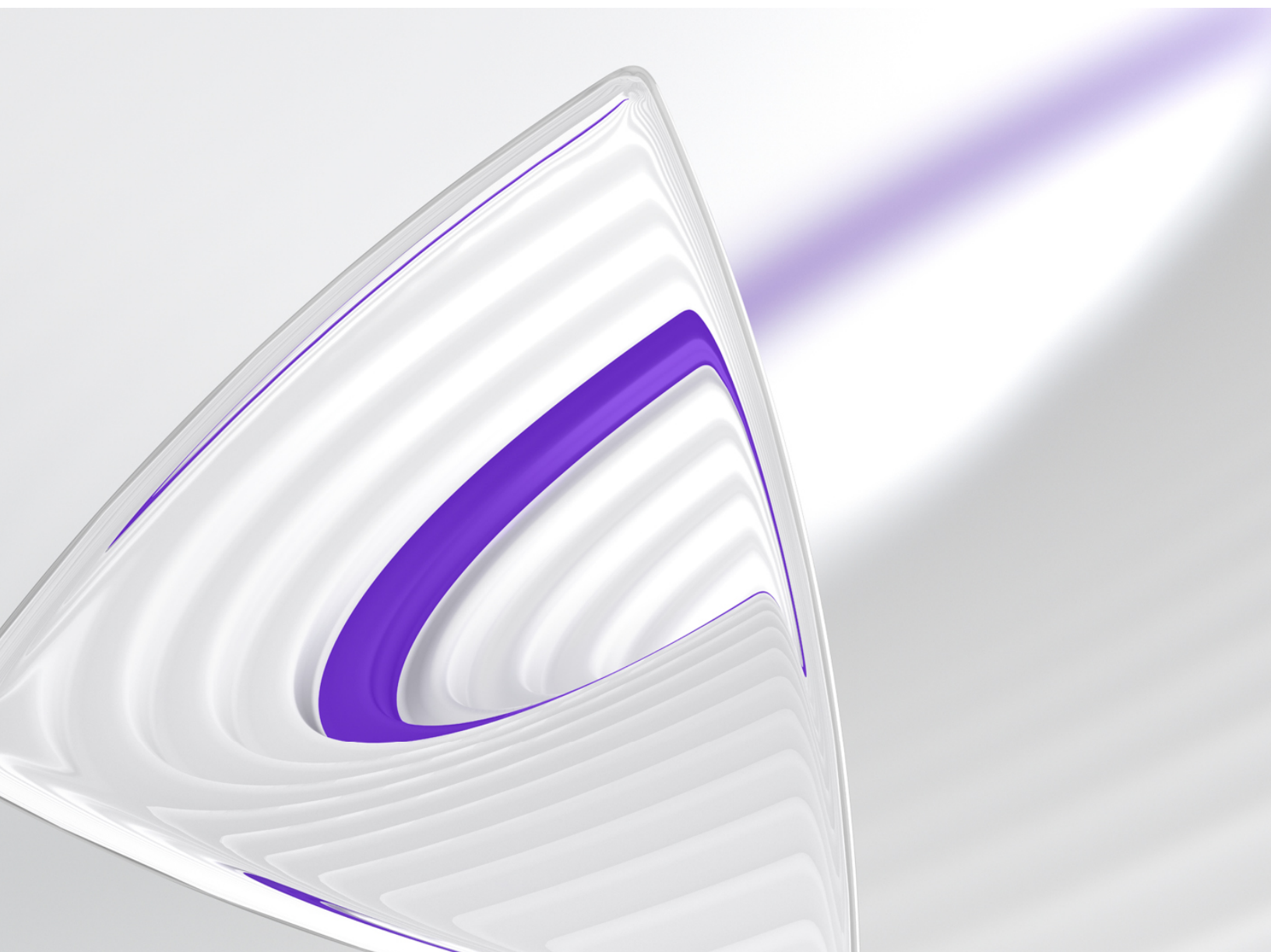


藥物研發時程及 成功率預測

科睿唯安獨有演算法預估藥物成功率



目錄

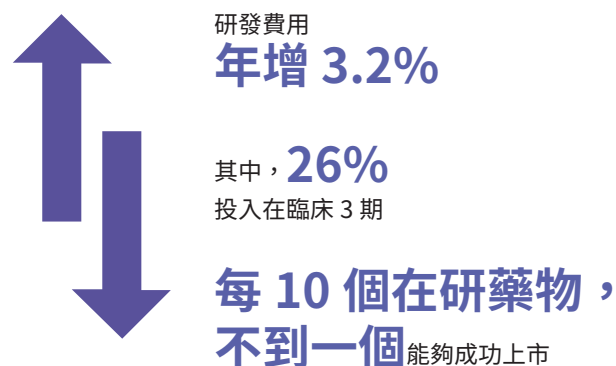
通往更準確預測的路徑	2
開發統計模型來預測臨床成功率	3
導入「統計模型和機器學習」尋求解決辦法	3
DTSR 演算法的驗證	3
與標竿分析或其他演算法等傳統預測模型的對比	4
預測藥物的成功率及研發時程	5
未來展望	9

通往更準確預測的路徑

最近幾年，儘管藥物研發支出持續攀升，但高達 90% 的處於臨床階段的專案最終仍不能進入市場，如圖 1 所示。高臨床失敗率大幅增加了藥物的成本，而研發成本又很大程度上歸咎於臨床階段的失敗。在此背景下，製藥公司比以往更加迫切想要知道其投資組合的價值，希望更快篩選掉那些臨床成功率低的藥物，從而將資金投向更有希望的產品。

圖 1：藥物研發成本及成功率的示例

資料來源：2020 國際藥物研究中心藥物研發報告



許多製藥公司使用內部的資料管理來支援研發產品線的決策，然而這種方式仍有其限制。常設的競爭情報和業務開發團隊的製藥公司，通常使用分析師報告、新聞報導和其他資料來源構建的資料庫；而其他不設競爭情報和業務開發團隊的小公司，可能由外部顧問或分析師協助。這類方式多數需要人工整理，時間成本和經濟成本都很高，而面臨人工整理數據不完整或存在時效性的局限。

使用標竿分析 (benchmarking)、綜述知識、科學文獻和評估，對於一部分資產或特定治療領域是有幫助的，卻很難轉化到投資組合層面的評估。

資料來源

科睿唯安的願景是改善世界創造、保護及推進創新的方式。我們旗下產品的資料可單獨使用，亦可彙整為解決方案（如藥物研發時程及成功率預測 Drug Timeline & Success Rates, DTSR），提供更全面的產業全景資訊：

Cortellis Competitive Intelligence™ 競爭情報 提供在研藥物產品線、交易、專利、會議、公司內容以及最新的產業新聞

Cortellis Deals Intelligence™ 交易情報 結合業界最大的交易情報來源，以更出色的視覺化技術呈現最高品質的資料，協助您迅速找出最佳交易，順利完成盡職調查

Cortellis Clinical Trials Intelligence™ 臨床試驗情報 提供全面、重要的競爭情報，協助您完成臨床試驗計畫，包括場址選擇、試驗方案設計及生物標記辨識

開發統計模型來預測臨床成功率

導入「統計模型和機器學習」尋求解決辦法

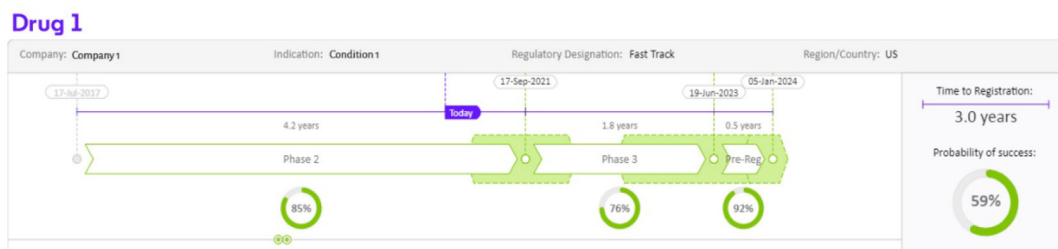
認識到標竿分析的侷限性後，我們採用了大量的藥物開發資料建立了模型，建立一種能夠更準確地預測藥物研發成功率和上市時間的預測方法。集結科睿唯安旗下 Cortellis Competitive Intelligence（競爭情報）、Cortellis Deals Intelligence（交易情報）及 Cortellis Clinical Trials Intelligence（臨床試驗情報）等資料庫中累積了 20 多年所有治療領域從臨床開發到註冊所有階段的藥物開發和臨床試驗數據。Cortellis 資料庫中的數據採用自動化處理和人工管理結合的方式運行，這保證了 Cortellis 資料集的全面性。

基於 Cortellis 收錄的 15 年（2000-2015 年）的藥物和臨床試驗資訊，我們開發了一種可以預測藥物臨床成功率和獲批時間的演算法。這些資訊包括 32.5 萬份已完成或正在進行的臨床試驗，7.3 萬份在研發產品線中確定的藥物記錄，16.5 萬份全球藥物開發公司、研究所和研究組織的簡介，900 萬項專利以及 9.5 萬份關於生命科學授權交易、兼併與收購的報告。

我們正在為此預測模型申請專利，該分析模型包括多變數分析、統計建模和機器學習。模型建立之初，我們篩選了 15 個可以對藥物開發計畫、藥物開發者以及藥物本身進行定性的特徵。然後通過機器學習識別主要特徵並對這些特徵分配權重，使其具有預測成功率的能力，最終形成 DTSR 預測模型，如圖 2 所示。

圖 2、DTSR 預測藥物研發時程及成功率示例

Source: Drug Timeline & Success Rates



DTSR 演算法的驗證

基於 Cortellis 收錄的 15 年（2000-2015 年）的藥物和臨床試驗資訊建立完預測模型之後，我們又採用 2015-2018 年的資料，與真實世界臨床推進的成功率相比，來驗證該模型的預測準確性，結果顯示：

- 通過 DTSR 預測的臨床推進成功率大於 90% 的藥物中，實際成功率為 92%。
- 通過 DTSR 預測的 I 期臨床向 II 期臨床推進的成功率大於 80% 的藥物中，實際成功率為 88%。
- 通過 DTSR 預測的 II 期臨床向 III 期臨床推進的成功率為大於 70% 的藥物中，實際成功率為 77%。
- 通過 DTSR 預測臨床失敗率超過 70% 的藥物中，實際有超過 3/4 的藥物失敗。

與標竿分析或其他演算法等傳統預測模型的對比

為了進一步對比 DTSR 預測模型與傳統演算法的優劣，我們將兩種方法測得的結果進行了比較。國際藥物研究中心 (CMR) 是藥品研發績效指標的供應商（也是科睿唯安的全資子公司），該研究中心的報告顯示：2000-2015 年期間，從 I 期臨床到 II 期臨床的成功率為 61%，從 II 期臨床到 III 期臨床的成功率下降到 36%，從 III 期臨床到註冊前階段的成功率為 75%，從註冊前到完成註冊的成功率為 88%（見圖 3）。

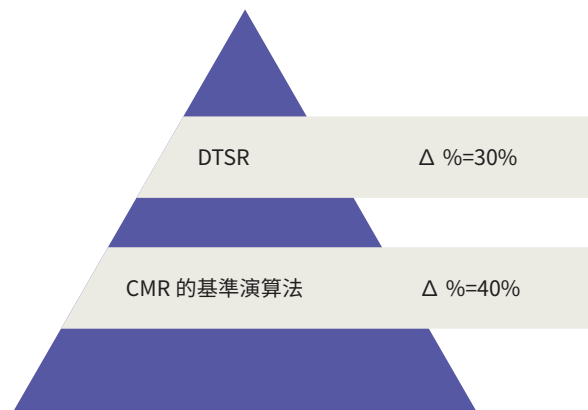
圖 3、國際藥物研究中心 (CMR) 的標竿分析測算資料

Source: 2018 CMR International Factbook

臨床階段轉換	成功率 (2000-2015 年)
I 期臨床 → II 期臨床	61%
II 期臨床 → III 期臨床	36%
III 期臨床 → 註冊前	75%
註冊前 → 完成註冊	88%

我們將 DTSR 計算後的結果與 CMR 的標竿分析測算結果進行了比較，計算了預測成功率和實際成功率之間的差異（用精度度量 $\Delta\%$ 表示：數字越小，方法越準確）。結果顯示，對所有治療領域進行測算後，DTSR 的 $\Delta\%$ 為 30%，CMR 的基準演算法為 40%（見圖 4）。該差異顯示，DTSR 的預測準確率比產業標竿分析演算法高 25%。

圖 4、DTSR 的預測準確率比標竿分析測算法高 25%。



預測藥物的成功率及研發時程

DTSR 可以為在美國、歐盟、日本、中國大陸、新加坡及南韓進行臨床試驗的單個藥物進行成功率和註冊時間的預測（如圖 5），亦可個別預測個別臨床期別的成功率及所需時程（圖 6）。由於該模型成功率和上市時間的預測是基於資料和統計模型得出的，數據比行業標竿分析分析的計算方式更準確，可應用於治療領域或整個投資組合層面。

圖 5 跨國比較各國藥物研發時程及獲證成功率

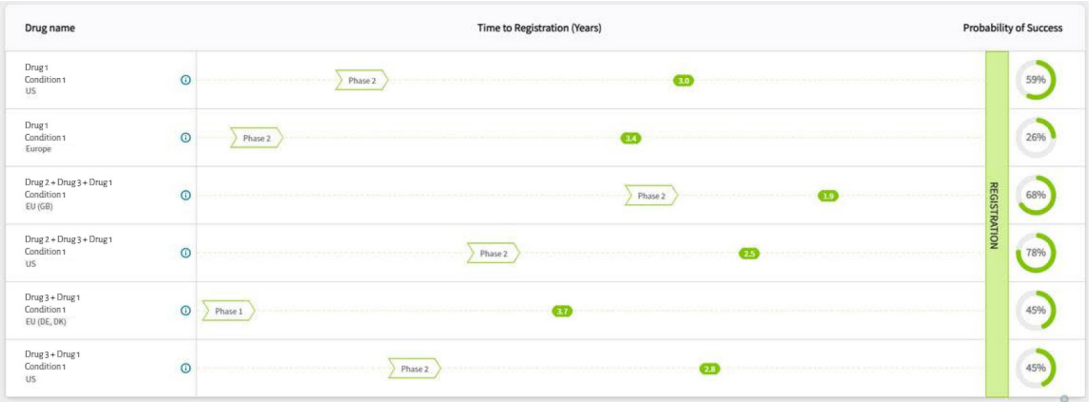


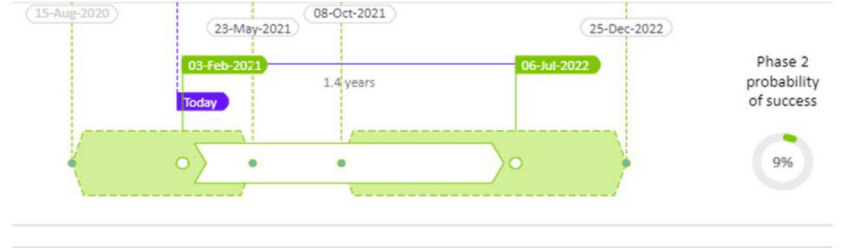
圖 6 依在研階段分別預測

Drug 4, Company 2, Condition 2

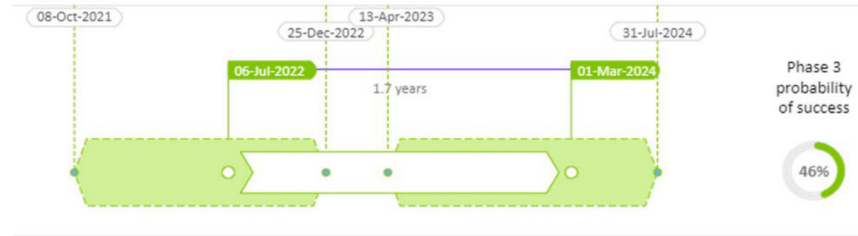
Phase 1



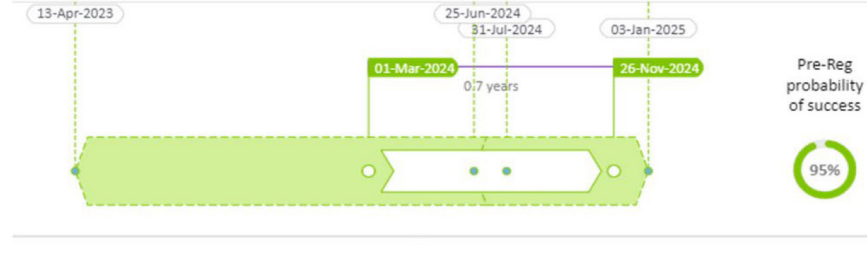
Phase 2



Phase 3



Pre-Reg



值得強調的是，DTSR 是即時成功率預測，因為它根據最新的資訊生成預測。其預測的資料會隨著新里程碑的實現而更新。每個藥物的量化的特徵及里程碑都具有獨特性，因此演算模型中在不同國家和適應症預測時，用於預測成功率的指標並非使用固定的模版。

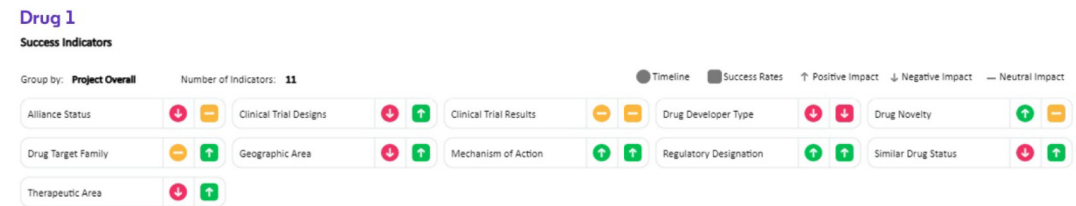
該算法是動態的，並且隨著新的里程碑實現而變動。隨著藥物行業整體變遷，持續從新的資料登錄和藥物專案中反覆運算學習。不斷完成預測結果及提高準確性。由於個別藥物專案的複雜性及可能影響因素的數量，系統將 100 多個預測元素配置成最多 15 個成功指標中，並且在演算法中依不同的藥物及臨床期別，在個別專案考慮使用這些元素 (表 1)。

表 1：DTSR 成功率指標分類，每個類別中使用的資料特徵 / 元素均舉例說明

指標類型	指標分類	範例：使用的資訊元素
Cortellis 元素 / 特徵	地理區域	目前研發階段所在的國家 / 區域
	作用機理	藥物關聯的作用機理
	藥物靶標家族	藥物關連的蛋白或基因靶標家族
	治療領域	藥物承襲的適應症
	藥物開發公司類型	組織類型 (上市公司 / 私有) 及其規模 (大 / 中 / 小)
	特殊審評	是否具備特殊審評資格
	藥物的新穎性	是否為全新藥物
	臨床試驗設計	生物標記物
	臨床試驗結果	臨床試驗結果是否達成主要終點
	結盟	由最早研發的公司持續發展
里程碑事件	類似藥物研發狀態	研發中斷原因
	藥物分類	大分子藥物
	藥物開發公司的預測	預期獲批時間
	法規里程碑	PDUFA/ BsUFA/ NDA/ BLA 日期
	臨床里程碑	臨床試驗完成 / 最終結果公告日

為了使演算法及其輸出結果保持透明，DTSR 提供了多個輸出結果。第一個說明了每個成功指標（即臨床結果，作用機理）對預測的影響（圖 7），該預測可用於整個藥物以及試驗階段。對研發時程的影響是正面、負面或中性，並與成功率的對比分別顯示，並標示顏色讓您快速理解。

圖 7 成功指標對預測結果的影響



DTSR 還提供了並列的比較圖示，在預測變動追蹤圖示中可以看到先前預測與現況的比較，且能反應行業變動趨勢。透過用戶自設提醒即可輕鬆地追蹤研發時程的變化、新里程碑事件、藥物實際過渡到下個階段與否、新的藥物專案預測、成功率、新的研發階段以及實際核准狀態。

通過 Cortellis 可獲得的標竿分析資料還可用於比較治療區域內藥物的歷史表現，例如，與演算法的預測資料（圖 8）進行比較，或將正在進行的藥物的表現與相同治療區域內藥物的表現依據獨佔權、地區、藥品新穎性或藥品類型進行比較（圖 9）。此外，您可以跟蹤藥物開發以評估其作為合作夥伴或競爭威脅的潛力。

圖 8：與 Cortellis 中可獲得的標竿分析資料進行比較，並舉例說明指定適應症下的藥物預測結果

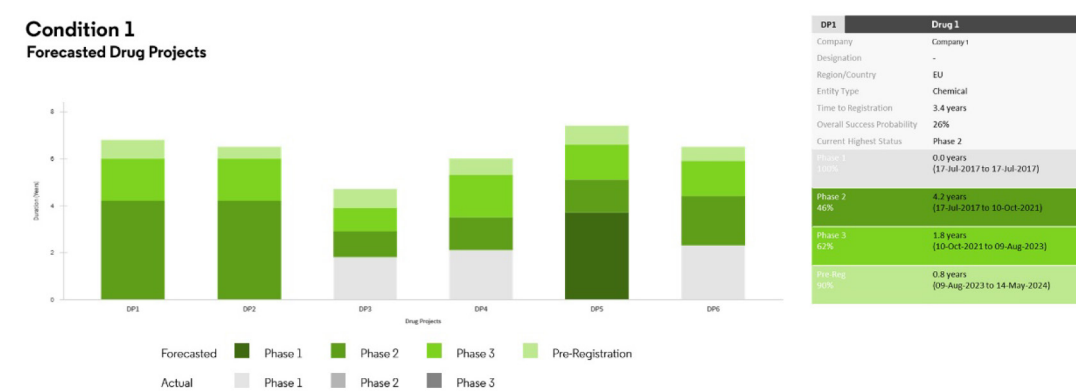


圖 9 基於 Cortellis 資料，囊腫性纖維化藥物的歷史資料

階段	成功率	成功的藥物數	藥物總數	未知 ¹
臨床 1 期	92.68%	38	41	39
臨床 2 期	46.43%	13	28	74
臨床 3 期	76.92%	10	13	12
預註冊	83.33%	10	12	2

為了進行進一步的分析，DTSR 的預測結果可以進一步匯出為 Excel 檔，用於進一步操作或導入其他軟體系統。

¹ 未知 (Unknown) 指的是臨床試驗正在進行中、提前終止或近 12-18 月未更新 (NDR) 的藥物數量

未來展望

持續有力驗證、輸入最新的藥物開發資料，以及模型的持續優化將極大地增加我們對 DTSR 分析模型的信心。我們希望，大規模臨床資料的力量將為藥物開發人員提供更高的預測準確性，強化戰略投資組合決策，並最終提高研發效率，使患者和藥品開發者獲益。

DTSR 已與 Cortellis 平台無縫整合，基於業界金標準的藥物研發、臨床及交易資訊，助您預測並對市場有更好的理解

Cortellis 的數據

40 萬 +

全球臨床試驗資訊

2900+

疾病及治療領域

39

臨床試驗登記網站

20 萬 +

覆蓋 200+ 國的
臨床試驗場址

140 萬 +

來自 1800+ 券商的券商報告

900 萬 +

全球 400+ 專利家族

7.7 萬 +

在研藥物產品線

2 萬 +

位於早期研發的藥物數

19.4 萬 +

公司報告

1300+

SWOT 分析

10.4 萬 +

生命科學交易資訊

1.73 萬 +

合約，包含未編輯版本

關於科睿唯安

科睿唯安 (Clarivate™) 是全球領先的專業資訊服務提供者。今天，科睿唯安銳意進取，為使用者提供值得信賴的資訊與卓越的洞見，幫助客戶解決複雜難題，洞察先機，加速創新步伐。我們的專業知識和解決方案覆蓋創新生命週期的每一個關鍵環節，從學術研究和科學發現，到智慧財產權的管理保護，直至實現創新成果的商業化，涵蓋科學研究、生命科學與製藥、智慧財產權各個領域。更多資訊請參考 clarivate.com。

科睿唯安 台灣辦公室
台北市信義區松智路 1 號 11 樓

clarivate.com