

第一章 生物技术制药发展现状认知

1.2 生物技术药物

一、课程目标

1) 知识学习目标

- ①掌握生物技术制药的基本概念和发展简史
- ②熟悉生物技术的现状和发展趋势

2) 思政育人

①通过《胰岛素的发现》的故事，深入理解胰岛素的生物学作用，并学习胰岛素运用于临床的创新性和严谨性的科学思维。

②人文素养：学习《胰岛素的发现》中积极思索和解决问题，迎难而上、坚持不懈的科学精神，同时，了解在中国科学家在合成人工胰岛素方面作出的重要贡献，鼓励学生在以后的工作和研究中抓住机遇、自信勤奋，培养学生热爱祖国的感情。

二、思政案例

结晶牛胰岛素的发现

三、课程组织

1. 导入：二十一世纪是生物的世纪，生物技术产业正在悄然的改变着我们的生活。同学们，大家知道：我们的身体之所以能保持健康的状态，具有抵御和战胜疾病的能力，是由于我们体内不断产生各种与代谢紧密相关的调控物质，包括蛋白质、酶、核酸、激素、抗体、细胞因子等，通过这些物质的调节作用使身体维持正常的机能。根据这一特点，我们可以从生物体内提取这些物质作为药物，这些药物被称为生物技术药物，它疗效好，毒副作用小，可用于肿瘤、心血管疾病、糖尿病的等重大疾病的预防和治疗，是我们药物研发的重要方向。

2 给出定义：

生物技术药物是采用 DNA 重组技术或其它生物新技术研制的蛋白质或核酸类药物，包括 重组蛋白、人工抗体、基因工程疫苗等。

3. 讲解生物药物分类

根据生物技术药物的用途不同，可分**治疗性药物、预防性药物、和诊断性药物**。2015 年的药典记录了生物制品共计 137 种，其中治疗类 78 种，预防类 48 种，体内诊断试剂 4 种，体外诊断试剂 7 种。

根据生物技术药物的来源可分以下四大类型：1. **基因重组药物**，包括多肽、蛋白质，利用 DNA

重组技术制取； 2. **基因药物**，核酸类药物，主要用于基因治疗； 3. **天然产物**，来源于陆生或海洋的动物、植物和微生物； 4. **合成的、半合成的生物技术药物**包括，以天然产物为母体经过化学修饰或全合成而得。

4. 讲解生物技术药物的特性

刚才我们学习了生物技术药物的定义和分类，下面我们学习一下生物技术药物的特征。1. 首先生物技术药物**分子结构复杂**，大多数属于蛋白质或核酸大分子，有立体结构，结构复杂。2. 生物技术药物**真有种属特异性**，不同物种之间的药物分子是不同的，比如人来源胰岛素和其他动物来源的胰岛素在氨基酸的种类和数量上是有差别的，在药理和药效上也是有区别的。3. 和化学药物比较，生物技术药物治疗性**特异性强**、疗效高。

4. 由于生物技术药物大都是蛋白质大分子，因此**稳定性较差**，容易失活，常常是低温保存。5. 由于生物技术药物往往是生物大分子，在其使用过程中会出现免疫原性。

6. 生物技术药物在体内发挥作用的同时还有失活过程，因此半衰期短，便于药物功能的发挥。7. 大多数生物技术药物在发挥作用过程中是作为配体和受体作用的机制，因此存在受体效应。

8. 在生物技术药物在体内的发挥时，一个药物分子可能存在多个药物受体，因此存在**功能多效应和网络效应**。

9. 由于生物技术药物的高分子性和不稳定性，因此与化学药物比较在生产过程更加复杂，研发和生产的成本更高。

由于生物技术药物质量与其生物高分子的结构和活性有很大的关系，因此生物技术制药的质量控制有很大的特殊性。

5. **讨论**：生物药物具有结构复杂，稳定性差，制备工艺复杂，而我国科学家是如何非常艰难的情况下制备出牛结晶胰岛素的？

引入思政案例：《牛结晶胰岛素的发现》我国科学家从1958年开始，经过6年多的曲折努力，终于在1965年9月成功地获得了人工全合成牛胰岛素的晶体。这是世界上第一个人工合成的具有生物活力的结晶蛋白质，它标志着人类在认识生命、探索生命奥秘的征途中迈出了关键性的一步，从而成为我国自然科学发展史上的一个重要里程碑。

目的：通过《牛结晶胰岛素的发现》案例的讲解，弘扬在完成这重大的科研项目中，我国科学家所体现的**敢做难题、勇攀高峰的精神，顾全大局、团队协作的精神，艰苦奋斗、不计名利的精神和严格认真、严谨求实的精神**是值得发扬光大，代代相传的。