

智慧药学助力创新药物准入

● 本报见习记者 陈祎琪

近年来,随着人工智能、大数据等新兴技术的发展,越来越多的智慧药学应用服务走进各大医院。药品追溯、智能配送……在众多场景的应用中,智慧药学能否突破现有格局向更深层次服务进发?随着新一轮国家医保现场谈判的召开,《医学科学报》就相关话题邀请多位专家共聚一堂,共同探讨智慧药学在创新药准入领域的应用发展。

科技赋能为临床研究降本增效

顾名思义,“智慧药学”与传统药学的区别在于“智慧”二字。中国药科大学国家药物政策与医药产业经济研究中心项目研究员席晓宇认为,“智慧”主要指对互联网及物联网技术的深层次应用,并由此形成具有更高应用价值的药学证据。

根据现有资料,人工智能及大数据等技术已在药品研究与评价等方面展现出巨大的应用前景。

“一方面,这些新技术可以高效完成临床研究中的基础环节,在解放人力的同时实现‘提质增效’。另一方面,部分技术或许可以改变临床研究与药品评价的工作逻辑,甚至有望为行业带来颠覆性的创新。”北京大学医药管理国际研究中心研究部主任韩晟举例称,在临床研究中结合自然语言处理技术(NLP),可在临床大数据中筛选潜在的可入组患者,提高临床试验患者入组效率;在临床数据收集过程中,完成数据质控、智能逻辑校验等内容,以协助提高临床研究的质量和效率。

韩晟指出,利用人工智能算法,研究者可以从医疗数据中挖掘更具潜在意义的选题,特别是上市后不同疗法组合的收益及安全性风险信号,从而改变临床研究的选题逻辑,从结果导向出发,高效、充分利用研究资源。与此同时,临床试验亦可在研究设计方面与真实世界数据相结合,综合得到兼顾内部效度与外部效度的试验结果;在结果应用方面,则可利用相关算法在大数据中找到更多亚组,特别是特殊人群的效果外推,提高临床研究



韩晟

吴斌

席晓宇

结果在人群应用中的精准性和公平性。

从英国 AI 制药公司 Benevolent AI 利用人工智能检索前沿论文加速药物研发进程,到国际商业机器公司 IBM 通过模型预测肌萎缩性侧索硬化症(ALS)与 RNA 结合蛋白的关系,人工智能目前已经在多个环节不同程度地介入药物研发。

上海交通大学医学院附属仁济医院副教授吴斌表示,新兴技术的应用显然已经改变了药物研发的既有方法,一定程度上加快了新药的研发速度,对研发成本的降低有明显效果。

“最终一定会惠及患者。”吴斌如是说。

智慧监管为药品安全保驾护航

药品上市后的安全性研究亦值得关注。

据韩晟分析,一个完整的药品安全性研究体系,应包括对不良事件信号的识别、对信号意义的评价、对不良事件成因的解释、对同类不良事件预防策略的构建等内容。而业内目前的不良反应研究工作,主要集中在诸如基于不良反应大数据的信号挖掘、不良反应机制的试验等方面,对于真正使患者受益的预防不良反应行动方面的研究甚为有限,难以形成药品安全性研究的闭环体系。

韩晟期待,未来“智慧药学”能够补齐业内短板,充分利用现有的循证证据,主动监测收集新的可疑信号,对

安全性事件信号做出及时响应,利用信息系统进行可靠的风险管理和动态风险管理效果评估,真正从“为人民健康服务”的角度出发,帮助患者在药学服务的新模式中获益。

实际上,基于大数据和人工智能技术形成的临床证据,药学服务人员能够在临床治疗管理中,利用特定患者的临床诊断结果、个人特征、生活习惯等数据,为其提供个性化的用药风险管理建议。席晓宇认为,管理部门同样也可在药品监管中,基于智慧监管工具从众多医疗机构中获取可靠的临床资料,并对其数据进行挖掘,从而识别传统监管模式下难以识别的药品风险。

“在‘智慧药学’的背景之下,从业人员面临的主要挑战在于职业定位的转变,以及职能变化所需要的专业知识技能的提升。”席晓宇指出,在职业定位方面,智慧监管的相关技术或将让药学人员以更高的效率完成药品管理调剂、药学数据管理等实操层面的工作,促使其角色向临床和科研转变。这种潜在的转变可能会给药学人员带来一定的挑战。

科学测量为谈判提供决策证据

1月5日,涉及343个品种的22年国家医保现场谈判在京举行,包含145个目录内原有品种及198个目录外新进品种。其中首款国产双抗、治疗年费上百万元的CAR-T、罕见病

Castleman病“救命药”等多款肿瘤高值新药、罕见病新药首次“开谈”。谈判门槛线成为业内关注热点之一。

吴斌表示,谈判门槛线的设定需要综合多方面的情况考虑,例如目录内外药物的疗效、安全性和经济性,医保基金池大小,治疗领域内药物的基金支出趋势,医药研发和上市格局等,同时也包括我国居民疾病治疗需求、新冠疫情等突发公共卫生事件、卫生和医保政策的变化、我国医药产业发展现状等诸多宏观层面的参考因素。

业内专家认为,此次医保目录准入谈判中,创新药价格的整体调整幅度与历届相比,应该会趋于温和,旨在“保基本”的基础上对“促创新”给予更大力度的支持。

针对智慧药学应用,席晓宇指出,人工智能、大数据等新兴技术必将在日趋成熟之中助力监管,但仅靠技术应用完成门槛线、谈判价格测算等仍“不太现实”。

“新兴技术形成的证据对门槛线制定具有重要参考意义。但算法很难突破人类制定的逻辑框架。”席晓宇表示,“例如人工智能可能很难识别新冠疫情给医保基金带来的压力,以及新技术的出现、新药物的研发等时间节点,也就无法对相关参数进行准确判断。此外,许多参考信息是无法进行量化衡量的,需要进行庞大且复杂的模糊决策,现有的人工智能等技术显然无法进行这样的模糊决策。”

吴斌指出,理论而言,为制定谈判门槛线而投入的技术研发成本和计算机算力成本越高,决策结果越接近真实。但如此决策是否经济,以至成本达到怎样的规模、以怎样的策略投入成本才能定出符合决策需求的门槛线,目前尚无定论。

“相比传统手段,新兴技术或能为推算谈判门槛线提供高质量的决策证据,继而为更科学、合理地决策创造条件。因此,新兴技术在谈判准入门槛推算中的应用并不是一个‘是’或‘否’的问题,而是一个不断探索与拓展的过程。”席晓宇说。