

2026 年 1 月 28 日開催

**講演概要：**LINK-J×BCG Biopharma R&D Seminar 製薬 R&D を巡るトレンドと生産性向上への取組み vol.4「臨床開発における AI/デジタル活用の最新動向」

① 講演「Accelerating Clinical Trials with Agentic AI」

早田 和哲 氏（株式会社セールスフォース・ジャパン インダストリーアドバイザー本部 ライフサイエンス業界担当 シニアマネジャー）

ライフサイエンス企業の R&D の領域の中で、Clinical 向けの Agentic AI の Use Case についてご紹介をします。今回は、特に大きな課題になっております被験者の募集の課題に対して、被験者の募集やスクリーニングから、臨床試験への組み込み、Real World Data を活用した Site（臨床試験施設）選定など、臨床試験をより加速させるためのソリューションを実際のデモ画面をご覧いただきながらご紹介させていただきます。

② 講演「製薬業界における規制プロセスを支援するリアルワールドエビデンスの利用に関する将来展望」

AUVARO PHILIPPE 氏（メディカル・データ・ビジョン株式会社 執行役員 海外事業開発室 ゼネラルマネージャ）

2025 年 10 月にサンディエゴで開催された DIA Real-World Evidence Conference では、リアルワールドデータ（RWD）とリアルワールドエビデンス（RWE）の規制プロセスへの活用が活発に議論された。本講演では、これらのプレゼンテーションから得た洞察を基に、製薬業界の将来展望を考察する。主に、規制当局のガイドライン進化、データ品質の向上、AI 統合、グローバルハーモナイゼーションの観点から、RWE が新薬承認、安全性評価、臨床試験設計をどのように支援するかを概観する。

まず、PMDA（日本医薬品医療機器総合機構）の視点から、RWD の活用事例が示された。HER2 陽性大腸癌に対するトラスツズマブ/ペルツズマブの承認では、臨床試験データを補完する形で患者レジストリ RWD が用いられ、客観的奏効率の閾値を上回る有効性を支持した。ただし、患者数の限界や背景バイアスが課題として指摘され、規制目的の前向きレジストリのデータ品質確保が重要視された。将来的には、薬剤安全性評価（ファーマコビジランス）で RWD を活用し、AI によるシグナル検出の頻度向上や国際規制当局との連携が期待される。2014 年から 2023 年にかけてのガイドライン整備（例：データベース研究のバリデーション原則）が基盤となり、2025 年以降の RWE 活用を加速させる。

FDA の規制視点では、21st Century Cures Act 以降のガイドライン進化が強調された。電

子健康記録（EHR）や請求データの信頼性評価が鍵で、データライフサイクル全体のスポンサー責任を明確化。ICH E6(R3)では、RWD の適合性を検査可能とするリスクベースアプローチを推奨し、規制決定の信頼性を高める。課題として、データ相互運用性の欠如やプライバシー法の制約が挙げられ、将来的にハーモナイズドスタンダードの確立が求められる。新規ガイドライン E23（RWE に関する ICH 指針）は、2025 年以降のキックオフが予定され、RWE を開発ライフサイクル全体に統合する枠組みを提供する。

さらに、ハイブリッド臨床試験設計での RWE 活用が注目された。外部コントロールアーム（ECA）のケーススタディでは、統計シミュレーションと RWD を組み合わせ、希少疾患の Phase 3 戦略を最適化。OMOP CDM のような標準化ツールや OHDSI ネットワークが、多様なデータセットからの高速 RWE 生成を可能にし、コスト削減とサンプルサイズ拡大を実現する。アフリカの PANGHEA 構想や EU の DARWIN EU のように、地域を超えたデータネットワークが拡大し、精密腫瘍学や試験募集の効率化を促進する。

AI の統合は、将来のブレークスルーとして議論された。自然言語処理による非構造化データの分析や、予測モデル（例：腎疾患患者のヘモグロビン予測）が、ファーマコビジュランスの精度を向上。EMA の NIS RWE 反射紙では、ガバナンスと透明性の重要性を強調し、バイアス軽減のためのツール（HARPER プロトコルテンプレート）や登録制度（RWE Registry）の採用を推奨。低品質研究の公表を防ぐ多層的アプローチ（教育、ピアレビュー、データ共有）が、RWE の信頼性を支える。

結論として、製薬業界は RWE を規制プロセスの基幹ツールとして位置づけ、データ品質向上と国際協調を推進すべきである。AI とネットワークの進化により、2025 年以降は患者中心の迅速な意思決定が可能となり、公衆衛生の向上に寄与する。ただし、バイアス管理と倫理的考慮が不可欠だ。将来的には、ICH のハーモナイゼーションがグローバルスタンダードを確立し、革新的医薬品開発を加速させるだろう。