**个性化药物——基于疾病分子分型的**

**普惠新药研发专项**

**财政支出绩效评价报告**

**财政部预算评审中心**

**2017年5月**

**目录**

[**一、专项基本情况 1**](#_Toc479605675)

[（一）专项概况 1](#_Toc479605676)

[（二）专项绩效目标 2](#_Toc479605677)

[**二、项目单位绩效报告情况 3**](#_Toc479605678)

[**三、 绩效评价工作情况 3**](#_Toc479605679)

[（一）绩效评价目的 3](#_Toc479605680)

[（二）绩效评价原则、评价指标体系、评价方法 3](#_Toc479605681)

[（三） 绩效评价工作过程 5](#_Toc479605682)

[**四、综合评价结论 6**](#_Toc479605683)

[**五、绩效评价指标分析情况 8**](#_Toc479605684)

[（一）专项投入情况分析 8](#_Toc479605685)

[（二） 专项过程管理情况分析 9](#_Toc479605686)

[（三）专项产出情况分析 12](#_Toc479605687)

[（四）专项实施效果情况 16](#_Toc479605688)

[**六、主要经验及做法、存在的问题和建议 17**](#_Toc479605689)

[（一）主要经验及做法 17](#_Toc479605690)

[（二）存在的问题 18](#_Toc479605691)

[（三）建议 19](#_Toc479605692)

[**七、绩效评价结果应用建议 21**](#_Toc479605693)

[**八、附件 22**](#_Toc479605694)

**个性化药物—基于疾病分子分型的普惠新药研发专项财政支出绩效评价报告**

按照《中华人民共和国预算法》和《国务院关于深化预算管理制度改革的决定》精神，2017年2月7日至4月10日，财政部预算评审中心绩效评价工作组对个性化药物—基于疾病分子分型的普惠新药研发专项（以下简称：个性化药物先导专项）进行绩效评价。

# 一、专项基本情况

## （一）专项概况。

目前我国疾病谱已从传染病为主转向复杂性疾病为主，疾病发病机制复杂，病人个性差异大、药物不具备敏感人群的个性化特征，导致药物平均有效率低，支出浪费巨大。个性化药物先导专项属于中国科学院A类战略性先导科技专项，主要研究解决中国人群特有的肿瘤、代谢性疾病等复杂性重大疾病的个性化用药问题。该专项建立的个性化药物研发模式是继基于疾病表型和基于疾病基因型研发模式之后的第三种研发模式，是未来国际上必将广泛采用的新药研发模式。

该专项的核心内容是发现并确定现有药物及自主研发的候选药物有效、无效、毒性、耐药的生物标志物，实现药物的个性化分层；依据发现的生物标志物与靶点，研发个性化新药；整合、完善、新建个性化药物研究关键资源平台、技术平台和信息平台，建设中国科学院个性化药物研发体系。

**该专项实施周期为2015年10月-2020年9月，其中2015-2016年度中央财政预算总金额为28584.94万元。**

专项以上海药物研究所为依托单位，联合中国科学院上海生命科学研究院、中国科学院生物物理研究所等为主要承担单位，专项负责人为丁健院士。 2015-2016年设立“抗肿瘤药物的个性化分层研究”、“肿瘤个性化药物研究”、“代谢性疾病药物分层与生物标志物”、“代谢性疾病个性化药物研究”和“个性化药物核心资源系统与可持续应用研究”等5个项目，共计14个课题和117个子课题。

## （二）专项绩效目标。

### 1．专项绩效总目标。

个性化药物先导专项五年总目标为：确定基于药物的肿瘤等疾病中国人群分子分型，发现2-3个生物标志物和2-3个新干预靶标；发展个性化药物研发体系，获得1-2个个性化新药证书及配套试剂盒，2-3个老药新用个性化治疗方案，5-8个个性化候选新药及配套诊断试剂；建设有重大国际影响的“个性化药物研究中心”。

### 2．专项绩效阶段性目标。

专项2015-2016年度绩效目标为：实现研究平台和资源平台的深度整合，着重建设个性化药物筛选、设计和评价体系，整合生物信息学、化学信息学、转化医学平台，开展疾病生物标志物发现研究，对处于临床（前）药物进行个性化特征分层研究。

# 二、项目单位绩效报告情况

专项牵头单位中国科学院上海药物研究所认真完成了项目总结和资料整理工作，提交了绩效报告。绩效报告能够较详实地反映该项目2015-2016年度的工作进展情况、目标完成情况、资金管理与绩效实现情况等。绩效报告及自评报告首次提交时间是2017年3月13日，绩效报告格式规范，数据准确，内容完整。

# 绩效评价工作情况

该专项处于在研阶段，本次绩效评价属于事中评价，是对个性化药物先导专项2015-2016年经费执行情况及绩效目标实现情况进行评价。

## （一）绩效评价目的。

通过开展专项绩效评价工作，对专项管理和完成情况及经费使用情况做全面了解，对实施成效进行综合评价，总结经验，发现问题，改进工作，进一步加强该专项后期管理，提高财政资金使用效益，为下一步预算资金安排提供重要参考依据。

## （二）绩效评价原则、评价指标体系、评价方法。

**1．评价原则**。

按照“科学规范、绩效相关、政策相符、依据充分、独立评价”等原则，根据《关于规范绩效评价结果等级划分标准的通知》（财预便〔2017〕44号）、《财政部关于印发<预算绩效评价共性指标体系框架>的通知》（财预〔2013〕53号）、《财政部关于印发<财政支出绩效评价管理暂行办法>的通知》（财预〔2011〕285号）等相关文件规定，依据专项管理部门、依托单位制定的相关管理办法和制度，专项依托单位提交的绩效报告和其他相关材料，对该专项进行了绩效评价。

**2．评价指标体系**。

结合专项特点，绩效评价工作组组织专家研究制定了该专项的绩效评价指标体系。评价体系包括投入、过程、产出、效果4个一级指标，下设12个二级指标，35个三级指标。

**3．评价方法**。

本着科学、规范、独立、客观、公正的原则，对个性化药物先导专项进行绩效评价。评价专家采用集中评议和独立评分相结合的方法，对投入、过程、产出和效果四个方面进行评价。评价方式上采取现场调研和非现场调研评价相结合的方法，对专项进行综合评价，形成专项总体评价结论。

综合绩效评价总分值为100分，其中项目投入分值18分，过程分值27分，产出分值45分，效果分值10分。根据专家的评分，汇总计算出各项指标得分及专项综合评价得分，同时形成综合评价结论。本次绩效评价综合成绩共分为4个等级：综合得分在90-100分（含90分）为优；综合得分在80—90分（含80分）为良；综合得分在60-80分（含60分）为中；综合得分在60分以下为差。

## 绩效评价工作过程。

为保证评价专业性，评分过程充分发挥行业专家作用，聘请临床、药学、基础医学等领域专家全程参与，特别是在评价指标体系、评价打分、报告撰写等方面，专家提供了专业化的支持。

### 1．前期准备。

2017年2月组建了项目评价工作组，对专项资料进行收集、整理和分析工作；组建专项绩效评价专家组，完成专项绩效评价工作方案与指标体系的编制及审核。

### 2．组织实施。

2017年3月中旬,工作组根据绩效资料对专项绩效情况进行预评价，并对中国科学院上海药物研究所和中国科学院上海生命科学研究院进行了现场调研。参考现场调研情况，评价工作组组织进行了综合评价。

### 3.分析评价。

2017年3月底至4月初评价工作组根据收集到的专项相关资料以及专家意见，对投入、过程、产出和效果情况进行综合分析，按照规定的文本格式和内容撰写绩效评价报告。2017年5月初提交绩效评价报告初稿并征求意见，修改后形成绩效评价报告正式稿。

# 综合评价结论

**该专项绩效评价得分为81.37分，综合绩效级别为“良”。**

个性化药物先导专项主要为解决中国人群复杂性重大疾病的个性化用药问题，符合“精准医疗”这一国际科技发展趋势，符合国家战略需求，也是人民普惠医疗的迫切需求。专项在实施过程中，制定了专项管理办法及实施细则，采取了较为有效的监督措施，保障了专项的顺利开展。目前专项实施共有10个候选新药处于临床研究阶段、1个候选新药获得临床批件、4个候选新药申报临床研究、17个候选新药处于临床前研究阶段。取得的科研成果多为前期新药研发成果的深入和延展，绩效显示程度不够突出。

该专项各指标得分和综合评价结论详见下表：

**表1 个性化药物先导专项绩效评价得分**

| **一级指标** | **二级指标** | **三级指标** | **得分** |
| --- | --- | --- | --- |
| **名称** | **分值** | **名称** | **分值** | **名称** | **分值** |
| 投 入 | 18 | 专项立项 | 15 | 专项立项必要性 | 4 | 4 |
| 专项立项规范性 | 3 | 3 |
| 项目目标明确性 | 3 | 2 |
| 项目目标相符性 | 3 | 2 |
| 预算与任务匹配性 | 2 | 2 |
| 资金落实 | 3 | 预算安排到位率 | 3 | 3 |
| 过 程 | 27 | 业务管理 | 15 | 专项管理制度完备性 | 2 | 2 |
| 专项管理制度执行有效性 | 2 | 2 |
| 项目调整规范性 | 3 | 3 |
| 项目调整科学性 | 3 | 3 |
| 风险分析 | 3 | 3 |
| 项目质量可控性 | 2 | 2 |
| 财务管理 | 12 | 预算执行率 | 1 | 0.95 |
| 项目预算调整规范性 | 3 | 3 |
| 资金使用合规性 | 4 | 2 |
| 财务监控有效性 | 4 | 2 |
| 产 出 | 45 | 计划任务完成率 | 35 | “抗肿瘤药物的个性化分层研究”任务完成率 | 7 | 5.64 |
| “肿瘤个性化药物研究”任务完成率 | 7 | 6.15 |
| “代谢性疾病药物分层与生物标志物”任务完成率 | 7 | 5.59 |
| “代谢性疾病个性化药物研究”任务完成率 | 7 | 5.36 |
| “个性化药物核心资源系统与可持续应用研究”任务完成率 | 7 | 5.68 |
| 成果显示度 | 8 | 优秀论文占比 | 3 | 3 |
| 专利授权情况 | 3 | 3 |
| 获奖情况 | 2 | 1 |
| 专项目标实现度 | 2 | 专项目标实现度 | 2 | 1 |
| 效 果 | 10 | 创新性 | 2 | 技术体系创新性 | 1 | 0.8 |
| 新药品种扩展性 | 1 | 0.6 |
| 技术储备 | 2 | 生物标志物 | 1 | 0.6 |
| 个性化新药 | 1 | 0.6 |
| 国际影响力 | 2 | 国际学术交流 | 1 | 0.8 |
| 国际合作 | 1 | 0.6 |
| 科技成果应用及转化 | 2 | 临床成果 | 1 | 0.6 |
| 平台建设 | 1 | 0.4 |
| 普惠健康 | 2 | 科普活动 | 1 | 0.6 |
| 用药安全 | 1 | 0.4 |
| **总分** | **81.37** |

各指标的详细得分及评分依据情况详见附表。

# 五、绩效评价指标分析情况

## （一）专项投入情况分析。

**该指标分值18分，评价得分16分。**个性化药物研发是国家层面重大布局，中国科学院利用自身在疾病分子机制研究、生物标志物发现及相关平台建设方面的优势开展相关研究，立项必要性较强，依据合理充分，立项程序较规范；专项个别课题目标不够明确，缺乏量化考核标准及技术指标；部分项目、课题与专项总目标的相符程度不够高，部分课题及子课题的研究重点不够突出。

### 1．专项项目立项情况。

该专项的主要任务和目标满足中国科学院战略性先导科技专项发展需求，与中科院“十三五”规划相一致，符合普惠健康的国家战略要求与需求。专项立足于打破基础生物学、基础医学、药物研发和临床应用之间的分隔，努力搭建“从实验室到临床”、“从临床反馈实验室”双向、开放的个性化药物研发模式，有助于引领我国药物研发和产业发展的整体创新能力。

该专项按照先导专项管理办法和A类专项管理细则要求的程序设立，通过了实施方案论证和概预算评审，且经过院长办公会审议和论证会评审，立项较规范。

该专项5个项目的14个课题和117个子课题研究内容和目标设置基本合理。部分项目、课题阶段目标不够明确，例如XDA12010200、XDA12030200、XDA12050200等课题的部分目标设定较模糊，缺乏量化考核标准及技术指标；部分课题及子课题研究内容相似、研究重点不够突出。

### 2．专项资金落实情况。

专项2015-2016年预算金额为28584.94万元，截至2016年12月31日，实际到位资金28584.94万元，资金实际到位率100%。专项资金落实情况好。

## 专项过程管理情况分析。

**该指标分值27分，评价得分22.95分。**该专项业务管理制度健全，相关机构能够较为有效地履行职责，专项调整规范合理，专项执行率较高，专项引入第三方监理机制进行定期监理，有效地控制了专项风险系数；在资金使用方面，部分项目财务核算不够规范，支出依据不够充分，专项财务监控未能有效监控财务工作中存在的问题。

### 1．业务管理情况分析。

该专项制定了《中国科学院个性化药物战略性先导科技专项管理实施细则》、《中国科学院战略性先导科技专项“个性化药物——基于疾病分子分型的普惠新药研发”管理实施细则》、《中国科学院个性化药物战略性先导科技专项总体组暂行管理办法》等管理办法，专项管理制度完备。

专项按照“一办两线三组”的管理体系进行管理，并实施会议纪要制度和专项简报制度。同时建立了以外聘专家为主的“监理组”、“协调组”、“专项科技委员会”评议机制，形成了较为完善的组织管理模式，保障项目的顺利有效实施，如图1所示：



图1：“一办两线三组”管理体系

专项2013年通过论证，2015年底启动实施，期间因国家启动精准医学重点研发计划等原因，对原实施方案中部分项目的名称、内容或项目负责人进行了调整。调整方案由专项总体组提出，报重大科技任务局，并获得批复。调整理由科学合理，调整程序规范，手续完备。

该专项对项目实施中的风险因素进行了有效的风险分析，引入第三方监理机制进行定期监理，并根据分析和监理结论进行调整和完善，实施效果良好。

质量控制方面，由于药物研发具有不确定性及风险性较高的特点，专项设立了较完善的管理团队，并有效开展了总结和监理工作。

### 2．财务管理情况分析。

该专项2015-2016年中央财政预算28584.94万元，实际支出27296.82万元，预算执行率为95.49%。专项实际支出的总预算占比为95.49%，总体资金执行率较高。

截至2016年12月31日，专项80个子课题根据实际需要对经费预算进行调整，调整程序合规、理由合理。

**表2：个性化药物先导专项2015-2016年预算调整情况统计表**

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| **调整子课题数（个）** | **调整次数（次）** | **调整总金额****（万元）** | **调整预算数****（万元）** | **调整金额占比** |
| **80** | **126** | **1481.7019** | **11481.1** | **12.9%** |

评价发现，部分项目存在财务核算不规范、支出依据不充分等情况。经现场查验，设备费支出凭证存在项目编号涂改情况，材料费核算缺少实物管理，研究生劳务费重复列计等。

该专项在管理中建立一定的财务监控手段，执行过程中开展了单位专项年度检查、审计和验收工作。鉴于财务工作中存在的部分不规范问题，财务管理监控有待加强。由于该专项院外合作单位较多、协调难度较大，且部分临床课题涉及伦理审查等规范要求，部分研究任务未在计划年度内完成，导致预算执行率高于研究任务完成程度。为避免出现后续经费不足的情况，应加强专项成本控制。

## （三）专项产出情况分析。

**该指标分值45分，评价得分36.42分。**该专项基于“重大新药创制”科技重大专项等项目累积的研究条件及研究成果，对现有临床前及临床在研的若干品种进行个性化研究,并取得一定成果。目前共有10个候选新药处于临床研究阶段、1个候选新药获得临床批件、4个候选新药申报临床研究、17个候选新药处于临床前研究阶段。其中，抗老年痴呆候选新药971处于临床III期，抗抑郁候选新药奥生乐赛特处于临床II期。根据候选新药，开展了疗效敏感和疗效监控的生物标志物等个性化特征研究，初步完成了2个候选敏感标志物、1个候选毒性标志物、2个疗效监控标志物的生物标志物研究。

优秀论文发表和取得授权专利情况较好。专项部分课题目标任务未达标，产出成果增量体现不足，专项内课题（任务）目标衔接度和整合度有待加强，专项的成果显示度和实现专项目标贡献度有待提高。

### 1．各项目计划任务完成。

专项较好地完成了2015-2016年度计划任务目标，在个性化研究平台及技术体系建设、药物个性化特征临床研究、生物标志物的发现与研究等方面进展基本达到预期目标，小部分指标尚未完成，部分指标超额完成。具体完成情况如下：

**（1）抗肿瘤药物的个性化分层研究**

该项目完成了磷酸化蛋白组织研究平台的优化，搭建了针对PDX样本全外显子组和转录本的分析平台，建立肿瘤核心驱动因子识别算法，发布了该算法的MuSiC2软件包，进行了肿瘤组织基因组-转录组-蛋白质组-磷酸化组数据整合，完成了321例临床样本中HECTD3表达检测等。

部分任务完成度未达标，如：原目标构建肝癌PDX模型，现完成120例胃癌PDX样本的芯片构建；肝癌PDX模型拟于2017年建立；200例以上中国人群肿瘤样本PDX小鼠肿瘤样本全基因组及转录组深度测序任务未完成。

**（2）肿瘤个性化药物研究**

该项目启动AL3810临床Ib/Ⅱ期研究，并完成了临床研究承担方的责任转移。完成希明替康Ia期实验，并启动Ib实验，有7家临床研究机构联合参与；SCC244和倍赛诺他正式获得临床研究批件，SAFs-189进入临床Ia期研究，递交了抗肿瘤候选新药120067的IND申请等。

个别子课题临床研究启动与预期相比略有滞后，SM934和倍赛诺他获得临床批件以后，由于化合物药学问题，临床推进较慢；部分任务完成度未达标，如未开展“联合用药动物实验”；未完成肝癌PDX模型研究（计划完成15例，实际完成10例）等。

**（3）代谢性疾病药物分层与生物标志物**

该项目完成了500例971全基因组测序，通过TXNIP、AKR1C13、mTOT活性监测系统赛选具有调控性的小分子化合物，完成ApoA4的重组表达及脂肪体包装等。项目完成情况良好，超额完成二甲双胍全基因组测序（计划完成500例，实际完成1149例）等。

部分任务完成度未达标，如：原目标完成100例奥生乐赛特Ⅱ期临床用药患者的全基因组测序，实际采集30例奥生乐赛特Ⅱ期临床用药患者血样，未完成全基因测序及个性化用药分析等。

**（4）代谢性疾病个性化药物研究**

该项目开展了临床治疗药物和临床后选候选新药敏感人群个性化遗传标记的发现研究，项目进展情况良好，抗老年痴呆候选新药971处于临床III期，抗抑郁候选新药奥生乐赛特处于临床II期，抗肺动脉高压候选新药TPN171处于临床I期，针对2型糖尿病等代谢性疾病和神经精神性疾病建立了多个个性化药物的筛选和评价体系。发现并确证代谢性疾病和神经精神性疾病新型个性化药物先导化合物10-15个。

部分任务完成度未达标，如：未完成100例奥生乐赛特II期临床用药患者的全基因组测序；未完成奥生乐赛特中15个微量杂质的分离和结构鉴定、50例健康志愿者CYP450基因多态性对TPN171安全性的影响研究等。

**（5）个性化药物核心资源系统与可持续应用研究**

在中国科学院上海药物研究所综合大平台、化合物样品库、系列单元平台等基础上，建立了系统生物学技术平台及技术体系、千人基因组数据分析高通量平台及技术体系、扩充了人源化肿瘤PDX、PDC模型资源库；优化基于组织芯片的分子病理表型分析平台、多数学数据产出和分析平台；完成构件2型糖尿病全基因测序数据分析处理平台，糖尿病相关基因及SNP 数据库；在PDX模型构建上进一步完善已建的肝癌PDX模型。

专项个性化药物研发体系及应用多为对中国科学院上海药物研究所现有研发成果的深入和延展，专项成果多为现有样本库、数据库、平台的补充和完善，个性化药物特点体现不足；部分阶段任务目标未完成，如：完成部分肺癌PDX模型（计划完成20例，实际完成10例）、乳腺癌PDX模型（计划完成20例，实际完成17例）：引入具有个性化分子靶向癌基因依赖遗传背景的肿瘤细胞株（计划完成30-50株，实际完成20株）等。

### 2．成果显示度。

该专项截至2016年12月31日，共发表论文44篇，其中发表在Cell、Cancer Research、Oncogene等科研类优秀期刊的论文数为33篇，优秀论文占比较高；申请专利52项，其中授权专利8项，获得专利授权情况良好；专项获奖3项，其中省部级科技奖1项，获奖方面有提升空间。

### 3．专项目标实现度。

该专项的主要成果产出多为前期新药研发等相关专项的积累，专项内课题（任务）目标任务衔接度和整合度有待加强，专项专属产出增量体现不足，专项阶段性进展对实现专项总目标的贡献程度有待提高。

## （四）专项实施效果情况。

**该指标分值10分，评价得分6分。**该专项致力于提升我国药物研发和产业发展的整体创新能力,解决中国人群复杂性重大疾病的个性化用药问题；个性化药物研究方面的前瞻部署有一定的国际影响力。部分课题成果多为现有科研成果的深入和延展，研发的临床新药及候选新药均为前期积累，现阶段专项成果显示度不高,专项创新性尚未充分显现。

**在创新性方面**，专项致力于产生一批药物研究的新理论、新方法、新技术，革新现有的药物研发体系，为改变我国医药创新的落后面貌奠定扎实的科技基础。在新药品种拓展性方面，目前专项聚焦于肿瘤及代谢性疾病等常见高发慢病，现阶段缺乏对孤儿药、特殊病种药物、临床急需药的关注。

**技术储备方面，**现阶段专项取得临床批件的临床前研究品种多为项目前期基础，核心资源库和共享信息系统成果多为现有科研成果的深入和延展，在技术储备方面有待加强。

**国际影响力方面，**专项实施期间，主持国际会议或在国际会议上发表演讲28次，签订国际协议2项，5人当选国际学会或组织成员，具有一定的国际影响力。国际合作方面有待加强。

**科研成果应用转化方面，**目前共有10个候选新药处于临床研究阶段、1个候选新药获得临床批件、4个候选新药申报临床研究、17个候选新药处于临床前研究阶段，其中，前期项目基础和专项成果的界限较为模糊，专项成果体现不够清晰；专项数据平台处于建设阶段，科研成果应用转化方面有待加强。

**普惠健康方面，**专项在实施过程中，通过开展免费诊疗、播放相关科普视频等活动，对个性化药物知识进行一定程度普及；现阶段提升用药安全性及降低用药成本等相关成果的体现度不够，普惠健康方面需进一步提升。

# 六、主要经验及做法、存在的问题和建议

## （一）主要经验及做法。

专项借鉴工程类项目管理办法，引入第三方监理机制，监理组独立于项目组，由具有相关专业背景的科技专家和管理专家组成，直接向专项领导小组和重大科技任务局负责。

监理组负责对项目运行进行监理，监督、检查专项的任务执行情况，及时报告并提出相关建议，为专项管理决策提供支撑。监理组在管理过程中主要职责包括：检查了解项目及课题层级管理体系的建立及运行情况，管理机构是否完善、权责是否明晰、责任是否到位、任务是否单独编号等；依照任务书、年度工作计划及调整批件等，检查项目及课题的进度、完成质量与预算执行等相关情况。

该专项监理组在整个专项的实施过程中定期对项目各子课题进行监理，较好地完成了节点考核和动态调控，对专项整体进展起到了良好的监督、推进作用。同时也及时终止了研究不力和难以实现预期成果的子课题，避免了资金无效投入，有效节约了财政资金。

## （二）存在的问题。

**1.专项专属的产出增量体现不足，与前期基础性平台的衔接和整合有待加强**。该专项在中国科学院上海药物研究所综合大平台、化合物样品库、系列单元平台等基础上，对中国科学院上海药物研究所现有临床前及临床在研若干品种进行个性化研究，并建立个性化药物研发体系。考核指标及完成情况中对单位原有基础条件，基础成果与本次研发内容、经费使用等未予明确界定，且相互关系表述模糊。如现有临床药物研发及产出不应作为该专项成果，该专项主要工作为现有临床药物的个性化研究。

**2.各项目间成果共享统筹协调工作有待需进一步加强。**该专项五个项目间关联性强，部分项目研究对象和研究方法取决于其他项目成果，部分课题研究进展的滞后直接影响了其他项目工作的推进，进而影响整个专项研究进度。如项目五系统与体系构建工作主要来源于前四个项目产生的成果和数据。

**3.部分项目中课题及子课题研究内容相似、研究重点不够突出。**由于个性化药物存在不确定性及风险性较高的特点，项目承担单位需根据国内外新药研发趋势及自身研发工作进展，对课题，尤其是子课题层面设置及经费分配有较强的自主权和灵活性，导致部分课题及子课题研究内容相似，课题研究重点不够突出。

**4.部分项目及课题的阶段目标不够明确，可量化考核的指标较少。**专项个别项目、课题阶段目标不够明确，缺乏量化考核标准及技术指标。如XDA12010100、XDA12020200等课题的部分目标不够明确，目标多为定性描述，无量化指标。

**5.财务管理及监控有待加强。**专项部分财务核算不规范、支出依据不充分，如设备费支出凭证存在项目编号涂改情况，材料费核算缺少实物管理，研究生劳务费重复计列等情况；专项制定的财务监控手段未能有效监控财务工作中存在的问题，财务管理监控有待加强。

## （三）建议。

**1.整合、扩充临床样本数据，积极打造国家层面的技术信息平台。**该专项临床样本（组织及血液）库仅建立在中国科学院上海药物研究所自主研发品种的临床试验中，样本量有限。建议承担单位通过不同渠道，增加临床样品收集，不断充实临床样本库，组建临床样本大数据中心。相关主管部门以此为契机、研究解决目前临床样本数据碎片化、利用低效化等弊端，组建国家层面的临床样本大数据中心，保证精准医学及个性化药物研究的条理性和连续性。

**2.重视项目设计，加强统筹协调管理。**该专项五个项目相互交叉，部分研究工作存在平行及先后顺序关系，应加强项目顶层设计及统筹协调，确保不同项目间、不同年度间相互促进、良性循环。

**3.科学部署课题及子课题研究方向，突出研究重点。**在各项目的课题及子课题的研究方向及研究内容工作部署上应加强科学性和合理性。各子课题研究内容增强聚焦度，围绕重点研究，避免课题及子课题研究的内容的重复；防止分散性的科研探索，避免研究方向偏离。目前个性化研究只局限于中国科学院上海药物研究所在研的小分子化合物，建议未来增加对大分子抗体的个性化研究。

**4.明确项目及课题的阶段目标，强化考核标准及技术指标。**为了更科学地考核专项绩效情况，进一步推动专项科研工作的进展，实现专项科研工作的精细化管理，专项项目、课题阶段目标的设置应量化考核指标，明确考核标准及技术指标，确保绩效考核工作的可行性和合理性。

**5.加强财务管理，重视财务监督，合理合规使用专项资金。**有关部门应对财务管理中存在的问题,制定相应的改进措施,加强专项的财务管理，规范财务核算，做到支出合理，依据充分；重视资金管理环节进行监督和控制,保障专项资金在支出环节的合理性与有效性，避免资金的浪费以及资金使用过程的随意性和主观性。

**6.科研项目的绩效评价工作应有所侧重。**事中绩效评价工作应尽量不在执行前期开展，一方面绩效目标并未有效体现，另一方面也影响科研活动的开展。该专项自2015年10月启动，而绩效评价截止时间为2016年12月31日，仅执行1年多的时间，且2015-2016年主要工作为药物的个性化研究及资源库和数据库的构建，其目的是为后期建立个性化药物研发体系及开发个性化药物做好准备、打好基础，因此专项绩效主要体现在后期。在开展科研项目绩效评价工作时，一定要科学选择，确保绩效评价发挥更大的作用。

# 七、绩效评价结果应用建议

该专项尚处于在研阶段，本次绩效评价工作是针对科技项目，尤其是在研科技项目绩效评价工作方法的积极探索。

本次绩效评价针对专项目前的进展和管理提出了明确要求和意见，建议将评价结果反馈给主管部门和项目责任单位,并在一定范围内公开。一方面对于该专项后续项目立项、预算安排、项目管理与绩效考核具有一定的参考价值；另一方面对其他科技类在研项目考核或评价起到一定的借鉴意义。同时，开展科研绩效评价也是积极回应社会对科技投入绩效的关切，帮助政府部门改善管理、提高资金效果，促进财政管理科学化、规范化。

# 八、附件

附表：个性化药物--基于疾病分子分型的普惠新药研发专项绩效评价指标体系及得分情况表