药学管理与信息

国外药物研发领域应用人工智能的监管实践及启示

Regulatory Practices and Implications of Applying Artificial Intelligence in the Field of Drug Development Abroad

曹 尚，许文艳，范 乙*

（国家药品监督管理局药品审评检查长三角分中心，上海 200120）

CAO Shang, XU Wenyan, FAN Yi*

(*Yangtze River Delta Center for Drug Evaluation and Inspection of NMPA, Shanghai 200120*)

摘要：随着人工智能（AI）技术在药物研发领域的迅速普及，监管机构正面临前所未有的挑战。该文通过对美国和欧盟药品监管实践的分析，探讨了两者在 AI 应用中的数据隐私保护、算法透明性与可解释性、伦理考量、监管框架、风险评估及持续监测等方面的监管措施与策略，旨在为中国药物研发领域的 AI 科学监管提供有益的借鉴与启示。

关键词：人工智能；药物研发；监管策略

中图分类号：R95 **文献标志码：**A **文章编号：**1001-8255(2025)12-1583-08

引用：曹 尚, 许文艳, 范 乙. 国外药物研发领域应用人工智能的监管实践及启示 [J]. 中国医药工业杂志, 2025, **56**(12): 1583-1590. DOI：10.16522/j.cnki.cjph.2025.12.013

人工智能（artificial intelligence，AI）是机器驱动的系统，可在一组人类定义的目标下，进行预测或建议。AI 系统使用机器和人类的输入来感知真实或虚拟环境，通过自动化分析将感知抽象为模型，并使用模型推理来制定信息或行动[1]。AI 技术，包括机器学习（machine learning，ML）、深度学习（deep learning，DL）、自然语言处理（natural language processing，NLP）、大语言模型（large language models，LLM），以及知识图谱等[2—4]，通过处理数据、预测结果和优化流程，可在药物研发领域发挥出巨大作用，尤其是药物靶点识别、分子筛选、临床试验设计等方面。

随着 AI 在药物研发全生命周期中的深入应用，出现了一系列监管挑战，包括技术透明性、数据安全性和伦理问题，甚至还包括如何在保证药物安全性和有效性的前提下加速创新产品的市场准入。因此，各国药品监管机构制定并完善了 AI 相关的监管框架，以平衡创新与安全性。

本文以美国和欧盟的药品监管实践为例，分析其针对 AI 技术应用的监管措施与策略，旨在为我国药物研发领域的 AI 科学监管提供一定的参考。

1 AI 技术在药物研发领域的进展

①在靶点识别上，AI 通过分析大规模生物数据，能快速、准确地预测潜在药物靶点[5—7]。

②在药物设计中，AI 利用虚拟筛选[8—9]和生成对抗网络（generative adversarial networks，GAN）[10—12]等技术，加速新药分子的筛选和优化，提高了效率。

③在非临床研究阶段，AI 构建的虚拟动物模型有望减少动物实验需求，从而提高研究效率[13—14]。在临床研究阶段，AI 优化了患者招募与分层，提高了匹配效率和试验成功率[15]。

④ AI 改进了试验设计和数据处理，通过自然语言处理技术优化试验设计，提高了数据分析的准确性和效率[16—18]。

收稿日期：2025-05-17

基金项目：长三角区域药品领域创新与高质量发展监管科学研究资助课题（24692122700）

作者简介：曹 尚，博士，从事药品工作。

通信作者：范 乙，高级工程师，从事药品审评管理工作。

⑤ AI 推动了虚拟临床试验的发展，利用数字孪生技术[19]，整合多源数据（如基因组学、蛋白质组学、临床数据等）和人工智能算法，构建患者、疾病模型或药物作用机制的动态虚拟镜像，以模拟真实生物系统在药物干预下的响应，进一步提升了试验效率。

⑥ AI 在监测与辅助不良事件监测方面，实现了远程监控和早期预警[20—21]，提高了临床试验的安全性和数据可靠性。

各国药品监管机构在监管观点和态度上既有共识，也存在差异。日本在 2023 年 G7 主席国期间展现的 AI 监管实践表明，早期介入和动态监管是确保 AI 技术合规与创新平衡的关键。同时，多方协作和国际对标可提高 AI 在药物研发中的可信度和适用性[22]。欧美在药物研发领域的 AI 监管方面处于领先地位，尤其是在法规制定、技术验证和伦理框架构建上。2019—2024 年，美国 FDA 陆续发布了多项 AI/ML 相关指导文件。欧盟则通过《人工智能法案》(Artificial Intelligence Act)[23] 建立了系统性监管框架。本文聚焦并探讨欧美药品监管机构针对药物研发领域的 AI 应用监管实践，以期为我国相关领域的 AI 监管提供借鉴。

2　美国和欧盟对 AI 在药物研发领域的监管

在 AI 药物研发的监管策略中，美国与欧盟因植根于各自的医疗体系、科技发展水平、政策导向和社会需求的差异，在技术创新和风险管理中选择了不同优先级和策略。

2018 年，FDA 实施“监管沙盒”(regulatory sandbox) 模式[24]，即由政府监管部门创设“安全试验空间”，允许企业在真实市场环境中有限度地测试创新技术，同时豁免部分现行监管要求或提供临时性监管框架，从而支持 AI 在药物研发领域的创新应用。2017 年，FDA 发布的《数字健康创新行动计划》(Digital Health Innovation Action Plan)[25] 突破了传统审批框架，允许 AI 药物研发企业通过突破性设备认定程序和真实世界证据体系验证其技术的安全性和有效性。2023 年，FDA 授予全球首个 AI 发现的抗纤维化药物 (INS018_055) 孤儿药认定。上述以“监管沙盒”、突破性设备认定、真实世界证据验证为核心的市场驱动型监管模式背后，既有《21 世纪治愈法案》(21st Century Cures Act) 赋予的现代化改革授权，又映射出美国维护生物医药全球领导力的战略意图。2023 年，美国白宫发布首个 AI 行政令《关于安全、可靠和可信地开发和使用人工智能的行政令》，更是明确将 AI 制药纳入国家战略竞争领域。

相较之下，欧洲的监管理念呈现“伦理先行”特征。2020 年，欧盟委员会发布《欧洲数据战略》承认了 AI 潜力，但在实践中对 AI 在药物研发领域的应用有严苛要求，强制要求提供算法可解释性证明。这种谨慎源自欧盟法律体系的多重约束，《通用数据保护条例》(General Data Protection Regulation，GDPR)[26] 第 22 条对自动化决策有严格限制，确立了“数据主体有权不受到仅基于自动化处理的决策影响”的一般性禁止原则，仅允许极为有限的例外情况”；《医疗器械条例》[27] 则对算法验证有强制性要求，规定制造商必须制定精确的预期用途，并根据预期用途和利益相关者要求验证其设备，包括对软件算法的验证。另外，更深层的原因则是欧洲社会对技术风险的集体警惕。2024 年，欧盟通过全球首个 AI 法规《人工智能法案》[23]，再次强调“以人为本”的核心价值观。美国和欧盟的监管差异，在本质上折射出二者不同的价值排序：美国将技术创新视为维护全球领导力的核心要素，而欧洲在数字化进程中始终强调伦理先行。

表 1 汇总了美国和欧盟监管机构在 2019—2024 年发布的针对 AI 在药物研发领域发展的指导文件和政策。

图 1 揭示了美国与欧盟在 AI 药物研发监管中的核心要素及其内在关联性。可见，AI 科学监管体系呈现为 6 个核心维度的协同治理格局：数据隐私保护和算法透明性作为技术基座，共同构建 AI 可信性基础；伦理考量在此基础上衍生出价值导向原则，引导监管框架的制定方向；而动态风险评估与持续监测则形成闭环治理机制，通过实践反馈不断优化监管效能。

基于此，本文从 AI 应用的 6 个核心维度展开分析：①数据隐私保护；②算法透明性与可解释性；

表 1 美国与欧盟监管机构针对 AI 在药物研发领域应用而制定的指导文件和政策

Tab.1 Guidance Documents and Policies on Application of AI in the Field of Drug Development Issued by United States (US) and European Union (EU) Regulatory Agencies

发布机构	文件名称	主要内容	发布时间
FDA	《药物生产中的人工智能》(Artificial Intelligence in Drug Manufacturing)[28]	讨论了如何将 AI 集成到药品制造过程中，强调了 AI 在提高效率、确保一致性和增强质量控制方面的潜力，同时覆盖了符合现行法规的指南及对 AI 系统的持续监控和验证的需要	2023-03-18
	《在药物和生物制品的开发中使用人工智能和机器学习》(Using Artificial Intelligence & Machine Learning in the Development of Drug & Biological Products)[29]	讨论了在药物和生物制品开发生命周期中应用 AI 和机器学习，包括临床前研究、临床试验和上市后监测，强调了数据完整性、算法验证和 AI 在临床环境中的伦理问题	2023-05-11
	《人工智能与医疗产品：CBER、CDER、CDRH 和 OCP 的合作方式》(Artificial Intelligence and Medical Products: Collaborative Efforts of CBER, CDER, CDRH, and OCP)[30]	说明了 FDA 各中心［生物制品评估和研究中心 (Center for Biologics Evaluation and Research，CBER)、药品评估和研究中心 (Center for Drug Evaluation and Research, CDER)、器械和放射健康中心 (Center for Devices and Radiological Health，CDRH)、组合产品办公室 (Office of Combination Products，OCP)］在医疗产品中整合 AI 的合作方法，概述了统一 AI 标准、增强跨中心沟通及应对共同监管挑战的策略，以确保 AI 技术在医疗用途中的安全性和有效性	2024-03-20
	《药物研发与人工智能》(Artificial Intelligence for Drug Development)[31]	该指南就使用 AI 产生的旨在支持药物安全性、有效性或质量监管决策的信息或数据，向行业提供建议	2024-10-31
EMA	《关于人工智能 (AI) 在药品生命周期中的应用》［Reflection Paper on the Use of Artificial Intelligence (AI) in the Medicinal Product Lifecycle］[32]	探索了 AI 在药品全生命周期各阶段的使用，即从药物发现到上市后监测，强调了透明度、数据质量和监管监督在管理 AI 相关风险中的重要性	2023-07-19
	《2023—2028 人工智能年度工作计划》(Multi-annual AI Workplan 2023—2028)[33]	该计划说明了 EMA 在未来 5 年内集成 AI 的战略重点，包括改进监管框架、促进创新及确保 AI 在医药行业中应用的安全性和有效性	2023-12-18
	《大语言模型在监管科学与药品监管活动中的应用指导原则》(Guiding Principles on the Use of Large Language Models in Regulatory Science and for Medicines Regulatory Activities)[34]	阐明大型语言模型在监管科学和药品监管中的应用场景、关键风险及合规要求，为负责任地使用此类模型提供框架与实践指导	2024-08-29
欧洲理事会 (European Comission，EC)	《人工智能法案》[23]	全球首个旨在全面规范 AI 技术的立法框架，其主要目标是通过风险分类的方式来确保 AI 技术的安全性和可信度，同时推动创新和技术发展	2024-07-11

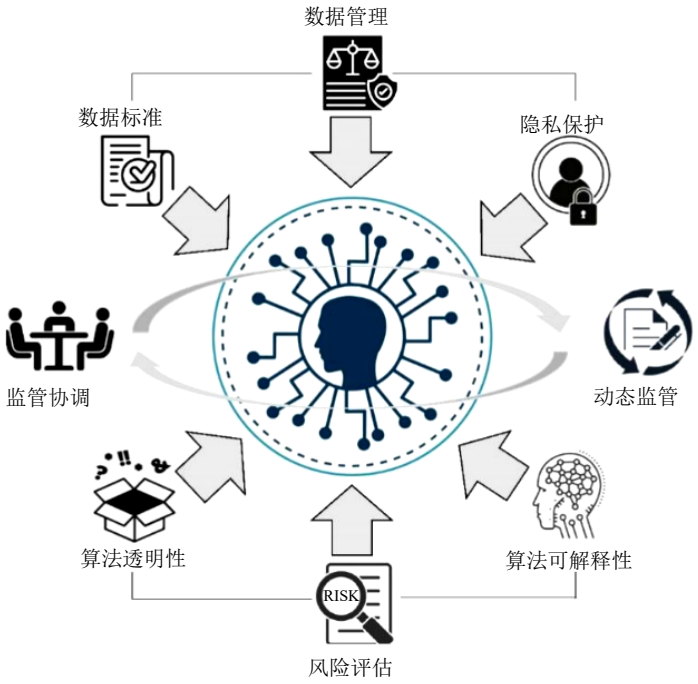


图 1 AI 科学监管的启示

Fig.1 Insights for AI Scientific Regulation

③伦理考量；④监管框架；⑤风险评估；⑥持续监测。

2.1 数据隐私保护

美国主要通过《健康保险可携性和责任法案》（Health Insurance Portability and Accountability Act，HIPAA）[35] 保护医疗数据隐私，适用于法规定义的“被覆盖实体”（covered entities），主要包括医疗保健提供者、健康计划和医疗保健清算所，但对商业企业或非健康类 AI 研发公司的约束较少。2021 年，美国加州发布的《消费者隐私权法案》（California Privacy Rights Act，CPRA）[36] 增强了对个人数据的保护，但仍偏向于鼓励自我监管。美国的隐私保护制度相对灵活，更强调创新驱动和平衡隐私保护。

欧盟主要通过 GDPR[26] 对所有涉及欧盟公民数据的企业提出严格要求，强调数据主体的知情权、访问权和纠正权。针对 AI 应用中的数据保护，GDPR 特别强调了对“高敏感数据”的保护，要求 AI 算法在处理医疗数据时应进行数据最小化处理（data minimization），即只获取完成任务所需的最小数据量。相比较 HIPAA，GDPR 适用性更广泛，导致 AI 的数据使用面临更严格的法律约束。

2.2 算法透明性与可解释性

FDA 通过《基于人工智能 / 机器学习的医疗器械软件行动计划》提出的基本原则要求，药物研发中的 AI 模型应具备清晰、可追溯的开发流程。FDA 更偏重风险评估与管理框架，鼓励企业在研发阶段，通过自愿申报或通用技术文档的方式展示模型开发与验证过程，但对公开透明性并无强制性规定。这种做法为企业提供了较高的创新自由度，但也可能导致算法“黑箱”现象（即算法内部逻辑难以解释或追溯）。

欧盟的《人工智能法案》[23] 将药物研发中的 AI 列为“高风险”领域，要求模型决策过程透明，并提供详尽的算法溯源文档。同时，GDPR 通过《数据保护影响评估》（Data Protection Impact Assessment，DPIA）进一步确保算法的透明性，尤其是在自动决策场景中提供人工干预选项，要求数据主体必须知情且有权要求人工干预，以确保药物研发中的 AI 应用在进行自动化决策时必须能提供充分的解释。

2.3 伦理考量

FDA 更关注实际应用中的风险控制，强调“利益高于风险”原则，通过伦理审查委员会（Institutional Review Board，IRB）对 AI 应用的合规性进行审核，尤其是在涉及临床试验等高风险场景时，要求 AI 系统具备公平性，避免系统性偏见 [29]。在 AI 伦理政策层面，美国遵循自愿性指引原则，鼓励药物研发公司遵循伦理指引并制定内部伦理规程，尚未有类似于欧盟的“社会影响评估”（social impact assessment，SIA）要求。

欧盟对 AI 伦理的监管建立在《人工智能法案》[23] 和《人工智能伦理准则》[37] 的基础上，注重系统化伦理评估。欧盟要求在 AI 技术应用于药物研发前，进行系统的 SIA 分析，以评估技术对社会、公平与伦理的潜在影响。此外，《人工智能法案》[23] 提出“公平性、透明性、合规性”的原则，要求 AI 算法设计遵循伦理导向，确保 AI 技术在公平性和人权保护上的合规性，在涉及患者数据和隐私时进行严格的伦理审查，确保 AI 系统在遵守伦理标准的基础上发挥作用。

2.4 监管框架

FDA 在 AI 监管中采取了“风险分级”策略，即根据 AI 应用的不同风险等级，实施差异化的监管方案。对于药物研发中的 AI 应用，FDA 通过“监管沙盒”[24]（监管部门为创新技术提供的受控测试环境）和“突破性设备指定”[38]（监管部门为具有显著临床优势的创新医疗器械提供的加速审批通道）等创新工具，允许药物研发企业在符合基本监管要求下测试 AI 应用。同时，FDA 鼓励企业在 AI 系统迭代过程中，定期提交更新数据，但并不要求所有模型内容重新审核。

欧盟强调合规性与全面风险控制，规定 AI 技术在药物研发中的应用需接受逐层审查，并在临床试验、药物审批等重要环节要求有明确的审查步骤。《人工智能法案》[23] 对高风险 AI 系统实施严格的合规性审核，要求其在研发前应通过详细的合规性评估，并获得相关批准。尽管 EMA 也提供某些灵活性工

具（如科学建议程序）[39]，但其侧重的是确保 AI 技术在应用前已经充分验证。

2.5 风险评估

FDA 强调以风险为导向的评估方法，在实际应用中通过数据反馈和监测，控制 AI 系统的风险，鼓励通过真实世界数据和真实世界证据进行 AI 模型的风险评估。FDA 并未对每种 AI 技术设置统一的风险评估标准 [40—41]，允许根据实际应用反馈，动态调整监管措施 [30]。

欧盟采取更为严格的验证机制，EMA 严格遵循 ICH 的风险评估指南，要求 AI 系统进入市场之前应完成所有安全性测试，并进行详细的风险控制评估，只有确保风险可控才会批准使用。对于 AI 系统的高风险应用，《人工智能法案》[23] 要求完成全生命周期的风险评估，包括从研发设计到上市后的全过程监测。

2.6 持续监测

2019 年，FDA 发布《基于人工智能 / 机器学习的医疗器械软件行动计划》首次提出预定变更控制计划。2024 年，FDA 提出《针对人工智能赋能的设备软件功能，预定变更控制计划的营销提交建议》[42]，提出 AI 模型的开发者只需提供系统更新的主要内容，无需重新提交整个模型进行审核。此外，FDA 鼓励企业自愿参与“持续改进计划”（Total Product Life Cycle，TPLC）[43]，通过数据追踪、持续性能评估等措施确保 AI 系统长期保持有效性和安全性。

欧盟《人工智能法案》[23] 规定，高风险 AI 系统在任何模型更新前都需接受重新审核，尤其是涉及算法核心或训练数据更改时，需完成更新后的合规性验证。即便是细微的模型调整，仍需在上市后监测中重新进行合规性审查。

3 建议与讨论

3.1 对我国的启示

FDA 通过全生命周期管理机制将 AI 监管嵌入既有药品质量体系，实质上重构了传统 GMP 规范的技术边界 [28,31]，这种渐进式的改良路径降低了制度转换成本；而 EMA 依托《人工智能法案》[23] 构建的垂直监管体系，通过强制性合规评估重构了技术应用的合法性基准，其激进立法的风格可能抑制技术迭代速度，但为公民数据权利提供了坚实的制度保障。这种制度选择的二重性，为我国构建本土化监管框架提供了差异化参考样本。

目前，我国 AI 药物研发监管体系以《中华人民共和国药品管理法》《中华人民共和国数据安全法》《中华人民共和国个人信息保护法》为法律根基，结合《新一代人工智能伦理规范》等政策文件，形成“法律约束 - 技术标准 - 伦理规范”三位一体的治理架构。2024 年，NMPA 发布《药品监管人工智能典型应用场景清单》，既强调了技术创新的包容性，又明确需要严守药品的安全底线。

因此，在构建中国式 AI 药物研发监管体系时，需突破简单的政策移植逻辑，建议结合我国制度优势，聚焦“数据 - 算法 - 伦理”三维治理框架，提出的建议如下。

3.1.1 数据治理：构建分级标准

数据治理建立多层级管理体系，可依据《中华人民共和国数据安全法》《中华人民共和国药品管理法》对 AI 药物研发数据实施精细化的分类分级处理。制定 AI 药物研发数据分类分级标准，明确 AI 训练数据的脱敏要求与使用边界。例如，核心数据（如基因序列、罕见病患者队列数据）需在保障数据主权安全的前提下释放数据价值；受限数据（如患者影像数据）需执行严格脱敏标准；依托安全计算平台实现跨机构合规调用。

同时，为确保 AI 技术所用数据的合规性和高质量，可借鉴 GDPR 知情权和选择权与 HIPAA 最小必要原则，由患者授权 AI 模型使用其临床数据。2021 年，NMPA 发布了《用于产生真实世界证据的真实世界数据指导原则（试行）》，要求企业提供数据流动追溯图谱。

3.1.2 算法治理：透明性验证与适应性监管

算法治理可构建“技术可解释性 + 社会可信度”的双轨验证体系。技术层面嵌入决策溯源模块，要求 AI 系统能够输出关键特征的重要性量化指标，并通过对抗性测试方法验证算法的鲁棒性；验证流程需覆盖计算验证、临床验证与社会验证（患者代表

与伦理审查），确保 AI 算法在临床试验等关键环节具有高透明度和可解释性，以增强公众信任。

对于全生命周期监测的要求，建议企业定期提交算法迭代影响评估报告。以非介入方式部署伴随式监管模块，实时追踪模型运行状态，确保从靶点发现到临床应用的全程透明。此外，可解释性标准需与 ICH 质量风险管理框架衔接，将算法偏差纳入药品全生命周期风险管控体系。对于涉及医疗器械独立软件的 AI 药物开发工具，可建立跨部门协同审查机制，通过药械联合审评路径实现监管逻辑的统一性与操作兼容性。

3.1.3 监管框架：成熟度矩阵与全球化衔接

AI 技术发展迅速，监管框架设计需突破静态模式。对此，可借鉴美国“监管沙盒”的试错容错机制，以及欧盟《人工智能法案》的风险分级方法，根据技术应用场景的风险水平实施差异化动态监管，进而构建具有中国特色的“AI 监管成熟度矩阵”。①技术风险维度对接国际质量风险管理标准，实时评估算法偏差对药品安全性的潜在影响；②应用场景维度匹配药物研发阶段特性，智能调配审评资源，设定差异化证据要求；③社会影响维度融入全球伦理规范，建立公众参与式监督机制。在保障安全性的前提下，允许企业进行创新探索，并逐步完善相关法规。

在国际协同中，由于各国法规和标准的差异，需要在“主权监管”与“国际协作”间寻求动态平衡，可依托 ICH 框架推动建立 AI 模型验证的互认机制，统一技术标准，共同制定跨境数据治理、伦理审查衔接等操作指南。另外，建议建立跨国监管信息共享平台，共同监督和评估 AI 技术在药物研发领域的应用，提升跨国界技术风险的协同应对能力。

3.2 讨论

针对药物研发中 AI 技术的监管范式革新，本质上是技术风险治理与创新激励机制的再平衡过程。通过分析欧美在 AI 药物研发监管中的差异化实践，可为中国构建本土化治理体系提供双重镜鉴。美国的“风险分级 - 动态响应”机制，体现了技术演进和制度创新的协同逻辑，启示监管需构建敏捷治理能力以适应技术迭代节奏；欧盟的“伦理前置 - 系统审查”框架，锚定人权保障的治理基点，表现出技术向善的价值理性不可妥协。我国可在“严格监管 - 伦理体系刚性化”和“包容审慎 - 治理框架弹性化”中，寻找技术创新与风险管控的平衡，形成兼顾技术突破和患者权益的监管模式。

本文内容基于笔者的科学认知、背景调研等，不代表监管机构要求。

参考文献：

[1] WARRAICH H J, TAZBAZ T, CALIFF R M. FDA perspective on the regulation of artificial intelligence in health care and biomedicine [J]. *JAMA*, 2025, **333**(3): 241-247.

[2] SARKER I H. AI-based modeling: techniques, applications and research issues towards automation, intelligent and smart systems [J]. *SN Comput Sci*, 2022, **3**(2): 158.

[3] SOORI M, AREZOO B, DASTRES R. Artificial intelligence, machine learning and deep learning in advanced robotics, a review [J]. *Cognitive Robotics*, 2023, **3**: 54-70.

[4] QURESHI R, IRFAN M, GONDAL T M, *et al*. AI in drug discovery and its clinical relevance [J]. *Heliyon*, 2023, **9**(7): e17575.

[5] YOU Y, LAI X, PAN Y, *et al*. Artificial intelligence in cancer target identification and drug discovery [J]. *Signal Transduct Target Ther*, 2022, **7**(1): 156.

[6] CALLAWAY E. ‘It will change everything’: deepmind’s AI makes gigantic leap in solving protein structures [J]. *Natur*e, 2020, **588**(7837): 203-204.

[7] JUMPER J, EVANS R, PRITZEL A, *et al*. Highly accurate protein structure prediction with AlphaFold [J]. *Nature*, 2021, **596**(7873): 583-589.

[8] KIMBER T B, CHEN Y, VOLKAMER A. Deep learning in virtual screening: recent applications and developments [J]. *Int J Mol Sci*, 2021, **22**(9): 4435.

[9] WU H, LIU J, ZHANG R, *et al*. A review of deep learning methods for ligand based drug virtual screening [J]. *Fundam Res*, 2024, **4**(4): 715-737.

[10] TRIPATHI S, AUGUSTIN A I, DUNLOP A, *et al*. Recent advances and application of generative adversarial networks in drug discovery, development, and targeting [J]. *Artif Intell Life Sci*, 2022, **2**: 100045.

[11] ABBASI M, SANTOS B P, PEREIRA T C, *et al*. Correction

to: designing optimized drug candidates with generative adversarial network [J]. *J Cheminformatics*, 2022, **14**(1): 53.

[12] MACEDO B, VAZ I R, GOMES T T. MedGAN: optimized generative adversarial network with graph convolutional networks for novel molecule design [J]. *Sci Rep*, 2024, **14**(1): 1212.

[13] CHEN X, ROBERTS R, LIU Z, *et al*. A generative adversarial network model alternative to animal studies for clinical pathology assessment [J]. *Nat Commun*, 2023, **14**(1): 7141.

[14] DULSAT J, LÓPEZ-NIETO B, ESTRADA-TEJEDOR R, *et al*. Evaluation of free online ADMET tools for academic or small biotech environments [J]. *Molecules*, 2023, **28**(2): 776.

[15] CHANG T G, CAO Y, SFREDDO H J, *et al*. LORIS robustly predicts patient outcomes with immune checkpoint blockade therapy using common clinical, pathologic and genomic features [J]. *Nat Cancer*, 2024, **5**: 1158-1175.

[16] ZHANG B, ZHANG L, CHEN Q, *et al*. Harnessing artificial intelligence to improve clinical trial design [J]. *Commun Med* (Lond), 2023, **3**(1): 191.

[17] ALOWAIS S A, ALGHAMDI S S, ALSUHEBANY N, *et al*. Revolutionizing healthcare: the role of artificial intelligence in clinical practice [J]. *BMC Med Educ*, 2023, **23**(1): 689.

[18] CHOPRA H, ANNU, SHIN D K, *et al*. Revolutionizing clinical trials: the role of AI in accelerating medical breakthroughs [J]. *Int J Surg*, 2023, **109**(12): 4211-4220.

[19] SUN T, HE X, LI Z. Digital twin in healthcare: recent updates and challenges [J]. *Digit Health*, 2023, **9**: 20552076221149651.

[20] FDA. Information Visualization Platform (InfoViP): CDER's new artificial intelligence safety surveillance tool [EB/OL]. (2022-07-07) [2024-07-14]. https://www.fda.gov/drugs/cder-conversations/information-visualization-platform-infovip-cders-new-artificial-intelligence-safety-surveillance.

[21] YANG S, KAR S. Application of artificial intelligence and machine learning in early detection of adverse drug reactions (ADRs) and drug-induced toxicity [J]. *Artif Intell Chem*, 2023, **1**(2): 100011.

[22] HABUKA H. Japan's approach to AI regulation and its impact on the 2023 G7 presidency [EB/OL]. (2023-02-14) [2024-12-04]. https://www.csis.org/analysis/japans-approach-ai-regulation-and-its-impact-2023-g7-presidency.

[23] European Comission. Artificial Intelligence Act [EB/OL]. (2024-03-13) [2024-07-11]. https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=OJ:L_202401689.

[24] FDA. PrecisionFDA: a sandbox for innovative and collaborative artificial intelligence (AI) solutions for public health [EB/OL]. (2024-01-30) [2024-11-17]. https://www.fda.gov/media/182815/download.

[25] FDA. Digital Health Innovation Action Plan [EB/OL]. (2017-07-28) [2025-05-05]. https://www.fda.gov/media/106331/download.

[26] European Union. General Data Protection Regulation (GDPR) [EB/OL]. (2018-05-25) [2024-11-17]. https://gdpr-info.eu/.

[27] EMA. Medical Device Regulation (MDR) [EB/OL]. (2021-05-26) [2025-05-05]. https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/medical-devices.

[28] FDA. Artificial intelligence in drug manufacturing [EB/OL]. (2023-03-18) [2024-07-14]. https://www.fda.gov/media/165743/download.

[29] FDA. Using artificial intelligence & machine learning in the development of drug & biological products [EB/OL]. (2023-05-11) [2024-07-14]. https://www.fda.gov/media/167973/download.

[30] FDA. Artificial intelligence and medical products: how CBER, CDER, CDRH, and OCP are working together [EB/OL]. (2024-03-15) [2024-07-14]. https://www.fda.gov/media/177030/download.

[31] FDA. Artificial intelligence for drug development [EB/OL]. (2024-10-31) [2024-11-17]. https://www.fda.gov/about-fda/center-drug-evaluation-and-research-cder/artificial-intelligence-drug-development.

[32] EMA. Reflection paper on the use of artificial intelligence (AI) in the medicinal product lifecycle [EB/OL]. (2023-07-19) [2024-07-14]. https://www.ema.europa.eu/en/news/reflection-paper-use-artificial-intelligence-lifecycle-medicines.

[33] EMA. Multi-annual AI workplan 2023—2028 [EB/OL]. (2023-12-18) [2024-07-14]. https://www.ema.europa.eu/en/documents/work-programme/multi-annual-artificial-intelligence-workplan-2023-2028-hma-ema-joint-big-data-steering-group_en.pdf.

[34] EMA. Guiding principles on the use of large language models in regulatory science and for medicines regulatory activities [EB/OL]. (2024-08-29) [2024-12-04]. https://www.ema.

europa．eu/en/documents/other/guiding-principles-use-large-language-models-regulatory-science-medicines-regulatory-activities_en．pdf.

[35] EDEMEKONG PF, ANNAMARAJU P, AFZAL M, *et al*. Health Insurance Portability and Accountability Act (HIPAA) compliance [EB/OL]. (2024-11-24) [2025-05-17]. https://www．ncbi．nlm．nih．gov/books/NBK500019/.

[36] STATE C. California Consumer Privacy Act(CCPA) [EB/OL]. (2024-03-13)[2024-11-17]. https://oag．ca．gov/privacy/ccpa.

[37] HLEG A. Ethics guidelines for trustworthy AI [EB/OL]. (2019-04-30)[2024-11-17]. https://digital-strategy．ec．europa．eu/en/library/ethics-guidelines-trustworthy-ai.

[38] FDA. Breakthrough devices program [EB/OL]. (2024-11-07)[2024-11-17]. https://www．fda．gov/medical-devices/how-study-and-market-your-device/breakthrough-devices-program.

[39] EMA. Scientific advice and protocol assistance [EB/OL]. (2023-06-16)[2024-11-17]. https://www．ema．europa．eu/en/human-regulatory-overview/research-development/scientific-advice-protocol-assistance.

[40] FDA. Proposed regulatory framework for modifications to artificial intelligence/machine learning(AI/ML)-based software as a medical device(SaMD) [EB/OL]. (2019-04-02)[2024-11-18]. https://www．fda．gov/files/medical %20devices/published/US-FDA-Artificial-Intelligence-and-Machine-Learning-Discussion-Paper．pdf.

[41] FDA. Artificial intelligence and machine learning in software as a medical device [EB/OL]. (2024-09-26)[2024-11-18]. https://www．fda．gov/medical-devices/software-medical-device-samd/artificial-intelligence-and-machine-learning-software-medical-device.

[42] FDA. Marketing submission recommendations for a predetermined change control plan for artificial intelligence–enabled device software functions [EB/OL]. (2024-12-04)[2025-05-17]. https://www．fda．gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/marketing-submission-recommendations-predetermined-change-control-plan-artificial?utm_medium=email&utm_source=govdelivery.

[43] FDA. Total product life cycle for medical devices [EB/OL]. (2023-06-09)[2024-11-17]. https://www．fda．gov/about-fda/cdrh-transparency/total-product-life-cycle-medical-devices.

