Lernende Systeme
DIE PLATTFORM FÜR KÜNSTLICHE INTELLIGENZ

Arzneimittel mit KI entwickeln: Von der Idee bis zur Zulassung

Whitepaper

Budde, K. et al.
AG Arbeitsgruppe Gesundheit, Medizintechnik, Pflege

Kurzfassung

Die Entwicklung eines Arzneimittels ist ein komplexes, langwieriges Unterfangen: Bis zur Markteinführung dauert es durchschnittlich zwölf Jahre mit Gesamtkosten von etwa 2,8 Milliarden US-Dollar. Dieser Prozess von der ersten Idee bis zur Zulassung kann mit dem Einsatz von Künstlicher Intelligenz (KI) effizienter gestaltet werden und bietet die Möglichkeit, jahrelange Laborarbeit und kostspielige Investitionen einzusparen: durch systematische Analysen bei der Datenverarbeitung, dem Auffinden geeigneter Wirkstoffkandidaten oder bei der Umsetzung klinischer Studien.

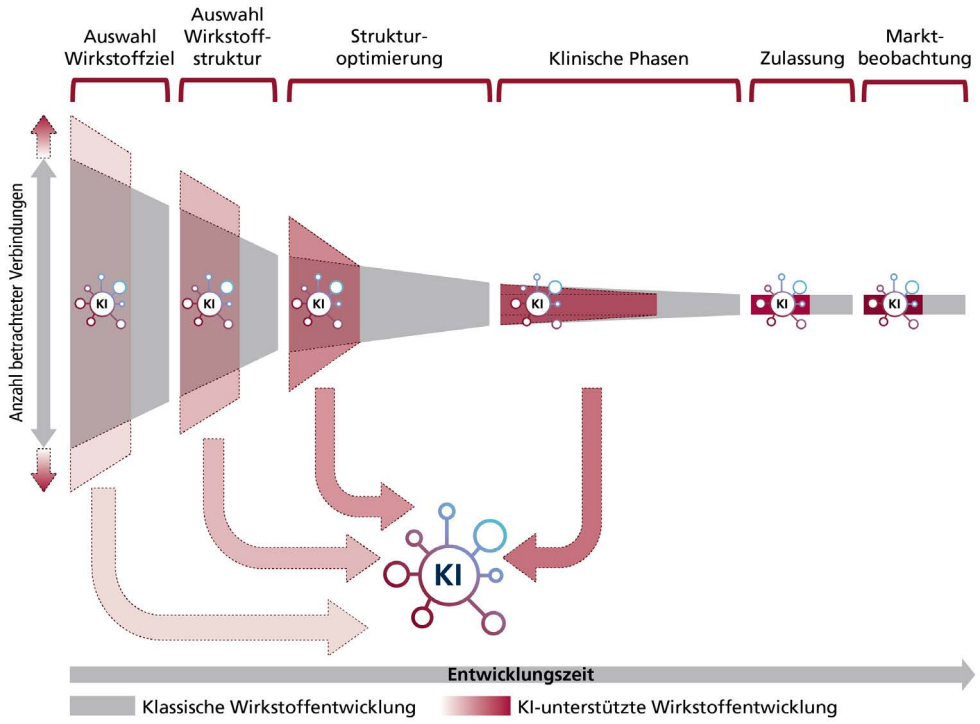
Die durch KI bereitgestellten Freiräume lassen sich in der Arzneimittelforschung produktiv nutzen, um mithilfe von KI wirksamere und individuellere Medikamente schneller zu entwickeln: zum eigenen Wettbewerbsvorteil wie zum Patientenwohle. Dies setzt voraus, dass neben einer verlässlichen Datenbasis zu Wirkstoffen und ihren Nebenwirkungen auch ausreichend hochwertige Daten von Patientinnen und Patienten der Forschung zugänglich sind. Dies wiederum erfordert neben der Bereitschaft der forschenden Unternehmen zur Datenteilung die aktive Beteiligung der Bevölkerung, um Lücken in der Datenbasis zur Humanbiologie zu schließen, vor allem zur Entwicklung personalisierter Therapieansätze. Hierfür ist ein rechtssicherer regulatorischer Rahmen zu schaffen, der die Datenverfügbarkeit von Gesundheitsdaten für Forschungszwecke gewährleistet.

KI in der Arzneimittelentwicklung

KI-Technologien bergen enorme Potenziale für Unternehmen im Pharma- und Biotechbereich, insbesondere was die wirtschaftliche Umsetzbarkeit betrifft, indem Zyklenzeiten und Entwicklungskosten für Arzneimittel reduziert, neue Hypothesen durch erweiterte Datennutzung und Veränderungen in der Forschungskultur generiert werden. Den Unternehmen eröffnet der KI-Einsatz, neue Geschäftsmodelle und ein digitales Ökosystem zur gemeinschaftlichen Datennutzung aufzubauen. So nutzen bereits etwa 23 Prozent der Pharmaunternehmen KI in der Wirkstoffentwicklung laut einer Umfrage (Schulte, 2022).*

Wirkstoffforschung: Bei der Entwicklung von Wirkstoffen können KI-Technologien in allen Phasen zum Einsatz kommen; insbesondere in den frühen Phasen, wie der Identifizierung von Targets und Leads, existieren bereits zahlreiche Anwendungen.

Schematische Darstellung der Vorteile des KI-Einsatzes in der Wirkstoffentwicklung über alle Entwicklungsphasen hinweg: kürzere Entwicklungsphasen, mehr zugängliche Moleküle sowie Nutzbarmachung aller generierten Daten zum Training der KI.



Quelle: Eigene Darstellung.

Bereits zu Beginn bei der **Auswahl des Wirkstoffziels** unterstützt KI durch die Zusammenstellung und Auswertung von Informationen aus vorhandenen medizinischen Datenbanken, darunter Literatur-Datenbanken, wie PubMed, oder auch Gen- und Proteindatenbanken, um Angriffspunkte (Targets) zu identifizieren, die den Krankheitsverlauf

* Schulte, A. (2022): Pharmaindustrie nutzt Künstliche Intelligenz zur Arzneimittelforschung. Online unter: https://www.handelsblatt.com/technik/medizin/neue-medikamente-pharmaindustrie-nutzt-kuenstliche-intelligenz-zur-arzneimittelforschung/28161478.html

beeinflussen. Dies ermöglicht im Weiteren die automatisierte Erstellung von Wissensgraphen, die vor allem für die Arzneimittelentwicklung bei komplexen Krankheitsbildern ausschlaggebend sind. Auch bei der **Auswahl der Wirkstoffstruktur** (Lead-Identifikation) wertet KI verfügbare Datenbanken aus, hier insbesondere zu relevanten Stoffeigenschaften wie Absorption, Diffusion, Verstoffwechselung oder Proteininteraktion, um potenzielle Wirkstoff-Kandidaten zu identifizieren und deren Interaktion mit dem Target zu prognostizieren. Damit kann auch das Repurposing, also die Umnutzung, von bereits zugelassenen Wirkstoffen mithilfe von KI erleichtert werden oder es können mittels generativer KI komplett neue Wirkstoffstrukturen erstellt werden – dies kann in ähnlicher Art und Weise zu generativen Sprachmodellen wie ChatGPT funktionieren, auf Basis von Autoencodern. In der Phase der **Struktur-Optimierung der Wirkstoffstruktur** (Lead-Struktur-Optimierung) liefern in silico-Vorhersagen (Experimente, die im Computer simuliert werden) weitere Informationen über Wirkstoffkandidaten: zum Beispiel zur Bioaktivität und -verfügbarkeit, Verstoffwechselung und Ausscheidungswegen bezogen auf den menschlichen Stoffwechsel, einschließlich ihrer physiologischen und pharmakologischen Eigenschaften. **In den klinischen Phasen** verbessert KI die Auswahl von Teilnehmenden an klinischen Studien, das Monitoring während der Studie und ermöglicht potenziell neue Studiendesigns: Beispielsweise passende Probandinnen und Probanden vor Beginn einer Studie herauszufiltern, die dem Entwicklungsprofil des Wirkstoffs entsprechen, oder die Erstellung klinischer digitaler Zwillinge der Teilnehmenden ausgehend von verfügbaren medizinischen Daten als virtueller Kontroll-Arm einer Studie, wie auch die selektive Rekrutierung von Probandinnen und Probanden – insbesondere bei neueren Therapieformen, wie der Gen-Therapie, oder selten vorkommenden Krankheitsbildern. Auch bei der Dokumentation für die **Zulassung** des Arzneimittels unterstützen KI-Tools, indem sie diesen zeitaufwändigen Konsolidierungsprozess zum Nachweis des medizinischen Nutzens sowie von eventuellen Nebenwirkungen erheblich verkürzen können. Bei der Produktion, Vermarktung und **Marktbeobachtung** (Pharmakovigilanz) von Arzneimitteln bietet KI ebenfalls vielfältige Einsatzmöglichkeiten zur Effizienzsteigerung und Trendvorhersage: Angefangen bei der Optimierung des Produktionsdesigns und der Prozesskontrolle über vorausschauende Wartung und Trend-Beobachtung der Produktqualität auf Basis von Kundenbeschwerden oder Abweichungen im Produktionsablauf bis hin zur Erstellung von Roadmaps zur Vermarktung. Die Integration von KI in die Arzneimittelentwicklung verspricht damit eine deutliche Beschleunigung und Verbesserung des gesamten Prozesses sowie eine effektivere Überwachung der Sicherheit (Pharmakovigilanz) von Arzneimitteln.

Personalisierte Therapieansätze: Künstliche Intelligenz kann nicht nur die Arzneimittelentwicklung beschleunigen, sondern ihr Einsatz vermag auch die personalisierte Medizin in der Breite zu fördern. Denn die KI-gestützte Datenanalyse ermöglicht die Entwicklung personalisierter Therapien, etwa zur Behandlung von Krebs, die auf das individuelle Krankheitsbild der Betroffenen zugeschnitten sind und abgestimmt werden, dies auch im Hinblick auf gleichzeitig vorliegende Befunde. Mittels retrospektiver Studien, sogenannte Real-World-Studien, auf Basis von realen Gesundheitsdaten, die in großen Mengen vorhanden sind, lassen sich in der Rückschau Wirkung und/oder die Nebenwirkungen eines Wirkstoffs bewerten. Diese Real-World-Studien bieten sich vor allem bei der Analyse von Versorgungsinnovationen auf spezielle Bevölkerungsgruppen an, die in klinischen Studien schwer erfassbar sind, wie beispielsweise hochaltrige, minderjährige oder kognitiv eingeschränkte Personen.

Herausforderungen

Der Einsatz von KI in der Arzneimittelentwicklung hat das Potenzial, die Entwicklung und Zulassung von Arzneimitteln zu verändern. Doch um das volle Potenzial nutzen und mögliche Risiken minimieren zu können, sind **für den KI-Einsatz angemessene Regulierungen und Richtlinien zur Validierung von KI-Modellen und Datensätzen zu entwickeln**. Ziel ist es, Gesundheitsdaten für Forschungszwecke auch der Industrie im Rahmen eines Datenökosystems zugänglich zu machen. Daher ist es wichtig, klare Standards für die Bewertung von KI-basierten Daten festzulegen und sicherzustellen, dass KI-generierte Erkenntnisse transparent und prüfbar sind. Dabei ist vor allem das Problem der Halluzination bei medizinischen Sprachmodellen anzugehen, das teilweise bereits durch sogenanntes Evidence Surfacing (Erweiterung des KI-Statements durch reale Zitate aus Publikationen oder Verweise auf Datenbankeinträge als Basis für eine Validitätsprüfung durch den Menschen) kompensiert werden kann. Für einen effizienten Einsatz von KI sind große Mengen **qualitativ hochwertiger Patientendaten** notwendig, beispielsweise aus der elektronischen Patientenakte (ePA) oder seitens der Krankenkassen, um personalisierte Medizin voranzutreiben. Die Datenverfügbarkeit für KI in der Wirkstoffentwicklung kann durch Gesetze wie dem Verordnungsentwurf zum European Health Data Space (EHDS) sowie dem Gesundheitsdatennutzungsgesetz (GDNG) in Deutschland verbessert werden. Schließlich ist mit der Qualität und Verfügbarkeit auch die **internationale Anschlussfähigkeit von Datensätzen** für KI in der Wirkstoffentwicklung entscheidend und erfordert **standardisierte Datenerfassung und interoperable Datenformate**, was neben deutschen wie europäischen auch internationale Standards und klare Regeln zur Datennutzung miteinschließt.

Impressum
Herausgeber: Lernende Systeme – Die Plattform für Künstliche Intelligenz | Geschäftsstelle | c/o acatech | Karolinenplatz 4 | D-80333 München | kontakt@plattform-lernende-systeme.de | www.plattform-lernende-systeme.de | Folgen Sie uns auf X: @Lernende Systeme | LinkedIn: de.linkedin.com/company/plattform-lernende-systeme | Mastodon: social.bund.de/@LernendeSysteme | Stand: März 2024 | Bildnachweis: gorodenkoff/iStock/Titel

Diese Kurzfassung entstand auf Grundlage des Whitepapers *Arzneimittel mit KI entwickeln: Von der Idee bis zur Zulassung. Anwendungen, Potenziale und Herausforderungen*, München, 2024. Es wurde erstellt von Mitgliedern der Arbeitsgruppe Gesundheit, Medizintechnik, Pflege. Die Originalfassung der Publikation ist online verfügbar unter: *https://doi.org/10.48669/pls_2024-1*

GEFÖRDERT VOM

Bundesministerium für Bildung und Forschung

acatech
DEUTSCHE AKADEMIE DER TECHNIKWISSENSCHAFTEN