

/首款AI制药进入III期临床/

行业在迅速发展,但目前全球还没有一款完全由AI研发的创新药正式获批上市。英矽智能的Rentosertib,则是首款进入III期临床的全球首创AI药物。

2024年,英矽智能在《自然·生物技术》上发表的论文,首次完整展示了从靶点发现到分子设计均由AI驱动的药物研发闭环。彼时,英矽智能的Pharma.AI平台刚刚完成一次重要验证,它用一种全新的方式,发现了一个治疗特发性肺纤维化(IPF)的全新靶点,并设计出了针对性的小分子化合物。这个后来被命名为Rentosertib(ISM001-055)的分子,从启动项目到提名临床前候选化合物,只用了不到18个月,合成和测试的分子不到80个。

接下来就是迅速推进,2026年4月,Rentosertib的雾化吸入制剂获得国家药监局药品审评中心(CDE)的临床试验批准;同年7月,Rentosertib正式启动III期临床试验。这也意味着,这款由AI发现靶点、AI设计分子的药物,正式进入了上市前的关键阶段。

Rentosertib并非孤例。自2021年以来,英矽智能已经提名了31个临床前候选化合物(PCC),其中13个获得IND批件。2026年前5个月,又有6款PCC被高效提名,靶向GIPR的减肥候选药ISM0676,在临床前模型中实现31.3%的减重效果;曾经被视为“不可成药”的KRAS靶点,也被其候选药物ISM6166撬动。

公司披露的数据显示,项目从立项到提名临床前候选化合物,平均时间为12至18个月,单项目合成并测试的分子数量在60至200个。

支撑这一效率的,是英矽智能内部搭建

的一套AI工具链。公司将其底层系统分为几大模块,Biology42负责生物学的问题,如靶点发现;Chemistry42负责化学的问题,如分子生成和优化;Medicine42赋能临床预测;而Science42集成了大模型等工具辅助研发。2026年,这套系统上又增加了大模型训练框架MMAI Gym和自动化实验室的自主化系统LabClaw,前者内置超过1000个药物研发基准测试和约1200亿Token的专业数据,用于训练基础模型在制药领域专有任务上的表现;后者尝试用多类AI智能体协调自动化实验室的多个操作步骤,同时保留人工审核节点。

这些技术布局指向同一个目标,把药物发现中那些重复性高、可标准化的环节交给算法和自动化设备,让研究人员把精力集中在需要创造性判断的环节上。英矽智能创始人Alex Zhavoronkov将这一愿景表述为“制药超级智能”(Pharmaceutical Superintelligence)。

在任峰看来,只有把技术真正用在药物研发实践中,才能清楚地看到平台的哪些能力已经成熟、哪些模块还需要增强。

张畅表示,AI把更多选手更快地送到了马拉松的起跑线上,但能不能跑完全程,AI解决不了。传统制药该走的每一步,AI制药一样要走。因此,AI制药在分子找到之后所面临的风险和挑战,与传统制药本质上是一样的。而AI制药特有的风险集中在数据质量、算力供给和模型可靠性上。如果英矽智能等企业的管线能陆续跑出结果,整个行业的信心会更强。AI制药更大的价值或许不在于“跑得更快”,而在于它选拔出来的选手跑完全程的概率更高。

从更宏观的视角看,AI对医药行业的意义不止于单一靶点或单一药物。一套成熟的AI平台能够在多个疾病领域并行推进。英矽智能的管线覆盖纤维化、肿瘤、免疫、代谢、神经等多个领域。这种多线作战的能力在传统研发模式下难以实现,传统Biotech可能同时只能聚焦推进三五条管线,因为每条管线从靶点发现到PCC就要花四年半、上千万美元。而在英矽智能,从靶点发现推进到PCC平均只要12至18个月,成本降到几百万美元。同样的资源可以覆盖更多管线,这降低了单一项目失败带来的系统性风险。

任峰认为,这种变化最终要传导到患者端才有意义。“研发周期缩短了、成本降低了,不一定意味着药价就一定降多少,因为药价涉及很多因素,但它意味着患者能更早地用上新的治疗手段。尤其是那些罕见病、目前无药可治的疾病,AI让针对这些疾病的药物研发在经济上变得可行。以前花十年、十亿美元做一个药,针对小病种可能收不回成本;现在成本降到五分之一甚至十分之一,更多‘小众’疾病就有了被关注、被治疗的可能。”

在2026年这个节点上,一个由AI发现和设计的药物已经站在了III期的起跑线上。它是否能够完成从算法到患者的完整闭环,答案将在未来几年内逐渐揭晓。

北京商报记者 董亮 王悦彤

一线对话

英矽智能联合首席执行官
兼首席科学官任峰博士:

AI让好药有机会来得更快

北京商报:英矽智能在AI制药行业中最核心的优势是什么?有观点认为,AI制药效率的提升不等于临床成功率提升,您对此如何看待?

任峰:英矽智能最核心的优势在于真正实现了“端到端”的AI驱动药物研发体系。从靶点发现、分子设计、分子优化,到后续的适应症拓展,整个研发链条都由我们的AI平台深度赋能。

“效率提升并不等于临床成功率提升”这样的质疑是合理的。现阶段,AI在临床前研发中的赋能作用最为突出;而在临床阶段,影响力仍然相对有限。临床试验属于高度监管的领域,即便AI能够提出更优的设计或执行方案,也必须经过监管机构审批后才能落地。但这并不意味着AI只能提升效率,而无法提升成功率。

药物研发的成功,通常取决于“3R”——正确的靶点、正确的分子和正确的临床试验。三者中任何一个环节出现偏差,都可能导致项目失败。AI的价值首先体现在前两个“R”上。在靶点发现阶段,AI可以系统整合和分析海量多组学数据,从而更高概率地识别出真正与疾病机制相关的靶点。在分子设计阶段,AI能够在化合物合成之前进行大规模虚拟筛选、成药性评估,把潜在失败风险较高的分子尽早筛选。前两个环节做得更扎实,进入临床后的项目质量自然更高,成功率也有望随之提升。

北京商报:AI制药过去更多是技术层面的讨论,现在开始有产品启动III期临床试验。站在这个节点上,您觉得行业接下来的突破口是什么?

任峰:从业务突破来看,比较期待的是AI结合类器官和器官芯片,逐步替代部分动物实验。这也是包括FDA在内的监管机构目前非常支持的方向。动物实验一直是药物研发的重要工具,但它对人体临床结果的预测并不总是理想。如果未来能通过类器官、器官芯片和AI建模,获得比动物实验更好的预测性和机制解释能力,那不仅有望减少动物使用,也有机会真正提升临床转化成功率。在英矽智能,我们也在依托自动化实验室,搭建以肝类器官为核心的自动化筛选和评价平台,用于早期肝毒性评估。

北京商报:AI制药能给普通人带来哪些感受到的变化?您预计普通人什么时候能用上一款真正“AI设计”的药?

任峰:最直接的变化是,以前有些病没药可用,未来可能会有药了。另外的变化是让好药有机会来得更快。传统新药研发往往要十年以上,而AI已经在明显缩短早期研发时间。虽然临床阶段还很难大幅提速,但至少在源头创新上,速度提升很明显。对患者来说,快一点就多一分希望。

我的判断是第一款完全由AI发现和设计的药物,有望在2030年前后获批上市。一旦这个范式被验证,后面会有越来越多AI药物进入不同疾病领域。到那个时候,大家可能不会特别在意它是不是“AI设计”的,患者真正关心的还是它有没有效、能不能更快用上。

/改写效率曲线/

AI对制药行业的重构,最终落点在患者端,让缺少有效治疗方案的疾病,有机会更快等到可及的药物。

中研普华产业研究院发布的数据显示,全球AI制药市场2025年规模约24.9亿美元,2035年有望突破460亿美元,复合年增长率有望超过33%。从行业层面看,AI正在系统性改写药物研发的效率曲线。

任峰认为,研发效率整体提升之后,创新药的发现者会变得更加“分散”和“多元”。AI驱动的研发模式降低了对个体经验的依赖,以前靠的是化学家、生物学家个人知识积累和直觉判断,现在靠的是数据驱动。

与之相对应的是更多源头创新的涌现。传统模式下,很多药企为了控制风险选择成熟靶点做微创新,不敢碰真正新的方向。但AI让探索以往难以触达的新靶点成为可能。Rentosertib针对的靶点TNIK,全球只有英矽智能有药物进入临床。“这种源头创新的能力,意味着未来不仅有‘量’的增加,更有‘质’的突破。”任峰表示。

效率改善的直接受益者是患者。以特发性肺纤维化为例,过去十多年没有新机制药物获批,大量患者面临无药可用的困境。Rentosertib的IIa期临床数据显示,该药物不仅减缓了肺功能下降,还观察到了肺功能改善的信号。III期研究预计2028年至2029年完成,如果最终获批,将打破这一局面。