



第一篇
总 论

第一章

医药生物技术概论

人民健康是民族昌盛和国家强盛的重要标志。目前，以基因工程、细胞工程、辅助生殖技术、器官移植、纳米医药技术、脑机接口为代表的现代医药生物技术发展迅猛，已成为21世纪最重要的创新技术集群之一。基因测序、基因芯片、脑机接口、液体活检、细胞免疫治疗、抗体药物、纳米药物以及其他（肿瘤大数据、抗体、精准诊断等）多项技术重塑了人类健康事业，已成为人类不可替代的财富，并对社会发展产生了深刻影响。

第一节 医药生物技术的概念

一、现代生物技术的概念

生物技术（biotechnology, BT），亦称为生物工程（bioengineering），是指人们以现代生命科学为基础，结合其他基础学科的学科原理，按照预先的设计改造生物体或加工生物原料，为人类生产出所需产品或达到某种目的的技术方式。生物技术是国际上最重要的高新技术领域之一。



生物技术简介

1982年，国际经济合作及发展组织提出了当时能被人们广泛接受的生物技术定义，即“生物技术是应用自然科学及工程学原理，依靠生物作用剂（biological agent）的作用将物料进行加工以提供产品为社会服务的技术”。美国在2001年的《生物技术产业调查报告》中将其定义为，生物技术是指应用分子和生物细胞的工艺来解决问题、进行研究、生产产品并提供服务的技术。1986年，国家科学技术委员会制定《中国生物技术政策纲要》时，曾将生物技术定义为：以现代生命科学为基础，结合先进的工程技术手段和其他基础学科的科学原理，按照预先的设计改造生物体或加工生物原料，为人类生产出所需新产品或达到某种目的。在该定义中，所谓“先进的工程技术手段”指基因工程、酶工程、细胞工程、发酵工程等新技术；所谓“生物体”包括动物、植物、微生物系；所谓“生物原料”包括生物体的一部分或生物生活过程中所能利用的物质，诸如各种有机物、某些无机物及矿石；所谓“为人类生产出所需产品”则包括粮食、医药、食品、能源、化工原料、金属及其他材料等；而所谓“某种目的”则包括疾病预防、诊断与治疗，环境污染监测，环境污染治理与控制，环境修复等。

因此，生物技术不仅是一门新兴的、综合性的学科，更是一个深受人们依赖与期待的、亟待开发与拓展的领域。现代生物技术研究涉及的方面非常广，其发展与创新也是日新月异的。并且，随着社会的成熟与发展，生物技术的发展不断拓展着人们的生活，使人们的需求得到越来越多的满足，也为很多与人们生活切实相关的问题找到解决的方法。生物技术的发展，意味着人类科学各领域技术水平的综合发展；生物技术的发达程度与安全程度，也意味着人类文明的发达程度。



生物技术分类

二、生物技术重塑人类健康事业

生物技术自诞生之日起就一直为人类健康水平的提高发挥着不可或缺的作用，医药生物技术是生物技术领域中最活跃、产业发展最迅速、效益最显著的领域。投资比例及产品市场均居生物技术领域的首位。生物技术在医药领域的应用涉及新药研发、新诊断技术、新疾病预防措施及新的治疗技术，如单克隆抗体、基因诊断、荧光检测、基因芯片、免疫治疗、基因治疗、干细胞治疗、抗体药物、重组蛋白药物、多肽药物、核酸药物、合成生物学、微米级生物机器人等。这些技术可以快速、灵敏、简单地诊断疾病，也可以治愈癌症等众多传统医疗手段束手无策的重大疾病，还可以通过产前诊断等方法降低致死、致畸遗传病的患病比例。

生物技术在疾病诊断领域中最常用的方法有酶联免疫吸附检测法、DNA 诊断、基因芯片和单细胞检测等。而单克隆抗体既可以用于疾病治疗，也可用于疾病诊断和治疗效果的评价。如用于肿瘤治疗的抗体耦联药物，俗称“生物导弹”，是将治疗肿瘤的药物与靶向特定抗原的抗体连接在一起，利用抗体与抗原的亲性和性，使药物集中于肿瘤部位以杀死肿瘤细胞，减少药物对正常细胞的毒副作用。再比如，基因芯片技术可用于包括遗传性疾病、传染性疾



单克隆抗体

病及肿瘤等疾病的诊断、DNA 序列分析、药物筛选、基因表达水平的测定等领域。这些都为改善人类健康和提高生命质量起到一定的促进作用。

生物技术还改变了传统制药的原料、工艺和生产方式，制造出有特殊疗效的药物，帮助医学战胜了许多威胁人类健康和生命的顽症。比如，抗生素是人类最熟悉、应用最广泛的生物技术药物。生物技术在药学领域最重要的贡献是基因工程制药，目前上市的基因工程蛋白质药物主要用于治疗癌症、艾滋病、细菌感染、代谢病、血液病、糖尿病等。利用基因工程生产的重组疫苗可以达到安全、高效的目的，如病毒性肝炎疫苗、霍乱、痢疾、血吸虫疫苗等，预防新冠病毒的疫苗中很多也是通过生物技术研发和生产的。

人类疾病相关的基因是人类基因组中结构和功能完整性至关重要的信息，以人类基因组计划为代表的生物科学和生物技术的迅速发展推动并重塑了人类医学的进步。过去人们要花很长时间来寻找到底是哪一种基因引发疾病，有了基因图谱等生物信息学资源，这一过程将大大缩短。生物信息学将有助于科学家找到治病的新药，了解基因对蛋白质的作用设计基因药物，利用基因释放的命令来修复或制造蛋白，使蛋白按要求控制人体细胞或器官的正常运作，达到治病的目的。同时，基于对疾病机制的研究，人们也可以研发新的治疗方法，如基因治疗、细胞治疗等。

此外，通过基因工程来提高食物的营养水平，可为改善全球人类营养状况作出贡献。转基因动物和转基因农作物的出现为人类提供了新型、高质、健康的食品。其中，以转基因植

物发展尤为迅速。据统计,在美国转基因食品高达 4000 多种,已成为人们日常生活的普通商品。在环境问题日益突出的背景下,现代生物技术在环境监测、工业清洁生产、工业废弃物和城市生活垃圾的处理、有毒有害物质的无害化处理等方面发挥着重要的作用。如利用生物技术处理垃圾废弃物,即通过降解破坏污染物的分子结构,降解产物及副产物大都可被生物重新利用,有助于把人类活动产生的环境污染减轻到最小程度。还可利用发酵工程技术处理污染物质。这些生物技术的发展改善了人类赖以生存的环境,也间接地推动了人类健康事业的发展。

但是,任何事物都有两面性。生物技术在推动医药领域飞速发展的同时,也给人类带来了威胁与困扰,主要包括生物技术的安全性问题和伦理问题。生物技术既可造福于人类,也可能引起伦理道德等社会问题,甚至给人类带来灾难性的影响,尤其是对危害性认识不足或被人类滥用时,其潜在的危险难以预料。因此,人类必须正视这些问题,加强政策导向、完善相关法律制度,对医药生物技术的发展加以引导,使其为提高人类健康水平、延长寿命等继续作出贡献。

● 第二节 医药生物技术的特点与意义 ●

一、医药生物技术的特点

医药生物技术的特点可以概括为“八高一低”。

“八高”如下所述:一是高水平,即学科具有先进性。医药生物技术是知识、技术密集型产业,目前处于科学技术发展的最前沿,也是国家战略发展的重要方向之一。二是高综合的跨学科专业,医药生物技术位于生命科学、医药卫生、信息科学等多学科发展的交叉点上,涉及的行业多、范围广,对国民经济、人类健康产生了深远的影响。三是高投入。与其他技术比较,医药生物技术在资金、人员、设备、试剂及研发上投资巨大,考虑到其重要的战略意义需要国家层面的持续支持,同时更应该通过产权保护、税收支持等政策吸引社会资金的投入,从而抢占先机,促进医药生物技术产业的快速发展。四是高竞争,各个国家、各个行业、各个单位之间,在技术、时效、知识及人才上竞争激烈。五是高风险,高投入伴随着高风险,加上技术风险带来的高风险。如一个成功的转基因药物从研发到大规模生产,以及形成医药商品,一般至少需要 10 年左右的时间,投入资金几亿至十几亿元。在这个过程中,基本是只有投入,而无回报。一旦开发失败,将是血本无归。六是高收益,虽然生物技术前期投入高、风险大,但是生物技术产品应用性强且生产成本低,易商业化,一旦开发成功形成市场,市场寿命一般可达 10~30 年,获得的利润惊人。如干扰素的投入虽然高达数千万美元,但产值数亿达 30 亿美元。医药生物技术的发展不仅具有丰厚的经济效益,其产品还将产生巨大的社会效益,医药生物技术有望在解决人类面临的健康领域众多难题上发挥战略性作用。七是主体要求高智力,现代生物技术具有创新性和突破性,从认识、利用、再造阶段上升到改造和创造阶段,可按人类需要定向改变和创造生物的遗传特性,要求在人才、计划、设计、工艺和产品上都要与众不同,所以医药生物技术也是高技术人才的聚集地。这就要求



生物技术的应用

高等学校和科研院所形成从本科到硕士、博士，包括专业硕士和专业博士的系统完整的医药生物技术人才培养体系，同时人才培养一定要与先进的生物医药技术公司进行对接。此外，在人才培养方面还要根据生物技术的发展和相关产业的发展做出前瞻性安排。八是可控性，生物技术采用工程学手段，易自动化、程控化及连续化生产。

医药生物技术的“一低”是指低污染，生物技术以生物资源为对象，生物资源具有再生性，是再生资源。生物技术具有不受限制、污染小、周期短的优点。

二、发展医药生物技术的意义

医药生物技术的应用领域很广且具有重要的战略意义，为解决人类面临的人口、健康领域的重大问题提供了途径，带来了新希望。利用相关技术，可以提高人类的生命质量，延长寿命，可以说医药生物技术为人类新医疗保健开辟新纪元。

生物技术在医药领域的应用具体体现在以下三个方面：

一是利用生物技术研发新型药物。生物技术药物中最为熟悉的是抗生素，每年市场销售额上千亿美元。自从美国 1977 年采用大肠埃希菌生产人生长激素释放抑制素进而开辟药物生产的新纪元以来，人类利用生物技术生产新型药物的努力就一直在延续且成果斐然。目前，利用生物技术研发生产的药物主要包括以下几类：生化及基因工程药物，不包括抗生素在内，已经上市和正在研究的基因工程药物有上千种，如活性多肽、激素、酶、细胞因子等。具有良好靶向性的药物，如单克隆抗体、激酶抑制剂等。人工设计、合成的超级分子药物，包括反义核酸、酶性 RNA (ribozyme) 等。生物药品在治疗许多恶性疾病方面比传统药品效果更显著，使得人们对生物药品的需求日益增大。目前已经研发出大量的基因工程药物，并用于治疗癌症、艾滋病等疾病。全球利用生物技术进行生物制药产值越来越多，产生了巨大的经济效益，这使得基因工程药物的产业前景十分光明。

二是利用生物技术进行疾病的预防和诊断。科学家利用生物技术研制出许多新型基因工程疫苗和 RNA 疫苗，有效控制了一些传染性疾病。利用细胞工程技术生产的单克隆抗体，既可以用于疾病治疗，又可以用于疾病诊断。又如基因芯片是近年来发展起来的一种高通量、高特异性的 DNA 诊断新技术，用途十分广泛。2019 年以来，新型冠状病毒在全球肆虐。在抗击疫情过程中，以核酸检测为代表的生物技术提供了重要的技术支持。疾病的分子诊断具有特异、敏感、快速、简单、稳定的优势，而且对疾病可以做到早期预防和预后监测。

三是利用生物技术进行基因治疗。我们已经实现通过导入正常的基因来治疗由基因缺陷引起的疾病，目前已有涉及恶性肿瘤、遗传病等多个治疗方案开始临床应用。



细胞工程

(牟长军)