



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
国内统一连续出版物号: 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 朱 兰
中国工程院院士 吉训明
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
中国工程院院士 徐兵河
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 蔡秀军
中国科学院院士 滕皋军

编辑指导委员会:
主任:
赵 彦
夏岑灿

委员: (按姓氏笔画排序)
王 岳 王大宁 计红梅 王康友
朱 军 孙 宇 闫 洁 刘 鹏
祁小龙 安友仲 邢念增 肖 洁
谷庆隆 李建兴 张明伟 张思玮
沈根兴 张海澄 金昌晓 赵 越
赵 端 胡学庆 栾 杰 薛武军
魏 刚

总编辑: 张明伟
主编: 魏 刚
执行主编: 张思玮
排版: 郭刚、蒋志海
校对: 何工劳
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
地址:
河北省廊坊市安次区仇庄乡南辛庄村
定价: 2.50 元
本报法律顾问:
郝建平 北京灏礼默律师事务所

院士之声

药物研发正从“动物模型”转向“人体数据”

● 王拥军



王拥军

药物研发领域存在一个“不可能三角”,即成本、周期和成功率三者之间的矛盾。

首先,新药研发成本越来越高。目前,全球一款新药从研发到上市平均投入约 26 亿美元,这样的成本压力是大多数药企难以承受的。

其次,研发周期漫长。一款药物从发现到最终上市,通常需要 10 年至 15 年时间。

最后,新药研发成功率极低。全球新靶点药物的研发成功率不到 10%, 神经系统疾病领域更低。其中,脑血管病药物研发成功率约为 4%,阿尔茨海默病药物研发成功率甚至不到 1%。

继续沿用传统研发路线,越来越难以持续。

因此,全球正在探索新的药物研发范式——逐步减少依赖动物模型发现新药靶点,转而从人体中发现新的药物靶点,利用人体数据推动研发,并探索跳过部分动物实验、直接进入人体研究的新路径。

这一转变催生了两个重要概念。

第一个是“human centered”,即以人 为中心,让人体数据真正服务于人体疾病研究和药物研发。第二个是“NAM”,即 new approach methodology (新研发方法学),代表着药物研发方法体系的创新。

今年 7 月 7 日,国家药监局启动新范式改革,推出“先锋计划”。未来,药物研发中的动物药效和药代动力学试验也将逐步探索以人体数据等新方法替代,推动药物研发模式变革。

人工智能制药的关键瓶颈是高质量数据不足

人工智能是否能够替代动物实验?我认为答案是肯定的,并且目前主要有两个发展方向。

第一个方向是利用类器官和器官芯片。类器官可以直接来源于患者细胞,通过诱导多能干细胞(iPS 细胞)转化形成。例如,在研发针对血脑屏障的药物时,可以直接构建血脑屏障类器官,这本身就是人体生理结构的模拟。

第二个方向是虚拟临床试验。通过患者数据构建数字孪生,生成虚拟患者,在计算机环境中完成部分临床试验过程。

不过,当前人工智能制药行业存在

“叫好不叫座”的现象。

近年来,国内人工智能制药企业发展迅速,但经过一段时间观察,实际效果往往低于预期,行业关注度与真正落地成果之间仍存在差距。

其中一个核心原因,就是人工智能领域经典理论所指出的“GIGO”——Garbage in, Garbage out(垃圾进,垃圾出)。

目前,人工智能寻找药物靶点所使用的数据,大多来自公开数据。但真正高质量的数据是否会公开?公开数据中往往存在大量低质量数据,甚至可能存在污染数据,因此基于这些数据计算出的靶点可靠性有限。

我国当前最大的问题,是缺少支撑人工智能药物研发的高质量数据体系。国家尚未建立完善的研发数据基础,这已经成为制约行业发展的重要因素。

如果未来能够建立合格的研发数据体系,人工智能必将在药物研发领域发挥巨大作用。

人工智能将重塑医疗服务模式 家庭医疗或成为未来趋势

人工智能不仅会改变药物研发,也正在改变医疗服务模式。

近年来,我们推动近 80 家医院采用融合天坛专家经验的人工智能诊疗方案。相关研究结果显示,患者卒中复发率和致残率均实现明显下降。这是全球脑血管病领域首个基于人工智能开展的临床试验。

如果家庭中拥有可靠的人工智能医疗支持系统,人们可能不会轻易前往医院,而是在家完成疾病管理。以今年甲流流行为例,京东等平台已经探索家庭检测模式:患者在家完成采样后邮寄检测,确诊后药物配送到家。

未来,这种模式可能推广到更多慢

性疾病管理领域。实现家庭医疗,需要具备三个基础条件:

一是有能够在家庭环境中完成检测的各类医学指标;

二是有能够实现诊断和用药准确性的垂直领域大模型;

三是有能够承担护理、陪护和健康教育工作的智能机器人。

未来,看病的主要场景可能不再局限于医院,而更多发生在家庭。这不仅是医疗服务模式的改变,也将推动整个医学研究范式发生变化。

培养医师科学家是医学创新的重要基础

医学创新离不开医师科学家的参与。

根据发达国家经验,医师科学家约占全部医师群体的 5%。我们不可能让所有医生都转变为医师科学家,否则会影响医院正常运行,但必须筛选和培养适合的人才。

当前国内的医师科学家培养体系存在严重不足。医师科学家需要系统化培养,不能沿用传统临床研究中“师傅带徒弟”的模式。临床研究本身是一门严谨科学,这一点仍需要进一步形成共识。

目前,我国大多数医学院校尚未设立专门的临床研究系。首都医科大学虽然开设了临床流行病学和临床试验相关课程,但招生规模和培养人数有限,难以承担培养临床研究人才的重任。

人工智能再强大,也需要临床科学家推动落地。

人工智能能够帮助完成重大决策确定后的细化工作,但医学创新中的方向性判断仍需要依靠具有临床经验和科学思维的人来完成。

今年,北京市卫生健康委启动医师科学家培训学院项目,招录 50 名学员。其中,临床研究部分主要在首都医科大学附属北京天坛医院开展,基础研究部分由北京大学医学部、北京生命科学研究等单位承担。这一项目刚刚起步,最终成效还有待时间检验。

(作者系中国科学院院士、首都医科大学附属北京天坛医院院长。本文根据其在首届医药协同创新大会的报告整理)