

臨床開発における
デジタルトランスフォーメーション（DX）の
現状と可能性

2024年5月

日本製薬工業協会
医薬品評価委員会 臨床評価部会

2023年度 タスクフォース 1

目次

略語一覧表.....	3
1 はじめに.....	4
2 用語の解説.....	5
3 臨床開発の各プロセスにおける DX/デジタル化の事例	6
3.1 臨床開発戦略の策定	8
3.2 臨床試験の実施.....	10
3.3 臨床試験データの解析.....	20
3.4 製造販売承認申請.....	21
4 臨床開発における DX に向けた問題点	23
5 臨床開発における DX の可能性と今後の展望	25
6 おわりに.....	28

別添 1：医薬品開発における DX/デジタル化の事例

別添 2：TF1 参加者を対象とした各社 DX/デジタル化対応の現状に関するアンケート調査

略語一覧表

略語	略していない表現（英語）	略していない表現（日本語）
AI	Artificial Intelligence	人工知能
CDISC	Clinical Data Interchange Standards Consortium	臨床試験データ交換仕様コンソーシアム
CIN	Clinical Innovation Network	クリニカルイノベーションネットワーク
CSR	Clinical Study Report	総括報告書
CTD	Common Technical Document	コモン・テクニカル・ドキュメント
dBm	Digital Biomarker	デジタルバイオマーカー
DCT	Decentralized Clinical Trial	分散化臨床試験
DDC	Direct Data Capture	データの直接収集
DL	Deep Learning	深層学習
DtP	Direct-to-Patient shipment	試験参加者への治験使用薬の直接配送
DX	Digital Transformation	デジタルトランスフォーメーション
(e)CRF	(Electronic) Case Report Form	（電子）症例報告書
EDC	Electronic Data Capture	電子的データ収集
EHR	Electronic Health Record	電子健康記録
FHIR	Fast Healthcare Interoperability Resource	医療情報交換のための新たな標準規格
GCP	Good Clinical Practice	医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令
IoT	Internet of Things	モノのインターネット
HR	Hazard Ratio	ハザード比
IRB	Institutional Review Board	治験審査委員会
IT	Information Technology	情報技術
LLM	Large Language Model	大規模言語モデル
MCI	Mild Cognitive Impairment	軽度認知障害
MDD	Major Depressive Disorder	大うつ病性障害
ML	Machine Learning	機械学習
MVPA	Moderate/Vigorous Physical Activity	中高強度身体活動
NLP	Natural Language Processing	自然言語処理
OS	Overall Survival	全生存期間
QC	Quality Control	品質管理
PMDA	Pharmaceuticals and Medical Devices Agency	独立行政法人医薬品医療機器総合機構
QOL	Quality Of life	生活の質
ROI	Return On Investment	投資利益率
RWD	Real World Data	リアルワールドデータ
SDV	Source Data Verification	原資料と症例報告書の照合・検証
TF	Task Force	タスクフォース
TFL	Table Figure Listing	解析帳票

1 はじめに

近年、新たなテクノロジーの出現やデジタル化の急速な進展に伴い、デジタルトランスフォーメーション（DX）が世界中の企業において重要な戦略となり、ビジネスや組織のあり方を大きく変えつつある。たとえば、ゴールドマン・サックスが2023年3月26日に公表したリサーチレポートによると、「人工知能（AI）の普及により生産性が向上し、世界のGDPを7%引き上げる可能性」、「医療従事者および技術者業務の28%がAIに代替される可能性」等が予測されている¹。DXを推進する企業は、市場の変化や顧客ニーズに迅速に対応でき、業務効率や生産性を向上させることができる。さらに、AIやInternet of Things（IoT）等のテクノロジーを活用することで、新たな価値創造やビジネスモデルの革新が可能となる。したがって、今後、企業が進展し、競争力を維持・向上させるためには、積極的なDXへの取り組みが必要と考えられる。DXを推進することで、業務効率や生産性を向上させるだけでなく、迅速に市場や顧客ニーズの変化に対応できるようになり、新たな価値の創造やビジネスモデルの変革につながる可能性がある。このように、今後も企業が進展し競争力を維持、向上させるためには、積極的なDXへの取り組みが必要と考えられる。

医薬品開発に目を向けると、製薬企業を取り巻く環境は厳しさを増しており、医薬品開発は10年以上の時間と数百億から数千億円規模の費用が必要であるにもかかわらず、新薬開発の成功確率は年々低下し、難易度が上昇している²。このような環境下で、各製薬企業では医薬品の研究開発の成功確率の向上や効率化を目指しており、その手段の一つとしてDXが挙げられる。たとえば、臨床開発においてもAI、特に機械学習（ML）を活用することで、臨床試験デザインの最適化、試験参加者組み入れやデータ解析の効率化等が可能となり、試験の成功確率向上や試験期間の短縮につながる可能性が報告されている³。このように、DXによる臨床開発プロセスの変革は、将来的には医療の革新に多大な影響を与える可能性を秘めていると考えられる。一方、現状においては、各製薬企業において様々な分野で試行錯誤している段階であり、そのような変革にまで至っている事例は多くないとみられる。

こうした背景を踏まえ、2023年度 日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会タスクフォース1（本TF）では、「臨床開発におけるDXの現状と可能性」をテーマに、臨床開発におけるDXやその前段階であるデジタル化の取り組み事例を調査し、今後の可能性について検討した。

本資料では、まず、第2章で、DXやデジタル化に関する重要な用語について解説し、第3章で臨床開発の各プロセスにおけるDX/デジタル化の取り組み事例を示した。続いて、第4章で臨床開発におけるDX推進にあたって直面しやすい問題点をまとめ、第5章において、DXの今後の可能性と展望について考察した。

なお、本資料に含まれる情報は、本TFで実施した調査（公開情報に基づき2023年5月～2024年2月に実施）ならびに本TF参加者へのアンケート（2023年9月6日～10月6日に実施）の結果に基づくものであり、本資料がすべての情報を網羅するものではないことに留意されたい。

2 用語の解説

本資料で用いる用語について、以下のとおり解説する。

1) デジタルトランスフォーメーション (DX)

経済産業省が 2022 年 9 月に公表しているデジタルガバナンス・コード 2.0 では、DX とは「企業がビジネス環境の激しい変化に対応し、データとデジタル技術を活用して、顧客や社会のニーズをもち、製品やサービス、ビジネスモデルを変革するとともに、業務そのものや、組織、プロセス、企業文化・風土を変革し、競争上の優位性を確立すること」と定義されている⁴。企業がデータやデジタル技術を活用して、製品やサービス、ビジネスモデル、組織および風土等を変革すること、すなわち、デジタル技術で目的を変える質的変化を指す⁵。

2) デジタル化

デジタル化とは、企業が生産性を向上させることを目的とし、既存の業務プロセスやビジネスモデルは維持したまま、従来のプロセスやコストを効率化・強化するためにデジタル技術やデータを活用することと定義される。デジタル技術で手段を変える量的変化を指す。さらに、デジタル化は、紙等のアナログデータをデジタルデータにすること (Digitization) およびデジタル技術を使って業務プロセスを最適化すること (Digitalization) に分類される⁵。

3) 人工知能

人工知能 (Artificial Intelligence: AI) とは、人間の知能をコンピュータによって再現する技術と定義される。初期の AI は、あらかじめ与えた条件式やデータセットに基づいた判断や統計的推測をおこなうものが主流であった⁶。機械学習 (Machine Learning: ML) と呼ばれる手法が発達したことで、与えられた課題や環境に応じてコンピュータ自身が学習し、学習結果を活かして問題解決できるようになった。ML の一つが深層学習 (Deep Learning: DL) である。DL は、与えられた情報からパターンや関係を自ら学習し、与えられた情報以上の判断ができるのが特徴で、主な適用領域は「画像認識」、「音声認識」および「自然言語処理 (Natural Language Processing: NLP)」がある。この中でも、NLP は大規模言語モデル (Large Language Model: LLM) と呼ばれる手法が開発されたことで、膨大な量のテキストデータを学習し、人間のような自然な言語生成や理解を実現することが可能となった。代表的な LLM の例が生成 AI として 2023 年大きな注目を集めた OpenAI 社の ChatGPT である。

3 臨床開発の各プロセスにおける DX/デジタル化の事例

製薬企業において、医薬品の研究開発には多額の費用を要するが、その中でも臨床開発費用が占める割合は非常に大きい。したがって、臨床開発の成功確率の向上や効率化は製薬企業にとって重要な課題である。臨床開発におけるプロセスは、①臨床開発戦略の策定、②臨床試験の実施、③臨床試験データの解析、④製造販売承認申請に分けることができる。

本章では、DX/デジタル化の取り組みの事例を臨床開発のプロセスごとに紹介する。事例は主に2018年以降に公表されているものを対象とした。表3-1に、臨床開発の各プロセスにおけるDX/デジタル化の取り組み事例の概略を示し、第3.1～3.4項で各プロセスにおける事例の内容を論じた。別添1では、臨床開発の前後のプロセスである「創薬」、「非臨床」および「生産、製造販売承認後」の事例についても紹介した。

なお、公開情報の調査は、以下の方法で実施した。

- ・ 学術論文や総説による調査
(2018年以降の公表論文を対象として、日本語および英語文献データベースを用いて検索)
- ・ プレスリリースによる調査
(製薬企業のうち、国内市場の売上上位10社の過去3年間のプレスリリースから、国内の臨床開発におけるDXまたはデジタル技術の活用に関連するものを抽出)
- ・ 検索キーワードによる調査
(「製薬企業」および「DX」でGoogle検索し、ヒットした上位10リンクから国内の臨床開発におけるDXまたはデジタル技術の活用に関連するものを抽出)

表 3-1 臨床開発の各プロセスにおける DX/デジタル化の取り組み事例

プロセス	臨床開発戦略の策定	臨床試験の実施	臨床試験データの解析	製造販売承認申請
項番号	第 3.1 項	第 3.2 項	第 3.3 項	第 3.4 項
DX/デジタル化の取り組み	<ul style="list-style-type: none"> AI による情報収集 AI を用いた文書作成支援 臨床試験対照群への RWD・過去の臨床試験データの活用 デジタルツインによる対象とする試験参加者の最適化、臨床試験計画の最適化 主要評価項目への dBM 活用 AI による臨床試験結果予測 	<ul style="list-style-type: none"> 蓄積された臨床試験および患者データを用いた実施医療機関選定と試験参加者登録予測 DtP 配送管理のプラットフォームによる試験参加者への治験使用薬の直接配送・直接集荷 eConsent システムによる遠隔での治験説明および同意取得 オンライン診療導入による遠隔地患者のオンライン臨床試験への参加 eSource サービスによる EDC データ入力・SDV 作業の削減 dBM を活用した客観的・定量的な評価と早期データ収集 画像情報に対する AI 活用による適切な試験参加者の選択 AI を用いた服薬管理 ノーコード・ローコード開発プラットフォームを用いた安全性情報管理 	<ul style="list-style-type: none"> データクレンジングからレポート生成までの自動化 統計解析ソフトウェアの AI 技術活用 	<ul style="list-style-type: none"> 文書作成支援ツールを活用した効率的な文書作成 自然言語処理等の AI 技術を応用した自動翻訳 自動 QC 技術による各種入力項目の整合性チェック ML による文書作成の精度向上
期待される効果	<ul style="list-style-type: none"> 医薬品開発の期間短縮・費用削減 定型的業務における負荷軽減・業務効率化 臨床試験の試験参加者数の削減 臨床試験の成功確率向上 実施医療機関や試験参加者のマッチング確率の向上 同意取得や手順遵守の向上、試験参加者の臨床試験に対する理解度の向上 	<ul style="list-style-type: none"> 臨床試験参加における試験参加者の距離的制約・時間的制約の解消 Patient Centricity の実現 既存の臨床評価法の精緻化 大容量データを用いた高度な解析 臨床試験の解析プログラム作成等の自動化・効率化 申請資料の品質向上 資料作成業務の属人化抑制 		

AI: Artificial Intelligence (人工知能)、RWD: Real World Data (リアルワールドデータ)、dBM: Digital Biomarker (デジタルバイオマーカー)、FHIR: Fast Healthcare Interoperability Resource (医療情報交換のための新たな標準規格)、DCT: Decentralized Clinical Trial (分散化臨床試験)、DtP: Direct-to-Patient shipment (試験参加者への治験使用薬の直接配送)、EDC: Electronic Data Capture (電子データ収集)、ML: Machine Learning (機械学習)、SDV: Source Data Verification (原資料と症例報告書の照合・検証)、QC: Quality Control (品質管理)

3.1 臨床開発戦略の策定

臨床開発戦略の策定では、適応症や臨床試験の実施時期、試験デザインを含む臨床開発計画を検討し、早くかつ高い成功確率で価値の高い医薬品を世に出すことを目指す。その過程で必要な情報を収集し、多角的な検討や議論を経て、臨床開発計画、治験薬概要書、治験実施計画書等の多くの文書を作成する。

課題としては、コスト効率が高く短期間での医薬品開発、時間のかかる定型的業務における負荷軽減・業務効率化、成功確率の向上、それを実現させる土台となる効率的な情報収集等が挙げられる。

DX/デジタル化の手段を用いた主な事例を、表 3.1-1 に紹介する。AI による情報収集、AI を用いた文書作成、対照群へのリアルワールドデータ (RWD) や過去の臨床試験データの活用、デジタルツイン (患者をデジタル上で再現した仮想モデル) の活用、主要評価項目へのデジタルバイオマーカー (dBM) の活用、AI による臨床試験結果予測等がおこなわれている。AI を用いた文書作成では試験ごとに異なる記述が求められる部分等について完全な自動化が難しいこと、RWD を用いた外部対照群では臨床評価に影響のある交絡因子を被験薬群とマッチングさせる必要性があること等に留意する必要があるものの、臨床開発戦略の策定における DX/デジタル化により、開発費用削減、開発期間短縮、業務効率化、成功確率向上が期待される。

表 3.1-1 臨床開発戦略の策定における DX/デジタル化の事例

企業・団体 (報告年)	事例
日立製作所、田辺三菱製薬 ^{7,8} (2018)	<u>AI による情報収集</u> ： AI 技術を活用することで、熟練者のノウハウに依存していた従来の作業と比較して、情報収集の時間を約 70%短縮できることを確認するとともに、収集・整理されたデータの正確性も検証し、十分に活用できる見通しを得た。
NTT DATA、中外製薬 ⁹ (2020)	<u>AI を用いた文書作成支援</u> ： 治験実施計画書をベースとしてその派生文書であるさまざまな治験関連文書を連鎖的・網羅的に生成する技術を開発し、文書作成にかかる時間を 40%~60%削減する実証実験を完了した。 <ul style="list-style-type: none"> 削減効果率は、「同意説明文書」で平均 61%、「症例報告書 (blank)」で平均 40%であった。 両文書ともに、自動生成すべき部分の大部分を生成可能なことを確認でき、自動生成が難しいと予想される部分については、想定どおり削減効果率は低かった。 「症例報告書 (blank)」では自動生成後に症例報告書に適した形にするためのマニュアル作業が発生し、削減効果率低下の一因となった。

企業・団体（報告年）	事例
Roche、中外製薬 ¹⁰ (2020)	電子カルテデータを用いた外部対照群： 進行性非小細胞肺癌を対象とした米国を含む国際共同治験 8 試験（11 件の対照群との比較）の結果と、米国電子カルテデータ（48856 例）を各試験の適格性基準でマッチングした外部対照群を、後ろ向きに比較した研究において、11 件中 10 件の比較で実際の治験結果と電子カルテによる RWD から得られた結果（HR [OS]）は同様であり、単群試験の外部対照群として使用できる可能性がある。1 試験では結果に違いがみられ、その要因として、治験対照群と合成対照群の間で、がんバイオマーカー陽性率を適切に揃えることができなかった可能性、試験参加者数の少なさ（マッチング被験薬群 47 例、マッチング治験対照群 54 例）が挙げられる。
Medidata、Medicenna Therapeutics ¹¹ (2020)	合成対照群： FDA が Medicenna Therapeutics の再発膠芽腫の第Ⅲ相試験における合成対照群（メディデータ Synthetic Control Arm®）の使用を支持した。この合成対照群は、第Ⅲ相試験の試験参加者の人口統計学および疾患特性と一致するように、過去の臨床試験データをもとに形成されている。
GNS Healthcare ¹² (2020) ※複数のバイオ医薬品会社、学術医療センター、MMRF（多発性骨髄腫研究財団）が協力	デジタルツイン（患者をデジタル上で正確に再現した仮想モデル）： 多発性骨髄腫について in silico で個々の患者の反応を予測する Gemini と呼ばれるプログラムである。特定の治療法に反応する可能性が最も高いまたは最も低い個人を特定し、臨床試験計画の最適化に役立つ可能性がある。
Bellerophon Therapeutics ¹³ (2022)	主要評価項目にデジタルバイオマーカーを設定： 間質性肺炎に対する第Ⅲ相試験において、デジタルバイオマーカー（加速度センサーが内蔵されたウェアラブルデバイスによって測定された中高強度身体活動：MVPA）を、FDA と合意のうえ主要評価項目に設定し、検出力を維持したまま試験参加者数を 300 例から 140 例に削減した。
Insilico Medicine ¹⁴ (2023) ※AI 創薬企業	生成 AI で臨床試験の第Ⅱ相から第Ⅲ相の成功確率を予測： 独自の Transformer ベースの生成 AI ツール「inClinico」を使用して、第Ⅱ相から第Ⅲ相の臨床試験の結果を予測することに成功した。そのトレーニングデータには、過去 7 年間の 55600 以上のユニークな第Ⅱ相臨床試験が含まれている。Insilico の研究者によって開発された臨床試験確率モデルは、測定可能な成果が入手可能な前向き検証セットで、実際の臨床試験と比較検証したところ、79%という驚異的な精度を示した。

3.2 臨床試験の実施

臨床試験の実施においては種々の課題があり、DX/デジタル化により改善または解決できる可能性がある。本資料では調査の結果、特筆すべき取り組みが挙げられた以下のプロセスについて、それぞれの事例を紹介する。

- 1) : 実施医療機関の選定および試験参加者登録
- 2) : 治験薬の供給と管理/治験使用薬の DiP
- 3) : 試験参加者からの文書同意取得
- 4) : 評価の実施およびデータの取得/オンライン診療
- 5) : 評価の実施およびデータの取得/eSource
- 6) : 評価の実施およびデータの取得/dBM による評価
- 7) : 評価の実施およびデータの取得/画像情報に対する AI 活用
- 8) : 試験参加者の服薬管理
- 9) : データの収集・報告

なお、リモートによる原資料と症例報告書の照合・検証 (SDV)、治験手続きの電磁化、eSource の利活用、セントラルモニタリング等の取り組みについては日本製薬工業協会 医薬品評価委員会が公開している成果物を必要に応じ参照されたい^{15, 16, 17}。

1) 実施医療機関の選定および試験参加者登録

臨床試験の実施において、試験参加者登録の遅れは多くの時間と費用を費やすため、開発費用の増大ならびに収益性の減少に直結するとともに、新薬を待ち望む患者への治療提供の遅延、または治療提供機会の損失を招くことが懸念される。既に普及している試験参加者登録の加速や予測性向上におけるデジタル技術活用の事例としては、Web 広告を活用した試験参加者募集¹⁸、RWD を用いた実施医療機関候補の調査への利活用¹⁹等が挙げられる。試験参加者の登録においては、たとえば疾患の重症度や進行度を組み入れ基準とすることも多く、これらのデータの利活用による実施医療機関や試験参加者のマッチングについても期待される。しかし、個人情報保護の観点から医療機関や患者を特定できるデータへアクセスできないことも多く、臨床試験の組み入れ基準に合致する患者および当該患者の多い医療機関が十分に特定できていないのが現状である。

最近では、Web 広告や RWD 利用以外にも、試験参加者登録に関する新たなアプローチやサービスが提供されており、表 3.2-1 に主な事例を紹介する。蓄積された臨床試験および患者データの分析による実施医療機関の選定と試験参加者登録計画の立案や、デジタルツールを用いた患者エンゲージメントによる臨床試験の認知およびアクセス向上により、試験参加者の迅速な募集が可能となってきている。対象となる患者集団の分析およびエンゲージメント方法の検討により適切な手段を選択することが臨床試験の加速につながる可能性がある。

**表 3.2-1 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
(実施医療機関の選定と試験参加者登録の促進)**

企業・団体（報告年）	事例
Medidata ²⁰ (2022)	<u>実施医療機関選定と試験参加者登録予測：</u> Medidata AI プラットフォームは 27000 本の臨床試験および約 800 万人の患者データを有し、解析可能な臨床試験データが登録されている。患者データを再利用し、ML による洞察を提供することで実施医療機関の選定や試験参加者登録予測を支援している。
Otsuka/Verily ²¹ (2023)	<u>試験参加者登録促進：</u> Otsuka と Verily は、大うつ病性障害（MDD）を対象とした第 II 相臨床試験の全米の 55 実施医療機関において、Verily の Clinical Research Suite を使用し、MDD 患者の臨床試験の認識度およびアクセシビリティの向上に共同で取り組んでいる。Clinical Research Suite を通じた試験参加者募集により、登録期間の短縮を可能とした。

2) 治験薬の供給と管理/治験使用薬の Direct-to-Patient shipment (DtP)

臨床試験の試験参加者は距離的制約や時間的制約に表される「物理的制約」というアクセス上の課題があり、分散化臨床試験（DCT）はその改善へのアプローチのひとつ考えられている。DCT の実施には、試験参加者が実施医療機関に来院せず自宅等で治験使用薬を受け取れるよう配送する DtP の活用が含まれる。DtP には 2 つの配送方法、1) 実施医療機関から試験参加者宅へ送付、2) 治験依頼者または委託先の治験薬保管庫から試験参加者宅へ送付が考えられている。

2023年1～2月実施の日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会でのDCT調査（内部資料）では試験参加者への治験薬配送を、52社中15社（29%）が実装試験あり、4社（8%）が実装予定の試験ありと回答しており、実装あり（予定含む）19社のうち13社（74%）が2試験以上で実装していた。

表3.2-2に、主な事例を紹介する。DtPの導入により、治験薬管理をシステム上で一元管理することで、実施医療機関における治験使用薬の管理業務、試験参加者の実施医療機関への来院負担が軽減され、治験使用薬供給の観点からも在庫管理が効率化される可能性が考えられる²²。一方で、実施医療機関での受け入れ体制の課題があり、さらに治験依頼者または委託先の治験薬保管庫から試験参加者宅への直接送付は、医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（GCP）第17条（治験薬の交付）および第35条（実施医療機関の要件）に抵触する恐れがあるため、その必要性や導入するための根拠を規制当局に説明する必要があり、DtPの普及には実施体制および規制の両面での整備が必要である²³。

**表 3.2-2 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
（治験薬の供給と管理/治験使用薬の DtP）**

企業・団体（報告年）	事例
Medidata ²⁴ (2021)	<u>DtP 配送管理のプラットフォーム</u> ： Rave RTSM DtP（Randomization and Trial Supply Management Direct to Patient）により、治験依頼者やCROは、患者データの機密性を維持しながら、医薬品や医療機器の臨床試験のためのDtPをシステム上で一元管理するプラットフォームを提供している。治験使用薬交付がリクエストされると、指定されたDtP倉庫に出荷要求が出され、患者の自宅に治験使用薬が直接配送される。
Marken ²⁵ (2020)	<u>治験使用薬の直接配送・直接集荷サービス</u> ： 患者へのDtPおよび患者からの生物学的サンプル回収サービスを提供している。配送における温度完全監視で品質を保証しながら、配送場所に関係なく直接、治験使用薬の配送を実施可能とした。

3) 試験参加者からの文書同意取得/eConsent

インフォームド・コンセントは、患者が臨床試験の内容やその他の関連事項について十分な説明を受け、理解・納得したうえで臨床試験参加の意思決定をすることが重要である。しかし試験参加者の同意説明の理解度は内容により50%～75%程度との報告²⁶もあり、情報提供・説明の改善が課題となっている。テキスト、画像、音声、ビデオ等複数のツールを使用し効果的な説明および同意取得を可能とするeConsentは、理解度向上の手段として期待されている。2023年1～2月実施の日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会でのDCT調査（内部資料）では、52社中16社（31%）がeConsentの実装試験あり、3社（6%）が実装予定の試験ありと回答しておりeConsentの導入が進みつつある。

表 3.2-3 に、主な事例を紹介する。IQVIA の Secure Consent、Signant Health の TrialConsent の他、多くのサービスプロバイダーがシステムを提供しており、臨床試験で利用されている。eConsent を用いることで、アニメーションや音声の説明等により試験参加者の臨床試験への理解が深まり、同意への納得性を高め臨床試験中の遵守事項の理解度も向上できると考えられる。また、版管理や同意取得状況の管理および電子化による記録保管の利便性等の効果²⁷が期待される。一方で、前述の DCT 調査において、eConsent 導入の問題点として、臨床試験費用の増加、治験依頼者および実施医療機関の体制整備や業務負担増加、eConsent のメリットを活かせる試験デザインの検討を要することが指摘されている。eConsent システムの利用・経験の蓄積とともに、利用するメリットについて実施医療機関の理解を得る等、今後の対策が求められる。

表 3.2-3 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例 (eConsent)

企業・団体（報告年）	事例
Signant Health、IQVIA、Medidata、Veeva 他多数	eConsent システム・サービス： 多くのサービスプロバイダーから eConsent システム・サービスが提供されている。eConsent に加え、DCT 実施を支援するその他の機能を備えたものもあり、個々の治験のニーズ・条件・環境に応じた選択が可能となってきた。

4) 評価の実施およびデータの取得/オンライン診療

他の DCT 手法にオンライン診療を組み合わせることで、試験参加者の来院の負担が軽減し、遠隔地の患者も臨床試験に参加しやすくなることが期待される。これは、試験参加者登録スピードの向上や途中脱落の低減につながるだけでなく、医師と試験参加者間で効率的にコミュニケーションが取れることで試験参加者の臨床試験への参加意欲の向上や、有害事象の発現時にも、医師が視覚的な情報も含めて速やかに試験参加者の状態を診察することで、試験参加者の安全管理の向上にも寄与する可能性が考えられる。

日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会での DCT 導入に関する検討²⁷では、2020 年時点の調査 23 社において、国内でオンライン診療を活用した臨床試験の経験ありと回答した企業はなかったものの、2023 年 1～2 月実施の日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 臨床評価部会での DCT 調査（内部資料）では 52 社中 5 社（10%）が実装試験あり、7 社（13%）が実装予定の試験ありと回答しており、オンライン診療の導入事例が増えてきている。

表 3.2-4 に、主な事例を紹介する。国立がん研究センターや愛知がんセンターの医師主導臨床試験や MICIN が提供するサービス MiROHA を利用した塩野義製薬の事例等、オンライン診療を導入した DCT 実施例が報告されており、COVID-19 の拡大により、臨床試験の実施においてオンライン診療導入を検討する企業が増えていると推測される。

ただし、オンライン診療では、対面診療との差異を考慮したうえで、臨床評価、安全性モニタ

リングの方法を慎重に検討する必要がある。

**表 3.2-4 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
(オンライン診療)**

企業・団体（報告年）	事例
国立がん研究センター ²⁸ (2023)	オンライン臨床試験： 希少がんが対象の2つの医師主導臨床試験で中央病院（東京）まで来院することが難しかった遠隔地の患者でも、オンライン臨床試験システムの導入で、近隣の医療機関を通じて臨床試験へ参加することを可能とした。地方在住の患者さんの臨床試験アクセスが劇的に改善するのみならず、試験参加者登録スピードの加速による早期の臨床試験完了、臨床試験全体の費用削減が期待される。
MICIN ²⁹ (2023)	DCTプラットフォーム： 塩野義製薬が実施する複数の疾患領域で「MiROHA（ミロハ）」のオンライン診療サービスを用いてDCTを実施している。 自宅からオンラインで診療を受けられることで、来院頻度を減らし、試験参加者の負担軽減にもつながるとともに、Patient Centricityを実現し、臨床試験業務の効率化も可能としている。
愛知がんセンター ³⁰ (2022)	かかりつけ病院と連携したオンライン診療でのリモート治験： 従来対面診療でおこなっていた治験の診療をオンラインで実施。かかりつけ病院からの診療情報の事前提供で、初診からオンライン診療を可能とした。オンライン診療と、かかりつけ病院との連携、治療薬の自宅配送とを組み合わせることで、当院へ患者さんが一度も来院せず新薬の治験に参加する完全リモート治験を実現した。

5) 評価の実施およびデータの取得/eSource

Electronic Data Capture (EDC) の普及に伴い、製薬企業側は臨床試験に関するデータを迅速に管理することが可能となってきた。さらなる品質の確保と作業効率化のため、電子的に記録した原データを直接収集する eSource の手法が増えてきている。FDA ガイダンス「Guidance for Industry Electronic Source Data in Clinical Investigations³¹」では、eSource データの取扱いを規定している。また、TransCelerate BioPharma では、eSource を以下の4つに分類している³²。

- a) Non-CRFs：血液検査、画像、ECG データ等を中央検査センターから電子媒体で受領
- b) Devices & App：ePRO やウェアラブルデバイスを用いた電子的なデータ収集
- c) EHR/EMR：電子カルテと EDC をつなぎ、臨床試験で必要なデータを EDC に転送
- d) Direct Data Capture (DDC)：医療者が電子的に記録、評価したデータを直接収集

eSource を活用することで、転記エラーの解消およびデータ改ざんの困難な環境を構築し、SDV そのものを不要とする質的変化が期待できる。加えて、タイムリーなデータ取得によるデータの品質の改善、医療機関やモニタリングの負担軽減、および臨床試験のスピードアップ等が期待される¹⁶。a) Non-CRFs と b) Device & App の手法は、多くの臨床試験で既に一般的なものとなりつつある。一方、c) EHR/EMR と d) DDC については、日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 データ

サイエンス部会の DDC/EHR 導入調査（2022 年）³³では、DDC 導入に取り組んでいると回答した会社は回答 50 社中 9 社(18%)、EHR/EMR と EDC の連携に取り組んでいるのは 50 社中 1 社(2%)のみであった。さらに、COVID-19 を契機に DDC および EHR/EMR 導入検討が促進されたと回答した会社も 50 社中 11 社 (22%) にとどまり、導入企業はあまり増加していないのが現状である。

表 3.2-5 に、主な事例を紹介する。サスメドのブロックチェーン技術を用いた eSource サービスや MICIN の MiROHA のような DCT プラットフォームにて eSource 機能のサービスを提供するサービスプロバイダーが出てきている。しかし、期待されるデータの品質向上、負担軽減、効率化のメリットに対して、準備期間や臨床試験費用の増加、医療機関とベンダーの協力が不可欠であり、投資に見合った効果が得られるかが導入の課題となっている。また、医療機関側においても、通常診療目的のデータ収集と治験のためだけのデータ収集を両立させる院内運用の整備、治験依頼者とのすり合わせ、セキュリティ担保等、解決すべき課題がある。今後、製薬企業、CRO/サービスプロバイダー、医療機関の枠を超えて、さらなる事例の蓄積と共有を進め、臨床開発における eSource の価値について議論をおこなう必要があると考える。

表 3.2-5 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例 (eSource)

企業・団体（報告年）	事例
サスメド ³⁴ (2020)	<u>ブロックチェーン技術を用いた eSource サービス</u> ： 医療機関で取得する医療データを e ワークシートと eCRF をブロックチェーン技術で結合させたシステムを活用し、データ照合作業の削減を実現。当該技術での SDV 代替が GCP 要件を満たすことは、厚生労働省および経済産業省から認定済みである。
MICIN ³⁵ (2022)	<u>DCT プラットフォーム</u> ： DCT プラットフォーム「MiROHA」の eSource 機能を利用したデータ管理手法の検証を中外製薬と共同で実施した。eSource を EDC と連携させることで、より効率的な臨床試験データの収集・管理の可能性が示唆された。eSource は訪問看護とオンライン診療の組み合わせ等、様々な場面での活用を想定している。

6) 評価の実施およびデータの取得/dBM による評価

従来の臨床試験において、診断や臨床評価は医療機関の受診が必須であり、日常生活での活動や症状の評価は困難であった。一方、疾患の診断・治療・予防で、ウェアラブルデバイスおよびモバイル技術を組み合わせて生理学的または行動学的な特性を捉える dBM の利用が活発化している。日常生活における変化を連続的に記録、モニタリングすることで病態進行の早期発見、早期治療の可能性が高まってきた。また、一部の疾患では患者の主観に頼らざるを得なかった症状の評価を dBM で客観的かつ定量的に評価できる新たなデジタル指標の開発も期待されている。

表 3.2-6 に、主な事例を紹介する。子宮内膜症の疼痛評価、ナルコレプシーと閉塞性睡眠時無呼吸症候群の病態理解、軽度認知障害 (MCI) の兆候検出の事例等、連続的に遠隔で患者状態のモニ

タリングが可能になることで、日常生活の中で起こる変化（日内/日間変動、就寝時の症状等）や治療に対する有効性・安全性のシグナルを検出し、早期診断と治療介入、治療の個別化・最適化を実現できる可能性が考えられる。ただし、臨床試験のエンドポイントとして用いる場合には臨床バリデーション、すなわち dBM が意図したとおりに身体機能や臨床状態等を測定できることを、精度や信頼性、臨床的妥当性の点から検証することが必要となる。そのため、規制当局との事前の相談を含め dBM による評価の妥当性を説明できるよう準備しておくことが重要である^{36, 37}。

**表 3.2-6 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
(dBM による評価)**

企業・団体（報告年）	事例
Biogen、Apple ³⁸ (2021)	<u>Apple Watch を用いた認知機能の経時的モニタリング</u> ： Apple Watch / iPhone を活用する認知機能の dBM 開発に向けた研究を実施。MCI に対する、認知機能の経時的変化を観察し、MCI の初期兆候を特定するのに役立つ dBM の開発を目指している。対象には高齢者だけでなく、若年者も含めた多様な試験参加者を登録する。
アキュリスファーマ ³⁹ (2023)	<u>ウェアラブルデバイスを用いた睡眠に関するデータ評価</u> ： ナルコレプシーと閉塞性睡眠時無呼吸症候群の患者を対象とした研究でウェアラブルデバイスを用いて患者の睡眠、活動、心拍等のデータを収集し睡眠に関する dBM の特定を目指す。睡眠の状態、日中の眠気のパターン、日中の眠気の発生予兆の検出等の客観的な理解、適切な診断と治療により QOL や生産性の向上が期待される。

7) 評価の実施およびデータの取得/画像情報に対する AI 活用

臨床試験では、有効性や安全性評価を目的に外部評価機関等による医用画像の中央評価がおこなわれることも多い。その際、医用画像を第三者（中央評価者）に送信するため、個人情報を適切に管理する必要がある。これまで、実施医療機関は画像を送付する前に手作業で個人情報のマスク処理等をおこなう必要があったが、AI が自動的に個人情報にかかわる部分を識別して削除やマスク処理をおこなうことで、人の手による作業量を削減し、業務効率化を図るシステムが構築されてきている⁴⁰。画像情報に対する AI 活用により、従来の課題解決に取り組んだ事例といえる。

また、臨床試験の成功確率向上を目的に、AI を用いて医用画像を解析することで適切な試験参加者を選択する研究が報告されている。進行性疾患を有する患者を対象とした臨床試験では、疾患の進行度合いを踏まえた適切な評価期間が必要であるため、進行を予測し適切な患者を組み入れることで成功確率の向上が期待される。たとえば、アルツハイマー型認知症を対象とした臨床試験では、試験参加者の医用画像等のベースラインデータを用いて作成した AI による予測モデルにより、一定の期間中に認知機能低下を示す可能性が高い個人を陽性的中率 80%で特定することに成功したとの報告がある⁴¹。

画像情報等に対する AI 活用の事例を表 3.2-7 に紹介する。従来、呼吸器疾患の評価に用いられるスパイロメトリーは医療機関で実施されてきたが、正しく測定されているかを AI がリアルタイムに判定することで、医療機関ではなく在宅での測定を可能とする試みがなされていた。また、CT や MRI 等、医療機器で撮影された医用画像に対する AI 活用だけでなく、スマートフォン等で撮影された画像情報に対して AI を活用することで新たな評価指標とする研究も進められている。表情や脳波等を通じて感情を読み取る AI の研究では、表情を使った痛みスコアの算出やメンタルヘルスの評価もおこなわれている。医療機関への来院時だけでなく日常の経時的なデータが測定できるようになれば、これまで定量的な評価が難しかった疾患においても精度の高い臨床評価ができるようになってくることが期待される。

**表 3.2-7 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
(画像情報等に対する AI 活用)**

企業・団体 (報告年)	事例
AstraZeneca ⁴² (2023)	在宅測定可能なスマートスパイロメーターによるデータ評価： 第 II 相臨床試験の副次評価項目として在宅でのスパイロメトリーを実施。 取得されたフローボリューム曲線に対して AI による逐次品質管理を実施することで、欠測頻度が 5%減少すると予測された。
フェデリコ 2 世ナポリ大学 ⁴³ (2023)	表情等をつかった痛みスコアの算出： 表情や体位、言語といった身体的特性の他、皮膚電気活動や脳波、心拍数変動といった神経生理学に基づく痛みスコア算出の取り組みが紹介されている。
電通デジタル ⁴⁴ (2023)	表情を使ったメンタルヘルス評価： リモートワークで使用する PC 搭載カメラや Web カメラによる表情分析を通じて、リモートワーカーの日々の感情推移を客観的に把握できるようになった。従業員がパソコンに向かい通常業務をしている状態で、表情分析をする AI によってメンタルヘルス状態をレポートし、コンディション管理をサポートしている。

8) 試験参加者の服薬管理/デジタル技術を活用した試験参加者の服薬管理

適切に服薬管理をおこなうことは一般臨床における患者保護の観点で重要であるが、治験薬の服薬アドヒアランス向上は、臨床試験における有効性や安全性を適切に評価する上でも重要である。一般臨床における服薬アドヒアランスに関する調査⁴⁵では、昼間の服薬忘れが多いことが示されており、適切な時間帯に試験参加者に通知を送ることで服薬忘れを防ぐといった対処法が必要となる。また、飲み忘れが多い薬剤は服薬指導時に服薬忘れがないかの確認が重要であるとされているものの、医療従事者が直接関与しづらいという課題がある。そこで、AI 技術やデジタル技術を用いた服薬アドヒアランス向上が期待される。具体的な取り組み事例としては、スマートフォンのカメラと画像 AI による薬剤摂取の管理(通常の服薬管理と比較して 67%の服薬率向上)、AI により生活状況を反映させたリマインダーシステム、AI チャットボットを活用した動機づけ(チャットを通じた疾患の理解度向上による 20%の服薬率向上)といったアプローチが挙げられ

る⁴⁶。

表 3.2-8 に、主な事例を紹介する。個々の機能は試験参加者保護や臨床試験効率化を目的として活用されてきたが、COVID-19 の感染拡大を契機に治験薬の直接配送の需要が増加し、試験参加者管理や eConsent といった他の機能と組み合わせた運用が実施された。これまで試験参加者による自己申告と医療従事者による動機づけ、管理がおこなわれてきた服薬管理業務の効率化に加え、適切な試験参加者の保護と服薬管理業務の効率化が期待される。さらに、これまでの画一的な管理から、個別化された服薬に対する動機づけがおこなわれることにより、服薬アドヒアランスの向上、さらには臨床試験の成功確率向上への貢献も期待される。

**表 3.2-8 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
(デジタル技術を活用した試験参加者の服薬管理)**

企業・団体（報告年）	事例
Sciences37、AiCure ⁴⁷ (2022)	<u>服薬管理ツールの導入</u> ： AiCure 社が提供する AI 服薬管理ツールを用いてバーチャル臨床試験を実施する予定である。服薬管理ツールは服薬時間をリマインドするほか、カメラを用いて患者の顔識別から薬の種類や量のチェックまでをすべて AI がおこない、適切に服薬されたかのレポートが提出される。また、本治験では、表情および声質の変化に関する有効性評価も AI によりおこなう DCT を計画している。

9) データの収集・報告/ノーコード・ローコード開発プラットフォーム

臨床開発では、規制当局に対する治験届や実施医療機関に対する各種手続き、モニタリング報告や安全性情報の収集と報告等、さまざまな情報収集や管理、報告業務が発生し、開発品目によらず各社の手順書に従った処理がおこなわれる。管理を含めて専用システムが用いられることが多く、臨床開発部門や薬事部門、安全性管理部門といったさまざまな部門が業務に携わる。一つの化合物に対する安全情報収集を考えると、臨床試験で得られる安全性情報の対応や一般臨床で得られる副作用の報告等、似たような情報を異なる部門や業務目的で取り扱うと適切な安全性評価が実施されない可能性がある。そればかりかデータのサイロ化や作業の属人化が発生したり同じ作業を別々に実施したりしてしまい、業務効率が落ちる等の問題が起こりうる。

業務効率化を目的とした横断的なシステム開発が解決策の一つとして挙げられるが、業務ごとの細かな違いをシステムの開発者が把握するまでに時間がかかるといった難しさもあり、通常、システム開発には多くの時間が必要とされる。そこで、プログラミングの知識が少ないか全くない人でも、アプリケーションやウェブサイトを容易に開発できるように設計されたノーコード・ローコード開発プラットフォームが有用である。これにより、日々の業務をおこなう担当者がシステム開発に携わることができ、各社の手順や業務に適した設計開発をおこなうことで業務効率化を推進することが期待される。一方で、誰もが開発に携われることで情報の取り扱いに対する新たな懸念も生まれている。Microsoft の Power Apps ポータルを利用する⁴⁷の企業から、個人情

報累計 3800 万件が漏洩したと報告された⁴⁸。システムの脆弱性ではなく構成上の問題とされており、適切な教育を含めた対応が求められる。

臨床開発部門や薬事部門、安全性管理部門でサイロ化されていたデータの蓄積を解消し、一元管理された情報を横断的に管理できるシステム開発がおこなわれた事例を表 3.2-9 に紹介する。ノーコード・ローコード技術の活用により、設計や試験工数が削減され、構築工程の短縮に成功している。各部門や個別業務で最適化されたデジタル化は製薬企業で比較的進められている領域の一つであり、今後は部門横断的な全体最適化としての DX の推進が期待される。加えて、デジタル化から一元管理・DX へと、さらなる業務効率化へのステップアップも期待される。

**表 3.2-9 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例
(ノーコード・ローコード開発プラットフォーム)**

企業・団体（報告年）	事例
中外製薬、NTT DATA ⁴⁹ (2023)	<p>治験使用薬情報管理システムを開発： 副作用等症例報告の観点で、管理範囲が他社品/市販品に及ぶこと、試験間で複雑に関係しあう情報を効率的に管理することを目的にノーコード・ローコード開発プラットフォームを活用し、治験使用薬情報に関連する業務を標準化・可視化・自動化した。ノーコード・ローコード技術の活用で、設計からテストまでの構築を 4.5 か月の短期間で達成した。</p>

3.3 臨床試験データの解析

臨床試験データの解析とは、主に症例報告書（CRF）等の臨床試験データを分析することで有効性や安全性を統計学的に検証し、総括報告書（CSR）のための解析帳票（TFL）を作成する業務である。この業務では、データベースロックから TFL 作成までの大幅な期間短縮が求められている。また、解析の高度化（複雑な試験デザインや数理モデルに基づく解析手法等）、大量のデータのハンドリング（ゲノムデータや dBM データ等）、データ統合（過去の臨床試験や公共データ等の様々なデータとの統合）も課題となっている。これらの課題解決のために、AI（通常は ML）をはじめとするデジタル技術が使用されるようになってきた。

臨床試験データの解析を効率化する取り組みとして、（原データからの抽出・加工やデータクレンジングに用いるものを含む広義の）解析プログラムの自動化が検討されている。解析プログラムの自動化は業務の効率化や期間短縮の効果が高いと想定されるが、臨床試験データの解析においては臨床試験ごとに専用のプログラムが必要となるため難易度が高い。しかし、「臨床試験データ交換仕様コンソーシアム（CDISC）」によるデータの標準化、適応症ごとの解析手法の標準化および AI 全般の進展により、臨床試験の統計解析プログラム作成の自動化に向けた可能性は高まっている。

表 3.3-1 に、データクレンジングからレポートिंगまでの自動化に関する事例と、SAS Viya の AI 技術の活用事例を紹介する。事前に治験実施計画書、統計解析計画書、解析プログラムおよびログや出力結果等、さまざまな形式のデータを AI に学習させ、当該臨床試験の統計解析計画書に基づき、臨床試験データの解析で使用されるプログラムを AI により自動作成している。これにより、統計解析の専門知識が必要だった臨床試験データの解析業務の多くを自動化し、臨床試験の大幅な費用削減と期間短縮が可能となった。また、人が介在することによるエラーも大幅に低減可能となった。さらに、高度な判断が必要になるため実現に時間がかかると考えられるが、将来的には治験実施計画書をもとに統計解析計画書を作成するプロセスの自動化も期待される。

**表 3.3-1 臨床試験データの解析における DX/デジタル化の事例
（解析プログラミングの自動化）**

企業・団体（報告年）	事例
シミック、サスメド ⁵⁰ (2020)	データクレンジングからレポートिंगまでを自動化： ビッグデータの解析において膨大な時間を要する欠測補完やデータの不均 衡調整等のデータ前処理、データの探索的可視化、そして予測アルゴリズム の比較検証および解析結果のレポートिंग等を自動化するテクノロジー を実装した。
塩野義製薬、SAS ⁵¹ (2022)	SAS Viya の AI 技術の活用： ライフサイエンス&ヘルスケア向け DX スターターパックを提供した。両 社が 2010 年代半ばから SAS の ML ツールを活用した人工知能技術による 臨床試験解析のセミオートメーション化を検討してきたノウハウの提供に もなっている。

3.4 製造販売承認申請

申請資料作成は非常に時間を要する作業であり、医薬品開発の時間や費用を増大させる一因であった。従来の申請資料作成プロセスには、以下のような課題があった。

- ・ 申請資料作成を複数の部門で分担するケースが多く、部門間の情報共有や進捗状況の把握に時間を要していた（メールや口頭での確認が必要であった）。
- ・ 膨大なファイルの管理が困難で、最新版が分からないといった問題が生じていた。
- ・ 申請資料作成作業が専門的であり、スキルが属人化されていた。

これらの課題解決に向けたデジタル技術の事例を以下に示す。

● 文書作成支援

過去に作成した資料を雛形にして新しい資料を作成する、工程番号を自動で付与する、製造所や原薬等の情報をあらかじめ登録しておく等の機能を備えた文書作成支援ツールが開発されている。これらを活用することで、効率的な文書作成が可能となる。

● 自動翻訳

国際共同治験が主流となり、申請資料の迅速・正確な翻訳に対するニーズが高まっている。こうした中、自然言語処理等の AI 技術を応用した自動翻訳技術が普及し、医薬分野に特化した自動翻訳エンジンを開発する企業も増加しつつある。

● QC

作成した申請資料の品質を担保するための文書照合技術（ソフトウェア）も進歩している。フォーマットや誤記のチェック、承認申請手続きに基づいた各種入力項目の整合性チェック、差分比較による追加・変更箇所の確認等が可能となっている。

● ML による精度向上

文書作成支援ツールや自動翻訳のツールを導入しても、最終的には人的リソースによる修正を必要とすることが多かったが、人的リソースによって修正された文書を教師データとして学習することで、文書作成の精度を徐々に向上させる技術が開発されている。学習を続けることで、人的リソースによる修正量を削減できる可能性がある。

表 3.4-1 に、申請資料作成支援に関する事例を紹介する。このような申請業務効率化ソフトウェアを使用することで、コモン・テクニカル・ドキュメント（CTD）文書等で文書照合技術の革新的な活用が広がり、製薬企業にとって、これまで多くの時間と人的リソースを必要としてきた文書品質管理および申請業務の効率化の加速が期待される。

表 3.4-1 製造販売承認申請における DX/デジタル化の事例

企業・団体（報告年）	事例
日本コムシク、ディ ビイ ^{52,53} (2023)	申請業務効率化ソフトウェア： 申請業務効率化ソフトウェア「QCDoX」は、文書照合技術により、QC 対 象文書と原文書を突合し、不一致候補および表記のゆれ候補を提示するこ とができる。CTD 内の複数の文書の一貫性を横断的に照合することも可能 である。

4 臨床開発における DX に向けた問題点

第3章で示したとおり、臨床開発の各プロセスで DX/デジタル化が数多く取り組まれている。一方、DX/デジタル化の取り組みは製薬企業に限らず様々な分野で試行錯誤している段階であり、「変革」といえる域には至っていない例も多い。本章では、第3章の事例調査および本 TF 参加者を対象に実施した、DX/デジタル化に関するアンケート調査（以下、本 TF 参加者アンケート調査、詳細は別添2参照）の結果をもとに、DX 推進にあたって直面しやすい一般的な問題点についてまとめた。

1) 投資判断

DX を目指した新たな業務システムやデジタルツール等を開発する場合、その開発費用に加え、システムの維持費用や利用料も継続的に発生することが多い。費用対効果の観点から、これらの費用の妥当性を判断する必要があるが、DX による業務効率化や提供価値等の効果は可視化しにくい。また、新規性や独創性が高い取り組みほど、成功確率の予測が難しいことが多い。

DX の推進には、その開発にかかわる費用や人的リソースの増加、一定の失敗リスク等があっても新たな取り組みに挑戦しようというリーダーシップやそれを後押しする強力なドライバー（経営トップによる推進等）が重要である。本 TF 参加者アンケート調査では、約7割の企業が臨床開発部門レベルのビジョンや組織目標に DX/デジタル化に関する内容を設定していた。また、約半数の企業が臨床開発部門に DX に関する専門リソースを有していた。このような、マネジメントレベルでのコミットメントは DX 推進にとって有効であると考えられる。

2) 人材

製薬業界に限らずあらゆる業界でデジタル技術に関する専門家の人材が不足している。そのため、製薬企業が DX に取り組む際、IT 企業等とのパートナーングが必要となる場合が多い。一方、昨今は多くの DX/デジタル化に関するサービスが乱立している。そこから最適な候補を選定するためには、まずはサービスを適用したい従来の業務プロセスを改めて見直し可視化した上で、DX/デジタル化によって解決したいプロセス上の課題を明確化し整理しておくことが望ましい。そのためにはデジタル技術と製薬企業の業務の両方に詳しい人材が社内が必要となる。

また、DX/デジタル化した後の臨床開発業務を適切に運用し、業務システムをメンテナンスしていくためには、専門家以外の人材にも一定レベルのデジタルリテラシーが必要となる。

社内業務の DX を推進するあたり、部門ごとに要求事項や適用される規制が異なる場合がある。個別部門での最適化は、全社でのデータ利用等の全体最適化を阻害しかねない。そのため、部門を超えた俯瞰的視点を備えた人材が求められる。

3) DX/デジタル化すべき業務範囲

治験実施計画書、CSR および CTD の共通部分の記載等、作業に時間がかかるが比較的定型的な業務についてはデジタル技術による自動化等に取り組みやすい。サービスとして実装されているものもある。一方、臨床開発戦略の立案や臨床試験のデザイン設計等は、AI 等のデジタル技術を駆使しても自動化は困難であると考ええる。仮に自動化できたとしても、どこまで自動化すべきかは、費用対効果の面からも議論の余地がある。DX/デジタル化に取り組む際には、従来の業務の本質を理解し細分化したうえで、自動化等の業務効率化を試みる範囲を適切に設定することが重要となる。

4) データベースによる限界

疾患の予後や薬効を予測する AI 予測モデルやデジタルツイン等を構築しようとする場合、教師データとなる RWD や種々のデータベースが必要となる。一方、現状ではそれらのデータベースは質、量ともに限界がある。たとえば、電子カルテの規格は統一化の途上でありデータ統合には困難を伴う。そのため、データベースの大きさも限定的になりやすい。また、日常的な身体活動や睡眠状況等に関する dBM を臨床アウトカムとともに大規模に収集したデータベースはまれである。データベースに含まれるデータの種類の限定的だと、あらゆる角度から予測できる予測モデルを構築するのは難しくなる。今後、社会基盤の整備が進み大規模なデータベースが活用できるようになることを期待するとともに、限られたデータでも予測精度を向上させる試みも重要となってくると考える。

5 臨床開発における DX の可能性と今後の展望

今回、調査した DX/デジタル化の取り組み事例に加え、本 TF 参加者アンケート調査結果を含めた TF 内での議論から、医薬品開発における DX/デジタル化の取り組みを図 5-1 のように模式的に示した（創薬、非臨床および生産/製造販売後の主な事例は別添 1 参照）。この中で、すべてのプロセスで取り組まれている「AI の活用」および臨床開発で中心的なプロセスである試験実施段階において多くの試みがなされている「新たな臨床試験に向けたアプローチ」について展望を述べる。

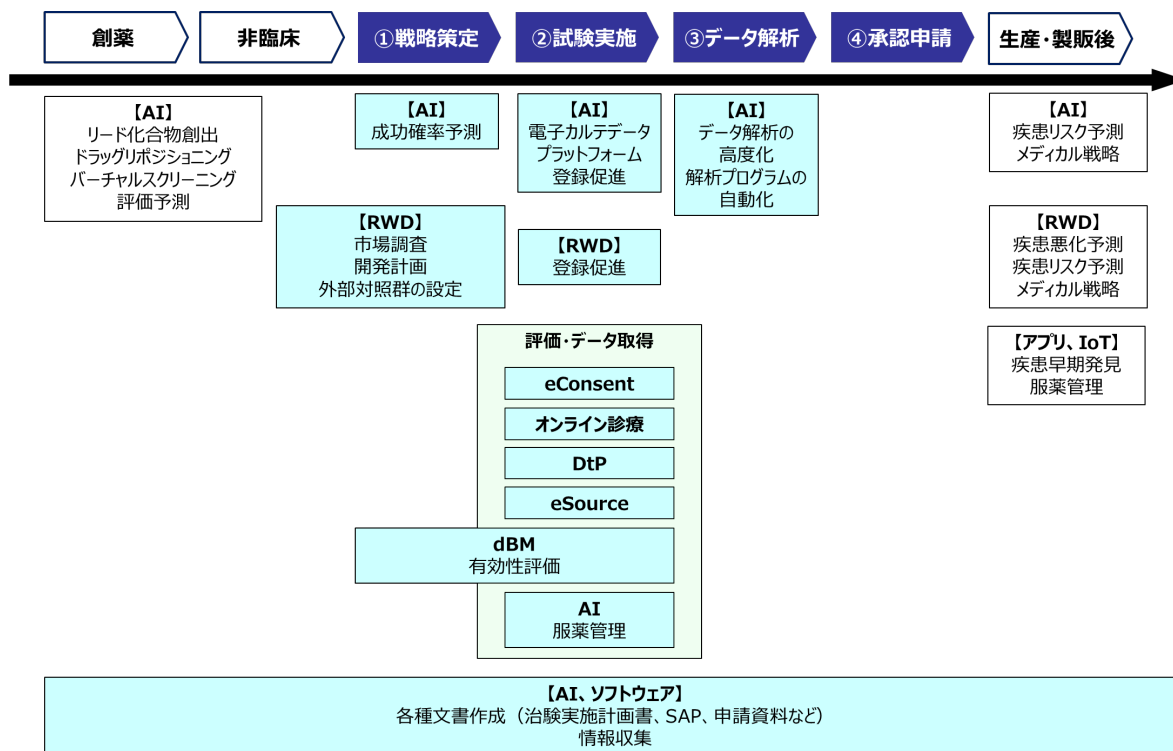


図 5-1 医薬品開発のバリューチェーンにおける DX/デジタル化の全体像

1) AI の活用

従来の AI はルールに基づいた作業の自動化、分類および判別等に用いられてきたが、近年、コンテンツを創造できる生成 AI が世界中で注目されている。本 TF 参加者アンケート調査でも、各社とも生成 AI の臨床開発業務への活用に期待を寄せていた。特に、文書作成への生成 AI の活用は有効と考えられる。臨床開発業務で作成する文書は、治験薬概要書、治験実施計画書、説明文書・同意文書、統計解析計画書および報告書、CSR、CTD、各種手順書、実施医療機関に関する手続き関連文書、規制当局からの照会回答等、極めて多岐にわたる。生成 AI の具体的な活用方法としては、文献情報や各種データベース、臨床試験データ等を生成 AI に読み込ませることで、臨床開発段階に応じて治験実施計画書、CSR および CTD 等のドラフトを作成させること等が考えられる。

さらに、よりセキュリティが確保された環境を構築できれば、社内の機密情報とオープンソースを連結してデータを取り扱うことが可能となる。たとえば、規制当局からの照会事項の回答作成で、生成 AI が公表論文や規制情報等のオープンソースだけでなく社内に蓄積されたこれまでの照会回答等をもとに、回答案をその根拠となる引用元と併せて提示できれば、内容のチェックも容易となり、効率化と質の向上が期待できる。また、個人情報に配慮しながら電子カルテにアクセスできる環境が構築できると、AI による臨床試験データとの照合や監査活動への応用も可能になるかもしれない。また、チャットボット等のインタラクティブなツールの導入は、患者の臨床試験の理解向上と参加への納得性を高めることが期待できる。

2) 新たな臨床試験に向けたアプローチ

臨床試験における比較的新しい試みとして、試験参加者登録への RWD 活用、DCT、dBM の活用について展望を述べる。

まず、試験参加者登録について、これまで Remudy（神経・筋疾患患者レジストリ）等の患者レジストリを試験参加者登録に活用した事例が報告されている⁵⁴。今後は、レジストリに加え、医療ビッグデータの活用が進むことが期待される。現在、医療分野での個人情報の活用に関する議論が進んでおり、政府が進めるデータヘルス改革と連動して 2023 年 6 月に改正された次世代医療基盤法では、医療情報の活用の促進と個人情報保護の両立を目指して、仮名加工情報の利活用の仕組みが盛り込まれている。この法律に基づき、認定事業者は医療機関等から入手した要配慮個人情報である医療情報を仮名加工情報として、利活用に提供することができるようになった⁵⁵。⁵⁶。さらに、データヘルス改革では、検診や電子カルテ等の医療全般を共有・交換できる全国的な医療情報プラットフォームが整備されつつある⁵⁷。⁵⁸。より詳細な患者データを活用できるようになれば、臨床試験の組み入れ基準に合致する対象患者数の予測や試験立案段階での組み入れ基準自体の精緻化も可能となる。さらに、個人情報を保護しながら、対象患者の医療機関への集積状況が分かるようになれば、試験参加者登録を推進する強力な打ち手となる。

次に、DCT について述べる。DCT を構成する要素技術には eConsent、オンライン診療、治験使用薬の DtP および eSource 等が含まれる（第 3.2 項参照）。COVID-19 の感染拡大で来院に依存しない手段として DCT は注目を集め、2021 年時点で 80%以上のグローバル製薬企業が臨床試験にオンライン診療や eConsent, DtP 等、DCT の何らかの要素を取り入れていた⁵⁹。eConsent については、日本でも PMDA からガイダンスが出されており、がん領域でオンライン治験も開始されている²⁸。⁶⁰。DCT を推進する技術や環境は徐々に整ってきており、DCT の取り組みが増加していくものとする。今後、さらに経験を蓄積し改善を重ねていくことで、臨床試験参加者の来院負担の軽減と多様な患者への臨床試験参加の機会提供、臨床開発のスピード向上等が期待できる。

最後に、dBM について展望を述べる。将来的にはさらなるセンサー技術等の進歩により、dBM によってあらゆる生体シグナルや身体活動の変化を多面的に捉えられるようになっていくと考え

られる。加えて、ウェアラブルデバイスやスマートデバイスによって、試験参加者から常時、連続的にデータ収集することができれば、従来変化を検出するのが困難であった臨床評価を補完する、あるいは代替する評価が可能になるかもしれない。疾患の特性に応じた精度が高い臨床評価ができれば、医薬品の新たな価値証明につながり臨床試験の成功確率の向上や試験参加者数の削減等も期待できる^{36,37}。

以上、AIを活用した臨床開発全般の業務変革、およびRWDやdBM等を活用した新たな臨床試験について展望を述べた。これらを下支えする要素技術は今後もますます進歩し、技術革新によってこれまで不可能とされてきたことが可能となることもあると考えられる。その機を逃さないように、革新的技術に対する情報感度を高めるとともに、臨床開発における重要な課題を常に意識し、ありたい将来像を構想しておくことが重要と考える。

6 おわりに

本資料では、「臨床開発における DX の現状と可能性」をテーマに、DX/デジタル化の取り組み事例とそれを推進していくうえでの問題点、そして、今後の可能性や展望等を整理した。

臨床開発において DX を成功させるには、組織内の協力、教育、リソースの配分、デジタルリテラシーの向上、そして経営層を巻き込んだ強力な推進体制等、社内での包括的な戦略が必要であると考えられた。これらに加え、医療機関、規制当局および患者を含めた社外のステークホルダーと DX に対する理解・協力が得られるように連携を模索していくことも必要であると考えられた。

競争上の優位性を確立していくにあたって、製薬企業では多くの投資が必要であり、課題も多い。投資利益率 (Return on Investment: ROI) の向上が求められる中、デジタル技術による業務プロセスやサービスの変革、すなわち DX に取り組むことがより重要となってくる。これにより、飛躍的な生産性の向上や革新的な医薬品および治療ソリューションの創出が期待される。本資料が、多くの製薬企業にとって医薬品開発における DX 推進の一助となることを期待したい。

参考文献

- 1 Goldman Sachs Economics Research. The Potentially Large Effects of Artificial Intelligence on Economic Growth (Briggs/Kodnani). (2023/3/26) [https://www.key4biz.it/wp-content/uploads/2023/03/Global-Economics-Analyst -The-Potentially-Large-Effects-of-Artificial-Intelligence-on-Economic-Growth-Briggs_Kodnani.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 2 厚生労働省. 医薬品産業ビジョン 2021 資料編. [<https://www.mhlw.go.jp/content/10800000/000831974.pdf>] (Accessed Mar 2024)
- 3 Askin S, et al. Artificial Intelligence Applied to Clinical Trials: Opportunities and Challenges. Health Technol. 2023,13(2), 203-213. [https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC9974218/pdf/12553_2023_Article_738.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 4 経済産業省. デジタルガバナンス・コード 2.0. 2022/8/13 [https://www.meti.go.jp/policy/it_policy/investment/dgc/dgc2.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 5 高田洋平. DX (デジタルトランスフォーメーション) とは?今さら聞けない意味・定義・事例をわかりやすく解説【2024年最新版】. 2024/1/18 [https://www.brainpad.co.jp/doors/news_trend/dx_it/] (Accessed Mar 2024)
- 6 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 データサイエンス部会. タスクフォース 6. AI ってなに? (2019年5月) [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc000000c5ee-att/what_is_ai.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 7 田辺三菱製薬他. 日立製作所. 田辺三菱製薬と日立が、AI 技術を活用し新薬開発における臨床試験の効率化に向けて協創を開始—臨床試験の期間短縮と開発コスト削減、新薬開発の成功確率向上を目指す. 2018/3/26. [<https://www.hitachi.co.jp/New/cnews/month/2018/03/0326a.html>] (Accessed Feb 2024)
- 8 高田篤史ら. 消費財とサイエンスの融合、製薬メーカーの DX、難局を超え、提供価値を高めるデータ活用. 知的資産創造. 2022年3月号. P46-67. [<https://www.nri.com/jp/knowledge/publication/cc/chitekishisan/1st/2022/03/06>] (Accessed Feb 2024)
- 9 NTT DATA ニュース. 中外製薬と NTT データ、AI 技術を活用した治験効率化ソリューションの実証を完了～治験関連文書の作成支援および後続プロセスへのシームレスなデータ連携～. 2020/9/9. [<https://www.nttdata.com/global/ja/news/release/2020/090901/>] (Accessed Feb 2024)
- 10 Carrigan G. Using Electronic Health Records to Derive Control Arms for Early Phase Single-Arm Lung Cancer Trials: Proof-of-Concept in Randomized Controlled Trials. Clin Pharmacol Ther. 2020, 107(2), 369-377. [<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31350853/>] (Accessed Feb 2024)
- 11 EDNET Japan プレスリリース: メディデータ Synthetic Control Arm[®] メディセンナ・セラピューテイクス社の再発膠芽腫の第 III 相臨床試験における使用を FDA が支持. 2020/11/25. [<https://japan.zdnet.com/release/30496605/>] (Accessed Feb 2024)
- 12 Myeloma Research News. GNS Healthcare Launches Computer Model of Disease Progression, Treatment Responses in Myeloma. 2020/7/17. [<https://myelomaresearchnews.com/news/gns-healthcare-launches-computer-model-of-disease-progression-treatment-responses-in-myeloma/>] (Accessed Feb 2024)
- 13 Bellerophon Therapeutics ニュースリリース. Bellerophon Announces FDA Acceptance of Change to Ongoing Phase 3 REBUILD Study of INOpulse[®] for Treatment of Fibrotic Interstitial Lung Disease. 2022/9/27 [<https://www.globenewswire.com/news-release/2022/09/27/2523327/0/en/Bellerophon-Announces-FDA-Acceptance-of-Change-to-Ongoing-Phase-3-REBUILD-Study-of-INOpulse-for-Treatment-of-Fibrotic-Interstitial-Lung-Disease.html>] (Accessed Feb 2024)
- 14 BRIDGE ニュース: AI 創薬の Insilico Medicine, ジェネレーティブ AI で臨床試験の第 II 相から第 III 相の予測に成功. (2023年8月) [<https://thebridge.jp/2023/08/insilico-medicines-generative-ai-tool-in-clinico-demonstrates-high-accuracy-in-predicting-clinical-trial-outcomes>] (Accessed Feb 2024)
- 15 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 臨床評価部会. モニタリングの効率化に関する提言. (2013年4月) [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000007dp0-att/monitoring_02_01.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 16 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 データサイエンス部会. eSource (DDC 及び EHR) の概要及び導入時の留意事項. (2020年3月) [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005lin-att/esource_ddc-and-ehr.pdf] (Accessed Mar 2024)

- 17 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 データサイエンス部会. センtralモニタリング Risk Indicator と Fraud Detection に関する実態調査. (2020 年 12 月)
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000089yu-att/central-monitoring_1.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 18 3H medi solutions 被験者募集・治験広告サービス[<https://3h-ms.co.jp/recruitmentlp>] (Accessed Mar 2024)
- 19 MDV 治験・臨床研究での診療データ利活用を強力に推進へ 臨床試験事業部を新設. 2022/11/14
[https://www.mdv.co.jp/press/2022/detail_1890.html] (Accessed Mar 2024)
- 20 Medidata Solutions. 試験計画から上市まで. ファクトシート～ Medidata AI - 可能性を追求する
[<https://view.highspot.com/viewer/6374428c4ea82b43546b6e2f>] (Accessed Mar 2024)
- 21 Verily. Otsuka and Verily Expand Collaboration on Novel Clinical Trials Solutions to Accelerate Research in Major Depressive Disorder. Press Release. 2023/2/1
[<https://verily.com/perspectives/otsuka-and-verily-expand-collaboration-on-novel-clinical-trials-solutions-to-accelerate-research-in-major-depressive-disorder>] (Accessed Mar 2024)
- 22 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 臨床評価部会. タスクフォース 3. 医療機関への来院に依存しない臨床試験手法の活用に向けた検討 - 日本での導入の手引き-. (2021 年 7 月)
[<https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc000000kuj-att/pdf-dct-02-01.pdf>]
(Accessed Mar 2024)
- 23 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 データサイエンス部会. タスクフォース 1. DCT におけるデータの流れとその信頼性確保. (2022 年 8 月)
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/gbkspa00000017ol-att/DS_202208_DCT_f01.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 24 Medidata Solutions. Rave RTSM Direct-to-Patient (患者への治験薬の直接配送) .
[https://www.medidata.com/wp-content/uploads/2021/11/JP_RTSM-Direct-to-Patient-Fact-Sheet-Mar-21.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 25 Marken's Direct-to-Patient Clinical Trial Services Expand to Meet Needs of the Industry During Coronavirus Pandemic, Marken's News & Updates. 2020/4/9 [<https://www.marken.com/markens-direct-to-patient-services-expand-to-meet-needs-of-clinical-trial-industry-during-coronavirus-pandemic/>] (Accessed Mar 2024)
- 26 Nguyen Thanh Tam, et al. Participants' understanding of informed consent in clinical trials over three decades: systematic review and meta-analysis. Bull World Health Organ 2015;93:186–198H
[<https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/271665/PMC4371493.pdf?sequence=1&isAllowed=y>](Accessed Mar 2024)
- 27 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 臨床評価部会. 医療機関への来院に依存しない臨床試験手法の導入及び活用に向けた検討. (2020 年 9 月)
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005jr6-att/tf3-cdt_00.pdf]
(Accessed Mar 2024)
- 28 国立がん研究センター. 希少がんに対するオンライン治験を開始. 2023/6/27
[https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2023/0627_1/index.html] (Accessed Mar 2024)
- 29 MICIN. 塩野義製薬と複数の領域で分散型治験 (Decentralized Clinical Trial: DCT) を実施. 同社プレスリリース. 2023/8/30. [<https://micin.jp/news/10796>] (Accessed Mar 2024)
- 30 愛知がんセンター. かかりつけ病院と協力して患者さんとオンライン診療を行う完全リモート治験を開始. 同センタープレスリリース. [<https://cancer-c.pref.aichi.jp/uploaded/attachment/1206.pdf>]
(Accessed Mar 2024)
- 31 Guidance for Industry Electronic Source Data in Clinical Investigations September 2013 U.S. Department of Health and Human Services Food and Drug Administration. [<https://www.fda.gov/media/85183/download>]
(Accessed Mar 2024)
- 32 EdKellar, et al. Optimizing the Use of Electronic Data Sources in Clinical Trials: The Landscape, Part 1. Therapeutic Innovation Regulatory Science 2016, Vol.50(6) 682-696.
[<https://link.springer.com/article/10.1177/2168479016670689>] (Accessed Mar 2024)
- 33 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 データサイエンス部会. タスクフォース 1. DDC/EHR データ連携の現状と課題 (2022 年 8 月)
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/gbkspa0000001j8j-att/DS_202208_DDC_EHR_b.pdf] (Accessed Mar 2024)

- 34 サスメド株式会社. ブロックチェーン技術を用いて臨床試験を効率化. 同社プレスリリース 2020/12/7. [https://susmed.co.jp/wp-content/uploads/2020/12/a2aedf_de1e916c46024d6db66a7c30255fc80d.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 35 MICIN. eSource を活用した臨床試験データ管理の取り組みを中外製薬と共同で実施. 同社プレスリリース. 2022/11/10. [<https://micin.jp/news/8953>] (Accessed Mar 2024)
- 36 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 臨床評価部会. タスクフォース 1. 医薬品開発におけるデジタルバイオマーカー (dBM) の利活用と要件 (2022 年 4 月) [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/rfcmr0000000216e-att/digital_biomarker_202204.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 37 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 臨床評価部会 タスクフォース 1. 医薬品開発におけるデジタルバイオマーカー (dBM) の活用意義と実務の手順. (2023 年 6 月) [https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/g75una0000002by1-att/CL_202306_TF1_3_dBM.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 38 米・バイオジェン. アップルウォッチ/iPhone を活用した認知機能のデジタルバイオマーカー開発へ 2021/1/21. [<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=70494>] (Accessed Mar 2024)
- 39 アキュリスファーマ. アキュリスファーマと Four H が睡眠関連疾患において ウェアラブルデバイスを活用した探索的研究で協業を開始. 2023/1/24. [<https://aculys.com/ja/news/20230124-245/>] (Accessed Mar 2024)
- 40 Medidata. Innovations in Clinical Trial Imaging – 2020 and Beyond. [https://www.medidata.com/wp-content/uploads/2020/08/Innovations-in-Clinical-Trial_White-Paper-Aug-20-2.pdf] (Accessed Mar 2024)
- 41 Ali Ezzati, et al. Lipton, and Alzheimer’s Disease Neuroimaging Initiative, Machine Learning Predictive Models Can Improve Efficacy of Clinical Trials for Alzheimer’s Disease, J Alzheimers Dis. 2020; 74(1): 55–63. doi: 10.3233/JAD-190822 [<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7201366/pdf/nihms-1580948.pdf>] (Accessed Mar 2024)
- 42 Durán CO, et al., Implementation of digital health technology in clinical trials: the 6R framework, Nature Medicine volume 29, pages2693–2697 (2023) [<https://www.nature.com/articles/s41591-023-02489-z>] (Accessed Mar 2024)
- 43 Marco Cascella, et.al, Artificial Intelligence for Automatic Pain Assessment: Research Methods and Perspectives, Pain Res Manag. 2023; 2023: 6018736. [<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC10322534/pdf/PRM2023-6018736.pdf>] (Accessed Mar 2024)
- 44 株式会社電通デジタル. 世界初となる「Web カメラを利用した連続的な表情分析システムによるリモートワーカーのメンタルヘルス研究」を産学共同で開始. 2023/3/28. [<https://www.dentsudigital.co.jp/news/release/services/2023-0328-000080>] (Accessed Mar 2024)
- 45 坪井謙之介ら. 服薬アドヒアランスに影響を及ぼす患者の意識調査, 医療薬学, 2012, vol.38, no.8, p.522-533. [https://www.jstage.jst.go.jp/article/jjphcs/38/8/38_522/_pdf/-char/ja] (Accessed Mar 2024)
- 46 Babel A, et al. Artificial Intelligence Solutions to Increase Medication Adherence in Patients With Non-communicable Diseases, Front. Digit. Health, 2021, vol.3, article 669869. [<https://www.frontiersin.org/journals/digital-health/articles/10.3389/fgth.2021.669869/full>] (Accessed Mar 2024)
- 47 Science 37 and AiCure Collaborate to Enhance Virtual Clinical Trials. [<https://www.appliedclinicaltrials.com/view/science-37-and-aicure-partner-enhance-virtual-clinical-trials-0>] (Accessed Mar 2024)
- 48 By Design: How Default Permissions on Microsoft Power Apps Exposed Millions (2021/8/23) [<https://www.upguard.com/breaches/power-apps>] (Accessed Mar 2024)
- 49 NTT データニュース. NTT データ、治験使用薬の情報管理を支援するシステムを中外製薬へ提供. (2023/1/17) [https://www.nttdata.com/global/ja/news/services_info/2023/011700/] (Accessed Mar 2024)
- 50 シミックとサスメド、AI を用いたビッグデータ簡易解析ソリューションを提供開始. 2020/1/27. [<https://kyodonewsprwire.jp/release/202001095548>] (Accessed Mar 2024)
- 51 塩野義製薬と SAS による医薬品業界の DX 推進に向けたデータ解析コンサルティングサービスの開始について. 2022/9/29. [<https://www.shionogi.com/jp/ja/news/2022/09/20220929.html>] (Accessed Mar 2024)
- 52 日本コムシンク株式会社. 製薬業界の文書管理・承認申請業務の DX 化を強力に推進するソリューションを提供. 2023/9/28. [<https://prtimes.jp/main/html/rd/p/000000011.000100306.html>] (Accessed Mar 2024)

- 2024)
- 53 文書間の不一致箇所の検出を高速化. [<https://rodanius.jp/cloud/>] (Accessed Mar 2024)
 - 54 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会. 臨床評価部会 タスクフォース 1. 製薬企業における疾患レジストリの利活用と患者参画型レジストリの動向. (2021 年 4 月)
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/lofurc0000005itt-att/bd_rwd_202105-3.pdf] (Accessed Mar 2024)
 - 55 内閣府健康・医療戦略推進事務局. 「次世代医療基盤法」とは. (2022 年 10 月)
[<https://www8.cao.go.jp/iryuu/gaiyou/pdf/seidonogaiyou.pdf>] (Accessed Mar 2024)
 - 56 内閣府健康・医療戦略推進事務局. 改正次世代医療基盤法について. 第 11 回健康・医療データ利活用基盤協議会 (2023 年 12 月)
[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryuu/data_rikatsuyuu/dai11/sankou2.pdf] (Accessed Mar 2024)
 - 57 厚生労働省. データヘルス改革の進捗状況等について. (2022 年 3 月).
[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryuu/data_rikatsuyuu/dai5/siryuu2.pdf] (Accessed Mar 2024)
 - 58 厚生労働省. これまでの議論について医療 DX の議論を踏まえた整理. 2023 年.
[<https://www.mhlw.go.jp/content/10808000/001069433.pdf>] (Accessed Mar 2024)
 - 59 IQVIA . Digital Health Trends 2021 Innovation, evidence, regulation and adoption (2021 年 7 月)
[<https://cens.cl/wp-content/uploads/2022/02/Biblio-iqvia-institute-digital-health-trends-2021.pdf>] (Accessed Mar 2024)
 - 60 厚生労働省. 治験及び製造販売後臨床試験における電磁的方法を用いた説明及び同意に関する留意点について. (2023 年 3 月 30 日) [<https://www.pmda.go.jp/files/000251967.pdf>] (Accessed Mar 2024)

臨床評価部会 2023年度 タスクフォース1

医薬品開発におけるDXおよびデジタルヘルス活用に向けた研究

○：本資料の作成メンバー

	中外製薬株式会社	川畑 宣勲	(リーダー)
○	日本新薬株式会社	塩田 直樹	(サブリーダー)
	杏林製薬株式会社	山田 真一	(サブリーダー)
	武田薬品工業株式会社	遠藤 徹也	(サブリーダー)
○	アステラス製薬株式会社	船津 敏之	
○	アストラゼネカ株式会社	神田 茂孝	
○	アッヴィ合同会社	小串 健太郎	
	EA ファーマ株式会社	田村 大樹	
	エーザイ株式会社	吉田 昌代	(~2023年9月)
○	エーザイ株式会社	渡邊 一祥	(2023年10月~)
○	大塚製薬株式会社	川又 健一郎	
	協和キリン株式会社	名生 賢介	
○	第一三共株式会社	福間 明子	
○	東レ株式会社	小林 俊介	
○	ノバルティスファーマ	三浦 亮一	
○	バイエル薬品株式会社	藤田 育子	
	ファイザーR&D 合同会社	和田 信介	

監修

部会長	松澤 寛	アステラス製薬株式会社
担当		
副部会長	田畑 智之	EA ファーマ株式会社
推進委員	石井 学	田辺三菱製薬株式会社

以上の資料作成に当たり、医薬品評価委員会佐野副委員長ならびに本資料の査読を実施頂いた諸氏に感謝いたします。

別添 1：医薬品開発における DX/デジタル化の事例

目次

1 創薬.....	2
2 非臨床.....	6
3 臨床開発戦略の策定.....	8
4 臨床試験の実施.....	11
5 臨床試験データの解析.....	17
6 製造販売承認申請.....	18
7 生産、製造販売承認後.....	19

1 創薬

創薬の段階では、重要な標的分子の同定、標的に作用しうる薬剤候補分子の探索、リード最適化（化合物候補からの最適な化合物選択）等が行われる。そこでの課題として、疾患の発症機序や病態の解明、新しい発想の治療アプローチ、承認可能性の向上（有望な選択肢の推定、結果の予測）、期間短縮、コスト削減、業務効率化などが挙げられる。それらの課題に取り組むために、AI 技術などのデジタル技術が活用されている。創薬においては、AI 活用により大幅な期間短縮に成功した事例やこれまでにない新規創薬ターゲットの発見などがいくつか報告されており、質的变化が起こっている。なお、製薬企業の事例の多くは、AI 系ベンチャー、IT 企業、アカデミア、および他の製薬企業などとの協業を行っており、「他者の強みの活用」「他者との費用分担」をしているともいえる。

表 1 創薬における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI 創薬プラットフォーム	武田薬品工業、インテージヘルスケア、理論創薬研究所、アフィニティサイエンス ¹ (2019)	AI 創薬プラットフォーム「Deep-Quartet」の共同検証プロジェクトを開始した。
AI を用いたリード候補化合物、作用機序、有効性及び安全性予測	小野薬品工業、twoXAR (2019) ²	小野薬品工業と twoXAR は独自の人工知能技術を活用した神経疾患における治療薬の創製を目的とした研究提携契約を締結した。独自の人工知能技術を用いることでリード候補化合物とその作用機序・有効性・安全性を予測する。
AI を用いた候補化合物の特定	Deep Genomics ^{3,4} (2019)	カナダと米国を拠点としてデジタルを駆使した遺伝子治療薬開発に取り組むベンチャー Deep Genomics は、AI を用いて、ウィルソン病という未解決疾患の新規ターゲットの発見からリード候補化合物の特定まで通常 2～3 年かかるところを、わずか 1 年半で完了させた。

1 株式会社インテージヘルスケア、株式会社理論創薬研究所、株式会社アフィニティサイエンス、武田薬品工業と AI 創薬プラットフォーム「Deep-Quartet」の共同検証プロジェクトを開始。2019/12/19. [https://www.intage-healthcare.co.jp/wp-content/uploads/2019/12/intage_healthcare_release_20191219.pdf] (Accessed Feb 2024)

2 小野薬品工業株式会社。米国 twoXAR 社と研究提携契約を締結。2019/3/18 [https://www.ono-pharma.com/sites/default/files/ja/news/press/n19_0318.pdf] (Accessed Feb 2024)

3 高田篤史ら。消費財とサイエンスの融合、製薬メーカーの DX、難局を超え、提供価値を高めるデータ活用。知的資産創造。2022 年 3 月号。P46-67。
[<https://www.nri.com/jp/knowledge/publication/cc/chitekishisan/1st/2022/03/06>] (Accessed Feb 2024)

4 Deep Genomics Nominates Industry's First AI-Discovered Therapeutic Candidate. 2019/9/25.
[<https://www.deepgenomics.com/news/deep-genomics-nominates-industrys-first-ai-discovered-therapeutic-candidate/>] (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI を用いたリード創出	Insilico Medicine ^{3, 5} (2019)	香港でデジタル創薬に取り組む Insilico Medicine は、通常 1.5 年ほどかかる候補化合物の生成からリード化合物への絞り込みを、わずか 21 日で実施することに成功した。化合物合成を経て 47 日目にはマウスでのバリデーションも確認できており、有効性・安全性の精度も高い。Pfizer、Glaxo Smith Kline、アステラス製薬といった大手製薬メーカーとの協業を重ねている。
AI を用いた遺伝子変異発見（新規発見）	IBM、京都大学 ⁶ (2020)	人工知能（IBM Watson）の活用により円錐角膜に関連する遺伝子変異を発見した。
AI を用いた探索研究	住友ファーマ、Exscentia ^{3, 7, 8} (2020)	AI を活用して創製した化合物「DSP-1181」の臨床試験を日本で開始した。これまで業界平均で 4 年半を要していた探索研究を、AI を使うことによって 1 年未満で完了することができた。Exscentia は、AI を使ってドラッグデザインを行っている会社で、提携先（2020 年 2 月現在）として、Bayer、Rallybio、Celgene、Roche、大日本住友製薬等がある。
AI を用いたドラッグリポジショニング	FRONTEO ^{3, 9} (2020)	AI を用いた COVID-19 の研究で、治療薬候補の選定に有効なメカニズムの解析に成功。既存薬から候補化合物を探索。
AI を用いたドラッグリポジショニング	理化学研究所 ^{3, 10} (2020)	理化学研究所のスーパーコンピュータ「富岳」は既存薬 2000 種以上を 10 日間でスクリーニングし、実際に COVID-19 に対する治験が実施されている 12 種の化合物を含む複数の有望化合物を同定した。
AI を用いたドラッグリポジショニング	Eli Lilly ^{3, 11, 12, 13} (2020)	AI を用いて COVID-19 の感染の詳細なプロセスを解析し、そのプロセスを阻害する既存薬として、関節リウマチ治療薬であるバリシチニブを特定した。実際に薬理試験や臨床試験でも AI の予測結果が立証され、ウイルス発見からわずか 1 年後の 2020 年 11 月末に FDA 緊急使用許可の取得に至った。

5 A. Zhavoronkov et al. Deep learning enables rapid identification of potent DDRI kinase inhibitors. Nat Biotechnol. 2019, Sep, 37(9), 1038-1040. [<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31477924/>] (Accessed Feb 2024)

6 京都大学. 人工知能（IBM Watson）の活用により円錐角膜に関連する遺伝子変異を発見. 2020/8/3. [https://www.kyoto-u.ac.jp/sites/default/files/embed/jaresearchresearch_results2020documents200731_301.pdf] (Accessed Feb 2024)

7 Answer News : 世界初の臨床試験開始「AI 使った創薬は実用段階に」. 2020/2/19. [<https://answers.ten-navi.com/pharmanews/17801/>] (Accessed Feb 2024)

8 住友ファーマプレスリリース : 大日本住友製薬と Exscentia Ltd. の共同研究. 人工知能（AI）を活用して創薬された新薬候補化合物のフェーズ 1 試験を開始. 2020/1/30. [<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20200130.html>] (Accessed Feb 2024)

9 FRONTEO プレスリリース : 「FRONTEO、AI を用いた新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の研究で、候補薬候補の選定に有効なメカニズムの解析に成功」. 2020/4/24. [<https://www.fronteo.com/20200424>] (Accessed Feb 2024)

10 奥野恭史. スーパーコンピュータ『富岳』による COVID-19 治療薬探索 2020 年. [https://www.hpci-office.jp/materials/keynote01_okuno.pdf] (Accessed Mar 2024)

11 Richardson. Baricitinib as potential treatment for 2019-nCoV acute respiratory disease. Lancet. 2020, 395, 10223. [[Baricitinib as potential treatment for 2019-nCoV acute respiratory disease - PubMed \(nih.gov\)](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/32327434/)] (Accessed Feb 2024)

12 Stebbing. Mechanism of baricitinib sub-ports artificial intelligence-predicted testing in COVID-19 patients. EMBO Mol Med. 2020, 12(8), e12697. [<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7300657/pdf/EMMM-12-e12697.pdf>] (Accessed Feb 2024)

13 糖尿病リソースガイド. 【新型コロナ】関節リウマチ治療薬「バリシチニブ」の COVID-19 入院患者の治療を目的とした緊急使用許可を FDA が発令. 2020/11/17. [<https://dm-rg.net/news/2020/11/020575.html>] (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI を用いた安定構造探索	ペプチドリーム、富士通 ^{3, 14} (2020)	組み合わせ最適化問題を解く量子コンピューティング技術「デジタルアニーラ」を活用し、環状ペプチド化合物の安定構造の探索をわずか 12 時間以内で実施した。化合物最適化は通常 2 年ほどかかるため、非常に大きな成果といえる。従来の方法で実施した結果とほぼ同等の結果であり、精度の高さも確認されている。
AI を活用した活性予測・化合物構造生成・逆合成解析	Elix、アステラス製薬 ¹⁵ (2020)	ディープラーニング・ML に特化したテクノロジー企業の Elix は、AI を活用した活性予測・化合物構造生成・逆合成解析のためのアルゴリズム開発を目的とし、アステラス製薬と共同研究を 2020 年 7 月より開始。
AI を用いた解析	HACARUS、田辺三菱製薬 ¹⁶ (2021)	田辺三菱製薬は、これまで大阪大学と共同でディープラーニングによる薬物スクリーニング用 AI 技術を研究し、大規模な画像を用いた薬物評価を可能とした。今回さらに HACARUS が持つ独自の AI 技術の活用により以下の課題を解決し、新しい薬物スクリーニング用 AI 技術を構築した。 <ul style="list-style-type: none"> ● スパースモデリングを活用することにより、「計算リソースの大規模化」を解消し、一薬物当たり 15~40 分かかっていた解析時間を、約 16 秒まで短縮した。 ● スパース構造学習によって、薬物投与の影響を受けた画像特徴量を推定することで説明可能となり、「AI のブラックボックス化」を回避した。
AI と HPC で創薬研究を活性化	NVIDIA、三井物産 ¹⁷ (2023)	NVIDIA は、三井物産と協業し、高解像度分子動力学シミュレーションやジェネレーティブ AI モデルなど、創薬を加速するテクノロジーで日本の製薬業界をさらに発展させるためのイニシアチブである Tokyo-1 を推進することを発表した。すでに、日本の複数の大手製薬会社（アステラス製薬、第一三共、小野薬品工業）が、Tokyo-1 を使って創薬プロジェクトを前進させる予定である。

14 富士通、ペプチドリームプレスリリース：富士通とペプチドリーム、高速かつ高精度に中分子医薬品候補化合物の探索を実現-『デジタルアニーラ』の活用で創薬プロセスの大幅な短縮を目指す。2020/10/13. [<https://pr.fujitsu.com/jp/news/2020/10/13.html>] (Accessed Feb 2024)

15 PROTIMES プレスリリース：Elix、アステラス製薬と AI を活用した共同研究を開始ー目標は AI を用いた活性予測・化合物構造生成・逆合成解析を行うアルゴリズムの開発。2020/8/6. [<https://www.elix-inc.com/jp/news/newsrelease/730/>] (Accessed Feb 2024)

16 田辺三菱製薬ニュースリリース：データ駆動型創薬の加速化をめざし薬物スクリーニング用 AI 技術を構築。2021/5/25. [<https://www.mt-pharma.co.jp/news/2021/MTPC210525.html>] (Accessed Feb 2024)

17 PROTIMES プレスリリース：三井物産と NVIDIA、日本の創薬を変革するためのスーパーコンピューター、Tokyo-1 を発表ー主要な製薬会社が NVIDIA DGX 搭載の Tokyo-1 で、ジェネレーティブ AI モデル等の開発を加速。2023/3/22 [<https://prtimes.jp/main/html/rd/p/000000357.000012662.html>] (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI×量子コンピューター×バイオ	IBM、Moderna ¹⁸ (2023)	Moderna は、mRNA 技術を加速させるため、量子コンピューターや AI などの次世代技術の利用を探る協力協定を米 IT 大手 IBM と締結した。Moderna は IBM の商用量子コンピューティングのプログラム「IBM Quantum Accelerator program」と「IBM Quantum Network」に参加、量子コンピューティングシステムへアクセスし、新しい mRNA ワクチンの開発や治療法を探る。また、IBM の AI モデル「MoLFormer」は、潜在的な mRNA 医薬品の特性を見つけ出すのに役立ち、両社は最先端の製剤と生成 AI を組み合わせて安全性と有効性を備えた mRNA 医薬品の設計を行う予定である。
超大規模バーチャルスクリーニング	アステラス製薬 ¹⁹ (2023)	より多くの化合物を対象に高速な計算を行い評価することで、良いヒット化合物を短期間で取得。これまでは社内サーバを用い、約 100 万個の化合物を対象に計算していた。より良いヒット化合物を取得するためには、数億個の化合物を対象とする必要があるものの、従来の環境では 1~2 年かかってしまい現実的ではなかった。そこで新たにクラウドコンピューティングと、結合しやすさを予測する AI を組み合わせ、数億個の化合物を対象にした計算が、最短 1~2 週間で完了できるようになった。
人×AI×ロボットを統合した Human-in-the-Loop 型の医薬品創製プラットフォーム	アステラス製薬 ¹⁹ (2023)	化合物の構造設計、合成、その化合物の薬理作用などを評価、解析し、その結果から次のより良い化合物の構造を設計する DMTA サイクルに AI とロボットを導入して加速化した。各工程は AI とロボットを活用して進め、要所で研究者がアイデアや総合的判断などの価値を加える仕組みとすることで、創薬スピードが飛躍的に向上。このプラットフォームによって、ヒット化合物から医薬品候補化合物取得までの期間を、従来に比べて最短で約 70%短縮。また、細胞や遺伝子などの新しいモダリティにもこのプラットフォームを活用するため、Mahol-A-Ba（まほらば）を薬理作用などの評価に導入する。
AI を用いたゲノム変異体解析、創薬標的発見	Databricks、Biogen ²⁰ (2023)	Biogen は、Databricks および DNAnexus との連携を通じて、オンプレミスのデータインフラを AWS のクラウドに移行した。これにより業務がシンプルになりデータの平均処理時間を短縮できた。また、Delta Lake を利用することで、これまで 70 万種類の変異体の処理に 2 週間を要していたところ、約 15 分で 200 万の変異体を処理できるように最適化した。DNAnexus と Databricks の組み合わせが、UK データバンクのデータの活用を可能にし、人間の寿命や神経症状に影響を与える蛋白切断型の変異体を含む遺伝子の同定という成果を生み出した。また、これらの発見は、2 つの創薬標的の同定と、アルツハイマー病やパーキンソン病といった神経変性疾患に関する新たな知見につながった。
AI を用いた情報収集	中外製薬 ²¹ (2023)	生成 AI「中外版 ChatGPT」の全社利用を開始。初期のユースケースでは論文の要約に生成 AI を活用し、研究開発（R&D）の業務効率や社員の生産性向上に活かす。

18 AAiF ニュース：「AI×量子コンピューター×バイオ」、モデルナと IBM が医薬品開発で提携. 2023/4/23. [<https://aaif.co.jp/archives/15237>] (Accessed Feb 2024)

19 アステラス製薬ホームページ：研究における DX. [<https://www.astellas.com/jp/innovation/dx-in-research>] (Accessed Feb 2024)

20 Databricks：導入事例「クラウド型 AI による疾患治療の高度化」. [<https://www.databricks.com/jp/customers/biogen>] (Accessed Feb 2024)

21 ミクス Online：中外製薬、「中外版 ChatGPT」全社利用を開始初期は論文要約、社内データ分析から“打ち手”立案に期待. 2023/10/2.

[<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=75422>] (Accessed Feb 2024)

2 非臨床

非臨床試験の段階では、薬物動態の検討・予測、標的組織への薬剤送達の最適化、毒性プロファイルの検討・予測などが行われる。そこでの課題として、承認可能性の向上（有望な選択肢の推定、結果の事前予測）があげられ、その課題への取り組みとして、AI 技術を活用した試験結果の予測、ヒトへの外挿性の予測が行われている。非臨床における DX/デジタル化の事例を表 2 に示す。大学、研究所、ベンチャー企業が、AI を活用した臨床試験結果予測、ヒトへの外挿可能性予測の検討を行っており、心毒性を回避できるような化合物の設計・提案に成功している事例もある。効果的な事例が増えていけば、医薬品開発における開発期間短縮、開発コスト削減、開発投資判断の向上につながることを期待される。

表 2 非臨床における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI を用いた心毒性予測	日本医療研究開発機構 (AMED)、理化学研究所 ^{1,2} (2018)	医薬品開発のノックアウトファクターとなる心毒性を予測する AI を開発した。心毒性を回避できるような化合物の構造の設計・提案にも成功している。
AI を用いた血液脳関門透過性予測	マカオ科学技術大学 ^{1,3} (2019)	公開されている臨床データを用いたディープラーニングを通じて、薬の分布経路として重要な血液脳関門における透過性を予測する技術を開発している。
AI を用いたヒトにおける結果予測	Karydo TherapeutiX、科学技術振興機構 (JST)、国際電気通信基礎技術研究所 (ATR) ^{1,4} (2020)	動物実験の結果からヒトにおける医薬品の効能・副作用を予測する AI システムを開発した。

1 高田篤史ら. 消費財とサイエンスの融合、製薬メーカーの DX、難局を超え、提供価値を高めるデータ活用. 知的資産創造. 2022 年 3 月号. P46-67.

[<https://www.nri.com/jp/knowledge/publication/cc/chitekishisan/1st/2022/03/06>] (Accessed Feb 2024)

2 本間光貴. MEDCHEM NEWS. ADMET 予測とそれを活用した新規構造提案 AI への展開. 2018, 28(4), 167-174.

[https://www.jstage.jst.go.jp/article/medchem/28/4/28_167/pdf-char/ja] (Accessed Feb 2024)

3 Miao. Improved Classification of Blood-Brain-Barrier Drugs Using Deep learning. Sci Rep. 2019, 9(1), 8802. [<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31217424/>] (Accessed Feb 2024)

4 Karydo TherapeutiX、科学技術振興機構 (JST)、国際電気通信基礎技術研究所 (ATR) プレスリリース：どんな薬のどんな副作用、効能でも予測できる人工知能 (AI) を開発ーバーチャル創薬、バーチャル治験への活用に期待. 2020 年 1 月 10 日. [https://www.atr.jp/topics/press_200110.html] (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI を用いたヒトにおける結果予測	イスラエル工科大学 ¹ (2022)	マウスでの実験結果について、ヒトにおいても同一の結果を予測するシステムを開発している。
AI を用いた肝毒性予測	Quris-AI、Merck ⁵ (2023)	臨床予測プラットフォームである Quris-AI は Merck との協働の拡大を発表した。最初の協働は従来の <i>in vitro</i> および <i>in vivo</i> のアプローチであった。Merck は今後、Quris-AI のプラットフォームの能力をさらに活用して、一連の新薬候補の肝毒性リスクを効率的に予測する。

5 時事通信ニュース：独メルクと協働を拡大＝クリス AI [GNW] . 2023/9/29. [<https://sp.m.jiji.com/article/show/3059910>] (Accessed Feb 2024)

3 臨床開発戦略の策定

臨床開発戦略の策定における DX/デジタル化の事例を表 3 に示す。

表 3 臨床開発戦略の策定における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
AI による情報収集	日立製作所、田辺三菱製薬 ^{1,2} (2018)	AI 技術を活用することで、熟練者のノウハウに依存していた従来の作業と比較して、情報収集の時間を約 70%短縮できることを確認するとともに、収集・整理されたデータの正確性も検証し、十分に活用できる見通しを得た。
AI を用いた文書作成支援	NTT DATA、中外製薬 (2020) ³	治験実施計画書をベースとしてその派生文書であるさまざまな治験関連文書を連鎖的・網羅的に生成する技術を開発し、文書作成にかかる時間を 40%~60%削減する実証実験を完了した。 <ul style="list-style-type: none"> 削減効果率は「同意説明文書」で平均 61%、「症例報告書 (blank)」で平均 40%であった。 両文書ともに、自動生成すべき部分の大部分を生成可能なことを確認でき、自動生成が難しいと予想される部分については、想定どおり削減効果率は低かった。 「症例報告書 (blank)」では自動生成後に症例報告書に適した形にするためのマニュアル作業が発生し、削減効果率低下の一因となった。
電子カルテデータを用いた外部対照群	Roche、中外製薬 ⁴ (2020)	進行性非小細胞肺癌を対象とした米国を含む国際共同治験 8 試験（11 件の対照群との比較）の結果と、米国電子カルテデータ（48856 例）を各試験の適格性基準でマッチングした外部対照群を、後ろ向きに比較した研究において、11 件中 10 件の比較で実際の治験結果と電子カルテによる RWD から得られた結果（HR [OS]）は同様であり、単群試験の外部対照群として使用できる可能性がある。1 試験では結果に違いが見られ、その要因として、治験対照群と合成対照群の間で、がんバイオマーカー陽性率を適切に揃えることができなかった可能性、試験参加者数の少なさ（マッチング被験薬群 47 例、マッチング治験対照群 54 例）が挙げられる。

1 田辺三菱製薬、日立製作所：田辺三菱製薬と日立が、AI 技術を活用し新薬開発における臨床試験の効率化に向けて協創を開始—臨床試験の期間短縮と開発コスト削減、新薬開発の成功確率向上を目指す。2018/3/26. [<https://www.hitachi.co.jp/New/cnews/month/2018/03/0326a.html>] (Accessed Feb 2024)

2 高田篤史ら。消費財とサイエンスの融合、製薬メーカーの DX、難局を超え、提供価値を高めるデータ活用。知的資産創造。2022 年 3 月号。P46-67. [<https://www.nri.com/jp/knowledge/publication/cc/chitekishisan/1st/2022/03/06>] (Accessed Feb 2024)

3 NTT DATA ニュース：中外製薬と NTT データ、AI 技術を活用した治験効率化ソリューションの実証を完了～治験関連文書の作成支援および後続プロセスへのシームレスなデータ連携～。2020/9/9. [<https://www.nttdata.com/global/ja/news/release/2020/090901/>] (Accessed Feb 2024)

4 Carrigan G. Using Electronic Health Records to Derive Control Arms for Early Phase Single-Arm Lung Cancer Trials: Proof-of-Concept in Randomized Controlled Trials. Clin Pharmacol Ther. 2020, 107(2), 369-377. [<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31350853/>] (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
合成対照群	Medidata、Medicenna Therapeutics ⁵ (2020)	FDA が Medicenna Therapeutics の再発膠芽腫の第III相試験における合成対照群（Medidata Synthetic Control Arm [®] ）の使用を支持した。この合成対照群は、第III相試験の試験参加者の人口統計学および疾患特性と一致するように、過去の臨床試験データをもとに形成されている。
合成対照群	Celsion、Medidata ^{6, 7} (2020) (2023)	Celsion と Medidata は、Medidata が提供する合成対照群の患者データと、既に完了した第Ib 相用量漸増型 OVATION I 試験結果を比較したところ、ステージIII/IVの卵巣がん患者を対象とした GEN-1 投与による無増悪生存期間において肯定的な結果が得られたと発表した。第II相試験では、部分的に合成対照群を用いていく予定である。
デジタルツイン（患者をデジタル上で正確に再現した仮想モデル）の作成	GNS Healthcare ⁸ (2020) ※複数のバイオ医薬品会社、 学術医療センター、MMRF （多発性骨髄腫研究財団）が 協力	多発性骨髄腫について in silico で個々の患者の反応を予測する Gemini と呼ばれるプログラムである。特定の治療法に反応する可能性が最も高いまたは最も低い個人を特定し、臨床試験計画の最適化に役立つ可能性がある。
主要評価項目に dBM を設定	EMA ⁹ (2021)	デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する第 III 相試験において、主要評価項目にデジタルバイオマーカー（磁気慣性センサーが内蔵されたウェアラブルデバイスによって測定された歩行速度のうち上位 5%に相当する測定値：SV95C）を設定することで、従来の評価では 1 群 100 例以上を要する一方、SV95C による評価で必要とされる試験参加者数は 1 群 30 例程度と推定された。
主要評価項目に dBM を設定	Bellerophon Therapeutics ¹⁰ (2022)	間質性肺炎に対する第 III 相試験において、デジタルバイオマーカー（加速度センサーが内蔵されたウェアラブルデバイスによって測定された中高強度身体活動：MVPA）を、FDA と合意のうえ主要評価項目に設定し、検出力を維持したまま試験参加者数を 300 例から 140 例に削減した。

5 EDNET Japan プレスリリース：メディデータ Synthetic Control Arm[®]メディセンナ・セラピューティクス社の再発膠芽腫の第 III 相臨床試験における使用を FDA が支持。2020/11/25. [<https://japan.zdnet.com/release/30496605/>] (Accessed Feb 2024)

6 MEDIDATA プレスリリース：セルシオン of 進行性卵巣がんを対象とした OVATION 1 試験において、GEN-1 の無増悪生存期間での高い治療効果が示される ～メディデータの合成対照群で臨床プログラムを加速～。2020/4/1. [<https://www.medidata.com/jp/press-release/celsions-ovation-1-study-with-gen-1-in-ovarian-cancer-shows-strong-progression-free-survival-treatment-effect-utilizing-medidata-synthetic-control-arm-jp/>] (Accessed Feb 2024)

7 Yang. Historic Clinical Trial External Control Arm Provides Actionable GEN-1 Efficacy Estimate Before a Randomized Trial. JCO Clin Cancer Inform. 2023, 7, e2200103. [<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36608308/>] (Accessed Feb 2024)

8 Myeloma Research News. GNS Healthcare Launches Computer Model of Disease Progression, Treatment Responses in Myeloma. (2020/7/17) [<https://myelomaresearchnews.com/news/gns-healthcare-launches-computer-model-of-disease-progression-treatment-responses-in-myeloma/>] (Accessed Feb 2024)

9 Servais L, et al. First regulatory qualification of a novel digital endpoint in Duchenne Muscular Dystrophy: A multi-stakeholder perspective on the impact for patients and for drug development in neuromuscular diseases. Digital Biomark. 2021 Aug 5;5(2):183-190. [<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC8460979/pdf/dib-0005-0183.pdf>] (Accessed Feb 2024)

10 Bellerophon Therapeutics ニュースリリース. Bellerophon Announces FDA Acceptance of Change to Ongoing Phase 3 REBUILD Study of INOpulse[®] for Treatment of Fibrotic Interstitial Lung Disease. 2022/9/27. [[Bellerophon Announces FDA Acceptance of Change to Ongoing \(globenewswire.com\)](https://www.globenewswire.com/newsroom/2022/09/27/2538881)] (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
対照群に過去の臨床試験データを利用	ARCAD ^{11, 12} (2023)	進行再発大腸がん臨床試験の世界的統合データベースプロジェクト ARCAD（アルカド）のデータベースを用いた no placebo initiative。転移性結腸直腸がんを対象とした 59 治験 43,488 人のデータから、難治性で placebo 投与及びベストサポータティブケア（BSC）治療を受けた 1,673 人の pool データを合成対照群（synthetic control arm）として使える可能性を報告している。
生成 AI で臨床試験の第 II 相から第 III 相の成功確率を予測	Insilico Medicine ¹³ (2023) ※AI 創薬企業	独自の Transformer ベースの生成 AI ツール「inClinico」を使用して、第 II 相から第 III 相の臨床試験の結果を予測することに成功した。臨床段階では、有効性の欠如、安全性の懸念、疾患やデータの複雑さといった問題が原因で、医薬品開発の失敗の約 90% を占める。こうした失敗は、何兆ドルもの損失と何年もの労力の浪費につながる。この膨大な失敗率に対応するため、Insilico は臨床試験の結果を予測するジェネレーティブ AI ソフトウェアプラットフォーム inClinico を開発した。そのトレーニングデータには、過去 7 年間の 55600 以上のユニークな第 II 相臨床試験が含まれている。Insilico の研究者によって開発された臨床試験確率モデルは、測定可能な成果が入手可能な前向き検証セットで、実際の臨床試験と比較検証したところ、79% という驚異的な精度を示した。

11 国立研究開発法人国立がん研究センター：過去の臨床試験データをプラセボ投与の代替とする新たな新薬開発の仕組みを目指す～No Placebo Initiative～. 2023/10/5.

・ [\[https://www.ncc.go.jp/jp/information/researchtopics/2023/1005/index.html\]](https://www.ncc.go.jp/jp/information/researchtopics/2023/1005/index.html) (Accessed Feb 2024)

12 Yoshino T. A synthetic control arm for refractory metastatic colorectal cancer: the no placebo initiative. Nature Medicine. 2023, 29, 2389–2390. [\[https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37507606/\]](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37507606/) (Accessed Feb 2024)

13 BRIDGE ニュース：AI 創薬の Insilico Medicine、ジェネレーティブ AI で臨床試験の第 II 相から第 III 相の予測に成功. 2023 年 8 月.

[\[https://thebridge.jp/2023/08/insilico-medicines-generative-ai-tool-inclinico-demonstrates-high-accuracy-in-predicting-clinical-trial-outcomes\]](https://thebridge.jp/2023/08/insilico-medicines-generative-ai-tool-inclinico-demonstrates-high-accuracy-in-predicting-clinical-trial-outcomes) (Accessed Feb 2024)

4 臨床試験の実施

臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例を表 4 に示す。

表 4 臨床試験の実施における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
試験参加者の登録予測： AI を用いた登録予測	Medidata ¹ (2022)	競合治験実施状況の精査には膨大な時間を要するが、これに対し過去の臨床試験実績をもとに、アルゴリズムを用いて施設選定に重要な情報を提供することや、試験参加者の登録予測を立てることが可能であり、調査負荷の大幅な軽減が期待できる。
試験参加者の登録促進： サイトエンゲージメント のプラットフォーム	Otsuka/Verily ² (2023)	大塚製薬と Verily は、大うつ病性障害（MDD）を対象とした第 II 相臨床試験の全米の 55 実施医療機関において、Verily の Clinical Research Suite を使用し、MDD 患者の臨床試験の認識度およびアクセシビリティの向上に共同で取り組んでいる。Clinical Research Suite を通じた試験参加者募集により、試験参加者登録の期間短縮を可能とした。
試験参加者の登録促進： 非構造化データの AI マッピング	NTT DATA、Novartis、宮崎 大学 ³ (2021)	AI を用いた電子カルテ内の非構造化データ処理：がん患者さんの治療環境の向上を目的に、電子カルテ内の構造化データおよび非構造化データを利活用するための方法論的アプローチを、自然言語処理・ML などの AI 技術を活用して実証するための共同研究を実施している。
治験薬の DtP：治験薬管理 の効率化	Medidata ⁴ (2021)	Rave RTSM DtP（Randomization and Trial Supply Management Direct to Patient）により、スポンサーや CRO は、患者データの機密性を維持しながら、医薬品や医療機器の臨床試験のための DtP を管理するプラットフォームを提供した。治験使用薬交付がリクエストされると、指定された DtP 倉庫に出荷要求が出され、患者の自宅に治験薬が直接配送される。
治験薬の DtP：治験薬管理 の効率化	Marken ⁵ (2020)	患者への DtP および患者からの生物学的サンプル回収サービスを提供している。配送における温度完全監視で品質を保証しながら、配送場所に関係なく直接、治験薬の配送を実施可能とした。

1 Medidata Solutions. 「試験計画から上市まで」 Medidata ファクトシート～ Medidata AI - 可能性を追求する. [<https://view.highspot.com/viewer/6374428c4ea82b43546b6e2f>] (Accessed Mar 2024)

2 Verily. “Otsuka and Verily Expand Collaboration on Novel Clinical Trials Solutions to Accelerate Research in Major Depressive Disorder”. Press Release. Feb2023 [<https://verily.com/perspectives/otsuka-and-verily-expand-collaboration-on-novel-clinical-trials-solutions-to-accelerate-research-in-major-depressive-disorder>] (Accessed Mar 2024)

3 ノバルティス ファーマ. AI 技術などを用い、電子カルテシステムからのリアルワールドデータの抽出方法を検証. 2021/9/28. [https://www.novartis.com/jp-ja/sites/novartis_jp/files/2022-05/pr20210928.pdf] (Accessed Mar 2024)

4 Medidata Solutions. Rave RTSM Direct-to-Patient（患者への治験薬の直接配送）. [https://www.medidata.com/wp-content/uploads/2021/11/JP_RTSM-Direct-to-Patient-Fact-Sheet-Mar-21.pdf] (Accessed Mar 2024)

5 Marken’s Direct-to-Patient Clinical Trial Services Expand to Meet Needs of the Industry During Coronavirus Pandemic, Marken’s News & Updates. 2020/4/9 [<https://www.marken.com/markens-direct-to-patient-services-expand-to-meet-needs-of-clinical-trial-industry-during-coronavirus-pandemic/>] (Accessed Mar 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
eConsent：電子的なツールを用いたインフォームド・コンセント	Signant Health、IQVIA、Medidata、Veeva 他多数 ^{6,7}	電子的なツールを用いて試験内容を説明し、試験参加への同意を取得する eConsent システム・サービスが多くサービスプロバイダーから提供されている。eConsent に加え DCT 実施を支援する機能を備えたものもあり、個々の試験のニーズ・条件・環境に応じて選択が可能となってきた。試験の説明にアニメーションや音声の説明等を活用することで試験参加者の理解が深まり同意への納得性を高めるとともに、臨床試験中に遵守すべき事項の理解度を向上させることができると考えられる。また、版管理や同意取得状況の管理及び電子化による記録保管の利便性の改善も期待できる。
オンライン診療：オンライン治験による早期の治験完了、治験のコスト削減	国立がん研究センター ⁸ (2023)	希少がんを対象とした2つの医師主導治験でオンライン治験を開始し、これまで国立がん研究センター中央病院（東京）まで来院することが難しかった遠隔地在住の患者さんでも、オンライン臨床試験システムの導入で、近隣の医療機関を通じて治験へ参加することを可能とした。地方在住の患者さんの治験アクセスが劇的に改善するのみならず、患者登録スピードの加速による早期の治験完了、治験全体のコスト削減が期待される。
オンライン診療	愛知がんセンター ⁹ (2022)	従来対面診療で行っていた治験の診療をオンラインで実施、かかりつけ病院からの診療情報の事前提供で、初診からオンライン診療を可能とした。オンライン診療と、かかりつけ病院との連携、治療薬の自宅配送とを組み合わせることで、当院へ患者さんが一度も来院せず新薬の治験に参加する完全リモート治験を実現した。
eSource：データ収集・管理の効率化	MICIN ¹⁰ (2022)	DCT プラットフォーム「MiROHA」の eSource 機能を利用したデータ管理手法の検証を中外製薬と共同で実施した。eSource を EDC と連携させることで、より効率的な臨床試験データの収集・管理の可能性が示唆された。eSource は訪問看護とオンライン診療の組み合わせ等、様々な場面での活用を想定している。
オンライン診療	MICIN ¹¹ (2023)	塩野義製薬が複数の疾患領域で「MiROHA」のオンライン診療サービスを用いて DCT を実施している。自宅からオンラインで診療を受けられることで、来院頻度を減らし、試験参加者の負担軽減にもつながった。

6 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会電子化情報部会 タスクフォース 3. 医薬品開発における eConsent の現状と課題. (2022年3月25日)

[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/rfcmr00000001yip-att/current_status_and_Issues_202204.pdf]

7 日本製薬工業協会. 医薬品評価委員会 臨床評価部会. 医療機関への来院に依存しない臨床試験手法の導入及び活用に向けた検討 (2020年9月)

[<https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/dct.html>] (Accessed Mar 2024)

8 国立研究開発法人国立がん研究センター. 希少がんに対するオンライン治験を開始. 地域に居ながらにして中央病院が実施する医師主導治験へ参加することが可能に. 2023/6/27. [https://www.ncc.go.jp/jp/information/pr_release/2023/0627_1/index.html] (Accessed Mar 2024)

9 愛知県がんセンター. かかりつけ病院と協力して患者さんとオンライン診療を行う完全リモート治験を開始. [<https://cancer-c.pref.aichi.jp/uploaded/attachment/1206.pdf>] (Accessed Mar 2024)

10 MICIN. eSource を活用した臨床試験データ管理の取り組みを中外製薬と共同で実施. 2022/11/10. [<https://micin.jp/news/8953>] (Accessed Mar 2024)

11 MICIN. 塩野義製薬と複数の領域で分散型治験 (Decentralized Clinical Trial: DCT) を実施. 2023/8/30. [<https://micin.jp/news/10796>] (Accessed Mar 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
dBM による評価	Biofourmis ¹² (2020)	子宮内膜症患者の感じる疼痛を定量的に評価する臨床試験が報告されている。本試験ではウェアラブルデバイスにより皮膚電位、心拍数及びその変動などの複数の生理学的パラメータを客観的かつ持続的に収集し、これらのデータにアルゴリズム処理を施し疼痛に相当する指標として“Pain Index”を算出している。本試験の目的には、患者による疼痛評価と“Pain Index”の一致性など新規指標のバリデーションに関するものがあげられている。本事例は dBM を活用して、これまでにない新しい評価指標の開発を試みたものと考えられる。
dBM による評価	Biogen、Apple ¹³ (2021)	Apple Watch/iPhone を活用する認知機能のデジタルバイオマーカー開発に向けた新たなバーチャル研究を実施。軽度認知障害（MCI）では、初期兆候を特定するバイオマーカーが現在までに確立されておらず、早期診断・治療につながるものが期待される。主な目的は、認知機能の経時的変化を観察し、MCI の初期兆候を特定するのに役立つデジタルバイオマーカーを開発すること。対象には高齢者だけでなく、若年者も含めた多様な治験参加者を登録する。
dBM による評価	長寿医療研究センター、日立製作所、マクセル ¹⁴ (2023)	日本では認知症患者数が増加しており、社会的負担も大きくなっている。MCI は「もの忘れ」を主な症状とする認知症の前段階で、早期発見と介入が認知機能の低下を遅らせるために重要だが、MCI の早期検出は困難で、従来の診断には限界があった。日立製作所によって開発された磁気センサー型指タッピング装置（UB-2）は、指の運動機能を短期間かつ簡便に測定する装置で、認知症の患者で見られる脳内の電気活動の遅れを反映した指タッピング動作の異常を検知することが可能である。173 名が参加した臨床研究にて UB-2 を使い、MCI 患者と健常な高齢者の間で運動パターンの違いを評価したところ明確な運動パターンの違いが見られ、タッピング回数、間隔、間隔のばらつき、及びすみ回数などが統計的差異を示した。
dBM による評価	アキュリスファーマ ¹⁵ (2023)	ナルコレプシーと閉塞性睡眠時無呼吸症候群の患者を対象とした研究でウェアラブルデバイスを用いて患者の睡眠、活動、心拍などのデータを収集し睡眠に関する dBM の特定を目指す。睡眠の状態、日中の眠気のパターン、日中の眠気の発生予兆の検出などの客観的な理解により、適切な診断と治療、QOL や生産性の向上につながるものが期待される。

12 中外製薬と Biofourmis. デジタル技術による子宮内膜症に伴う痛みの評価法の確立を目指す. 2020/7/22. [https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20200722113000_999.html] (Accessed Mar 2024)

13 米・バイオジェン. アップルウォッチ/iPhone を活用した認知機能のデジタルバイオマーカー開発へ. 2021/1/21. [<https://www.mixonline.jp/tabid55.html?artid=70494>] (Accessed Mar 2024)

14 荒川直樹. 指タッピングの解析で目指す「認知症の芽」早期発見. 2023/1/18. [<https://project.nikkeibp.co.jp/behealth/atcl/feature/00003/121600292/>] (Accessed Mar 2024)

15 アキュリスファーマ. アキュリスファーマと Four H が睡眠関連疾患においてウェアラブルデバイスを活用した探索的研究で協業を開始. 2023/1/24. [<https://aculys.com/ja/news/20230124-245/>] (Accessed Mar 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
dBM による評価	Pfizer、Amazon Web Services ¹⁶ (2021)	ウェアラブルデバイス（センサー技術）及び指標化のアルゴリズムを活用し、パーキンソン病の振戦を8割以上の高精度で検出することに成功した。生活密着で持続的、客観定量的な評価（パーキンソン病の振戦を評価する試み）が可能となる。
モニタリング関連業務の効率化：ブロックチェーン技術を用いて SDV 作業削減	サスメド ¹⁷ (2020)	医療機関で取得する医療データを eワークシートと eCRF をブロックチェーン技術で結合させたシステム（サスメド特許技術）を活用することにより、データ照合作業の削減を実現。なお、ブロックチェーン技術を活用した SDV 代替が GCP 上で認められる旨は、既に厚労省及び経産省から認定を受けている。
画像情報に対する AI 活用	AstraZeneca ¹⁸ (2023)	在宅測定可能なスマートスパイロメーターによるデータ評価：臨床試験の副次評価項目として在宅でのスパイロメトリーを実施。取得されたフローボリューム曲線に対して AI による逐次品質管理を実施することで、欠測頻度が5%減少すると予測された。
画像情報に対する AI 活用	フェデリコ2世ナポリ大学 ¹⁹ (2023)	表情等をつかった痛みスコアの算出：表情や体位、言語といった身体的特性の他、皮膚電気活動や脳波、心拍数変動といった神経生理学に基づく痛みスコア算出の取り組みが紹介されている。
画像情報に対する AI 活用	電通デジタル ²⁰ (2023)	表情を使ったメンタルヘルス評価：リモートワークで使用する PC 搭載カメラや Web カメラによる表情分析を通じて、リモートワーカーの日々の感情推移を客観的に把握。従業員がパソコンに向かい通常業務をしている状態で、表情分析をする AI によってメンタルヘルス状態をレポートし、コンディション管理をサポートしている。
画像情報に対する AI 活用：データを含むソリューションスイートの導入	Boehringer Ingelheim ²¹ (2022)	DCT 実現を支援する Medidata 社のサービス導入し、電子的同意取得、電子臨床アウトカム評価や医療従事者とのビデオチャット機能などの DCT 機能のほか、国や地域を超えた横断的な患者のアクセス、組入、エンゲージメントの改善を行う。

16 Mahadevan, N., et al. Development of digital biomarkers for resting tremor and bradykinesia using a wrist-worn wearable device. npj Digit. Med. 3, Article number 5 (2020).

[<https://doi.org/10.1038/s41746-019-0217-7>] (Accessed Mar 2024)

17 サスメド. ブロックチェーン技術を用いて臨床試験を効率化. 2020/12/7. [<https://www.susmed.co.jp/news/post/180/>] (Accessed Feb 2024)

18 Durán CO, et. al., Implementation of digital health technology in clinical trials: the 6R framework, Nature Medicine volume 29, 2693–2697 (2023)

[<https://www.nature.com/articles/s41591-023-02489-z>] (Accessed Mar 2024)

19 Marco Cascella, et.al. Artificial Intelligence for Automatic Pain Assessment: Research Methods and Perspectives, Pain Res Manag. 2023; 2023: 6018736.

[<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC10322534/>] (Accessed Mar 2024)

20 株式会社電通デジタル. 世界初となる「Web カメラを利用した連続的な表情分析システムによるリモートワーカーのメンタルヘルス研究」を産学共同で開始. 2023/3/28.

[<https://www.dentsudigital.co.jp/news/release/services/2023-0328-000080>] (Accessed Mar 2024)

21 Dassault Systemes. Boehringer Ingelheim Extends the Use of Medidata Rave for Electronic Data Capture in Clinical Trials. 2022/10/27.

[<https://www.3ds.com/newsroom/press-releases/boehringer-ingelheim-extends-use-medidata-rave-electronic-data-capture-clinical-trials>] (Accessed Mar 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
画像情報に対する AI 活用：画像ソフトウェアの導入	TargTex ²² (2023)	グリオブラストーマ（膠芽腫）のパイプライン開発において、医用画像 AI ソフトウェアを導入した。治療初期段階における微細な変化や新規バイオマーカーの探索を目的に協業を行う。定常的に行われる MRI 評価では難しい真の病態進行を区別することで、臨床試験の推進とコストの削減が期待される。
デジタル技術を活用した治験参加者の服薬管理および有効性評価	Sciences37、AiCure ²³ (2020)	AiCure 社が提供する AI 服薬管理ツールを用いて DCT を実施する予定である。服薬管理ツールは服薬時間のリマインドを行うほか、カメラを用いて患者の顔識別から薬の種類や量のチェックまでをすべて AI が行い、適切な服薬が行われたかのレポートが提出される。また、本治験では、表情及び声質の変化に関する有効性評価も AI により行う DCT を計画している。
ノーコード・ローコード開発プラットフォームを用いた一元管理による業務効率化：治験使用薬情報管理システムを開発	中外製薬、NTT DATA ²⁴ (2023)	副作用等症例報告の観点で、管理範囲が他社品／市販品に及ぶこと、試験間で複雑に関係しあう情報を効率的に管理することを目的にノーコード・ローコード開発プラットフォームを活用し、治験使用薬情報に関連する業務の標準化・可視化・自動化を行った。ノーコード・ローコード技術の活用で、設計からテストまでの構築を 4.5 カ月の短期間で達成した他、一つのプラットフォームで情報・各種タスクの管理を行うことで、臨床開発部門、PV 部門、薬事部門にまたがって発生する各種業務の統一管理が可能となった。
認知症の診療支援に用いる神経心理検査用プログラム	大塚製薬、アイ・ブレインサイエンス ²⁵ (2023)	「ミレボ」はアイトラッキング技術を用いた神経心理検査用プログラムで、認知症の診療支援のために日本で初めて薬事承認を取得した。治験参加者はタブレット端末にインストールしたアプリを使用し、簡便に検査を実施できる。被検者は、画面に表示される質問に沿って正解の箇所を見つめることにより、認知機能レベルが自動的にスコア化される。臨床試験においても本プログラムによる検査スコアと認知症テストで知られる MMSE（ミニメンタルステート検査）の総合点における相関が認められたほか、検査者の負担軽減も確認された。認知症の早期診断に加え、臨床試験のスクリーニング等への活用が期待できる。

22 Targtex. Press Release – TargTex to partner with IAG to apply AI to assess the effects of a novel clinical candidate in Glioblastoma Patients. 2023/2/14.

[<https://targtex.com/press-release-targtex-to-partner-with-iag-to-apply-ai-to-assess-the-effects-of-a-novel-clinical-candidate-in-glioblastoma-patients/>] (Accessed Mar 2024)

23 Science 37 and AiCure Collaborate to Enhance Virtual Clinical Trials. 2020/4/30.

[<https://www.appliedclinicaltrials.com/view/science-37-and-aicure-partner-enhance-virtual-clinical-trials-0>] (Accessed Mar 2024)

24 NTT データニュース. NTT データ、治験使用薬の情報管理を支援するシステムを中外製薬へ提供. 2023/1/17. [https://www.nttdata.com/global/ja/news/services_info/2023/011700/] (Accessed Mar 2024)

25 大塚製薬. 日本初、認知症の診療支援に用いる神経心理検査用プログラム「ミレボ®」の製造販売承認取得について. 2023/11/8.

[https://www.otsuka.co.jp/company/newsreleases/2023/20231108_2.html] (Accessed Mar 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
フルリモート DCT プラットフォーム（eConsent、DtP、eCOA/ウェアラブルデバイス）の導入	国立がん研究センター ²⁶ （2023）	MASTER KEY プロジェクトでは、希少がんレジストリを構築し、希少がん薬剤開発を進めており、3,000 例以上の希少がん患者が登録され、27 の臨床試験を実施した。地方在住の患者にも参加しやすい DCT の導入に注力している。また、フルリモート型 DCT を導入し、地方在住の患者もパートナー施設で必要な検査を受けられるようにしている。さらに、国境を越えた DCT 活用を目指し、アジア圏などとの共同開発を模索している。

26 NTT データ. 【国立がん研究センター・モデルナ】モダリティドリブン時代の創薬 DX 最前線. 2023/9/1. <https://www.nttdata.com/jp/ja/data-insight/2023/0901/> (Accessed Mar 2024)

5 臨床試験データの解析

臨床試験データの解析における DX/デジタル化の事例を表 5 に示す。

表 5 臨床試験データの解析における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
解析プログラミングの自動化：データクレンジングからレポート生成までを自動化	シミック、サスメド ¹ (2020)	ビッグデータの解析において膨大な時間を要する欠測補完やデータの不均衡調整等のデータ前処理、データの探索的可視化、そして予測アルゴリズムの比較検証および解析結果のレポート生成などを自動化するテクノロジーを実装した。
解析プログラミングの自動化：SAS Viya の AI 機能の利用	塩野義製薬、SAS ² (2022)	ライフサイエンス&ヘルスケア向け DX スターターパックを提供した。両社が 2010 年代半ばから SAS の ML ツールを活用した人工知能技術による臨床試験解析のセミオートメーション化を検討してきたノウハウの提供にもなっている。

1 シミックとサスメド、AI を用いたビッグデータ簡易解析ソリューションを提供開始。2020/1/27. [<https://kyodonewsprwire.jp/release/202001095548>] (Accessed Mar 2024)

2 塩野義製薬プレスリリース。塩野義製薬と SAS による医薬品業界の DX 推進に向けたデータ解析コンサルティングサービスの開始について。2022/9/29.

[<https://www.shionogi.com/jp/ja/news/2022/09/20220929.html>] (Accessed Mar 2024)

6 製造販売承認申請

製造販売承認申請における DX/デジタル化の事例を表 6 に示す。

表 6 製造販売承認申請における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
申請資料作成支援:申請業務効率化ソフトウェア	日本コムシンク、ディビイ ^{1,2} (2023)	申請業務効率化ソフトウェア「QCDox」は、文書照合技術により、QC 対象文書と原文書を突合し、不一致候補および表記のゆれ候補を提示することができる。CTD 内の複数の文書の一貫性を横断的に照合することも可能である。

1 日本コムシンク. 製薬業界の文書管理・承認申請業務の DX 化を強力に推進するソリューションを提供. 2023/9/28. [<https://prtimes.jp/main/html/rd/p/000000011.000100306.html>] (Accessed Mar 2024)

2 文書間の不一致箇所の検出を高速化. [<https://rodanius.jp/cloud/#top>] (Accessed Mar 2024)

7 生産、製造販売承認後

生産および製造販売後における課題として、期間短縮、コスト削減、業務効率化、疾患啓発、早期発見、受診勧奨、服薬アドヒアランス向上などがあげられる。それらの課題への取り組みとして、全自動連続生産システムの構築、AIによる症状悪化予測、疾患リスク予測、受診勧奨、Internet of Things デバイスなどを活用した服薬管理疾患などが行われている。

生産、製造販売承認後における DX/デジタル化の事例を表 7 に示す。全自動連続生産システムでは、スケールアップを不要とする質的变化で、大幅なコスト削減および期間短縮を示した事例もあり、今後、拡大していくことが期待される。製造販売承認後では、患者の早期発見や服薬コンプライアンス向上などのサービスが既に提供されており、患者の治療に貢献しているといえる。

表 7 生産、製造販売承認後における DX/デジタル化の事例

事例	企業・団体（報告年）	詳細
全自動連続生産システム	Novartis、マサチューセッツ工科大学 ¹ (2023)	ノバルティスとマサチューセッツ工科大学は、共同研究によるパイロットプログラムにてスケールアップ不要の全自動連続生産システムを構築した。結果として、コストを 40%、リードタイムを 90%、CO2 排出量を 90%削減することに成功した。
個別製造管理・調節システム	TrakCel、Vineti ¹ (2023)	個別患者単位で再生医療等製品の管理を行うシステムとして「Cell Orchestration Platform」を開発。注文、患者からの細胞採取、生産と運送、投与と治療、治療後の経過観察というプロセス全体のデータをデジタル化し、個別患者に紐づけ統合することができる。
認知機能チェックアプリの提供	エーザイ ¹ (2023)	簡易的な脳の認知機能チェックが可能なアルゴリズムを開発し、その機能をアプリ・Web サービス上で提供し、認知症の疾患啓発を行っている。また、各ステークホルダー（保険会社、フィットネスクラブ、自動車メーカー、小売業、介護施設など）にサービスの一部をオープン機能として提供し、他業界を含む幅広いパートナーのリソースを活用しながら、認知症の受診勧奨が可能な潜在層へのリーチを拡大している。

1 高田篤史ら。消費財とサイエンスの融合、製薬メーカーの DX、難局を超え、提供価値を高めるデータ活用。知的資産創造。2022 年 3 月号。P46-67。
<https://www.nri.com/jp/knowledge/publication/cc/chitekishisan/1st/2022/03/06> (Accessed Feb 2024)

事例	企業・団体（報告年）	詳細
問診結果から特定疾患のリスクを抽出し、必要に応じて受診勧奨	Ubic（+製薬メーカー） ¹ （2023）	Ubic は、医療機関向けの問診支援サービス「AI 問診ユビー」、生活者向けの問診サービス「AI 受診相談ユビー」を提供しているヘルスケアベンチャー。近年、製薬メーカーと協同し、受診勧奨において新たな価値を提供し始めている。 AstraZeneca は「AI 受診相談ユビー」の問診結果を分析し、慢性閉塞性肺疾患に特徴的な所見が見られる場合は受診勧奨や適切な情報提供を行い、潜在患者の行動変容を促している。また、喘息に対しても同様の取り組みを進めており、同社が実施した実証実験で行われたアンケート結果では 50%以上の人が通院へとつながり、喘息患者の発見につながったと公表。 武田製薬工業は、遺伝性血管性浮腫の早期発見・受診勧奨に Ubic の問診サービスとの連携を活用している。
栄養状態の悪化を防ぐための予測 AI モデル	富士通、国立がんセンター、大塚製薬工場 ¹ （2023）	電子カルテデータを起点とした RWD の集約・分析により患者のアウトカム向上に寄与。富士通は国立がんセンターと 2021 年 3 月に包括的共同研究契約を発表し、主に①RWD の医薬品開発、予防・診断・治療への利活用、②治験業務の DX、③医療データを安全に利活用する共通基盤構築の共同研究に取り組む。国立がん研究センター東病院の電子カルテシステムに蓄積されたがん患者 1 万人分の診療データを匿名加工した上で、集約・分析。がん治療や栄養状態などの関連性を明らかにし、栄養状態の悪化を防ぐための予測 AI モデルの構築・検証を目指す。その取り組みの中で、大塚製薬工場とともにがん患者の低栄養状態により引き起こされる予後不良に関する研究を進めている。
IoT デバイスを活用した服薬管理	JCR ファーマ、PHC ホールディングス ¹ （2023）	IoT デバイスや PHR アプリを活用した服薬管理を行うことにより、医薬品の継続率を高めることに取り組んでいる。遺伝子組み換え天然型ヒト成長ホルモン製剤「グロウジェクト皮下注」の注射器に情報通信技術（ICT）を搭載し、服薬情報を自動で記録可能にするとともに、専用のスマートフォンアプリを提供し、患児・保護者による記録の確認や医師との情報共有を容易にしている。アプリでは、患児の注射に対する緊張感の緩和を目的としたお楽しみ機能（アバターのきせかえ機能や、ほかの患児とのコミュニケーション機能など）も提供している。
医学論文のトピック抽出分析 AI システムを用いたメディカル戦略構築	小野薬品工業、アイエクス ² （2023）	小野薬品工業と AI 開発会社であるアイエクスは、アイエクスが保有する AI 自然言語処理技術を用いて、PubMed に収載されている医学論文のトピック抽出分析 AI システムである MaTCH（Mapping out Trend Changes）を共同で開発し、小野薬品のメディカルアフェアーズ統括部で同システムを活用して診療上の課題を特定し、メディカル戦略の構築に向けて運用を開始した。

2 小野薬品工業、アイエクスニュース：小野薬品とアイエクス、共同で医学論文のトピック抽出分析 AI システムを開発。2023/7/18. [<https://www.ono-pharma.com/ja/news/20230718.html>] (Accessed Feb 2024)

別添 2 : TF1 参加者を対象とした各社 DX/デジタル化対応の 現状に関するアンケート調査

目次

1 はじめに.....	2
2 アンケート実施概要.....	3
3 調査結果.....	6
3.1 組織に関する質問.....	6
3.2 医薬品臨床開発に関する質問.....	9
3.3 課題・展望に関する質問.....	13

1 はじめに

日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会タスクフォース 1（以下、TF1）では、「臨床開発におけるデジタルトランスフォーメーション（DX）の現状と可能性」を主題とした調査および検討を行った。

今回、医薬品臨床開発における DX およびデジタル化に関する製薬企業の取り組み状況を調査することを目的に、TF1 参加者を対象にアンケートを実施した。このアンケートは日本製薬工業協会の加盟会社に公式に回答依頼したものではなく、TF1 参加者が所属する製薬企業の実情について、得られた結果の匿名化を条件に参加者レベルで回答を取りまとめたものである。したがって、回答内容については、各社の公式見解と異なる場合があることに留意されたい。

2 アンケート実施概要

【調査目的】

医薬品臨床開発における DX およびデジタル化に関する製薬企業の取り組み状況を調査する。

【調査対象】

TF1 参加者が所属する日本製薬工業協会医薬品評価委員会臨床評価部会加盟会社 17 社を対象とした。

【調査方法】

Microsoft Excel でアンケートを作成し、TF1 参加者が所属する製薬企業の実情について、TF1 参加者が可能な範囲で調査、回答した。その際、TF1 参加者は、社内の専門部署等へ問い合わせや回答依頼をした場合でも、TF1 参加者の責任の範囲で回答をとりまとめることとした。

【回答数および調査期間】

表 1 に TF1 参加者所属製薬企業名、アンケートの回答数および調査期間を示した。

表 1 TF1 参加者所属製薬企業名、アンケートの回答数および調査期間

TF1 参加者所属製薬企業名 (17 社、順不同)	EA ファーマ株式会社、アステラス製薬株式会社、アストラゼネカ株式会社、アッヴィ合同会社、エーザイ株式会社、大塚製薬株式会社、杏林製薬株式会社、協和キリン株式会社、第一三共株式会社、武田薬品工業株式会社、田辺三菱製薬株式会社、中外製薬株式会社、東レ株式会社、日本新薬株式会社、ノバルティスファーマ株式会社、バイエル薬品株式会社、ファイザー R&D 合同会社	
回答数	17 社	回答率：100%
調査期間	2023 年 9 月 6 日～10 月 6 日	

【調査内容】

アンケートの設問を表 2 に示した。各社の DX の取り組みについて、組織、医薬品臨床開発、課題・展望の観点で、選択形式と自由記述式の質問を設定した。

表 2 定点調査に用いたアンケート設問

項目	No.	設問	回答形式
組織に関する質問	1-1	あなたの会社では、「デジタルトランスフォーメーション (DX)」または「デジタル化」の概念を企業理念やビジョンに取り入れていますか？あるいは、全社レベルで DX やデジタルに関する指針等を作成していますか？	選択形式 (Y/N)
	1-2	Yes の場合、可能でしたらどのように取り入れているか具体的にご記入下さい。No の場合でも何か関連するコメントがあればご記入ください。	自由記述式
	2-1	医薬品臨床開発の担当本部では、「DX」または「デジタル化」の概念をビジョンや組織目標等に取り入れていますか？	選択形式 (Y/N)
	2-2	Yes の場合、可能でしたらどのように取り入れているか具体的にご記入下さい。No の場合でも何か関連するコメントがあればご記入ください。	自由記述式
	3-1	医薬品臨床開発部門に関連する「DX」または「デジタル化」の取り組みは以下のどの体制で行われていますか？ 1) 臨床部門内に推進する部署、グループがある。 2) 全社的な DX/IT 部門が臨床 (や他部署) をカバー 3) 専門の部署やグループはなく、主務を行いながらタスク活動として行われている。 4) 特になし	複数選択形式 (1~4)
	3-2	可能でしたら、どのような体制で取り組まれているか具体的にご記入下さい。	自由記述式
医薬品臨床開発に関する質問	4-1	臨床開発関連文書 (治験実施計画書、ICF、SAP、TLFs、CSR 等) を作成する際に「デジタル化」を活用している、あるいは活用するための取り組みを行っていますか？ 1) 実装済 2) 検討中・開発中 3) 未着手だが取り組もうとしている 4) 取り組んでいない	選択形式 (1~4)
	4-2	可能でしたら実装事例や検討中の内容、課題等を具体的にご記入下さい。	自由記述式
	5-1	被験者募集のための手段や手順を検討する際に「デジタル化」を活用している、あるいは活用するための取り組みを行ったことがありますか？ 1) 実装済 2) 検討中・開発中 3) 未着手だが取り組もうとしている 4) 取り組んでいない	選択形式 (1~4)
	5-2	可能でしたら実装事例や検討中の内容、課題等を具体的にご記入下さい。	自由記述式

項目	No.	設問	回答形式
	6-1	医薬品開発効率化のために、AI（人工知能）や機械学習の活用をしていますか？（例、AI創薬、論文等からのテキストマイニングやナレッジグラフの活用、生成AIの各種場面での活用、AI製品を活用した臨床評価等） 1) 実装済 2) 検討中・開発中 3) 未着手だが取り組もうとしている 4) 取り組んでいない	選択形式 (1～4)
	6-2	可能でしたら実装事例や検討中の内容、課題等を具体的にご記入下さい。	自由記述式
	7	上記以外で、医薬品開発部門において、臨床開発のプロセスを改善（効率化、品質向上等）するために、「デジタル化」を活用している事例があれば教えてください。	自由記述式
課題・展望に関する質問	8	医薬品臨床開発を進めていくうえでの課題と、その課題解決に向けた「DX」または「デジタル化」の活用事例（または活用できそうな事例）があればご記載下さい。	自由記述式
	9	医薬品開発（研究・非臨床試験、臨床試験計画の立案、臨床試験の実施、臨床試験データの解析、承認申請、承認取得後等）の「DX」または「デジタル化」推進における主要な課題・問題（社内面・環境面）としてどのようなものがありますか？	自由記述式
	10	「DX」または「デジタル化」を活用した医薬品臨床開発における今後の期待や未来の展望について、ご意見があればご記載下さい。	自由記述式

3 調査結果

3.1 組織に関する質問

【設問 1】 あなたの会社では、「デジタルトランスフォーメーション (DX)」または「デジタル化」の概念を企業理念やビジョンに取り入れていますか？あるいは、全社レベルで DX やデジタルに関する指針等を作成していますか？ (Yes/No)

「デジタルトランスフォーメーション (DX)」または「デジタル化」の概念を企業理念やビジョンに取り入れている製薬企業はほぼ半数であった (図 1)。

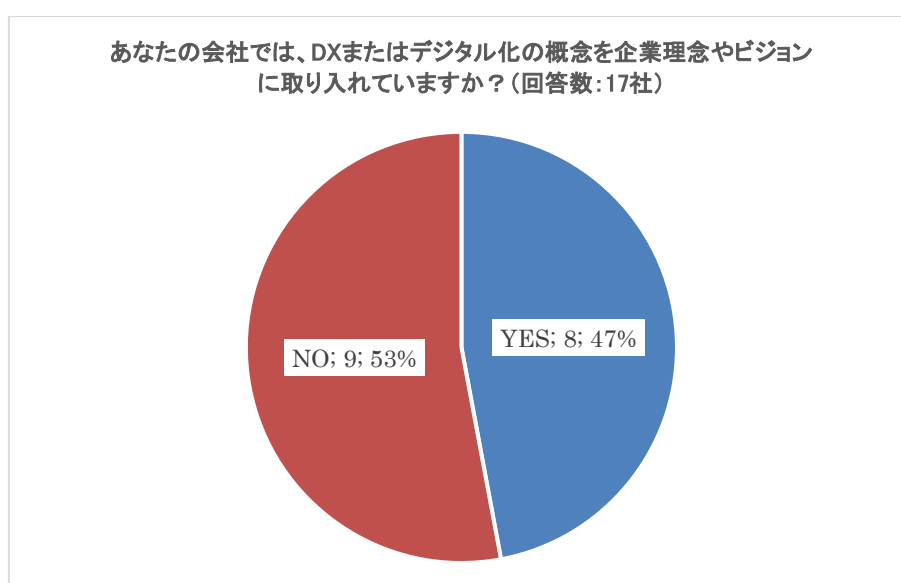


図 1 設問 1 回答

サンプル数は少ないものの、回答 17 社を内資系企業 (11 社) と外資系企業 (6 社) に分けて検討した場合、企業理念レベルでこの概念を取り入れている会社の割合は、外資系企業で高い傾向が見られた [それぞれ、11 社中 4 社 (36%) および 6 社中 4 社 (67%)]。

取り入れている会社では、①社内業務やプロセスについて DX の概念を取り入れている会社、②医薬品の枠を超えたデジタル製品の開発に関するものを設定している会社、③その両方の会社がみられた。その粒度も様々で、ハイレベルにデジタルの活用に触れられているものから、AI の活用やデジタル基盤の強化等に関して具体的な目標を掲げ取り組みを強化し、それに関連して AI 使用に関する社内指針や社内ガイダンス等を既に作成している会社もあった。

【設問 2】 医薬品臨床開発の担当本部では、「DX」または「デジタル化」の概念をビジョンや組織目標等に取り入れていますか？ (Yes/No)

医薬品臨床開発の担当本部レベルで「DX」または「デジタル化」の概念をビジョン組織目標に取り入れている会社は、全社レベルで取り入れている会社よりも多く、回答 17 社のうち 12 社（70%）であった（図 2）。

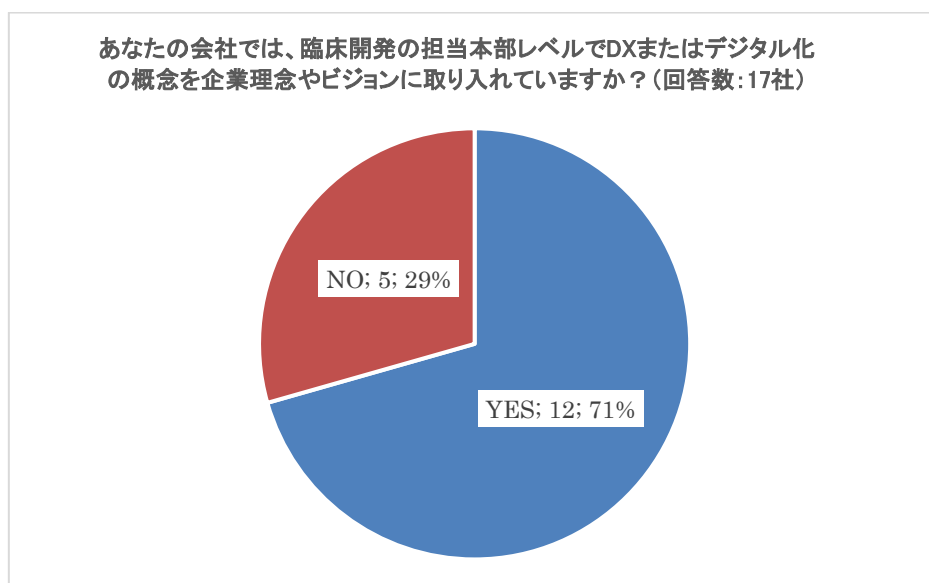


図 2 設問 2 回答

内資系企業、外資系企業別にみた場合でも同様の傾向が見られ、どちらの場合も取り入れている会社が多かった [それぞれ、11 社中 8 社（73%）および 6 社中 4 社（67%）]。

取り入れている会社では、社内プロセスにおける DX やデジタル活用による業務効率化に関しては、デジタル要素を網羅的に列挙し、「デジタルを活用して変革を進める」のような抽象的な記載が多く、具体的には各社模索しながら取り組みを行っているようである。一方、デジタル技術の活用については、昨今広く議論されている分散化臨床試験（Decentralized Clinical Trial, DCT）、デジタルバイオマーカー（dBM）、リアルワールドデータ（RWD）の活用等が挙げられていた。

【設問 3】医薬品臨床開発部門に関連する「DX」または「デジタル化」の取り組みは以下のどの体制で行われていますか。

(1:臨床部門内に推進する部署、グループがある、2:全社的な DX/IT 部門が臨床（や他部署）をカバー、3:専門の部署やグループはなく、主務を行いながらタスク活動として行われている、4:特になし)（複数選択可）

臨床開発部門内にデジタル化を推進する部署またはグループがある会社は、回答 17 社の半数程度あった。一方、臨床開発部門に関連する DX やデジタル化については、特定の案件ごとにタスクフォース等を作り、通常業務と兼任で IT 部門等の専門組織のサポートを得ながら推進業務を行っているケースが多かった（図 3）。この傾向は、内資系企業、外資系企業の間に違いは見られなかった。

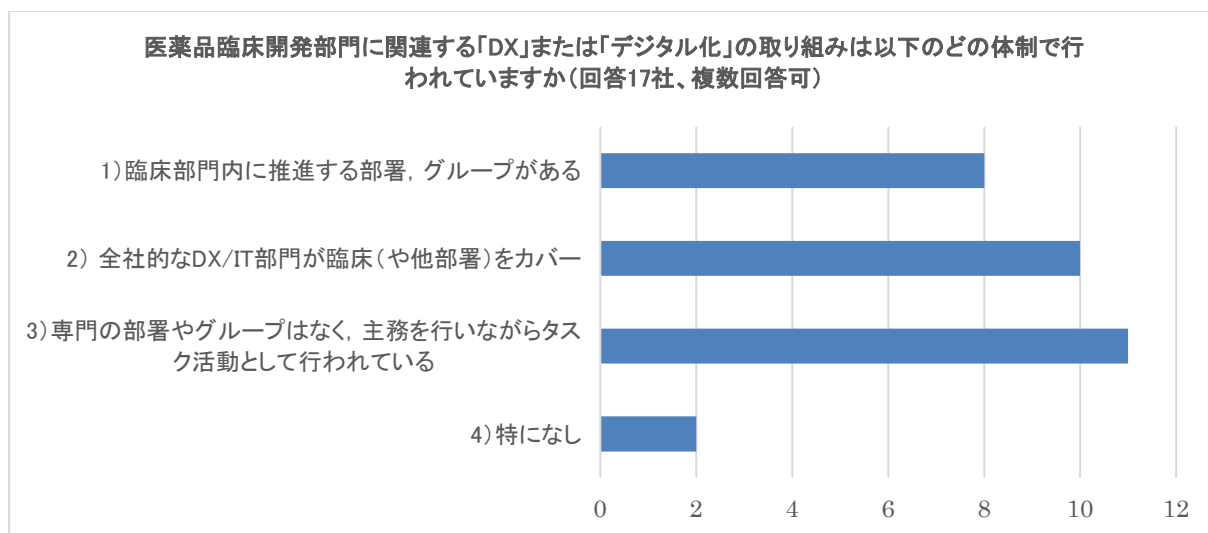


図 3 設問 3 回答

3.2 医薬品臨床開発に関する質問

【設問 4】 臨床開発関連文書（治験実施計画書、ICF、SAP、TLFs、CSR 等）を作成する際に「デジタル化」を活用している、あるいは活用するための取り組みを行っていますか？

(1:実装済、2:検討中・開発中、3:未着手だが取り組もうとしている、4:取り組んでいない)

既に臨床開発関連文書を作成する際に「デジタル化」を活用している（実装済）会社は 17 社のうち 6 社（35%）であった（図 4）。内資系企業と外資系企業の間で、その割合に違いは見られなかった。現状、具体的な実装例は、文書作成の一部の業務におけるデジタル活用（AI 自動翻訳、eTMF の実装等）がほとんどであり、文書作成の自動化は限定的であった [AI やソフトウェアロボット（RPA）活用による統計解析計画書作成の半自動化および TLFs の自動作成等]。

臨床開発関連文書の作成を検討中・開発中の会社は、17 社のうち 6 社（35%）であった。内資系企業では 11 社のうち 3 社（27%）、外資系企業では 6 社のうち 3 社（50%）であった。導入検討中の取り組みとしては、文書作成の自動化を意図したものが多く、AI を使用した図表からの CSR の作成、プロトコル－ICF－EDC－CSR－CTD の連携、構造化コンテンツ管理による global ICF－Regional ICF（翻訳も含む）－Site ICF の連携等の試みがみられた。

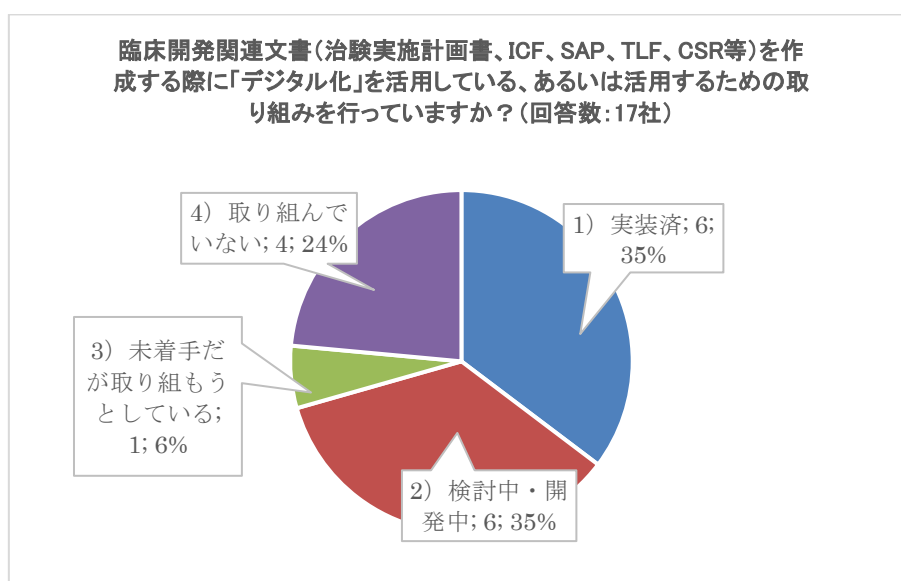


図 4 設問 4 回答

文書自動化にかかわる課題として、作成される文書の精度のゴールをどこに設定するか、どこまで自動化するか、またはそれを達成するために必要な費用対効果のバランスが難しいというコメントがあった。ユーザー側は 100%の自動化を求めがちだが、実際にそれは難しく、高い完成度（自動化度）を求めると時間やコストを要する。折り合いをつけることが難しいようである。

【設問 5】被験者募集のための手段や手順を検討する際に「デジタル化」を活用している、あるいは活用するための取り組みを行ったことがありますか？

(1:実装済、2:検討中・開発中、3:未着手だが取り組もうとしている、4:取り組んでいない)

被験者募集のための手段や手順を検討する際に「デジタル化」を既に活用している会社は多く、17社のうち11社（65%）であり、内資系企業と外資系企業の間でその割合に違いは見られなかった。現在導入を検討中・開発中の会社は2社（12%、それぞれ内資系、外資系1社）であった（図5）。

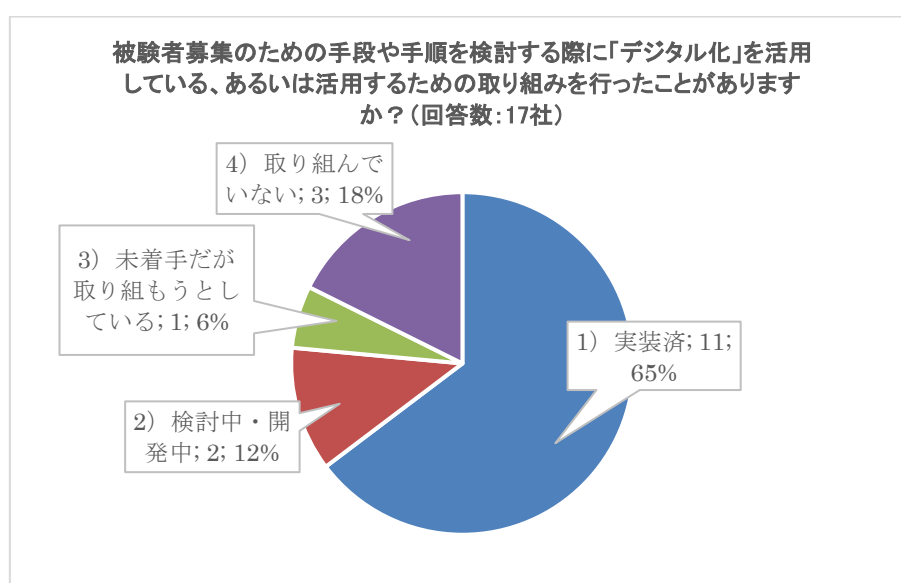


図 5 設問 5 回答

活用事例としては、eConsent、CRO やベンダーによる Web 被験者募集、スクリーニング、登録管理等の被験者組み入れの効率化に加え、その前段階として、RWD やレジストリデータ活用による feasibility 調査および候補患者数の予測等が挙げられた。

現在導入を検討中・開発中の会社においても、上述の内容と同様の目的で検討しているようであった。

この取り組みにかかわる課題として、eConsent 等の受け入れが難しい医療機関もあることや、レジストリデータ等の活用については、どんな疾患にも使えるような仕組みの構築の難しさが挙げられた（現状は、試験や対象疾患により必要なデータ、考え方、または運用が変わるため、その都度対応を変えなければならない）。

【設問 6】医薬品開発効率化のために、AI（人工知能）や機械学習の活用をしていますか？（例、AI 創薬、論文等からのテキストマイニングやナレッジグラフの活用、生成 AI の各種場面での活用、AI 製品を活用した臨床評価等）

(1:実装済、2:検討中・開発中、3:未着手だが取り組もうとしている、4:取り組んでいない)

医薬品開発効率化のために、AI や機械学習を既に活用している会社は 17 社のうち 5 社（29%）であった。一方、現在導入を検討している会社は多く、17 社のうち 11 社（65%）であった。実装済および検討中・開発中の会社の割合は、内資系企業と外資系企業の割合に違いは見られなかった。AI 活用の実装および検討は内資系企業、外資系企業を問わず、ほぼ全社で行われている（図 6）。

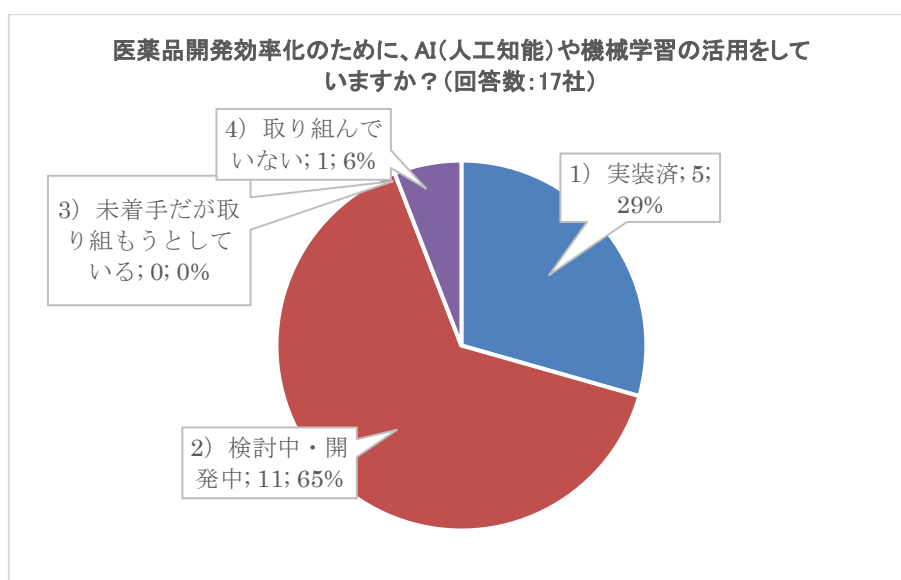


図 6 設問 6 回答

実装例としては、生成 AI のトライアル的な利用、機械翻訳、そして検索システムにおける機械学習の活用等が挙げられたが、多くが限られた範囲で利用しているという実態であった。一方、ある会社では、腫瘍領域での保有データをもとに、AI を利用して作用機序や耐性機構等を考慮した試験デザイン設計に取り組んでいた。また、臨床イベントの中央判定の自動化、さらに臨床試験の進捗管理システムの進捗の整理・分析等で AI を活用しているという先進的な例があった。

検討中として挙げられていたのは、生成 AI を用いた文書作成の自動化、論文検索やデータサマライズ、論文からのテキストマイニングやナレッジグラフの活用、安全性情報収集における AI 活用（SNS 等を通じて得られる情報から AI のアルゴリズムを用い有害事象や品質苦情を抽出する）、当局照会事項への AI を使用した回答作成等があり、業務効率化につながっていく可能性がある。

【設問7】上記以外で、医薬品開発部門において、臨床開発のプロセスを改善（効率化、品質向上等）するために、「デジタル化」を活用している事例があれば教えてください。

表3に臨床開発プロセスを改善するためのデジタル化（デジタル技術の活用）事例を要約した。一部、これまでの回答と重複する。

表3 臨床開発プロセスを改善するためのデジタル化事例

カテゴリー	事例
DCT	<ul style="list-style-type: none"> ・ 治験でのオンライン診療導入 ・ リモート SDV ・ dBM/ウェアブル端末の導入
文書作成・管理	<ul style="list-style-type: none"> ・ RPA/Power Automate による、文書管理の自動化（自動転送・保存）や入力データからの当局提出資料の自動作成 ・ 各種電子署名、自動翻訳
データマネージメント	<ul style="list-style-type: none"> ・ EDC 構築において、機械可読な仕様情報を読み込み、統合的に必要な仕様の作成、レビューができるアプリケーションの活用。具体的には、Bot 利用による入力された情報からのレポート作成処理の自動化、施設入力データをレビューしレポート作成、クエリ作成 ・ RPA/Power Automate による、安全性情報の定期的なハンドリング
治験オペレーション	<ul style="list-style-type: none"> ・ SIP（Shared Investigator Platform）導入：臨床試験にかかわる一元化管理システム。具体的には、プロセスを統合し管理の手間を削減することで、臨床試験のサイクルタイムを効果的に短縮し、規制当局の承認と市場投入までの時間の短縮につなげる ・ CRO の品質管理（CRA のエラー、各プロセスの作業期間）

3.3 課題・展望に関する質問

【設問 8】医薬品臨床開発を進めていくうえでの課題と、その課題解決に向けた「DX」または「デジタル化」の活用事例（または活用できそうな事例）があればご記載下さい。

表 4 に医薬品開発における課題とその課題解決に対する DX/デジタル技術の活用事例または活用できそうな事例を要約した。

表 4 医薬品開発における課題とその課題解決に対する DX/デジタル技術の活用事例

課題	活用事例または活用できそうな事例
治験期間の長期化、成功確率の低下を含む、開発コストの増加 開発戦略・試験計画の最適化	<ul style="list-style-type: none">AI を活用して予測モデルを構築し、臨床試験の設計や効果的な治療法の特定に役立てる生成 AI 利用による知識の易検索性、集積性の向上オンライン診療、eConsent、ウェアラブルデバイス、ePRO、eCOA、リモート SDV を積極的に活用した遠隔中心の臨床試験の実施
臨床試験関連文書の作成負担	<ul style="list-style-type: none">生成 AI 等を活用した資料作成の自動化（IRB 申請資料、ICF、PRT、CRF、SAP、CSR、CTD、照会回答）、承認プロセスの自動化プロトコル設計支援ツールやプロトコルデザインプラットフォームの導入。これらの技術を活用して、データと文献情報を統合し、効果的なプロトコル作成をおこなう
患者の真の困りごとに基づいた新たな疾患評価指標の開発	<ul style="list-style-type: none">デジタルヘルステクノロジーを利用した、患者の真の困りごとを評価する新たな評価指標の開発治療の前後（予防、リハビリ）へのデジタル技術の活用（VR によるリハビリ等）

【設問 9】医薬品開発（研究・非臨床試験、臨床試験計画の立案、臨床試験の実施、臨床試験データの解析、承認申請、承認取得後等）の「DX」または「デジタル化」推進における主要な課題・問題（社内面・環境面）としてどのようなものがありますか？

DX/デジタル化を推進するにあたり社内で解決すべき主要な問題点を表 5 に、環境面における主要な問題点を表 6 に要約した。

表 5 DX/デジタル化を推進するにあたり解決すべき主要な問題点（社内面）

課題	課題の詳細
コストの課題	<ul style="list-style-type: none"> DX を目指した新たな業務システムやデジタルツール等の開発費用に加え、システムの維持コスト、利用料について懸念がある。費用対効果の観点から、これらの費用を正当化する必要がある
業務効率化の見える化	<ul style="list-style-type: none"> DX による業務効率化、成果の見える化が実は難しく、短期的にはその開発にかかわる費用や人的リソース等のコスト増があるため、推進するためには周囲を説得する強力なドライバー（経営トップによる推進等）が必須である
ガバナンスと組織体制の障壁	<ul style="list-style-type: none"> 部門ごとに異なる要求事項や適用される規制、使用者のスキルレベルへの対処が必要であるが、個別部門への最適化は全体利用を阻害しかねないため議論が必要である
リソース不足	<ul style="list-style-type: none"> DX 人材不足とデジタルリテラシーの不十分さに加え、デジタル化に向けて事前に対処しなければならない課題（社内の文書フォーマットの不統一等）に対処するために DX だけでなく実務にも精通した多くのリソースが必要となる
グローバル企業としての制約	<ul style="list-style-type: none"> 海外に拠点を持つ会社が日本独自で DX に取り組むことにはハードルがある。一方で、海外での取り組みが先行し、日本に導入されるまでに時間的な差が生じている可能性がある

表 6 DX/デジタル化を推進するにあたり解決すべき主要な問題点（環境面）

課題	課題の詳細
データ活用と RWD の進展	<ul style="list-style-type: none"> 試験デザインの最適化や薬事申請におけるレジストリデータや RWD の活用が望まれているが、国内ではその対応が不十分である。データの活用には、医療機関、当局、外部ステークホルダー等、業界内外との協力が不可欠であり、標準化や規制環境の整備、規制変化への適切な対応が課題である
セキュリティとデータ共有の難しさ	<ul style="list-style-type: none"> データセキュリティの要件により、外部組織やネットワークとのデータ共有が難しい。プラットフォームの利用が拡大するほど、データ共有のためのセキュリティ問題が大きくなる
外部デジタルツール活用時の制約	<ul style="list-style-type: none"> 多くの会社が外部のツールやプラットフォームを活用したいと考えているが、利用条件に制限がある。たとえば、自社データを活用した生成 AI のチューニングに制約がある。一方で、同様のサービスが乱立しているため、最適なパートナー候補の選択が困難な場合があり、選択したサービス次第で以後の成果に違いが生じる可能性がある
薬事規制におけるグレーゾーンの明確化	<ul style="list-style-type: none"> AI を介した集計等、薬事規制上どこまで許されるのか未知数であり、安易に踏み込めない。承認申請以外の場面でも、明確になっていない点、グレーゾーンを無くす業界ルールの整備等がデジタルツールの実用化に関する課題として挙げられている

【設問 10】「DX」または「デジタル化」を活用した医薬品臨床開発における今後の期待や未来の展望について、ご意見があればご記載下さい。

以下に医薬品開発における今後の期待や展望について、得られた回答を要約した。

- DCT 環境の向上により治験プロセスの効率化と迅速化が進む
- 社内における臨床試験の開始準備や完了段階を加速化するため、プロトコルフォーマットの標準化や臨床試験結果を CSR や CTD にまとめる部分も業界を通じて共通プラットフォーム化される
- 電子カルテの標準化や個人情報に配慮したデータ活用制度等のインフラ整備が進むことで、被験者リクルートや RWD の承認申請（外部対照群等）への活用が促進できる。さらに、実際の患者を対象とする前に仮想試験（バーチャルトライアル）を実施し、治験薬の有効性や安全性を事前にシミュレーションすることで、臨床試験のコストや時間の削減、倫理的観点から試験参加者のリスク抑制にもつながる
- 電子カルテから EDC への自動的な情報入力、複数データソースから情報の整合性を取る仕組み、施設情報の一元管理、そして社内におけるデータ連携の強化が進む
- デジタル技術の活用を GCP が後押しする動きが出てくるかもしれない。そうになると、業界全体のデジタル技術活用が加速し、真の意味での DX 成功事例が数多く出てくると考える。そのような世界にすべく DX に向けて取り組んでいきたい
- デジタル化により、患者データの解析と個別治療法の開発が進む
- Translational research、薬物動態・毒性予測、AI 創薬の進化が臨床試験の成功確率を向上させる
- 業務の自動化とデータに基づく意思決定が進み、ニーズにあった開発が進められ、治療アウトカムが向上するとともに医療関係者・試験参加者の負担減が現実化されている