

中图分类号: R95 文献标志码: A 文章编号: 1006-4931(2026)06-0026-05
doi:10.3969/j.issn.1006-4931.2026.06.006



人工智能用于药物研发领域的法律挑战与治理*

秦 华¹, 于德志², 张淳熙³, 黄 鹏¹

(1. 山东省济南市食品药品检验检测中心, 山东 济南 250102; 2. 山东省青岛市食品药品检验研究院·国家药品监督管理局海洋中药质量研究与评价重点实验室, 山东 青岛 266071; 3. 西安信息职业大学, 陕西 西安 710125)

摘要:目的 为构建符合我国国情的药物研发领域人工智能(AI)应用治理框架提供思路及参考。方法 总结 AI 在药物研发领域的应用场景及技术特征, 分析应用中存在的法律挑战, 并提出健全我国药物研发领域 AI 应用法律治理的对策建议。结果 当前, AI 在药物研发领域的应用包括“基于结构的药物设计”等, 应用领域包括“新药发现与设计”等, 核心技术/方法包括“分析蛋白三维结构, 预测药物-蛋白结合模式与亲和力”等, 共 8 类; 面临的法律挑战包括数据权属不明引发的合规性问题, 药物临床试验当事人尊严和自主性的保护, 药物上市后监测的公平性和透明性, 以及针对多元责任主体的归责和问责机制。对此, 可通过构建治理原则体系, 探索法律框架完善路径, 制定监管体系优化方案, 加强人才队伍建设, 开展国际经验的本土化实践等对策不断完善法律治理。结论 AI 技术显著提升了药物研发效率, 但技术迭代与法律规制的脱节引发了多重风险。为规范药物研发 AI 应用的流程, 保证制药企业的数据完整、安全, 保障临床试验相关当事人的权益, 应进一步完善相关法律法规。

关键词: 药物研发; 人工智能; 法律法规; 治理框架

*基金项目: 山东省济南市法治研究课题[济法办发[2025]1号, 济司通[2024]32号]。

第一作者: 秦华, 女, 硕士研究生, 主任药师, 研究方向为药事管理, (电子信箱)qh780210@126.com。

全面且深度融合。

综上所述, 基于“1+N”能力培养的中药药剂学理论与临床实践融合教学的持续推进, 亟须多方协同, 持续加以改进。在教师队伍建设方面, 学校应加大对“双师型”教师的引进与培养力度, 为其搭建便于临床实践与学术交流的平台, 激励更多既精通理论知识又有丰富临床经验的专业人才投身教学, 同时合理分配其教学、临床及科研任务, 确保教师有充足时间专注教学。在教学资源优化上, 学校与医院应联合共建临床案例库, 精选典型且易于学生理解的优质案例, 丰富教学素材, 实现资源共享; 对理论知识进行模块化整合, 突出重点, 采用线上线下混合式教学, 将部分理论知识前置, 利用假期或课余时间灵活安排实践教学。此外, 后续研究还将通过扩大样本范围, 持续开展系列教学实践与探索, 不断完善融合教学模式的实施路径与细节, 从而推动中药药剂学理论与临床实践融合教学取得更好的成效。

参考文献

[1] 杨玉春. 高校医学教育学科发展的反思与探索[J]. 中国医药导报, 2023, 20(1): 85-89.

[2] 万晓文, 黄 蓉, 武 宁, 等. 我国中医药政策回顾与展望[J/OL]. 中国全科医学: 1-10[2026-01-22]. <https://link.cnki.net/urlid/13.1222.R.20241204.1606.004>.

[3] 徐莲英, 陶建生, 冯 怡, 等. 中药制剂发展的回顾[J]. 中成药, 2000, 22(1): 8-23.

[4] 赵黛坚, 杨 玲. 我国医药类高职高专院校药剂学教学现

状与思考[J]. 高教学刊, 2021, 7(21): 55-57.

[5] 王 斌, 刘函菲, 薛 斌, 等. 中临床实践教学的研究[J]. 中国中医药现代远程教育, 2024, 22(21): 185-188.

[6] 申俊龙, 张海波, 温雯婷, 等. 中医药复兴之路: 对传统中医药的返本与开新[J]. 医学与哲学(A), 2017, 38(1): 84-88.

[7] 樊玉录, 别春晓, 徐一新, 等. 中外药学类人才培养模式比较研究[J]. 药学教育, 2024, 40(6): 24-28.

[8] 黄海鹏, 徐晓红. 近代中医药院校课程设置的历史变迁及启示[J]. 医学与社会, 2022, 35(3): 133-139.

[9] 刘高峰, 陈 孝, 张毕奎, 等. 中国医院药理学学科的建设与发展[J]. 中国药理学杂志, 2023, 58(22): 1993-2015.

[10] 黄华花, 秦泽慧, 郑彩美, 等. 基于成果导向教育理念的中药药剂学综合实验教学研究与实践[J]. 中国当代医药, 2023, 30(29): 177-180.

[11] 王雅婷, 张玺雅, 薛春龙, 等. 基于 CDIO-PBL 法提升学生自主学习能力的实践——以中药药剂学课程为例[J]. 中国中医药现代远程教育, 2024, 22(18): 13-16.

[12] 王英姿, 杜守颖, 吴 清, 等. BOPPPS 模式与虚拟仿真实验相结合的中药药剂学教学初探[J]. 卫生职业教育, 2022, 40(6): 86-88.

[13] 朱德全, 艾景雯. 新时代教育评价改革核心价值体系: 逻辑框架与建设路向[J]. 中国远程教育, 2025, 45(2): 3-19.

[14] 路 玲, 刘 婧, 关志宇, 等. 《中药药剂学》课程混合式教学设计的理论与实践[J]. 时珍国医国药, 2019, 30(9): 2237-2239.

[15] 李 晓, 邓丽娜, 胡 艳, 等. 高校教育教学改革研究[J]. 教育与教学研究, 2020, 34(12): 91-119.

(收稿日期: 2025-03-20; 修回日期: 2025-11-13)

Legal Challenges and Governance of Artificial Intelligence Applications in the Field of Drug Research and Development

QIN Hua¹, YU Dezhi², ZHANG Chunxi³, HUANG Peng¹

(1. Jinan Center for Food and Drug Control, Jinan, Shandong 250102, China; 2. NMPA Key Laboratory for Quality Research and Evaluation of Traditional Marine Chinese Medicine, Qingdao Institute Food and Drug Control, Qingdao, Shandong 266071, China; 3. Xi'an Vocational University of Information, Xi'an, Shaanxi 710125, China)

Abstract: Objective To provide ideas and references for constructing a governance framework for artificial intelligence (AI) applications in the field of drug research and development that aligns with China's national conditions. **Methods** Application scenarios and technical characteristics of AI in the field of drug research and development were summarized, legal challenges existing in the application were analyzed, and countermeasures and suggestions for improving the legal governance of AI application in the field of drug research and development in China were proposed. **Results** Currently, AI applications in the field of drug research and development include "structure - based drug design", and its application include "new drug discovery and design", the core technologies / methods include "analyzing protein three - dimensional structures, predicting drug - protein binding modes and affinities", a total of eight categories. The legal challenges faced include compliance issues arising from unclear data ownership, protection of the dignity and autonomy of drug clinical trial participants, fairness and transparency of post - marketing drugs surveillance, as well as the attribution and accountability mechanisms for multiple responsible subjects. In response, legal governance can be continuously improved through measures such as constructing a system of governance principles, exploring paths for improving the legal framework, formulating optimization plans for the regulatory system, strengthening talent team building, and carrying out localized practices of international experience. **Conclusion** AI technology has significantly improved the efficiency of drug research and development. However, the disconnection between technological iteration and legal regulation has triggered multiple risks. Relevant laws and regulations should be further improved to standardize the process of AI application in drug research and development, ensure the integrity and security of data for pharmaceutical companies, and safeguard the rights and interests of parties involved in clinical trials.

Key words: drug research and development; artificial intelligence; laws and regulations; governance framework

2024年国务院《政府工作报告》明确将深化“人工智能(AI)+”行动列为国家战略布局。AI技术已应用于药物研发全流程,靶点发现效率大幅提升,临床试验患者匹配精度明显提高,为创新药发展发挥了巨大的作用,为实现公众用药安全产生了深远意义。然而,技术跃进与法律法规滞后的矛盾日益凸显。通过对AI应用相关法律法规的研究,分析其对医药行业、制药企业、公共健康构成的法律挑战,亟需法律作出相应回应。本研究中聚焦制药企业从临床前研发到药物临床试验阶段的法律问题,重点探讨企业数据保护、药物临床试验相关当事人尊严和自主权益保护,以及药物临床试验中AI应用的公平性和透明度等议题,明确药物研发AI的治理原则,建立初步的立法框架,从规范、合理、高效的监管体制等角度构思了我国药物研发AI的治理框架,进而推进AI在药物研发领域的合规性及广泛应用。

1 应用场景与技术特征

药物研发是医学领域的关键环节,对于疾病的预防、诊断、治疗及改善患者生活质量具有重要意义。传统药物研发过程往往需投入高昂的经济成本和时间成本,且最终能在临床成熟使用并推向市场的药品较少,因此需要探索新的研发领域应用AI,以提高药物的设计效率,相关应用见表1(NLP为自然语言处理,ADMET为吸收、分布、代谢、排泄、毒性的合称,ML为机器学习,

FDA为美国食品和药物管理局)。

AI技术有望使药物研发的过程更高效,为医疗卫生事业的长远发展带来积极影响。然而,尽管药物研发领域的AI已进入飞速发展阶段,但配套监督框架仍不完善,如计算机病毒引发的恶意攻击,违反道德伦理的软件设计,系统意义报错,以及人为操作失误及数据来源不合法等问题可能对公共健康和个人权利构成挑战。因此,需完善相关法律法规,针对相关问题和挑战采取有效的措施,使公众真正在此技术中获益。

2 药物研发领域应用的法律挑战

2.1 数据权属不明引发的合规性问题

主要问题、具体表现/风险、相关法规/案例见表2。分析以上核心矛盾产生原因,一是数据需求与合规性存在冲突,药物研发需要海量数据支撑,但现行法规(如《个人信息保护法》)要求最小化收集,且需严格知情同意;二是权属界定模糊,AI生成数据的版权归属、侵权责任划分缺乏明确法律界定,易引发纠纷^[6]。

2.2 药物临床试验当事人尊严和自主性的保护

AI在药物临床试验中的应用虽提升了效率和数据分析能力,但也对受试者的尊严和自主性保护提出了挑战。国际公约(如《赫尔辛基宣言》《奥维耶多公约》)和我国《民法典》《涉及人的生命科学和医学研究伦理审查办法》均强调保护人格尊严和人权。AI的进步使其

表1 AI在药品研发领域的应用

Tab. 1 Applications of AI in the field of drug research and development

类别	应用领域	核心技术/方法	具体应用/案例
基于结构的药物设计	新药发现与设计	分析蛋白三维结构, 预测药物-蛋白结合模式与亲和力	活性预测表现超过专业人员水平, 加速先导化合物筛选
基于配体的药物设计	分子发现与机制挖掘	NLP技术检索文献/专利数据, 药效团建模与相似性搜索	发现被忽视的疾病通路和潜在药物分子, 提升筛选效率
药物优化策略	先导化合物优化	预测ADMET性质	指导结构改造, 提升药效与安全性, 缩短优化周期
药物改造方法	分子结构改造	生成模型预测蛋白-配体作用, 化学基团替换模拟	创建性能更优的新分子库(如增强亲和力或代谢稳定性)
药物临床试验应用	患者分层与疗效预测	深度学习分析患者基因/医疗记录, 预测药效与不良反应	制订个性化诊疗方案, 降低试验风险
数据自动化处理	试验数据分析	处理海量试验数据(如IBM Watson分析肿瘤免疫治疗数据)	提供治疗建议, 提升试验效率与成功率
药品审批决策支持	新药安全评价	ML分析历史审批数据, 构建预测模型(如ML与Cox模型对比)	2019年FDA使用ML预测新药申请时间, 优化资源配置 ^[1]
上市后监测	药物安全监测	NLP+ML处理个例报告, 构建可视化平台(如InfoViP平台)	2020年FDA通过InfoViP平台自动提取安全性信息, 辅助审评决策

表2 数据权属不明引发合规性的挑战

Tab. 2 Compliance challenges caused by unclear data ownership

主要问题	具体表现/风险	相关法规/案例
数据收集的合法性与合规性	数据真实性、可靠性问题: 药物研发中收集的基因信息等可能违反个人信息保护法规; 非用户个人信息: 通过爬虫技术获取时, 知情同意原则难以完全履行, 增加开发成本; 用户个人信息: 用户协议冗长难懂, 默认同意条款易引发争议, 实际未满足“充分知情、自愿”要求 ^[2] ; 过度收集风险: 药物研发需大量数据, 与《个人信息保护法》“最小范围”原则冲突	《民法典》第1034条(保护生物识别信息、健康信息)、第1035条(合法处理个人信息需征得同意); 《个人信息保护法》规定“最小范围”收集原则(如制药企业使用ChatGPT处理患者数据引发的诉讼) ^[3-5]
数据保密与知识产权风险	未经授权使用数据: AI可能在未授权情况下收集他人数据, 侵害知识产权或著作权; AI生成物权属争议: AI生成内容是否受著作权保护? 如何判定侵权责任? 学术伦理风险: 利用AI撰写论文时, 可能未经许可使用他人数据, 存在著作权侵害风险	生成式AI训练数据可能侵犯原作品著作权(如论文、专利数据) 案例: 美国“猴子自拍案”引申问题等(AI生成内容是否构成“作品”尚存法律争议)
数据使用与责任划分难题	AI系统依赖他人数据: AI通过算法学习他人数据生成判断, 但前期数据来源合法性存疑; 侵权责任主体不明确: 若AI生成物侵权, 责任应归属开发者、使用者还是AI系统本身?	现行法律未明确AI生成物的权属及侵权责任划分

能高度模拟人类分析能力, 优化试验设计并减少数据丢失, 但过度依赖AI可能导致临床医师忽视独立判断, 使患者权益被算法主导^[7]。

关键在于, AI无法像人类一样考量伦理和尊严, 这可能使受试者的自主性受损。例如, 若医师完全依赖AI决策, 可能忽视患者的个体需求, 甚至违反知情同意原则。2024年生效的《欧盟人工智能法案》将高风险AI系统(如医疗决策类)纳入严格监管, 并要求人类监督, 避免自动化系统威胁基本权利^[8]。我国《互联网诊疗监管细则(试行)》也禁止AI自动生成处方, 强调人类主导医疗决策。

因此, 在AI辅助临床试验时, 需平衡技术创新与伦理合规, 确保人类医师保留最终决策权, 并将法律法规和伦理审查纳入全流程, 以保护受试者的尊严和自主性^[9]。

2.3 药物上市后监测的公平性和透明性

药物研发具有高投入、高风险的特点, 上市后仍需持续监测疗效和不良反应。AI技术的应用虽然提高了监测效率, 但也面临显著挑战。首要问题是“算法黑箱”, 由于技术壁垒导致的信息不对称, 使得AI系统的决策过程难以被理解。这种不透明性源于编程者的主观偏好、技术偏差等因素^[10], 可能引发系统性偏见, 严重影响监测的公平性和可信度。生成式AI的自主创造性加剧了这一矛盾, 其输出内容可能超出开发者预期和控制范围^[11-12]。

另一个关键挑战是数据偏差问题。现有医疗数据库往往缺乏偏远贫困地区人群的健康数据, 临床试验样本也常集中于特定群体, 导致监测结果存在系统性偏差。这种数据鸿沟不仅影响药物安全性评估的全面性, 还可能引发治疗公平性问题。虽然扩大样本采集范围可一定程度缓解这一问题, 但也会导致额外成本大量增加。

2.4 多元责任主体的归责和问责机制

AI在药物研发应用中面临严峻的法律责任认定难题。当前AI系统存在算法缺陷风险, 可能导致数据采集失败或遗漏, 进而引发严重医疗后果。然而, 现行法律体系尚未建立成熟的追责机制, 《药品管理法》第三十条虽明确药品上市许可持有人为主要责任主体, 但AI的介入使这一框架面临挑战。

核心问题体现在3个方面。首先, AI技术平台承担了原本由研发人员负责的药物模型设计、临床数据采集等工作, 其系统稳定性直接影响药品质量, 可能成为新的责任主体; 其次, AI自主学习能力可能突破预设限制, 在使用隐私数据或产生意外结果时, 单纯追究设计者责任显失公平; 最后, 传统过错责任与严格责任原则难以直接照搬至AI场景中, 责任构成要件与法律后果缺乏明确标准。

这一困境源于AI技术的特殊性, 其生成自主学习能力可能超出开发者预期, 而现行法律仍以人类行为

为中心构建责任体系。要解决这一问题,需重新审视责任分配原则,建立适应AI技术特点的归责机制,同时明确技术开发者、使用者和监管方的权责边界。

3 法律治理对策建议

3.1 治理原则体系构建

药物研发领域AI应用需建立完善的治理原则体系,确保技术创新与伦理规范的平衡发展。首先是安全至上,要求AI药物的研发必须以疾病治疗为目的,建立涵盖模型架构、验证测试、数据处理的全流程安全评估机制,确保数据的真实、完整、安全。其次是坚持以人为本,在药物临床试验和上市后评价中确保人类主导地位及受试者权益^[13]。隐私保护原则要求完善个人信息保护框架,规范数据采集和使用流程,确保数据来源合法合规。透明度和信任度原则强调算法可解释性^[14],要求开发商、监管机构和用户共同参与治理,建立多方信任机制。最后是责任明确原则,需要构建清晰的问责制度,明确界定各方责任,同时建立有效的追责机制。

3.2 法律框架完善路径

药物研发领域法律框架的构建需从多个维度推进。首先,要明确AI法律主体地位,根据自主程度划分责任等级,对非临床和临床研究实施差异化监管;其次,要完善现有法律体系,整合药品管理相关法规,制定专门的部门规章,建立版权公示和溯源机制^[15];再次,要积极参与国际协调,借鉴世界卫生组织(WHO)等国际组织的指导原则,推动监管互认。特别是WHO《卫生领域人工智能的伦理和治理指南》提出的六大AI治理原则,值得参考,其中涉及药物研发领域的包括保护人类自主权(数据收集合规性)、确保透明度(“算法黑箱”)、建立问责制(明确责任主体)、保障公平性(避免数据偏见)。多管齐下,从而建立适应AI特性的归责体系^[16]。

3.3 监管体系优化方案

要建立科学高效的监管体系,首先要完善监管机构设置,明确国家卫生健康委员会、国家药品监督管理局等部门的职责分工,建立跨部门协调机制,设立专业评审部门;其次要强化数据治理,制定国家药物数据标准,完善电子监管系统,规范企业知识库建设^[17],防范数据泄露风险。在监管方式上需平衡创新与安全,建立优先审批通道,制定科学的监管标准,同时加强国际交流合作。特别要注重监管的前瞻性,适应AI技术的快速发展,建立动态调整机制。在监管手段上要充分利用数字化技术,提升监管效率和精准度。

3.4 人才队伍建设策略

人才是保障AI药物研发质量的关键。首先,要提升开发者专业素养,加强AI与医药复合型人才培养,规范开发流程,建立技术合法性审查机制;其次,要强化使用者培训,完善操作人员培训体系,提升算法理解能力,建

立有效的反馈修正机制。同时,构建协同治理网络,促进产学研合作,建立多方监督体系,完善争议解决机制。特别要注重伦理意识培养,将伦理审查贯穿研发全过程。在组织管理上,企业要建立专门的质量保证团队,监管部门要培养专业的AI评审人员,共同提升治理水平。

3.5 国际经验的本土化实践

国际经验为我国提供了重要参考。如欧盟强调高风险AI分类管理,要求人类监督,建立严格的数据治理规范。美国FDA建立了AI医疗产品审批路径,注重真实世界证据应用^[18]。我国应结合国情,选择性吸收国际经验,在保障安全的前提下鼓励创新。具体可建立试点项目,积累经验后再推广;制订阶段性目标,稳步推进治理体系建设;保持法规的灵活性,适应技术快速发展^[19]。同时积极参与国际规则制订,提升话语权,推动形成有利于我国医药产业发展的国际环境。

3.6 实施路径与展望

健全法律治理体系需分步实施:短期内(1~2年),应制定指导意见,建立试点项目,完善基础规范,启动人才培养;中期内(3~5年),要出台专门法规,健全监管体系,深化国际合作;长期目标是形成完整的治理体系,引领国际标准。建议成立跨部门协调机构,统筹推进相关工作。未来随着技术进步,需持续优化治理体系,在保障安全的同时促进创新,推动我国医药产业高质量发展。通过多方共同努力,构建具有中国特色的药物研发AI治理模式,为全球治理贡献中国智慧。

4 结语

AI为发展新质生产力提供了关键驱动力,其通过算法优化、模型创新等手段,加快了在药物研发领域的科技创新和应用。为确保相关技术持续健康发展,必须加强监管,明确AI在药物研发领域开发和应用所带来的机遇和挑战,通过明确治理原则,构建立法的初步框架,建立科学合理高效的AI监督体系,提升开发企业及使用单位职业素养等,确保人类“守法”,机器“守德”,从而推动新药研发领域的发展,保障群众的健康。

参考文献

- [1] 李 帅,董正龙,吴 浩,等. 人工智能应用于制药领域的监管对策探讨[J]. 中国医药工业杂志,2024,55(3):406-411.
- [2] 陈宏光,安诗凤. 生成式人工智能训练数据的风险与治理研究[J]. 海南开放大学学报,2024,25(1):110-118.
- [3] 赵文婷. 人工智能数据安全方面法律治理的现状、问题与建议[J]. 法制博览,2022(9):154-156.
- [4] 侯跃伟. 生成式人工智能生成内容的法律属性及刑法保护[J]. 江西社会科学,2024,44(8):101-112.
- [5] 张新玲,谢永生,章 权. ChatGPT对学术期刊的挑战及其应对策略[J]. 传媒,2023(19):27-29.
- [6] 郑 婕. 人工智能侵权现状及法律规制思路[J]. 法制博览,2024(10):133-135.