人工智能在药物治疗管理中的应用进展专题

·综 述·

机器学习在药物治疗管理中的应用

邢丽娜[1]，赵 科[2]，斯日古楞[2*]，杨宏昕[2*]
（1. 内蒙古科技大学包头医学院，内蒙古包头 014040；2. 内蒙古自治区人民医院药学部，内蒙古呼和浩特 010017）

摘要：药物治疗管理是优化患者疗效、保障用药安全的核心环节。近年来，随着大数据技术的逐渐成熟及广泛应用，机器学习在药物治疗管理中发挥出越来越重要的作用，可以帮助医疗卫生人员合理利用资源，挖掘新的获益和风险见解，指导患者获得最佳药物治疗管理方案。该文聚焦机器学习在药物治疗管理过程中的应用现状，总结其在药物不良反应监测、药物相互作用预测、潜在不适当用药识别、治疗药物监测优化、用药依从性提升及患者教育支持等方面的研究成果，为药物治疗管理模式的研究提供参考。

关键词：机器学习；药物治疗管理；人工智能
中图分类号：R95 **文献标志码：**A **文章编号：**1672-9188(2026)04-0341-006
引用：邢丽娜, 赵科, 斯日古楞, 等. 机器学习在药物治疗管理中的应用[J]. 世界临床药物, 2026, 47(4): 341-346. DOI: 10.13683/j.wph.2026.04.001

Application of machine learning in medication therapy management

XING Lina[1], ZHAO Ke[2], Siri Guleng[2*], YANG Hongxin[2*]
(*1. Baotou Medical College, Inner Mongolia University of Science and Technology, Baotou 014040, Inner Mongolia Autonomous Region, China; 2. Department of Pharmacy, Inner Mongolia People's Hospital, Hohhot 010017, Inner Mongolia Autonomous Region, China*)

Abstract: Medication therapy management is a core component in optimizing patients' therapeutic effects and ensuring medication safety. In recent years, with the gradual maturity and wide application of big data technology, machine learning has been playing an increasingly important role in medication therapy management research. It can help healthcare professionals in making rational use of resources, exploring new insights into benefits and risks, and guiding patients to obtain the optimal medication therapy management plans. This paper focused on the current application status of machine learning in the process of medication therapy management, summarized its research achievements in aspects such as adverse drug reaction monitoring, drug-drug interaction prediction, identification of potentially inappropriate medications, optimization of therapeutic drug monitoring, improvement of medication adherence, and support for patient education, and providing references for the research on medication therapy management models.

Key words: machine learning; medication therapy management; artificial intelligence

药物治疗管理（medication therapy management，MTM）是一种系统化、个性化的医疗服务，旨在优化药物治疗方案、提高疗效及降低药物相关风险。传统的 MTM 主要依赖药师的经验及知识储备，难以处理海量、多维、异构的医疗数据，无法满足患者精准医疗的需求，难以充分分析、利用电子健康记录（electronic health record，EHR）的数据[1]，药物治疗方案的精准性及动态适应性存在不足。

随着大数据技术的日益成熟，在信息全球化的背景下，精准医疗和个体化治疗理念已深入人心，

收稿日期：2025-12-24
作者简介：邢丽娜，硕士研究生，研究方向：临床药学。
通信作者：斯日古楞，主任药师，硕士生导师，研究方向：临床真实世界研究。
杨宏昕，主任药师，硕士生导师，研究方向：临床药学。
基金项目：国家卫生健康委医院管理研究所医院药学高质量发展研究项目（NIHAYSZX2559）；内蒙古医学科学院公立医院科研联合基金项目（2024GLLH0067）

将机器学习（machine learning，ML）融入MTM中的优势也日益凸显。ML在MTM中的应用，其数学本质可以归结为构建从高维医疗数据到临床决策的映射函数$f: X \rightarrow Y$[2]，其中，输入空间X为患者特征及用药记录等多元数据，输出空间Y则为待评估的临床结局［如药物不良反应（adverse drug reaction，ADR）风险、最佳剂量及依从性等］。通过充分分析大量数据，自动识别其中隐含的模式及规律，可对潜在的药物治疗相关问题进行评估。本文从ADR、药物相互作用（drug-drug interaction，DDI）、潜在不适当用药（potentially inappropriate medication，PIM）、治疗药物监测（therapeutic drug monitoring，TDM）、用药依从性（medication adherence，MA）及患者教育等方面，总结ML在MTM中的研究进展及应用，以帮助医疗卫生人员合理利用资源，挖掘新的获益和风险见解，指导患者获得最佳MTM方案。

1 ADR

ADR是MTM中常见的药物相关问题[3]，其预防直接关系到患者的用药安全、疗效及医疗资源的合理利用。传统的ADR监测主要依赖自发报告系统，存在报告率低、数据质量差及滞后性等问题。利用ML构建ADR评估模型，可整合多种特征数据，对患者进行全面、快速的评估，不仅可提前识别潜在ADR风险，还能通过预警机制预防用药错误。

ON等[4]从EHR数据中提取年龄、性别、恶性肿瘤和化疗类型、ADR病史及合并症等患者特征数据，将其作为输入变量，采用逻辑回归（logistic regression，LR）、决策树及人工神经网络（artificial neural network，ANN）3种ML算法，对化疗药物诱导的8种ADR进行评估，通过受试者工作特征的曲线下面积（area under the curve，AUC）及准确度对模型性能进行比较，结果显示，LR的预测性能最佳，AUC值为0.62～0.83，其中对恶心、呕吐的评估表现最佳，AUC为0.83。

在识别生物医学文献中ADR方面，ML同样展现出独特价值。利用ML识别ADR，能在早期预测并预防ADR的发生，提高药物治疗的安全性及有效性。WEWERING等[5]采用支持向量机（support vector machine，SVM）、卷积神经网络及Transformer模型3种方法，识别文献中的ADR事件，结果显示，各模型整体评估质量接近，但Transformer模型在识别准确率上更为突出；SVM虽能快速处理大量文档，评估覆盖率也高，但其性能却高度依赖数据质量，当训练数据存在噪声或人工标注不一致时，其稳定性显著降低。

社交媒体已成为早期发现ADR的良好数据来源。针对社交媒体中非结构化文本的ADR检测，REZAEI等[6]采用卷积神经网络、分层注意网络及FastText等深度学习模型处理复杂语义信息，对大量ADR相关文本信息进行分类，结果发现，上述模型评估药物安全性的准确率均超90%。尽管与其他类型的ML相比，自然语言处理深度学习能够解决学习信息中更高级的特性，但文本信息术语的多样性会增加提取难度。HUANG等[7]利用BERT模型解决术语多样性问题，其预训练机制在数据偏态分布场景下表现出更强的稳健性及泛化能力。

2 DDI

近年来，共病及多重用药日益增多，DDI和ADR的发生风险也随之增加，MTM在优化药物治疗方案方面作出了积极贡献[8]。ML能高效处理复杂的医疗数据，克服人为判断的局限性，显著提高DDI评估的客观性及准确度[9]。SHIRAZIBEHESHTI等[10]采用均值漂移聚类算法以准确识别DDI高风险患者，提示无监督学习不仅可减轻对标注数据的依赖，更能揭示传统方法难以捕捉的隐藏关联规律，为风险预警提供新的决策依据。

目前，基于ML算法开发的临床决策支持软件（clinical decision support software，CDSS）已用于提高MTM质量。KEINE等[11]基于CDSS平台，分

析阿尔茨海默病（Alzheimer disease）患者的多药联用问题，解析 DDI 并对其进行评级，量化患者风险关联，进而提供具有相同药物效益而不存在相互作用的替代方案。这些算法的协同作用使平台可以快速、有效地处理大量信息，根据既往用药经验[12-13]，作出准确评估，从而加强用药管理。

3 PIM

老年患者 PIM 风险较高[14]，针对性展开药物管理能降低 PIM 风险，从而减少 ADR 的发生[15]。但由于研究者对不适当用药的评估标准不够全面，导致传统的 PIM 评估质量欠佳[16]。应用 ML 可有效评估 PIM，并能提升低频 PIM 标签的识别效果[17]。

CHIU 等[18] 通过提取患者性别、年龄和用药数量等特征，建立 LR、梯度提升机、随机森林（random forest，RF）、朴素贝叶斯及神经网络 5 种模型评估个体的 PIM 风险，并进一步识别与 PIM 显著相关的风险因素。结合 CDSS 平台[19-20]，ML 可在开具处方时，实时提示 PIM 风险，如药物相互作用导致过敏和剂量超出说明书范围等，以减少临床决策偏差。HU 等[16] 在 2019 版 Beers 标准基础上，分别采用标签幂集、分类器链（classifier chain，CC）及二元相关性 3 种方法对老年门诊处方信息进行多标签分类，然后采用 RF、光梯度增强机、极端梯度提升（extreme gradient boosting，XGBoost）、类别梯度提升、深森林及 TabNet 这 6 种算法构建 PIM 预警模型，发现 CC ＋类别梯度提升模型表现最优，可快速、准确识别 PIM，减少人工评估引入的异质性，为提升老年患者用药安全提供新途径。总体而言，ML 正推动 PIM 识别向更精准、更全面的方向发展。

4 TDM

TDM 是 MTM 的关键环节，通过监测血药浓度为个体化用药提供数据支撑。结合 ML 可挖掘多维度影响因素[21]，精准评估血药浓度及剂量，优化给药方案，相比传统群体药代动力学（population pharmacokinetics，PPK）模型更具优势，能减少 ADR，提升用药安全性及有效性。

WOILLARD 等[22] 使用 XGBoost 模型估算器官移植患者他克莫司（tacrolimus）给药后血药浓度 - 时间 AUC，模型性能表现优异，所估算的 AUC 相对偏差＜ 5%，相对均方根误差＜ 10%，且评估性能优于基于 PPK 模型的最大后验贝叶斯估计法。同样，FU 等[23] 建立的极端随机树模型，凭借并行化架构高效处理异质性数据的优势，提高肾移植患者他克莫司理想剂量评估的成功率。基于 ML 构建的评估模型，不仅突破了传统药代动力学模型在复杂临床条件下的局限性，更通过特征重要性分析为剂量决策提供可解释性依据，为推进精准用药提供新的技术路径。

由于建立 PPK 模型时所用患者人群不同，即使采用相同数据，TDM 性能也会有所差异，通过 ML 筛选与患者具有相似特征的 PPK 模型可提高 TDM 性能。LEE 等[24] 研究应用 XGBoost 等 ML 算法训练分类器，整合虚拟患者数据优化万古霉素（vancomycin）PPK 模型选择，筛选适合患者 TDM 的万古霉素 PPK 模型，并证实所得模型分类性能得到提高，较传统分类模型更具高效性及扩展性。PPK 模型与 ML 结合的混合模型可显著提升 TDM 及个体化用药的精确性。张婷等[25] 将 PPK 模型估算的参数及生理指标作为输入特征建立 XGBoost 模型，实现了万古霉素给药 24 h 后 AUC 的精准评估，且泛化能力较好。

5 MA

在 MTM 中，MA 是影响疗效、用药安全及医疗成本的核心因素之一[26]。传统 MA 评估存在静态化、碎片化及过度简化等缺陷，且实际操作中还会受到多维度动态因素的影响。ML 的多样化应用可为 MA 评估精准识别影响因素、提升效能，提供多角度解决方案。

AZIZ 等[27] 采用 RF、ANN 及 SVM 3 种算法

构建高血压患者 MA 评估模型，结果显示，通过 RF 进行特征选择，剔除冗余变量后，3 种算法性能均获提升，RF 及 SVM 的评估准确率分别为 78% 和 79%，均显著高于 ANN（65%）。在非传染性疾病患者中，KANYONGO 等 [28] 采用 SVM、K 近邻算法、决策树、深度神经网络、LR 及 RF 等多种算法进行 MA 分类评估，结果发现，RF 不仅评估性能最优，且对未参与训练的新数据仍能保持较高的评估精度，表明其在真实临床场景中具有泛化优势。

针对 MA 影响因素的复杂性，IINO 等 [29] 提出正则化 LR 与轻量级梯度提升机的组合方案，通过 L1/L2 正则化，有效处理多重共线性问题，确保模型在高维特征空间中的稳健性，在保持高精度的同时显著降低计算成本，并通过特征重要性分析，量化各因素对依从性的影响。这种利用不同 ML 方法互补的方案，充分利用临床收集数据，实现高精度、动态评估，为慢性疾病管理的前瞻性干预提供有效工具，不但解决了传统回归模型在共线性方面的局限性，而且赋予了 ML 模型可解释性的优势。

6 患者教育

患者教育对于 MTM 有着重要影响 [30]，如有利于提升用药安全性、依从性及疗效。随着医疗卫生人员与患者之间的关系由家长式管理向更开放的交流方式转变，患者越来越希望参与治疗决策，了解治疗的风险与获益。然而，仅以药物信息作为患者教育的中心，可能会限制患者的参与程度，导致缺乏个性化的教育内容 [29]。通过大数据分析及 ML 等技术能更好地了解患者，识别患者个人行为与特征之间的联系，进而细分群体，制定个性化的治疗管理计划。

有学者在一项基于互联网的认知行为治疗研究中，使用纵向线性回归技术识别出 5 种患者行为参与模式，可用于为不同患者量身制定干预措施及教育内容 [31]。聚类算法同样能够通过分析患者的多维数据 [32]，如人口因素、健康认知水平及疾病管理行为等，将患者分为不同亚组，针对低健康素养群体推送图文结合的简化指南，对慢性疾病管理困难群体设计风险预警内容，实现患者教育内容的精准输出。总之，ML 技术能有效识别患者未明确表达的教育需求及对治疗的隐性担忧，并根据患者的信息理解障碍及注意力变化动态调整教育策略，从而实现从被动响应到主动评估的模式转变，使患者感受到尊重，进而改善用药素养，更好地控制疾病，提高治疗满意度。

7 总结与展望

综上所述，ML 已经成为突破传统 MTM 局限性的重要技术。在数据处理层面，ML 能够高效解析 EHR，从海量医疗数据中提取关键特征，挖掘潜在药物治疗相关问题，为精准化管理提供数据支撑。在实际应用中，基于 ML 开发的 CDSS 已广泛应用，通过整合多种算法，可快速分析患者用药情况，实现评估 DDI 以及识别 PIM 等功能，辅助医疗卫生人员制定更科学的治疗方案。同时，ML 在 TDM、MA 评估和患者教育等环节也展现出明显优势，通过构建评估模型、分析多维度影响因素，优化给药方案，提升患者对治疗的理解及配合度。

尽管 ML 在 MTM 中已取得诸多成果，但仍面临挑战。例如算法可解释性不足，“黑箱”特性导致结果难解释，需大量高质量标注数据，可能存在评估偏差、无法模拟评估以及跨领域协作需求较高等问题。而在药物治疗中面临训练数据短缺、数据孤岛与偏倚、高维数据处理难以及跨场景泛化能力弱等挑战，影响模型的评估准确性。跨学科协作不足、数据标准化与共享难及模型临床价值验证有限等挑战，影响其实际应用效果及推广。未来，需加强数据质量管理，建立统一规范的数据标准，促进数据共享与整合，提高数据质量和可用性；应致力于开发可解释性强的模型，或探索模型解释技术，使模型决策更透明、可理解，增强临床医生和患者对模型的信任，加强患者教育。此外，跨学科合作

也至关重要，结合医学、药学及计算机科学等多学科知识，推动 ML 技术在 MTM 中的深入应用，或可为临床药物治疗提供更可靠、精准的支持，推动药学领域的智能化发展。

参考文献：

[1] TOPOL EJ. High-performance medicine: the convergence of human and artificial intelligence[J]. Nat Med, 2019, 25(1): 44-56.

[2] LO VERCIO L, AMADOR K, BANNISTER JJ, *et al*. Supervised machine learning tools: a tutorial for clinicians[J]. J Neural Eng, 2020, 17(6): 20.

[3] BANKES D, PIZZOLATO K, FINNEL S, *et al*. Medication-related problems identified by pharmacists in an enhanced medication therapy management model[J]. Am J Manag Care, 2021, 27(16 Suppl): S292-S299.

[4] ON J, PARK HA, YOO S. Development of a prediction models for chemotherapy-induced adverse drug reactions: A retrospective observational study using electronic health records[J]. Eur J Oncol Nurs, 2022, 56: 102066.

[5] WEWERING S, PIETSCH C, SUMNER M, *et al*. Machine learning approach to identify adverse events in scientific biomedical literature[J]. Clin Transl Sci, 2022, 15(6): 1500-1506.

[6] REZAEI Z, EBRAHIMPOUR-KOMLEH H, ESLAMI B, *et al*. Adverse drug reaction detection in social media by deepm learning methods[J]. Cell J, 2020, 22(3): 319-324.

[7] HUANG JY, LEE WP, LEE KD. Predicting adverse drug reactions from social media posts: data balance, feature selection and deep learning[J]. Healthcare(Basel), 2022, 10(4): 618.

[8] ALOTAIBI FM, BUKHAMSIN ZM, ALSHARAFAA AN, *et al*. Knowledge, attitude, and perception of health care providers providing medication therapy management(MTM) services to older adults in Saudi Arabia[J]. Healthcare(Basel), 2023, 11(22): 2936.

[9] 张晔, 刘岩, 杨天绎, 等. 基于机器学习构建药物相互作用预测模型的系统评价[J]. 药物评价研究, 2025, 48(3): 584-594.

[10] SHIRAZIBEHESHTI A, ETTEFAGHIAN A, KHANIZADEH F, *et al*. Automated detection of patients at high risk of polypharmacy including anticholinergic and sedative medications[J]. Int J Environ Res Public Health, 2023, 20(12): 6178.

[11] KEINE D, ZELEK M, WALKER JQ, *et al*. Polypharmacy in an elderly population: enhancing medication management through the use of clinical decision support software platforms[J]. Neurol Ther, 2019, 8(1): 79-94.

[12] DEO RC. Machine learning in medicine[J]. Circulation, 2015, 132(20): 1920-1930.

[13] BASTANLAR Y, OZUYSAL M. Introduction to machine learning[J]. Methods Mol Biol, 2014, 1107: 105-128.

[14] RAO P, HUNG A. Impact of medication therapy management programs on potentially inappropriate medication use in older adults: a systematic review[J]. J Manag Care Spec Pharm, 2024, 30(1): 3-14.

[15] CHALASANI SH, SYED J, RAMESH M, *et al*. Artificial intelligence in the field of pharmacy practice: a literature review[J]. Explor Res Clin Soc Pharm, 2023, 12: 100346.

[16] HU Q, TIAN F, JIN Z, *et al*. Developing a warning model of potentially inappropriate medications in older chinese outpatients in tertiary hospitals: a machine-learning study[J]. J Clin Med, 2023, 12(7): 2619.

[17] 林工钞, 滕飞, 胡巧织, 等. 基于知识图谱的潜在不适当用药预测[J]. 四川大学学报(医学版), 2023, 54(5): 884-891.

[18] CHIU YM, SIROIS C, SIMARD M, *et al*. Traditional methods hold their ground against machine learning in predicting potentially inappropriate medication use in older adults[J]. Value Health, 2024, 27(10): 1393-1399.

[19] SCOTT IA, PILLANS PI, BARRAS M, *et al*. Using EMR-enabled computerized decision support systems to reduce prescribing of potentially inappropriate medications: a narrative review[J]. Ther Adv Drug Saf, 2018, 9(9): 559-573.

[20] TERRELL KM, PERKINS AJ, DEXTER PR, *et al*. Computerized decision support to reduce potentially inappropriate prescribing to older emergency department patients: a randomized, controlled trial[J]. J Am Geriatr Soc, 2009, 57(8): 1388-1394.

[21] 詹世鹏, 马攀, 刘芳. 机器学习在治疗药物监测与个体化用药中的应用[J]. 中国药房, 2023, 34(1): 117-121.

[22] WOILLARD JB, LABRIFFE M, DEBORD J, *et al*. Tacrolimus exposure prediction using machine learning[J].

Clin Pharmacol Ther, 2021, 110(2): 361-369.

[23] FU Q, JING Y, LIU G, *et al*. Machine learning-based method for tacrolimus dose predictions in Chinese kidney transplant perioperative patients[J]. J Clin Pharm Ther, 2022, 47(5): 600-608.

[24] LEE S, SONG M, HAN J, *et al*. Application of machine learning classification to improve the performance of vancomycin therapeutic drug monitoring[J]. Pharmaceutics, 2022, 14(5): 1023.

[25] 张婷, 陈瑀珩, 丁兰萍, 等. 结合群体药动学模型和XGBoost算法预测万古霉素$AUC_{24\,h}$[J]. 中国医院药学杂志, 2025, 45(8): 859-865.

[26] LAM W Y, FRESC P. Medication adherence measures: an overview[J]. Biomed Res Int, 2015, 2015: 217047.

[27] AZIZ F, MALEK S, MHD ALI A, *et al*. Determining hypertensive patients' beliefs towards medication and associations with medication adherence using machine learning methods[J]. Peer J, 2020, 8: e8286.

[28] KANYONGO W, EZUGWU AE, MOYO T, *et al*. Machine learning-based classification of medication adherence among patients with noncommunicable diseases[J]. Inform Med Unlocked, 2025, 52: 101611.

[29] IINO H, KIZAKI H, IMAI S, *et al*. Identifying the relative importance of factors influencing medication compliance in general patients using regularized logistic regression and LightGBM: web-based survey analysis[J]. JMIR Form Res, 2024, 8: e65882.

[30] ROBINSON S, ADEBAJO A, WALKER D. Viewpoint: Nurses educating patients about drugs[J]. Rheumatology(Oxford), 2024, 63(5): 1217-1220.

[31] CHIEN I, ENRIQUE A, PALACIOS J, *et al*. A machine learning approach to understanding patterns of engagement with internet-delivered mental health interventions[J]. J Am Med Assoc Netw Open, 2020, 3(7): e2010791.

[32] ROCHA P, PINHEIRO D, de PAULA MONTEIRO R, *et al*. Adaptive content tuning of social network digital health interventions using control systems engineering for precision public health: cluster randomized controlled trial[J]. J Med Internet Res, 2023, 25: e43132.

（编辑：王 佳）