

# FDA 与 EMA 联合发布《人用药品和生物制品研发中人工智能良好实践指导原则》解读



张 华<sup>1, 2</sup>, 李鹏飞<sup>3</sup>, 付红军<sup>1</sup>

1. 浙江省医药健康产业集团有限公司 (杭州 310006)
2. 杭州医学院药学院 (杭州 310053)
3. 浙江英特药业有限责任公司 (杭州 310005)

**【摘要】** 2026 年 1 月 14 日, 美国食品药品监督管理局 (FDA) 与欧洲药品管理局 (EMA) 联合发布了《人用药品和生物制品研发中人工智能良好实践指导原则》, 这是全球两大主要药品监管机构首次就人工智能 (AI) 在药物研发中的应用达成共识性框架。该文件提出了 10 条核心原则, 涵盖 AI 系统从设计、开发、评估到全生命周期管理的完整流程, 为制药行业运用 AI 技术赋能药品研发提供了监管期望的明确指引。本文系统解析该指导原则的发布背景、核心内容与监管逻辑, 并在此基础上提炼出 5 个贯穿始终的核心思维模型: 风险-收益平衡、全生命周期管理、可追溯性与透明性、多学科协作、证据生成与验证。基于这 5 个模型, 文章从“分层递进”“原则导向、弹性适应”“以终为始的闭环思维” 3 个维度揭示文件的核心特点, 并结合对 AI 辅助制药产业的现实观察, 论述该文件对制药行业的实践指导价值、合规挑战与研发模式重塑。研究认为, 该指导原则标志着药品监管从“被动接受”向“主动引导” AI 技术应用的范式转变; 未来 AI 辅助制药领域的竞争将不再是算法精度的军备竞赛, 而是上述 5 个思维模型内化程度的比拼。早期采纳这些原则的企业有望在监管互动中获得战略先机。该文件为全球 AI 辅助制药监管协调奠定了重要基础, 对中国构建自主的 AI 辅助制药监管框架亦具有启示意义。

**【关键词】** 美国食品药品监督管理局; 欧洲药品管理局; 人工智能; 药品研发; 指导原则; 监管科学

**【中图分类号】** R95

**【文献标识码】** A

Interpretation of the *Guiding Principles of Good AI Practice in Drug Development* jointly released by FDA and EMA

ZHANG Hua<sup>1,2</sup>, LI Pengfei<sup>3</sup>, FU Hongjun<sup>1</sup>

1. Zhejiang Pharmaceutical Group Co., Ltd., Hangzhou 310006, China
  2. Department of Pharmacy, Hangzhou Medical College, Hangzhou 310053, China
  3. Zhejiang Inter Pharmaceutical Co., Ltd., Hangzhou 310005, China
- Corresponding author: ZHANG Hua, Email: zhangh@zj-p.com

**【Abstract】** On January 14, 2026, the U.S. Food and Drug Administration (FDA) and the European Medicines Agency (EMA) jointly released the *Guiding Principles of Good AI Practice in Drug Development*, marking the first consensus framework reached by the world's two major pharmaceutical regulatory authorities on the application of artificial intelligence (AI) in drug development. This

DOI: 10.12173/j.issn.2097-4922.202603020

通信作者: 张华, 硕士, 副主任药师, Email: zhangh@zj-p.com

<https://yxqy.whuzhmedj.com>

document outlines 10 core principles that cover the entire lifecycle of AI systems, from design and development to evaluation and management. It provides clear guidance on regulatory expectations for the pharmaceutical industry to leverage AI technology to empower drug development. This paper systematically analyzes the release background, core content and regulatory logic of these guiding principles, and on this basis extracts 5 core thinking models that run through them: risk-benefit balance, lifecycle management, traceability and transparency, multidisciplinary collaboration, and evidence generation and validation. Based on these 5 models, the article reveals the core characteristics of the document from 3 dimensions: "progressive layering", "principle-oriented and flexible adaptation", and "end-to-start closed-loop thinking". Drawing on practical observations of the AI assisted pharmaceutical industry, the paper discusses the practical guidance value for the pharmaceutical industry, compliance challenges, and the reshaping of drug development models. The study concludes that these guiding principles signify a paradigm shift in pharmaceutical regulation from "passive acceptance" to "active guidance" of AI technology applications. Future competition in the AI assisted pharmaceutical field will no longer be an arms race of algorithmic accuracy, but rather a contest of the degree of internalization of the above 5 thinking models. Companies that adopt these principles at an early stage are likely to gain a strategic advantage in their interactions with regulators. This document lays an important foundation for global regulatory coordination of AI assisted pharmaceutical development and also holds enlightening significance for China in building its own AI assisted pharmaceutical regulatory framework.

**【Keywords】** U.S. Food and Drug Administration; European Medicines Agency; Artificial intelligence; Drug development; Guide principles; Regulatory science

人工智能 (artificial intelligence, AI) 在药物研发领域的渗透正以前所未有的速度推进。从早期的靶点发现、分子设计, 到临床前研究、临床试验设计, 再到上市后的药物警戒和真实世界证据分析, AI 已逐步嵌入药品研发的全链条。根据 GlobalData 药物数据库的统计, 截至 2024 年 11 月, AI 已被用于开发或重新定位超过 3 000 种药物<sup>[1]</sup>。与此同时, 风险投资领域对 AI 辅助制药的关注度持续升温, 数据显示 2014 年至 2024 年间, 涉及 AI 的融资交易增长超过 400%<sup>[2]</sup>。然而, 技术应用的先行与监管规则的滞后形成了鲜明对比。制药企业在研发流程中广泛部署 AI 系统, 但监管机构长期以来缺乏统一的评估框架来审评这些 AI 生成证据的可靠性与可信度<sup>[3]</sup>。这种监管真空不仅给企业的合规工作带来不确定性, 也可能影响患者安全这一药品监管的根本目标。

欧美监管机构此前已分别就 AI 在药品研发中的应用展开探索。欧洲药品管理局 (European Medicines Agency, EMA) 于 2024 年 9 月发布了一份 AI 反思文件, 详细阐述了从药物发现到上市后各阶段应用 AI 的监管考量, 明确指出需尽快确定相关监管原则<sup>[4]</sup>。美国食品药品监督管理局 (U.S. Food and Drug Administration, FDA) 亦曾发布相关建议清单, 强调“向申办方和其他相关方提供关于使用 AI 生成信息或数据的建议”, 以支持药

物安全性、有效性和质量的监管决策<sup>[5]</sup>。然而, 分散的单边行动难以应对 AI 技术的跨国应用特性。制药企业的研发活动往往跨越多个司法管辖区, 若欧美等主要市场采用差异化的监管要求, 将导致企业面临碎片化的合规负担, 不利于技术创新和全球同步研发<sup>[6]</sup>。因此, 通过 FDA-EMA 双边会议机制推动跨大西洋监管协调, 成为当下必然选择。

在此背景下, FDA 下属的药品评价与研究中心和生物制品评价与研究中心和 EMA 联合制定的《人用药品和生物制品研发中人工智能良好实践指导原则》(*Guiding Principles of Good AI Practice in Drug Development*) 于 2026 年 1 月 14 日正式发布<sup>[4-5]</sup>。该文件是首个欧美联合发布的 AI 辅助制药监管指导文件, 标志着“欧盟与美国在新型医疗技术领域重启合作的第一步”<sup>[7]</sup>。欧洲卫生与动物福利专员 Olivér Várhelyi 在评价该文件时指出: “药物研发中人工智能良好实践指导原则, 是欧美在新型医疗技术领域重启合作的第一步。这些原则很好地展示了我们如何在大西洋两岸共同努力, 在全球创新竞赛中保持领先地位, 同时确保最高水平的患者安全”<sup>[7]</sup>。该文件定位为高层原则性指引, 为 AI 在药物研发全生命周期中的应用提供指导, 旨在“为未来各司法管辖区的监管指南、国际标准化组织和其他协作机构的工作

作奠定基础”<sup>[5]</sup>。虽然不具有强制约束力，但其作为未来国际标准制定的蓝本意义重大<sup>[8]</sup>。

本文旨在系统解析该指导原则的发布背景与文件定位、深入阐释10条指导原则的核心内涵与监管逻辑，并在此基础上提炼出贯穿始终的5个核心思维模型——风险-收益平衡、全生命周期管理、可追溯性与透明性、多学科协作、证据生成与验证。进而文章基于这5个思维模型，对文件的核心特点、监管意图进行深度分析，从“分层递进”“原则导向、弹性适应”“以终为始的闭环思维”3个维度揭示其内在逻辑；同时，结合对AI辅助制药产业的现实观察，独立判断论述该文件对制药行业的实践指导价值、合规挑战与研发模式重塑，并对国际监管协调的示范效应、从原则到实践的演进路径、新兴技术带来的监管挑战，以及对我国药品监管的启示进行系统展望。

## 1 指导原则的发布背景与定位

### 1.1 监管机构的核心关切

在AI技术加速渗透药品研发的背景下，监管机构面临的核心挑战在于：如何在鼓励创新的同时确保患者安全。文件明确指出，AI技术“有望支持多管齐下的方法，促进创新，缩短上市时间，加强监管卓越和药物警戒，并通过改进对人体毒性和疗效的预测，减少对动物试验的依赖”<sup>[5]</sup>。但与此同时，AI系统的特殊性给传统监管模式带来挑战：黑箱问题使决策过程难以追溯；数据依赖性要求对训练数据的质量提出更高标准；模型的持续演化特性与静态验证的传统范式不相适配<sup>[3]</sup>。因此，监管机构的核心关注可概括为：确保监管决策所依据的AI生成信息的可靠性<sup>[6]</sup>。这要求AI系统的开发、验证和使用过程具备足够的透明度、可追溯性和可解释性，使监管机构能够评估其产生的证据是否足以支持药品安全性、有效性和质量的结论。

### 1.2 文件的制定过程

该指导原则的制定依托于FDA-EMA双边会议机制<sup>[7]</sup>。此前，2家机构分别发布了各自的AI相关文件：EMA 2024年9月的反思文件<sup>[4]</sup>以及FDA的系列建议清单<sup>[5]</sup>。通过工作组的持续磋商，最终于2026年1月达成共识性文件<sup>[8]</sup>。

文件起草过程中汲取了既有实践经验的提炼，特别是欧洲生物技术数字化监管框架的构建

工作<sup>[1]</sup>。同时，文件的定位也与国际监管协调的总体方向相契合——与美国、英国、加拿大此前采纳的良好机器学习实践（Good Machine Learning Practices, GMLP）指导原则以及国际医疗器械监管机构论坛（The International Medical Device Regulators Forum, IMDRF）的相关文件形成呼应<sup>[2]</sup>。

### 1.3 文件的性质与定位

明确理解该文件的性质对于正确把握其应用价值至关重要。该文件是“高层原则性文件”，而非正式的行业指南，因此不具强制约束力。监管机构将其定位为“为未来各司法管辖区的监管指南、国际标准化组织和其他协作机构的工作奠定基础”。这意味着该文件旨在提供核心概念框架，确保不同AI应用场景下的灵活性，而非制定具体、详尽的操作规程。

这种定位反映了监管机构的审慎态度：在AI技术快速演进的阶段，过早制定刚性规则可能限制创新或迅速过时。通过发布原则性文件，监管机构既向行业传递了明确的期望方向，也为未来逐步细化规则保留了空间。

### 1.4 适用范围

该文件适用于生成或分析证据的AI系统，覆盖“非临床、临床、上市后和制造阶段”等药品生命周期的各个环节。适用对象包括药物开发者、上市许可申请人和持有人。具体而言，这些原则可应用于多种场景：AI赋能的临床试验设计和患者招募；机器学习驱动的药物警戒与信号检测；支持监管和上市后决策的真实世界证据分析；用于制造过程控制和质量保证的预测性AI工具等。这一广泛适用性体现了文件作为“元框架”的属性——各领域的具体应用可在原则框架下发展更为细化的操作指南。

## 2 指导原则的系统解析

### 2.1 原则1：设计以人为本（human-centric by design）

#### 2.1.1 核心内涵

AI系统的设计应遵循伦理和以人为中心的价值观，确保人类对关键决策的适当监督和控制，尊重患者权益、保障公众健康。

#### 2.1.2 监管逻辑

该原则强调技术工具性与人的主体性的关

系。AI在药品研发中应服务于最终改善患者健康的目标，而非为技术而技术。关键决策（如涉及患者安全的判断）必须保留人类监督，防止算法完全自主运行可能带来的风险。

### 2.1.3 实践意义

企业需在AI系统的设计初期即嵌入伦理考量，而非事后补救。在人机交互界面设计中应考虑用户体验和可理解性，建立清晰的人机协作机制。在涉及患者数据使用时，需尊重患者的知情同意权利。

## 2.2 原则2：采用基于风险的管理方法 (risk-based approach)

### 2.2.1 核心内涵

基于应用场景确定风险管理策略，风险考量应贯穿验证、缓解措施和监督全过程。风险等级的划分应与AI系统对患者安全和药品质量的影响程度相匹配。

### 2.2.2 监管逻辑

该原则体现了监管的“比例原则”——监管措施的严格程度应与风险等级相适应。用于支持关键临床试验决策的AI系统，其风险管理要求应显著高于用于内部文献检索的辅助工具。

### 2.2.3 实践意义

企业需建立风险分类框架，将AI应用按其对患者安全、数据完整性和监管决策的影响程度分级。高风险应用需更严格的验证和持续监控，低风险应用可采取简化管理措施，从而实现资源的优化配置。

## 2.3 原则3：严格遵循相关标准规范 (adherence to standards)

### 2.3.1 核心内涵

遵守适用的法律、科学、监管和其他相关标准，关注并采用最新的AI技术标准和良好实践。

### 2.3.2 监管逻辑

AI应用不能脱离现有药品监管体系的基本要求。同时，AI领域自身也在快速发展，新的技术标准不断涌现，监管机构鼓励企业关注并采纳这些标准，以推动行业共识的形成。

### 2.3.3 实践意义

企业需确保AI应用同时满足药品研发的既有规范，如GxP（医药行业中一系列质量管理规范的统称）要求，以及AI领域的专用标准。积极参与国际标准制定，推动AI辅助制药专用标准的形

成，也是前瞻性布局的重要策略。

## 2.4 原则4：明确技术应用场景边界 (clear context of use)

### 2.4.1 核心内涵

AI技术应有明确定义的角色和使用范围，清晰界定AI系统在药品研发中的具体任务和预期用途。场景边界的确定应基于充分的科学依据和验证数据。

### 2.4.2 监管逻辑

该原则旨在防止AI系统的用途泛化和超出设计范围的误用。监管机构需要理解AI系统在具体决策中的作用权重——其仅提供辅助信息，还是直接影响关键结论？这一定位直接影响后续的验证要求和审查深度。

### 2.4.3 实践意义

企业需为每个AI应用明确定义其“应用场景边界”，包括输入输出范围、预期用户、决策权重等。这为后续验证和性能评估提供了明确的基准，也便于监管机构评估AI系统的可信度。

## 2.5 原则5：整合多学科专业技术力量 (multidisciplinary expertise)

### 2.5.1 核心内涵

AI系统的开发应整合多学科专业知识，涵盖药物研发、临床医学、数据科学、软件工程、法规事务等领域。跨学科协作应贯穿系统设计、开发、验证和部署全流程。

### 2.5.2 监管逻辑

AI在药品研发中的应用本质上是一个交叉领域问题。纯技术导向的开发模式可能忽略药物研发的特殊需求或监管要求，导致生成的AI系统虽然技术指标优异，但无法在真实场景中有效使用。

### 2.5.3 实践意义

企业需建立跨职能团队，确保领域知识与AI技术的深度融合。法规事务专业人员应在AI系统开发早期介入，就监管期望与技术要求进行沟通，避免后期发现合规问题难以纠正。

## 2.6 原则6：强化数据治理与全流程文档记录 (data governance and documentation)

### 2.6.1 核心内涵

建立健全的数据治理体系，确保数据质量、完整性和安全性。保持详细且可追溯的记录：数据来源、预处理步骤、模型训练过程等，符合GxP对文档记录的要求。

### 2.6.2 监管逻辑

数据溯源能力是监管审查的基础。当监管机构需要评估AI生成证据的可信度时,能否追溯数据的来源、处理过程和模型训练决策至关重要。这也是药品研发中可重复性要求的具体体现。

### 2.6.3 实践意义

企业需建立覆盖数据采集、标注、存储、使用和销毁全周期的治理框架。文档记录应足够详细,使得一个独立第三方能够基于文档重现模型的训练和验证过程。“端到端的可追溯性”被视为该原则最核心的实践要求。

## 2.7 原则7: 规范模型设计与开发流程 (model design and development practices)

### 2.7.1 核心内涵

遵循模型和系统设计的最佳实践,包括软件工程原则。确保模型架构的选择与预期应用场景相匹配,开发过程应体现可重复性、透明性和质量控制。

### 2.7.2 监管逻辑

良好的开发实践是模型性能和可靠性的内在保障。与传统软件不同,AI系统的行为不仅由代码决定,还受训练数据和算法选择的影响,因此开发过程的规范性尤为关键。

### 2.7.3 实践意义

企业需将软件工程的最佳实践引入AI开发流程,包括版本控制、代码审查、单元测试、持续集成等。对于持续演进的AI系统,变更管理和版本追踪至关重要。

## 2.8 原则8: 开展基于风险的性能评估 (risk-based performance assessment)

### 2.8.1 核心内涵

基于风险原则对AI系统进行性能评估,评估应涵盖完整系统,包括人机交互环节。使用与应用场景相关的指标和数据,确保评估的相关性和有效性。

### 2.8.2 监管逻辑

性能评估不能仅关注模型的技术指标(如准确率、F1-score),而应结合应用场景考察其实际效用。同时,人机交互环节也是评估的有机组成部分——即便模型本身性能优异,若用户无法正确理解其输出,仍可能导致错误决策。

### 2.8.3 实践意义

企业需设计与应用场景目标对齐的评估方

案。评估指标的选择应与临床或研发任务目标对齐,而非仅关注技术指标。定期评估和持续监测,及时发现和排查问题。真实世界数据的回溯性验证也可作为补充评估手段。

## 2.9 原则9: 实施全生命周期动态管理 (life cycle management)

### 2.9.1 核心内涵

AI系统采用全生命周期管理方法,基于风险的质量监督应贯穿始终。定期重新评估,确保系统在持续使用中的性能和可靠性,应对数据漂移等问题。

### 2.9.2 监管逻辑

AI系统不同于传统软件——后者的验证是一次性的,而AI系统随着应用环境的变化可能发生性能衰减。概念漂移、数据漂移等问题若不及及时发现和纠正,可能导致系统在部署后逐渐失效。

### 2.9.3 实践意义

企业需建立持续监控机制,对部署后的AI系统进行定期评估。重大变更(如模型更新、数据源变化)需重新验证。监管机构期望看到的是对“持续可靠”的保障,而非仅对“静态版本”的验证。

## 2.10 原则10: 保障信息传递清晰且具备必要性 (clear, essential information)

### 2.10.1 核心内涵

AI输出的信息应以清晰易懂的方式呈现给用户和患者,解释技术的用途、性能、局限性和可解释性。信息传递应具备针对性,满足不同受众的信息需求。

### 2.10.2 监管逻辑

透明性是建立用户信任的基础,也是知情同意的组成部分。患者和医务人员需要理解AI系统的作用和局限性,才能做出知情的决策。局限性披露有助于防止对AI输出的过度依赖或误读。

### 2.10.3 实践意义

企业需根据不同受众(患者、医生、监管机构)的信息需求,设计差异化的信息披露方案。面向监管机构的信息传递应侧重于模型开发和验证的关键证据;面向患者的信息则应通俗易懂,明确说明AI的作用和局限性。

## 3 指导原则的核心特点与监管意图

### 3.1 核心思维模型: 5个认知框架

纵观FDA与EMA联合发布的10条指导原则,

其背后隐藏着一套连贯的监管哲学。这套哲学并非简单罗列要求，而是建立在5个核心思维模型之上<sup>[9-11]</sup>。理解这些思维模型，是把握该指导原则真正意图的关键。

### 3.1.1 风险-收益平衡思维 (risk-benefit balance)

这是所有药品监管决策的基石。在AI辅助制药领域，该模型体现为：AI应用的监管强度必须与其对患者安全和决策质量的影响程度相匹配。文件中的原则1（以人为本）和原则2（基于风险的方法）正是这一模型的直接映射。作者认为，这一思维的合理性在于，避免了“一刀切”式的过度监管扼杀低风险领域的创新，同时也防止了高风险应用因监管不足而威胁患者安全。然而，挑战在于如何准确界定“风险等级”——对于全新的AI应用场景，监管者和企业往往缺乏历史经验来校准风险阈值。

### 3.1.2 全生命周期管理思维 (life cycle management)

药品从研发到退市的全生命周期管理早已是药品生产质量管理规范（Good Manufacturing Practice, GMP）和药物临床试验质量管理规范（Good Clinical Practice, GCP）的核心。该指导原则将这一思维延伸至AI系统——AI不是“训练1次、永久使用”的静态工具，而是需要持续监控、定期验证、及时纠偏的动态实体。原则8（持续性能评估）和原则9（生命周期管理）集中体现了这一思维。本文认为，这一迁移是深刻且必要的。传统药品的化学或生物活性相对稳定，而AI模型会因数据分布变化（概念漂移）或使用环境改变而性能衰减。行业尚未普遍建立AI模型的“退役机制”，这将是未来合规的重点。

### 3.1.3 可追溯性与透明性思维 (traceability & transparency)

在药品生产中，批记录、偏差调查等制度确保了每一片药的历史可查。同理，AI系统从训练数据来源、预处理步骤、模型架构选择到每次预测的置信度，都必须有详尽、不可篡改的记录。原则6（数据治理和文档管理）和原则10（清晰的基本信息）指向这一思维。本文认为，这是监管机构对“黑箱”恐惧的制度性回应。然而，对于基于深度学习的复杂模型，完全透明在技术上近乎不可能。因此，合理的平衡点是：要求“可

解释的透明度”而非“完全的‘白箱’”，即提供模型决策所依赖的关键特征和证据链，而非完整神经元的权重。

### 3.1.4 多学科协作思维 (multidisciplinary collaboration)

新药研发早已不是化学家或生物学家的独角戏。AI的介入进一步强化了这一趋势——数据工程师、软件架构师、临床医生、毒理学家、法规科学家必须共同工作。原则5（多学科专业知识）直接提出这一要求。本文认为，许多AI辅助制药公司仍以算法人才为核心，缺乏与监管科学和临床医学的深度融合。这导致开发的AI工具虽然指标漂亮，但不符合临床工作流程或监管文档要求。未来的核心竞争力，将属于那些能构建“数据-算法-临床-法规”四轮驱动团队的企业。

### 3.1.5 证据生成与验证思维 (evidence generation & validation)

传统上，药品有效性和安全性的证据来自严格设计的临床试验。AI作为证据生成工具（如用于虚拟对照臂、患者分层、不良事件预测），其输出本身必须经过验证。原则7（模型设计和开发实践）和原则8（风险验证）体现了这一思维。本文认为，这是指导原则中最具前瞻性的部分。暗示AI模型验证报告未来可能像临床试验报告一样，成为监管申报的标准附件。那些不能提供完整验证证据的AI工具，将被排除在关键决策流程之外。

## 3.2 三大特点：从罗列到内在逻辑

第一，文件呈现“分层递进”的特点。原则1和原则2（以人为本、风险适配）构成顶层伦理与风险管理框架；原则3至原则7（明确用途、多学科、数据治理、模型开发）是中间层的质量保障体系；原则8至原则10（性能评估、生命周期管理、信息透明）是底层的持续运营要求。这种从理念到执行、从静态到动态的结构，体现了监管机构对AI系统复杂性的深刻理解。

第二，文件具有“原则导向、弹性适应”的特点。其未给出具体的操作清单，而是提供了一个思维框架。这既是对AI技术快速迭代的妥协，也是一种智慧——将具体标准的制定权留给行业实践和后续指南，避免过早锁定不成熟的技术要求。

第三，文件体现了“以终为始”的闭环思维。其要求从设计之初就应该考虑全生命周期管

理，而非开发完成后再补做验证和文档。这种逆向思维对于习惯“快速迭代、后期修补”的AI团队来说是一个根本性的文化冲击。

### 3.3 监管意图的深度解读

基于上述分析，可以判断监管机构的真实意图远超出“促进创新”或“保障安全”的浅层表述。

#### 3.3.1 将AI从“技术黑箱”转化为“可审计的工具”

监管机构的核心焦虑不是AI会不会出错，而是出错后无法追溯原因。因此，所有原则最终都指向“可追溯性”——谁、何时、用什么数据、做了何种决策、产生了什么输出，必须一清二楚。这实质上是要求AI系统具备“法证友好”的架构。

#### 3.3.2 倒逼企业建立系统化的AI治理体系

单点技术突破不再是护城河。未来，企业能否通过监管审查，取决于是否建立了覆盖数据、模型、验证、文档、监控的完整治理体系。这要求企业从“项目思维”转向“体系思维”。

#### 3.3.3 为全球监管协调铺路

欧美联合发布本身就是一个信号：未来AI辅助制药的监管标准将趋向统一。中国企业若忽视国际规则，将在开拓海外市场时付出高昂的合规成本。

#### 3.3.4 引导行业形成“最佳实践”而非强制规范

文件特意采用“指导原则”而非“规定”的措辞，表明监管机构希望在技术发展早期保持灵活性，通过行业共识自然沉淀出标准，而非自上而下地强制推行。这是一种明智的“适应性治理”策略。

### 3.4 与既有监管框架的衔接

该指导原则并非凭空产生，而是与既有监管框架形成有机衔接。在医疗器械领域，美国、英国、加拿大此前已采纳的GMLP指导原则为AI在医疗领域的应用提供了早期框架<sup>[2]</sup>。IMDRF于2025年1月发布的文件对机器学习实践和软件风险文档提出了要求。本文件将这些思路拓展至药品研发领域，延续了GMLP的核心逻辑。同时，文件吸收了EMA 2024年AI反思文件的核心关切<sup>[4]</sup>，并进一步提炼为10条可操作的原则。这种“承前启后”的关系，使该文件成为AI辅助制药监管演进中的重要里程碑<sup>[12-13]</sup>。

## 4 对制药行业的影响与挑战

### 4.1 对企业的实践价值：从“可用”到“可信”

该文件最大的实践价值在于，其为企业提供了一套判断AI系统“可信度”的标尺。此前，企业往往只关注模型预测准确率等技术指标。而现在，监管要求将“可追溯”“可解释”“可验证”提升到同等重要的地位。本文认为，这会导致AI辅助制药领域的竞争维度发生转移——单纯比拼算法精度的时代正在过去，而比拼“合规智能”的时代正在开启。那些能够以最低成本满足监管文档和验证要求的企业，将获得真正的竞争优势。

### 4.2 行业采纳的差异化策略与合理路径

不同规模的企业应采取不同的策略，这是基于资源禀赋差异的理性选择。

大型制药企业拥有成熟的合规体系和充足的预算，应当“全面对齐”原则，甚至主动超越最低要求，将AI治理嵌入企业风险管理框架。其可以通过早期与监管机构的预提交会议，塑造规则制定过程。例如，葛兰素史克、礼来等制药企业已经通过与科技巨头的战略合作，将AI深度整合至研发流程，同时建立了专门的AI合规团队。

中小企业和AI初创公司资源有限，更应采取“风险分级、聚焦核心”的策略。不必追求面面俱到，但必须确保用于支持关键决策（如靶点选择、患者入组）的AI系统满足最高的验证和文档要求。对于辅助性、非关键用途的工具，可以简化管理。本文认为，最危险的错误是将所有AI工具“一视同仁”地粗糙处理——要么过度投入浪费资源，要么忽视关键风险埋下隐患。

### 4.3 合规挑战与应对：基于现实的可操作性判断

#### 4.3.1 原则的抽象性与实践细节之间的鸿沟

10条原则每一条仅有一两句话，但落地到具体操作可能需要数十页的标准操作规程。本文认为，行业短期内会涌现一批“最佳实践指南”和模板工具，类似于当年GxP的成熟化过程。企业不必从零开始，可以借鉴先行者的经验。

#### 4.3.2 数据溯源的基础设施投入

端到端可追溯要求强大的数据谱系系统。对

于使用电子健康记录、真实世界数据等非结构化、多源数据训练的模型，满足这一要求成本极高。一个合理的应对路径是：优先对用于注册申报的AI系统建立完整的数据谱系，对于内部研发探索工具，可采用轻量级的版本控制和日志记录。

#### 4.3.3 跨学科团队的构建成本

许多AI公司缺乏药物研发背景的法规专家和临床医生。本文观察到一个趋势：头部企业开始设立“AI法规事务官”职位，专门负责弥合算法团队与监管要求之间的鸿沟。中小企业可以通过外包或顾问服务弥补能力不足。

#### 4.3.4 动态管理的持续性投入

AI系统上线后需要持续监控性能衰减。这要求企业建立自动化的模型性能监测仪表盘，并设定触发重新验证的阈值。经判断，这一要求将催生新的第三方服务市场——AI模型监控即服务。

### 4.4 对研发模式的重塑：从“辅助”到“核心”

指导原则最深远的影响在于，其承认了AI系统可以作为药品研发中证据生成的主体。这意味着AI不再是边缘性的“效率工具”，而是可能改变审评决策的“关键证人”。本文认为，这会导致2种质变：一是AI系统的验证标准向临床试验看齐。未来，一个用于患者分层的AI模型，其验证报告可能需要像临床试验方案一样，经过伦理委员会和监管机构的审查。二是AI辅助制药公司的估值逻辑发生变化。过去，资本市场看重的是算法技术指标和人才团队；而未来，监管认可度、合规体系建设程度将成为重要的估值因子。那些能够展示完整的AI治理框架并获得监管机构积极反馈的公司，将获得溢价。

## 5 国际协调与未来展望

### 5.1 全球监管协调的示范效应：从双轮到多边

该指导原则的最大象征意义在于，其证明了即使在AI这一高度不确定的领域，主要监管机构仍能够达成战略共识。本文认为，这一示范效应将加速其他国家和地区（如日本药品医疗器械综合机构、中国国家药品监督管理局、加拿大卫生部）跟进制定类似框架。未来3~5年内，有望看到一套基于相同核心思维模型的国际协调标准，

从而显著降低跨国药企的合规成本。

### 5.2 从原则到实践的演进路径：基于技术成熟度的判断

根据技术采纳曲线，预测演进将分为3个阶段：第一阶段（1~3年）：探索与试点期。监管机构将保持“指导原则”的非约束性定位，鼓励行业通过试点项目积累经验。大型药企和头部AI公司会主动开展“模拟申报”，以检验自身AI治理体系与原则的差距。这一阶段的关键词是“学习”。第二阶段（3~5年）：标准与指南密集出台期。随着实践经验的积累，监管机构将发布针对具体应用场景（如AI用于虚拟对照臂、AI用于不良事件预测）的操作性指南。某些原则性要求（如模型验证文档规范）可能转化为强制规定。这一阶段的关键词是“固化”。第三阶段（5年以上）：常态化与隐性化。AI系统的验证和管理流程将与药品研发的其他环节无缝衔接，成为常规监管实践的一部分。优秀的AI治理不再是一种“额外负担”，而是企业能力的自然体现。这一阶段的关键词是“内化”。

### 5.3 技术发展对监管的持续挑战：预判

指导原则虽然前瞻，但面对一些新兴技术仍显得力不从心。本文认为以下3个挑战最为紧迫：第一，生成式AI与基础模型的监管适配。大语言模型和扩散模型的行为难以通过传统的“输入-输出”测试完全覆盖，且可能产生不可预测的“幻觉”。对此，监管可能需要转向“过程监管”——重点审查训练数据的质量、微调过程的记录以及部署后的输出采样监控，而非试图穷举所有可能的输出。第二，持续学习系统的动态验证。如果一个AI模型在部署后不断吸收新数据并自我更新，如何确保其持续可靠？本文判断，监管机构可能会要求此类系统设定“冻结周期”——定期冻结模型版本，进行完整再验证，然后再部署。这实际上是对“持续学习”的一种折中接受。第三，联邦学习的可追溯性困境。联邦学习在保护数据隐私的同时，也使训练过程更难追溯。可能的解决方案是要求引入“可验证计算”或区块链日志，记录每一轮模型更新的聚合参数和参与方，在不暴露原始数据的前提下满足可追溯性要求。

### 5.4 对我国药品监管的启示：抓住窗口期

该指导原则的发布，既反映了全球AI辅助制

药监管的共识方向,也为我国加速构建自主监管框架提供了重要参照。熊玮仪等<sup>[14]</sup>系统梳理了AI在医药产业中的应用现状及美国FDA的相关实践,并为我国药品监管中合理使用AI提出了具体建议,我国应充分吸收欧美原则的合理内核,结合国内AI产业特点和临床数据优势,尽快制定“中国版”AI辅助制药指导框架。本文建议:第一,主动对标,避免被动接轨。我国应尽快启动AI辅助制药监管框架的研究,可以参照欧美原则但不必全盘照搬,应结合国内AI产业特点和临床数据优势,制定“中国版”AI辅助制药指导原则。目前,商务部国别贸易环境信息网已转载该文件,表明国内已开始关注<sup>[15]</sup>。第二,积极参与国际标准制定。我国应借助人用药品技术要求国际协调理事会(The International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use, ICH)等平台,主动提出基于中国实践的标准建议,争夺话语权。尤其是在中药AI研发、基于真实世界数据的AI模型等具有中国特色的领域,可以输出自己的规则。第三,鼓励企业先行先试。通过试点项目、沟通交流机制,允许企业在监管沙盒中验证AI系统的合规性,积累经验。这既能减轻企业的合规焦虑,也能为监管机构提供决策依据。

## 6 结语

FDA与EMA联合发布的AI指导原则,其本质不是一份技术手册,而是一套思维模型的教学大纲。其试图将5个核心思维模型——风险-收益平衡、全生命周期管理、可追溯性与透明性、多学科协作、证据生成与验证——植入到每个AI辅助制药从业者的认知框架中。

本文的核心论断是:未来AI辅助制药领域的竞争,将不再是算法精度的军备竞赛,而是这5个思维模型内化程度的比拼。能够将“可追溯”作为设计第一原则的企业,能够在“风险分级”中精准分配资源的企业,能够把“持续监控”变成组织习惯的企业,将在监管互动中获得信任红利。

该指导原则的发布,标志着药品监管从“被动应对技术”转向“主动塑造规范”。其承认了AI作为证据生成主体的地位,同时也对其施加了与药品研发核心流程同等级别的约束。这是一场

深刻的范式转变——AI系统不再是研发人员的“副驾驶”,而是必须为自己输出的每一个结论承担“证人”责任的独立角色。

对于中国制药行业而言,这既是挑战也是机遇。挑战在于,过去那种“重算法、轻验证、缺文档”的粗放式AI开发模式将难以为继;机遇在于,如果能够快速吸收这5个思维模型,并基于国内丰富的临床数据和场景优势,形成自己的最佳实践,就有可能在新一轮的全球制药AI竞赛中实现换道超车。

正如指导原则所言:“随着AI在药物研发中的应用不断演进,良好实践和共识标准也必须随之发展。”未来的监管框架将是一个动态演进的过程,而非一成不变的条文。企业唯一能够以不变应万变的策略,就是将5个核心思维模型融入组织DNA,使之成为每一个AI项目的默认配置。这才是该指导原则带给行业最深刻的启示。

## 参考文献

- 1 FDA. Guiding Principles of Good AI Practice in Drug Development[EB/OL]. (2026-01-14) [2026-02-15]. <https://www.fda.gov/about-fda/artificial-intelligence-drug-development/guiding-principles-good-ai-practice-drug-development>.
- 2 EMA. Guiding principles of good AI practice in drug development[EB/OL]. (2026-01) [2026-02-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/guiding-principles-good-ai-practice-drug-development\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/guiding-principles-good-ai-practice-drug-development_en.pdf).
- 3 NSF (National Sanitation Foundation). FDA and EMA release guiding principles of good AI practice in drug development[EB/OL]. (2026-01-22) [2026-03-01].? <https://www.nsf.org/life-science-regulatory-news/fda-and-ema-release-guiding-principles-of-good-ai-practice-in-drug-development>.
- 4 European Medicines Agency. Reflection paper on the use of artificial intelligence in the medicinal product lifecycle[EB/OL]. (2024-09-09) [2026-04-15]. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/reflection-paper-use-artificial-intelligence-ai-medicinal-product-lifecycle\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-guideline/reflection-paper-use-artificial-intelligence-ai-medicinal-product-lifecycle_en.pdf).
- 5 Ardigen. Good AI practice is no longer optional in Drug Discovery-EMA and FDA set the direction[EB/OL]. (2026-01-22) [2026-02-15]. <https://ardigen.com/ema-and-fda-set-the-direction-in-ai-practice/#content%5Breference:2%5D>.
- 6 RAPS (Regulatory Affairs Professionals Society). EMA, FDA issue joint AI guiding principles for drug developers[EB/OL]. (2026-01-14) [2026-01-28]. <https://www.raps.org/resource/ema-fda-issue-joint-ai-guiding-principles-for-drug.html>.
- 7 European Medicines Agency (EMA). EMA and FDA set common principles for AI in medicine development[EB/OL]. (2026-01-14) [2026-04-15].? <https://www.tmf-ev.de/en/news/ema-and-fda->

- principles-for-ai-in-medicine-development.
- 8 Jones Day. EMA and FDA Align on Good AI Practice in Drug Development[EB/OL]. (2026-01-27) [2026-02-15]. <https://www.jonesday.com/en/insights/2026/01/ema-and-fda-align-on-good-ai-practice-in-drug-development>.
  - 9 Jiménez-Luna J, Grisoni F, Weskamp N, et al. Artificial intelligence in drug discovery: recent advances and future perspectives[J]. *Expert Opin Drug Discov*, 2021, 16(9): 949–959. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33779453/>.
  - 10 Bender A, Cortes-Ciriano I. Artificial intelligence in drug discovery: what is realistic, what are illusions? Part 1: Ways to make an impact, and why we are not there yet[J]. *Drug Discov Today*, 2021, 26(2): 511–524. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33346134/>.
  - 11 Bender A, Cortes-Ciriano I. Artificial intelligence in drug discovery: what is realistic, what are illusions? Part 2: a discussion of chemical and biological data[J]. *Drug Discov Today*, 2021, 26(4): 1040–1052. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33508423/>.
  - 12 上海情报服务平台. 监管机构对人工智能用于新药研发达成里程碑协议[EB/OL]. (2026-01-21) [2026-02-15]. <https://www.istis.sh.cn/cms/news/article/53/28042>.
  - 13 ProductLife Group. Operationalising EMA – FDA AI Principles in Drug Development [EB/OL]. (2026-01-19) [2026-04-15]. <https://www.productlifegroup.com/resources/operationalising-ema-fda-ai-principles-in-drug-devel/>.
  - 14 熊玮仪, 鲁爽, 王涛. 人工智能在医药产业及药品监管中的应用与思考[J]. *中国食品药品监管*, 2024, (5): 26–33. [Xiong WY, Lu S, Wang T. Application and reflection of artificial intelligence in pharmaceutical industry and drug regulation[J]. *China Food and Drug Administration*, 2024, (5): 26–33.] <https://d.wanfangdata.com.cn/periodical/ChdQZXJpb2RpY2FsQ0hJU29scjIRdWljajIRemdzcHlwamcyMDI0MDUwMDQaCDe3cG01c2Ez>.
  - 15 商务部国际贸易经济合作研究院. 美国FDA和EMA联合发布药物开发10项指导原则[EB/OL]. (2026-01-28) [2026-04-15]. <https://chinawto.mofcom.gov.cn/article/jsbl/dtxx/202601/20260103617360.shtml>.
- 收稿日期: 2026年03月07日 修回日期: 2026年04月17日  
本文编辑: 钟巧妮 洗静怡