

前 言

在数字技术与生命科学深度融合的今天，人工智能（AI）正以颠覆性的力量重构全球制药行业的发展格局，推动制药领域从传统经验驱动向数据智能驱动的范式转型。制药行业作为关乎人类健康福祉、承载科技创新使命的战略性产业，始终面临研发周期长、投入成本高、成功率低、监管要求严苛等核心痛点。从早期药物发现到药品上市后管理，每一个环节都伴随着海量数据的产生与复杂问题的挑战，而人工智能凭借其强大的数据挖掘、模式识别、预测分析与自主学习能力，为破解这些行业难题提供了全新的技术路径与解决方案。在此背景下，系统梳理人工智能在制药行业的应用场景、技术融合、实践成效与发展瓶颈，探索符合行业规律与时代特征的发展路径，具有重要的学术价值与实践意义。

药物研发与生产的全链条升级需求，与人工智能技术的迭代突破形成了历史性交汇。传统制药模式中，仅早期药物发现阶段就需耗费数年时间，从海量化合物中筛选出潜在有效分子，成功率不足万分之一；临床试验阶段更是面临样本招募难、数据解读复杂、终点判断滞后等问题，导致大量研发项目中途夭折。与此同时，基因组学、转录组学、蛋白质组学等多组学技术的发展，催生了海量生物学数据，传统分析方法已难以应对数据规模与复杂度的爆发式增长。人工智能技术的出现，恰好搭建起生物学数据与制药产业需求之间的桥梁，通过算法模型对多源数据进行整合分析，实现药物研发效率的提升、生产流程的优化与医疗服务的精准化，为制药行业注入了新的发展动能。

本书立足制药行业全产业链视角，以人工智能技术与制药产业的融合应用为核心主线，系统构建了从基础理论到实践应用、从前沿探索到治理路径的完整研究体系。全书共七章，层层递进、逻辑贯通，全面覆盖人工智能在制药行业的关键应用领域与核心研究方向。第1章从人工智能技术基础出发，

剖析制药行业面临的痛点与变革需求，阐释数字化浪潮下两者深度融合的历史契机，为后续研究奠定理论与现实基础。第2章聚焦早期药物发现这一核心环节，详细探讨AI在药物靶点识别、蛋白质结构预测、药物分子设计与筛选中的应用机制与实践案例，揭示AI对药物研发源头创新的推动作用。第3章围绕临床前与临床试验阶段，深入分析AI在药物合成与制剂优化、药代动力学预测、临床试验设计与管理中的应用价值，展现AI如何破解临床试验周期长、成本高、效率低的行业困境。第4章将研究视角延伸至制药生产领域，探讨AI在生产过程管控、供应链优化及质量管理中的实践路径，为制药行业实现智能化生产、提升质量管控水平提供参考。第5章关注药品上市后的研究与营销环节，系统阐述AI在药物警戒信号检测、药物重定位、患者依从性管理及精准营销中的应用方法，构建药品全生命周期管理的智能赋能体系。第6章探讨AI与生物信息学、计算化学及物理学的深度融合路径，勾勒前沿科技融合驱动制药行业创新发展的未来图景，为跨学科研究提供思路。第7章直面AI制药面临的伦理争议与监管挑战，结合我国制药行业的发展实际，提出智能制药时代的战略发展路径，为我国在全球AI制药竞争中抢占先机、实现产业转型升级提供战略支撑。

本书在撰写过程中，借鉴了国内外相关领域的最新研究成果，得到了行业专家、学者与工程技术人员的大力支持，在此致以诚挚的谢意。由于技术的不断迭代与行业需求的日益升级，新的应用场景、技术路径与研究课题将不断涌现，书中难免存在疏漏与不足之处，恳请广大读者与同行批评指正，共同推动人工智能在制药行业中的应用研究不断深入发展。

作 者

2025 年 12 月

目 录

前言

第 1 章 智能时代制药行业的范式革命	1
1.1 人工智能技术基础	1
1.1.1 机器学习与深度学习核心算法	1
1.1.2 自然语言处理与知识图谱构建	2
1.1.3 计算机视觉在影像与实验数据分析中的应用	4
1.1.4 生成式人工智能与分子设计	5
1.1.5 人工智能的常用算法	6
1.2 制药行业面临的痛点与变革需求	7
1.2.1 研发周期漫长与成本高昂的“双十”困境	7
1.2.2 靶点发现与候选药物筛选的成功率挑战	8
1.2.3 生产工艺优化与质量控制中的效率瓶颈	10
1.2.4 传统营销模式与个性化医疗需求的脱节	12
1.2.5 创新药研究引导的行业需求变革	15
1.3 数字化浪潮下的交汇契机	16
1.3.1 多组学数据融合与生物医学大数据爆发	17
1.3.2 自动化实验平台与数字孪生技术的兴起	19
1.3.3 AI/ML 驱动的新型审评审批框架	20
1.3.4 以患者为中心的智能健康生态系统构建	22
第 2 章 人工智能在早期药物发现中的应用	25
2.1 AI 在药物靶点识别中的应用	25
2.1.1 人工智能大语言模型在药物靶点中的应用	25
2.1.2 人工智能算法在药物靶点中的应用	34
2.2 AI 在蛋白质结构预测中的应用	42

2.2.1	AI 驱动蛋白质结构预测的核心技术基础	43
2.2.2	典型 AI 蛋白质结构预测模型解析	45
2.2.3	AI 蛋白质结构预测在药物研发中的应用	50
2.3	AI 在药物分子设计与筛选中的应用	54
2.3.1	药物分子设计与筛选的 AI 技术基础	55
2.3.2	AI 驱动的虚拟筛选模型	57
2.3.3	AI 驱动的药物分子生成模型	62
2.3.4	AI 在药物分子设计与筛选中的典型应用案例	66
2.3.5	AI 在药物分子设计与筛选中的核心挑战与解决方案	67
第3章	人工智能在临床前与临床试验阶段中的应用	70
3.1	AI 在药物合成与制剂中的应用	70
3.1.1	逆合成分析与合成路线智能设计	70
3.1.2	自动化实验平台与高通量反应优化	72
3.1.3	固态筛选与多晶型预测	73
3.1.4	制剂配方智能化设计与性能预测	76
3.2	AI 在药代动力学领域的应用	79
3.2.1	ADMET 性质的早期精准预测	80
3.2.2	基于生理的药代动力学模型构建与模拟	81
3.2.3	药物-药物相互作用及代谢通路预测	84
3.2.4	个体化给药方案的智能化探索	87
3.3	AI 在药物临床阶段的应用	89
3.3.1	AI 在药物临床阶段中的研究进展	89
3.3.2	精准患者招募与试验中心优化	91
3.3.3	临床试验方案的智能化设计与模拟	95
3.3.4	基于多源数据的临床终点预测与替代标志物挖掘	98
3.3.5	临床试验数据实时监控与风险智能预警	100
第4章	人工智能在制药生产领域的应用	106
4.1	AI 在生产与供应链中的应用	106
4.1.1	制药生产全流程的 AI 赋能逻辑与技术框架	106

4.1.2	AI 在制药生产关键环节的应用实践	108
4.1.3	制药供应链的 AI 智能管控体系构建	111
4.2	AI 在药物生产质量管理中的应用	114
4.2.1	AI 在药物生产过程检测中的应用	115
4.2.2	AI 在药物识别中的应用	116
4.2.3	AI 在药物安全评估中的应用	118
4.2.4	AI 在药物标签识别中的应用	119
第 5 章	人工智能在药品上市后研究与营销中的应用	121
5.1	药物警戒信号的 AI 实时检测	121
5.1.1	药物警戒信号及数据挖掘	121
5.1.2	基于 NLP 的不良事件报告自动化处理	122
5.1.3	药品不良事件报告自动化处理	125
5.1.4	多源数据融合与信号强度智能评估	126
5.1.5	社交媒体与真实世界数据的主动监测	130
5.1.6	预警模型构建与因果关系辅助推断	134
5.1.7	基于药物警戒信号的医院药事风险管理	137
5.2	药物重定位的机器学习挖掘方法	138
5.2.1	基于多组学数据的疾病-药物关联网络分析	138
5.2.2	电子健康记录与真实世界证据的规律挖掘	140
5.2.3	靶点相似性与副作用图谱的逆向推理	142
5.2.4	重定位候选药物的优先级排序与验证策略	145
5.3	患者依从性管理的智能干预策略	147
5.3.1	基于可穿戴设备与用药记录的风险预测	147
5.3.2	个性化提醒与数字化用药辅导	149
5.3.3	行为科学驱动的智能化工干预方案	153
5.3.4	依从性提升的效果评估与模型迭代	156
5.4	AI 在制药营销领域的应用	158
5.4.1	多维度医生画像与精准学术推广	158
5.4.2	基于真实世界疗效的差异化证据生成	160

5.4.3	区域市场动态预测与资源优化配置	163
5.4.4	数字化患者支持平台与全周期健康管理	165
第6章	交叉学科与前沿技术融合	168
6.1	AI 与生物信息学的深度碰撞	168
6.1.1	生物信息学的核心范畴与数据困境	168
6.1.2	AI 与基因组信息学的融合：从序列解读到功能预测	170
6.1.3	AI 与转录组信息学的融合：从表达定量到调控机制解析	172
6.1.4	AI 与蛋白质组信息学的融合：从结构预测到功能解析	173
6.1.5	AI 与代谢组信息学的融合：从代谢物识别到通路分析	176
6.1.6	AI 与生物信息学融合在制药领域中的应用	177
6.2	AI 与计算化学及物理学的融合	179
6.2.1	融合的理论基础	179
6.2.2	AI 与计算化学的融合的应用	183
6.2.3	AI 与计算物理学融合的应用	188
6.2.4	AI 与计算化学及物理学融合的技术突破方向	193
6.3	前沿科技融合的未来图景	197
第7章	治理挑战与战略路径	203
7.1	AI 制药的伦理与监管挑战	203
7.1.1	数据隐私保护与患者知情同意权	203
7.1.2	算法偏见与临床决策的公平性保障	205
7.1.3	模型可解释性与监管审查的透明度要求	206
7.1.4	知识产权归属：算法、数据与发现物的权责界定	207
7.1.5	全球监管协同与标准体系构建	210
7.1.6	伦理审查框架的适应性变革	212
7.2	中国在智能制药时代的战略路径	214
7.2.1	聚焦核心技术突破，构建自主可控的智能制药技术体系 ...	215
7.2.2	推动产业链协同升级，打造智能制药产业生态体系	217
7.2.3	完善政策监管体系，营造规范有序的发展环境	218

7.2.4 强化人才队伍建设, 构建多层次的智能制药人才体系	220
7.2.5 深化国际合作交流, 融入全球智能制药产业体系	221
7.2.6 战略实施的保障措施	223
参考文献	224

第 1 章 智能时代制药行业的范式革命

智能化引领制药业的数据革命，大数据、人工智能等技术在研发领域发挥着越来越大的作用，在降低药物发现成本的同时缩短了研究开发时间，并能改善疗效，提高新药研发的成功率；同时可以建立早期风险评估体系及辅助制定个体化用药策略，打造智能型新药研发产业链。

1.1 人工智能技术基础

人工智能（AI）就是利用机器学习及其他算法对数据进行处理并结合其他学科的知识及技术给出解决方法的一种技术。随着计算机算力的提升以及算法的进步，AI 正朝着通用人工智能（artificial general intelligence, AGI）发展并在多个领域取得长足进展。

1.1.1 机器学习与深度学习核心算法

在智能时代，制药行业正经历由机器学习与深度学习驱动的模式变革。二者构建的数据驱动智能分析系统，实现了从药物发现到生产制造全链条优化，可提升研发效率、降低成本、拓展化学空间。

1. 机器学习与深度学习的算法分类与原理

1) 机器学习核心算法

机器学习算法按训练方式分监督学习、无监督学习和强化学习，在制药行业应用广泛。监督学习用已标注数据建模，能处理分类与回归任务。决策树递归划分数据构建树形结构，可用于药物毒性预测；随机森林集成多棵决策树，提升预测鲁棒性，适用于临床试验患者分层；支持向量机寻找最优超平面，适合小样本高维数据，用于药物靶点预测。无监督学习处理无标签数

据，用于降维和聚类。主成分分析将高维数据投影到低维空间，在药物化学空间探索中揭示结构-活性关系；K 均值（K-means）聚类划分数据簇，可用于药物再利用，识别跨适应证药物。强化学习通过与环境交互优化策略，在药物分子设计中，强化学习代理修改分子结构并接收奖励信号，逐步生成优化分子。

2) 深度学习核心架构

深度学习靠多层非线性变换自动学习数据深层特征。卷积神经网络用卷积核提取局部特征，一维卷积神经网络（1D-CNN）可处理简化分子线性输入规范（SMILES）字符串捕捉原子排列；图神经网络将分子建模为图，在药物-靶点相互作用预测中提升精度；生成对抗网络对抗训练生成逼真数据，可生成虚拟分子库；Transformer 基于自注意力机制捕捉长程依赖，AlphaFold4 可利用其解析蛋白质结构。

2. 核心应用场景与算法实践

深度学习及机器学习贯穿于药物开发的各个环节。在药物发现环节中，基于深度学习算法的 DeepDTA 可以利用小分子与蛋白序列来预测其结合活性；PandaOmics 软件可快速识别肌萎缩侧索硬化症等多种疾病的新靶标。在分子设计与优化环节中，基于强化学习的生成式模型（如 REINVENT）能够智能化地产生并优化候选化合物结构，其算法可以将反向靶点筛选时间由几个月压缩到几周。

临床试验设计：利用来自不同来源的数据建立机器学习算法以区分那些对特定治疗有可能获得积极疗效的患者并进行患者细分；利用连续性监控的数据建立预后不良的风险评分模型来提高试验的设计质量及效率。

在生产方面，基于在线数据的混合建模可实现对工艺参数的实时优化控制；结合代谢通路知识，人工智能可用于指导微生物合成途径的设计从而提高产物产率。

1.1.2 自然语言处理与知识图谱构建

在智能化制药的大背景下，自然语言处理（natural language processing,

NLP) 和知识图谱 (KG) 在药物领域的应用挖掘出了文献中的潜在信息并建立不同领域之间的联系,在一定程度上提高了药物研究开发的速度以及对临床用药的支持程度,促进了精准化医疗的发展。

1. 自然语言处理技术原理与制药行业适配性

自然语言处理基于机器学习理解文本、提取信息并推演知识,其核心能力与药物研发需求深度匹配。

1) 文本预处理与特征提取

在生物学文本处理中,分词与词性标注是基础且关键的步骤。由于生物学文本包含大量专业术语,如基因名、疾病名等,存在“一词多义”的情况。例如,“EGFR”在肿瘤学领域代表表皮生长因子受体,在分子生物学领域可能指基因序列。为解决这一问题,需要定制词典,如 BioLemmatizer,以及使用领域分词工具,如 SciSpacy。命名实体识别 (named entity recognition, NER) 则负责从文本中抽取药物、靶点、疾病等实体。基于 BERT 的预训练模型,如 BioBERT,通过微调能够很好地适应生物学领域,在 BC5CDR 数据集上,其实体识别精度 F1 值可超过 90%。关系抽取主要识别实体间的相互作用,如“药物-靶点”“疾病-基因”等。规则驱动方法,如 OpenIE,结合深度学习模型,如 REBEL,可以自动提取“帕博利珠单抗 (药物) 抑制 PD-1 (靶点)”这类三元组关系。

2) 语义理解与知识推理

预训练语言模型在语义理解方面发挥着重要作用,BERT、GPT 等模型通过大规模无监督学习来捕获文本语义。以 BioBERT 为例,它在 PubMed 摘要上进行预训练后,具备准确回答复杂问题的能力,例如能回答“哪种药物通过抑制 BRAF 激酶治疗黑色素瘤?”这样的问题。知识推理是基于已有知识推导新结论的过程,可借助逻辑规则,如一阶谓词逻辑,或者图神经网络 (GNN) 来实现。例如,若已知“药物 A 抑制靶点 B”且“靶点 B 与疾病 C 相关”,依据这样的已有知识,就可以推理出“药物 A 可能治疗疾病 C”这一新结论。

2. 知识图谱构建技术栈与制药行业应用

知识图谱通过节点（实体）和边（关系）构建结构化知识网络，其构建流程包括数据采集、知识抽取、图谱融合与推理，核心技术与制药场景深度融合。

从不同来源的数据中获取信息并进行加工处理，这些数据通常来自关系型数据库、半结构化的表格文件以及非结构化的文本文档；其次将获得的信息利用 NLP 技术挖掘出三元组生成初步的知识图谱；然后通过实体匹配把不同来源的信息合并到同一张图谱上，最后使用推理技术提取其中的潜在信息。

在医药健康行业，知识图谱可应用于新药研发过程，如 IBM Watson 利用文献资料建立的知识库帮助寻找治疗阿尔茨海默病等疾病的新目标，在临床试验中利用知识图谱进行人-药匹配，某公司因此将患者的入组周期平均缩短了 40%。另外，知识图谱还可以辅助药物再利用的研究，探索已有药物在新疾病上的应用以减少药物开发的成本及时间，在 COVID-19 的治疗上已产生实际效果。

1.1.3 计算机视觉在影像与实验数据分析中的应用

计算机视觉技术通过模仿人类视觉，能够自动解析图像与视频数据，为制药领域提供高效、精准的影像与实验分析方案，正驱动行业迈向智能化。

1. 计算机视觉技术原理与制药行业适配性

计算机视觉核心是通过算法模型对图像进行特征提取、目标检测与语义理解，与制药行业需求高度适配，体现在三方面：一是高精度图像处理能力。制药生产图像分辨率高、多模态，如细胞、药片缺陷图像等。计算机视觉借助卷积神经网络等深度学习模型，可自动提取纹理、形状等特征。例如 YOLO11 模型在医疗药片检测中，通过 3D 扫描等技术精准鉴别药品，在特定数据集上标注药品特征实现自动分拣识别，提升生产效率。二是实时动态分析力。制药过程动态连续，如液体制剂灌装监测等需实时反馈。计算机视觉结合高速工业相机与边缘计算，能在毫秒级完成图像采集分析。某药企部署

机器视觉系统，实现泡罩药品包装缺损实时识别，可提高检测准确率，降低劳动强度。三是多模态数据融合能力。制药数据多模态，计算机视觉与 NLP、物联网（IoT）等融合构建跨模态知识图谱，助力新药研发决策优化。

2. 计算机视觉在制药行业的核心应用场景

计算机视觉技术正深入制药行业多个环节，主要应用于生产监控、质量控制和实验数据分析。

生产过程管理方面，在产品灌装过程中检测液体的高度并自动计数；使用机器学习方法检测生产设备的状态以预测潜在的问题，从而降低生产中断的风险。

在质检环节，基于视觉系统的检查可以对产品的外包装进行快速扫描，发现缺陷的速度及准确度远远超过人工，并且利用机器视觉系统检测出包装破损的情况大大降低了不合格产品出现的概率。

在数据分析方面，基于深度学习的方法能够快速分析来自细胞试验的图片，缩短药物活性判断时间并降低人为误差；此外，在动物试验中利用姿势估计方法可以确定小鼠的移动距离，可用于开发神经药物。

1.1.4 生成式人工智能与分子设计

生成式人工智能（GenAI）带来的医药行业革命性突破正在改变传统药品开发流程，并以一种全新的方式创造出能满足人们需求的产品和服务。它可以帮助生成具有我们需要特征的分子并将它们带到现实中，从而颠覆整个药物开发过程。

1. 生成式人工智能

生成式人工智能以深度学习算法从海量数据中学习规律生成新内容，在制药领域有三大技术突破：一是分子生成效率大幅提升。传统药物发现耗时久、成功率低，生成式 AI 借助强化学习与生成对抗网络，数周可生成数百万候选分子。例如，Chai Discovery 的模型将抗体设计成功率大幅提高，“分子版 Photoshop”功能压缩了药企候选药物筛选周期。二是实现多模态数据融合

与跨学科创新。现代药物研发需整合多维度数据，生成式 AI 构建跨模态知识图谱，实现从“数据驱动”到“假设驱动”的转变。例如，AlphaFold4.0 能预测大量蛋白质复合体动态构象，为靶向药物设计提供高精度支持。三是形成实验验证与 AI 的闭环迭代。AI 与科学家协同，通过闭环优化研发流程。华为云盘古药物大模型等平台，实时分析实验数据调整反应条件，缩短了研发周期、降低了成本，自动化实验室集群大幅提升了数据生成效率。

2. 分子设计

分子设计是药物研发核心，生成式 AI 使其从“试错式探索”变为“精准设计”：一是小分子药物设计范式革新。传统依赖化学家经验，生成式 AI 借助语言模型扩展化学“语言”，能生成具优良特性的分子。例如，英矽智能（Insilico Medicine）设计的抑制剂，从算法生成到完成动物试验仅 18 个月，较传统时间缩短 4/5；其平台发现新靶点也远快于传统方法。二是大分子药物精准工程。抗体等药物设计面临复杂构效关系挑战，生成式 AI 模拟蛋白质折叠等行为提升精度。例如，Atomic AI 大模型预测 RNA 药物免疫原性，降低疫苗研发失败率；Moderna 与 DeepMind 联合平台能快速生成验证新分子骨架，覆盖更多化学空间。三是动态模拟与理性设计。生成式 AI 通过分子动力学模拟预测药物代谢路径与副作用，如强生集团量子-AI 混合系统破解自身免疫疾病密码，设计药物成本低且对接精度高。

1.1.5 人工智能的常用算法

人工智能是信息科技高度发展的产物，它以复杂的算法为核心，致力于构建能够模拟、延伸乃至增强人类智能的机器系统。其目标在于使机器具备类似于人类的认知、学习、推理和行为能力。

机器学习是通往人工智能的重要方法之一，其本质就是从数据中学习，并找到一个从输入到输出的映射关系，常用的有监督学习算法如线性回归、逻辑回归、支持向量机、随机森林及决策树等。

深度学习属于机器学习的一种方法，利用深层神经网络模型进行建模，能够自动对原始输入的学习获得多层次的表示并将其逐渐融合成高级别特征

信息来反映数据在每层空间上的分布式表征。深度神经网络因具有更多隐含层，从而适合于求解复杂非线性问题。特别是 Transformer 的出现，大大推动了基于该模型对大规模序列进行建模以学习长期依赖性的发展。

大语言模型就是由上述这些技术演化而来的大规模人工智能模型。其利用深度神经网络，在没有人工标注的情况下，从大量文本中自动学习词语之间的关系及句子结构，进而表征自然语言的形式及规律。目前 ChatGPT 这类生成式大语言模型已能较好地完成基本问答、信息综合、多任务处理等工作，为行业的实践提供了一定的支持。

随着大数据、云计算等技术日趋成熟，人工智能正步入与产业深度融合的新阶段，优先在数据基础好、需求迫切的领域落地。医疗健康与应急管理是其中的重点方向。临床药学作为医疗领域信息化程度较高的分支，已在多方面取得了实质性的进展与突破。

1.2 制药行业面临的痛点与变革需求

制药行业长期面临研发周期长、成本高昂、成功率低三大痛点，叠加监管要求趋严、患者需求多元化、医疗支付模式变革等外部压力，迫切需要通过人工智能、数字化技术重构药物发现（如 AI 靶点预测）、临床试验（如实时风险预警）、生产制造（如智能质控）等全链条，实现从经验驱动到数据智能驱动的范式转型，以提升研发效率、降低运营成本、满足精准医疗需求。

1.2.1 研发周期漫长与成本高昂的“双十”困境

漫长的开发周期、巨大的投资成本以及较低的成功率是新药研发的主要特点，究其原因，复杂的流程导致了整个药物研究过程中的每一步都会遇到技术和经济上的困难以及不可预知的风险。

1. 传统研发模式下的“双十”困境解析

传统的药物研发周期长、成本高、成功率低。从靶点发现到临床前再到临床试验，各个环节花费时间较长，并且环环相扣，使得总体周期被拉得很

长；研发成本也很高，在早期探索以及后期的临床开发过程中都要不断耗费资金，尤其是临床试验过程中会涉及大量的受试者收集、数据管理和法规事务等问题，又增加了支出；较高的研究失败率，大量的候选化合物无法顺利进入临床前研究，在临床试验成功的药物中，只有少数几款可以最终获批上市，有些药物因疗效不理想或安全性不过关而不能获批上市，还有一部分因公司出于商业考量放弃继续开发。这些情况都会大大增加新药的研发风险与困难。

2. 突破“双十”困境的技术变革

传统药物研发存在耗时长、成本高及成功率低等问题。GenAI 改变了传统药物研发模式，有望解决上述难题。在分子设计方面，传统药物开发是从已有化合物库中挑选，而 GenAI 则可以利用生成对抗网络（GAN）等方法直接生成具有某种性质以及活性的新分子结构，如结合 3D 表示学习定向设计疾病靶标，加速先导物的发现进程。

传统动物试验是临床上前期研究的重要环节，但其周期长，并受不同物种影响。GenAI 利用计算机辅助技术模拟化合物在体内外的行为，进行虚拟毒理评估及药物活性筛选，可降低动物试验的数量需求，在药物开发初期加快了研发进程。

患者招募困难、人群异质性高是临床试验中常见的问题。GenAI 基于海量医疗与组学信息进行精准受试者招募与筛选，并可以辅助实现患者的分层、实时监测以及虚拟对照组建立，在临床试验过程中可优化试验设计、提升数据质量，进而提升整个临床试验的成功率和效率。

1.2.2 靶点发现与候选药物筛选的成功率挑战

1. 靶点发现阶段的成功率挑战与根源剖析

靶点发现阶段面临成功率偏低的挑战，其原因涉及研究策略、数据整合及技术手段等多个层面。

目前靶向药物研发主要基于文献挖掘及实验室研究，然而由于机体复杂

性，一个靶标通常不能涵盖全部致病机制。例如，JAK-STAT 等经典的信号通路中，已经获批上市了作用于该通路中 JAK1 等靶标的药物，但是对于同属该通路中的 STAT5 等成分则鲜有深入研究，提示目前出现了“热靶点反复投射”和“冷靶点刻意回避”的现状。^①

数据碎片化是另一制约因素。传统的生物学大数据分析是从零散的、非标准化的数据中手动挖掘所需的信息，费时又落后，无法形成一个完整的知识体系并实现对这些知识进行实时更新。例如，在阿尔茨海默病等方面的研究已经进行了多年，但依然缺乏新的药物作用靶点；很多药物开发项目的失败是因为在选择药物作用靶点的过程中没有获得足够的相关信息。“信息孤岛”，影响了判断准确性和效率。“数据孤岛”的形成使得各部门之间缺乏共享和联动机制，在突发事件处理过程中容易出现信息不对称的现象，从而造成决策延误或失实等问题。

此外，技术瓶颈和潜在风险不可小觑。高通量筛选的准确度还有待提高，常用动物模型和细胞模型有物种特异性和生物学过于简化的弊端，容易导致临床前研究结果偏离人体真实情况；一些已经进入临床试验阶段的候选药物因安全性的原因被叫停，前文所述的靶点评估框架对临床风险预估不准确，导致“无效探索”，增加了整体的风险及代价。

2. 候选药物筛选阶段的成功率瓶颈与效率困境

对候选药物来说，筛选成功率低、效率不高及成本过高都是难题。传统的筛选方式是人工进行试验，不仅费时费力，而且不能对众多药物进行筛选。例如，某药企曾耗费超过 5 亿美元的资金用于开发阿尔茨海默病的新药，但最终以失败告终，在一定程度上是因为其筛选手段不够智能。

基于数据的过滤同样受到数据及计算能力的制约，虽然 AI 可以提高靶点识别的准确率，但在临床上前期成功概率仍然只有大约 15% 的原因在于：AI 模型对高可靠性的数据有很强的依赖性，在生物学领域中很多数据集都是不完整的或者是包含噪声的，同时缺少对整个流程进行最优化的设计。

^① Mullard A. The drug-maker's guide to the galaxy [J]. Nature, 2017, 549 (7673): 445-447.

此外，跨界协同不够。药品研发是一个交叉科学的过程，各个领域的壁垒较高，缺乏有效的沟通协作机制，难以实现协同攻关，从源头上解决成药率低的问题。

3. 突破成功率挑战的技术革新与路径探索

为应对上述挑战，业界也在尝试多种解决方案：在靶向选择方面，使用决策支持平台可以帮助我们更好地进行综合判断，在 JAK-STAT 路径中寻找新的治疗靶标，一个能够综合各类数据并以图表形式直观展示的决策支持平台可以帮助我们更快地找到新的机遇靶标。

AI 技术正在改变药物研发过程。AI 药物设计结合大数据、超级计算机及先进的算法，能够从源头上对分子进行设计和优化，基于 GAN 平台，可直接得到具备相应性质及活性的分子，并且可以大大提高化合物筛选的速度；此外，在前期还可以利用机器学习方法进行吸收、分布、代谢、排泄和毒性 (ADMET) 预测以减少毒理学及药代动力学测试的时间并提高速度。一些公司已经能够使用基于人工智能的方法为抗肿瘤药物设计出数十个候选分子，甚至将其中一些推进到临床试验阶段，这无疑是一个巨大的进步。

推动跨界融合与生态共建是长期方向。企业、科技公司、科研机构与监管部门需协同合作，促进资源互通与系统整合。例如，药企与人工智能公司共建闭环研发系统，政府部门通过规范制定降低转化成本，共同推动行业向高效、智能方向持续发展。

1.2.3 生产工艺优化与质量控制中的效率瓶颈

1. 生产工艺优化中的效率瓶颈

医药制造过程的优化旨在提升效率、降低成本并保障质量稳定，但仍面临技术、流程与资源等方面的制约。

在技术上，现行体制不够灵活，缺乏灵活性。机器非常专用化，更换不同产品需要时间进行清洗、设置，降低了生产线效率。这种形式不利于小规模生产，对一些罕见病治疗药物来说，频繁的更换会增加制造成本。