



主管单位:中国科学院

主办单位:中国科学报社

学术顾问单位:

中国人体健康科技促进会

国内统一刊号:CN11-0289

学术顾问委员会:(按姓氏笔画排序)

中国科学院院士 卞修武

中国工程院院士 丛斌

中国科学院院士 陆林

中国工程院院士 张志愿

中国科学院院士 陈凯先

中国工程院院士 林东昕

中国科学院院士 饶子和

中国工程院院士 钟南山

中国科学院院士 赵继宗

中国科学院院士 葛均波

中国工程院院士 廖万清

中国科学院院士 滕皋军

编辑指导委员会:

主任:

张明伟

夏岑灿

委员:(按姓氏笔画排序)

丁佳 王岳 王大宁 计红梅

王康友 石炳毅 朱兰 朱军

孙宇 闫洁 刘鹏 祁小龙

安友仲 吉训明 邢念增 肖洁

谷庆隆 李建兴 张思玮 张海澄

金昌晓 贺涛 赵越 赵端

胡学庆 胡珉琦 栾杰 钟时音

薛武军 魏刚

编辑部:

主编:魏刚

执行主编:张思玮

排版:郭刚、蒋志海

校对:何工芳

印务:谷双双

发行:谷双双

地址:

北京市海淀区中关村南一条乙3号

邮编:100190

编辑部电话:010-62580821

发行电话:010-62580707

邮箱:ykb@stimes.cn

广告经营许可证:

京海工商广登字 20170236 号

印刷:廊坊市佳艺印务有限公司

定价:2.50 元

本报法律顾问:

郝建平 北京灏礼默律师事务所

# 我国生物医药进入创新跨越新阶段

陈凯先

随着现代科技的发展,新药研究迎来了新机遇和新挑战。基因治疗、细胞免疫、表观遗传、干细胞等基础研究不断突破,疾病发生发展机理、致病基因及新靶点的发现则引领着创新前沿,而转化医学和精准医学的需求则推动了研发模式的转变,学科交融更是促进了高新技术的变革。

## 大数据与人工智能助力新药研发

当今时代,基于大数据与人工智能的药物设计技术是药物开发最热门的新领域之一,使用人工智能驱动模型,人工智能结合大数据的精准药物设计将成为创新药物研发和精准医疗的重要发展方向。

AI算法可能有助于改善制药行业临床研究失败率高这一最大问题,激发制药界对AI的兴趣。同时,原创新药研究也面临大数据的挑战,一方面新药研发、新实验技术快速发展,这些技术包括表观遗传组、顺反组、高通量筛选、DNA 编码库、冷冻电镜技术等;另一方面,新技术应用产生的海量数据有待挖掘利用。人工智能技术的突破使得解读大数据变得可行,比如科学家可以通过深度神经网络识别皮肤癌、通过机器学习挖掘未公开和失败的实验记录设计新的合成路线。

当前,蛋白质折叠在生物体内是一个快速发生的过程,但是在体外的计算模拟方面却是一个复杂而极具挑战的问题,被列为21世纪生物物理学的重要课题之一。谷歌开发的通过深度学习确定蛋白质3D结构的程序将极大地改变生物学研究模式,AI+计算模拟有望重塑行业,基于大数据和人工智能的精准药物设计,为推动创新药研发提供了机遇。中国科学院上海药物研究所与Eli Lilly合作开发的iPhord算法,可以从蛋白质一级序列预测3D结构。

## 呈现多个前沿和研发热点

当前,我国生物医药科技创新呈现多个前沿和研发热点,包括精准医学和个性化药物开发、生物大数据与人工智能、肿瘤免疫疗法、CAR-T 细胞治疗



陈凯先

中国科学院院士

技术、新药发现的新策略和新技术等。

在新药研发申请方面,2020年国家药品监督管理局药品审评中心(CDE)受理国产I类新药注册申请828件,其中临床申请781件,较2019年增长55%,获得批准727件,较上年增长114%;上市申请43件,较2019年增长72%。在数量方面,2008~2018年,我国批准41个国产I类创新药;2019年批准的国产I类创新药包括化学药7个、生物药2个、疫苗3个;2020年批准的国产I类创新药包括化学药13个、生物药1个、疫苗1个;2021年批准的国产I类创新药包括化学药19个、生物药7个、疫苗1个、细胞治疗2个;2021年批准了12个中药新药。

在新药创新品种方面,国内药企成功研发了一系列治疗癌症的新药,具有高效、低毒、适合联合用药的优势。比如,恒瑞医药研发的治疗晚期胃癌的阿帕替尼,是全球首个被证实对晚期胃癌安全有效的小分子抗血管生成靶向药物和唯一的口服制剂,可显著延长晚期胃癌患者生存期;药价仅为国外同类药价的五分之一,大幅减轻了患者负担。此外,随着我国研发的多款PD-1单抗的获批上市,极大地缩短了与国外同类药的差距,推动国内肿瘤治疗步入免疫治疗时代。

在新药推动生物医药产业方面,2018年我国医药工业实现主营业务收入同比增长12.69%,高于全国工业整体增速4.19个百分点。企业成为创新主体,国家重大新药创制专项支持课题,企业承担比例由“十一五”的34.9%增长到目前的64.1%,部分企业研发水

平接近国际先进水平。同时,医药产业结构发生改变,骨干企业势头强劲,2017年4家上市药企市值超过千亿,生物技术药物企业发展迅猛。蓬勃发展的生物医药产业有力带动了区域经济发展,地方龙头药企的发展带动形成了多个产业集群。

## 国内药企重金投入研发

值得注意的是,近年来国内药企重金投入研发,与国际水平差距逐渐缩小。研发层次不断提高,靶点紧跟国际潮流,2016~2020年全球销量最佳的抗癌药物国内企业均已布局。美国和中国作为细胞治疗研发的“领头羊”,分别有344个和203个在研产品,共计占全球细胞治疗份额的73%。随着国产小分子靶向药的陆续上市,打破了进口靶向药对国内市场的垄断,必将重构国内市场格局。我国生物类似物迅速发展,多个国产单克隆抗体生物类似物的上市将极大地改善国内由于原研药物价格过高而导致患者负担过重的情况。

尽管单抗药物开发靶点集中度较高,但仍有不少创新药涌现,新靶点单抗药物多数仍处于早期临床或临床前开发阶段。“2.0版”PD-1/PD-L1单抗类药物我国企业紧跟国际前沿,少量产品临床在研,多数仍处于早期开发阶段。目前国内共计有40多个双抗项目在研,靶点布局相对较广泛;国内抗体药物偶联物开发仍处于起步阶段,有少量新靶点在研或进入临床早期阶段。

当前,我国药物研究和产业发展正进入创新跨越新阶段,但创新药物研发还存在诸多瓶颈和短板,要面向世界科技前沿、面向经济主战场、面向国家重大需求、面向人民生命健康,进一步完善我国药物创新体系的定位和布局;加强基础研究,主动对接科技前沿新突破,开拓新药研究和产业发展新方向;加强多学科、多种技术方法的交汇融合与系统集成;关注国际前沿热点,发挥我国特色优势;加强应对重大突发公共卫生事件的药物研发攻关,实现生物医药产业从大国走向强国的新跨越。(潘锋整理)