



基因工程制药

生物技术制药

目 录

- 第一节 概述
- 第二节 基因药物生产的基本过程
- 第三节 目的基因的获得
- 第四节 基因表达
- 第五节 基因工程菌的稳定性
- 第六节 基因工程菌生长代谢的特点
- 第七节 基因工程菌发酵
- 第八节 基因工程药物的分离纯化
- 第九节 基因工程药物的质量控制
- 第十节 基因工程药物制造实例

基因的概念



基因是DNA分子中含有特定遗传信息的一段核苷酸序列，是遗传物质的最小功能单位。DNA重组技术是基因工程的关键技术，是以分子遗传学为理论基础，以分子生物学和微生物学的现代方法为手段，将不同来源的基因按预先设计的蓝图，在体外构建杂种DNA分子，然后导入活细胞，以改变生物原有的遗传特性、获得新品种、生产新产品。

市面上出售的核酸保健品，是否具有它所宣传的作用？

核酸分为DNA和RNA，RNA又分为mRNA、tRNA、rRNA等，人体核酸都是人体用其他化学物质自我合成的，并不从膳食中直接吸收。膳食中的核酸都将在消化道中被彻底分解掉。因此生物医学界公认核酸不是营养物质，口服核酸不仅不能起到营养、保健作用，而且核酸吃多了，还会对身体造成危害，会导致痛风和结石等疾病。

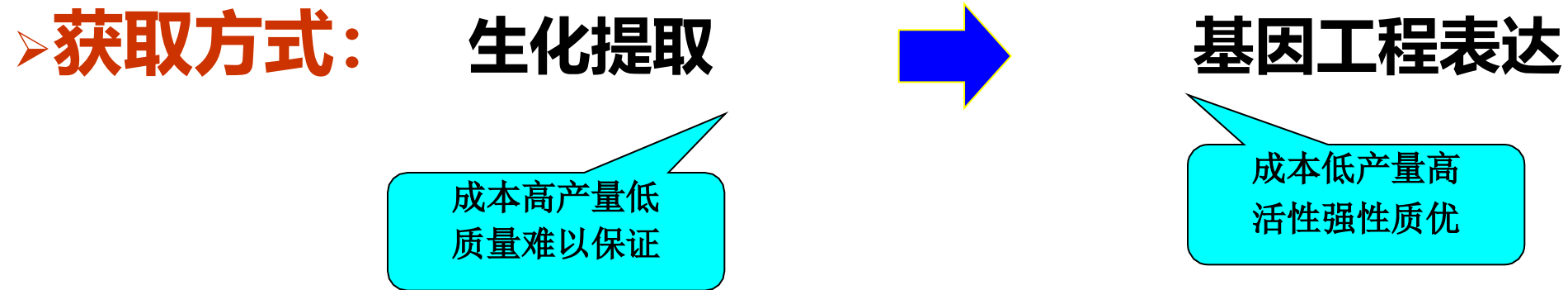


**核酸，创造生命，保护生命，延长生命；
人类，生于核酸，养于核酸，逝于核酸；
核酸是组成遗传基因的唯一物质，核酸充足，为基因的自我修复提供了充分的底料；**

在某种意义上保健品只分两大类：核酸类保健品和非核酸类保健品。

珍奥核酸—中国保健品信誉保证第 001 号

➤ **基因药物用途：** 主要用于癌症、人类免疫缺陷病毒性疾病、心血管疾病、糖尿病、贫血和许多遗传疾病的治疗。



➤ **实例：人生长激素（侏儒症）**



国际生物医药产业发展动态

- 1982 年世界上第一个基因工程药物 - 重组人胰岛素获准生产销售, 至今已有 100 多个生物技术药物上市;
- 促红细胞生成素 (EPO) 以全球销售额 38 亿美元的业绩, 居全球最畅销 10 种药物的第6名;
- 美国是现代生物技术的发源地, 一直稳居生物技术药物研发榜首, 其 2002 年产值和销售额已超过 200 亿美元;
- 1989 年我国第一个拥有自主知识产权的基因工程药物 -- 重组人干扰素 (IFN- α 1b) 上市以来, 目前, 世界上销售额排前 10 位的生物技术药物我国已能生产 8 种。

概述

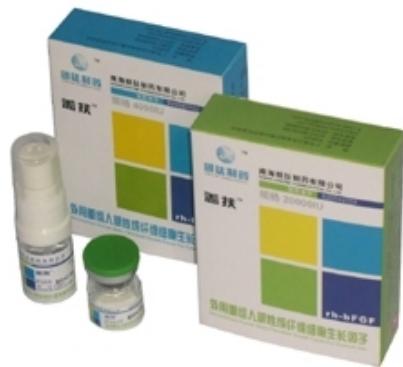
- 生物技术的核心就是**基因工程**，基因工程技术最成功的应用就是用于**生物治疗的新型生物药物的研制**。
- 传统生物药物由于来源及制备上的**困难**、**价格**等因素的影响，此外在制备过程可能受到的病毒、衣原体、支原体等的**感染**等问题，促使人们寻求安全、实用、疗效可靠的新方法来制备生物药物。

概述

- **基因工程正在逐渐显示其在生物技术药物制备上的优势。**
- **应用基因工程技术可十分方便且有效地解决上述提到的问题，从量、质上都可以得到改进，且可以创造全新物质。**
- **如今，癌症、病毒性疾病、心血管疾病以及内分泌等方面的预防、治疗和诊断已可通过基因工程技术获得。**

概述

- 基因工程技术可生产的药物和制剂包括：
 - (1) 免疫性蛋白，如各种抗原和单克隆抗体；
 - (2) 细胞因子，如各种干扰素、白细胞介素、集落刺激生长因子、表皮生长因子、凝血因子；
 - (3) 激素，如胰岛素、生长激素、心素纳；
 - (4) 酶类，如尿激酶、链激酶、葡激酶、组织型纤维蛋白溶酶原激活剂、超氧化物歧化酶。



概述

利用基因工程技术生产药品的优点：

- **(1) 可以大量生产过去难以获得的生理活性蛋白和多肽（如胰岛素、干扰素、细胞因子等），为临床使用提供有效的保障；**
- **(2) 可以提供足够数量的生理活性物质，以便对其生理、生化和结构进行深入的研究，从而扩大这些物质的应用范围；**
- **(3) 利用基因工程技术可以发现、挖掘更多的内源性生理活性物质；**

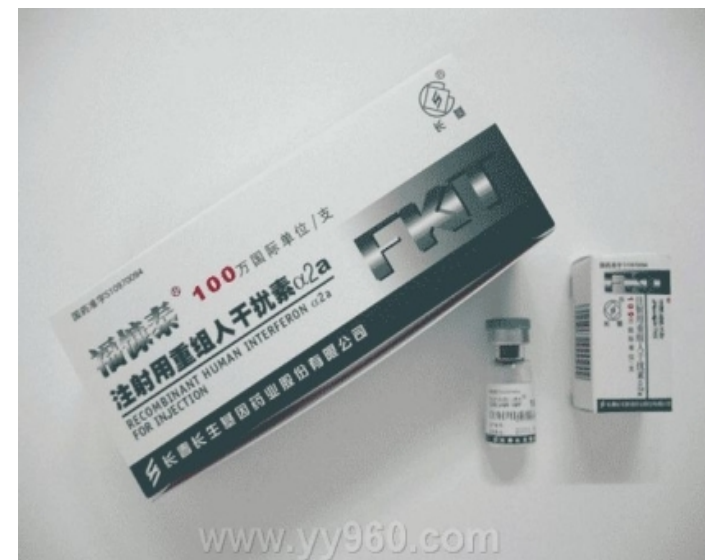
概述

利用基因工程技术生产药品的优点：

- (4) 内源性生理活性物质在作为药物使用时存在的不足之处，**可通过基因工程和蛋白质工程进行改造和去除**。如白细胞介素-2的第125位半胱氨酸是游离的，有可能引起-S-S-键的错配而导致活性下降，如将此半胱氨酸改为丝氨酸或丙氨酸，白细胞介素-2的活性以及热稳定性均有提高；
- (5) 利用基因工程技术**可获得新型化合物，扩大药物筛选来源**。基因工程技术可将不同种类和用途的基因，在原核细胞中表达的特性使其不仅在医药，而且在很多行业中都会有重要的应用。

概述

- 我国基因工程药物研究和开发：起步较晚，基础较差。 **$\alpha 1b$ 型基因工程干扰素**是由我国自行研制开发的具有国际先进水平的生物高科技成果，于1997年通过Ⅲ期临床，并获得国家一类新药证书，成为“863”计划生物技术领域**第一个实现产业化的基因工程药物**。目前我国已批准12种基因工程药物和疫苗上市，在研究开发中的也有10余种。



概述

通过对比基因工程制药领域与国外的差距，让学生意识到关键核心技术是**要不来、买不来、讨不来的**。只有把关键核心技术掌握在自己手中，才能从根本上保障国家经济安全、国防安全和其他安全。要增强“四个自信”，以关键共性技术、前沿引领技术、现代工程技术、颠覆性技术创新为突破口，敢于走前人没走过的路，努力实现关键核心技术自主可控，把创新主动权、发展主动权牢牢掌握在自己手中，提高学生的责任感和创新意识。

谢谢观看



thanks for watching