

谷成明：未来世界一定是计算驱动的世界



谷成明 CMAC 大会主席

如果把一门科学变成工程学,那就意味着整个过程能够计算清楚,工程化则意味着这件事能够做大。反过来讲,任何事情如果不能计算清楚,只能意会不能言传,那就不是科学,也很难通过工程化做大。

随着 ChatGPT、Sora 的横空出世,大模型一次次惊艳世界,数据、算法、算力的重要性达到了新高度。对医学而言,也是如此。过去,我们产生一个想法,需要先做试验,特别是用随机对照试验(RCT)来验证,然后发表论文,产生证据,指导临床实践和修改指南。现在 RCT 开展的难度增大,收集真实世界证据(RWE)的方法也越来越多,这给我

们提供了一个新思路,那就是萌生一个想法后,先分别做回顾性和/或前瞻性的 RWE,验证其价值后,再做 RCT,这样就能最大化节省成本和提高成功率。

这个思路打开之后,我们发现,RWE 的作用越来越大。第一,RWE 可用于支持产品注册包括新产品注册、老产品新增适应症,说明书修改和上市后承诺研究(PAC)等。去年我们就通过 RWE 成功增加了一个抗凝药物用于肿瘤患者的适应症。第二,RWE 可用于支持市场准入。根据医保政策,6月底之前批准的药物都可以申请进入当年的医保,但要在如此短时间内生成大量的证据支持产品准入难度很大,RWE 给我们提供了一个很好的“武器”,可以根据需求快速生成相关疗效、安全和经济学的证据。第三,商业决策支持(business Decision Support)。过去的商业决策更多依靠市场调研、访谈等,甚至是“拍脑袋”式的。现在利用 RWE 的方法,通过大数据分析能快速获得市场

规模、诊治状况、竞争情况等信息,以帮助确定市场机会、撬动点、品牌策略等,形成科学决策。AI 技术如机器学习的应用能更大发挥 RWE 的作用,例如通过合成臂生成对照,基于过去的的数据形成预测模型(Prediction Model),生成一个虚拟对照组,这样就不需要重复观察一些结果明确的标准治疗。这样不仅速度快、成本低,同时还能达到观察当前药物疗效或安全性的效果。

未来的世界一定是计算驱动的世界,现在我们看到的只是冰山一角。临床上还有大量的数据,比如基因数据、组学数据、酶学数据、蛋白数据、电子病历数据、医保数据甚至社交媒体数据等。利用这些数据,我们就能得到更多的证据支持科研、临床和各种各样的决策。预测到 2030 年,更多的数据不是真实数据,而是合成数据,这个领域是一片巨大的蓝海。我们相信,未来的医学在强大的计算工具辅助下一定会发展得越来越好,一定会走向计算医学。

张伟：监管科学与数字孪生技术须同频共振



张伟 中国药品监督管理研究会会长

数字孪生技术的重要方向就是构建先进计算支撑的跨尺度复杂模型。利用高性能计算基础设施,产出大量数字患者队列,进行多尺度复杂建模以实现生理病理大规模模拟,最终建立超高保真度虚拟受试者的广泛数据库。

目前,从全球多个国家和地区的布局来看,数字孪生已经成为新兴优先发展领域,是发展创新药的战略级技术方向。

而实现复杂的数字孪生技术,从

概念到实际应用的关键支撑是建设生态系统。所谓生态就是政、产、学、研、用、金、介要形成良好合作机制,这包括建立包容和协作的平台、促进公司伙伴关系和资源共享、开发配套基础设施和平台。工业界应该成为生态系统中的积极行动者,这样数字孪生技术战略、创新药战略才能获得越来越多的社会关注。

虚拟临床试验是利用计算机建模与仿真技术,开发患者特异性数字化模型,以形成虚拟患者组,用于测试新药和新医疗设备的安全性和/或有效性。它是科学工具转化为监管科学工具的重要方法。

阿维森纳报告提出,在虚拟临床试验能够产生科学有力证据的情况下,可以部分取代临床试验,但目前还没有监管机构接受临床试验阶段数字化证据取代临床证据的案例。因此建议建立虚拟临床试验实

践案例,解决落地问题,比如通过回顾性评估一些结果已知的临床试验,或与现有的体内临床试验并行开展双盲虚拟临床试验。

站在监管科学的视角,美国食品药品监督管理局发布的《医疗器械申报中计算建模与模拟的可信度评估指南》,为药物研发建立类似评估框架奠定了基础。此外,其他监管机构的积极行动,也推动了数字孪生与虚拟临床试验融入监管流程。

整体而言,数字孪生、虚拟临床试验是关键性技术,但从模型到工具转化还处于早期阶段。监管部门需要与新技术的发展同频共振,同步开展监管科学工具的研究开发,评估和接纳数字证据,为未来减少动物实验和人体试验数量、降低新药研发成本、提高审评效率作出积极贡献。



赵宇 中科计算技术西部研究院研究员、计算医学沙龙召集人

第三届计算医学论坛如约而至。这是一部“连续剧”,因为我们会持续向社会展现计算医学技术体系从科学发现到产业落地的全部历程。如何用数字描述生命,是计算医学的底层逻辑。全球范围内,已经有几十个团队在做类似的工作,国内相对少一些。我一直说对这件事的拥抱,不一定是拥抱我们团队,而一定是拥抱这个技术体系和技术思想。

很多人不明白基因检测和计算医学的区别,我经常举这个例子解释:你不能走到一片麦子地,让种麦子的人给你做碗面条,他是做不出来的。换句话说,基因检测只是生产数据,而计算医学用人工智能或数学方法解读数据、加工数据,产生新洞见。

据统计,国际上有 5 多万个病种,我国临床上有 1.4 万多个病种。这其中没有治疗药物的疾病不在少数。即使有药物,药厂也常被诟病定价昂贵。究其原因,是旧有药物研发技术体系的新药研发成本太高,导致其产能走到了尽头。

但在计算医学的方法下,跨病种研究成为可能。以乳腺癌和脊索瘤为例,一个是全球第一大癌种,一个是发病率极低的罕见病,但是在分子层面的研究显示二者在发病机制上有共同之处,因此药物也可以共用,这使原本少人问津的脊索瘤迎来了治疗的曙光。目前,CDK4/6 在计算医学方法下已发现了 100 多种适应症。

我认为科技进步才是最大的伦理。药物研发为什么这么慢?研发的为什么这么贵?这是因为需要严格的试验人组条件。如果我们能证明虚拟临床试验是可行的,能在患者人组前就预测他可能发生的反应,比如药物不耐受、副作用等,那就可以精准地进行药物分配或调整。而这才在最大程度上体现了对生命的尊重、对患者的尊重。

从“深蓝”、AlphaGo 到 ChatGPT、Sora,与其相关的一系列大型公众科技教育事件让人们经历了一次次从不可能到被震撼的巨大转变。如今计算医学也是如此,作为一项颠覆性非共识技术,它容易给人一种未来感或科幻感。但不容置疑的是,它已然走在现实的路上。

赵宇... 计算医学是一部「连续剧」