微环境在 2~3 种损伤条件下的表型图谱；揭示生殖干细胞及其微环境的互作机制，筛选并验证 3 个以上的生育力重塑靶点；建立 2~3 种调控性腺微环境重塑生育力的新策略，获得支撑进入 IND（新药临床试验申请）许

可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案的数据。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元。

3.2 干细胞治疗中枢神经损伤（基础研究类）

研究内容：研究个体发育中神经干细胞与胶质（前体）细胞的命运调控、时空分布和动态变化；建立脑或脊髓损伤后内源性干细胞激活和外源性干细胞治疗时活体干细胞功能可视化新技术，研究内源性和外源性干细胞在体内命运转变、修复作用及其机制；建立基于干细胞和生物材料的促进脑或脊髓损伤修复新策略、新技术，并开展临床研究。

考核指标：以 3~5 个重要脑区或特定脊髓区域为对象，研究脑或脊髓发育中神经干细胞和胶质（前体）细胞谱系的时空演化规律及其调控机制；建立脑或脊髓损伤后内源性干细胞激活和外源性干细胞治疗时活体干细胞功能可视化新技术，研究内源性和外源性干细胞在体内命运转变、修复作用及其机制；发现 2~3 种具有损伤修复意义的新型神经干细胞和胶质（前体）细胞亚型，发现 1~2 个调控脑或脊髓神经组织修复的潜在治疗靶点；研发 1~2 个能促进中枢神经损伤修复的治疗技术或候选药物，获得 IND（新药临床试验申请）许可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案，开展临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元。

3.3 多能干细胞源性免疫细胞及应用（基础研究类）

研究内容：解析免疫细胞发育分化的关键微环境与调控通路；体外模拟免疫谱系发育，建立人类多能干细胞诱导分化技术，并结合疾病动物模型或类器官模型进行系统评价；建立基于人类多能干细胞来源免疫细胞的疾病治疗新策略和新技术。

考核指标：发现 2~3 个免疫细胞发育分化的关键微环境因子；建立 2~3 种高效诱导多能干细胞分化为免疫细胞的技术体系，诱导分化输出效率 > 1:2000，目标细胞比例不低于 80%，建立相关技术标准方案；获得 IND（新药临床试验申请）许可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案，支撑开展 2~3 项应用多能干细胞来源免疫细胞治疗肿瘤等重大疾病的临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元。

3.4 干细胞治疗难愈性皮肤创伤（技术开发类）

研究内容：研究难愈性皮肤创伤的再生异常机理与病理微环境特征，结合生物 3D 打印、机器学习等前沿技术，应用干细胞及衍生物构建复杂皮肤器官并实现规模化制备；验证干细胞及衍生物、皮肤器官产品对难愈性皮肤创伤的促愈作用，开展临床前和临床研究。

考核指标：结合人体难愈性皮肤创面和 3 种以上难愈性皮肤创伤动物模型，筛选 2~3 种具有功能性皮肤修复作用的关键干细胞或干细胞衍生物类型；研制 3 种以上含临床级

干细胞的治疗性生物墨水（细胞存活率 $\geq 80\%$ 、存活 ≥ 14 天），构建 1~2 种规模化制备含有功能性皮肤附件（包括汗腺和毛囊等）的技术体系；利用 2 种以上动物模型开展难愈性皮肤创伤的临床前研究，获得 IND（新药临床试验申请）许可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案，开展临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

3.5 干细胞治疗肺部重大疾病（技术开发类）

研究内容：针对与干细胞相关的肺部重大疾病，建立代表性模型，解析干细胞相关的功能改变与肺部疾病发生发展的关系；发现内源性干细胞激活的新机理、新靶点、新方法；建立通过调控内源性干细胞或干细胞移植治疗肺部重大疾病关键技术与方法，评价其临床安全性及有效性。

考核指标：发现与肺发育和疾病发生相关的干细胞演变路径、表型转换和功能改变新机制；确定 1~2 个调控肺干细胞命运的关键分子，研发可促进干细胞修复肺损伤的小分子化合物或干细胞衍生物，完成临床前药效评价；开发 2~3 种不同类型干细胞治疗肺部重大疾病（如特发性肺纤维化、慢阻肺、肺动脉高压、尘肺病等）的新技术，获得 IND（新药临床试验申请）许可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案，开展干细胞移植治疗肺部重大疾病的临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万

元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

3.6 干细胞治疗骨和关节疾病（技术开发类）

研究内容：鉴定新型骨和关节干（祖）细胞，研究其力学和非力学响应特征，及在骨和关节发育、衰老、伤病发生发展与修复中的作用；针对原发或继发性骨质疏松症、骨关节炎等全身或局部骨和关节疾病，结合新型干（祖）细胞及其功能特征开发治疗新产品、新技术或新策略，完成临床前评价和临床研究。

考核指标：发现并鉴定 2~3 种骨和关节新型干（祖）细胞，确定其分子表型、功能特征及对微环境物理、化学和生物因素的响应性；解析其在 2 种以上骨和关节疾病病理状态下的表型与功能，揭示变化机制并发现 2~3 个新治疗靶点；开发 1~2 种能显著改善骨与关节结构和功能的干细胞或其衍生物产品，完成临床前评价及治疗骨和关节疾病的小样本临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

3.7 干细胞治疗致盲性眼病（技术开发类）

研究内容：研究视网膜干细胞分化路径和机制，解析视网膜干细胞的代谢特征及与微环境的相互作用；研究视网膜病变过程中干细胞、代谢和微环境的变化及规律，揭示干细胞及其衍生物的促修复作用；构建基于干细胞的致盲性眼病治疗新策略、新技术，评估其临床有效性和安全性。

考核指标：揭示不同生理和病理条件下视网膜干细胞分化及微环境调控的共性新机制，发现 1~2 个促进视网膜损伤修复与再生的新靶点；确定 1~2 种调控视网膜干细胞功能的候选小分子化合物或基因工程药物，完成临床前药效学评价；针对至少 2 种重大致盲性眼病（视网膜黄斑变性、青光眼、糖尿病视网膜病变等），建立 2 个以上干细胞及其衍生物（外泌体、微囊泡等）治疗致盲性眼病的新策略、新技术或新方案，获得 IND（新药临床试验申请）许可或 IIT（研究者发起的临床研究）备案，开展干细胞治疗致盲性眼病的临床研究。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约 1800 万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于 1:1。

4.确证性干细胞临床研究（临床研究类）

研究内容：针对呼吸、运动、消化、神经等系统的难治性疾病，在取得目标干细胞产品初步临床安全性和有效性证据基础上，对其安全性和有效性进行科学严谨的确证性研究，为干细胞产品注册提供关键的获益/风险评估证据。

考核指标：受试人群、主要和次要终点的选择、研究持续时间、样本量估计和统计学设计等应符合具体治疗领域的一般指南要求。收集的数据能用于判断干细胞产品是否优于现有治疗手段并支撑干细胞产品注册。提交目标干细胞产品的新药注册申请（NDA/BLA）并获得药品审评部门受理。

有关说明：本指南方向由企业牵头申报，鼓励产、学、

研、医等联合申请。申请项目应已获得干细胞新药注册临床试验默认许可，并获得安全性和有效性的初步证据。临床试验应遵循《药物临床试验质量管理规范》（2020年修订版）（GCP）等一般原则要求。拟支持不超过3个项目。本指南方向国拨经费概算参考数约4500万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于3:1。

5.新型组织方式试点项目

攻关任务：化学因子诱导干细胞定向分化的基础研究和临床应用

组织形式：通过广泛调研、专家论证等多种方式发掘卫生健康领域具有战略性、创新性、可行性的优秀科技项目并予以定向支持，由主责单位确定首席科学家，并授权首席科学家牵头组建攻关任务需要的跨学科专家团队，自行提出研究内容、考核指标、经费需求等，由主责部门会同专业机构组织专家论证，确定最终任务书内容，在合法合规范围内使用科研经费，确保攻关任务如期完成。

有关说明：本指南方向国拨经费概算参考数约3000万元，申请单位配套经费与中央财政经费比例不低于3:1。