

AI驱动临床试验赋能医药研发

2026/4/24

张之豪

背景：医药研发效率危机



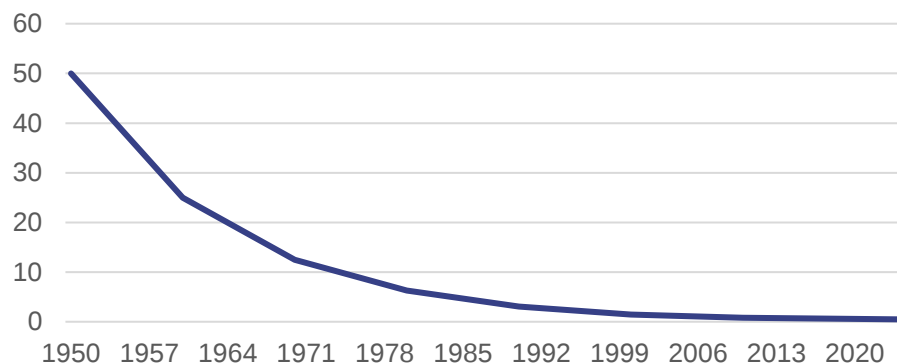
• 医药研发效率危机

- 长期以来，医药研发遵循着所谓的“反摩尔定律”，即尽管科技投入和计算能力呈指数级增长，但每10亿美元研发投入所能带来的新药获批数量却持续下降
- 目前开发一款创新药的**平均成本已攀升至26亿美元**，**平均耗时长达14.6年**
- 在这一漫长且昂贵的进程中，**临床试验阶段占据了约60%以上的研发成本和绝大部分的失败风险**
- 进入临床三期试验后，**平均数据采集量已飙升至360万个数据点**，较二十年前增长了近7倍，这种复杂性的指数级增长使得传统的运营模式难以为继

• AI医药应用转型

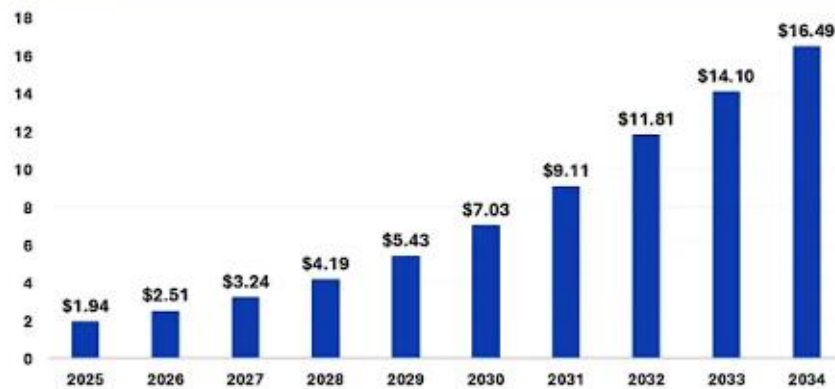
- 人工智能在医药领域的应用，正经历从“药物发现”（AI in Drug Discovery, AIDD）向“临床试验优化”（AI in Clinical Trials, AICT）的战略重心转移
- 早期资本市场高度关注AI在识别新靶点和生成新分子结构方面的潜力，但由于药物研发的长周期属性，AIDD生成的管线仍需多年时间才能在临床末期验证其商业价值
- AI在临床试验环节的落地，由于其能够直接触达招募瓶颈、缩短审批时限并显著降低运营成本，展现出了更为清晰且迫切的商业化前景
- AI在制药领域的全球市场规模预计将从2025年的19.4亿美元增长至2034年的约164.9亿美元，CAGR高达27%
- 在这一细分市场中，临床试验优化方案由于其卓越的投资回报率和监管机构日趋明确的支持态度，被视为未来五年内最有商业化潜力的落地方案
- 我们一个以“合成对照组（SCA）”为核心，辅以“精准受试者分型的综合性落地方案，是短期内AI赋能创新药研发的重要推手

每10亿美元投入产出的新药数



Precedence
RESEARCH

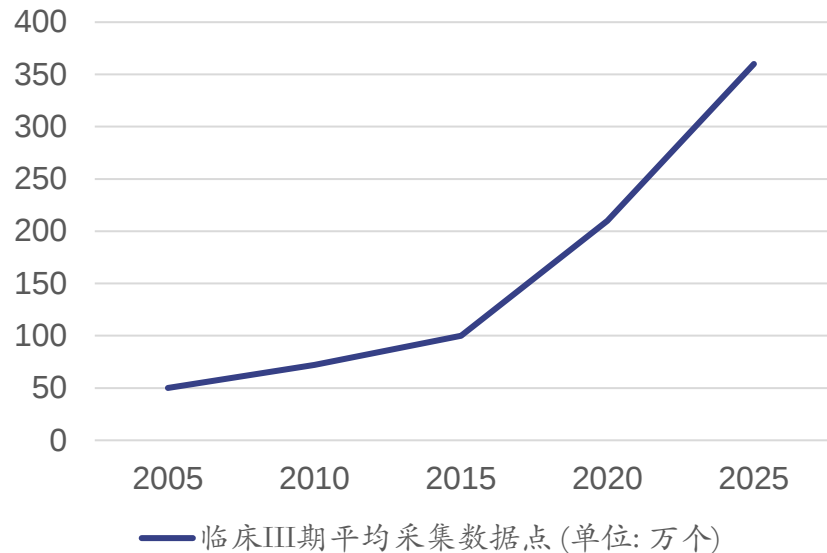
AI in Pharmaceutical Market Size 2025 to 2034 (USD Billion)



Source: <https://www.precedenceresearch.com/ai-in-pharmaceutical-market>

• 什么是SCA（合成对照组）？

- 传统的随机对照试验（RCT）要求将受试者随机分配到实验组和对照组。然而，在罕见病、危重症或已有标准疗法效果极佳的领域，招募对照组患者不仅面临巨大的伦理挑战，且往往因为患者不愿被分配到安慰剂组而导致招募进度极度缓慢
- SCA利用历史临床试验数据、电子病历（EHR）、保险理赔记录等真实世界数据（RWE），通过AI算法模拟出一组具有高度统计学相似性的虚拟对照人群，从而减少甚至取消对现场受试者的招募需求
- 受不断发展的试验伦理及规范，以及创新药可行性边界的不断拓宽，**创新药的临床数据采集需求正呈指数级增长，我们认为AI驱动的SCA可以有效解决这一痛点**



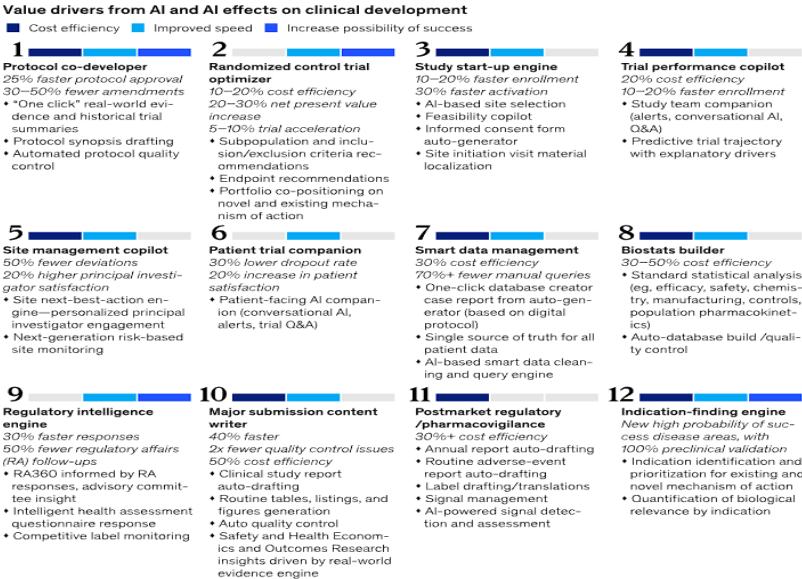
• SCA的技术机制与统计学优势

- 总的来说，SCA的技术核心在于AI算法对“协变量平衡”的精准控制。通过深度学习模型和倾向评分加权等技术，AI能够从数以百万计的真实世界患者档案中提取特征，确保虚拟对照组在年龄、性别、病程、遗传标志物、过往疗效等关键指标上与实验组达到“苹果对苹果”的可比性。
- SCA的使用已有先例：在Medicenna公司的MDNA55项目案例中，AI通过分析11个关键预后因素，为复发性胶质母细胞瘤（rGBM）研究构建了一个极为严谨的外部对照，其结果证明MDNA55治疗组的生存率较SCA组提高了一倍以上。
- 这种方案的商业魅力在于它直接击中了药企的“成本-时间”痛点。据统计，临床试验每天的延迟可能导致高达4万美元的运营损失，而潜在的销售损失则高达每项研究50万美元。SCA的应用不仅缩短了招募周期，更通过减少受试者补偿、检查费和现场管理费，极大地优化了研发支出。

评估维度	传统随机对照试验 (RCT)	AI驱动的合成对照组 (SCA)	商业化收益分析
受试者招募规模	需全额招募对照组 (通常为1:1)	可减少2/3甚至更多的对照组受试者	显著降低受试者相关运营成本
招募所需时间	数月至数年不等，受患者意愿驱动	几天至几周 (基于已有数据库检索)	缩短上市时间，增加有效专利期
伦理与合规风险	存在让重症患者接受安慰剂的风险	较低，更多患者能接受实验性疗法	提升试验的可接受度和招募成功率
数据处理成本	需人工录入与核对易出错	AI自动提取与标准化处理	减少人工 touch time 达 50% 以上

- 除SCA外，精准受试者分型是短期内AI赋能临床试验范式升级的另一要素
 - 如果说SCA解决了“对照组”的难题，那么AI驱动的“精准受试者分型”则解决了实验组的“成功率”难题。
 - 临床试验失败的主要原因之一是受试者群体的异质性——不同患者对同一药物的反应迥异，导致统计学显著性不足
 - AI通过多模态数据分析（基因组、蛋白组、影像学、病史等），能够识别出那些对特定疗法最敏感的“超级反应者”，从而提高试验的胜率
 - 数据研究表明，AI在识别生物标志物和受试者富集策略方面的应用，正显著改变药物研发的生产力曲线
- 此外，AI-LLM（大语言模型）可用于临床试验招募阶段的受试者匹配，从而大幅提高效率
 - 统的受试者筛选依赖临床协调员（CRC）手动查阅病历，不仅耗时且极易遗漏。
 - 现代AI系统能够以93%-96%的准确率自动识别符合方案要求的患者，其处理速度比人工快170倍。
 - 在克利夫兰诊所（Cleveland Clinic）的一项应用中，原本需要数月才能完成的肿瘤、心脏病和神经病学试验入组，在AI的辅助下缩短到了几天之内。这种速度的提升直接转化为企业净现值的增加。麦肯锡的分析指出，在资产组合中应用AI技术平均可将开发时间压缩6个月，为药企带来超过4亿美元的NPV增益。

AI is cutting costs, speeding up processes, and boosting success rates across 12 use cases in clinical development.



- 监管侧：SCA方案的商业化潜力在2025年得到了全球主要监管机构的正式背书
 - FDA于2025年1月发布了关于AI支持药物监管决策的正式草案，明确了基于风险的信度评估框架，这标志着AI生成的证据正逐步进入主流审批路径（草案规范了AI应用的可行领域，部分见右图）
 - 在此之前，Medicenna公司已获得FDA的支持，允许其在针对复发性胶质母细胞瘤的临床三期注册试验中采用混合对照设计，即利用SCA替代约100名预期招募的对照组患者
 - 这一先例对于整个医药行业具有颠覆性的意义，它证明了在特定条件下，AI驱动的虚拟数据可以作为获批的法定证据。
 - 此外，罗氏（Roche）旗下的Flatiron Health也通过利用其庞大的肿瘤真实世界数据库，协助多项药物实现了标签扩展（Label Expansion）。例如，在欧盟，监管机构参考了基于Flatiron数据库的外部对照数据，批准了Alecensa（阿来替尼）用于ALK阳性非小细胞肺癌的一线治疗扩展
 - 国内方面，早在2020年，NMPA就发布了《真实世界证据支持药物研发与审评的指导原则》，而2025-2026年间，随着数据要素市场化配置的深化，中国有望在罕见病准入、广谱药物新适应证审批等方面实现RWE与AI的更深层次融合
 - 这种通过AI挖掘既有数据价值、无需重新启动大规模三期临床即可扩大市场准入的模式，代表了医药商业化效率的最高形式

应用领域	是否可行（监管）	示例
药物发现（靶点识别、引线优化）	不可行：人工智能仅用于识别潜在药物靶点或优化临床前的先导化合物。	人工智能算法建议一种新型化合物结合癌症靶标（尚无直接的安全性/有效性数据）——超出范围。
非临床建模（毒性、PK/PD）	可行：如果AI模型能够生成新药试验性（IND）申请提供参考的安全性/有效性数据，需要可信度。	人工智能通过分子结构预测器官毒性，为IND风险评估提供参考——涵盖范围。
临床试验设计与分析	可行：人工智能用于设定纳入标准、预测终点或分析影响研究结果的试验数据。	AI通过生物标志物对患者进行分类，选择试验参与者；或者AI方法根据中期数据（在范围内）预测疗效终点。
制造与质量控制	可行：用于过程控制、批量发布决策或质量控制数据分析的AI工具，这些都会影响产品质量。	AI驱动的监控会标记批次超出规格，并在市场发布前提出纠正措施——涵盖范围。
药物警戒与真实世界证据	可行：人工智能系统挖掘安全数据库或电子健康记录（EHR），生成用于监管提交的信号或证据。	人工智能从真实世界数据中识别出意料之外的不良事件模式；这些发现包含在风险管理计划中——涵盖范围。

- 超越数据本身，我们还需思考当AI重塑了整个临床试验范式，这会对未来创新药行业带来哪些影响

— 1. 研发逻辑从“大样本抽样”向“全量模拟”演进

- 传统的临床试验基于统计学抽样，通过几百人的样本来推测数百万人的用药反应。AI与大数据的结合，使得“全量模拟”成为可能
- 数字孪生患者的出现：如果能够在虚拟环境中模拟药物对特定基因型患者的毒性反应，那么在进入实体实验之前，80%的风险就已经被识别和规避。**这将导致医药行业的竞争重点从“临床执行力”转向“数据资产的质量与广度”**

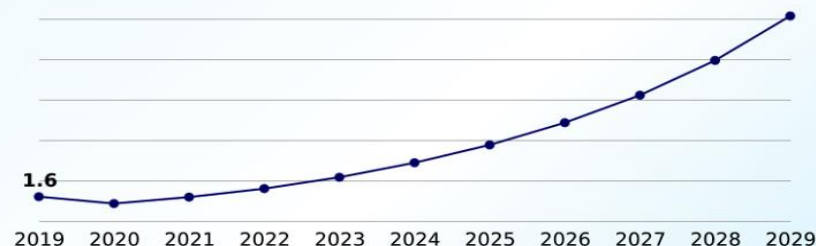
— 2. “小众药物”的商业复兴

- 在传统模式下，由于患者稀少、招募成本高昂，许多针对罕见病的孤儿药在商业上并不可行。AI方案极大地降低了这些药物的研发准入门槛
- 这不仅具有人道主义价值，**更开辟了一个全新的增量市场。**对于二级市场而言，这意味着生物技术公司的“管线溢价”将不再仅取决于大品种（如PD-1），**那些拥有高确定性小众管线的企业同样具备极高的投资价值。**

— 3. 药企与技术巨头的权力博弈

- 随着AI重要性的提升，传统的药企与AI技术公司（如NVIDIA、Google Cloud）之间的关系正在发生微妙变化。药企拥有实验数据和监管经验，而技术巨头拥有算力和基础模型
- 目前的趋势是“深度联盟”，如2025年间频繁出现的超10亿美元规模的跨界合作。然而，长期来看，谁能掌握“高质量、经标注的临床专有数据”，谁就将握有未来二十年医药定价权的主动权

Global AI In Pharma And Biotech Market Size 2019 - 2029 (USD Billion)



 **18.2%**
2025 Year-over-Year

 **20.0%**
CAGR (2024-2029)

 **Accelerating**
Growth momentum

 **USD 3.63 Bn**
Incremental growth
between 2024 and 2029

Source: technavio.com

- 我们仍需持续关注AI在临床试验应用中的风险识别与伦理边界，它们仍是商业化进程中的隐忧
 - **数据中毒与幻觉：**特别是生成式AI，如果在训练过程中摄入了低质量或被污染的医疗数据，可能会生成极具误导性的临床结论。
 - **黑箱算法的不可解释性：**虽然AI可以预测受试者反应，但如果无法解释其背后的生物学机制，监管机构和医生将难以在关键决策中完全信任算法。这也是为何“可解释AI”（XAI）成为目前技术研发的核心方向
 - **社会公平性挑战：**如果AI训练数据主要来自发达国家人群，那么生成的模型在发展中国家患者群体中的有效性将大打折扣。这不仅是伦理问题，更直接限制了药物的全球商业化潜力和市场渗透率。

- 综合以上分析，AI在医药领域最有商业化前景的落地方案，绝非单一的“药物发现”，而是**以合成对照组为锚点，集成精准患者筛选、生成式流程自动化以及真实世界证据闭环的“智能化临床资产管理平台”**
- AI在靶点发现等研发前端的应用无疑具有最大的潜力，但也兼具了极高的不确定性和较长的验证周期，胜率堪忧；相比之下，临床试验的AI应用更能切实地带来商业价值
- AI在医药领域应用的商业化天花板始终由监管机构设定。2025年初，**美国FDA发布的《人工智能支持药物及生物制品监管决策的考虑因素》草案是我们得出上述结论的重要依据**
- 基于上述分析，我们应当关注三类标的：
 - 数据领主型企业**：拥有海量、合法且经过临床验证的历史试验数据的服务商。数据是AI的燃料，在SCA成为主流的趋势下，数据的稀缺性将直接转化为高毛利率
 - 临床AI全案解决商**：能够提供端到端（从方案设计到监管提交）AI工具链的公司。这类企业直接受益于药企降低R&D费率的紧迫需求，具有较强的业绩确定性
 - 高研发效率的AI驱动型Biotech**：那些不仅使用AI寻找靶点，更在临床阶段全面贯彻AICT策略，从而实现管线快速推进和高通过率的药企。其估值逻辑应从单纯的“管线价值”转向“研发平台倍增效应”
 - 可持续关注的标的：晶泰科技、Medidata等
- 总的来说，AI对医药行业的改造正处于从“效率提升”向“范式重构”转化的临界点。2025-2026年将是**监管红利兑现、商业化盈利标杆确立的关键窗口期**。我们应以前瞻性的眼光识别那些真正能够将算法转化为现金流，将数据转化为药效的卓越企业，以捕获这一医药科技革命中最具确定性的增长红利

指标维度	核心统计数据
AI 制药 2034 预期规模	164.9 亿美元
临床三期试验数据复杂性	360 万数据点 (较20年前增长7倍)
AI 对研发周期的压缩	平均 6 个月 / 每项资产
AI 临床一期成功率提升	从 40-65% 提升至 80-90%
AI 驱动受试者入组提速	170 倍 (相比人工审核)
中国 AI 医疗器械审批趋势	2026 预期同比增长 50%
药企延迟临床每日损失	40,000 美元 (运营成本)
AI 辅助文档处理 ROI	流程成本降低 50%