

· 专题：GCP 研究视角探索 ·

人工智能在药物临床试验中的应用与挑战

曹尚¹, 王景朝^{2,3}, 潘建红^{2,3*}

(1. 国家药品监督管理局药品审评检查长三角分中心, 上海 201210; 2. 国家药品监督管理局药品审评中心, 北京 100076; 3. 药品监管科学全国重点实验室, 北京 102629)

[摘要] 人工智能 (artificial intelligence, AI) 技术在药物临床试验中的应用日益广泛, 显著提升了试验效率, 主要体现在患者招募与分层、试验设计优化、数据处理与分析、药物警戒与安全监测等方面。然而, 技术应用面临数据标准化与质量、技术可靠性与安全性、伦理与法律责任、监管与合规层面的挑战, 针对上述挑战, 需要建立统一数据标准、完善技术评估体系、加强伦理审查、推动国际监管协调, 在创新发展与风险控制之间寻求平衡, 为 AI 技术在药物研发领域的规范化应用奠定基础。综述了 AI 技术在药物临床试验中的应用进展与挑战。

[关键词] 人工智能; 药物研发; 临床试验; 监管策略; 质量控制

[中图分类号] R951

[文献标志码] A

[文章编号] 1001-5094 (2026) 01-0085-06

DOI: 10.20053/j.issn1001-5094.202508250658

Application and Challenges of Artificial Intelligence in Drug Clinical Trials

CAO Shang¹, WANG Jingzhao^{2,3}, PAN Jianhong^{2,3}

(1. Yangtze River Delta Center for Drug Evaluation and Inspection of National Medical Products Administration, Shanghai 201210, China; 2. Center for Drug Evaluation, National Medical Products Administration, Beijing 100076, China; 3. State Key Laboratory of Drug Regulatory Science, Beijing 102629, China)

[Abstract] The application of artificial intelligence (AI) technology in drug clinical trials has becoming increasingly widespread, significantly improving trial efficiency. This is mainly evident in areas such as patient recruitment and stratification, trial design optimization, data processing and analysis, and pharmacovigilance and safety monitoring. However, the application faces challenges in the areas of data standardization and quality, technical reliability and security, ethical and legal responsibilities, as well as regulatory and compliance aspects. To address these challenges, it is necessary to establish unified data standards, improve technical evaluation systems, strengthen ethical review, and promote international regulatory coordination. These efforts aim to strike a balance between innovative development and risk control and to lay a foundation for the standardized application of AI technology in drug development. This review summarizes the progress and challenges of AI technology in drug clinical trials.

[Key words] artificial intelligence; drug development; clinical trial; regulatory strategy; quality control

临床试验作为药物研发的关键环节, 其质量和效率直接影响新药上市进程。据 ClinicalTrials.gov 数据库统计, 全球临床试验注册数量呈持续增长趋势, 年度新增注册试验数万项^[1-2]。近年来, 人工智能 (artificial intelligence, AI) 技术在机器学习、深度学习、自然语言处理等领域的理论突破与工程实践取得了显著进展, 为药物临床试验的质量提升和效率优化提供了新的技术路径^[3-5]。主要监管机构如美国食品药品监督管理局 (Food and Drug Administration, FDA)、欧洲药品管理局 (European Medicines Agency, EMA) 等, 正在探索灵活且适应性强的管理方法, 支持 AI 技术在确保安全性和有效性前提下的合理应用。本文综述了近期 AI 技术在药物临床试验中的应用进展, 并对技术应用中需要关注的关键问题进行分析, 旨在为 AI 技术在药物临床试验中的规范化应用和监管

策略制定提供参考。需说明的是, 本文主要聚焦以支持药物注册上市为目的的临床试验, 研究者发起的临床试验 (investigator-initiated trial, IIT) 不在讨论范围。

1 临床试验信息化发展现状与 AI 技术的应用契机

1.1 传统信息化平台应用现状

当前药物临床试验主要依赖于电子数据采集系统 (electronic data capture, EDC)、临床试验管理系统以及数据管理平台三类信息化工具。经过多年发展, 这些传统信息化工具已形成相对成熟的技术体系: 首先, 其标准化程度较高, 符合国际人用药品注册技术协调会 (International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH) 发布的《药物临床试验质量管理规范》(ICH-GCP) 等国际规范要求, 为临床试验的规范化管理奠定了基础; 其次, 系统具备完整的审计追踪与权限管理功能, 有效保障了数据的安全性和可追溯性; 此外, 主流平台之间通常设有标准化接口, 有利于系统集成与数据交换。

接受日期: 2025-11-27

基金项目: 药品监管科学全国重点实验室课题
(No.2024SKLDRS0230)

***通信作者:** 潘建红, 副研究员

研究方向: 药品的技术审评

E-mail: panjh@cde.org.cn

1.2 AI技术的应用契机与技术互补性

随着临床试验复杂度的提升和数据类型的多样化，当下对信息化工具提出了新的需求。AI技术作为新兴的智能化手段，在以下方面可与传统信息化工具形成技术互补。

1.2.1 数据处理能力的拓展 传统信息化工具主要处理结构化数据，对于电子病历中的文本描述、影像检查报告、病理切片图像等非结构化数据，需要人工提取和编码后才能纳入分析。AI技术能够直接处理这些非结构化数据，自动提取关键信息并转化为结构化特征。例如，自然语言处理（natural language processing, NLP）技术，基于Transformer架构的大语言模型（如BERT、GPT系列）以及医学领域专用模型（如BioBERT、ClinicalBERT），可自动提取电子健康记录中的病史描述、用药记录、检查结果等非结构化文本信息；计算机视觉技术和卷积神经网络（convolutional neural network, CNN）可处理影像数据，实现医学影像、病理切片的自动分析。

1.2.2 质量控制模式的转变 传统质量控制主要采用“事后检查”模式，通过定期数据核查、现场稽查等方式发现问题。AI技术可将“事后检查”转向“事前预防”。例如：机器学习分类算法（随机森林、支持向量机、梯度提升树）等能够通过分析数据录入模式及时发现异常数据录入行为；时序分析模型（循环神经网络）可分析受试者的依从性，预测潜在的脱落风险。

1.2.3 安全性监测的强化 传统药物警戒主要依靠被动报告系统和定期安全性更新报告，在信号检测的时效性和全面性方面存在优化空间。AI技术能够整合临床试验数据、真实世界数据、社交媒体信息等多源异构数据，实现更加主动、全面的安全信号检测。例如，NLP技术可用于自动提取和分类不良事件报告，识别传统方法难以发现的安全信号；知识图谱技术通过构建“疾病-症状-药物-基因-不良反应”的关联网络，可实现跨数据库的语义检索和多维关联分析。

1.2.4 决策支持的智能化 传统信息化工具主要提供数据存储、检索及基础统计分析功能。AI技术能够通过分析历史数据学习内在规律，为临床试验设计优化、患者分层与剂量调整等环节提供数据驱动的决策支持。例如，机器学习与深度学习方法可用于识别数据中复杂的模式与隐含的关联；强化学习通过让智能体与模拟或实际环境进行交互来学习最优策略，可用于支持剂量探索阶段的自适应剂量调整。

需要强调的是，AI技术与传统信息化工具并非替代关系，而是互补。传统工具在规范化、标准化、

可追溯性方面的优势依然是临床试验质量管理的基础，而AI技术则为提升效率和深化分析提供了新的可能。

2 AI在药物临床试验中的应用实践

2.1 患者招募与分层

在患者招募方面，AI通过综合运用自然语言处理、知识图谱和深度学习等技术，能够快速识别符合入选与排除标准的受试者。例如，IBM Watson平台利用AI技术，通过匹配患者的病史和基因特征，简化了患者的招募流程^[6]。尤其在罕见病临床试验的患者招募中，AI技术能够通过跨数据库检索与模式识别，建立患者画像并构建预测模型，有望显著缩短招募周期^[7]。值得注意的是，跨数据库检索涉及不同机构的数据访问权限及使用协议，通常需要提前建立有效的数据共享框架。

在患者精准分层方面，由纪念斯隆凯特琳癌症中心开发的LORIS系统整合了基因型、表型及生物标志物等多维数据，从而实现了对肿瘤患者的精细化分层^[8]。基于AI技术的分层策略不仅有助于提升临床试验的科学性，同时也为个体化治疗方案的制定提供了重要支持^[9]。

2.2 试验设计优化

在试验参数优化方面，AI技术能够通过分析海量历史试验数据，为样本量计算、终点选择及分组策略等关键参数提供数据驱动的参考依据^[10]。例如，英矽智能公司开发的临床试验预测引擎inClinico借助AI技术分析历史试验数据，能够预测新药从Ⅱ期向Ⅲ期过渡的成功率，辅助研究者在启动Ⅲ期试验前对不同设计方案进行评估^[11]。在适应性试验设计领域，AI技术可通过实时分析中期数据，支持剂量调整、样本量重估和终点修正等动态决策。Berry Consultants开发的贝叶斯适应性平台试验REMAP-CAP即利用AI技术持续更新后验概率，从而优化治疗组的分配策略^[12]。

然而，临床试验设计的复杂性不仅体现在科学性上，更涉及实际可操作性。受试者依从性、研究中心执行能力、伦理可接受度等实践因素，往往需要依赖丰富的临床经验和情境化判断进行综合权衡。AI虽能从数据中提取规律，却难以充分考量这些难以量化的现实约束因素。因此，当前更为可行的模式是构建“AI数据分析+专家经验审核”的协同机制，即由AI提供设计参数的循证支持，再由临床专家基于实践经验评估方案的可行性并对细节进行优化。

2.3 数据处理与分析

在临床试验数据处理方面，由于存在大量非结

构化数据(如文本、图像及表格等),传统处理方法的效率相对有限。AI语言模型可快速识别并提取关键信息,从而显著提升数据分析效率^[13-14]。威斯康星大学开发的实时NLP管道系统,整合了深度学习模型,可从电子健康记录中自动提取和处理临床数据,在100例住院患者测试中灵敏度达93%、特异度达92%,且能在数分钟内完成数据处理并返回结果^[15]。

在统计分析方面,AI技术的优势主要体现在以下两点:首先,其强大的计算能力能够高效处理大规模数据,快速完成描述性统计、主要终点分析等随机对照试验的常规统计任务;其次,AI具备出色的模式识别能力,例如深度学习算法能够识别生物标志物之间的非线性关系,并发现传统统计方法可能遗漏的药效预测因子^[16]。

然而需要强调的是,诸如敏感性分析与异质性分析等高级统计方法的应用,往往取决于试验设计的固有局限性及对临床问题的深入理解。目前,AI在识别分析需求、制定分析策略以及解释结果差异等方面的能力仍较为有限。因此,同样需要采用“AI+专家”协同工作模式。

2.4 药物警戒与安全监测

传统的药物警戒主要依赖被动报告系统,存在报告延迟、信息不完整等问题。AI技术能够主动监测多种数据源,实现更加及时和全面的安全性监测。FDA药物评估和研究中心开发的信息可视化平台利用AI技术分析药物上市后的安全性数据,能够快速处理大量的不良事件报告,提高安全信号检测的效率和准确性^[17]。在真实世界数据监测方面,AI技术还能够分析社交媒体、在线健康社区等非传统数据源,多源数据整合分析为药物安全性监测提供了新的途径和手段^[18]。AiCure公司开发的患者监测系统通过智能手机和可穿戴设备,实时监测患者的用药依从性和各项生理指标^[19]。AI技术在安全性监测中的核心价值在于实现“被动监测”向“预测性监测”的转变,实现持续、全方位的安全监测,这符合现代药物警戒体系的发展要求。

3 挑战分析与思路

当前,AI技术在药物临床试验中的应用可能面临4个层面的挑战:①数据标准化与质量问题是基础层面的挑战,直接影响AI技术的应用效果;②技术可靠性与安全性是核心层面的挑战,关系到AI技术的科学性和实用性;③伦理与法律责任是保障层面的挑战,关系到AI技术应用的合规性;④监管与合规是系统层面的挑战,影响AI技术的推广应用,见图1。

3.1 技术可靠性与安全性挑战

AI算法(尤其是深度学习模型)所具有的“黑箱”特性,是其在临床试验应用中面临的首要可靠性挑战。在临床试验的监管环境下,任何可能影响试验结果的技术都必须具备充分的透明度和可解释性,特别是在高风险应用场景(如直接影响患者安全的决策支持、剂量调整建议等)中,监管机构对可解释性的要求更为严格。例如,FDA在审查某一AI药物警戒系统时,不仅要求开发者提供安全信号检测结果,还需要其通过沙普利加性解释(SHapley Additive exPlanations, SHAP)等可解释性AI算法,详细阐述算法的特征选择逻辑与决策路径^[20]。

从科学视角来看,完全透明的算法实现并非总是可行,建立科学且合理的验证体系更为关键。为应对AI模型与算法带来的挑战,可采取以下综合措施:①建立与AI技术特点相适应的分层评估体系,针对不同风险等级和应用场景设定可解释性要求,包括模型级解释[如注意力机制可视化、基于SHAP或模型无关的局部解释(Local Interpretable Model-agnostic Explanations, LIME)的特征重要性分析]、数据级解释(通过对抗样本测试与数据溯源确保训练数据的代表性与质量),以及系统级解释(构建“人机协同”决策机制,使AI在输出预测时同步提供置信度评分与决策依据摘要);②构建涵盖技术性能(如准确性、稳定性、鲁棒性)、临床适用性(真实场景下的有效性与实用性)和合规性(符合法规与标准要求)的多维度算法验证体系;③建立对已部署AI系统的持续跟踪与性能评估机制,以确保其长期稳定与可靠。

3.2 数据标准化与质量挑战

当前临床试验所涉及的数据来源多样,不同EDC、医院信息系统及实验室信息系统所生成的数据在格式、编码和存储方式等方面均存在明显差异。尽管以大规模预训练语言模型为代表的先进AI算法已具备一定处理异构数据的能力——例如,通过预训练医学领域专用模型(如BioBERT、ClinicalBERT)可辅助识别多系统中的等效术语、进行数据格式转换,以及构建跨数据库的语义映射——然而,建立覆盖多语言、多编码体系的医学知识库工程浩大,模型需随着医学术语的更新而持续迭代,且还需针对不同地区的数据标准差异进行定制化适配。此外,数据质量问题是制约AI应用成效的关键因素,临床试验数据本身具有高度复杂性,数据缺失、录入错误及逻辑不一致等现象会直接影响AI算法的训练效果与预测准确性。为应对上述挑战,国际监管机构已有可借鉴经验:美国、日本等多国监管机构均要求或推荐采用临床数据交换标

准协会标准提交临床试验数据,以提升数据的互操作性。借鉴这些实践,一方面,建议建立统一的临床试验数据标准体系,推动主流 EDC 系统与 AI 平

台的接口标准化;另一方面,建立数据质量评估和认证的相关机制,建议只有通过质量认证的数据才用于关键的 AI 应用。



图1 AI技术在药物临床试验中的多层面挑战分析框架

3.3 伦理与法律责任挑战

AI算法在临床试验中的应用面临3个层面的伦理与法律挑战:一是算法公平性与偏见控制,二是数据隐私与安全保护,三是法律责任归属。

偏见的来源可能包括:①数据偏见,训练数据可能存在人群代表性不足(如特定种族、年龄段样本缺失)、标注偏见(标注者的主观判断)等问题;②算法偏见,包括特征选择偏见(过度依赖某些易获取但可能存在歧视性的特征)、优化目标偏见(算法优化整体准确率可能牺牲少数群体的预测性能)。在法律责任归属方面,当AI做出错误决策时,涉及算法开发者、临床试验申办方、研究者等多方主体的责任界定,传统的产品责任法律框架可能不完全适用。

为应对上述多方面挑战,国际监管机构已有相关实践:①在算法公平性方面,欧盟《人工智能法案》^[21]要求高风险AI系统进行“基本权利影响评估”,建议建立全流程的公平性控制机制,从数据采集、特征工程、模型选择、性能评估等环节系统控制偏见,并针对不同人群子集单独验证模型公平性。②在数据隐私保护方面,可借鉴欧盟通用数据保护条例(General Data Protection Regulation, GDPR)^[22]的“数据最小化”和“目的限定”原则,在高风险场景优先采用“联邦学习”等隐私计算技术。③在法律责任归属方面,可参考欧盟《人工智能法案》明确的责任链条,明确各方主体在AI技术应用中的责任和义务,特别是针对持续学习算法建立动态责任

认定机制。

3.4 监管与合规挑战

当下, 各国监管机构均在探索适合本国国情的

监管框架。但由于法律传统、产业发展阶段、风险容忍度等方面的差异, 各国在监管理念、审评机制、数据要求等方面呈现出政策差异(见表1)。

表1 各国对临床试验中AI技术应用的监管政策对比

国家 (监管机构)	对比维度			
	监管理念	审评路径	数据要求	典型政策
美国 (FDA)	以风险为基础的灵活路径	突破性认定程序; 真实世界证据体系	真实世界数据; 合成数据训练	《数字健康创新行动计划》 ^[23]
欧盟国家 (EMA)	审慎原则; 伦理优先	强制合规要求; 预防性管控	严格数据治理; GDPR保护	《人工智能法案》
中国 (NMPA)	包容审慎; 场景导向	试点先行; 经验积累	参考国际标准	《药品监管人工智能典型应用场景清单》 ^[24]

FDA: 美国食品药品监督管理局; EMA: 欧洲药品管理局; NMPA: 国家药品监督管理局; GDPR: 通用数据保护条例

FDA 通过突破性认定程序和真实世界证据体系, 为高价值 AI 技术提供加速审评通道, 体现了在创新激励与安全监管之间寻求动态平衡的策略。EMA 采取“审慎原则”, 《人工智能法案》建立了严格的风险分类体系(不可接受风险、高风险、有限风险、最小风险), 强调伦理审查、数据保护和透明度要求。中国注重应用场景的明确和试点经验的积累, 《药品监管人工智能典型应用场景清单》明确了15个优先应用场景。

监管差异为跨国临床试验带来了复杂性, 同一AI工具可能在不同市场面临不同的技术要求和审评标准。为应对这些挑战, 需要建立协调机制, 国际上已有一些成功经验可供借鉴: ①推动建立多边数据标准协调平台, 可考虑以ICH为平台推动建立《AI临床试验数据标准白皮书》, 统一多源数据的格式、编码与传输协议, 从技术层面解决数据标准化问题; ②建立国际监管信息共享平台, 通过国际药品监管机构联盟、世界卫生组织等多边平台定期交

流 AI 技术审评案例、风险信号和监管经验。

4 结语

AI技术在药物临床试验中的应用正在从“探索阶段”向“规范化应用”转变。AI在患者招募与分层、试验设计优化、数据处理与质量控制、药物警戒与安全监测等关键环节的应用效果已通过实践得到证实, 为提升临床试验质量和效率提供了有力支撑。然而, AI技术的全面应用仍面临数据标准化与质量、技术可靠性与安全性、伦理与法律责任、监管与合规等多层面挑战。这些挑战相互关联、影响递进, 需要统筹考虑、分阶段推进: 短期聚焦数据标准化和技术评估体系建设, 中期完善法律法规框架和国际监管协调, 长期形成完整的AI技术发展生态系统。展望未来, 通过科学合理的监管政策引导, 在创新激励与风险控制之间寻求平衡, 将有力促进AI技术在药物临床试验领域的健康可持续发展。

【参考文献】

- [1] Viergever R F, Karam G, Reis A, et al. The quality of registration of clinical trials: still a problem[J]. *PLoS One*, 2014, 9(1): e84727.
- [2] ClinicalTrials.gov. Trends and charts on registered studies[EB/OL]. (2025-08-06) [2025-08-07]. <https://clinicaltrials.gov/about-site/trends-charts>.
- [3] Sarker I H. AI-based modeling: techniques, applications and research issues towards automation, intelligent and smart systems[J]. *SN Comput Sci*, 2022, 3(2): 158.
- [4] Soori M, Arezoo B, Dastres R. Artificial intelligence, machine learning and deep learning in advanced robotics, a review[J]. *Cogn Robot*, 2023, 3: 54-70.
- [5] Qureshi R, Irfan M, Gondal T M, et al. AI in drug discovery and its clinical relevance[J]. *Heliyon*, 2023, 9(7): e17575.
- [6] IBM. Redefining clinical trials: adopting AI for speed, volume and diversity[EB/OL]. (2024-05-06)[2024-07-14]. <https://www.ibm.com/blog/redefining-clinical-trials-adopting-ai-for-speed-volume-and-diversity/>.
- [7] Wojtara M, Rana E, Rahman T, et al. Artificial intelligence in rare disease diagnosis and treatment[J]. *Clin Transl Sci*, 2023, 16(11): 2106-2111.
- [8] Chang T G, Cao Y, Sfreddo H J, et al. LORIS robustly predicts patient outcomes with immune checkpoint blockade therapy using common clinical, pathologic and genomic features[J]. *Nat Cancer*, 2024, 5(8): 1158-1175.
- [9] Carini C, Seyhan A A. Tribulations and future opportunities for artificial intelligence in precision medicine[J]. *J Transl Med*, 2024, 22(1): 411.
- [10] Zhang B, Zhang L, Chen Q, et al. Harnessing artificial intelligence to improve clinical trial design[J]. *Commun Med*, 2023, 3: 191.
- [11] Aliper A, Kudrin R, Polykovskiy D, et al. Prediction of clinical trials outcomes based on target choice and clinical trial design with multi-modal artificial intelligence[J]. *Clin Pharmacol Ther*, 2023, 114(5): 972-980.
- [12] Angus D C, Berry S, Lewis R J, et al. The REMAP-CAP (randomized embedded multifactorial adaptive platform for community-acquired pneumonia) study. rationale and design [J]. *Ann Am Thorac Soc*, 2020, 17(7): 879-891.
- [13] Alowais SA, Alghamdi S S, Alsuhbany N, et al. Revolutionizing

- healthcare: the role of artificial intelligence in clinical practice[J]. *BMC Med Educ*, 2023, 23(1): 689.
- [14] Chopra H, Annu, Shin D K, *et al.* Revolutionizing clinical trials: the role of AI in accelerating medical breakthroughs[J]. *Int J Surg*, 2023, 109(12): 4211–4220.
- [15] Afshar M, Adelaine S, Resnik F, *et al.* Deployment of real-time natural language processing and deep learning clinical decision support in the electronic health record: pipeline implementation for an opioid misuse screener in hospitalized adults[J]. *JMIR Med Inform*, 2023, 11: e44977.
- [16] Mathema V B, Sen P, Lamichhane S, *et al.* Deep learning facilitates multi-data type analysis and predictive biomarker discovery in cancer precision medicine[J]. *Comput Struct Biotechnol J*, 2023, 21: 1372–1382.
- [17] FDA. Information visualization platform (InfoViP): CDER's new artificial intelligence safety surveillance tool[EB/OL]. (2022-07-07) [2024-07-14]. <https://www.fda.gov/drugs/cder-conversations/information-visualization-platform-infovip-cders-new-artificial-intelligence-safety-surveillance>.
- [18] Yang S, Kar S. Application of artificial intelligence and machine learning in early detection of adverse drug reactions (ADRs) and drug-induced toxicity[J]. *Artif Intell Chem*, 2023, 1(2): 100011.
- [19] Connect A P. Remote Patient Monitoring Solution[EB/OL]. (2023-04-28)[2024-07-14]. <https://aicure.com/solutions/patient-connect>.
- [20] Ball R, Dal Pan G. "Artificial intelligence" for pharmacovigilance: ready for prime time?[J]. *Drug Saf*, 2022, 45(5): 429–438.
- [21] European Commission. Artificial Intelligence Act[EB/OL]. (2024-03-13)[2024-07-11]. <https://digital-strategy.ec.europa.eu/en/library/proposal-regulation-laying-down-harmonised-rules-artificial-intelligence>.
- [22] European Union. General Data Protection Regulation (GDPR) [EB/OL]. (2018-05-25)[2024-11-17]. <https://gdpr-info.eu/>.
- [23] FDA. Digital Health Innovation Action Plan[EB/OL]. (2017-07-28)[2025-05-05]. <https://www.fda.gov/media/106331/download>.
- [24] 国家药品监督管理局. 国家药监局综合司关于印发药品监管人工智能典型应用场景清单的通知[EB/OL]. (2024-06-18) [2024-07-14] <https://www.nmpa.gov.cn/xxgk/fgwj/gzwj/gzwjzh/20240618144318144.html>.

(责任编辑:杨臻峥)