

## 第二章 基因工程制药

### 2.1 概述

#### 一、课程目标

##### 1) 知识学习目标

1. 掌握基因工程药物生产的主要程序过程。
2. 了解什么是基因工程药物，在现代医药领域中，基因工程药物作用

##### 2) 思政育人

①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。

#### 二、思政案例

基因工程制药领域与国外的差距。我们基因工程药物主要集中再仿制上。我们我国生物技术的“上游技术”与国际先进水平相比仅相差 3-5 年，但下游技术则至少落后 15 年以上。我们必须改变这种状况，加强“下游技术”研究和开发，使之与“上游技术”同步发展，尽量缩短与国际的差距。

#### 三、课程组织

1. 导入：20 世纪 80 年代初期，重组人胰岛素的上市宣告了基因工程制药时代的到来，从今天开始，我们一起学习基因工程制药。生物技术的核心是基因工程，基因工程技术的成就之一是研制出用于生物治疗的新型生物药物。在此之前，许多在疾病诊断、治疗和预防中有重要价值的内源性生理活性物质包括激素、细胞因子和某些疫苗，往往应用传统技术从动物器官中分离提取，因为造价太高而使患者负担不起，或者由于材料来源困难而无法大规模制备。而应用基因工程技术就可以从根本上解决上述问题，它的应用使人们在解决癌症、心血管疾病和内分泌疾病等方面中取得明显效果，它为上述疾病的预防、治疗和诊断提供了新型疫苗、新型药物和新型诊断试剂。

同学们，今天我们先学习基因工程制药的第一节。

**2 那么什么是基因呢?**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。

**基因工程药物主要包括以下几类:**

1. 利用基因工程生产的药物主要是医用活性蛋白和多肽，免疫性蛋白，各种抗原和单克隆抗体；
2. 细胞因子，干扰素、白介素、生长因子；
3. 激素，胰岛素、生长激素；
4. 酶类，尿激酶、链激酶超氧化物歧化酶。

如今，许多癌症、病毒性疾病、心血管疾病以及内分泌等方面的预防、治疗和诊断相关的药物已可通过基因工程技术获得。

同学们，刚才我们学习了基因工程药物的分类、下面我们学习一下利用基因工程技术生产药物的优点：

在生物药物的生产过程中，可用于医药目的的蛋白质或活性多肽都是由相应的基因合成的，基因工程的最大好处就在于它有能力从极端复杂的机体细胞内取出所需的基因，将其在体外进行剪切拼接、重新组合，然后转入适当的细胞进行表达，从而生产出比原来多数百、数千倍的相应蛋白质。**基因工程药物**的优点具体有以下方面：

1. 大量生产过去难以获得的生理活性蛋白和多肽，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. 可以发现、挖掘更多的内源性生理活性物质；
4. 内源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. 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。

同学们，大家好，刚才我们主要讲授了基因工程药物的特点，下面我们了解一下我国**基**

**因工程药物的发展状况**，我国基因工程药物主要集中在**仿制**上。必须开展创新基因工程药物的研究，如蛋白质工程产品、各种融合蛋白、各种细胞因子突变体和衍生物、小分子功能肽类等。可通过分子设计、有控制的基因修饰及基因合成，创造世界上原本没有的，但生物功能更优越的新型基因工程药物。

我国的生物技术**下游技术开发落后于上游技术**，上游技术与国际水平仅相差 3-5 年，但下游技术则至少落后 15 年以上。我们必须改变这种状况，加强下游技术的研究和开发，使之与上游技术同步发展，尽量缩短与国际先进水平的差距。

同学们大家好，今天我们主要学习了基因工程制药的概述，包括基因工程药物的分类、基因工程制药的优点，我国基因工程制药的发展状况，那么基因工程制药是如何生产的呢，我们下一节课会继续讲授，今天我们就讲到这里，我们下一节课再见。