

2026 年中华医学科技奖候选项目/候选人
公示内容

推荐奖种	医学科学技术奖（非基础医学类）									
项目名称	模型引导的创新药研发关键技术与监管科学研究体系建设与推广应用									
推荐单位/科学家	北京大学									
项目简介	一、项目总体思路与体系构建 本项目面向我国创新药研发“长周期、高成本、低成功率”的重大需求，历经十余年系统性研究与转化应用，创建了一套完整、可监管、可推广的模型引导药物研发（MiDD）关键技术体系，攻克了剂量预测不准、试验冗余、特殊人群外推困难、监管采信不足等关键瓶颈，实现从基础方法、核心技术到产业应用、监管标准的全链条突破，显著提升我国新药研发效率与临床用药安全水平。 项目构建了 MiDD 监管科学体系，率先建立国内首个首次人体剂量预测标准操作流程（SOP），发表我国首篇 FIH 剂量预测与首个定量药理学新药开发专家共识，形成覆盖剂量优化、药物相互作用（DDI）、食物影响、特殊人群外推的完整方法体系。项目团队深度参与制定国家指南 30 余项、标准 2 项、专家共识 3 个，推动我国 MiDD 从理论走向实践、从零散应用走向体系化监管采信，支撑全球首部模型引导新药开发指南发布，奠定我国定量药理学监管科学的国际地位。 二、核心技术创新与关键突破 项目首创药动药效学虚拟人，即生理药动药效学（PKBPD）人群模型，其前期基础是药效学模型研究，可转化的标志物和算法是研究难点。申请人针对药物临床研究提质增效这一问题，进行药动学虚拟人和药效学模型研究，为我国创新药高效高质开发奠定基础，并为药物临床高效研究提供新策略。通过优化药物溶出体系、渗透性预测算法，提高药物吸收预测准确性，并基于此率先提出“创新药探索性食物影响临床试验豁免新策略”，和部分药物相互作用临床试验策略，豁免华堂宁、奥瑞巴替尼、吡咯替尼 7 个创新药的部分 DDI 临床试验和 5 个创新药的食物影响临床试验。 项目研发药效转化标志物与预测算法，创建校正尿排糖率（$\Delta UGEc$）、BCF/IS 五点群体法等系列创新标志物与高效算法，建立暴露效应跨种属、跨人群定量转化规律，形成创新药 II 期临床试验豁免、I 期方案优化、联合用药剂量设计等成套策略。相关技术成功实现 5 个创新药 II 期试验豁免，大幅缩短研发周期、降低成本，被国家药监局列为典型案例并推广，获国际专家高度认可。 三、产业应用成效与科学价值 项目成果实现规模化产业应用与临床转化，已支撑 PB-201、HSK7653、荣格列净、LH1801、华堂宁等 40 余个国产 1.1 类创新药高效开发，助力 10 余个创新药在中美获批上市，3 个创新降糖药成功上市。直接节约冗余临床试验近 20 项，节省研发成本超 1.5 亿元，缩短研发周期 0.5~1.5 年，间接创造市场价值超 20 亿元。项目成果得到国际权威专家高度评价，并通过国家级继续教育推广技术体系，推动我国 MiDD 研究与应用达到国际先进水平。综上，本项目创建的 MiDD 新药研发体系，实现了新药研发从“经验试错”向“模型驱动、科学决策”的范式转变，为我国创新药高质量发展与监管科学现代化提供核心支撑，经济与社会效益显著，推广应用前景广阔。									
代表性论文目录										
序	论文名称	刊名	年,卷(期)	影响	全部作者（国	通讯作者（含	检索	他引总	通讯作者	

号			及页码	因子	内作者须填写中文姓名)	共同, 国内作者须填写中文姓名)	数据库	次数	单位是否含国外单位
1	A model-based meta analysis study of sodium glucose co-transporter-2 inhibitors	CPT Pharmacometrics Syst Pharmacol	2023 Apr;12(4):487-499	3	么雪婷, 周佳苇, 宋玲, 任宇鹏, 胡蓓, 刘东阳	任宇鹏, 胡蓓, 刘东阳	SCIE	8	否
2	A Model-Informed Approach to Accelerate the Clinical Development of Janagliflozin, an Innovative SGLT2 Inhibitor Systematic review and model-based analysis to identify whether renal safety risks of URAT1 inhibitors are fully determined by uric acid-lowering efficacies	Clin Pharmacokinet	2023 Mar;62(3):505-518	4	宋玲、王晓旭、孙晋芳、胡新宇、李海燕、胡蓓、刘东阳	胡蓓, 刘东阳	SCIE	4	否
3	Systematic review and model-based analysis to identify whether renal safety risks of URAT1 inhibitors are fully determined by uric acid-lowering efficacies	Semin Arthritis Rheum	2023 Dec;63:152279	4.4	屈昱晨、俞蕴莉、潘杰、李海燕、崔诚、刘东阳	崔诚, 刘东阳	SCIE	6	否
4	基于口服吸收生理药动学模型的	中国临床药理学与治疗	2021;26:1426-29	0	张苗, 刘倩, 么雪婷, 刘东	刘东阳	CNKI	1	否

	创新药早期临床食物影响研究探索	学			阳				
5	Safety, tolerability, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of the glucokinase activator PB-201 and its effects on the glucose excursion profile in drug-naïve Chinese patients with type 2 diabetes: a randomised controlled, crossover, single-centre phase 1 trial	EClinical Medicine	2021 Nov 6;42:101185	10	刘东阳, 杜颖, 么雪婷, 魏豫东, 朱吉祥, 崔诚, 周虹, 徐敏, 李海燕, 纪立农	李海燕, 纪立农	SCIE	5	否
6	In Vitro Antiviral Activity and Projection of Optimized Dosing Design of Hydroxychloroquine for the Treatment of Severe Acute Respiratory Syndrome Coronavirus 2 (SARS-CoV-2)	Clin Infect Dis	2020; 71: 732-9	7.3	么雪婷, 叶飞, 张苗, 崔诚, 黄宝英, 牛培华, 刘旭, 赵莉, 董尔丹, 宋纯理, 詹思延, 陆柔剑, 李海燕, 谭文杰, 刘东阳	李海燕, 谭文杰, 刘东阳	SCIE	1,480	否
7	Dose selection of chloroquine phosphate for treatment of COVID-19 based on a physiologically based pharmacokinetic	Acta Pharm Sin B	2020; 10: 1216-27	14.6	崔诚, 张苗, 么雪婷, 涂思琪, 侯哲, 谢洁恩, 相小强, 林静, 蔡挺, 沈宁, 宋纯理, 乔杰, 张顺, 李海燕, 刘东阳	张顺, 李海燕, 刘东阳	SCIE	43	否

	tic model								
8	A population pharmacokinetic study to accelerate early phase clinical development for a novel drug, teriflunomide sodium, to treat systemic lupus erythematosus	Eur J Pharm Sci	2019 Aug 1;136:104942	4.7	么雪婷, 武亦文, 江骥, 陈霞, 刘东阳, 胡蓓	刘东阳, 胡蓓	SCIE	8	否
9	Development of a Physiologically Based Pharmacokinetic Model for Sinogliatin, a First-in-Class Glucokinase Activator, by Integrating Allometric Scaling, In Vitro to In Vivo Exploration and Steady-State Concentration-Mean Residence Time Methods: Mechanistic Understanding of its Pharmacokinetics	Clin Pharmacokinet	2018 Oct;57(10):1307-1323	4	宋玲, 张怡, 江骥, 任爽, 陈立, 刘东阳, 陈西敬, 胡蓓	刘东阳, 陈西敬, 胡蓓	SCIE	8	否
10	Translational Modeling and Simulation in Supporting Early-Phase Clinical Development	Clin Pharmacokinet	2017 Aug;56(8):925-939	4	刘东阳, 张怡, 江骥, Choi John, 李雪宁, 朱大龙, 肖大伟, 丁艳华, 范宏伟, 陈力, 胡蓓	胡蓓	SCIE	5	否

	of New Drug: A Learn- Research- Confirm Process								
--	---	--	--	--	--	--	--	--	--

知识产权证明目录

序号	类别	国别	授权号	授权时间	知识产权具体名称	全部发明人
1	中国计算机软件 著作权	中国	2023SR0240849	2022-12-30	临床药理数据分析软件[简称：CPDA]	北京大学第三医院 (北京大学第三临床 医学院)

完成人情况表

姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘东阳	1	北京大学第三医院	北京大学第三医院	教授,研究员	北京大学第三 医院药物临床 试验机构副主 任
对本项目的 贡献	主要从事特定人群临床药理学与定量药理学研究，以 PI 身份负责 70 多个创新药早期临床开发与晚期临床药理学研究（30 多项临床试验，100 多项 MiDD 项目）。获得国自然、重大专项、比尔盖茨及梅琳达基金、北自然重点等十余项基金资助，主编《临床药动学-药效学研究》（基础卷、应用卷）两本书，近五年以通讯作者在 APSB、Lancet: EclinicalMedicine、CPT 等杂志发表 SCI 文章 60 余篇。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
胡蓓	2	北京协和医院	北京领初医药科技有限 公司	教授	公司董事长
对本项目的 贡献	主要从事创新药物 I 期临床研究，承担多项药物 I 期临床试验				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
李海燕	3	北京大学第三医院	北京大学第三医院	主任医师	北京大学第三 医院药物临床 试验机构主任
对本项目的 贡献	重点关注创新药早期研究及创新药心脏安全性评估（QT 研究），建立了比较完善的 QT 临床研究评价的体系。作为主要研究者及主要参与者完成心血管药物临床试验 II 期-IV 期 30 余项，涉及溶栓药、抗高血压药、调脂药、抗心力衰竭药、治疗冠心病药物等，其中多数为国际多中心临床试验。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
刘宏忠	4	中国医学科学院北京协和医 院	中国医学科学院北京协 和医院	副研究员	无
对本项目的 贡献	以临床 Sub-I 身份完成加格列净 I 期临床试验，负责临床试验操作部分，其结果被直接用来支持加格列净 MIDD 分析以及后续的 II 期临床试验豁免。同时刘宏忠大夫作为 PI 或 Sub-I，负责了 10 多个创新药的临床试验，其数据也直接支持了相关的 MIDD 研究。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
崔诚	5	北京大学第三医院	北京大学第三医院	副研究员	无

对本项目的贡献	1.聚焦老年用药异质性与安全风险，阐明衰弱对药物代谢的关键影响，建成老年药动力学虚拟人体系，为老年高危人群剂量优化提供核心方法。成果被纳入国家药监局指导原则与欧洲专家共识，支撑老年新药评价与精准用药。 2.深耕 MiDD 技术应用，建立药物暴露-效应研究技术，通过剂量优化与试验设计创新，成功支持恩沃利单抗、恩那司他、考格列汀等多款创新药豁免部分验证试验、加速上市，形成可推广的高效研发范式，显著提升创新药开发效率与监管认可度。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
王方芳	6	北京大学第三医院	北京大学第三医院	主任医师	无
对本项目的贡献	集中于创新药心脏安全性评价体系的规范化构建与前沿探索。多次在培训班及创新药研发年会中深入解析并推广 ICH E14/S7B 最新指导原则，重点开展了基于血药浓度-QTc 间期（C-QTc）的临床研究。作为病房负责人，建立了涵盖方案设计、高频标准化采样、Holter 分析及数据解读的心脏安全性评估项目全流程技术标准。主持首都发展基金一项《创新药心脏安全性临床评价质量的关键问题研究》，在确保精准识别药物诱发 TdP 风险的前提下，显著缩短研发周期并降低成本，为我国创新药早期临床评价提供了科学的范式参考与质量保障				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
陈锐	7	中国医学科学院北京协和医院	中国医学科学院北京协和医院	副研究员	无
对本项目的贡献	以临床 PI 身份完成 20-30 个创新药早期临床试验，其数据直接支持了相关的 MIDD 研究。以项目负责人身份完成 10-20 个创新药的 MIDD 研究，并参与我国 MIDD 相关的 3-5 个国家指导原则起草工作。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
么雪婷	8	北京大学第三医院	北京大学第三医院	助理研究员	无
对本项目的贡献	（1）利用 MIDD 技术完成 30 余项创新药临床数据分析，支持 III 期临床开发策略或新药上市申请，支持 2 个新药豁免 II 期临床试验；建立生理药动力学（PBPK）建模与模拟技术体系，完成 12 项创新药 PBPK 建模，进行药物相互作用（DDI）评价或预测特定人群 PK，支持 7 个新药豁免部分 DDI 临床试验 （2）聚焦新生儿和儿童特殊人群的精准用药研究，率先建立中国儿童、新生儿生理药动力学模型，提出新生儿血流量、GFR、OAT 转运体丰度/活性发育规律，可预测酶代谢、肾滤过和主动分泌通路，支持 50%儿童抗菌药物 PK 预测				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
梁浩	9	北京大学第三医院	北京大学第三医院	助理研究员	无
对本项目的贡献	基于群体药代/药效动力学，开展模型引导的利妥昔治疗膜性肾病的精准用药研究。通过模型模拟，证实小剂量每月给药方案足以达到与传统的大剂量给药方案相当的疗效，从而大幅降低了使用利妥昔治疗膜性肾病的药物用量，进而显著减轻了患者负担（Front Pharmacol. 2024; 15:1197651.）。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
宋玲	10	北京大学第三医院	北京大学第三医院	助理研究员	无
对本项目的贡献	基于群体药动力学药效学（Pop-PKPD）建模与仿真技术，支持创新降糖药物加格列净的首次人体剂量设计及患者人群中有效剂量的预测； 基于生理药动力学（PBPK）技术支持 first-in-class 药物多格列艾净的首次人体试验设计。作为 Sub-I 支持 9 项创新药物的首次人体试验设计与实施，支持 20 余项创新药物的群体药动力学药效学分析。				

姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
仰滨臻	11	北京大学第三医院	北京大学第三医院	副研究员	无
对本项目的贡献	构建 RNA 药物靶向递送系统的 MiDD 研究新策略，提出 GalNAc-siRNA 关键体内靶向递送“ADUEB”体系。				
姓名	排名	完成单位	工作单位	职称	行政职务
张雷	12	北京大学第三医院	北京大学第三医院	副研究员	无
对本项目的贡献	围绕代谢性疾病如代谢相关脂肪性肝病、糖尿病等人群，结合代谢组学和蛋白组学等多组学技术开展药代动力学和药效动力学生物标志物的筛选和挖掘工作，共支持 5 项创新药临床试验药效标志物的探索研究，同时作为 sub-I 参与创新药临床试验项目 3 项。				
完成单位情况表					
单位名称	北京大学第三医院			排名	1
对本项目的贡献	在刘东阳研究员带领下，团队依托已建立的 MIDD 监管体系，以数学模型技术支持我国上百个创新药临床开发，其中 20 余个创新药成功上市。牵头项目申报，与协和医院长期紧密协作，推动研究完成技术建立、产业应用等全链条突破，为 MIDD 监管科学体系完善提供实践支撑，同时为我国生物制药新技术创新开辟核心路径，联合发表多篇高水平学术论文，夯实领域学术与技术基础。				
单位名称	中国医学科学院北京协和医院			排名	2
对本项目的贡献	作为项目起源地，胡蓓教授全程指导研究，主导奠定技术应用基础。2013 年指导起草首部 MIDD 相关 SOP，2016 年推动完成我国首个依托数学模型豁免 II 期临床试验的典型案例。牵头制定我国首个 MIDD 专家共识，主导起草 30 余项相关国家指南，构建中国特色 MIDD 监管科学体系，团队持续深耕技术与指南建设，联合发表多篇高水平论文，夯实领域发展根基。				