

从2013年到2023年，DIA药物研发定量科学论坛（Quantitative Science Forum，以下简称“QSF”）已经成功举办了11届。在过去的11年中，QSF从一个聚焦生物统计的闭门研讨会逐步发展成为以定量科学为基础，以统计、临床、注册、定量药理、数据管理、流行病学等专业学科为重点的医药研发盛会，帮助与会者了解医药研发中的各个关键领域和定量科学的最新趋势、法规要求和技术创新。QSF致力于推动医药研发的科学发展，为患者提供更安全、更有效的药物，为医药健康产业贡献了巨大的力量。

2024年10月17-19日，第十二届药物研发定量科学论坛将以“谈论定量科学如何增效药物研发”为主题，继续邀请来自监管、机构、学界及业界的专家学者围绕相关学科分享最新研究成果和实践经验，探讨关键议题，推动热点话题的讨论。同时，本届QSF将高度关注药物研发中的现实挑战，围绕临床研发中的关键应用场景，探讨潜在的定量解决方案，希望为与会者创造出更加开放和创新的会议环境以及更加聚焦的讨论内容。

中国文化中，每12年是“一纪”。在一个承前启后的关键时期，本着“先发现问题，再探索答案”的思路，QSF组委会将精心挑选临床研发中的关键应用场景及挑战作为本届QSF平行分会会场，确保论坛内容的质量和深度，提供更多有见地的分析和讨论。

您也曾为了同一个问题反复思考吗？您也在同一个应用场景中迟迟不能破局吗？您也有过因为一次问题的解决而兴奋不已，迫不及待希望和同道分享吗？10月17-19，南京，我们不见不散。

内容概览

- 药物临床开发剂量探索与优化-会前培训
- 真实世界数据与证据在临床试验中的应用：从基础到前沿-会前培训
- 提高早期研究对确证研究可预测性的方法路径
- 临床研究证据充分性的评价
- 新颖试验设计执行成功的关键
- “获益”和“风险”的权衡
- 儿科和罕见病药物的研发优化
- 研发产品管线价值的定量评价
- 定量工具助力跨部门的沟通合作
- 临床试验周期漫长的破局之策
- Estimand概念的应用价值
- 连接学术界与工业界：临床试验创新的协同之路

目标听众

- 统计师和其他定量数据科学专业人员
- 临床、注册等药物开发专业人员
- 监管机构各专业审批人员
- 学术界定量科学专业人员
- 流行病学专业人员
- 药物警戒专业人员
- 药物经济学分析人员
- 定量/临床药理学专业人员
- 定量科学人力资源专业人员

组委会联席主席



狄佳宁 博士

强生创新制药研发亚太产品开发团队负责人
中国区负责人



刘玉秀 教授

东部战区总医院重症医学科主任医师
兼医学统计学教研室主任

组委会联席副主席



赵杨 教授

南京医科大学公共卫生学院副院长



朱超 博士

礼来中国医学科学负责人

本次会议同期开放企业宣传和展示机会！

有关更多详细信息敬请联系 **谢飞**

邮箱: fei.xie@diaglobal.org | 电话: 13810556292

会议联系人 **楚敏**

邮箱: min.chu@diaglobal.org | 电话: +86.10. 5704 2659



10月17日 | 星期四

12:00-17:00 注册签到 一层大堂

13:30-17:00 **会前培训1** | 三层 大宴会1厅
药物临床开发剂量探索与优化
 负责人
言方荣 教授
 中国药科大学理学院生物统计系主任
王少楠 博士
 德昂济临床药理负责人, 执行总监

会前培训2 | 三层 多功能1+2厅
**真实世界数据与证据在临床试验中的应用:
 从基础到前沿**
 负责人
田正隆
 上海医药研发管理中心副主任

10月18日 | 星期五

08:00-09:00 注册签到 一层大堂

09:00-10:50 **开幕式&主旨演讲** 三层 大宴会厅

10:50-11:00 茶歇及交流

11:00-12:00 **特别论坛 药物研发定量科学论坛-谈论定量科学如何增效药物研发** 三层 大宴会厅12:00-13:30 午餐 | 12:30-13:15 **Lunch Session DIA 中国统计社区(QSC)分享与交流** 三层 多功能1+2厅

平行分会场

13:30-17:00	分会场 01 三层 大宴会1厅 应该如何正确理解 Estimand概念的应用 价值? 负责人 韦加为 博士 诺华生物统计高级总监	分会场 02 三层 大宴会2厅 如何评价临床研究证据 支持监管注册的充分性? 负责人 黄丽红 博士 复旦大学附属中山医院 研究员, 临床研究中心 办公室主任 张韬 博士 齐鲁制药统计与编程部门负 责人, 执行总监	分会场 03 三层 大宴会3厅 如何最大化确保新颖试 验设计的成功执行? 负责人 王涛 博士 礼来中国统计与编程负责人 吴海燕 博士 默沙东研发(中国)有限 公司生物统计与科学决策部 高级总监	分会场 04 三层 多功能1+2厅 如何提高获益风险评价 的客观性? 负责人 付博 博士 安斯泰来中国统计与编程 部门负责人
18:00-20:00	讲者答谢晚宴 仅限邀请			

10月19日 | 星期六

08:30-12:00	分会场 05 三层 大宴会1厅 如何提高早期研究对确证研究可预测性?	分会场 06 三层 大宴会2厅 数据驱动卓越：定量工具如何助力跨部门的沟通合作?	分会场 07 三层 大宴会3厅 从研发到市场：产品管线价值的定量评价如何支持业务决策?	分会场 08 三层 多功能1+2厅 如何有效的优化儿科和罕见病药物的研发?
	负责人 殷悦 博士 江苏恒瑞医药生物计量负责人、副总经理	负责人 魏晨璐 博士 百济神州生物统计高级总监 邓亚中 北京信立达医药科技有限公司总经理	负责人 邱婧君 博士 复星医药全球研发中心副总裁，生物统计与数据科学部负责人	负责人 张菁 教授 复旦大学附属华山医院I期临床研究室主任 邓红洁 博士 勃林格殷格翰大中华区生物统计与数据科学部门负责人 潘国华 博士 强生中国区统计决策部负责人
12:00-13:00	午餐			
13:30-16:00	分会场 09 三层 大宴会3厅 量化方法如何加速临床研究进程?	分会场 10 三层 大宴会2厅 如何夯实走好学术界与工业界的协同发展之路?	-	-
	负责人 田正隆 上海医药研发管理中心副主任	负责人 赵杨 教授 南京医科大学公共卫生学院副院长 夏凡 博士 石药集团临床开发事业部数据科学中心总经理		

2024年10月17日 | 星期四

会前培训1

13:30-17:00

三层 大宴会1厅

药物临床开发剂量探索与优化

负责人

言方荣 教授

中国药科大学理学院生物统计系主任

王少楠 博士

德昂济临床药理负责人，执行总监

剂量探索与优化是当前新药研发的重要科学问题，对新药能否成功上市获批具有重要作用。当前各国药品监管机构均十分关注剂量探索及优化问题，出台了相关指导原则，例如FDA最新推出Project Optimus计划。然而，当前剂量探索与优化仍然面临很多考量和挑战，涉及临床运营、生物统计、定量药理等多学科交叉。本次培训将主要围绕早期剂量探索与优化相关科学问题及临床运营开展相关讨论。通过本次培训，旨在提供较系统的在药物临床开发过程中剂量探索与优化方法及实施路径。

13:30-14:10 早期剂量优化设计实施路径与挑战

言方荣 教授

中国药科大学理学院生物统计系主任

14:10-14:50 基于主方案框架剂量优化设计

牟荣吉 博士

上海交通大学临床研究中心

14:50-15:10 茶歇及交流

15:10-15:50 药物临床开发的剂量探索与优化

王少楠 博士

德昂济临床药理负责人，执行总监

15:50-16:30 剂量优化设计的方法综述

张琚 博士

阿斯泰来统计和真实世界数据科学部统计分析高级经理

16:30-17:00 专家讨论

会前培训2

13:30-17:00

三层 多功能1+2厅

真实世界数据与证据在临床试验中的应用：从基础到前沿

负责人

田正隆

上海医药研发管理中心副主任

本次培训将围绕真实世界数据和证据在临床试验中的实际应用展开。从真实世界数据与真实世界证据基础，如，什么是真实世界数据，RWD和RWE在药物研发和监管中的角色等。同时将深入探讨真实世界数据的采集与数据管理/治理及后期核查要点，如，主要RWD来源的介绍与数据收集方法，数据质量控制，数据隐私与伦理考量等。最后还将重点围绕真实世界研究设计与实施，及监管沟通展开，如，研究问题的制定与假设检验，样本选择与偏倚控制，数据分析方法，以及真实世界研究中的挑战与解决策略等。通过此次培训，旨在提供系统讲解真实世界在临床试验中的价值及落地实施路径。

13:30-14:00 真实世界数据及证据在临床试验应用中关注点

CDE讲者已邀请

14:00-14:30 真实世界数据用于支持临床试验外对照的构建

姚明宏 教授

四川大学华西医院临床流行病学与循证医学研究中心

14:30-15:00 真实世界研究设计实操要点及方法进展介绍

廖珊妹 博士

百济神州上市后统计及真实世界证据负责人

15:00-15:30 茶歇及交流

15:30-16:00 临床试验中真实世界数据的核查要点

徐莹

广州科犁医学研究有限公司数据管理负责人

16:00-16:30 真实世界数据作为外部对照支持注册的相关考量

李乔 博士

加科思生物统计与数据科学副总裁

16:30-17:00 Q&A

2024年10月18日 | 星期五

09:00-10:50
三层 大宴会厅**开幕式&主旨演讲**09:00-10:30 **开幕式&主旨演讲**

主持人

朱超 博士

礼来中国医学科学负责人

09:00-09:05 **欢迎致辞****王彤焱 博士**

DIA全球高级副总裁，中国董事总经理

09:05-09:10 **大会联席主席致辞及来宾介绍****狄佳宁 博士**

强生创新制药研发亚太产品开发团队负责人，中国区负责人

刘玉秀 教授

东部战区总医院重症医学科主任医师兼医学统计学教研室主任

09:10-09:35 **主旨演讲一 | AI时代生物医药研究的统计学思维****刘军 教授**

美国哈佛大学统计系终身教授

09:35-10:00 **主旨演讲二 | 数字技术在临床研究中的应用**

CDE嘉宾已邀请

10:00-10:25 **主旨演讲三 | 统计学与数字技术助力药物研发创新****Shanthi Sethuraman 博士**

礼来全球统计科学高级副总裁兼首席研发分析官

10:25-10:50 **主旨演讲四 | 代谢疾病临床研究探索****李小英 教授**

复旦大学附属中山医院内分泌科主任，主任医师

10:50-11:00

茶歇及交流

11:00-12:00
三层 大宴会厅**开幕式特别论坛 | 药物研发定量科学论坛-谈论定量科学如何增效药物研发**

主持人

赵杨 教授

南京医科大学公共卫生学院副院长

主旨演讲嘉宾及特邀讨论嘉宾：

陈峰 教授

南京医科大学生物统计学教授

邓婷

赛诺菲中国副总裁，大中华区注册事务部负责人

夏结来 教授

空军军医大学生物统计学教授

2024年10月18日 Lunch Session

12:30-13:15

三层 多功能1+2厅

DIA 中国统计社区 (QSC) 分享与交流—统计社区助力定量科学增效药物研发

主持人

陈尚志

北京康辰药业股份有限公司统计副总监

作为DIA社区的一员，统计社区在链接业界专业精英和扩大行业影响力活动中发挥了重要作用。该分会场总结了统计社区在过去一年里的活动，邀请优秀定量科学家们分享在社区的故事和专业知识及对社区未来发展的创想，欢迎聆听。

2024统计社区活动概览

吴钊

阿斯利康全球研发（中国）有限公司罕见病统计负责人

焦点知识分享（统计论坛案例分享）

张薇

百济神州统计总监

未来社区活动展望

李贲

复星医药全球研发中心生物统计总监

讨论：以上嘉宾及

付博 博士

安斯泰来中国统计与编程部门负责人

韦加为 博士

诺华制药生物统计高级总监

项骁 博士

阿斯利康生物统计副总监

2024年10月18日 分会场01

13:30-17:00
三层 大宴会1厅**应该如何正确理解Estimand概念的应用价值？**

主持人

韦加为 博士

诺华制药生物统计高级总监

ICH E9(R1) 框架落地实施5年以来，估计目标 (estimand) 的概念对药物研发人员已经不再陌生。伴随监管的要求，在临床研究设计和结果分析解读阶段，对估计目标的探讨也成为了必要的步骤。同时，估计目标的应用仍然面临着不少困难和挑战，对估计目标的选择和描述仍然是申办方内部不同专业之间，以及申办方与监管之间持续沟通的核心问题之一。Estimand在临床试验的各个阶段到底起到了什么样的作用，是否实现了ICH E9(R1)的初衷，达到了预期的应用价值？在这个分论坛中，我们期待基于实际数据和开放的讨论，分享估计目标实施过程中的观察和反馈，探索最大化估计目标应用价值的方法和思路。

第一部分：试验目的阶段

13:30-14:00 Estimand决策过程第一步，明确试验目的。

张娟

百济神州统计副总监

14:00-14:30 如何将研究目的转化为清晰易懂的临床问题？

尹方方

诺华制药生物统计副总监

14:30-14:40 专家讨论

以上讲者及特邀讨论嘉宾

刘玉秀 教授

东部战区总医院重症医学科主任医师兼医学统计学教研室主任

第二部分：试验设计及统计分析阶段

14:40-15:10 估计目标在数据分析中的操作考虑

蒋志伟 博士

北京康特瑞科统计科技有限责任公司总经理

15:10-15:30 茶歇及交流

15:30-16:00 Estimand框架下的统计分析：计划与实施

陈宇平

强生创新制药研发高级资深统计师

16:00-16:10 专家讨论

第二部分讲者及特邀讨论嘉宾

韦加为 博士

诺华制药生物统计高级总监

第三部分：结果报告及递交阶段

16:10-16:40 提高估计目标框架下试验报告和结果交流的透明度

李红莹

礼来苏州制药有限公司统计总监

16:40-17:00 专家讨论

第三部分讲者及特邀讨论嘉宾

李新旭 博士博济医药科技股份有限公司首席统计学家
博济数据科技（北京）有限公司总经理

2024年10月18日 分会场02

13:30-17:00
三层 大宴会2厅**如何评价临床研究证据支持监管注册的充分性？**

联席主持人

黄丽红 博士

复旦大学附属中山医院研究员，临床研究中心办公室主任

张韬 博士

齐鲁制药统计与编程部门负责人，执行总监

药物的研发和批准，需要基于充分的临床证据。例如，FDA指南中所强调的substantial evidence对于研发过程中所产生的证据提出了明确要求。另一方面，在药物研发竞争越发激烈的大环境下，除了从顶层设计差异化的研发策略，申办方希望从临床研究模式、试验设计和运营、以及证据产生渠道（例如RWE）等方面进行加速。然而，临床研究的效率和临床证据强度难以兼得。未积累足够数据的关键研究往往难以获得监管首肯，无法提供充分临床证据的关键研究结果难以获得目标人群的上市批准。因此，申办方在与监管机构进行沟通交流的过程中，关于临床研究证据的充分性评价也将成为必然的关注点。本分会场将聚焦相关研发场景，探讨临床研究证据充分性的评价方法以及提升策略。

13:30-13:55 如何在临床证据充分的基础上采用监管可接受的创新型设计

CDE讲者已邀请

13:55-14:15 从监管的角度谈新药临床研究的“充分证据”

陈刚 博士

诺思格首席科学官

14:15-14:35 FDA递交中有效性证据的变化：对真实案例的回顾

李伟东 博士

和铂医药资深副总裁，数统部门负责人

14:35-15:00 RWE的证据等级评价

赵杨 教授

南京医科大学公共卫生学院副院长

15:00-15:30 茶歇及交流

15:30-16:10 IIT研究在新药研发中的价值与挑战

成远 博士

东部战区总医院全军肿瘤中心 副主任医师

15:50-16:10 充分积累获益人群的临床证据-全人群/阳性人群的考量与案例分析

杨泽禹

齐鲁制药临床研发中心统计经理

16:10-16:30 如何满足不同监管的临床证据充分性要求-中国主导的研究设计考量和案例

于文博 博士

君实生物统计总监

16:30-17:00 圆桌讨论

部分讲者及

陈峰 教授

南京医科大学生物统计学教授

夏结来 教授

空军军医大学生物统计学教授

2024年10月18日 分会场03

13:30-17:00

三层 大宴会3厅

如何最大化确保新颖试验设计的成功执行？**联席主持人****王涛 博士**

礼来中国统计与编程负责人

吴海燕 博士

默沙东研发（中国）有限公司生物统计与科学决策部高级总监

背景：近年来，新颖试验设计方法越来越多被应用于新药研发以及注册申请中，极大提高了临床试验的效率，缩短了新药获批的时间，惠及广大患者群体。然而，创新方法因其不同于传统常规设计所带来的复杂性和不确定性，也经常遇到理解上、操作上、分析上、以及在监管沟通和获批层面上的各种挑战。本主题将聚焦几种有代表性的应用场景，来探讨新颖试验设计能够真正落地、并助力注册获批的关键考量因素。

13:30-14:00 无缝适应性2/3期试验设计的执行成功关键因素

袁媛

礼来中国资深统计顾问

14:00-14:30 CDP制定中基于贝叶斯的PoS评估框架与跨部门沟通

郑润飞

复星医药全球研发中心生物统计总监

14:30-15:00 平台研究在执行中的挑战和方法

罗梓焯

阿斯利康中国高级统计师

15:00-15:30 茶歇及交流

15:30-16:00 机遇和挑战：贝叶斯桥接设计落地中国 - 如何降低实操风险并和监管机构顺利沟通

王者 博士

蓝气球（北京）医学研究有限公司统计副总监

16:00-16:30 临床研究成败风险控制-案例分享

张梦琪

君实生物资深统计师

16:30-17:00 从IND到NDA的NMPA递交历程：推断性2/3期无缝试验实例

韦文华

恒瑞统计助理总监

2024年10月18日 分会场04

13:30-17:00

三层 多功能1+2厅

如何提高获益风险评价的客观性？

主持人

付博 博士

安斯泰来中国统计与编程部门负责人

背景：药物研发是一个复杂且漫长的过程。临床研发周期中各个阶段的决策，包括研发策略制定、临床研究设计、监管审评和批准等，都是通过不断平衡获益和风险而达到的。然而，由于获益风险评估最终会依赖于决策者的主观判断 (judgement)，因此具有定性和描述性等特点，也会出现在不同决策者之间的结论偏差。例如，不同监管对同一项研究的结果持不同态度。本分论坛中，我们将探索如何利用定量方法建立统一的评判框架或者标准，以提高获益风险评价结果的客观性。

13:30-14:00 Regional Benefit-risk Consistency Assessment in MRCT

段维

阿斯利康全球研发中国中心 高级统计师

14:00-14:30 基于获益风险的研发考量及案例分析

史琳 医学博士北京灵迅医药科技有限公司董事长兼任首席医学官
原远大医药全球研发总裁兼首席医学官

14:30-15:00 风险获益相称性的方法监测临床试验运行

谢龙申 博士

倍特药业数统负责人

15:00-15:30 茶歇及交流

15:30-16:00 实验早期的风险获益评估

张璐 博士

安斯泰来统计和真实世界数据科学部统计分析高级经理

16:00-16:30 数字化风险获益评估，以及临床研究中数据“不确定性”的衡量和控制

侯艳 博士

北京大学公共卫生学院生物统计系教授

16:30-17:00 专家讨论

以上所有讲者

10月19日 | 星期六

2024年10月19日 分会场05

08:30-12:00
三层 大宴会1厅**如何提高早期研究对确证研究可预测性？**

主持人

殷悦 博士

江苏恒瑞医药生物计量负责人、副总经理

背景：早期研究是药物研发过程中的关键环节。这个阶段所产生的临床证据，对了解产品特性、建立科学问题、定位产品TPP、特别是优化确证性研究设计等多方面都起到关键作用。例如，如何平衡疗效和毒性来选择合适的剂量，如何运用早期终点预测确证性研究中生存类终点的获益，如何尽早探索多靶点之间的析因关系，如何高效比较多个早期产品，等等。在这个分会场中，我们将探索量化方法来解决这些关键问题，以提高早期研究对确证性研究的可预测性和整体研发的成功率。

08:30-09:00 单药对联合用药疗效的贡献 | 远程演讲

陈聪 博士

默沙东研发助理副总裁

09:00-09:30 利用历史数据：提升早期临床试验决策质量

刘文新

罗氏 高级数据科学家

09:30-10:00 A Bayesian framework for evaluating the sample size of escalation/backfill stage and Go/NoGo criteria for the transition from escalation to expansion

郭文天 博士

阿斯利康中国研发中心统计副总监

10:00-10:30 茶歇及交流

10:30-11:00 肿瘤研究中使用短期终点的信息来预测长期终点

章犇

齐鲁制药临床研发中心助理统计总监

11:00-11:30 队列回填设计支持肿瘤药物开发早期剂量优化：方法与应用

张冉

石药集团数据科学中心统计副总监

11:30-12:00 从概念验证到确证性研究开发路径的统计学考量

石再兴

百济神州统计副总监

2024年10月19日 分会场06

08:30-12:00
三层 大宴会2厅**数据驱动卓越：定量工具如何助力跨部门的沟通合作**

联席主持人

魏晨璐 博士

百济神州GSDS 统计高级总监

邓亚中

北京信达达医药科技有限公司总经理

背景：药物研发是一项复杂的跨专业合作。然而，随着技术的发展，知识壁垒不断提高，专业领域进一步细分，使得跨专业的沟通合作难度不断提高，越来越多的“鸡同鸭讲”带来了明显的工作效率的下降以及决策系统性风险的提高。是否存在一些新的技术手段和工具，使得研发人员能够从大量数据中提取有价值的信息，并将这些信息转换成易于理解的格式以便沟通，甚至提供客观评估，预测关键趋势，帮助各级管理层做出决策。在本分论坛中，我们将探讨如何发掘出新的需求，并合理安排资源来开发出更加有效的工具，从而达到提高决策质量和研发效率的效果。

08:30-09:00 早期临床试验中的模块化统计设计及分析平台搭建及案例分享

林恩萱 博士

信达生物制药高级统计师

09:00-09:30 TGIPhet: 加速肿瘤三期临床设计及助力跨部门协作的定量预测模型

周超 博士

复星医药全球研发中心，生物统计经理

09:30-10:00 B-SAFE: an innovative tool for statistical analysis of adverse event summary data

花海睿 博士

勃林格殷格翰统计副总监

10:00-10:30 茶歇及交流

10:30-11:00 定量分析如何助力卓越产品策略

张小娟

赛纽仕医药信息咨询（北京）有限公司，真实世界与后期研究总监

11:00-11:30 合规的数字化未来：使用中心化统计监查辅助核查准备与跨部门沟通

李亚莎

百济神州数据科学及数字化创新 (DSDI) 中心化统计监查副总监

11:30-12:00 嘉宾讨论

赵维 教授

山东大学药品监管科学研究院副院长

韩伟娟 博士

赛诺菲罕见病/罕见血液病及免疫领域注册负责人，注册总监

2024年10月19日 分会场07

08:30-12:00

三层 大宴会3厅

从研发到市场：产品管线价值的定量评价如何支持业务决策？

主持人

邱婧君 博士

复星医药全球研发中心副总裁，生物统计与数据科学部负责人

背景：对于一个公司而言，拥有健康的研发产品管线是公司竞争力的关键因素。特别是在一个强竞争的环境中，能够快速且准确的评价研发管线的价值是确保公司决策质量的重要前提。在本分论坛中，我们期望通过交流与探讨，帮助大家在进行各类型医药研发项目评估时能够构建更契合自身现状与行业环境的评价框架、决策体系及参考工具，进而做出更优选的判断。

08:30-08:55 iForecast- 支持产品全生命周期的预测和分析

唐凡 博士

勃林格殷格翰中国数据卓越团队负责人

08:55-09:15 基于价值的管线优化和Go/No Go定量决策框架

项骁 博士

阿斯利康生物统计副总监

09:15-09:40 G-TODeM: 篮子实验GOGO决定中适应症之间的信息借用

臧淼 博士

百济神州统计总监

09:40-10:00 上市后临床研究策略如何完善产品证据并提高管线价值

马传香

恒瑞医药中央医学部临床统计高级总监

10:00-10:30 茶歇及交流

10:30-10:50 定量证据在价值准入中的应用

刘天怡

罗氏制药卫生技术评估经理

10:50-11:10 临床研究中基于模拟的试验设计和优化方法及概率风险评估

黎翰东

思特尔Cytel 客户成功经理

11:10-11:30 利用公开数据和定量科学助力二级市场投资

周子谦 博士

博裕资本高级投资经理

11:30-12:00 专家讨论

以上讲者及

郭翔 博士

百济神州高级副总裁，统计和数据科学负责人

2024年10月19日 分会场08

08:30-12:00

三层 多功能1+2厅

如何有效优化儿科和罕见病药物的研发？

联席主持人

邓红洁 博士

勃林格殷格翰大中华区生物统计与数据科学部门负责人

潘国华 博士

强生中国区统计决策部负责人

背景：近年来，罕见病和儿科用药的开发受到越来越多的关注。但是罕见病和儿科患者药物的临床开发面临许多挑战和痛点，如患者人数有限、招募缓慢、对疾病自然历史的理解不足、缺乏确立和被验证的临床意义明确的终点指标、缺乏进行充分和良好对照的临床试验的可行性等。我们如何兼顾和平衡科学价值，伦理和操作可行性，同时产生足够的证据来评估罕见病和儿科新疗法的益处和风险？

具体应用场景：

1. 在罕见病或儿科用药患者人数有限，招募困难的情况下如何利用创新的统计和分析方法产生足够的确证性证据？
2. 罕见病可能尚未有确立的，被验证的终点指标，如何开发和验证具有明确临床意义的终点指标？
3. 真实世界数据能否助力罕见病或儿科用药开发？
4. 去中心化临床试验能否助力罕见病临床试验？

08:30-09:00 神经系统罕见病精准治疗

王艺 教授

复旦大学附属儿科医院院长

09:00-09:30 罕见病药物研发：挑战和应对策略

陈杰 博士

圣方医药研发董事长首席科学家

09:30-10:00 贝叶斯方法加速罕见病开发

戴鲁燕 博士

粹羽咨询创始人

10:00-10:30 Nulibry (fosdenopterin)在治疗MoCD A型患者中的临床开发案例

张冠林

阿斯利康高级统计师

10:30-11:00 创新性贝叶斯方法结合成人数据用于儿童药物研发

袁朝慧 博士

强生创新制药研发统计决策部

11:00-11:30 DCT 助力罕见病临床试验

程书彦

勃林格殷格翰亚洲区数字试验负责人

11:30-12:00 圆桌讨论

以上所有讲者以及

林洁 博士

复旦大学附属华山医院神经内科副主任医师

2024年10月19日 分会场09

13:30-16:00

三层 大宴会3厅

量化方法如何加速临床研究进程？

联席主持人

田正隆

上海医药研发管理中心副主任

严平 博士

君实生物数据科学负责人和副总裁

背景：近年来，伴随对药物临床价值的期待不断提升，以及对疑难杂症、罕见疾病和特殊人群的不断关注，新药开发难度不断提高，药物研发周期不断延长。同时，由于研发竞争的加剧，行业对于研发速度的追求达到了新的高度。因此，如何在保证研究质量以及证据充分性的前提下，缩短研发周期、破局临床试验漫长之路，就成为了研发工作中的核心关注。在本分论坛中，我们将分享如何利用定量科学方法加速研发进程，并探讨相应方法执行过程中的关键考虑。

例如：

1. 适应性设计 (Adaptive Design) 加速临床试验中的应用案例，及企业设计时的风险关注点；
2. 替代终点 (Surrogate Endpoints) 的使用，如生物标志物，加速疗效评估；
3. 真实世界数据 (Real-World Data, RWD) 助力药物研发。
4. 桥接策略及模型的使用，等加速试验的应用场景

13:30-14:00 结合国内外药物研发数据的混合先验贝叶斯方法

朱鹏飞

默沙东中国研发中心高级统计师

14:00-14:30 替代终点验证在肿瘤药物研发中的应用及统计考量

林晓

百济神州统计师副总监

14:30-15:00 如何应用无缝设计加速临床试验

危双慧

君实生物资深统计师

15:00-15:30 合成对照研究加速临床试验及案例分享

蒋丽芸 博士

中国药科大学理学院生物统计系讲师

15:30-16:00 专家讨论

以上讲者及特邀嘉宾

言方荣 教授

中国药科大学理学院生物统计系主任

董军 博士

安进中国生物统计与编程负责人

2024年10月19日 分会场10

13:30-15:00
三层 大宴会2厅**如何夯实走好学术界与工业界的协同发展之路？**

联席主持人

赵杨 教授

南京医科大学公共卫生学院副院长

夏凡 博士

石药集团临床开发事业部数据科学中心总经理

在快速发展的临床研究领域，创新方法的整合与应用落地对于克服新出现的挑战并加速新药开发至关重要。本分会场旨在基于案例和资深专家的分享，探讨如何深化学术界与工业界之间的动态协作以促进应用前沿统计和数据科学的方法和技术应对药物开发中实际挑战。此外，本次会议还将构建平台，邀请工业界和学术界相关负责人探讨通过合作培训项目和联合研究计划来培养人才和进行应用科研创新的可能性，使我们能够促进持续学习和创新的文化、更好地装备下一代统计和数据科学家，以推动临床试验的进展。

13:30-14:00 临床研究统计方法创新在工业界的应用

周晓华 教授

北京大学公共卫生学院生物统计系主任

北京国际数学研究中心生物统计及生物信息实验室主任

14:00-14:30 理解万岁，合作共赢

言方荣 教授

中国药科大学理学院生物统计教研室主任、生物统计与计算药学研究中心主任

14:30-15:00 圆桌讨论

以上讲者及特邀嘉宾

Theis LANGE 教授 | 远程讨论

哥本哈根大学公共卫生学院院长，生物统计学教授

韦加为 博士

诺华中国生物统计部高级总监