

### AI製藥與傳統工藝比較

#### 研發新藥

**傳統方式：**平均需要超過10年，成本可能達數十億美元。

**借助AI：**時間縮短1/3甚至一半，成本僅1/10。

### AI如何加快藥物研發？

#### 更準確識別疾病的生物靶點：

快速分析大量的生物信息數據，篩選出潛在的與疾病相關的靶點（包括DNA、RNA、蛋白質受體或酶等）。

#### 加快發現先導化合物：

可根據靶點篩選出具有治療潛力的先導化合物，並對其進行結構優化，產生新的候選藥物。

#### 協助藥物臨床前測試：

臨床前測試，可有效預測潛在藥物在人體內的功能、評估候選藥物與目標的結合程度、排除無效果的分子。

#### 加快臨床測試速度：

預測臨床候選藥物成功率和臨床試驗結果。

人工智能（AI）技術應用於藥物研發，在製藥行業內引起高度重視。人工智能不但縮短了藥物研發的所需時間，提高了研究成功率，還節省了金錢成本。隨着AI製藥產業的發展壯大，在不久的將來，可能很快會迎來第一款AI技術研發的創新藥物，不過在此之前，AI製藥仍面臨多重挑戰。

# 人工智能 加速新藥開發

美國加州大學伯克利分校的AI自動實驗室（A-Lab）系統，可以自行發現和合成化合物。



### AI研發新藥進展

英國AI藥物公司Exscentia於2020年推出全球首個由AI設計的第一個分子DSP-1181，並在日本啟動了I期臨床研究，這是為強迫症病人所開發的治療藥物。可惜結果不如預期，於2022年叫停。Exscentia目前還有四款AI相關藥物進行當中，並與賽諾菲和默克等企業達成合作。

總部在香港的AI製藥英矽智能（Insilico Medicine）研發的全球首款由生成式AI篩選靶點並設計的抗特發性肺纖維化（IPF）小分子候選藥物INS018\_055，於2023年6月宣布進入2期臨床試驗階段，在中國、美國兩地同步開展。英矽智能目前已經將6個領先的AI藥物項目推進到臨床階段。

2023年5月，中國AI製藥晶泰科技與美國禮來達成合作，晶泰利用藥物發現平台ID4Inno識別潛在候選藥物，禮來負責臨床和商業開發，預計最高達2.5億美元，是中國AI製藥單個藥物研發管線金額最高的合作。

美國生物公司Recursion Pharmaceuticals使用AI模型來識別和設計新療法，正在對5種藥物進行人體試驗，包括治療由大腦小血管畸形引起的神經血管疾病、治療某種類型卵巢癌的藥物等。

大公報整理

### 【大公報訊】藥

物研發歷來是一項昂貴且耗時的工作，花費平均估計為10億美元，耗時10到15年。隨着技術發展，諮詢公司麥肯錫今年年初發布的報告就認為，人工智能是製藥業「百年一遇的機遇」，AI技術幫助加快藥物發現、批准和上市的速度，每年可以為製藥行業創造600億至1100億美元（約4680億港元至8580億港元）的經濟效益。

投資者紛紛湧向AI生物科技初創企業。芯片巨頭英偉達2023年就向生物技術公司Recursion投資了5000萬美元，以加快開發發現藥物的人工智能模型。英偉達還開發了BioNeMo，這是一種用於生物學中的生成式AI的雲服務，能夠為小分子和蛋白質提供各種AI模型。

### 成本可降低至十分之一

新藥研發通常要經歷藥物設計、優化篩選、臨床前研究和臨床試驗等多個階段。其中，在藥物設計和優化篩選階段，人工智能有望大展身手，尤其是在罕見病和孤兒藥領域，AI技術有望為患者帶來新的治療希望。

借助人工智能，科學家可設計出越來越複雜的小分子結構，從而推動小分子藥物創新，成為AI製藥的重要方向之一。小分子藥物即化學合成的藥物，目前市面上大部分的藥物都是小分子藥物，例如阿司匹林等。AI系統以現有藥物數據為基礎，通過機器學習，通過更準確地模擬生物分子之間的作用，快速篩選靶點（藥物發揮作用的位點），加快預測可能有效的成分，進行配對以及合成可行性分析，從而快速找到更有效的潛在藥物分子結構。比如，英矽智能（Insilico Medicine）利用AI開發了一種抗特發性肺纖維化的小分子藥物。傳統上，此過程需要六年時間，花費超過4億美元，而利用生成式AI，該公司將成本降低到十分之一，時間縮短到兩年半。除了小分子藥，AI技術也越來越多地被應用於抗體、基因療法大分子藥物的研發過程。

### 臨床安全性仍是關鍵

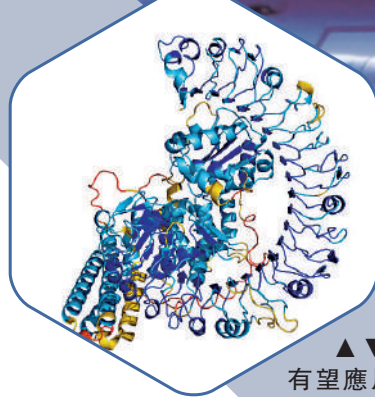
不過，AI藥物研發並非易事，與

傳統藥物面臨的風險是類似的，包括藥物的有效性、安全性和耐藥性等問題。用於藥物開發的生成式AI，是通過精確的科學數據進行訓練，系統出現「AI幻覺」的可能性，遠遠低於ChatGPT等普通的聊天機器人。不過，任何潛在藥物獲准用於患者之前，都必須經過臨床試驗，即使AI能加快速度，也無法避免臨床「試錯」過程，這可能又需要數年的時間。

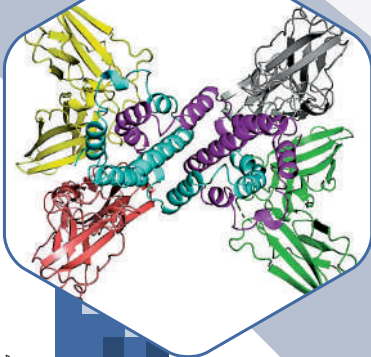
許多在實驗室效果不錯的候選藥物，最終都在人體中測試時折戟。據統計，進入臨床人體試驗的候選藥物，近90%都以失敗告終，通常是由於缺乏療效或出現未預見的副作用。在過去一年，人工智能參與設計的首批藥物進展不如預期，有的直接被暫停研發，有的被降低了臨床試驗優先級，證明臨床風險挑戰巨大。

AI藥物研發公司Exscentia的首席商務官、生物學家理查德·勞表示，藥物發現整個過程其實都離不開失敗，「研製一種藥物的成本非常高，是因為你必須設計並測試20種藥物，才能讓（其中）一種藥物發揮作用。」

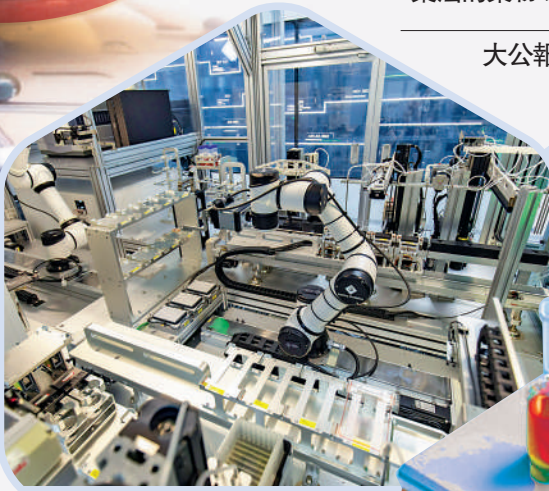
AI製藥依賴數據和算法，當中數據偏見和算法安全難題，仍有待解決。訓練AI成本昂貴，大量消耗高性能芯片，掌握AI技術和擁有製藥背景的人才更是極其緊缺。AI製藥面對另一個問題是監管，美國食品藥物管理局（FDA）去年透露，結合人工智能和機器學習元素的藥物申請數量，在過去五年內急劇增加，目前FDA尚未出台具體監管審批指引。（綜合報道）



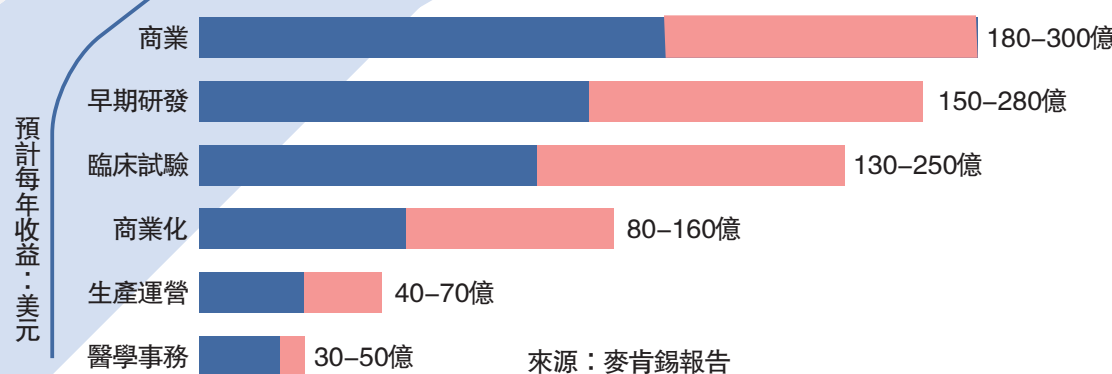
AlphaFold有望應用的領域是新藥開發。



AI製藥企Insilico Medicine位於中國蘇州的人工智能機器人實驗室。



### 生成式AI對製藥行業的經濟效益



## AI解決生物科研難題 劍指諾獎

### 【大公報訊】

人工智能（AI）帶來的新技術突破，被認為有望進入諾貝爾獎殿堂。去年9月，谷歌旗下人工智能公司DeepMind的兩名科學家，憑藉能夠預測蛋白質三維結構的人工智能系統AlphaFold，摘得了「諾貝爾獎風向標」拉斯克獎中的「基礎醫學研究獎」。

過去半個世紀以來，預測蛋白質結構是生物科學的最大挑戰之一，不僅耗時長，而且實驗費用龐大。AlphaFold是一款預測蛋白質結構的人工智能系統，由DeepMind創辦人、人工智能專家哈薩比斯（Demis Hassabis）與美國芝加哥大學化學博士喬普（John Jumper）負責牽頭，



谷歌DeepMind的科學家使用AlphaFold系統預測蛋白質三維結構。

能夠迅速精確預測蛋白質的3D結構和信息。AlphaFold成功解決了生物科研難題，有助查明疾病原理和加快藥物研發，在2020年被《科學》雜誌評為十大科研成果之一。目前，來自120個國家的科學家使用了AlphaFold系統，完成了62萬多項工作。2023年9月，哈薩比斯與喬普憑藉AlphaFold的「革命性技術」，摘得了拉斯克獎中的基礎醫學研究獎。

AlphaFold有望應用的領域是新藥

開發。不過，該系統迄今未自行「創造」出一種可進行人體臨床試驗的藥物。有預測稱，AlphaFold很有可能在十年內跨越這個重要里程碑，即找到一種可治療某種疾病的具體方法。今年5月，DeepMind與谷歌旗下另一實驗室（Isomorphic Labs）共同開發的新模型AlphaFold 3，已做到可準確預測所有生命分子的結構，包括蛋白質、DNA和RNA等，以及它們之間的相互作用。

2013年化學獎得主萊維特稱，諾貝爾獎的目的之一是表彰榜樣，因此獎項需要頒給個人。2006年化學獎得主科恩伯格則表示，AlphaFold技術代表了化學科學的重大進步，如果能夠明確科學家開創者和重要推動力，那麼就有望獲得諾貝爾獎。人工智能是否真正成為諾貝爾獎級別技術？今後還要看它為人類帶來多少真正的價值。

（福布斯、《自然》）