

· 人工智能药物研发 ·



专栏主编

曾苏，博士。国家杰出青年科学基金获得者、国务院政府特殊津贴专家、入选国家“百千万人才工程”。主要从事药物代谢和药物分析研究，拓展药物分析学内涵，创立分析药理学。



专栏副主编

朱峰，博士。运用人工智能、网络分析等生信手段和组学技术，发现具有治疗效用药物靶点的成药性和系统生物学特性，发展新颖的用于新药靶发现的预测方法，并进一步研究药物与重要靶点的相互作用机制。

人工智能赋能新药研发：数智药学的全链条创新实践

张智朝，朱峰^{*}，曾苏^{*} (浙江大学药学院，杭州 310058)

摘要：新药研发面临高淘汰率、不同模型体系间的结论传导困难、评价标准不统一等技术瓶颈。为提升研发效率，亟需创新技术与方法。本期“数智药学—人工智能药物研发”专栏围绕靶点发现、分析检测、机制解析与实施应用全链条，展示7篇研究成果。通过人工智能算法优化靶点筛选，运用计算机视觉与光谱分析技术强化质量控制，整合多源数据解析药效机制，并从组织管理层面提供量化实施路径。研究成果可以为新药研发的多场景验证与转化提供新思路与技术支持。

关键词：数智药学；人工智能；新药研发；技术转化

中图分类号：R914 文献标志码：A 文章编号：1007-7693(2025)17-2981-03

DOI: 10.13748/j.cnki.issn1007-7693.20252412

引用本文：张智朝，朱峰，曾苏. 人工智能赋能新药研发：数智药学的全链条创新实践[J]. 中国现代应用药学, 2025, 42(17): 2981-2983.

Artificial Intelligence-Enabled Drug Discovery and Development: End-to-End Innovation in Digital Pharmaceutics

ZHANG Zhichao, ZHU Feng^{*}, ZENG Su^{*} (College of Pharmaceutical Sciences, Zhejiang University, Hangzhou 310058, China)

ABSTRACT: Drug discovery and development face high attrition, limited cross-model translatability, heterogeneous evaluation standards, and long timelines and costs. To improve efficiency, new methods are required. This special issue, “Digital and Intelligent

作者简介：张智朝，男 E-mail: 22319010@zju.edu.cn
峰，男，博士，教授，博导 E-mail: zhufeng@zju.edu.cn

^{*}通信作者：曾苏，男，博士，教授，博导 E-mail: zengsu@zju.edu.cn 朱

Pharmacy—AI-driven Drug Discovery and Development”, presents seven studies spanning the full pipeline from target identification, analytical assessment, and mechanistic elucidation to implementation. The collection demonstrates: AI algorithms for prioritizing targets and candidates; computer vision and spectroscopic analytics to strengthen quality control; multi-source data integration to clarify pharmacological mechanisms; and organization-level pathway analysis to inform implementation. Together, these studies will provide practical directions and technical support for robust, generalizable translation in drug research and development.

KEYWORDS: digital pharmaceuticals; artificial intelligence; drug discovery and development; translational implementation.

新药发现始于药物靶点的识别与验证^[1], 经活性化合物筛选、先导分子优化, 再到临床前药效评估及临床试验安全性验证, 最终聚焦于工艺开发与质量控制研究。随着人工智能技术的蓬勃发展, 前沿数智技术逐渐被应用于药物研发的各个阶段^[2-3], 如何利用数智药学进行技术创新与方法赋能, 加速新药研发进程, 成为当前亟待发展的领域^[4]。

新药研发链条复杂, 面临多重技术挑战^[5]: 高淘汰率导致资源损耗, 跨模型体系的研究结果沟通困难, 各阶段评价标准缺乏统一性, 以及存在试验周期冗长与成本高昂等问题。在机制阐释层面, 需整合受体信号通路、细胞生物学及组织病理学等多维度数据, 确保研究结论在不同层级的一致性^[6-7]; 在效应条件探究层面, 则需构建清晰的药物暴露与反应 (PK/PD) 关系, 确立可跨模型传递的生物标志物体系。网络药理学与组学技术可用于挖掘潜在靶点^[8-9], 通过体内外功能验证实验进行分层验证; 同时, 还应建立标准化效应评价体系, 以明确的检测指标与阈值标准支撑研发决策。

在新药研发链条中, 人工智能方法始终服务于核心药学问题^[10]: 研发早期, 可借助人工智能算法辅助靶点筛选及候选分子优化^[11]; 在药物分析中, 运用计算机视觉等技术分析化学、生物学信息, 能够提升各类多模态数据的客观性与准确性^[12]; 在机制研究环节, 通过整合多源数据, 能够更加准确有效地挖掘关键信号通路^[13]。

本期“数智药学—人工智能药物研发”研究专栏共收录 7 篇研究成果, 围绕一条完整的创新路径展开: 在靶点发现与免疫学领域, 提供计算生物学支撑^[14]; 在药物分析与质量控制方向, 开发客观化评价工具^[15-16]; 在药效机制研究层面, 整合多源数据集, 结合网络药理学、转录组分析及体内外功能验证^[17-19]; 并从组织管理学角度, 通过路径分析为药企数字化转型提供量化参考^[20]。

在靶点发现与免疫学领域, 中国食品药品检定研究院的谭德讲团队针对疫苗研发, 系统综述分子对接及动力学模拟、表示学习算法及多组学整合技术在表位/抗原筛选、免疫原性预测中的应用^[14]。强调了计算结论需在结构、序列与系统层获得同向支持, 并进入体内外实验分层检验, 以控制跨物种与数据质量差异带来的偏差。

在药物分析与质量控制方向, 厦门市食品药品质量检验研究院的黄婧针对中药饮片真伪鉴别及易混淆品种区分难题, 采用合成图像数据集结合对比学习算法与 YOLOv5 模型, 有效缓解样本不足及类间相似性问题, 可广泛应用于多个品种中药饮片的有效识别应用^[15]。浙江寿仙谷植物药研究院有限公司的李振皓团队基于铁皮石斛粉末质量控制需求, 构建近红外光谱质量放行体系, 缩短生产周期, 成功建立“数据采集—阈值判定—质量决策”的完整质量控制链条^[16]。

在药效机制研究领域, 石河子大学的王丽团队围绕木犀草素改善心肌损伤机制展开研究, 通过网络药理学分析筛选潜在靶点, 结合多维验证, 最终明确 SRC/PI3K/AKT 信号轴为核心作用靶点^[17]。广州医科大学的梁晓丽团队在 H1N1 流感感染模型研究中, 整合转录组差异分析、核心基因网络构建、分子对接, 动力学模拟及基因集富集分析, 系统揭示药物对 NF- κ B 等关键信号通路的调控作用^[18]。重庆三峡医药高等专科学校的黄玉静团队以 2-VO 大鼠血管性痴呆模型为研究对象, 通过组织病理学观察、线粒体超微结构与膜电位检测, 结合蛋白与转录水平分析, 构建多层次证据链, 证实 AMPK/Nrf2 信号通路在复方天丝饮干预血管性痴呆中的关键作用, 并通过抑制剂阻断实验逆向验证, 显著增强跨层级研究证据的一致性与可重复性^[19]。

在组织管理学方面, 山东中医药大学的牟春兰团队基于 54 家中药上市公司数据, 运用模糊集定性比较分析方法, 识别出资源利用型、机会感

知型与全面协同型 3 条驱动中药企业高水平数字化转型的路径, 并揭示资金保障能力与企业成长性及其外部环境支持因素间的等效替代效应, 为研究成果的产业化落地提供组织管理学层面的量化决策依据^[20]。

本专栏以数智技术加速药物研发为主线, 从药物研发到组织管理, 系统呈现系列研究成果, 为后续研究在多场景下的验证与转化奠定了坚实基础。希望对研究相关方向的研究人员和药学工作者有所帮助, 加速新药开发的进程。

REFERENCES

- [1] ZHOU Y, ZHANG Y, ZHAO D, et al. TTD: Therapeutic target database describing target druggability information[J]. *Nucleic Acids Res*, 2024, 52(D1): D1465-D1477.
- [2] ZHANG K, YANG X, WANG Y, et al. Artificial intelligence in drug development[J]. *Nat Med*, 2025, 31(1): 45-59.
- [3] MARTIN L, HUTCHENS M, HAWKINS C, et al. How much do clinical trials cost[J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2017, 16(6): 381-382.
- [4] JAYATUNGA M K P, XIE W, RUDER L, et al. AI in small-molecule drug discovery: a coming wave[J]. *Nat Rev Drug Discov*, 2022, 21(3): 175-176.
- [5] MOORE T J, ZHANG H, ANDERSON G, et al. Estimated costs of pivotal trials for novel therapeutic agents approved by the US Food and Drug Administration, 2015-2016[J]. *JAMA Intern Med*, 2018, 178(11): 1451-1457.
- [6] PEDERSEN H K, FORSLUND S K, GUDMUNDSDOTTIR V, et al. A computational framework to integrate high-throughput ‘-omics’ datasets for the identification of potential mechanistic links[J]. *Nat Protoc*, 2018, 13(12): 2781-2800.
- [7] MA Q, HE X, WANG X, et al. PTPN14 aggravates neointimal hyperplasia via boosting PDGFRbeta signaling in smooth muscle cells[J]. *Nat Commun*, 2024, 15(1): 7398.
- [8] LAGUNIN A A, IVANOV S M, GLORIOZOVA T A, et al. Combined network pharmacology and virtual reverse pharmacology approaches for identification of potential targets to treat vascular dementia[J]. *Sci Rep*, 2020, 10(1): 257.
- [9] ZHANG Y, SUN H, LIAN X, et al. ANPELA: significantly enhanced quantification tool for cytometry-based single-cell proteomics[J]. *Adv Sci(Weinh)*, 2023, 10(15): e2207061.
- [10] QURESHI R, IRFAN M, GONDAL T M, et al. AI in drug discovery and its clinical relevance[J]. *Heliyon*, 2023, 9(7): e17575.
- [11] LU H, SUN D, WANG Z, et al. Design, synthesis, and biological evaluation of novel orally available covalent CDK12/13 dual inhibitors for the treatment of tumors[J]. *J Med Chem*, 2025, 68(4): 4148-4167.
- [12] MESZAROS L A, FARKAS A, MADARASZ L, et al.

UV/VIS imaging-based PAT tool for drug particle size inspection in intact tablets supported by pattern recognition neural networks[J]. *Int J Pharm*, 2022, 620: 121773.

- [13] MAAN K, BAGHEL R, DHARIWAL S, et al. Metabolomics and transcriptomics based multi-omics integration reveals radiation-induced altered pathway networking and underlying mechanism[J]. *NPJ Syst Biol Appl*, 2023, 9(1): 42.
- [14] 张羽, 裴宇盛, 杜颖, 等. 计算机模拟助力现代疫苗研发的挑战与进展[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 2984-2989. ZHANG Y, PEI Y S, DU Y, et al. Challenges and progress of computer simulation in aiding modern vaccine development[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 2984-2989.
- [15] 黄婧. 基于合成图像数据集和深度学习的中药饮片识别方法[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 2990-2996. HUANG J. Chinese herbal medicine recognition method based on composite image dataset and deep learning[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 2990-2996.
- [16] 茹晨雷, 潘在晨, 徐靖, 等. 基于近红外光谱的铁皮石斛粉末实时放行测试方法[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 2997-3005. RU C L, PAN Z C, XU J, et al. Near-infrared spectroscopy for real-time release testing of dendrobii officinalis caulis powder[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 2997-3005.
- [17] 李省, 杨沛垚, 郭艳丽, 等. 基于 GEO 芯片联合网络药理学、孟德尔随机化和实验验证探究木犀草素改善心肌损伤的作用机制[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 3006-3020. LI S, YANG P Y, GUO Y L, et al. Investigating the mechanism of luteolin in ameliorating myocardial injury based on GEO chip, network pharmacology, mendelian randomization and experimental validation[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 3006-3020.
- [18] 刘立福, 李晓渝, 颜佳琪, 等. 基于网络药理学和转录组学探讨芥酸抗流感的作用机制[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 3021-3032. LIU L F, LI X Y, YAN J Q, et al. Explore the pharmacological mechanism of erucic acid in the treatment of influenza based on transcriptomics and network pharmacology[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 3021-3032.
- [19] 杨梦琳, 黄玉静, 张运辉, 等. 基于网络药理学和实验验证探讨天丝饮治疗血管性痴呆的作用机制[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 3033-3045. YANG M L, HUANG Y J, ZHANG Y H, et al. Study on the mechanism of Tiansi Yin in treating vascular dementia based on network pharmacology and experimental verification[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 3033-3045.
- [20] 史冰娟, 牟春兰, 张怡文. 中药企业数字化转型影响因素组态及路径研究[J]. *中国现代应用药学*, 2025, 42(17): 3046-3056. SHI B X, MOU C L, ZHANG Y W. Research on the configuration and path of digital transformation factors for traditional Chinese medicine enterprises[J]. *Chin J Mod Appl Pharm*, 2025, 42(17): 3046-3056.

收稿日期: 2025-09-10

(本文责编: 沈倩)