



## 领袖视角

# 迎接创新：生命科学领域的人工智能成熟度评估框架

## 关键点

1. L.E.K.制定了一套人工智能（AI）成熟度评估框架，该框架可用于考量不同应用场景中人工智能的适用性、数据的可用性、现有能力优势、市场环境及其所产生的影响程度。
2. L.E.K.将此框架应用于药物发现领域，以评估人工智能在药物再利用、药物靶点识别、小分子药物设计以及抗体药物设计等应用场景中的成熟水平。
3. 尽管人工智能在某些场景下（例如，候选药物再利用）已经相对成熟并初显成效，但在其他场景中，数据可用性等障碍仍在逐步解决。
4. 展望未来，生成式人工智能等技术进展将进一步降低门槛，加速人工智能在生命科学领域的应用。

人工智能已成为颠覆生命科学行业的关键驱动因素，其卓越的数据处理能力、数据模式识别与预测能力令人瞩目。人工智能正越来越多地被用于加速药物发现、优化临床试验以及改善患者医疗服务。这些技术进展不仅预示着创新疗法设计与开发前景，还深刻影响着生命科学公司的战略决策制定。

本期领袖视角中，我们构建了一个评估框架，旨在全面审视人工智能在药物发现领域不同应用场景下的能力成熟度以及应用情况。

## 衡量人工智能成熟度的评估框架

L.E.K.制定了一个全面的评估框架，用于衡量人工智能解决方案的开发进展与实际应用阶段，从而帮助企业精准洞察其人工智能项目的准备情况以及发展潜力。该框架围绕五个关键维度（图1）展开，以全面评估人工智能的成熟度（图2）。



### 正确的问题

决定是否适合使用人工智能，以及人工智能解决方案与传统方法相比所具备的优势



### 正确的数据

评估目前数据的可用性、可访问性和质量



### 正确的能力

评估有效实施所需的可用工具、平台以及人才



### 正确的市场配置

考量活跃的行业玩家的数量以及药企对合作的兴趣程度



### 所产生的影响

评估人工智能产生新见解的能力，截至目前有哪些成功之处

图1  
人工智能应用场景框架



资料来源：L.E.K.研究与分析

图2  
人工智能的成熟水平以及范畴



资料来源：L.E.K.研究与分析



## 人工智能在药物发现中的应用场景评估

为了演示如何运用该框架评估人工智能的成熟度，我们特别选取了药物发现领域的四个人工智能应用场景进行剖析（图3）。

**图3**  
生命科学药物发现领域的四个人工智能应用场景

	 现有候选药物再利用	 药物靶点识别	 小分子药物设计	 抗体药物设计
 描述	识别可以结合特定靶点的现有分子，以用于其他适应症	识别可用药物治疗的靶点和生物标志物	识别和优化新的小分子候选药物	识别和优化新的抗体候选药物
 公司示例	<ul style="list-style-type: none"> <li>Atomwise</li> <li>BenevolentAI</li> <li>HealX</li> <li>BioXcel Therapeutics</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Insitro</li> <li>Insilico Medicine</li> <li>Exscientia</li> <li>BPGbio</li> <li>e-therapeutics</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Recursion</li> <li>Valo</li> <li>Nuritas</li> <li>Iktos</li> <li>Deepcure</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>BigHat Biosciences</li> <li>MABSilico</li> <li>iBio</li> <li>Antiverse</li> </ul>

资料来源：L.E.K.研究与分析

### 1. 现有候选药物的再利用

在药物发现领域，人工智能在现有候选药物的再利用方面展现出了巨大潜力，人工智能能够快速识别已知药物的新适应症，从而实现老药新用。目前，已有超过250家公司正在通过人工智能技术在这一领域展开探索，特别是在新冠疫情的推动下，这种快速且灵活的药物发现方法更是迎来新机遇。

以Baricitinib为例，这款原本用于治疗类风湿性关节炎的Janus激酶抑制剂，在BenevolentAI的知识图谱平台辅助下，被成功识别为治疗新冠的潜在药物。该药物于2020年获得美国食品药品监督管理局（FDA）的紧急使用授权，用于治疗住院的新冠患者，并在2022年基于四项随机临床试验的积极结果获得了全面批准。

通过这种方式发现的大多数化合物仍处于临床试验阶段，但这一领域的前景依然被普遍看好。随着数据资源的丰富和开放，数据的可用性和质量都有望持续提升，为人工智能在药物再利用领域的深入应用提供坚实基础。

## 2. 药物靶点识别

人工智能技术能够快速构建分子疾病模型，并在识别药物靶点和生物标志物方面展现出比传统方法更高的效率。面对海量的生物医学数据，整合多样化的非结构化数据集将是一项艰巨的任务，但人工智能却能对这种非结构化的数据集进行有效提取和分析（例如，期刊文章和组学数据库，以及医学影像和真实世界患者数据）。知识图谱将能够揭示实体之间的新联系，然而这一过程将高度依赖数据集的标准化和标注质量。

目前，利用人工智能进行药物靶点识别的项目已经通过了药物发现和临床前开发阶段，至少有20种由人工智能识别出的具有新型疾病-靶点关联的药物正在进行临床一期和二期研究。随着企业不断扩充数据集，并将研究成果反哺给人工智能算法，预计未来将有更多具有新型疾病-靶点关联或全新靶点的药物涌现。

## 3. 小分子药物设计

利用现有的化学结构数据，人工智能能够迅速模拟复杂的化学性质，并在药物结构设计上展现出比传统方法更高的速度和准确性。在此应用场景中，企业可借助人工智能对现有的化学库进行筛选，或生成新的化学结构设计。然而，数据的可用性和易用性仍然是该领域的关键挑战，因为与数十亿种化合物的完整化学空间相比，训练集规模相对较小。

此外，不同靶点类别的数据的丰富程度也存在差异（其中，激酶和G蛋白偶联受体的数据最为详尽），这在一定程度上限制了通用模型的构建以及候选药物的创新性。

如今，人工智能工具已成为小分子药物设计流程中不可或缺的一部分，而更大规模的预测性解决方案也正在不断迭代优化。目前，相较于人工智能设计的抗体药物，人工智能设计的小分子药物更为普遍。Exscientia和InsilicoMedicine等公司正在引领人工智能设计小分子药物的第一波浪潮，这些公司的临床项目已进入二期试验阶段，其结果有望揭示该人工智能在该应用场景下的成熟度和未来潜力。

## 4. 抗体药物设计

在抗体药物设计领域，人工智能正展现出日益增长的潜力，包括对现有结构的优化，以及从头开始的候选药物设计。尽管前景广阔，目前仅有少数人工智能设计的抗体药物进入临床阶段。抗体分子的复杂性为设计过程带来了独特挑战，如需要更强大的计算能力来运行大型模型。抗体序列和抗体-抗原对数据的稀缺性也限制了人工智能模型的发展。此外，由于多数训练数据都源于传统抗体设计方法的数据库，因此如何平衡抗体的特异性和亲和力等传统挑战依然存在。


幸运的是，专注于人工智能抗体药物设计的研究团队和企业生态正在不断扩张。过去一年中，多家大型制药公司纷纷宣布其内部的创新成果或与初创企业或科技巨头展开合作。

最新动态中，Xaira Therapeutics成功筹集超10亿美元资金，初期将专注于从头设计全新抗体。该公司汇聚了具有蛋白质和抗体设计扩散模型设计经验的科研人员，以及基因组学和蛋白质组学团队。未来，随着人工智能平台与制药公司合作的深化，以及标准化、开源数据的不断增加，人工智能在抗体药物设计领域的成熟度将进一步提升。

**展望：人工智能在不同应用场景中的成熟度**

在生命科学领域，人工智能应用的成熟度呈现多样化趋势，且因应用场景而异（图4）。在现有候选药物再利用和靶点识别等方面，人工智能应用已经取得了显著进展，然而在抗体药物设计等其他领域，人工智能应用仍处于较为初级的阶段。

**图4**  
人工智能在药物发现应用场景中的成熟度

	 现有候选药物的再利用	 药物靶点识别	 小分子药物设计	 抗体药物设计
 正确的问题	高	高	高	高
 正确的数据	中等	中等	中等	低
 正确的能力	高	中等	中等	低
 正确的市场配置	高	高	高	中等
 所产生的影响	高	中等	中等	低

资料来源：L.E.K.研究与分析

近年来，生成式人工智能（Generative AI）已成为生命科学领域最重要的技术突破之一。其自主生成全新的分子结构以及其他复杂数据的能力，不仅加速了创新步伐，还显著降低了传统预测性人工智能系统的成本。2023年6月，Insilico治疗特发性肺纤维化的小分子药物（INS018\_055）成为首个完全由生成式人工智能发现和设计的进入二期临床试验的药物。这款药物的临床前开发成本仅为传统方法的约10%，所需时间不到传统方法的一半。

尽管目前仍面临数据可用性和算法优化等方面的挑战，但人工智能将随着技术的不断进步和多方合作的加强持续推动创新，人工智能也将进一步融入生命科学生态系统。我们预测人工智能成熟度将发生重大转变，其解决问题的能力将催生出新的可能性，并在更加广泛的应用案例中产生有现实意义的影响。

## L.E.K.如何提供支持

随着人工智能被越来越多地用于加速药物研发、优化临床试验和改善医疗服务，L.E.K.的人工智能成熟度评估框架将有助于衡量人工智能解决方案的开发和部署阶段，帮助企业深入了解其人工智能计划的准备情况和潜力。此外，L.E.K.还能够为人工智能公司提供商业模式选择、业务拓展/并购、估值、组织设计、规模扩张以及关键战略选择等全方位支持。

欲了解更多信息或进行深入讨论，请联系 [apac.healthcare@lek.com](mailto:apac.healthcare@lek.com)。



## 关于作者



### Anne Dhulesia, 合伙人 | [a.dhulesia@lek.com](mailto:a.dhulesia@lek.com)

Anne Dhulesia是L.E.K.咨询合伙人，常驻伦敦，负责欧洲生命科学业务。她致力于为生命科学行业客户（医药、CDMO等外包服务等）提供一系列战略咨询服务，其中包括识别业务拓展机会、制定业务规划、评估市场潜力以及制定长期战略。她还为寻求收购、资产剥离或退出的制药、生物技术以及私募股权公司提供交易支持。Anne拥有巴黎高等师范学院学士学位、剑桥大学博士学位以及伦敦商学院的工商管理硕士学位。



### Stephen Roper, 合伙人 | [s.roper@lek.com](mailto:s.roper@lek.com)

Stephen Roper是L.E.K.咨询合伙人，常驻伦敦，负责生命科学业务。他在为制药、生物技术和诊断公司、外包服务机构以及投资人提供战略和交易支持方面拥有丰富经验。他致力于在增长战略制定、机会评估、收入预测和估值、适应症优先级排序、商业尽职调查以及收购标的筛选等方面为企业客户提供建议。他尤其关注创新疗法，其中包括基因和细胞疗法，以及人工智能工具在生物制药研发领域的应用。Stephen拥有剑桥大学发育遗传学博士学位和自然科学硕士学位。

## 关于L.E.K.咨询

我们是L.E.K.咨询，一家全球性的战略咨询公司，致力于帮助业务领导者把握竞争优势，获取持续增长。我们的深刻洞见能够帮助客户重塑业务发展轨迹，发掘机遇，并为其赋能，以把握每一个关键时刻。自1983年创立以来，我们遍布全球的团队在跨越美洲、亚太和欧洲的区域，与来自各个行业的跨国企业、创业企业以及私募股权投资投资者展开合作，为其提供战略咨询服务。如欲了解更多信息，请访问 [lek.com](http://lek.com)。

L.E.K. Consulting是L.E.K. Consulting LLC的注册商标。本档中提及的所有其他产品和品牌均为其各自所有者的财产。

© 2024 L.E.K. Consulting