

上海市科学技术委员会

沪科指南〔2024〕16号

关于发布上海市 2024 年度“科技创新行动计划” 细胞与基因治疗专项项目申报指南的通知

各有关单位：

为深入实施创新驱动发展战略，加快建设具有全球影响力的科技创新中心，根据《上海市建设具有全球影响力的科技创新中心“十四五”规划》《上海市促进细胞治疗科技创新与产业发展行动方案（2022-2024年）》《上海市促进基因治疗科技创新与产业发展行动方案（2023-2025年）》，上海市科学技术委员会特发布2024年度“科技创新行动计划”细胞与基因治疗专项项目申报指南。

一、征集范围

专题一、细胞（基因）治疗新靶点新机制研究

研究目标：发现确认细胞（基因）治疗新靶点新机制，并获得相关候选药物动物水平的有效性评价报告。

研究内容：围绕免疫新靶点发现、干细胞命运调控等方向，开展细胞（基因）治疗新靶点新机制研究，发现并确认细胞（基因）治疗候选药物，并在具有临床应用价值的疾病动物模型中完成验证及有效性评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过10个项目，每项资助额度不超过100万元。

申报主体要求：每个单位限申报1项。

专题二、关键核心技术研究

方向1：基于转座酶的完整功能基因定点写入技术

研究目标：开发全RNA基因定点写入工具，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：基于宏基因组数据，筛选可用于哺乳动物的转座酶和转座子系统，提升基因写入效率、容量和特异性，完成全RNA改造及元件优化；面向血友病B、苯丙酮尿症等遗传病，完成动物水平概念验证研究。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助

额度不超过200万元。

方向2：基于重组酶的基因编辑技术

研究目标：开发具有自主知识产权的新型重组酶基因编辑工具，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：基于重组酶分子机制的研究成果，通过调节内源性DNA重组通路、DNA损伤修复通路等路径，提高重组酶基因编辑工具的效率，并完成动物水平靶向性DNA重组技术评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

方向3：小核酸药物肝外递送系统

研究目标：开发具有自主知识产权的小核酸药物肝外递送系统，实现肝外组织器官特异性的小核酸药物递送，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：开发靶向淋巴、脾、脑等肝外组织器官的递送系统，实现小核酸药物的体内靶向递送，并在具有临床应用价值的疾病动物模型中完成小核酸药物的安全性和有效性评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

方向4：人工智能赋能CAR-T设计技术

研究目标：开发具有自主知识产权的人工智能赋能CAR-T设

计技术，获得动物水平评价报告。

研究内容：构建肿瘤新抗原数据库，搭建人工智能驱动的CAR设计平台，针对不同肿瘤抗原生成高亲和力、高特异性的CAR结构；利用人工智能辅助优化CAR-T细胞基底信号，提升CAR-T抗肿瘤能力和体内持续性，并完成动物水平人工智能赋能CAR-T设计技术评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

方向5：细胞与基因治疗产品外源微生物污染快速检测技术

研究目标：开发适用于细胞与基因治疗产品风险放行或工艺过程控制的外源微生物污染快速检测技术，获得专属性、灵敏度等方法学验证报告。

研究内容：基于生物发光、核酸扩增、固相成像等方法，开发外源微生物污染快速检测技术，排除产品基质的假阳性和假阴性干扰，实现痤疮丙酸杆菌等中国药典收载的代表性质控菌，以及真实世界中慢生长细菌、高风险霉菌的有效检出，检查窗口时间短于7天，检测限小于100CFU，并完成其在细胞与基因治疗产品中间过程控制及风险放行等场景的适用性研究，以及专属性、灵敏度等方法学验证。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助

额度不超过200万元。

方向6：环形RNA设计修饰技术

研究目标：开发具有自主知识产权的环形RNA设计修饰技术，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：搭建环形RNA分子设计平台、分子修饰平台和高通量筛选平台，筛选新型环形RNA修饰技术，提高环形RNA稳定性和体内翻译效率，获得具有临床价值的工程化环形RNA，并在具有临床应用价值的疾病动物模型中完成安全性和有效性评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

申报主体要求：本市企业申报。

方向7：通用型CAR-T技术

研究目标：开发具有自主知识产权的异体通用型CAR-T技术，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：开发异体通用型CAR-T技术，实现无需免疫抑制、体内存留3个月以上；针对实体瘤、自身免疫性疾病等领域，在具有临床应用价值的疾病动物模型中开展安全性和有效性评价；建立大规模异体通用型CAR-T细胞制备工艺，单次生产200人份以上。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助

额度不超过200万元。

申报主体要求：本市企业申报。

方向8：靶向实体肿瘤的CAR-NK技术

研究目标：针对实体肿瘤治疗，开发具有自主知识产权的CAR-NK技术，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：开展脐带血、外周血等来源的CAR-NK工程设计，增强其靶向肿瘤的迁徙和穿透能力，提高其持久性和抵抗免疫衰竭功能，并在具有临床应用价值的疾病动物模型中完成安全性和有效性评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

申报主体要求：本市企业申报。

方向9：新型基因修饰TIL技术

研究目标：开发具有自主知识产权的TIL技术，获得动物水平安全性和有效性评价报告。

研究内容：针对TIL细胞回输前淋巴细胞清除预处理、回输后IL-2注射等问题，开发新型的基因修饰TIL细胞治疗技术，确定基因导入、细胞扩增、效力分析等关键工艺规程、参数与质量指标，提升TIL细胞的抗肿瘤活性、抗耗竭能力或重塑微环境能力，并在与TIL细胞同源配对的病人来源肿瘤异种移植动物模型中完成安全性和有效性评价。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

申报主体要求：本市企业申报。

方向10：自动化封闭式细胞处理设备

研究目标：开发具有自主知识产权的自动化封闭式细胞处理设备，获得细胞的一致性、安全性测试和功能验证报告。

研究内容：完成全自动化细胞分离、提纯、培养、冻存、复苏技术的研发，开发自动化封闭式细胞处理设备，并完成细胞的批间一致性、安全性测试和功能验证。

执行期限：2024年12月1日至2027年11月30日。

经费额度：非定额资助，拟支持不超过2个项目，每项资助额度不超过200万元。

申报主体要求：本市企业申报。

二、申报要求

除满足前述相应条件外，还须遵循以下要求：

1. 项目申报单位应当是注册在本市的法人或非法人组织，具有组织项目实施的相应能力。

2. 对于申请人在以往市级财政资金或其他机构（如科技部、国家自然科学基金等）资助项目基础上提出的新项目，应明确阐述二者的异同、继承与发展关系。

3. 所有申报单位和项目参与人应遵守科研诚信管理要求，项

目负责人应承诺所提交材料真实性，申报单位应当对申请人的申请资格负责，并对申请材料的真实性和完整性进行审核，不得提交有涉密内容的项目申请。

4. 申报项目若提出回避专家申请的，须在提交项目可行性方案的同时，上传由申报单位出具公函提出回避专家名单与理由。

5. 所有申报单位和项目参与人应遵守科技伦理准则。拟开展的科技活动应进行科技伦理风险评估，涉及科技部《科技伦理审查办法（试行）》（国科发监〔2023〕167号）第二条所列范围科技活动的，应按要求进行科技伦理审查并提供相应的科技伦理审查批准材料。

6. 所有申报单位和项目参与人应遵守人类遗传资源管理相关法规和病原微生物实验室生物安全管理相关规定。

7. 已作为项目负责人承担市科委科技计划在研项目2项及以上者，不得作为项目负责人申报。

8. 项目经费预算编制应当真实、合理，符合市科委科技计划项目经费管理的有关要求。

9. 每位项目负责人申报项目不超过1项。

三、申报方式

1. 项目申报采用网上申报方式，无需送交纸质材料。申请人通过“中国上海”门户网站（<http://www.sh.gov.cn>）--政务服务--点击“上海市财政科技投入信息管理平台”进入申报页面，或者直接通过域名<https://czkj.sheic.org.cn/>进入申报页面：

【初次填写】使用“一网通办”登录（如尚未注册账号，请先转入“一网通办”注册账号页面完成注册），进入申报指南页面，点击相应的指南专题，进行项目申报；

【继续填写】使用“一网通办”登录后，继续该项目的填报。

2. 项目网上填报起始时间为2024年9月20日9:00，截止时间（含申报单位网上审核提交）为2024年10月15日16:30。

四、评审方式

采用一轮通讯评审方式。

五、立项公示

上海市科委将向社会公示拟立项项目清单，接受公众异议。

六、咨询电话

8008205114（座机）、4008205114（手机）

上海市科学技术委员会

2024年9月11日

（此件主动公开）