

AI・データで変わる臨床試験エコシステム ー 労働集約型からデータ主導型へー



三井物産戦略研究所
産業社会情報部産業調査室
木下 美香

Summary

- 近年、臨床試験は対象患者の確保が難しい上に評価項目も増えるなど複雑化が進み、人手を中心とする試験運営は、処理能力とコスト面において限界を迎えつつある。
- AI・医療データを活用した効率的な試験運営や、患者の募集、データ統合基盤の整備などのソリューションを提供する企業が、臨床試験の新たな主要プレーヤーとして存在感を高めている。
- 製薬企業が医薬品開発業務受託機関（CRO）に求める価値は、従来の人手を中心とした業務から、AIやデータを活用したソリューションへと広がり、競争軸は品質・スピード・生産性の向上を同時に実現する能力へ移行しつつある。

1. 臨床試験を取り巻く環境変化

1-1. 試験の複雑化と開発負担の増加

新薬開発における製薬企業の負担は年々増大しており、研究に着手してから承認までの平均期間は12年、開発コストは平均28億ドルに達する¹。背景には、精密医療²の発展やバイオ医薬品の開発拡大がある。これらの開発では、対象患者を細かく選別する必要があるため試験の参加条件に合う患者の確保が難しく、試験実施施設の10～30%では患者を1人も登録できず終了するケースも報告されている³。また、1試験当たりの検査・評価項目数は過去10年で3倍の250以上、収集されるデータポイントは約350万と爆発的に増加し、最終段階の第3相試験⁴では、平均評価項目数が過去10年間で17から21へ増加⁵するなど、臨床試験の複雑化は各工程に影響を及ぼし、開発負担が増大する一因となっている（図表1）。試験の遅れは新薬上市の遅れ

¹ CDER's annual novel drug approvals: 2013-2022, New Drug Therapy Approvals 2022, U. S. Food & Drug Administration, current as of January 10, 2023.

² 精密医療：患者一人一人を遺伝子変異や病気の特徴に応じて細かく分類し、それぞれに最適な治療を行う医療。

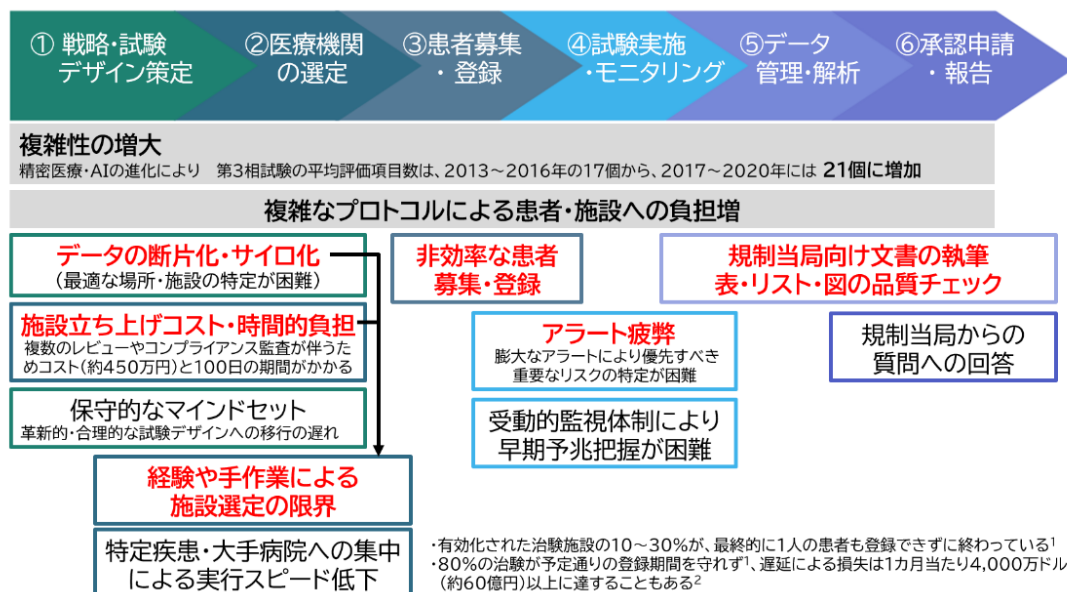
³ McKinsey & Company, Unlocking peak operational performance in clinical development with artificial intelligence (January 2025) .

⁴ 第3相試験：新薬の承認申請前に、有効性や安全性を多くの患者で最終確認する大規模な臨床試験。

⁵ McKinsey & Company, Accelerating clinical trials to improve biopharma R&D productivity (January 2024) .

につながり、1カ月遅延すると4,000万ドル以上の売り上げを損失するとの試算もあり⁶、臨床試験の効率化は、製薬企業にとって重要な経営課題となる。

図表1. 臨床試験の複雑化に伴う課題



出所：McKinsey & Company, Unlocking peak operational performance in clinical development with artificial intelligence; Digital R&D the next frontier for biopharma¹; Tufts Center for the Study of Drug Development, Tufts University, Quantifying the Value of a Day of Delay in Drug Development². から三井物産戦略研究所作成

1-2. 労働集約型モデルの限界

従来の臨床試験は臨床モニター担当者（CRA）⁷による医療機関の訪問や、目視でデータを確認する原資料照合作業（SDV）⁸を中心とした労働集約型の運営が主流であった。しかし、近年は試験が複雑化したことで、処理負荷とともに医療現場の負担も増加している。臨床試験を担当した医師の66%以上が、その後、試験に参加しないケースも報告されており、労働集約型モデルは限界を迎えつつある。

1-3. AI・データ活用拡大の背景

医療データの電子化やクラウド基盤の普及、大規模言語モデルをベースとした生成AIやデータ解析技術の進展を背景に、臨床試験の課題解決に向け、AIやデータの活用が急速に広がっている。また、欧米を中心にリアルワールドデータ（RWD）⁹の活用に向けた制度整備や実証研究が進み、試験設計、患者探索、外部

⁶ Tufts Center for the Study of Drug Development, Tufts University, Quantifying the Value of a Day of Delay in Drug Development.

⁷ 臨床モニター担当者（CRA, Clinical Research Associate）：治験が計画書や規制に沿って適切に実施されているか、医療機関を訪問または遠隔で確認し、データ確認や施設支援を行う担当者。

⁸ 原資料照合作業（SDV: Source Data Verification）：カルテや検査結果など治験データの基となる原資料と、症例報告書に入力されたデータが一致しているかを確認する作業。

⁹ リアルワールドデータ（RWD, Real-World Data）：電子カルテやレセプトなどの日常診療で得られる医療データ。臨床試験や医薬品開発への活用が進んでいる。

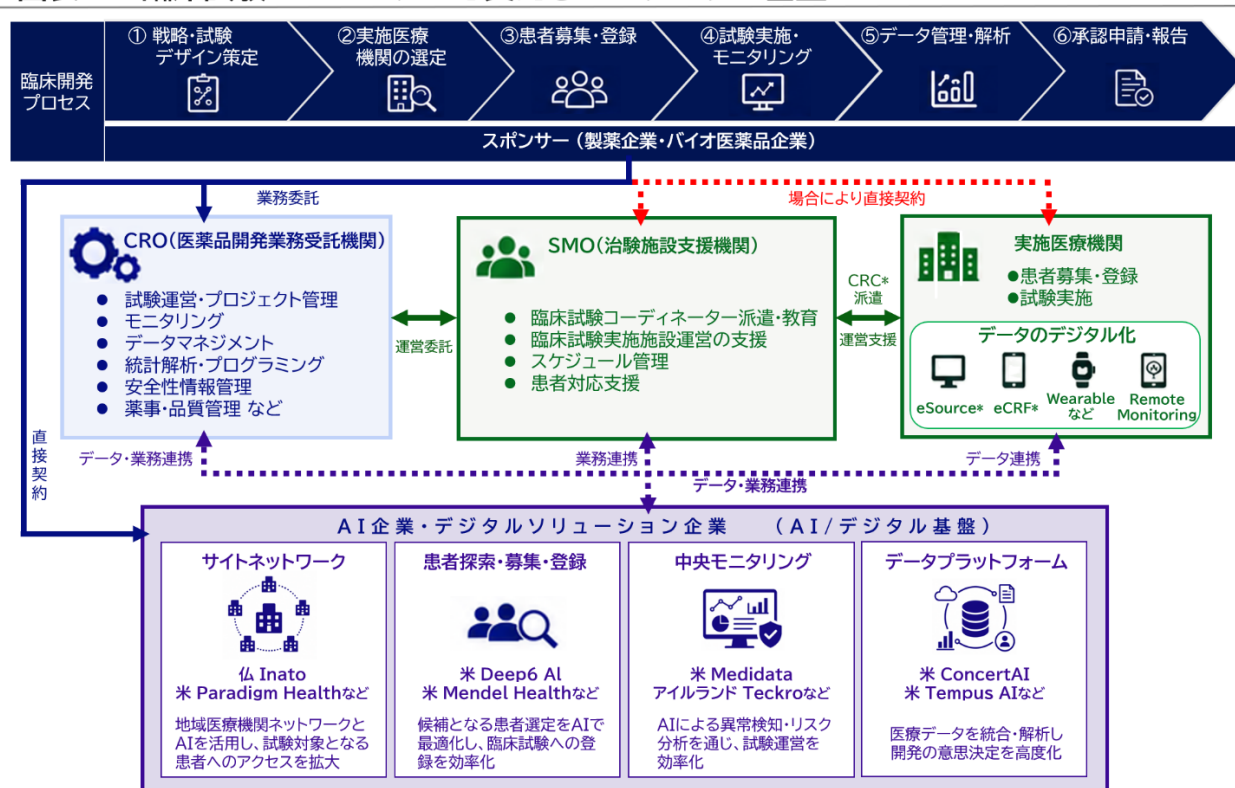
¹⁰ 外部対照群（ECA, External Control Arm）：実臨床で得られた患者データや過去の臨床試験データを比較対象として活用する手法で、対照群として新たに登録する患者数を減らせる可能性がある。現時点ではすべての対照群を置き換えるものではなく、対象疾患や試験デザインに応じて補完的に活用されている。

対照群¹⁰などへの応用も模索されている。こうした環境変化を受け、製薬企業は開発の効率化や成功率向上を目的として、デジタル基盤への投資に加え、AI企業やデータ企業との提携・協業を加速している。

2. 変化する臨床試験エコシステム

近年、臨床試験の各工程における課題を解決する新たなソリューションが登場し、連携構造が変化しつつある。従来の大手医薬品開発業務受託機関（CRO）¹¹に加え、AI企業、データ企業、医療機関ネットワーク（サイトネットワーク¹²）企業など多様なプレーヤーが臨床試験を支えるエコシステムを形成している（図表2）。

図表2. 臨床試験エコシステムを支えるAI・デジタル基盤



*CRC (Clinical Research Coordinator): 治験コーディネーター

*eSource (Electronic Source): 電子的に記録・管理される原資料(電子カルテや医療機器データ)

*eCRF (Electronic Case Report Form): 臨床試験データを電子的に入力・管理する症例報告書

出所: 各種資料から三井物産戦略研究所作成

2-1. 患者確保とサイトネットワークの重要性

患者の確保は、試験期間や新薬の上市時期を左右する最大のボトルネックであり、サイトネットワークや治験施設支援機関（SMO）¹³を活用した迅速な患者登録が重要となる。サイトネットワーク企業の仏Inato

¹¹ 医薬品開発業務受託機関（CRO, Contract Research Organization）：製薬企業から臨床試験（治験）などの医薬品開発業務を受託・支援する企業。

¹² サイトネットワーク：複数の病院やクリニックをネットワーク化し、患者紹介や治験実施を連携して行う仕組み。

¹³ 治験施設支援機関（SMO, Site Management Organization）：医療機関側の治験実施を支援する企業。

は80カ国・1万7,000以上の医療機関を結ぶサイトネットワークを構築して、製薬企業・CROと地域医療機関をつなぎ、地域医療機関の患者が臨床試験に参加できるプラットフォームを提供している^{14,15}。同じくサイトネットワーク企業の米Paradigm Healthは、提携する地域医療機関の電子カルテやゲノムデータを自社システムと連携させ、条件に合う患者を自動的に見つけ出す仕組みを構築し、地域医療機関からの患者登録率を約4%から約11%に改善している¹⁶。患者探索に強みを持つAI企業の米Deep 6 AIは、電子カルテの診療メモなどの非構造化データを自然言語処理で解析する技術を開発し、米シーダーズ・サイナイ医療センターでは、6カ月かかっていた患者の確保を1時間以内に短縮した¹⁷。このように、サイトネットワークの拡充とデータ連携・AI活用による患者確保の効率化が進んでいる。

2-2. 中央モニタリングと現場運用の自動化

臨床試験の実施状況を確認・管理するモニタリング業務は、AIによって異常データの自動検知や試験進捗の可視化・管理が高度化し、従来の実施状況の確認に加えて、リスクの早期把握や予測に基づく管理へと進化している。試験運営支援AI企業の中では、米Medidataが、各試験実施施設から収集したデータをリアルタイムに集約・可視化し、製薬企業やCROが遠隔から横断的に監視・分析できる中央モニタリング基盤をグローバルに展開し、試験運営の効率化を進めている¹⁴。アイルランドのTeckroは、AIを活用して複雑な実施計画書をデジタル化し、医師らの認知負荷や確認ミスを大幅に低減させる現場支援を展開している¹⁴。データマネジメントAI企業の米Saama Technologiesは、AIアシスタントを用いた症例データのクレンジングや照会自動化プラットフォームを提供し、手作業を削減している¹⁴。

2-3. データ統合プラットフォームの進展と競争軸の変化

電子カルテ、治験データ、RWDなどを統合するデータプラットフォームは、臨床試験の設計や運営を支える重要な基盤となりつつある。データプラットフォーム企業である米ConcertAIは、がん領域の統合データをAIで解析することで、試験計画の検討期間を22~23%短縮するとともに、外部対照群の構築を支援しており、米Bristol Myers Squibbと2022年から5年間の戦略的提携契約を結んでいる^{14,18}。また、AI企業の米Unlearn.aiは、機械学習を活用した「デジタルツイン（仮想患者）」を生成し、2022年2月より独Merckと提携し、対照群に必要な患者数を削減する技術を共同開発している^{14,18}。

こうしたデータプラットフォームの台頭に対し、従来の大手グローバルCROもAI技術やデータ基盤の強化を進めている。大手グローバルCRO企業の中では、米Parexelが、AIデータ解析企業の米Palantir

¹⁴ Frost & Sullivan, Growth Opportunities and Innovative Use Cases for AI in Clinical Trials (December 2022) .

¹⁵ PitchBook Inato | Private Company Profile, Inato社ウェブサイト

¹⁶ Paradigm Health社ウェブサイト([Solutions for Research Sites | Paradigm Health](#))

¹⁷ Frost & Sullivan, Data Science Impacting the Pharmaceutical Industry Part II: Clinical Trial Applications (August 2020) .

¹⁸ Frost & Sullivan, Innovative AI-enabled Clinical Trial Companies: Strategic Profiling and Growth Opportunities (June 2024) .

Technologiesとの戦略的提携を拡大し、AIプラットフォームを活用した臨床データ解析基盤を構築している¹⁹。また、米Fortreaは臨床試験の効率化に向けたAIソリューションを開発する「AI Innovation Studio」を設立するとともに、患者の遠隔参加を支援する分散型臨床試験（DCT）²⁰プラットフォームを統合し、試験運営の高度化を進めている¹⁹。地域特化型のCRO企業各社もがん領域や希少疾患、アジア地域など、それぞれの専門領域や地域ネットワークを生かした差別化を進めている（図表3）。

図表3. 地域特化型CRO各社の差別化戦略

付加価値領域の変化：各社は垂直統合・専門機能・医療機関ネットワークを軸に差別化

企業	強み・差別化領域	特徴
中 Pharmaron	CRDMO * モデル	創薬・前臨床から製造(CDMO *)までを一体展開
米・中 ClinChoice	薬事・承認申請	グローバル(日米欧中)薬事・承認申請支援
インドネシア Prodia The CRO	統合サービス	インドネシア唯一のCRO * で中央ラボ・SMO * の統合体制
印 Veeda	前臨床・生体分析	前臨床試験、生体分析、中央ラボ機能を強化
日 シミック	医療機関ネットワーク + 総合支援	数千規模の医療機関ネットワーク、SMO、CRC * を基盤にCDMO・販売支援まで展開
日 EPS	医療機関ネットワーク + 総合支援	

CRDMO (Contract Research, Development and Manufacturing Organization): 医薬品研究・開発・製造受託機関

CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization): 医薬品開発・製造受託機関

CRO (Contract Research Organization): 医薬品開発業務受託機関

SMO (Site Management Organization): 治験施設支援機関

CRC (Clinical Research Coordinator): 治験コーディネーター

出所: 各種資料から三井物産戦略研究所作成

AI企業では、米Tempus AIが製薬企業と幅広く連携し、存在感を高めている。同社はゲノムデータや臨床データを活用したAI解析基盤を強みに、2025年に、電子カルテを解析して条件に合う患者を効率的に特定する技術を有するAI企業米Deep 6 AIを買収した²¹。この買収によってTempus AIは、医療データの統合・解析から、患者確保までを支援できるプラットフォームとしての機能を拡充している。

3. 今後の事業機会と示唆

3-1. 付加価値領域の変化

臨床試験における価値の重心は、多くの専門人材を投入する労働集約型の業務から、AIや医療データを活用したAI・データ主導型の高度な専門機能へと移りつつある（図表4）。実際、大手製薬企業が委託する臨床試験の約半数（48%）は、特定機能を委託する機能特化型アウトソーシングとなっており¹⁹、製薬企業は従来のCROへの一括委託だけでなく、患者募集、データ解析、薬事などの高度な専門機能を必要に応じて

¹⁹ Frost & Sullivan, Pharmaceutical Clinical Contract Peripheral Services, Global, 2025-2030 (March 2025) .

²⁰ 分散型臨床試験（DCT, Decentralized Clinical Trial）：患者が医療機関などの臨床試験の実施施設へ通院せず、自宅や近隣の医療機関を活用しながら、オンライン診療やウェアラブル機器などを用いて実施する臨床試験。

²¹ PitchBook, Deep 6 AI | Private Company Profile.

組み合わせて活用する傾向を強めている。

図表4. 臨床試験における競争軸の変化



出所：三井物産戦略研究所作成

今後は、単に業務を受託するだけでなく、CRO各社は独自の強みを強化するとともに、AIやデータを活用した試験運営、患者募集、データ解析などの高度な専門機能を組み合わせ、製薬企業の開発効率や質の向上に貢献できるかどうか、競争力を左右すると考えられる。

3-2. 日本市場・事業機会への示唆

日本ではドラッグラグ・ドラッグロス²²の解消が政策課題となっている。従来、海外先行の国際共同治験に日本を組み入れる際には、日本人の安全性や用量を確認する国内第1相試験の事前実施がほぼ標準となっていた。国内第1相試験は一定の期間を要するため、グローバル開発の最終段階である第3相試験の開始までに日本での第1相試験の完了が間に合わず、日本が参加国から外れる場合があった。これが、日本で追加試験が必要となることによる承認申請の遅れ（ドラッグラグ）や、日本での開発見送り（ドラッグロス）の一因となっていた。

これらの課題を踏まえ、2023年末に運用が見直され、既存データから日本人における安全性・忍容性（薬の副作用に対して患者がどの程度耐えられるかを示す尺度）が説明できる場合には、国内第1相試験を原則不要とすることが明確化された。これにより、製薬企業にとって国際共同治験に日本を早期に組み入れやすい制度環境が整いつつある。この制度改革の効果を最大限に生かす上で重要となるのが、日本国内で効率的に患者を募集できるサイトネットワークの構築である。

²² ドラッグラグ・ドラッグロス：ドラッグラグは海外で承認された医薬品が日本で承認・使用されるまでの遅れを指し、ドラッグロスは海外で承認・使用されていても日本では開発・承認されず利用できない状況を指す。

日本では、電子カルテやPHR²³の活用が進む一方、医療機関ごとにデータ形式や入力項目が異なり、医療データは横断的に活用できる状態にない。そのため、異なる医療ITシステム間で医療データを相互運用する国際標準規格FHIR²⁴への対応をはじめ、診療データの構造化や医療機関の間に安全にデータ連携する仕組みの整備が、治験条件に合う患者を効率的に見つける上で重要となる。従って、医療機関ごとに分散する医療データを標準化・構造化し、AIによる治験条件に基づく患者検索などを可能にするデータ基盤の構築・提供は、日本の臨床試験市場における新たな事業機会となるだろう。

Appendix 主要用語一覧

■ 臨床試験関連

- CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization): 製造受託医薬品開発・製造受託機関
- CRA (Clinical Research Associate): 臨床モニター担当者
- CRC (Clinical Research Coordinator): 治験コーディネーター
- CRDMO (Contract Research, Development and Manufacturing Organization): 医薬品研究・開発・製造受託機関
- CRO (Contract Research Organization): 医薬品開発業務受託機関
- DCT (Decentralized Clinical Trial): 分散型臨床試験
- eCRF (Electronic Case Report Form): 臨床試験データを電子的に入力・管理する症例報告書
- eSource (Electronic Source): 電子的に記録・管理される原資料(電子カルテや医療機器データ)
- SDV (Source Data Verification): 治験データの基となる原資料(カルテや検査結果など)と症例報告書に入力されたデータが一致しているかを確認する作業
- SMO (Site Management Organization): 治験施設支援機関

■ データ・AI関連

- FHIR (Fast Healthcare Interoperability Resources): 医療情報の相互運用を実現する国際標準規格
- PHR, Personal Health Record: 患者自身が管理する健康・医療情報
- RWD, Real-World Data: 電子カルテやレセプトなどの日常診療で得られる医療データ

出所:三井物産戦略研究所作成

²³ PHR, Personal Health Record (パーソナルヘルスレコード): 患者自身が管理する健康・医療情報。健診結果、服薬歴、バイタルデータなどを蓄積し、医療機関や治験での活用が期待される。

²⁴ FHIR (Fast Healthcare Interoperability Resources): 医療情報の相互運用を実現する国際標準規格。米国の医療情報標準化団体HL7 (Health Level Seven International) が策定する。

当レポートに掲載されているあらゆる内容は無断転載・複製を禁じます。当レポートは信頼できると思われる情報ソースから入手した情報・データに基づき作成していますが、当社はその正確性、完全性、信頼性等を保証するものではありません。当レポートは執筆者の見解に基づき作成されたものであり、当社および三井物産グループの統一した見解を示すものではありません。また、当レポートのご利用により、直接的あるいは間接的な不利益・損害が発生したとしても、当社および三井物産グループは一切責任を負いません。レポートに掲載された内容は予告なしに変更することがあります。