

# AI药物要来了？首款进入二期临床试验

作者：writer 来源：科学网

本文原地址：<https://www.iikx.com/news/progress/33647.html>

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

## AI药物要来了？首款进入二期临床试验

。· Rentosertib的实践经验展现了AI在药物研发领域的变革潜力，为更高效创新的研发手段提供了价值参考。



派生万物AI生成

蒋立冬 派生万物AI图

?

新药研发常常需要花费大量资金与时间。人工智能（AI）能够对海量化合物分子进行筛选，对药物机制进行模拟，辅助设计临床试验……这些曾被认为能够大大缩短研发时间、减少成本。然而迄今为止，全球尚无一款由AI主导研发的药物问世，数个宣称是“AI药物”的项目还停留在一期

---

临床试验的阶段。

2025年6月3日，一款用以治疗特发性肺纤维化（IPF）的小分子药物Rentosertib（ISM001-055）在《自然·医学》（Nature Medicine）上公布了IIa期临床试验数据，作者是来自中国医学科学院北京协和医院以及AI制药公司英矽智能（Insilico）的研究人员。这些数据初步验证了该药物分子的安全性和有效性，成为目前全世界进展最快的AI药物。

特发性肺纤维化是一种慢性、进行性肺纤维化疾病，以肺功能进行性、不可逆性下降为特征，影响全球约500万人，中位生存期仅为3至4年，目前市面上的药物主要用于减缓疾病进展，但无法停止或者逆转疾病。

“这仍是一种极具挑战性的疾病，存在显著未满足的临床需求。”中国医学科学院北京协和医院主任医师、本次临床试验中国牵头研究者徐作军教授表示。

这次试验中的药物分子作用于由人工智能辅助发现的新型靶点TNIK。在IPF中，激活TNIK靶点可驱动肺部的病理性纤维化，导致肺功能进行性下降。因此，通过抑制TNIK信号传导，理论上就能够阻止或逆转纤维化过程，这是该药物分子的设计思路。2023年2月，Rentosertib获得美国FDA授予的“孤儿药”资格认定。2024年3月，该药物在早期由AI辅助而被发现的过程被刊登在了《自然·生物技术》（Nature Biotechnology）上。

本试验共包含中国22个中心的71例IPF患者，受试者被随机分配接受安慰剂、每日一次30mg、每日两次30mg或每日一次60mg，持续12周的用药观察。

结果显示，相较于安慰剂组，接受该药物治疗的患者的用力肺活量（FVC）得到改善，显示出对IPF的疗效。在每日一次60mg的最高用药剂量组中，患者的FVC与基线水平相比，平均提高98.4毫升，而安慰剂组患者的FVC与基线水平相比，平均下降62.3毫升。

在副作用方面，各治疗组中与治疗相关的不良事件（TEAEs）发生率相似，大多数不良事件（AEs）为轻度或中度，严重不良事件（SAEs）发生率罕见，且所有不良事件在停药后均可恢复。

“这些结果不仅表明Rentosertib具有可控的安全性和耐受性，还为进一步开展大规模、长周期的临床试验奠定了基础。Rentosertib的实践经验展现了AI在药物研发领域的变革潜力，为更高效创新的研发手段提供了价值参考。”英矽智能创始人兼首席执行官Alex Zhavoronkov博士表示。

数据初步反映了该药物的治疗潜力与安全性，接下来还需要在更大规模、设计更严谨和指标更严格的试验中进行验证。“Rentosertib具有为IPF患者提供有意义的临床获益的潜力，这令人倍感振奋。然而，本研究中各患者组的样本量相对较小，我们期待这些发现在更大规模的队列研究中进一步获得验证。”徐作军说。

作者：季敬杰 来源：澎湃新闻

---

更多 科学进展 请访问 <https://www.iikx.com/news/progress/>

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，[爱科学iikx.com](http://www.iikx.com)转发