



## 工作亮点

### 1. 【二十七期“新药研发咨询服务开放日” & 2020年首期吃茶啦！顺利举行】

10月9日下午，第二十七期“新药研发咨询服务开放日”如期举行。开放日提供免费项目诊断与咨询，助推项目往正确的方向发展，为项目的转化牵线搭桥。

此外，由上海市药物研发协同创新中心联合复旦大学药学院和云南白药举办的吃茶啦！活动也正式恢复，自本月起每月举办一期，欢迎老师们前来品茶交流。

### 2. 【发布药品政策法规动态汇编9月刊】

【SCiDDD药政动态汇编】每月整理汇编国家各大部委发布的与药品相关的政策法规动态，信息来源包括：中共中央办公厅、国务院办公厅、国家卫生健康委员会、国家药品监督管理局、国家中医药管理局、科学技术部、工业和信息化部、商务部、财政部、发改委等官方网站。

#### ◆ 政策法规文件

#### 9月7号，国家医疗保障局印发《医疗保障行政执法事项指导目录》的通知（医保发〔2020〕35号）

《目录》针对15个行政检查和处罚事项提出了指导意见，包括对骗取医疗保险金的处罚，对药品价格进行监测和成本调查，以及实际药品购销价格和数量的监督检查等。

（链接 [http://www.nhsa.gov.cn/art/2020/9/7/art\\_37\\_3508.html](http://www.nhsa.gov.cn/art/2020/9/7/art_37_3508.html)）

#### 9月11日，国家医保局、财政部与国家税务总局印发加强和改进基本医疗保险参保工作的指导意见（医保发〔2020〕33号）

《意见》指出工作主要任务是合理设定参保扩面目标，落实参保缴费政策，做好跨制度参保的待遇衔接，有序清理重复参保，完善个人参保缴费服务机制，加强财政补助资金管理。

（链接 [http://www.nhsa.gov.cn/art/2020/9/11/art\\_37\\_3569.html](http://www.nhsa.gov.cn/art/2020/9/11/art_37_3569.html)）

详情请扫描右侧二维码 →



## 每月纪事

### 1. 【Science Café分享 | 新药靶标发现】

亨廷顿病（Huntington’ Disease, HD）是一种神经退行性疾病，它与阿尔茨海默症和帕金森病属于同类疾病。它主要引起纹状体的神经退变，临床表现为运动障碍、认知障碍和精神异常以及过早死亡等，比较典型的运动是舞蹈样的动作。HD是一种非常严重的疾病，**目前没有任何有效的治疗方法，只能暂时缓解症状。**

HD是单基因的常染色体显性遗传病，主要是由“HTT”基因的突变引起的。正常的HTT基因有一段**CAG重复**，**重复数小于36个**，该基因表达野生型HTT蛋白，野生型HTT蛋白在发育期间发挥着重要功能。而**突变的HTT基因中CAG重复数大于等于36**，CAG编码谷氨酰胺，突变的HTT蛋白富含谷氨酰胺氨基酸，这种重复序列具有神经毒性，可以影响下游近千个基因的表达，从而导致亨廷顿病的发生。突变的HTT蛋白有段过长的Poly-Q基因，因此也被成为“Poly-Q基因”。

目前已被发现的Poly-Q疾病有**9种**，都是由于不同的基因它所表达的蛋白的Poly-Q过长引起的，这9种疾病都是罕见病，其中亨廷顿发病率约为**万分之一左右**，其他的Poly-Q疾病更为罕见。研究发现Poly-Q基因携带者比发病的人群数量多，携带致病基因的人群并不罕见，比例甚至高达1%，其有两个原因所致，一是这些疾病多数在中老年时期发病，很多携带者还未到发病年龄。另一原因是发病跟CAG的重复数有关系，重复数超过一定的数目才可发病，但是在一定的范围内不一定发病……

精彩报告，码上观看 →



## 下月预告

- ◆ 11月3日（周二）13: 00-16: 00举办第二十八期新药研发咨询服务开放日
- ◆ 11月20日（周五）14: 30-16: 30举办吃茶啦！
- ◆ 中心将在11月联合微软举办第32期science café 沙龙