

# 中药新药研发过程中的药效学评价与标准化规范建立

赵维宸

南京中医药大学 江苏南京 210022

**摘要:** 中药新药研发是推动中医药现代化、产业化发展的核心环节, 药效学评价作为研发过程中的关键支撑, 直接决定新药的有效性与临床价值, 而标准化规范的建立则是保障药效学评价科学性、客观性、可重复性的前提。本文结合中药自身特点与研发实际, 阐述中药新药药效学评价的核心内涵与重要意义, 分析当前药效学评价与标准化规范建立中存在的问题, 提出针对性的完善路径, 总结标准化规范建立的核心价值, 为中药新药研发的规范化、高质量发展提供理论参考与实践指导。

**关键词:** 中药新药; 药效学评价; 标准化规范; 研发流程; 质量控制

## 引言

中医药作为我国传统医学的瑰宝, 在疾病预防、治疗与康复中发挥着独特优势, 中药新药研发已成为传承中医药精髓、提升中医药国际竞争力的重要途径。药效学评价是中药新药研发的核心环节, 贯穿研发全流程, 其结果直接关系到新药的临床应用价值与安全性。当前, 我国中药新药药效学评价仍存在评价体系不统一、指标不规范、结果可重复性差等问题, 严重制约了中药新药研发的效率与质量。因此, 系统梳理中药新药药效学评价的核心要点, 建立科学、完善的标准化规范, 对于推动中药新药研发高质量发展、实现中医药现代化具有重要的现实意义与战略价值。

## 一、中药新药药效学评价的核心内涵与实践基础

### (一) 中药新药药效学评价的核心定义与目的

中药新药药效学评价是指通过体外实验、动物实验及临床观察等多种手段, 研究中药新药在特定条件下对机体生理、病理状态的影响, 明确其药效作用强度、作用机制、作用特点及量效关系的综合性评价过程。其核心目的在于验证中药新药的有效性, 为临床用药提供科学依据, 同时筛选最优给药方案、明确用药禁忌, 降低新药研发风险。与化学药药效学评价不同, 中药新药药效学评价需充分兼顾中药多成分、多靶点、多途径的作用特点, 结合中医药理论, 注重整体疗效评价, 避免单一指标评价的局限性, 确保评价结果贴合临床实际需求, 真正体现中药的临床价值。

### (二) 中药新药药效学评价的核心内容

中药新药药效学评价的内容围绕“有效性验证”展

开, 涵盖多个维度。体外实验主要包括中药提取物对细胞增殖、凋亡、炎症反应等的影响, 以及对酶活性、信号通路的调控作用, 为后续动物实验提供初步依据; 动物实验是药效学评价的核心环节, 需建立与临床疾病对应的动物模型, 考察中药新药对模型动物症状、生理生化指标、病理组织变化的改善作用, 明确量效关系与给药途径; 临床观察则是在人体层面验证药效, 通过随机对照试验等方式, 观察中药新药对患者临床症状、体征及相关指标的改善效果, 评估其临床有效性与安全性。同时, 还需结合中医药理论, 评价中药新药的证候适配性, 确保药效评价与中医辨证论治理念相一致。

### (三) 中药新药药效学评价的实践原则

中药新药药效学评价需遵循科学性、客观性、可重复性、贴合中医药特点四大原则。科学性原则要求评价方案设计合理、实验方法规范, 实验数据真实可靠, 避免人为干预实验结果; 客观性原则要求评价指标明确、量化, 减少主观判断, 确保评价结果具有说服力; 可重复性原则要求实验条件、方法、流程统一, 使得不同实验室、不同研究者能够获得一致的实验结果; 贴合中医药特点原则要求评价过程充分融入中医药理论, 注重整体疗效评价, 兼顾中药多成分协同作用的特点, 避免照搬化学药的评价模式, 确保评价结果符合中药的作用规律。

## 二、中药新药药效学评价与标准化规范建立的现存问题

### (一) 药效学评价体系不统一, 缺乏针对性

当前我国中药新药药效学评价尚未形成统一的评价

体系,不同研究者、不同实验室采用的实验方法、动物模型、评价指标存在较大差异,导致评价结果缺乏可比性与通用性,严重影响了中药新药研发的规范性与效率。一方面,部分评价方案盲目照搬化学药评价模式,忽视了中药多成分、多靶点、整体调节的核心特点,仅聚焦单一指标的变化,无法全面、客观地反映中药的整体药效,难以体现中药辨证论治的独特优势。另一方面,针对不同类型中药新药(如中药复方、单体成分、提取物)的评价标准不明确,缺乏针对性的评价指标与方法,未能充分结合各类中药的作用规律开展评价。例如,中药复方的药效学评价未充分考虑君臣佐使的配伍规律,忽视了各成分之间的协同作用与拮抗作用,难以精准体现复方的整体疗效,导致评价结果与临床实际疗效脱节。同时,由于缺乏统一的评价标准,部分新药研发过程中存在评价流程简化、指标选择随意、实验设计不严谨等问题,进一步降低了药效学评价的科学性与严谨性,制约了中药新药研发的高质量发展。

### (二) 标准化规范不完善, 执行力度不足

中药新药药效学评价的标准化规范建设滞后于新药研发的实际需求,现有规范多为原则性、框架性要求,缺乏具体的操作细则与明确的技术标准,可操作性不强,难以有效指导实际评价工作。在实验动物选择、模型制备、给药剂量、检测方法等关键环节,尚未形成统一的标准化流程,导致不同实验室的实验条件、操作方法差异较大,实验结果的可重复性差,无法形成统一的评价结论。例如,动物模型制备过程中,不同实验室采用的造模方法、造模剂量、造模周期存在明显差异,使得同一中药新药在不同实验中得出的药效结果不一致,难以客观判断其实际药效;检测指标的检测方法不统一,缺乏统一的质控标准与校准规范,导致检测数据的准确性与可靠性难以保障,影响评价结果的科学性。此外,部分研发单位对标准化规范的重视程度不足,为降低研发成本、缩短研发周期,存在违规操作、流程简化、数据造假等问题,标准化规范的执行力度严重不足,进一步加剧了药效学评价的不规范现象,影响了中药新药的研发质量与临床应用价值。

### (三) 评价技术与方法滞后, 创新不足

当前中药新药药效学评价的技术与方法仍较为传统,缺乏创新性与先进性,难以满足新时代中药新药研发的高质量需求,也无法充分适配中药多成分、多靶点的作用特点。体外实验多采用传统的细胞培养、生化检测方

法,主要聚焦单一成分或单一靶点的研究,对中药多成分的协同作用、拮抗作用及多靶点调控机制的研究不够深入,无法全面揭示中药的药效物质基础与作用规律。动物实验多依赖经典动物模型,缺乏与临床疾病病理状态高度契合的新型模型,尤其是针对慢性疾病、疑难杂症的中药新药,现有模型难以准确模拟人体的病理生理过程,导致评价结果的临床参考价值有限,无法有效指导临床用药。同时,现代信息技术、生物工程技术等前沿技术在药效学评价中的应用不够广泛,大数据、人工智能、网络药理学等技术尚未充分融入评价过程,无法实现对中药药效的精准评价、预测与筛选。此外,针对中药复方的药效物质基础研究较为薄弱,难以明确其发挥药效的核心成分、代谢途径与作用机制,也进一步制约了药效学评价技术与方法的创新升级,影响了中药新药研发的效率与质量。

## 三、中药新药药效学评价标准化规范的建立路径

### (一) 构建统一、针对性的药效学评价体系

结合中药新药的类型与特点,立足中医药理论,构建分类指导、统一规范、科学合理的药效学评价体系,是解决当前评价混乱、提升评价质量的核心路径。针对中药复方、单体成分、提取物等不同类型的新药,制定差异化的评价标准与指标体系,充分体现各类中药的作用特点与临床价值。对于中药复方,应严格结合君臣佐使的配伍规律,建立兼顾整体疗效与成分协同作用的评价指标,注重中医证候适配性评价,将中医证候指标与现代生理生化指标、分子生物学指标相结合,全面、客观地反映复方的整体药效与作用机制。对于单体成分与提取物,可借鉴化学药评价方法,明确其作用靶点、量效关系与代谢途径,同时结合中医药理论,评价其在中医辨证论治中的适配性,避免脱离中医药本质。此外,建立统一的评价流程与方法,规范实验设计、动物模型选择、给药方案、检测指标、数据统计等关键环节,明确各环节的技术要求,确保不同实验室、不同研究者能够获得一致的实验结果,提升评价结果的可比性与通用性,为中药新药研发提供统一、可靠的技术依据。

### (二) 完善标准化规范细则, 强化执行力度

以科学性、可操作性、实用性为原则,加快完善中药新药药效学评价的标准化规范细则,细化各环节的操作要求与技术标准,让评价工作有章可循、有规可依。在实验动物方面,明确规范动物的种属、品系、年龄、

体重、健康状况等选择标准，建立动物模型制备的标准化流程，明确造模方法、造模剂量、造模时间、模型评价标准等关键参数，确保模型的稳定性、重复性与临床相关性。在检测指标方面，制定统一的检测方法、操作步骤与质控标准，明确检测仪器、试剂的选择要求与校准规范，建立检测数据的审核与溯源机制，确保检测数据的准确性、可靠性与完整性。在给药方案方面，结合中药的药代动力学特点与临床用药习惯，规范给药途径、给药剂量、给药周期、给药间隔等，制定合理的给药方案，确保药效评价的科学性与针对性。同时，加强对标准化规范的宣传与培训，提高研发人员、检测人员的规范意识与专业素养，建立健全监督考核机制，对违规操作、流程简化、数据造假等行为进行严肃处理，强化标准化规范的执行力度，确保评价过程严格遵循规范要求，提升药效学评价的规范性与质量。

### （三）推动评价技术创新，提升评价水平

加强中药新药药效学评价技术与方法的创新研究，积极融合现代信息技术、生物工程技术等前沿技术，推动评价模式升级，提升评价的科学性、精准性与高效性。在体外实验方面，推广应用细胞芯片、组织工程、3D细胞培养等先进技术，模拟人体生理病理环境，深入研究中药多成分的协同作用、拮抗作用及多靶点调控机制，全面揭示中药的药效物质基础。在动物实验方面，加大新型动物模型的研发与应用力度，重点研发基因编辑模型、人源化动物模型、复合疾病模型等，提高动物模型与临床疾病的契合度，增强评价结果的临床参考价值。同时，推动大数据、人工智能、网络药理学、代谢组学等技术在药效学评价中的深度应用，建立中药药效数据库，通过数据挖掘、机器学习等方法，实现对中药药效的精准预测、筛选与评价，缩短研发周期、降低研发风险。此外，加强中药药效物质基础研究，明确中药发挥药效的核心成分、代谢途径与作用机制，为药效学评价技术与方法的创新提供坚实的理论支撑，推动中药新药药效学评价水平的整体提升，助力中药新药研发高质量

发展。

### 结论

中药新药药效学评价是中药新药研发的核心环节，直接关系到新药的临床价值与研发成败，而标准化规范的建立则是保障药效学评价科学性、客观性、可重复性的关键。当前，我国中药新药药效学评价与标准化规范建立仍存在评价体系不统一、规范不完善、技术方法滞后等问题，严重制约了中药新药研发的高质量发展。通过构建统一、针对性的药效学评价体系，完善标准化规范细则并强化执行力度，推动评价技术创新，能够有效解决现有问题，提升中药新药药效学评价的质量与水平。建立科学、完善的中药新药药效学评价标准化规范，不仅能够规范中药新药研发流程，降低研发风险，提高研发效率，还能够推动中医药理论与现代科学技术的深度融合，促进中医药现代化、产业化发展，提升中医药的国际竞争力。未来，还需持续加强研究与实践，不断优化药效学评价体系与标准化规范，为中药新药研发提供更有力的支撑，推动中医药事业高质量发展。

### 参考文献

- [1] 国家药品监督管理局药品审评中心. 中药药效学研究技术指导原则（征求意见稿）[Z]. 2024.
- [2] 肖小河，王伽伯，李丽，等. 中药有效性评价整合证据链法的构建与应用[J]. 药科学报，2024，59（7）：1389-1396.
- [3] 黄芳华，李建生，刘清泉，等. 中药新药药效学试验设计的关键问题与优化策略[J]. 中国中药杂志，2023，48（12）：3125-3132.
- [4] 张艳军，李勇，王艳，等. 中药复方药效学评价的标准化研究进展[J]. 中草药，2022，53（18）：5567-5575.
- [5] 李丽，肖小河，王伽伯，等. 基于“三结合”证据体系的中药新药药效学评价研究[J]. 中国医药导报，2025，22（2）：12-16.