

# 人工智能在医药研发中的应用现状及其监管趋势

刘春光<sup>1</sup> 张昊<sup>2,3\*</sup>

(1 中国人民武装警察部队北京市总队医院药剂科,北京市 100039;

2 北京中医药大学东方学院,河北省廊坊市 301739;

3 中国药品监督管理研究会,北京市 100050)



张昊,药事管理学博士,社会学博士后,北京中医药大学东方学院副教授,中国药品监督管理研究会研究员。多年来一直从事药品监管科学与药事法规研究,在药品监管体制改革、监管科学等领域取得重要学术成果。主持及参与国家药品监督管理局《国家局监管科学基地考核评估办法》《“十四五”药品监管科学发展规划》《健全创新药发展机制》等多项研究课题;主持完成中国药品监督管理研究会《中国药品安全治理效能评估》《多方参与药品监管政策制定的成因和路径研究——以罕见病药品监管为例》等课题。在 *Therapeutic Innovation & Regulatory Science* 发表监管科学方向论文,在《中国新药杂志》《中国药事》《中国药师》《中国药物警戒》《中国药学杂志》等期刊发表科研文章 30 余篇,在《经济日报》《中国医药报》《医药经济报》《21 世纪经济报道》发表药品监管政策、行业发展趋势等评论文章 40 余篇。

**【摘要】** 人工智能作为引领新一轮科技革命和产业变革的颠覆性技术,已成为国际竞争的新焦点和经济发展的强大引擎。在医药健康领域,人工智能已应用于靶点发现、药物设计及临床试验等领域,显著提升了科研效率。然而,医药产品属于特殊商品,其质量直接关系到患者的生命健康,目前人工智能在药物研发领域的应用仍存在一定局限和伦理法律问题。本研究旨在探讨人工智能在医药研发中的应用现状及其监管政策,分析人工智能在靶点识别、化合物筛选、临床试验优化等领域的应用潜力与局限性,并通过比较国内外人工智能应用监管策略,为人工智能在医药领域的发展与监管提供相关建议,以促进人工智能在医药研发领域安全、高效的应用。

**【关键词】** 人工智能;医药研发;风险监管

**【中图分类号】** R 95 **【文献标识码】** A **【文章编号】** 0253-4304(2025)11-1533-08

**DOI:** 10.11675/j.issn.0253-4304.2025.11.01

## Application status of artificial intelligence in pharmaceutical research and development and its regulatory trends

LIU Chunguang<sup>1</sup>, ZHANG Hao<sup>2,3</sup>

(1 Department of Pharmacy, Beijing General Hospital of the People's Armed Police Force of the People's Republic of China, Beijing 100039, China;

2 Dongfang College, Beijing University of Chinese Medicine, Langfang 301739, Hebei, China; 3 China Society for Drug Regulation, Beijing 100050, China)

**【Abstract】** As a disruptive technology leading the new round of scientific and technological revolution and industrial transformation, artificial intelligence has become a new focus of international competition and a powerful engine for economic development. In the field of healthcare and medicine, artificial intelligence has been applied to areas such as target discovery, drug design, and clinical trials, significantly enhancing research efficiency. However, pharmaceutical products are special commodities whose quality directly affects the life and health of patients. The application of artificial intelligence in drug research and development has certain limitations and raises ethical and legal issues. This study aims to explore the current application status of artificial intelligence in pharmaceutical research and development

第一作者简介:刘春光,硕士,副主任药师,研究方向为医院药学和药品使用管理。

\*张昊为通信作者。

and its regulatory policies, analyze its potential and limitations in areas such as target identification, compound screening, and clinical trial optimization, and provide relevant recommendations for the development and regulation of artificial intelligence in the pharmaceutical field by comparing domestic and international regulatory strategies of artificial intelligence application, promoting the safe and efficient application of artificial intelligence in pharmaceutical research and development.

**【Key words】** Artificial intelligence, Pharmaceutical research and development, Risk regulation

人工智能在医药研发领域已展现出巨大潜力,可为不同研究方向带来新的方法或新的视角,包括新靶点的识别、疾病与靶点关联的研究、候选药物的选择、蛋白质结构的预测、分子化合物的设计、疾病机制的探索、生物标志物的预测等方面。此外,通过对人工智能穿戴设备获取的临床试验数据和生物特征数据进行分析,可为精准医学提供重要的数据支持。人工智能虽然给医药研发带来了巨大效益,但其技术特殊性也构成一定的风险。因此,建立科学合理且适度灵活的监管体系对于平衡人工智能的创新促进和风险控制至关重要。全球主要监管机构已经采取了各具特色的人工智能监管路径:中国通过场景清单引导应用发展,美国凭借技术驱动提升监管效率,欧洲联盟(以下简称欧盟)则立法先行构建全面框架。监管的重要性主要体现在确保产品风险控制且符合伦理和法律要求、保障患者安全、推动技术转化和医药产业升级等方面。本文旨在探讨人工智能在医药研发(特指药品和医疗器械研发)中应用现状,同时对比国内外药品监管部门的监管策略,分析针对人工智能应用于医药研发领域的监管所面临的挑战,提出加强针对人工智能应用于药物研发的监管建议。

## 1 人工智能在医药研发中的应用现状

### 1.1 国外应用现状

1.1.1 人工智能在药物发现阶段中的应用:人工智能正在改变医药研发的传统模式。在药物作用靶点识别阶段,人工智能技术通过分析海量基因组和蛋白质组数据,能快速锁定潜在的治疗靶点,如AlphaFold模型能够精准预测蛋白质结构,极大缩短了靶点验证周期<sup>[1]</sup>。在化合物筛选环节,机器学习算法可高效评估数百万分子的活性、毒性和药代动力学特性,生成对抗网络等工具甚至能设计全新分子结构<sup>[2]</sup>。

1.1.2 人工智能在药物研发临床前研究中的应用:人工智能技术为制剂开发和药物递送系统带来了突破性进展。在药物制剂开发方面,人工神经网络可

精准预测药物的溶解度、稳定性和释放曲线,显著减少实验试错成本,如PharmSD平台可优化固体分散体的溶出行为<sup>[3]</sup>;在药物递送系统方面,基于人工智能的3D打印技术通过调整片剂结构和载药量来控制药物释放速率,从而实现个性化药物定制<sup>[4]</sup>。同时,机器学习模型还能预测纳米颗粒的肿瘤靶向效率,为药物精准递送提供理论支持<sup>[5]</sup>。这些创新性成果正在推动智能药学的快速发展。

1.1.3 人工智能在药物临床试验与安全监测中的应用:人工智能正在重塑临床试验的全流程管理。在患者招募阶段,自然语言处理技术可快速筛选患者电子健康记录,精准匹配试验入组标准,显著提升筛选效率<sup>[6]</sup>。在临床试验设计阶段,人工智能模型可通过分析患者历史数据优化给药方案,如基于第二代人工智能的治疗策略可有效提升心力衰竭患者对利尿剂的响应率<sup>[7]</sup>。在药物安全警戒方面,人工智能通过处理重复性任务,减少人为主观偏见,使研究人员能够专注于更高层次的分析和决策,从而使人工智能系统更快、更准、更高效地发现药物的潜在风险,更好地保障用药安全<sup>[8]</sup>。这些应用有助于进一步提高药物临床试验的成功率和安全性。

1.2 国内应用现状 人工智能在国内医药研发中的应用已呈现出全方位、多领域融合的发展态势。在药物发现环节,人工智能平台已成功应用于活性化合物筛选,如针对乳腺癌的靶向药物设计;在制剂技术创新方面,人工智能与3D打印技术的融合实现了从药物预打印到成品的全流程智能化控制;在药物安全监测领域,大语言模型和机器学习技术的应用显著提升了不良反应报告的评估效率。值得注意的是,在中药现代化研究中,人工智能技术展现出独特优势:通过随机森林、支持向量机等算法可精准预测中药成分的毒性和生物利用度;深度学习模型则能系统解析中药多靶点整合作用机制,为中药现代化研究提供了新的技术路径。这些应用实践表明,我国人工智能医药研发已形成从基础研究到产业化的完整创新链条,正在推动医药产业向智能化、精准化方向快速发展。具体应用案例见表1。

表1 人工智能在国内医药研发领域中的应用案例

目标	应用情况
化合物筛选	采用生成式人工智能平台 Chemistry42 进行从头分子设计,通过大规模虚拟筛选和基于结构的优化,从海量的虚拟化合物中精准筛选出靶向人类新型冠状病毒 M <sup>pro</sup> 的新型小分子非肽类抑制剂 <sup>[9]</sup> 。
提高药品不良反应的评估效率	不良反应报告智能辅助评价和定期安全性更新报告辅助评价 <sup>[10]</sup> 。
CT 图像辅助诊断	推想医疗科技股份有限公司基于深度学习算法开发的“头颈 CT 血管造影术辅助诊断软件”和“颅内动脉瘤 CT 血管造影图像辅助分诊软件”两款产品已通过国家药品监督管理局三类医疗器械审批,前者能自动实现“血管重建+病灶分析+胶片排版+结构化报告生成”,后者可完成头颈动脉血管分割识别及动脉瘤检测,进一步提升颅内动脉瘤的诊断效率及准确率 <sup>[11]</sup> 。
分析中药活性成分的药理活性	利用随机森林、支持向量机等算法对艾叶化合物成分进行毒性和口服利用度预测 <sup>[12]</sup> 。
分析中药潜在作用机制	人工智能模型可用于解释中药多靶点的整合效应,并可进一步精准分析得到关键效应细胞与效应基因 <sup>[13]</sup> 。

## 2 国外关于人工智能应用于医药研发领域的监管策略

2.1 欧盟 2024年3月欧洲会议正式通过了欧盟《人工智能法案》<sup>[14]</sup>,这是全球首个全面规范人工智能的法律框架。该法案基于风险分级监管原则,将人工智能系统分为不可接受风险类、高风险类、有限风险类和低风险类4类。为促进科技创新,该法案设立了监管沙盒机制,允许企业在受控环境中测试人工智能技术。同时,该法案提出的违规处罚最高可达企业全球营业额的7%,体现了欧盟对人工智能监管的强硬态度。对医药行业而言,该法案的影响主要体现在3个方面:第一,用于关键医疗决策的人工智能系统(临床试验患者筛选等)被视为高风险类,需要确保数据质量、算法可解释性并建立持续监控机制。第二,使用患者数据训练人工智能模型时需要严格遵守数据隐私和版权规定,人工智能生成的申报材料需明确标注。第三,高风险人工智能系统的提供者应该严格履行记录保存、透明性与信息提供和人工监督等义务。从整体来看,该法案通过建立清晰的监管框架,既防范了人工智能的相关风险,又为医药研发创新保留了空间,在安全可控的前提下,推动欧洲药品人工智能技术的应用和发展。此外,欧

洲药品管理局(European Medicines Agency, EMA)发布了一系列人工智能监管政策。例如,2023年11月,EMA发布了《2023—2028年人工智能工作计划》,该工作计划强调支持开发产品、明确人工智能工具和技术、促进协作与培训等<sup>[15]</sup>;2024年9月,EMA发布了《关于在药品生命周期中使用人工智能的思考文件》,探讨了在药品生命周期不同阶段使用人工智能的原则和风险因素<sup>[16]</sup>。

2.2 美国 在法规层面,美国政府发布《关于安全、可靠、值得信赖地开发和和使用人工智能的行政命令》,该命令旨在通过采取全面行动来加强人工智能的安全管理,促进公平和保障公民权利<sup>[17]</sup>。在药品监管领域,美国食品药品监督管理局(U.S. Food and Drug Administration, FDA)通过指南文件《人工智能/机器学习在药品和生物制品研发中的使用》明确监管要求。该指南的核心是一个七步风险评估框架,包括定义问题、应用环境、风险评估、可信度计划执行等步骤,用于评估人工智能模型的可靠性和适用性。该指南还特别强调人工智能模型在产品生命周期中的维护,并建议研发生产企业与FDA进行早期沟通,以确保研发产品的合规性。FDA还发布系列指南文件,指导人工智能在医药研发中和相关产品上市后的应用,具体见表2。

表2 FDA 出台的人工智能相关监管政策

发布时间	文件名称	具体领域	目标
2021年1月	《基于人工智能/机器学习的软件作为医疗器械之行动计划》 <sup>[18]</sup>	人工智能医用软件	明确人工智能医用软件的监管重点和具体行动。
2023年4月	《针对人工智能/机器学习赋能设备软件功能的预定变更控制计划上市提交建议(草案)》 <sup>[19]</sup>	人工智能赋能设备软件更新的评价	在制造商不重新提交审查的原则下,为人工智能/机器学习赋能设备软件更新提供性能评估方法和管理框架。
2023年5月	《人工智能/机器学习在药品和生物制品研发中的使用》 <sup>[20]</sup>	药品和生物制品研发	提升对人工智能制药的认知及明确其监管思路。
2025年1月	《人工智能赋能设备软件功能:生命周期管理和上市提交建议》 <sup>[21]</sup>	人工智能赋能设备软件的全生命周期管理	提供详尽的风险综合管理策略,以确保人工智能赋能设备软件在整个生命周期内的安全性与有效性。
2025年5月	《人工智能辅助科学审查试点和全机构人工智能推广时间表》 <sup>[22]</sup>	人工智能辅助药品审评	缩短科学审评过程中任务的执行时间。

2.3 英国 英国政府于2023年3月发布《人工智能监管白皮书》，该白皮书详细说明了如何利用人工智能支持创新，同时提供一个框架来识别和解决风险<sup>[23]</sup>。该白皮书还指出，以基础模型为代表的特定人工智能技术，其应用方式多种多样，这意味着风险会有很大的差异。例如，使用聊天机器人制作一篇文章的摘要，与使用相同的技术提供医疗建议相比，存在不同的风险。因此，需要与创新者合作监控这些风险，同时避免给部署者带来不必要的监管负担。在医药领域，英国药品和保健品监管局(Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA)一直积极致力于人工智能的监管工作。2022年9月，MHRA发布《软件和人工智能作为医疗器械的变革计划》<sup>[24]</sup>，明确人工智能将作为医疗器械软件受到监管。该计划将通过制定指南而非立法来确定软件和人工智能的定义，针对医疗器械的监管也将朝着国际协调发展的方向推进。同时，MHRA也将对医疗器械软件和医疗器械人工智能的分类发布进一步的指导意见。

### 3 国内有关人工智能应用于医药研发领域的监管政策

我国已经建立较为完善的人工智能应用相关法

表3 人工智能应用于医疗器械的监管政策和行业标准

发布时间	文件名称	具体领域	目标
2025年7月	《国家药监局关于发布优化全生命周期监管支持高端医疗器械创新发展有关举措的公告》 <sup>[28]</sup>	人工智能医疗器械的全生命周期监管	持续健全标准体系，进一步明确注册审查要求，制定质量管理体系检查要点。
2022年7月	YY/T 1833.1—2022《人工智能医疗器械质量要求和评价第1部分：术语》等18项医疗器械行业标准 <sup>[29]</sup>	人工智能医疗器械相关标准	界定了人工智能医疗器械质量要求和评价使用的术语和定义，并规定了人工智能医疗器械全生命周期使用的数据集的通用质量要求和评价方法。
2022年3月	《人工智能医疗器械注册审查指导原则(2022年第8号)》 <sup>[30]</sup>	人工智能医疗器械注册和技术审评	指导注册申请人建立人工智能医疗器械生存周期过程和准备人工智能医疗器械注册申报材料，同时规范人工智能医疗器械的技术审评要求。
2021年7月	《国家药监局关于发布人工智能医用软件产品分类界定指导原则的通告(2021年第47号)》 <sup>[31]</sup>	人工智能医用软件分类	加强人工智能医用软件类产品监督管理，推动产业高质量发展。

规政策。2017年7月，国务院印发《新一代人工智能发展规划》，强调“构筑我国人工智能发展的先发优势”，明确人工智能作为国家战略科技力量的定位<sup>[25]</sup>。2021年9月，《中华人民共和国数据安全法》正式实施，其建立了数据分类分级保护制度。2023年5月，国家互联网信息办公室、国家发展和改革委员会等多部门联合出台《生成式人工智能服务管理暂行办法》，明确生成式人工智能服务提供者的主体责任，采取有效措施鼓励生成式人工智能创新发展，并对生成式人工智能服务实行包容审慎和分类分级监管<sup>[26]</sup>。

目前，我国对人工智能在医药研发领域中的应用监管还处于探索阶段。2025年4月，工业和信息化部、商务部等七部门联合印发《医药工业数智化转型实施方案(2025—2030年)》，提出开展“人工智能赋能医药全产业链”应用试点，支持医药大模型创新平台建设，强化标准规范、科技伦理、应用安全和风险管理<sup>[27]</sup>。此外，国家药品监督管理局也发布了一系列的政策、行业标准等，涉及人工智能医疗器械的全生命周期监管、质量要求和评价方法、注册技术，以及人工智能医用软件分类标准等多个方面，见表3。

#### 4 国内外有关人工智能应用于医药研发领域的监管策略比较

对比欧盟、美国、英国和我国有关人工智能应用于医药研发领域的监管政策法规、监管重点、数据要求和处罚机制等后发现,在监管领域方面,我国和英国侧重于人工智能医疗器械的监管,欧盟和美国则侧重于药品全生命周期中人工智能的使用情况,见表4。从监管重点角度来看,欧盟出台的《人工智能法案》明确风险分级监管,并平衡人工智能创新与基本权

利保护;美国的监管方式是基于风险的可信度评估框架,注重模型开发、数据质量和持续监控;英国则明确了基于人工智能医疗器械的风险等级。总体而言,我国的监管框架仍处于“快速追赶”阶段,强调稳健和安全,但在便捷性、精细度和国际协调等方面尚有提升空间。例如在医疗器械监管方面,虽然有了顶层框架和关键审评要点,但在算法迭代、数据质量管理、偏见控制、透明度(可解释性)等具体操作层面的指南尚不完善。

表4 欧盟、美国、英国和我国有关人工智能应用于医药研发领域的监管策略对比

维度	欧盟	美国	英国	中国
国家/组织层面政策法规	《人工智能法案》	《关于安全、可靠、值得信赖地开发和和使用人工智能的行政命令》	《人工智能监管白皮书》	《中华人民共和国数据安全法》 《生成式人工智能管理办法》
药品监管部门的政策、指南或标准	《2023—2028年人工智能工作规划》 《关于在药品生命周期中使用人工智能思考文件》	《人工智能/机器学习在药品和生物制品研发中的使用》等指南或标准	软件和人工智能作为医疗器械的变革计划	《国家药监局关于发布优化全生命周期监管支持高端医疗器械创新发展有关举措的公告》 《人工智能医疗器械注册审查指导原则(2022年第8号)》
监管分类	按照产品风险分级	七步风险评估框架(基于风险的可信度评估)	人工智能医疗器械风险等级管理	风险管理
数据要求	须符合《通用数据保护条例》;对于高风险人工智能,需要可解释性证明	须符合 ASME V&V 40 验证标准	要求人工智能算法透明性	须符合《中华人民共和国数据安全法》
伦理与透明度	禁止歧视性算法;需标注人工智能生成内容	强调人类主导决策	强调人工智能公平性,要求算法可审计	需要对生成式人工智能进行标识
处罚机制	罚款最高可达企业全球营业额的7%	违规可能导致上市申请驳回	未明确	依据《中华人民共和国数据安全法》处罚

注:ASME为美国机械工程师协会。

#### 5 挑战与展望

5.1 平衡产品技术创新与监管合规 由于人工智能模型复杂、数据隐私和企业算法公开意愿等影响因素,基于人工智能的医药研发在安全性、公平性和可追溯性等方面仍面临一定挑战。FDA在题为“利用人工智能和机器学习在药物和生物制品开发中的应

用”的讨论文件中提出,透明度和问责制对于开发值得信赖的人工智能至关重要<sup>[32]</sup>。其中,透明度是指让监管机构、医生和患者等利益相关者清楚地了解人工智能制药的准确度及如何作出决策;治理和问责是需要考虑将监管扩展到药物开发过程中人工智能的规划、开发、使用、修改和终止范围。FDA的核心立场是鼓励采用先进技术以提升制药质量与效率,但必须确保其符合保证患者安全与产品质量的

监管基本原则。国内基于人工智能的医药研发需要平衡技术创新和监管合规两方面,建议思考如何调整 and 解释现有法规以适应技术创新:一方面,需要明确何时及如何对自适应人工智能模型的更改进行监管报备,如需要明确哪些更改属于内部质量管理体系,哪些更改需要提交至监管机构。这为科研创新提供了灵活的空间,同时也划定了合规的边界。另一方面,应该鼓励企业在研发早期即与监管机构接触,共同讨论技术方案和监管路径,这是平衡创新与合规的前瞻性机制。

**5.2 建立人工智能使用的总体标准和规范** 近年来,欧美国家/地区加大了促进人工智能创新和应用的力度,包括推动值得信赖和符合道德的人工智能的开放程度,以及加速开发跨领域和特定领域的标准等。例如,FDA 计划出台非特定于医药开发背景的人工智能/机器学习使用的总体标准和实践的潜在效用和适用性,加强人工智能医疗器械标准统筹协调和体系管理<sup>[17]</sup>。此外,国际电工委员会也在研究制定相关的人工智能标准和产品<sup>[33]</sup>。在医疗器械领域,我国目前主要聚焦于基础通用标准和监管急需标准,在标准术语、通用要求和热点产品标准等方面重点布局。从研发趋势角度来看,人工智能医疗器械正在从单一模态、单器官、单病模态逐渐过渡到多模态、多器官、多病种产品,因此需要监管部门考虑产品发展趋势,制定更通用、更复杂的产品标准。从质量监管角度来看,我国人工智能医疗器械生产管理缺乏相关规范,存在产品生产和检验规则和要求不一致等问题。因此,需要制定质量管理规范和检查指南。从不良事件监测角度来看,人工智能医疗器械处于早期应用阶段,不良事件报告相对较少,但应该制定监测和分析评价指南,指导企业做好不良事件的报告收集和评价工作。

**5.3 推动可解释算法的开发与应用** 算法黑箱指的是在人工智能系统中输入数据与输出结果之间的决策过程难以被直观理解或解释。算法黑箱的特性存在一定的利弊:一方面,算法黑箱的特性使得深度学习等复杂模型在医学影像分析、疾病预测等任务中展现出超越传统方法的准确率;另一方面,该特性使得决策过程缺乏透明度,导致监管审查受阻,且可能隐藏数据偏差或对抗攻击风险。因此,在人工智能

医药产品的研发和应用中,算法黑箱的高性能与不可解释性之间的矛盾成为核心挑战。FDA 和 EMA 已经要求人工智能算法具备可追溯性、可解释性。例如,FDA 要求厂商提供详细的文档,说明算法的开发、验证逻辑及决策依据,以确保其安全有效。我国应加强在医药研发领域人工智能应用算法的风险考量:在技术层面,应该采用解释工具生成局部可解释报告,从而直观显示模型决策依据;在全生命周期质控方面,应建立从数据采集、算法训练、上市前验证、上市后算法泛化的闭环质控体系。最终目标是通过技术透明化、流程标准化和监管协同化,推动人工智能产品从“黑箱”走向“白箱”,在保障安全性的前提下体现其价值。

**5.4 强化数据预处理和优化** 数据作为算法的基石,其质量直接关乎算法的性能与公平性。若训练数据不完整(未充分涵盖特定疾病或人群特征等),可能导致对医药产品效果的错误判断。因此,确保训练数据集的高质量、全面性、无偏性和完整性至关重要。人工智能在适应新数据方面同样面临困境。随着工业和技术革命持续推进,海量新数据需要及时整合以维持模型准确性,若未能及时更新,将导致模型预测失真和决策失误。此外,人工智能对数据变异性的处理能力有限,容易偏向数据中的平均响应模式,这使得其对偏离平均值的个体的预测准确性下降,而更大的挑战在于理解人工智能运作背后的系统原理。值得注意的是,人工智能在使用敏感健康数据时,隐私保护问题尤为突出,必须在保障患者权益的前提下合规使用数据,否则将引发患者、研究机构和药企间的伦理争议。当前,我国医疗数据面临的挑战包括:一是数据质量与代表性不足,存在“量大但质杂”的特点,以及电子病历标准不一、临床研究数据分散等现象。若用于训练人工智能模型的数据未充分涵盖不同地域、年龄、民族、社会经济背景的人群,产生的算法将存在固有偏差。二是数据隐私与合规壁垒。健康数据是最敏感的个人信息。在《中华人民共和国数据安全法》等严格的法律框架下,如何在不侵犯患者隐私的前提下,合法合规地促进数据要素流动与价值挖掘,是困扰药企、研究机构及医疗机构的核心难题。三是数据时效性与更新机制缺失。病毒变异、疾病谱变化、新的诊疗方案

等因素均会促进海量新数据的产生,但目前缺乏持续、高效的数据更新与再训练机制。建议针对医药数据质量、数据治理和伦理风险,研究制定医药人工智能数据质量标准与认证体系,支持和资助建设跨机构的医药数据协作平台。

## 6 小 结

人工智能在医药研发中的应用面临监管、标准、数据与算法四大挑战。欧美国家和地区对其监管政策差异明显,如欧盟基于风险分级管理,美国强调可信度评估框架,英国聚焦人工智能医疗器械分类。我国在利用人工智能研发医药领域时需要平衡创新与安全两方面,建立灵活的监管框架、加快行业标准制定、推动算法可解释性,并加强数据治理与隐私保护。唯有统筹技术、标准与伦理,才能推动人工智能在医药领域健康、持续地发展。

## 参 考 文 献

- [1] Ruff KM, Pappu RV. AlphaFold and implications for intrinsically disordered proteins[J]. *J Mol Biol*, 2021, 433(20): 167208.
- [2] Jiang Y, Drescher B, Yuan G. A GAN-based multi-sensor data augmentation technique for CNC machine tool wear prediction[J]. *IEEE Access*, 2023, 11: 95782-95795.
- [3] Dong J, Gao H, Ouyang D. Pharm SD: a novel AI-based computational platform for solid dispersion formulation design[J]. *Int J Pharm*, 2021, 604: 120705.
- [4] Stanojević G, Medarević D, Adamov I, et al. Tailoring atomoxetine release rate from DLP 3D-printed tablets using artificial neural networks: influence of tablet thickness and drug loading[J]. *Molecules*, 2020, 26(1): 111.
- [5] Lin Z, Chou WC, Cheng YH, et al. Predicting nanoparticle delivery to tumors using machine learning and artificial intelligence approaches[J]. *Int J Nanomedicine*, 2022, 17: 1365-1379.
- [6] Askin S, Burkhalter D, Calado G, et al. Artificial intelligence applied to clinical trials: opportunities and challenges[J]. *Health Technol (Berl)*, 2023, 13(2): 203-213.
- [7] Gelman R, Hurvitz N, Nesserat R, et al. A second-generation artificial intelligence-based therapeutic regimen improves diuretic resistance in heart failure: results of a feasibility open-labeled clinical trial[J]. *Biomed Pharmacother*, 2023, 161: 114334.
- [8] Kolluri S, Lin J, Liu R, et al. Machine learning and artificial intelligence in pharmaceutical research and development: a review[J]. *AAPS J*, 2022, 24(1): 19.
- [9] Sun J, Sun D, Yang Q. A novel, covalent broad-spectrum inhibitor targeting human coronavirus M<sup>pro</sup>[J]. *Nat Commun*, 2025, 16(1): 4546.
- [10] 王涛,张琳,王青,等.人工智能在我国上市后药物警戒中的应用现状分析和启示[J]. *医药导报*, 2025, 44(4): 560-564.
- [11] 中关村科学城党工委、管委会.推想医疗“一月三证”拓宽影像AI的能力边界[EB/OL].(2024-04-08)[2025-09-15]. [https://zyk.bjhd.gov.cn/jbdt/auto4510\\_51816/auto4510\\_54705/auto4510/auto4510/202404/20240408\\_4647715.shtml](https://zyk.bjhd.gov.cn/jbdt/auto4510_51816/auto4510_54705/auto4510/auto4510/202404/20240408_4647715.shtml).
- [12] 张洪榕,许奇,马忠民,等.基于人工智能的艾叶活性成分多维药理活性及分子机制系统研究[J]. *中国药科大学学报*, 2025, 56(3): 358-367.
- [13] 江启煜,曾慧妍.基于人工智能和组学数据驱动的中药潜在机制新型分析预测方法[J]. *中国组织工程研究*, 2025, 29(35): 7552-7561.
- [14] European Union. Artificial Intelligence Act[EB/OL].(2024-07-12)[2025-09-15]. <http://data.europa.eu/eli/reg/2024/1689/oj>.
- [15] EMA-HMA. Multi-annual AI workplan 2023-2028[EB/OL].(2023-05-10)[2025-09-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/work-programme/multi-annual-artificial-intelligence-workplan-2023-2028-hma-ema-joint-big-data-steering-group\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/work-programme/multi-annual-artificial-intelligence-workplan-2023-2028-hma-ema-joint-big-data-steering-group_en.pdf).
- [16] European Medicines Agency. Reflection paper on the use of Artificial Intelligence(AI) in the medicinal product lifecycle[EB/OL].(2024-09-09)[2025-09-15]. <https://www.ema.europa.eu/system/files/documents/scientific-guideline/reflection-paper-use-artificial-intelligence-ai-medicinal-product-lifecycle-en.pdf>.
- [17] Federal Register. Safe, secure, and trustworthy development and use of artificial intelligence[EB/OL].(2023-01-11)[2025-09-15]. <https://www.federalregister.gov/documents/2023/11/01/2023-24283/safe-secure-and-trustworthy-development-and-use-of-artificial-intelligence>.
- [18] FDA. Artificial Intelligence/Machine Learning (AI/ML) - Based Software as a Medical Device (SaMD) Action Plan[EB/OL]. [2025-09-15]. <https://www.fda.gov/media/145022/download?attachment>.
- [19] U.S. Food and Drug Administration. Marketing submission recommendations for a predetermined change control plan for artificial intelligence/machine learning (ai/ml) - enabled device software functions, draft guidance[EB/OL].(2023-04-13)[2025-09-15]. <https://www.fda.gov/media/167069/download>.

- [20] FDA. Using artificial intelligence and machine learning in the development of drug and biological products [EB/OL]. (2023-05-10) [2025-09-15]. <https://www.fda.gov/media/167973/download>.
- [21] FDA. Artificial intelligence-enabled device software functions: lifecycle management and marketing submission recommendations. Draft guidance for Industry And Food And Drug Administration staff [EB/OL]. (2025-01-07) [2025-09-15]. <https://www.fda.gov/media/184856/download>.
- [22] FDA. FDA announces completion of first ai-assisted scientific review pilot and aggressive agency-wide ai rollout timeline [EB/OL]. (2025-05-08) [2025-09-15]. <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-announces-completion-first-ai-assisted-scientific-review-pilot-and-aggressive-agency-wide-ai>.
- [23] UK. A pro-innovation approach to AI regulation [EB/OL]. (2023-03-08) [2025-09-15]. <https://www.gov.uk/government/publications/ai-regulation-a-pro-innovation-approach/white-paper>.
- [24] MHRA. Software and AI as a medical device change programme [EB/OL]. (2021-09-16) [2025-09-15]. <https://www.gov.uk/government/publications/software-and-ai-as-a-medical-device-change-programme>.
- [25] 国务院. 新一代人工智能发展规划 [EB/OL]. (2017-07-08) [2025-09-15]. [https://www.gov.cn/gongbao/content/2017/content\\_5216427.htm](https://www.gov.cn/gongbao/content/2017/content_5216427.htm).
- [26] 国家互联网信息办公室, 中华人民共和国国家发展和改革委员会, 中华人民共和国教育部, 等. 生成式人工智能服务管理暂行办法 [EB/OL]. (2023-07-10) [2025-09-15]. [https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202307/content\\_6891752.htm](https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202307/content_6891752.htm).
- [27] 工业和信息化部, 商务部, 国家卫生健康委, 等. 医药工业数智化转型实施方案 (2025—2030 年) [EB/OL]. (2023-04-03) [2025-09-15]. [https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202504/content\\_7020857.htm](https://www.gov.cn/zhengce/zhengceku/202504/content_7020857.htm).
- [28] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布优化全生命周期监管支持高端医疗器械创新发展有关举措的公告 (2025 年第 63 号) [EB/OL]. (2025-07-03) [2025-09-15]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ylqxggtg/ylqxqtggtg/20250703163951182.html>.
- [29] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布 YY/T 1833.1-2022《人工智能医疗器械 质量要求和评价第 1 部分术语》等 18 项医疗器械行业标准的公告 (2022 年第 52 号) [EB/OL]. (2022-07-01) [2025-09-15]. <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/ggtg/ylqxggtg/ylqxhyzhgg/20220706104425173.html>.
- [30] 国家药品监督管理局医疗器械技术审评中心. 人工智能医疗器械注册审查指导原则 (2022 年第 8 号) [EB/OL]. (2022-03-09) [2025-09-15]. <https://www.cmde.org.cn/flfg/zdyyz/zdyyzwbk/20220309091014461.html>.
- [31] 国家药品监督管理局. 国家药监局关于发布人工智能医用软件产品分类界定指导原则的通告 (2021 年第 47 号) [EB/OL]. (2021-07-01) [2025-09-15]. <https://www.nmpa.gov.cn/ylqx/ylqxggtg/20210708111147171.html>.
- [32] FDA Center For Drug Evaluation And Research. Artificial intelligence in drug manufacturing [EB/OL]. (2023-03-02) [2025-08-29]. <https://www.fda.gov/media/165743/download>.
- [33] International Electrotechnical Commission. International standards needed for a safer AI future [EB/OL]. (2025-01-31) [2025-09-15]. <https://www.iec.ch/blog/international-standards-needed-safer-ai-future>.

(收稿日期: 2025-08-01 修回日期: 2025-10-05)