

臨床試験における AI活用: 現状と今後の展望



臨床試験ライフサイクル全体における
AI導入の実態・影響・期待に関する
調査結果とインサイト



目次

主な調査結果	3
業界調査結果の概要	4
調査方法	8
はじめに	9
AI時代のデータマネジメント：複雑さから明確さへ	12
スタディ構築	13
患者および施設データの収集・管理	14
データ統合および標準化	17
試験設計・計画：インサイトとシミュレーションで試験リスクの低減	21
革新的な試験デザイン	22
試験の立ち上げおよび実施	24
最適化された施設運営：AIによる負担軽減と業務効率の向上	26
患者体験：参加しやすさを高めるAIソリューション	29
次の時代に広がる業界の可能性	32
まとめ	35
参考文献	36

主な調査結果

I. AIはもはや不可欠である

臨床試験は年々複雑化しており、従来の手法ではもはや対応しきれなくなっています。競争力を維持し、遅延を減らし、増大するコストを抑制するために、AIは不可欠な存在となりつつあります。

360万件

フェーズ3試験では、現在、平均して360万件のデータポイントが収集されており、これは過去20年間で7倍の増加に相当します (Tufts CSDD, 2021)。

-\$40,000

治験の遅延により、1日あたり約\$40,000のコストが発生し、さらに1試験あたり\$500,000の売上損失につながるとされています (Fierce Biotech, 2025)。

II. AIは試験設計と実施を高度化している

不十分な計画は、コストのかかる試験計画変更や試験失敗の原因となります。AIはシナリオベースのモデリングを可能にし、試験設計の質を高めるとともに、開発期間の短縮やオペレーション精度の向上を実現します。

70%以上

AIを活用しているユーザーの70%以上が、プロトコル設計、施設のFeasibility調査、患者コホートの特定において効果を実感しています。

6ヵ月

1開発品目あたり、開発期間を6ヵ月短縮 (McKinsey, 2025b)

III. データマネジメントのスケールにはAIが不可欠

手作業によるデータ処理では、もはや対応しきれません。AIは、よりクリーンで迅速、かつ信頼性の高いデータを実現します。

70%

ユーザーの70%がデータ精度の向上を実感しています。

60%

61%がデータ収集の効率化を挙げています。

AIによって実現できること

AIは、大規模かつ複数ソースにまたがるデータセット全体において、異常検知と品質のオーバーサイトを可能にします。

IV. AIによる患者中心のアプローチ

試験の分散化が進む中、AIは適切な患者のエンゲージメントを支援し、リテンションの向上に貢献しています。

50%以上

50%以上が、個々に最適化されたなコミュニケーション、リマインダー、チャットボットにAIを活用しています。

3分の2

約3分の2が、患者集団（母集団）の特定が改善したと回答しています。

V. AIを早期に導入した企業が先行している

AIを活用する企業は、スピード、品質、コストの面で優位性を獲得しており、その差は時間とともに複利的に拡大しています。

73%

73%が、AIは期待どおり、または期待以上の成果をもたらしたと回答しています。

多くの企業が、得られた成果を将来の臨床試験に再投資し、継続的な進展を後押ししています。

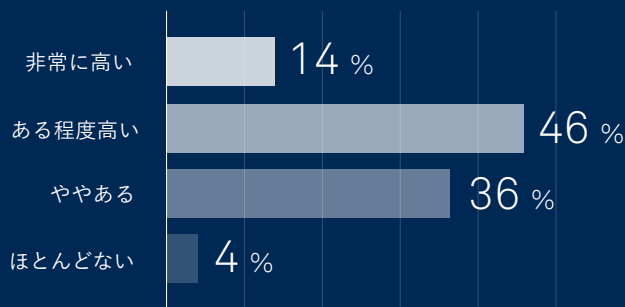
業界調査結果の概要

臨床試験におけるAI活用の現状をより深く理解することを目的として、メディデータはISR Market Researchに委託し、調査を実施しました。本調査では、臨床試験におけるAIの利用企業および未利用企業の双方を対象に、臨床試験におけるAI導入状況、現在のAI活用状況、AIが最も価値を発揮している領域、AI導入における障壁、ならびにAI導入によって得られた効果が事前の期待と比べてどの程度であったかなど、幅広い観点から質問を行いました。

本調査には、マネージャー層から経営層に至るまでの幅広い職位の回答者が参加し、臨床オペレーション、データマネジメント、データサイエンス、治療領域責任者、デジタルイノベーション、患者リクルートメント/エンゲージメントなど、多様な役割を網羅しています。

図1

臨床試験におけるAI活用に関する知識レベル



以降の調査結果は、臨床試験におけるAIについて「ある程度」または「非常に高い」知識があると回答した回答者のみを対象としています。

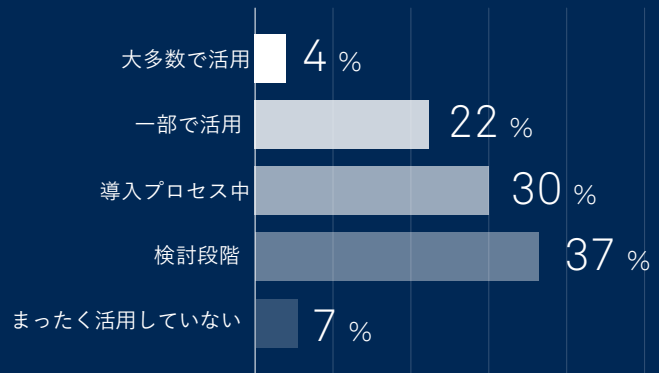
本調査では非常に前向きな結果が得られました。AI利用企業・未利用企業の双方を含む全回答者のうち60%が、臨床試験におけるAI活用について「非常に高い」または「ある程度の」知識を有していると自己評価しています(図1)。

臨床試験におけるAI導入は大きな勢いを見せており、大多数の企業がすでにAI活用に向けた取り組みを開始しています。

具体的には、AI利用企業のうち4%は、試験の大半においてすでにAIを活用しており、業界をリードする立場にあります。一方で、多くの企業は導入初期段階にあり、22%が一部の試験にAIを導入している段階で、30%は現在AI導入のプロセスにあります。

図2

臨床試験における企業のAI活用状況



さらに、37%の回答者は、所属企業が臨床試験におけるAI活用の可能性を現在検討中であると回答しています。一方で、今後12か月以内にAIを導入する計画がない企業は7%にとどまりました(図2)。AI導入によって得られる大きなメリットを踏まえると、この割合は看過できない数字と言えるでしょう。

これらのデータは、AI戦略をまだ持たない企業にとって、導入を加速させる大きな機会が存在していることを明確に示しています。

一方で、競争優位を獲得するための時間的な余地は急速に狭まりつつあり、この変化の激しい環境においてさらに後れを取らないためにも、可能な限り早期にAI導入の取り組みを開始することが重要です。

図3

AIは現在、臨床開発の全プロセスにわたる臨床試験業務で活用されている

注：回答者は、「社内で開発されたAI」と「外部で開発されたAI」の両方を選択することができたため、一部の項目では合計が100%を超えています。

AIは、臨床開発の全プロセスにわたるほぼすべての業務で活用されている一方で（図3）、特にデータ取得および品質管理、プロトコルの設計・最適化、患者集団およびコホートの特定、ならびにCSR（治験総括報告書）の作成・提出において活用が進んでいます。特筆すべき点として、AI利用企業の回答者の70%以上が、これら各業務において自社でAIを活用していると回答しています。

業務内容	外部AIの活用	社内開発AIの活用	AI未活用
プロトコル作成	34%	38%	34%
プロトコル設計・最適化	41%	43%	20%
患者集団／コホートの特定	43%	40%	25%
施設のFeasibility調査および選定	42%	37%	33%
国・施設立ち上げ	22%	22%	59%
EDC設定／スタディ構築	32%	29%	46%
無作為化	30%	17%	56%
治験薬供給管理	22%	24%	57%
同意取得	15%	11%	76%
eCOA導入・展開	22%	25%	59%
データ取得およびデータ品質管理	41%	52%	17%
個々に最適化された患者向けコミュニケーション／チャットボット	33%	29%	47%
来院スケジュールの自動化・リマインダー	39%	24%	46%
リスクベースの品質モニタリング	38%	33%	38%
外れ値・異常検知	38%	40%	32%
監査証跡レビュー	22%	28%	53%
施設モニタリング	30%	21%	55%
クエリ管理およびデータベースロック	28%	22%	54%
CSR（治験総括報告書）の作成と提出	37%	46%	28%



図4

AIが臨床試験業務をどの程度改善しているか

回答者は、AIが実際に活用されている業務において、全体として改善効果をもたらしていると評価しています。各業務におけるAI利用者のうち、3分の2以上が、CSR（治験総括報告書）の作成・提出、外れ値および異常検知、施設のFeasibility調査および選定、データ取得およびデータ品質管理、患者集団／コホートの特定、ならびに個々に最適化された患者向けコミュニケーション／チャットボットにおいて、AIが「ある程度」または「大きく」改善したと回答しています（図4）。これらの領域の多くは、今後12か月間においてAI活用への期待が最も高い業務分野としても挙げられており（図8）、現在の効果実感と将来の期待の両面で、AI活用を牽引する分野であることが示されています。

現在、当該業務においてAIを活用している企業のAI利用者の割合

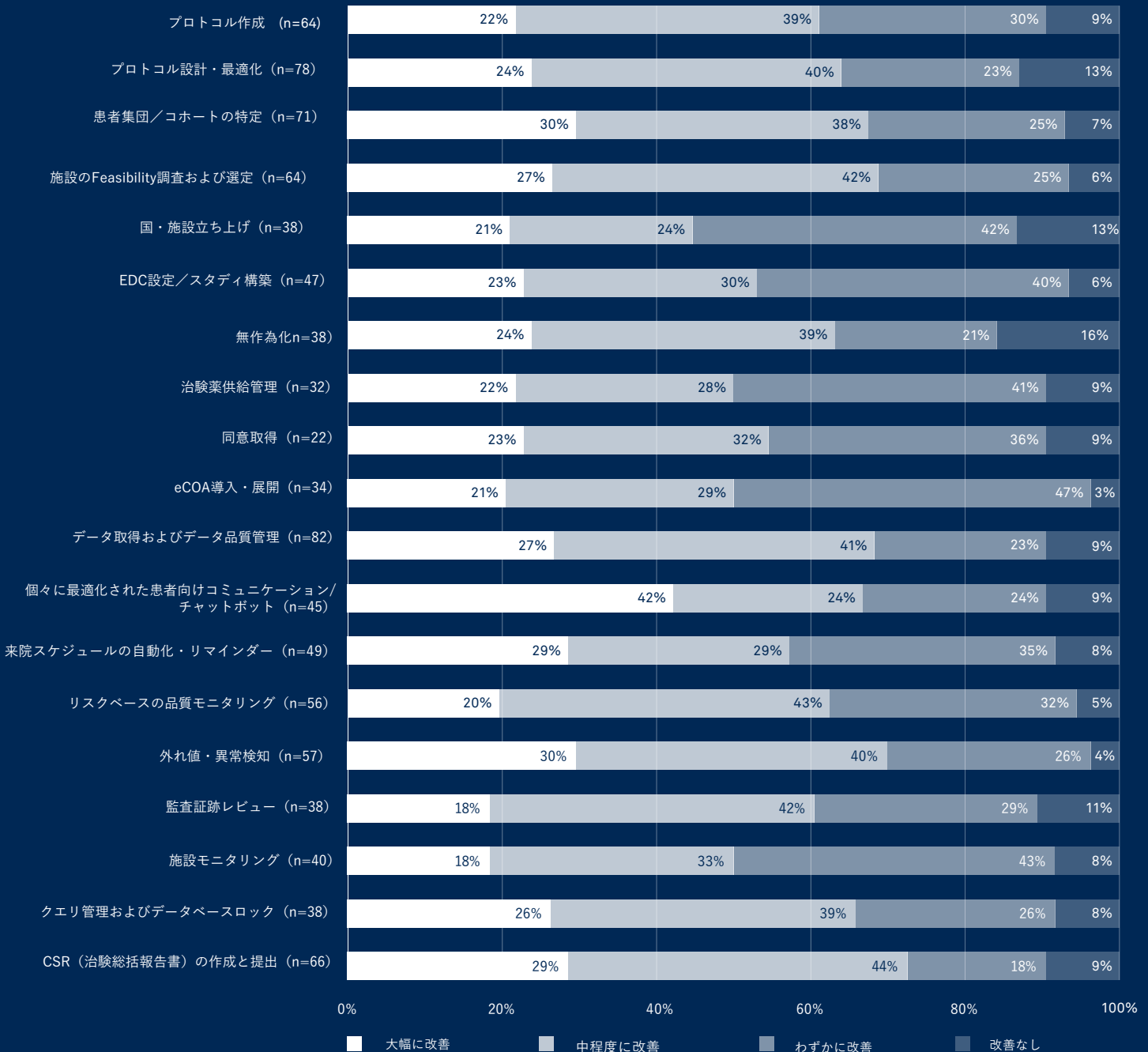
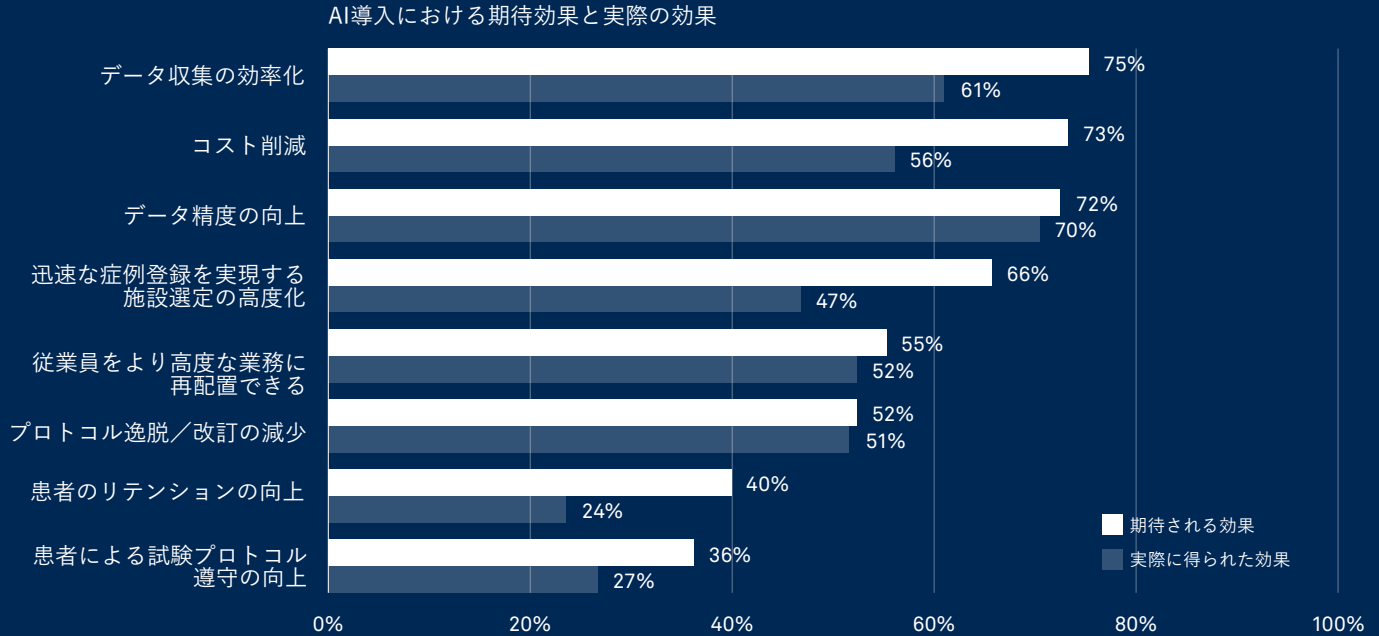


図5

臨床試験におけるAI導入の効果



臨床試験におけるAI導入は、いまだ比較的初期段階にあるものの、本調査ではいくつかの注目すべき成果が明らかになりました。具体的には、AI利用者の70%が、AIによってデータ精度が向上したと回答しており、61%はデータ収集が効率化されたと回答しています（図5）。

さらに本調査では、プロトコル逸脱や改訂の削減、人材をより高度な業務に再配置することなど、コスト削減や開発タイムラインの短縮につながる高いポテンシャルを持つ領域が明らかになりました。これらはいずれも、実際に得られた効果と事前に期待されていた効果が非常に近い水準で一致している分野です（図5）。

また、もう一つの重要な示唆として、「迅速な症例登録を実現する施設選定の高度化」におけるAIの実際の効果が挙げられます。この点については、AI利用者の約50%が効果を実感している一方で、期待効果は66%と、一定のギャップが見られました（図5）。過去の施設レベルの膨大なデータをAIで分析することで、症例登録目標の達成実績が高い施設を適切に選定できるようになり、その結果、症例リクルートメントの迅速化につながります。

本調査の結果から、臨床試験におけるAI利用者の大多数が、特に大きなコスト削減や時間短縮につながる主要領域において、期待を満たす、あるいはそれを上回る効果を実感していることが明らかになりました。また、期待されていた効果と実際に得られた効果との間にギャップが見られる領域は、企業が競争優位性を獲得するための有望な投資機会を示している点も注目すべき示唆です。

本調査で示された全体的な傾向から、臨床試験におけるAI導入において「アーリーマジョリティ」に加わらない場合、市場における競争優位性を失う可能性があることが示唆されます。現在、多くの企業が臨床試験のさまざまな領域でAI活用を進めており（さらに拡大中）、その結果、より迅速かつ低コストで試験を実施できるようになっています。

これにより、次の試験をより早く開始できるだけでなく、前回の試験で削減できたコストを再配分することが可能となり、競合他社に対する戦略的な優位性を生み出します。こうした優位性は、試験を重ねるごとにさらに拡大していきます。なぜ、今すぐ始めないのでしょうか。試験を高度化するためのツールはすでに利用可能であり、AI利用者の約73%が、AI導入によって得られた効果が期待を満たす、またはそれを上回ったと回答しています。

調査方法

本調査は、ブラインド方式によるウェブベースの定量調査として実施され、メディデータがスポンサーおよび資金提供を行いました。調査の実施にあたっては、第三者の市場調査会社が独自のパネルを用いて専門家を募集し、2025年5月～6月にかけて調査を実施しました。参加者については、適切な意思決定経験を有していることを確認するためのスクリーニングが行われています。

参加者の募集条件は以下のとおりです：

参加者は、米国、カナダ、または欧州に所在する製薬企業、バイオファーマ/バイオテクノロジー企業、もしくはCRO（開発業務受託機関）に現在勤務しており、マネージャー、ディレクター、プレジデント/SVP/VP、またはCレベル（経営層）の役職に就いていることが条件とされました。

また、参加者については、臨床オペレーション、プロジェクトマネジメント、臨床テクノロジー、データマネジメント、データサイエンス/生物統計、デジタルイノベーション、経営管理、後期開発（レイトフェーズ）、HEOR、レジストリ、メディカル/治療領域責任者、患者リクルートメント/エンゲージメント/Feasibility調査、またはR&Dマネジメントといった関連分野における責任を有し、フェーズI～IVのいずれか少なくとも1つの臨床開発段階に関与していることを確認するためのスクリーニングが行われました。

本調査では、臨床試験におけるAI活用に関する参加者の知識レベルおよび所属企業におけるAI活用状況を評価しました。回答内容に基づき、参加者はAI利用者（n=105）とAI未利用者（n=100）*に分類されました。AI利用者は詳細版のアンケートに、AI未利用者は簡易版のアンケートに回答しています。

なお、AI導入プロセス中の企業に所属する回答者は当初AI未利用者として分類されましたが、特定の設問への回答内容に応じて分類が変更される場合があります。

統計解析は、95%信頼区間に基づいて実施され、企業規模や地域といったセグメントを考慮した上で、回答者間の差異が検証されました。

ISRについて：

ISR Market Researchは、一次調査手法を活用し、創薬・医薬品開発業界に関する新たなインサイトを提供しています。ライフサイエンス分野に特化した独立系の市場調査パートナーとして、ISRは、汎用的な調査会社では実現できない高い専門性と精度に基づく、データドリブンな意思決定をクライアントが行えるよう支援しています。ISRのアナリストは、この分野で15年以上の経験を有する業界の専門家であり、また、ISR独自のライフサイエンス・パネルのメンバー構成を厳格に管理・精査しています。ISRは、多様な地域、職位、役割・責任を持つ回答者から一次データを収集してきた豊富な実績を有しており、こうした貴重な実地経験に基づくデータは、既製のシンジケートレポートおよび高品質なカスタムリサーチの双方に活かされています。



はじめに

臨床試験業界は重要な転換点を迎えており、AIを活用した臨床試験が今後の標準となりつつあります。競争力を維持するためには、従来の手法では今日の複雑化した試験に対応できないことを踏まえ、AI活用を前提としたインフラの導入が不可欠です。

本ホワイトペーパーでは、一次調査および二次調査の双方を活用し、人工知能（AI）が臨床試験ライフサイクル全体をどのように変革しているのかを明らかにします。AIが現在特に活用されている領域を示すとともに、競争優位性をもたらし得る機会を特定することで、急速に進化する環境においてAIを導入しなければ取り残されるリスクがあることを強調しています。

現在、臨床研究は多くの機会と課題に直面しています。中でも大きな課題の一つが、設計面・運用面の双方において臨床試験がますます複雑化していることです。

現代の臨床試験は、分散化が進むとともに、革新的な試験デザインが採用され、評価項目、手順、データソースの数が拡大しています。その結果、データ量は急激に増加しており、第III相試験では平均360万件のデータポイントが収集されるようになってきました。これは20年前と比べて7倍以上の増加です（Tufts CSDD, 2021）。

総じて、現代の臨床試験は、以下のような複数の重要な要因により、引き続き複雑化の一途をたどっています。これには次の点が含まれます。

分散型試験（DCT）をはじめとする革新的な試験デザインの採用

評価項目および手順の増加

データおよびデータソースの多様化

個別化された多段階投与設計

リモートモニタリング手法の導入

患者中心アプローチへの注力の高まり

試験途中における計画的・非計画的な変更

複数の地域・言語にまたがる試験実施

第III相試験

平均360万件の
データポイント
(20年前の7倍)

複雑化した臨床試験は、効率性の向上、臨床開発の加速、全体コストの削減といった大きな可能性をもたらすと同時に、将来的な適応拡大や、その他の商業的に価値のあるインサイト創出への道を切り開くものでもあります。一方で、これらのメリットを最大限に活かすためには、試験の複雑性が進行を妨げることはないよう、増え続ける要件や要求に対応できる十分な準備が、スポンサーおよびそのパートナーに求められます。

これらの複雑性を的確に乗り越えるための成功の鍵となる重要な要因の一つが、AIを含む適切なテクノロジーを戦略的に導入することです。

AIは、現代の臨床試験に伴うさまざまな課題を管理するうえで不可欠であり、データマネージャー、医療機関（施設）、その他の関係者が、試験に伴う過度な負担に圧倒されることを防ぐ役割を果たします。臨床試験へのAI統合は、研究開発（R&D）投資が増加しているにもかかわらず医薬品承認数が伸び悩んでいるという創薬分野が直面する状況の中で、高まる競争圧力や財務上の課題に対応する有効な手段として位置づけられています。

実際、臨床試験、規制当局による承認、商業上市の遅延は、1日あたり約4万ドルのコスト増につながり、約50万ドルの売上損失をもたらすとされています（Fierce Biotech, 2025）。こうした遅延の要因には、プロトコル改訂の増加（Getz, 2022）などが含まれます。一方で、アセットの集中管理、急速に進化する臨床実務、開発コストの高騰といった環境下で競争優位を維持するためには、開発期間の短縮がこれまで以上に求められています。

複雑な試験デザインは、これまで一部の治療領域で主に用いられてきましたが、より少ないリソースで高い成功確率を実現できることや、複数の疾患や患者集団を対象に、複数の治療法を同時に、かつ短期間で検証できるといった利点が注目されるようになり、現在ではより幅広い治療領域で採用が進んでいます。また、規制当局もこの変化する環境に適応しつつあります（Markey, 2024；FDA, 2022）。

こうした環境下で成功を収めるためには、AIを臨床試験ワークフロー全体にわたって統合することが不可欠であり、そのためには効果的な変更管理の重要性が改めて浮き彫りになります。実際、デジタルトランスフォーメーションの70%は、技術的な問題ではなく、変更管理の配慮不足によって失敗していると報告されています（McKinsey & Company, 2024）。このような背景から、臨床研究に取り組む企業は、AIを活用したテクノロジーの導入に強い関心を示しています。

さらに、業界関係者を対象とした最近の調査では、臨床試験におけるAIへの高い関心と、今後の成長可能性が明確に示されています（「業界調査結果の概要」セクション参照）（Medidata, 2025a）：

- 22% 回答者の企業では、一部の臨床試験においてすでにAIが活用されている
- 30% 臨床試験へのAI導入・利用を現在進めている段階にある
- 37% 臨床試験におけるAI活用の可能性を積極的に検討している

これらの調査結果は、臨床試験におけるAI統合が力強いトレンドとなっていることを示しており、企業が試験設計・実施、データマネジメント、患者エンゲージメントといった臨床試験ライフサイクル全体にわたる業務効率の向上において、AIの価値をますます認識していることが明らかになっています。

AIは、現代の臨床試験が直面する多くの課題に対し、予測性、自動化、知能化を備えたエコシステムを構築することで、真正面から対応できる変革的なソリューションを提供します（Azenkot, 2025；Lu, 2024；Askin, 2023）。

近年、AIはハードウェアの進歩や大規模な学習データの活用によって飛躍的な進化を遂げており（Lu, 2024）、さらにCOVID-19パンデミックを契機として、臨床試験におけるデジタルトランスフォーメーションが大きく加速しました（McKinsey & Company, 2020）。臨床試験ライフサイクル全体へのAIの組み込みは急速に進展しており、すでに有望な成果が報告されています（Hutson, 2024；Anuyah, 2024）。

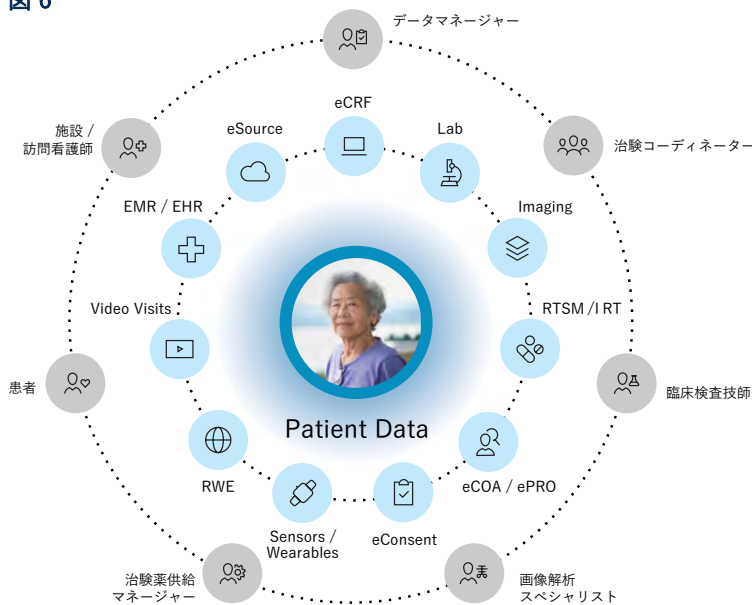
また、McKinsey & Companyによる最近の調査（2025b）では、バイオファーマ企業におけるAIパイロットプログラムから得られた重要な示唆が示されています。その結果、AIの活用により、1アセットあたり平均6か月の開発期間短縮が実現しており、これはすべてのステークホルダーにとって有益であると同時に、患者が革新的な治療へより早くアクセスできることにも寄与しています。さらに、企業は生成AIを活用することでこれらの成果を一層拡張し、試験プロセスのさらなる効率化、ステークホルダーエンゲージメントの強化、そして意思決定の高度化を実現しています（McKinsey & Company, 2025b；2023；FDA, 2025）。

AIの活用により、1アセットあたり平均で6か月の開発期間短縮が実現しており、すべてのステークホルダーに利益をもたらしています。中でも、患者が革新的な治療により早くアクセスできる点は大きな利点です。

AI時代の データマネジメント： 複雑さから明確さへ

デジタル化されたデータが、多様で断片化された非構造データソースから大量に生み出されるようになったことなどを背景に、現代の臨床試験はますます複雑化しています（図6）。その結果、臨床試験は「新たなデータの常態（new data normal）」とも言える局面に入っています。この環境下では、データソースの種類が継続的に進化・拡大しており、第III相試験では平均360万件のデータポイントが収集されるようになっていきます（Tufts CSDD, 2021）。さらに、電子的な原資料（eSource）の急速な普及により、従来の紙ベースのデータソースは急速に置き換えられつつあります。

図 6



臨床試験データ環境の 急速な進化

収集されるデータ量は、人が効率的に試験データをレビュー・分析できる能力を大きく超える規模に達しています。

その結果、AIはデータマネジメントチームにとって不可欠なツールとして急速に存在感を高めています。AIを活用したソリューションは、大量のデータを高い効率で処理・分析できるためです。実際、企業はすでにデータマネジメント業務の改善にAIを活用しており、調査回答者の3分の2以上が、データ取得、データ品質管理、外れ値および異常検知といったデータマネジメント関連業務において、AIが「ある程度」または「大きく」改善効果をもたらしたと回答しています（図4）（Medidata, 2025a）。

以下のセクションでは、スタディ構築から、患者および施設データの取得・管理、さらにはデータ統合および標準化に至るまで、臨床試験におけるデータマネジメントをAIがどのように支援できるのかを詳しく解説します。

スタディ構築

スタディ構築のプロセスは、非常に時間を要する工程として知られており、すべてのプロトコル要件が規制要件を遵守した形で正確に実装されていることを確認するために、関係者間での広範な連携が求められます。

AIのインパクト

AIは、業界平均で約73日を要するとされるスタディ構築期間を大幅に短縮する可能性を持っています（Tufts CSDD, 2019）。AIを活用したスタディ構築は、エラーを低減し、効率を高めることで、より迅速に展開可能な試験の立ち上げを実現します。さらに、AIによる自動チェックおよびバリデーションにより、スタディ構築が品質要件および規制要件を満たしていることが確実に担保されます。

人の言語理解に優れた自然言語処理（NLP）アルゴリズムを活用することで、症例報告書（CRF）、来院スケジュール、論理チェックといった非構造化されたプロトコル要素を、EDC向けの構造化された仕様へと自動的に変換することが可能になります。

主な検討ポイント:

eCRF設計

割付および治験薬供給管理（RTSM）の設定

eCOA（電子的臨床アウトカム評価）の設定

論理チェックの設定およびバリデーション

イベント（来院）スケジューリング

検査値範囲の設定

データ取り込み（多様なデータソースから）

TMF（Trial Master File）の設定

カスタムレポートのプログラミング

メディカルコーディングの設定

患者および施設 データの取得・管理

現代の臨床試験は、データドリブン化が進む一方で、その分、複雑性も増えています。eSource（電子的原資料）データは、インサイトに富んだ高品質かつ大量のデータ収集を可能にした一方で、その膨大な規模ゆえに、データマネジメント上の新たな課題も生み出しています。



AIのインパクト

AIを活用したソリューションは、膨大な情報を高い効率で処理・分析することに優れており、スポンサーおよびそのパートナーがほぼリアルタイムでインサイトを得て、より迅速なデータドリブンの意思決定を行うことを可能にします。

以下では、リアルワールドデータ（RWD）を臨床試験データ、医療画像、メディカルコーディングと連携させる文脈において、AIがデータマネジメントおよびデータ取得にどのような影響を与え得るかの具体例を示します。

拡大するデータエコシステムは、組織面においても新たな負荷やひずみを生み出しています：

・施設

複数のシステムや文書要件を並行して管理する負担が増大しており、その結果、データ入力の遅延、エラー率の上昇、データ取得手法のばらつきが生じています。

・スポンサー

下流工程への影響として、データベースロックまでの期間延長、試験進捗の可視性低下、ならびに照合や品質保証に要する作業負荷の増加が挙げられます。

さらに、このように分断された環境では、最も必要とされるタイミングでインサイトを引き出すことが困難になります。

スポンサーは、症例登録の最適化、新たな安全性シグナルの監視、運用シナリオのモデリングなどを目的として、ほぼリアルタイムでのデータドリブンな意思決定をますます求められていますが、時代遅れのデータフローや、工数を要する手作業プロセスによって、その対応が制約されています。

データマネジメント

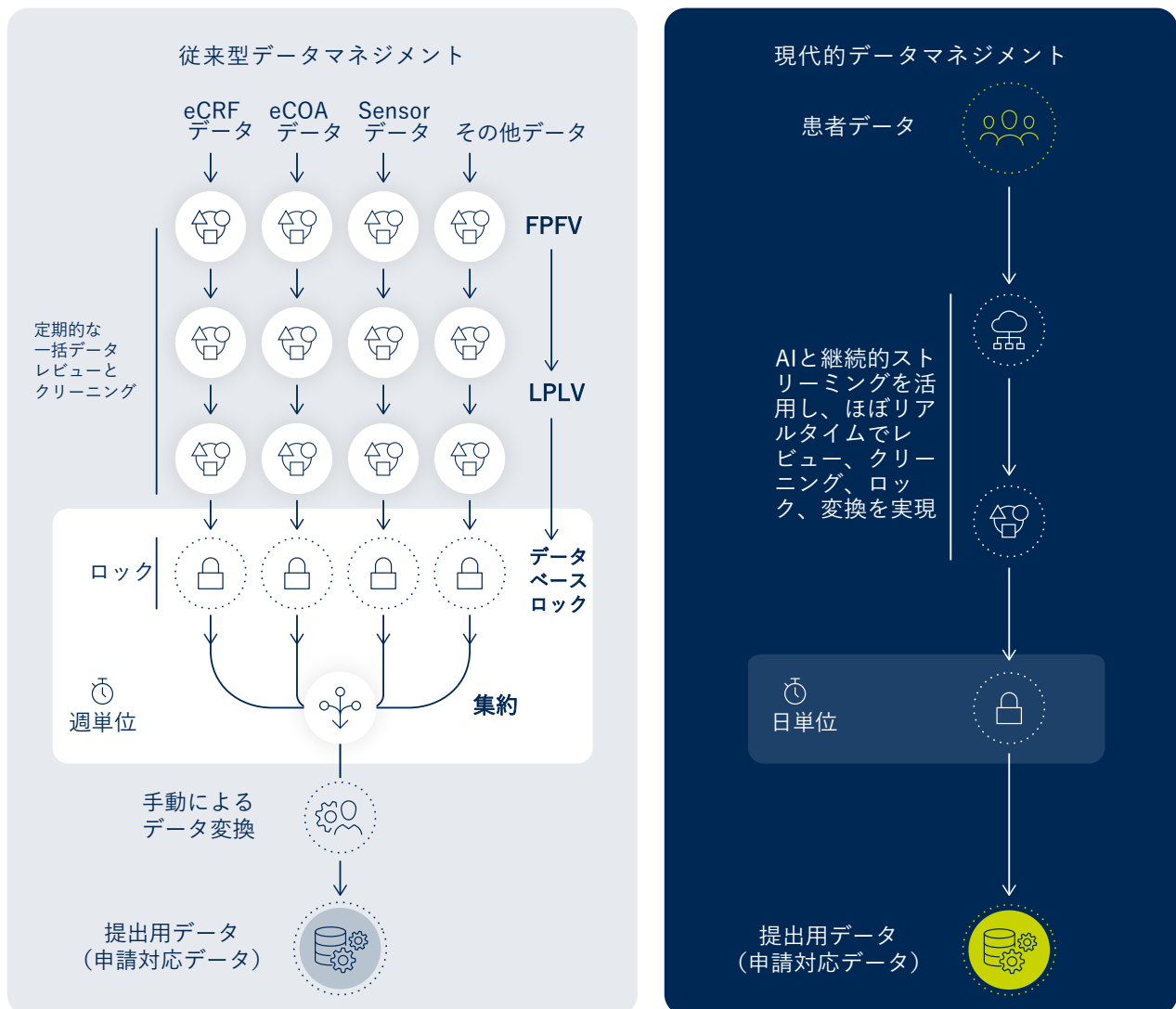
データマネジメントの将来は、自動データ処理、異常検知、施設の行動分析を行うインテリジェントなAI搭載ツールへの依存度がさらに高まっていくと考えられます。これにより、手作業によるモニタリングや原資料照合を不要にし、最終的にはデータベースロックまでの期間短縮につながります。実際、最新の調査結果では、AIユーザーの83%がすでにデータ取得およびデータ品質オーバーサイトの活動にAIを活用していることが示されています(図3)。AIはまた、より精度の高いプロトコル調整、リアルタイムでのリスクレビュー、追加支援が必要となる可能性のある施設の特定を可能にします。

一方で、これらのツールに対する人によるオーバーサイトは依然として不可欠です。AIの目的は人の判断を置き換えることではなく、潜在的な問題をより早期に特定することで人の判断を補完し、チームがより高度な思考や意思決定に注力できるようにすることにあります。

以下の図は、従来型のデータマネジメントと、現代的なデータマネジメント手法との主な違いを示しています。試験終了時やバッチ処理ではなく、ほぼリアルタイムでデータ処理を行うことで、規制遵守を維持しながら、データベースロックをより早く完了させ、解析を迅速に開始することが可能になります(図7)。

図7

従来型データマネジメントと 現代的データマネジメントの比較



データ取得

AIは、RWDを臨床試験データ、医療画像、メディカルコーディングと統合するプロセスを高度化しています。

リアルワールドデータ (RWD) と臨床試験データの連携

(トークナイゼーション/データ連携)

RWDは、長期的（縦断的）なインサイトを提供する貴重なデータである一方、構造化や一貫性に欠けることが少なくありません。EHR（電子カルテ）には、病歴、検査結果、投薬、介入、予後など、広範な縦断的臨床データが蓄積されていますが、これらをAIで解析する能力と組み合わせることで、疾患や患者の理解をより深めることが可能になります。EHRを活用する主要な取り組みとしては、DNAバイオリポジトリとEHRを連携するElectronic Medical Records and Genomics (eMERGE) Network¹や、9億7,400万人以上の参加者を含むデータネットワークを有し、Observational Medical Outcomes Partnership (OMOP) 共通データモデル (CDM) に正規化されたObservational Health Data Sciences and Informatics (OHDSI)²などが挙げられます。この文脈において、日常的に収集されるデータへAIを適用することは、リアルワールドにおける臨床アウトカムの理解や、創薬・医薬品開発プロセス全体の高度化を前進させています。

医用画像

臨床試験に医療画像を組み込む際には、取得プロトコルの遵守、患者プライバシーの保護、画像データレビューの遅さや判定のばらつきといった複数の課題が存在します。

AIは、画像取得プロトコルへの準拠を担保するための論理チェックを支援できます。例えば、DICOMタグ（スライス厚、撮像シーケンスなど）やその他のデータ形式に保存された情報を検証することが可能です。これらの論理チェックにより逸脱を早期に検知でき、評価不能画像や重複画像が発生する可能性を低減します。さらに、AIベースのコンピュータビジョンや光学文字認識 (OCR) 技術を活用することで、画像上に表示されている、あるいはピクセル情報として埋め込まれている保護対象医療情報 (PHI) を自動検出し、一括マスキング（匿名化処理）することが可能です。また、不要な画像をフィルタリング・除去する手法により、データ品質の向上と施設側の負担軽減を同時に実現できます。

RECIST基準に基づく腫瘍計測など、画像エンドポイントに依存する試験では、AIが放射線画像を高速かつ一貫性をもって解析することで大きな価値を発揮します。アルゴリズムはスキャン画像から病変を自動検出・計測し、RECIST定義に基づいて腫瘍の増減を判定する支援を行うため、RECIST評価の迅速化が期待されます (Friends of Cancer Research, 2025 ; Dahm, 2024)。

¹ eMERGE: <https://www.genome.gov/Funded-Programs-Projects/Electronic-Medical-Records-and-Genomics-Network>
² OHDSI: <http://ohdsi.org/>

AI技術は、医療画像解析の精度と効率を向上させ、診断精度の向上、処理速度と効率の改善、人的エラーの低減、リソース最適化といった潜在的なメリットをもたらします (Najjar, 2023 ; Pinto-Coelho, 2023)。なお、AIは放射線科医に取って代わるものではなく、信頼できるセカンドリーダーや予備スクリーニング手段として機能することで、データの完全性を損なうことなく業務効率を高める役割を果たします (Zheng, 2025 ; Friends of Cancer Research, 2025)。

メディカルコーディング

メディカルコーディングは、複雑に絡み合った医療用語体系を扱う時間集約的な作業であることに加え、正確性と一貫性の確保、そして関連規制を遵守しながら膨大なデータセットに対応できる高度な専門スキルを持つコーディング担当者の必要性など、多くの課題を伴う重要な業務です。

メディカルコーディングにおけるAIの役割は急速に進化しており、その重要性はますます高まっています (Medidata, 2024a ; South, 2022)。例えば、生データの取り込み後に用語の自動コーディングが行われた段階で、AIはオートコーディングのヒット率を向上させるとともに、将来の試験に向けた追加の学習データを生成することが可能です。

自動コーディングできなかった用語については、AIアルゴリズムが未対応箇所を検出し、解決案を提示すると同時に、メディカルコーディング専門家の判断から学習することで、効率性と一貫性を継続的に向上させます。検証ワークフローの中で、コーディング担当者がAIによる提案内容を確認し、専門的な知見を提供することで、AIのさらなる学習が促進されます。最終的には、医療用語辞書の専門家が手動でコーディングされたデータをレビューします。

ある推計によると、辞書を用いた手動の「参照・検索」プロセスでは、1件の逐語データ (verbatim) をコーディングするのに平均約5分を要するのに対し、AIによる予測は数秒で完了します。数千件の逐語データを扱う試験では、AIによる自動コーディングによって数十～数百時間の作業時間削減が可能になります。さらに別の推計では、高い信頼度閾値を設定したオートコーディングにより、逐語データ1,000件あたり最大69時間の削減が見込まれ、データレビュー時にコード化済み用語を即座に利用できることや、安全性システムへの直接連携など、下流工程における重複作業の最小化といった効果も期待されています (Medidata, 2024a)。

またAIは、同一の逐語用語や医薬品が、異なる辞書を用いることで異なるコードに割り当てられている不整合を検出するためにも活用されています。こうした差異は自動的にフラグ付けされ、メディカルコーダーがレビューおよび修正を行うことで、コーディングの整合性が確保されます (Medidata, 2024a ; South, 2022)。

データ統合および標準化

現代の臨床試験では、より複雑で多様なデータセットが取り扱われるようになっており、スタンドアロンのツール、レガシーシステム、分断されたワークフローでは、急速に対応しきれなくなっています。

こうした旧来の手法は、データサイロや重複作業を生むだけでなく、データ形式の不整合を招き、相互運用性や意思決定を阻害します。

現代の試験要件に応えるためには、試験設計から申請に至るライフサイクル全体を通じた、シームレスなデータ統合と標準化が不可欠となっており、効率性、正確性、規制遵守を実現するための重要な基盤となります。このプロセスにおいて、データの照合およびレビューは、各データセットの一貫性と信頼性を担保する上で重要な役割を果たします。

AIのインパクト

AIは、大量の情報を処理・分析する能力に優れていることから、データ統合および標準化をリアルタイムかつ大規模に実行可能にし、この領域を急速に変革しています。これにより、ほぼリアルタイムでインサイトを得て、より迅速なデータドリブンの意思決定が可能になります。

実際、本調査の結果によると、AI未利用者の回答者の約3分の1が、今後1年以内に自社でデータ標準化のためにAIを導入すると予測しており（Medidata, 2025a）、この機能においてAIがもたらす価値への認識が高まりつつあることが示されています。以下のセクションでは、データ統合および標準化におけるAIのインパクトについて、これらのプロセスを支える主要な業務である監査証跡レビュー、データ照合、品質マネジメントを含めて詳しく解説します。

データ統合および標準化

臨床試験データセットを規制当局提出用の共通フォーマット（例：CDISC SDTM）へ変換する作業は、従来、手作業を伴う時間集約的なプロセスでした（Bobbitt, 2019）。

現在では、こうした従来型の時間を要するバッチ処理に代わり、AIを活用したソリューションが、インテリジェントなワークフローを用いて、複数の異なるデータソースをまず同一環境に集約（コロケーション：最初の重要なステップ）し、その後標準化を行うようになっています。

CDISC（CDASH、SDTM、ADaM）、FHIR、OMOPといった標準を活用することで、アルゴリズムは生データセットを規制要件に沿った形式へ、高い精度とスピードで自動マッピングすることが可能になります。ある業界調査では、CDISCのCDASHおよびSDTMメタデータと、20試験分の臨床試験データを活用してAIアルゴリズムによるSDTMマッピングが実施されました。その結果、AEドメインにおいて98%のマッピング精度が達成され、人の介入なしでの処理が実現しています（Tomioka, 2018）。

その後、カスタムデータモデルを用いることで、データに意味的な解釈（セマンティックな意味付け）を付与し、特定の解析モデルに適合する新たな変数を導出することが可能となります。これらの処理は、リモートのデジタル監視ツールを通じて、ほぼリアルタイムかつシームレスに実行され、自動化されたインテリジェントなアルゴリズムが、すべてのデータソースにわたって異常、不整合、確認すべきパターンを検出します。リアルタイムでの標準化には大きな利点があります。データが初期段階から統一された構造で整備されることで、論理チェックや解析を即座に統合データセット上で実行できるようになります（Thukral & Sanjay, 2023）。

監査証跡レビュー

監査証跡は、臨床試験データに関する変更や操作を時系列で記録する仕組みであり、規制要件として必須とされています。

臨床研究者にとっての大きな課題の一つが、米国FDAにおける電子記録および電子署名の要件を定めた連邦規則21 CFR Part 11への対応に加え、EHRおよび監査証跡の標準を定めたISO 27789への準拠です。現代の臨床試験において監査証跡レビューを実施する際の主な課題には、データ量の増大、データ標準化の不統一、プラットフォーム間の統合課題、文書化のばらつきなどが挙げられます。

監査証跡は非常に大規模なデータセットであり、特定の疑問に答えるためには、膨大なログの中から必要なサブセットを抽出する作業が求められます。そのため、監査データから大規模にインサイトを抽出できるAI支援型の監査証跡レビューが、近年ますます採用されるようになってきています。本調査でも、AI利用者の47%が、すでに監査証跡レビューにAIを活用していると回答しています（図3）。

具体的な例としては、大規模言語モデル（LLM）を用いて、データ入力内容、特定期間内の変更、重要なデータ変数の修正、クエリ解決状況などについて、的を絞った質問を行うことが可能です。たとえば、データレビュー担当者はAIアシスタントに対して、「データベースフリーズ後に修正された患者レコードはどれか?」「4月に施設5で血圧データに加えられたすべての変更を表示してほしい」といった質問を投げかけることができます。

AIは監査ログを解析し、何千行にも及ぶログを人が手作業でフィルタリングする代わりに、該当するデータのみを抽出して提示します。これにより、監査証跡レビューは従来の数日単位から、わずか数秒で完了可能となり、コンプライアンスのオーバーサイトの効率が大幅に向上します。

さらにAIは、監査ログを継続的にモニタリングし、たとえば特定の施設で異常に多くのデータ変更が行われている場合や、通常とは異なる時間帯にユーザーアカウントへのアクセスが発生している場合など、データ改ざんやプロトコル不遵守の可能性を示唆する異常を検知することも可能です（Medidata, 2025b）。

このように監査証跡分析を自動化することで、データの完全性が向上し、チームは不正や逸脱の兆候に迅速に対応できるようになります。

重要な点として、規制当局は監査証跡の100%を手作業でレビューすることを求めているわけではありません。むしろ、リスクベースでAIを活用し、重要な課題に焦点を当てるアプローチは、規制ガイダンスとも整合しています（FDA, 2024）。

データ照合

データ収集後は、データの正確性と一貫性を確保するために、継続的なレビューおよび照合が必要となります。しかし、これを手作業で行うことは、特に高度なデータ品質チェックにおいて、リソースを多く消費し、ヒューマンエラーが生じやすいという課題があります。

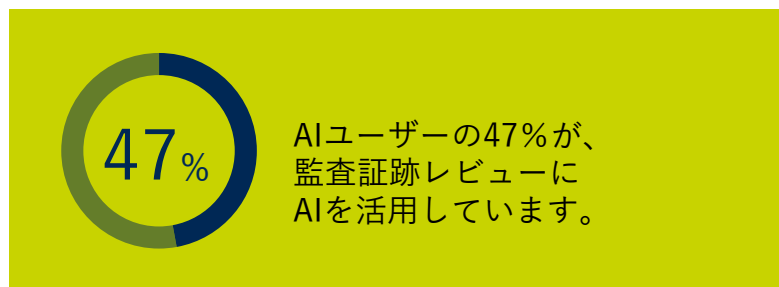
AIを活用したデータ照合は、データレビューのサイクルタイムを大幅に短縮するとともに、人為的ミスリスクを低減することで、データマネジメントチームを支援します。AIツールは、従来は人が行っていた詳細で反復的なプロセスを自動化し、データマネージャーの能力を拡張することで、業務効率の向上を実現します。

知識ベース型アーキテクチャで学習したAIモデルは、有害事象（AE）、併用薬、既往歴、検査値といった要素間の複雑な関連性を評価・順位付けし、過去データ、オープンソースモデル、医療オントロジーに基づいて信頼度レベルを付与することができます（Medidata, 2024b）。

このアルゴリズムによるアプローチは、従来、手作業のレビューに費やされていた時間を数時間単位で削減するとともに、複雑なデータ品質チェックにおけるヒューマンエラーの可能性を低減することで、データマネジメントのリスクを軽減します。また、AIは見逃されがちな項目を検知できる可能性を高める点でも有効です。たとえば、併用薬が登録されていないAEを特定するレポートを作成する際、順位付けされた関連性を用いることで、潜在的な不整合を検出し、修正すべき関連付けを提案できます。

具体例として、AIは、AE「高血糖（hyperglycemia）」がインスリンの併用薬と関連付けられるべきである、あるいは、既往歴のないAEが記録されている場合には、新たな状態としてフォローアップが必要である可能性を示唆することがあります。

これらの提案は、ヒューマン・イン・ザ・ループ（人の関与を前提とした）プロセスを通じてユーザーに提示され、レビューおよび判断が行われます。この仕組みにより、現在の不整合が解消されるだけでなく、その判断結果がモデルの学習にフィードバックされ、将来の提案精度が向上します。その結果、より網羅的かつ効率的なデータ照合プロセスが実現し、解析に適した、よりクリーンで信頼性の高いデータセットが得られます。



品質マネジメント

包括的な臨床データ品質戦略を実装することは、データポイントの量と多様性が膨大で、人が効率的にレビュー・分析できる能力を超えているため、容易ではありません。

リスクベースド・モニタリング (RBM) および、その発展形であるリスクベースド・クオリティ・マネジメント (RBQM) は、高リスクの変数や施設に焦点を当てること、ならびに統計手法を用いたリモートのセントラルモニタリングを活用することで、効率性・スピード・品質を高める有効な戦略を提供します (Venet, 2012 ; Dirks, 2024 ; Ullagaddi, 2024)。

RBQMは、従来のRBMを超えて、プロトコル設計の初期段階から試験終了まで、臨床試験ライフサイクル全体にわたってリスク評価と低減策を統合します。RBQMは部門横断的な取り組みであり、患者安全性の向上、データ完全性の確保、業務効率の改善、そして質に関する重要な要因 (CTQ : Critical to Quality) に注力することによるコスト削減を目的としています。

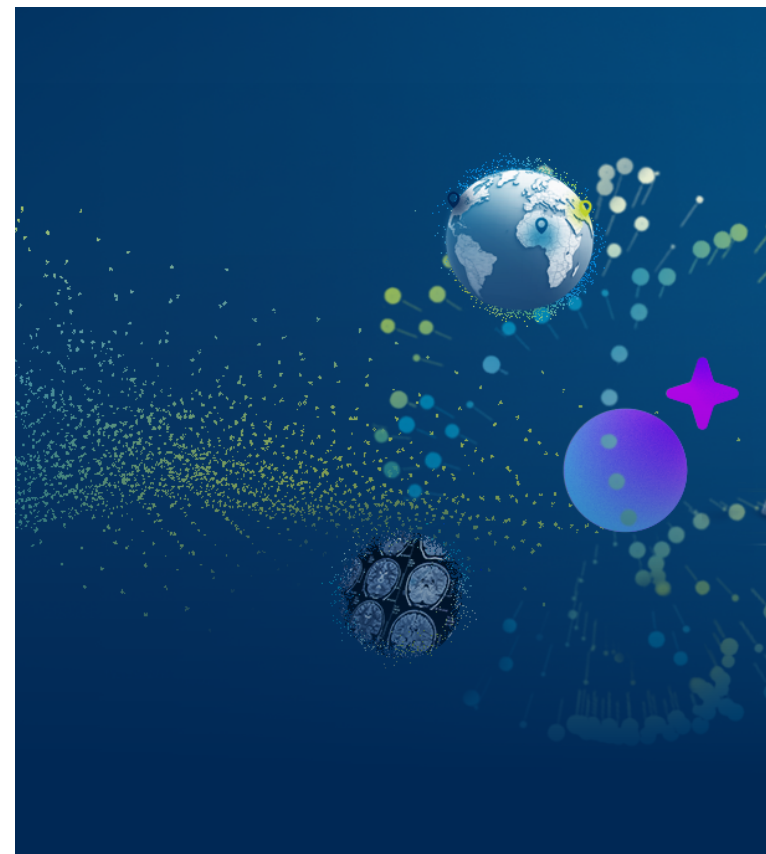
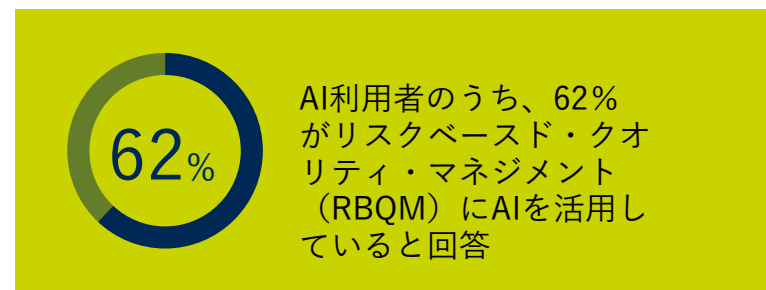
Tufts Center for the Study of Drug Developmentによる2023年の調査では、スポンサーおよびCROの57%が、半数以上の臨床試験でRBQMの要素を取り入れていることが示されています (Dirks, 2024)。また、より最近の当社調査では、AI利用者の62%が、自社でRBQMにAIを活用していると回答しています (図3)。

研究者は、「質に関する重要な要因 (CTQ)」となるデータポイントの予測、リアルタイムでのデータレビュー、データ問題の予防的な検出・解決を目的として、データ品質ワークフローにAIを積極的に統合しています。たとえば、AIアルゴリズムは、入力されるデータを継続的にスキャンし、基準外の値、異常な傾向、データ異常を示唆する相関関係を検出できます。

さらに、AIによる施設行動分析は、データ検証の取り組みを一層強化しています。EDCシステムへの入力時点での論理チェックなどのエンドツーエンドのデータ検証ルールや、構造化されたクエリワークフローによるクローズドループの課題管理を実装することで、プロセスの効率化と手作業による品質管理時間の削減が実現しています。

従来、試験コストの中で2番目に大きな要因とされてきたオンサイトモニタリングは、セントラルモニタリングやリモートモニタリングの採用拡大に伴い、徐々に減少しています。これらの変化は、臨床試験コストの削減とも関連しています。

AIは、試験期間中に有害事象 (AE) データを継続的にモニタリングすることで、新たに出現する安全性シグナルの検出に活用されています。定期的な手作業によるレビューを待つのではなく、アルゴリズムが特定の治療群や患者サブグループにおけるAEの集積といったパターンを検出し、より早期の介入を可能にします。





以下は、AIを活用したバリデーションツールと従来手法を比較し、さまざまなバリデーション指標における成果を示したものです (Vellanki, 2025)。

表1 成果比較：AI主導のバリデーションツールと従来手法

成果指標	AI主導のバリデーション	従来手法
データバリデーションに要する時間	時間を30~40%削減	時間を要する手作業中心のプロセス
データ精度	不整合の検出が20%高速化	ヒューマンエラーのリスクが高い
エラー検出	リアルタイムでの異常検知	検証後のエラー検出
プロトコル逸脱	逸脱を25%削減	手動チェックでは見逃されがち
試験タイムライン	全体期間を15~20%短縮	手作業により期間が長期化
コンプライアンスリスク管理	予測分析により違反を低減	事後対応となり、遅延の可能性

From Vellanki, J. EXPLORE HOW AI-DRIVEN VALIDATION TOOLS CAN ENHANCE DATA INTEGRITY AND COMPLIANCE IN CLINICAL TRIAL MANAGEMENT. The International Research Journal of Modernization in Engineering Technology and Science. Volume 7, Issue 2, February 2025. DOI : <https://www.doi.org/10.56726/IRJMETS68334>.

Used under Creative Commons Attribution (CC BY) license (<https://www.irjmets.com/termsandcondition.php>)

業界では、あらゆる種類・規模のデータをシームレスに統合し、単一の信頼できるデータ基盤 (Single Source of Truth) として、ほぼリアルタイムで分析できる統合型プラットフォームへの移行が着実に進んでいます。これは、現代のデータ品質マネジメント戦略において不可欠な要素です。

このアプローチにより、リアルタイムでのデータバリデーションが可能となっており、Medidata Rave®のような一部のEDCプラットフォームでは、データ入力時に不整合を検出するインテリジェントなアルゴリズムが組み込まれています。これにより、施設スタッフは問題を即座に把握し、その場に対応することができます。

これらのイノベーションにより、データドリブンでリスクの高い領域にリソースを集中できるため、手作業による手法と比べて、より効率的かつ網羅的なデータ品質管理が実現します。また、多くのエラーや安全性に関わる問題を、より早い段階で特定できる点も大きな利点です。



試験設計・計画: インサイトとシミュレーションで試験リスクを低減

臨床試験は年々複雑化しており、過去数十年にわたって医薬品開発コストは急激に増加していますが、それが臨床試験や医薬品承認の成功率向上に必ずしも結びついているわけではありません。

こうした背景から、業界では、試験が本来解決すべき問いに対して、より迅速かつ確実に答えを導き出せる可能性があるとして、柔軟な試験デザインへの関心が高まっています。臨床試験において計画立案と関係者間の連携は常に重要ですが、アダプティブデザインや外部対照群（ECA）を活用する試験といった、より複雑な設計においては、その重要性がさらに増します。

これは、こうした試験では、より幅広い専門分野にまたがるチームからのインプットを必要とする運用計画が求められるためです。

革新的な試験デザイン

希少疾患やプレジジョン・メディシンへの注目の高まりは、市場規模の小ささや、治験責任医師の確保や症例リクルートの難しさといった要因により、開発期間の長期化などの固有の課題を生み出しています。こうした状況を受け、組織は、アダプティブ試験、エンリッチメントデザイン、外部対照試験、マルチアーム・マルチステージ試験、シームレス試験といった、複雑かつ柔軟な試験デザインの採用を進めています。

AIのインパクト

AIは、初期の予算計画からプロトコル設計の最適化に至るまで、データ集約的な業務を高度化することで、これらの要件に応えています。

初期予算計画

臨床試験の予算策定は、コスト管理、規制遵守の確保、リソース配分の最適化、そしてステークホルダー間の健全な関係維持において重要でありながら、非常に複雑なプロセスです。近年、試験はますます高コスト化・複雑化しており、さらに不安定な世界的金融市場が予算見通しに不確実性をもたらしていることから、予算計画は一層困難になっています。

公正市場価値（FMV：Fair Market Value）は、コストを算定するための一般的に認められた基準です（Medidata, 2021）。FMVは、買い手（スポンサー）が支払う意思のある金額と、売り手（施設）が受け入れる意思のある金額として説明されることが多く、概念としてはシンプルです。しかし、妥当性を担保できるFMVを算出するためには、試験運営に関するメタデータ、経済的要因を踏まえた文脈理解、将来予測が不可欠です。

AIを活用したアプローチは、過去データとリアルタイムデータを組み合わせて活用することで、予算予測やリソース計画の高度化を実現します。予測分析、自動化、リアルタイムデータ処理を用いることで、症例登録率のより精度の高い予測、潜在的な予算逸脱の検知、FMVの評価が可能になります。これらを組み合わせることで、動的な予算インサイトが得られ、ステークホルダーはパフォーマンス最適化に向けて戦略を柔軟に調整できるようになります。

最適化されたプロトコル

臨床試験プロトコルの策定には、数か月から数年を要することが一般的であり、試験開始後に改訂（プロトコル改訂）が発生するケースも少なくありません。こうした改訂は、試験の遅延やコスト超過を引き起こす要因となるため、特に大きな影響を及ぼします（Tufts CSDD, 2023）。

過去の臨床試験データやリアルワールドデータ（RWD）を分析することで、AIはこれまでの試験における成功例・失敗例に基づいた意思決定を可能にし、プロトコル改訂や遅延の主な要因を事前に抑制することができます。その結果、試験成功の確率を高めることが期待されます（Harrer, 2019）。

このような背景から、最新の調査結果では、AI利用者のうち80%がプロトコル設計および最適化に、また75%が患者集団の選定やコホート特定において、すでにAIを活用していることが示されています（図3）。これらの高い導入率は、AIが臨床試験の効率向上や、コストのかかるプロトコル逸脱の抑制において、実際に価値をもたらしていることを裏付けています。

AIが提案するプロトコル設計や修正は、適切な患者集団を登録する可能性を高め、最適な包括/除外基準を特定し、理想的な症例規模、適切な研究期間、最適な施設の場所を持つことができます。また、患者や施設にとって負担が少なく、潜在的な脱落率を最小限に抑え、どのエンドポイントやメトリクスを測定するかを決定することができます。AI駆動型ツールは、プロトコルの推奨事項をさらに精緻化するためにプロトコルシミュレーションシナリオを実行するのに使用できます。これらの作業は予想よりも時間がかかることが多く、誤って選択されると試験に大きな遅延を引き起こすことがあります。

AIを活用したモデルは、RWDや過去の臨床試験データから、外部対照群（External Control Arm：ECA）を構築するプロセスを支援しています。具体的には、反応とベースライン特性の関係性といった傾向を特定し、治療群と整合するECAに求められる特性を明らかにすることで、より適切な対照群の構築を可能にします。

ある研究では、第1b相試験（OVATION-1）において、開発中の免疫療法であるGEN-1を標準的な全身ネオアジュバント化学療法と併用した治療が、過去の臨床試験において同一の標準的ネオアジュバント化学療法を受けた、卵巣がんの女性患者から厳密にマッチングされたSynthetic ControlArm®と比較して、無増悪生存期間（PFS）の推定値がより良好であることが示されました（Yin, 2023）。

AIは、多様なデータソースを統合することで、単一細胞レベルから人体全体に至るまでのモデルシステムを構築し、デジタルツインの生成を可能にします。これらのデジタルツインは、疾患理解の深化、バイオマーカーの探索、さらには疾患の進行や治療反応のシミュレーションを支援するために活用されます。

また、こうしたモデルを用いることで、患者が特定の治療にどのように反応するかを予測することが可能となり、実際の臨床現場に適用する前に、介入効果を仮想環境で検証することができます。これにより、臨床試験における対照群の代替として活用される可能性も示されています（Mariam, 2024）。

多様性と公平なアクセス

業界関係者による継続的な取り組みにもかかわらず、多くの臨床試験では参加者の多様性が十分に確保されていません。これは、多様な集団の登録が、文化的・言語的な障壁、過去の経験に基づく不信感、社会経済的要因、そして過小代表集団に十分にリーチし関与できていない従来型のリクルート手法など、さまざまな要因によって困難であるためです。

その結果、臨床試験の参加者はこれまで白人男性が中心となる傾向があり、実際の患者集団を正確に反映しているとは言えない状況が続いてきました。

こうした課題に対し、AIは臨床試験における多様性の向上において重要な役割を果たし始めています。AIを活用した施設選定では、患者の人口統計情報を考慮することで、より多様な患者集団の確保が可能になります（McKinsey, 2025b）。

さらに、RWDを活用することで、過小代表集団を対象とした新たなリクルート戦略を見出すことができます。例えば、大規模な電子カルテ（EHR）や保険請求データから適格患者を特定したり、自然言語処理（NLP）を用いて非構造化データから選択基準に合致する患者情報を抽出したりすることが可能です（Chen, 2019；Meystre, 2023）。加えて、AIは、より多様な患者集団へのアクセスを有する、医療資源が十分でない地域の治験責任医師や医療機関を推薦することもできます。

一方で、多様性向上を目的としてAIアルゴリズムを活用する企業は、アルゴリズム内にバイアスが組み込まれたり、それが助長されたりするリスクといった潜在的な制約にも十分留意する必要があります（Chopra, 2023）。

試験立ち上げおよび実施

試験の立ち上げおよび実施は、試験プロトコルの複雑化により、多くの課題に直面しています。

ある推計によると、プロトコル承認から最初の患者来院（すなわち試験立ち上げ完了）までに要する平均期間は、2010年から2020年の間に27%増加しています。この傾向は、試験の複雑化が進んでいることに加え、施設の特選、選定、立ち上げに要する作業負荷が増大していることと一致しています（Alsumidaie, 2024）。

実行面の観点から見ると、計画外および計画済みの両方のプロトコル改訂の増加（Getz, 2022）に加え、パンデミックや地政学的変化といった予期せぬ事象は、症例の募集やリテンション、さらにはサプライチェーン物流を混乱させることにより、治験オペレーションに重大な影響を及ぼします。

AIのインパクト

現代の臨床試験には、こうした変化に柔軟に対応できる体制が求められており、膨大なデータやさまざまなシナリオを効率的に分析し、意思決定を支援するAIは、このプロセスを支えるうえで理想的な手段と言えます。

Feasibility調査

Feasibility調査は、リソース配分の最適化、試験運営全体の効率向上、そして症例登録目標の達成において重要な役割を果たします。しかし、多くの場合、評価に用いられるデータが限定的であったり、最新の情報が反映されていなかったりするため、結果として不適切なリソース配分、非効率な試験運営、登録予測の精度低下といった課題が生じています。

不十分なFeasibility調査は、試験運営の効率を損ない、症例登録率の低下やプロトコル逸脱の増加につながるものが広く知られています（Butryn, 2016；Duley, 2018）。

さらに、Getzら（2022）は、重大なプロトコル改訂の平均回数が少ないプロトコルほど、「計画」から「実際の」試験開始までに要する期間が比較的長い傾向にあることを示しました。これは、試験立ち上げ段階において十分な時間をかけることが、その後の変更や混乱を抑制する要因となっている可能性を示唆しています。

AIを活用したツールは、試験を実施すべき地域や、高いパフォーマンスが期待できる施設を特定することで、Feasibility調査における属人的な判断や推測を排除しつつあります。実際、当社の調査結果では、AI利用者の67%が、施設のFeasibility調査および選定にAIを活用していると回答しており、AIがFeasibility調査の高度化において重要な役割を果たしていることが示されています（図3）。

従来のように、限られた、あるいは古い実績データや個人的な経験則に依存するのではなく、AIは、施設および国別の詳細な臨床・運営データを含む大規模データセットを効率的に分析することができます。これには、施設の立ち上げまでの期間、治験責任医師の経験、施設の品質といった、粒度の細かいパフォーマンス指標が含まれます。こうした分析により、試験レベルの平均値ではなく、施設固有の分析結果に基づいた候補医療機関リストが作成され、試験計画担当者は、国・施設選定に必要な詳細な指標を根拠に、自信を持ってデータドリブンな意思決定を行うことが可能になります。

これらのモデルは、試験開始前に地域ごとの症例登録ポテンシャルを予測し、高いパフォーマンスが期待できる治験責任医師を特定したり、逆にパフォーマンスが低い可能性のある医師を事前に把握したりすることができます。

(Gligorijevic, 2019 ; Bieganek, 2022)。その結果、適格患者が多く存在し、かつ実績のある地域に施設を立ち上げることが可能となり、より効率的なグローバル試験体制の構築につながります。さらに、シナリオ分析を活用することで、施設や国の組み合わせ・数をさまざまに検証し、目標とするタイムラインを達成するために最適な試験実施体制を確定することができます。ある分析では、AIを活用した施設選定により、症例登録実績の高い施設の特定率が30~50%向上し、治療領域を問わず、症例登録のスピードが10~15%加速したことが報告されています (McKinsey, 2025b)。

リアルタイム試験予測と適応的な試験運営

近年、臨床試験の予測は大きく進化しており、AIを活用したツールによって、症例登録の進捗、脱落率、データ解析結果の取得時期といったマイルストーンを、より高い精度でリアルタイムに予測できるようになっています。

AIは、実際の登録データや変化する業界環境に応じて予測モデルを動的に更新し、試験が計画されたマイルストーンに対してどのような状況にあるかを評価します。仮に登録目標の達成が遅れている場合でも、新たな施設の立ち上げやプロトコル改訂といった対策をシミュレーションし、その影響を事前に検証することが可能です。また、これらのツールは、症例登録の鈍化やデータ入力遅延といった新たなリスクを継続的に監視し、早期警告を提供します。このような適応型のマネジメント手法により、試験マネージャーや臨床担当者は、従来のアプローチよりも早い段階で、リソース配分の見直しやリクルート戦略の調整といったプロアクティブな対応を取ることが可能になります。

プロトコル逸脱管理

プロトコル逸脱は、試験の信頼性を損ない、規制当局による承認の遅延につながる可能性があります。逸脱は、適切な文書化が行われないうちに、試験の実施内容が承認済みプロトコルから乖離した場合に発生し、例えば、適格基準を満たさない症例の登録や誤った用量投与などが含まれます。

Getzら (2022) による分析では、プロトコルあたりの平均逸脱件数には大きなばらつきがあることが示されており、試験進行中に施設で発生し得る変更を事前に予測し、適切に対応することの難しさが浮き彫りになっています。

従来のように定期的な手作業によるレビューや、試験終了時点でのみ逸脱を把握する方法に代わり、AIを活用したソリューションは、臨床データおよび運営データを継続的に解析し、プロトコル逸脱をリアルタイムで検出するデータドリブンなアプローチを提供します。これにより、問題が深刻化する前の早期段階で、潜在的なリスクを特定することが可能になります。

例えば、症例の来院ウィンドウ超過や検査の未実施といった事象は自動的に検知・フラグ付けされ、重要な逸脱に対して迅速な介入を行うことができます。AI主導の逸脱管理の利点は、対応スピードと一貫性の向上により、試験の完全性と患者安全性を確保できる点にあります。

eTMF文書の自動分類

臨床試験では、Good Clinical Practice (GCP) 基準への準拠を目的として、数千点に及ぶ文書を治験マスターファイル (TMF) に体系的に格納・管理する必要があります。電子治験マスターファイル (eTMF) の導入により、必須文書管理は大きく進化しましたが、文書の分類やインデックス化のためのメタデータ付与を手作業で行うプロセスは、依然として非効率であり、ヒューマンエラーが発生しやすいという課題を抱えています。こうしたエラーは、意図しない盲検性の崩壊や、査察指摘につながるリスクを伴います。

AIを活用した自動化は、eTMF管理における大きな進歩をもたらします。文書をeTMF構造内で自動的に分類し、インデックス用のメタデータを付与することで、文書管理の効率と正確性を大幅に向上させます。さらに、最新のeTMFシステムでは、高度な分析機能やリアルタイムダッシュボードが提供されており、文書の網羅性、承認待ち状況、コンプライアンスリスクなどを可視化することが可能です。これにより、関係者はリスクを事前に把握し、よりプロアクティブな意思決定を行うことができます。



最適化された施設運営： AIによる負担軽減と業務 効率の向上

医療機関は、あらゆる臨床試験の中核を担う存在です。しかし、リソースが限られ、試験の複雑化が進む現在の環境において、施設は、試験立ち上げ期間の長期化、プロトコル改訂の増加、データ要件の拡大、さらには症例登録率の低下といった、ますます大きな負担を抱えています。

これらの要因はいずれも、それぞれ独自のリソース負荷を生み出しますが、複合的に重なることで、十分な体制を備えた施設であっても対応が困難となるほどの運営上の複雑性を引き起こします。その結果、コストの増大を招くだけでなく、試験成功そのものを脅かす要因となり得ます。このような背景から、施設の業務負担を軽減し、運営効率を高めるためのAI活用ツールが、今まさに求められています。

AIのインパクト

AIは、大規模なデータセットの処理や、さまざまな業務をスケールして自動化することに優れており、施設の業務負担軽減に最適な技術です。時間を要する定型的・反復的な作業をAIが担うことで、施設担当者は、より高度な判断力や専門的知見を必要とする付加価値の高い業務に集中できるようになります。AIを施設の業務フローに組み込むことで、契約交渉や支払い処理、症例のリクルートおよび継続率向上、データ収集、さらにはプロトコル逸脱の最小化といった、さまざまなプロセスにおける効率性を高め、施設の運営能力そのものを大きく変革することが可能になります。

契約交渉および支払い

施設と企業間における契約レビューおよび予算交渉は、試験立ち上げ期間全体の最大35%を占めるとされており、特に予算交渉だけでも施設あたり平均4~6週間を要します。そのため、これらが試験立ち上げ遅延の主な要因となっていることは不思議ではありません (Tufts CSDD, 2023 ; Lawrence, 2023)。さらに、支払い遅延は施設にとって財務的な負担となり、ある推計では、支払いの長期化を理由に最大40%の施設が試験から離脱していると報告されています (ACRP, 2019)。

交渉および支払いプロセスを効率化することで、AIを活用したツールは、臨床試験全体の効率向上に向けて大きな改善機会をもたらします。AIによる契約レビュー支援ツールは、交渉期間を最大50%短縮できるとされており、試験立ち上げの迅速化に寄与するとともに、重要な契約条項の見落としリスクを低減します (Top Legal, 2025)。これらのツールは、過去のテンプレートに基づいて一般的な条項の標準文言を生成・修正し、許容可能な表現を迅速に特定すると同時に、異常値、不整合な条項、または機関ポリシーへの不適合を検知することで、交渉サイクルの短縮を可能にします (Top Legal, 2025)。

また、AIは支払い処理の自動化と最適化を通じて、業務効率を高め、非効率や事務負担を軽減します。その結果、支払いサイクルの短縮と、支払いトラブルの減少による正確性向上が実現し、施設満足度の向上につながります (Shah, 2022)。

症例リクルートおよび事前スクリーニング

症例リクルートは依然として臨床試験における重大なボトルネックであり、約80%の試験が当初設定した登録目標やタイムラインを達成できていないことが示されています

(Brøgger-Mikkelsen, 2020)。この課題に対し、AIは複数のアプローチを通じて、リクルート効率の向上に貢献しています。

AIを活用したツールは、地域医療システムを含む大規模な電子カルテ (EHR) データを効率的に解析し、事前スクリーニングフォームに基づく組み入れ・除外基準を用いて、患者と試験を適切にマッチングします。これにより、不必要な事前スクリーニング来院を大幅に削減することが可能になります。さらに、米国国立衛生研究所 (NIH) は、適格な参加者に対して関連性の高い臨床試験を効果的に特定するAIツール「TrialGPT」を開発しています。

TrialGPTは、個人が参加可能な関連性の高い臨床試験を正確に特定できることが確認されており、その結果、施設スタッフは精度を維持したまま、症例スクリーニングに要する時間を40%削減することができました (Jin, 2024)。

さらに、予測モデルを活用することで、登録の可能性が高く、かつ試験プロトコルを遵守する可能性の高い患者を優先的にリクルート対象とすることが可能になります。これにより、施設側ではリソース配分の最適化が進むと同時に、適格でない事前スクリーニングによる不要な来院やフラストレーションを最小限に抑えることで、患者体験の向上にもつながります。加えて、AIを活用した施設選定は、高登録率サイトの特定精度を30~50%向上させ、治療領域を問わず症例登録を10~15%加速させることが示されています。さらに、データクリーニング効率といった施設のパフォーマンス指標を事前に予測することで、試験全体の品質向上にも寄与します (McKinsey, 2025)。

データ収集および入力 (EDC/eCOA/eSource)

臨床試験の運営がますます複雑化する中で、スケジューリング、カレンダー管理、データ入力といった時間を要する業務は、AIツールに委ねることが可能になりつつあります。これにより、施設担当者は、試験におけるより付加価値の高い業務に集中できるようになります (Medidata, 2025c)。eCRFにおける自動入力補完や入力候補提示といったAI機能は、手入力によるエラーを削減すると同時に、フォーム入力の迅速化に貢献します。さらに、スマートな論理チェックや入力プロンプトにより、よりクリーンで一貫性のあるデータ取得が可能となり、データ品質の向上が期待されます。

AIは、より高度な業務にも活用されています。例えば、プロトコルをスキャンしてeSource文書のドラフトを生成し、専門家がゼロから作成するのではなく、生成された下書きを基に修正・改善を行うことが可能になります。さらに、AIは試験運営フローの設計支援にも活用されます。この作業は、完成図のない複雑なパズルを組み立てることに例えられることがあります。従来は、施設スタッフがプロトコル、EDCマニュアル、手順書などを個別に確認しながら、全体像を把握する必要がありました。AIツールは、これらの情報を整理・分類し、論理的なまとまりとして構造化することで、より迅速かつ効率的に運営フローを構築するための明確な道筋を提示します (Medidata, 2025c)。

データ入力や来院記録のための対話型AIインターフェース、たとえば音声を構造化データへ変換する voice-to-structured data のような技術は、ワークフローをさらに効率化します。また、生成AIは、来院記録やプロトコル遵守サマリー、クエリの作成・検証の支援にも活用できます。

プロトコル遵守およびクエリ管理

プロトコル逸脱は、試験の信頼性を損ない、規制当局による承認の遅延を招く可能性があります。しかし、プロトコルあたりの平均逸脱件数には大きなばらつきがあり、試験進行中に施設で適切に対処することは依然として困難です (Getz, 2022)。

従来、プロトコル逸脱は、定期的な手作業によるレビューや、試験終了時点での事後的な把握によって管理されてきました。一方で、AIはこのプロセスを大きく変革しつつあり、リアルタイムでのアラート提供を通じて、より迅速な是正対応を可能にしています。革新的なクエリ優先度付けシステムを導入することで、AI搭載ツールは、エラーの影響度や解決の容易さに基づいて対応順序を最適化し、効率的なエラー解決を支援します。

さらに、エージェント型ツールは、患者来院時におけるプロトコル非遵守リスクをリアルタイムで検知し、AIコパイロットは未解決課題の要約や、次に取るべき戦略的アクションを提案します。これにより、試験担当者は、逸脱に対してより迅速かつ一貫性のある対応を取ることが可能となり、試験の完全性と患者安全性の維持につながります。

患者エンゲージメントおよび継続率向上

臨床試験の複雑化が進む中で、患者の継続参加を維持することはますます難しくなっており、その結果、試験の遅延、データの偏り、コスト増大、さらには試験失敗リスクの上昇につながるケースも少なくありません。こうした課題に対し、AIを活用したツールは、患者エンゲージメントと継続率向上を大規模に支援しています (Poongothai, 2023 ; Recklitis, 2024)。

チャットボットや自動リマインダーは、来院スケジュールの遵守、投薬プロトコルへのコンプライアンス、症状報告の継続を支援します。また、AIは患者ごとの行動パターンに基づき、連絡のタイミング、トーン、コンテンツを最適化することで、より意味のあるコミュニケーションを実現します。

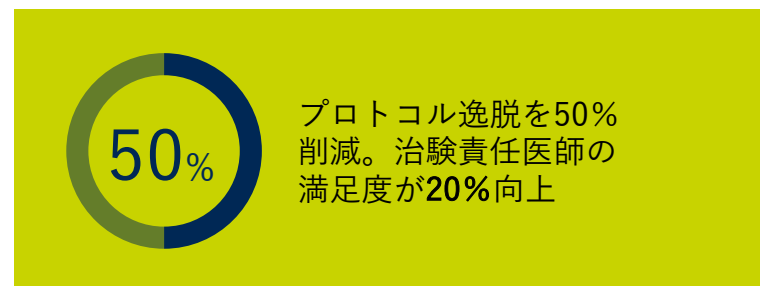
さらに、AIツールは個々の患者ジャーニーに応じたサポートを提供するとともに、予測アルゴリズムを用いて中途離脱リスクの高い症例を特定し、迅速にエンゲージメント戦略を調整することを可能にします。多言語対応のAIアシスタントは、さまざまな言語でのサポートを提供することでアクセシビリティを高め、スタッフの負担を軽減すると同時に、多様なバックグラウンドを持つ患者との円滑なコミュニケーションを実現します。

業務負荷管理

臨床試験の複雑化が進む中で、施設は、試験立ち上げ期間の長期化、プロトコル改訂の増加、医師の稼働時間に対する負担拡大、データ収集要件の高度化、さらには被験者登録率の低下といった、さまざまな課題に直面しています。

AIを活用したツールは、業務負荷管理の在り方を大きく変革します。業務量の増加が予測されるタイミングを事前に把握し、来院スケジュールを最適化することで、ボトルネックの発生を防ぎ、より効率的で安定した試験運営を実現します。ある推計では、施設運営向けコパイロットの導入により、プロトコル逸脱が50%減少し、治験責任医師 (PI) の満足度が20%向上したと報告されています (McKinsey, 2025)。

人員配置に関する意思決定支援ツールでは、AIが試験の負荷や実施強度を予測し、試験マネージャーがリソース配分について、よりの確な判断を下すことを可能にします。統合型AIスケジューリングシステムは、スタッフの稼働状況と患者の都合、プロトコル上のタイムラインを整合させることで、スケジュール調整の衝突を減らし、全体の調整効率を高めます。さらに、AIを活用した人材育成およびオンボーディング向けコパイロットは、プロトコルに即したガイダンスを提供し、複雑な試験環境においてもスタッフが適切に対応できるよう支援します。





患者体験： 参加しやすさを高める AIソリューション

患者は臨床試験の中核を担う存在であり、新たな命を救う医薬品の開発を可能にしています。

しかし、希少疾患への注力拡大に代表されるように臨床研究がますます複雑化する中で、さらに特定領域への投資集中による競争の激化した環境が重なり（Fougner, 2023；McKinsey & Company, 2025a）、患者のリクルートおよび継続参加の確保は一層困難になっています。その結果、試験の遅延、データの偏り、コスト増大、さらには試験失敗リスクの上昇につながるケースも少なくありません。

AIのインパクト

従来のリクルートおよび継続率向上の手法は、不便な実施医療機関の立地、多大な時間的負担、効果的とは言えないコミュニケーション手段など、複雑化する試験プロトコルに十分対応できていない場合が多く見られます（Poongothai, 2023；Anastasi, 2024）。こうした課題は、登録の妨げとなるだけでなく、高い中途離脱率を招き、試験の成功を損ない、コストを押し上げる要因となります。

AIを活用したテクノロジーは、患者リクルート、継続率向上、エンゲージメントを大規模に変革しつつあります。eCOA、デジタルヘルステクノロジー（DHT）、患者向けポータルといった技術は、患者エンゲージメントの向上、試験情報への容易なアクセス、進捗状況のリアルタイム共有、試験スタッフとの直接的なコミュニケーション、そして利便性の向上など、さまざまなメリットを提供します。これらは患者体験を高めるだけでなく、信頼性と透明性の向上にも寄与し、結果として継続率の改善につながるものが広く認識されています（Poongothai, 2023）。

患者マッチング

患者の特定および適格性評価は重要なプロセスである一方、非常に時間がかかり、非効率で、エラーが発生しやすいことが知られています。従来、このプロセスは医療記録の手作業による確認や、医師からの紹介に大きく依存してきました。

AIを活用したソリューションは、インテリジェントな質問票による自動事前スクリーニングや患者記録のレビューを可能にし、このプロセスを大きく変革しています (Hassan, 2023; Lu, 2024)。これらのツールは、複雑な適格基準を迅速かつ正確に評価でき、多くの場合、リアルタイムで適格性を判断することが可能です。その結果、事前スクリーニングに要する時間が短縮され、施設スタッフの負担が軽減されるとともに、リクルートプロセス全体の効率が向上します。さらに、より包括的なマッチングが可能になることで、試験に適した患者が登録されやすくなり、結果としてプロトコル逸脱や中途離脱が減少し、下流工程におけるデータ品質の向上にもつながります (Cunningham, 2024)。

最近の2つの研究では、AIベースのツール、特に大規模言語モデル (LLM) が患者マッチングの高度化に有効であることが示されています。1つ目の研究では、LLMを用いることで、患者と試験のマッチングプロセスを効率的かつ透明性の高い形で支援できることが示され、スクリーニング時間が42.6%削減されました (Jin, 2024)。2つ目の研究では、構造化プロンプトおよびChain-of-Thoughtプロンプトを組み合わせて、特定の基準に基づく文書評価を体系的に実施しました。このAI主導の手法は、適格患者の特定に優れ、誤った組み入れを最小限に抑えることで、試験マッチングの精度と効率を向上させると同時に、研究スタッフの運営負荷を軽減しました (Beattie, 2024)。

eConsentプラットフォームによる 拡張性の高い試験構築

eConsentプラットフォームは、動画、クイズ、その他のインタラクティブな機能を活用したマルチメディア技術を用いて、臨床試験の目的、リスク、ベネフィット、手順について患者に分かりやすく伝えると同時に、同意取得プロセスを大規模に効率化し、EDCシステムへの患者登録を自動化します。同意取得は患者との接点が非常に大きいプロセスであるため、当社の調査結果において、AI利用者のうちAIを同意取得に活用している割合が4分の1にとどまっていることは (図3)、必ずしも意外ではありません。しかし、この領域でAIを効果的に活用できる企業にとっては、競争優位性を確立する大きな機会となり得ます。

例えば、AIを活用したツールは、同意取得および再同意プロセスから得られる傾向やインサイトを分析・理解し、より患者にとって分かりやすい資料の作成に役立てられています。

最近の研究では、大規模言語モデル (LLM) を用いて、がん領域の臨床試験における同意説明文書 (ICF) を、患者向けの要約や選択式のQ&A形式に変換できるかが検証されました。その結果、LLMによる要約手法を用いた資料は、元のICFと比較して、患者にとって有意に理解しやすい内容となることが示されました (Waters, 2025)。

継続的なデータ収集

患者の生活環境において取得される客観的なセンサーデータと、副作用、症状、生活の質 (QOL) などの患者体験を評価する患者報告アウトカム (PRO) といった主観的データを統合する取り組みは、大きく進展しています。これらのデータは、患者が自宅に在りながら収集することが可能です。ePROやセンサーの活用により、来院回数が減少するだけでなく、患者はより定期的に試験関連の活動に関与することができ、試験の「参加者」ではなく「パートナー」として関わっているという意識が高まります。

さらに、AIを活用した最新の完全統合型プラットフォームソリューションでは、これら複数のデータストリームを相関分析し、患者ごとの包括的な縦断プロファイルを構築することが可能です。これにより、患者体験やアウトカムに対するより深い洞察が得られるだけでなく、バイオマーカー探索の支援や、新規製品のリアルワールドにおける有効性の検証にも貢献します。

個々に最適化された エンゲージメント

一般的な脱落率 (ドロップアウト率) は25~30%の範囲にあり、試験によっては最大70%に達するケースも報告されています。また、試験の複雑化が進むにつれ、症例の維持はますます困難になっています (Poongothai, 2023; Anastasi, 2024)。こうした背景から、企業は参加者のエンゲージメント維持と情報提供を目的に、チャットボットや個々に最適化されたメッセージングなどのAI駆動型コミュニケーションツールの導入を加速させています (Cunningham, 2024)。これらのオンデマンド型チャットボットエージェントは、対話型AIを活用し、試験に関する一般的な問い合わせ対応、投与方法の案内、リモートでのデータ入力支援などを24時間365日体制で提供します。チャットボットは人的スタッフとは異なり、時間的制約なく参加者と常時コミュニケーションを取ることができ、個々のニーズに合わせてコミュニケーションスタイルや理解しやすさを最適化することも可能です。さらに、患者個別データを活用することで、リマインド送信などの個人に最適化された対応を実現できます。

また、来院内容の確認や予約調整に関する問い合わせへの対応に加え、患者の都合や施設の対応可能状況に応じてスケジュールを調整することで、リソースの最適化とプロトコル遵守の最大化を支援します。

このようなAI主導のエンゲージメント戦略による、プロアクティブかつ個々に最適化されたアプローチは、患者体験の向上につながり、実際にこれらのツールを活用している試験では、患者満足度が高い傾向が報告されています（Lu, 2024）。

こうしたAI活用の広がりや、当社の調査結果にも表れており、AI利用者の53%が個々に最適化された患者向けコミュニケーション／チャットボットに、また54%が来院スケジュールの自動化やリマインダーにAIを活用していると回答しています（図3）。

eCOAデータにおけるエラー検出の最適化

eCOAは、症例によるリアルタイムのデジタル入力を可能にすることで、臨床試験を大きく進化させてきました。患者が「どのように感じ、どのように機能し、どのように生存しているか」を測定するeCOAは、臨床試験において患者の声をより適切に反映することを可能にしています。これにより、患者体験の向上とデータ品質の改善が実現してきました（FDA, 2020；Medidata, 2024b）。現在、AIを活用したソリューションは、患者負担の軽減とeCOAデータ品質の向上を目的として活用されています。実際、当社の最新調査では、AI利用者の41%がeCOAの導入・運用にAIを活用していると回答しています（図3）。

eCOAにおけるAIのもう一つの重要なユースケースが、自動エラー検出およびデータ品質の監視です。特に、中枢神経系（CNS）領域の試験では、評価項目が患者の認知機能に対する評価者（臨床医）の主観的判断に大きく依存するため、品質管理の重要性が高まります。最新のeCOA技術には、臨床医と患者のやり取りを音声として記録する機能が搭載されており、その音声データを自動的に文字起こしすることが可能です。AIは、文字起こしデータから話者を自動識別・割り当てし、評価者や臨床医のパフォーマンスに起因するエラーを検知・フラグ付けします。これにより、エラー発生の可能性を低減し、評価者の負担を軽減するとともに、事後レビューを可能にし、より高度な品質管理と評価者間の一貫性確保を実現します。

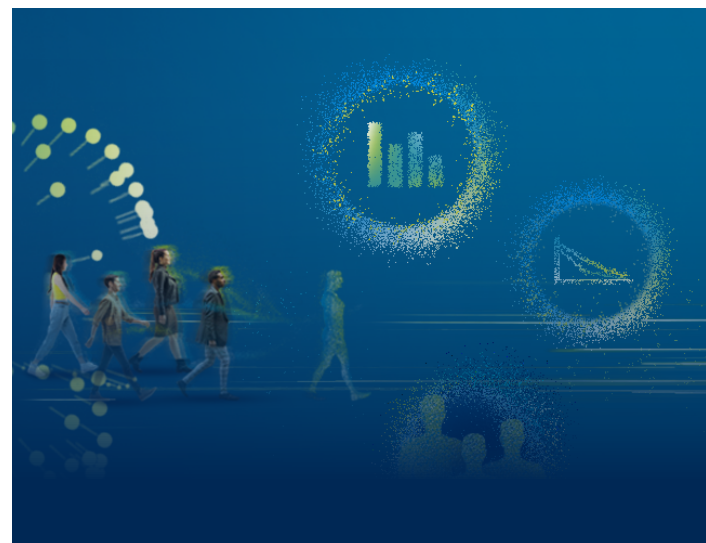
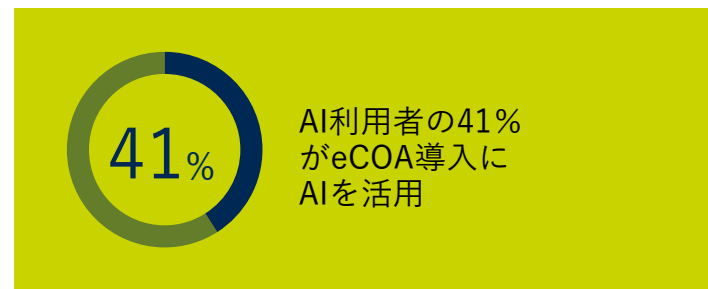
さらに、AI搭載ツールは、eCOAデータ入力に対するリアルタイムのエラー検出および品質管理にも活用されています。AIアルゴリズムは、矛盾した回答や現実的でない入力を自動的に検出し、設問の誤解が疑われるケースを特定します。これらの不整合をリアルタイムで把握することで、患者や施設に対して、送信前に内容の確認や修正を促すことが可能となり、後工程でのデータクリーニング時に問題が顕在化するのを防ぎます。その結果、データ品質の高い収集が実現するとともに、単純な入力ミスが即時に解消されることで、施設におけるクエリ対応の負担軽減にもつながります。

試験終了後のデータ返却

企業は、研究参加者との透明性を高める重要性を認識しており、その一つの手段として、試験終了後にデータを参加者へ返却する取り組みが注目されています。これは、患者にとって有益となり得る健康に関するインサイトを提供するだけでなく、研究への関与をより深いものとし、感謝や信頼、さらには将来の試験への参加意欲を高める効果があるとされています

（National Academies Press, 2018；Ohayon, 2017）。

一方で、このような取り組みは運営面での負担を伴うこともありますが、AIを活用した自動化によって、安全性とコンプライアンスを確保しながら、スケラブルに実施することが可能です。さらに、AIベースのツールは、試験結果を一般の方にも理解しやすい「平易な要約（レイサマリー）」として生成することができ、専門的で複雑な科学用語の壁を越えて、臨床研究の成果をより透明かつアクセスしやすいものにします（Bahador, 2025；CISCRP, 2025）。





次なる時代に広がる 業界の可能性

臨床試験の未来は、AIを基盤としたインテリジェントで完全に統合された次世代研究エコシステムによって形づくられていきます。こうしたエコシステムは、臨床試験デザインの高度化、試験ロジスティクスの最適化、重要なデータパターンや安全性シグナルの早期検知を可能にするとともに、リアルワールドデータ、オミクスデータ、eCOAデータを統合することで、医薬品のパフォーマンスに対する理解をさらに深めます。その結果、リアルタイムでのインサイト取得が実現し、より迅速な意思決定が可能になります。

当社の調査結果からも、臨床試験におけるAI活用に対する高い期待と前向きな姿勢が明確に示されています。現在AIを利用している企業、利用していない企業のいずれにおいても、今後1年以内にAIの導入・活用が拡大すると予測されています（図8、図9）。

現在AIを利用している企業： 今後12か月間におけるAI活用

今後、AIの活用が最も拡大すると見込まれる領域は、すでに利用率が高い、または改善効果に対する評価が高い分野と強く一致しています。これには、以下のような領域が含まれます。

CSR（治験総括報告書）の作成および提出

外れ値および異常検知

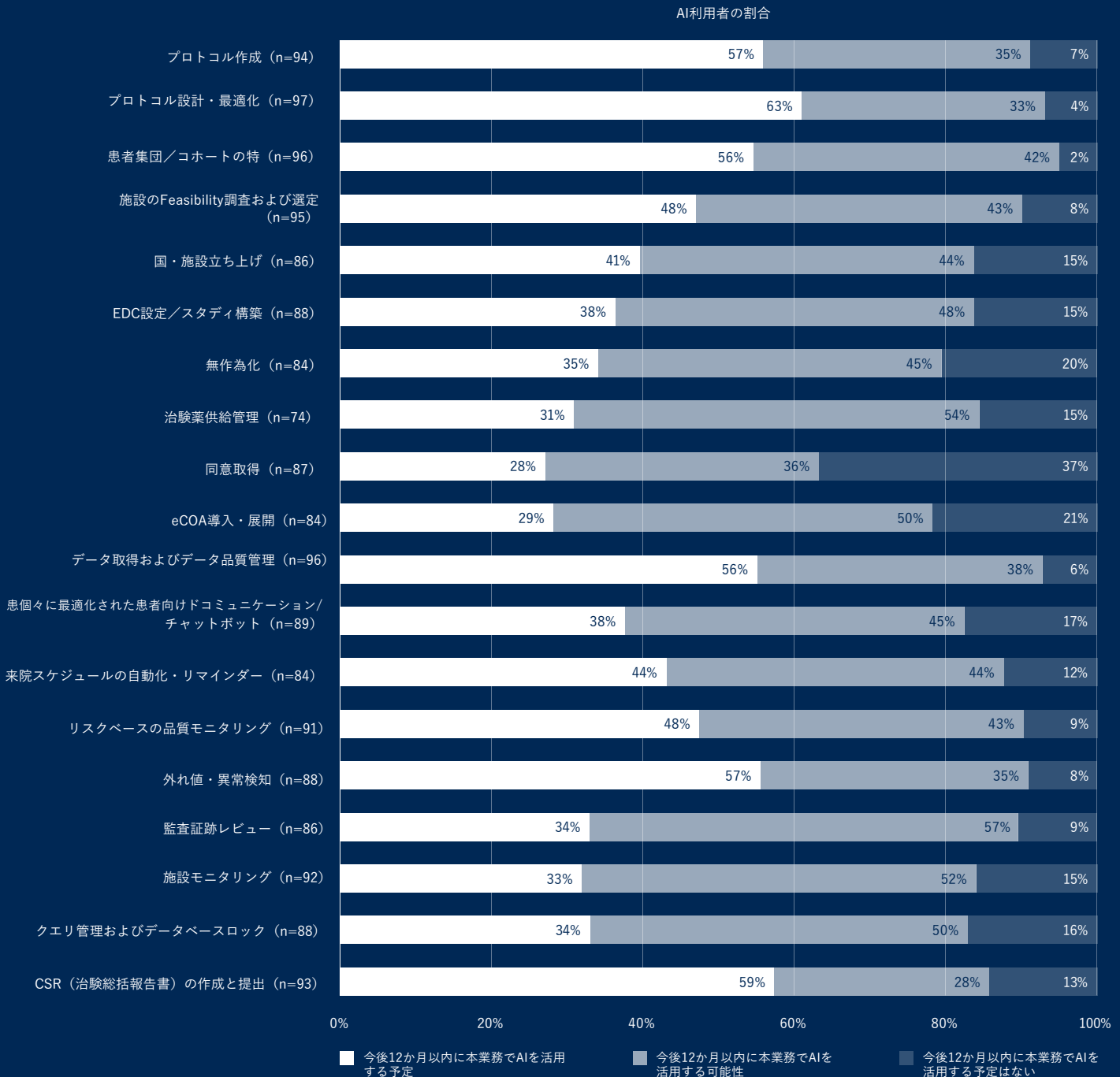
データ収集およびデータ品質の監視

患者集団の特定／コホート特定

図8

今後12か月間における臨床試験関連業務でのAI活用予測（AI利用者）

プロトコル作成は、現時点ではAIの利用率や改善効果の評価において特に高い位置づけにはありませんが、今後1年間では、AI活用が最も進む業務の一つになると予測されています。具体的には、AI利用率が57%に達すると見込まれています。また、プロトコル開発および作成は、現在AIを利用していない企業においても、今後のAI活用予測で2番目に高い分野として挙げられています。これは、この領域において今後大きな成長余地があることを示しています（図8）。



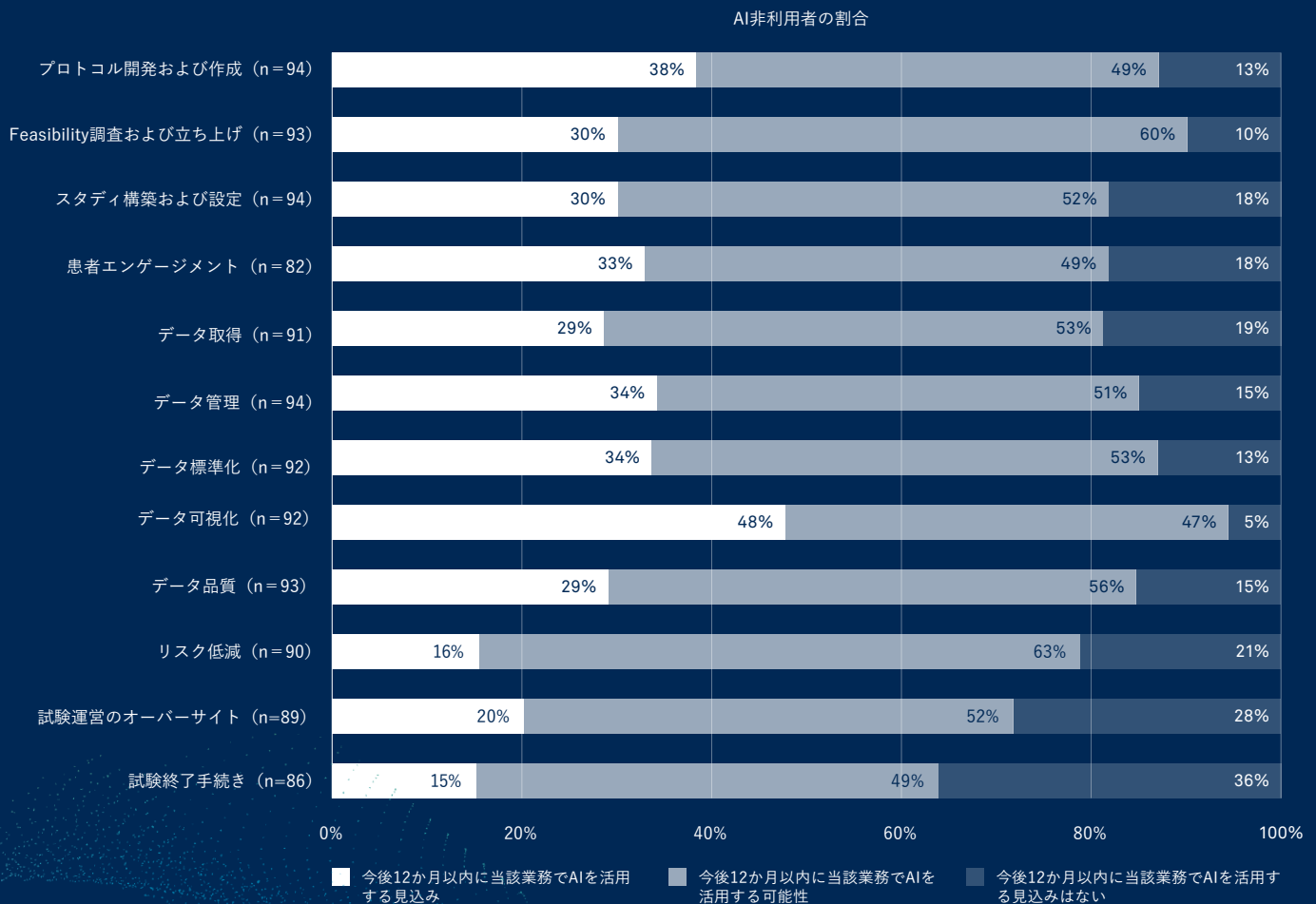
現在AIを利用していない企業: 今後12か月間におけるAI活用予測

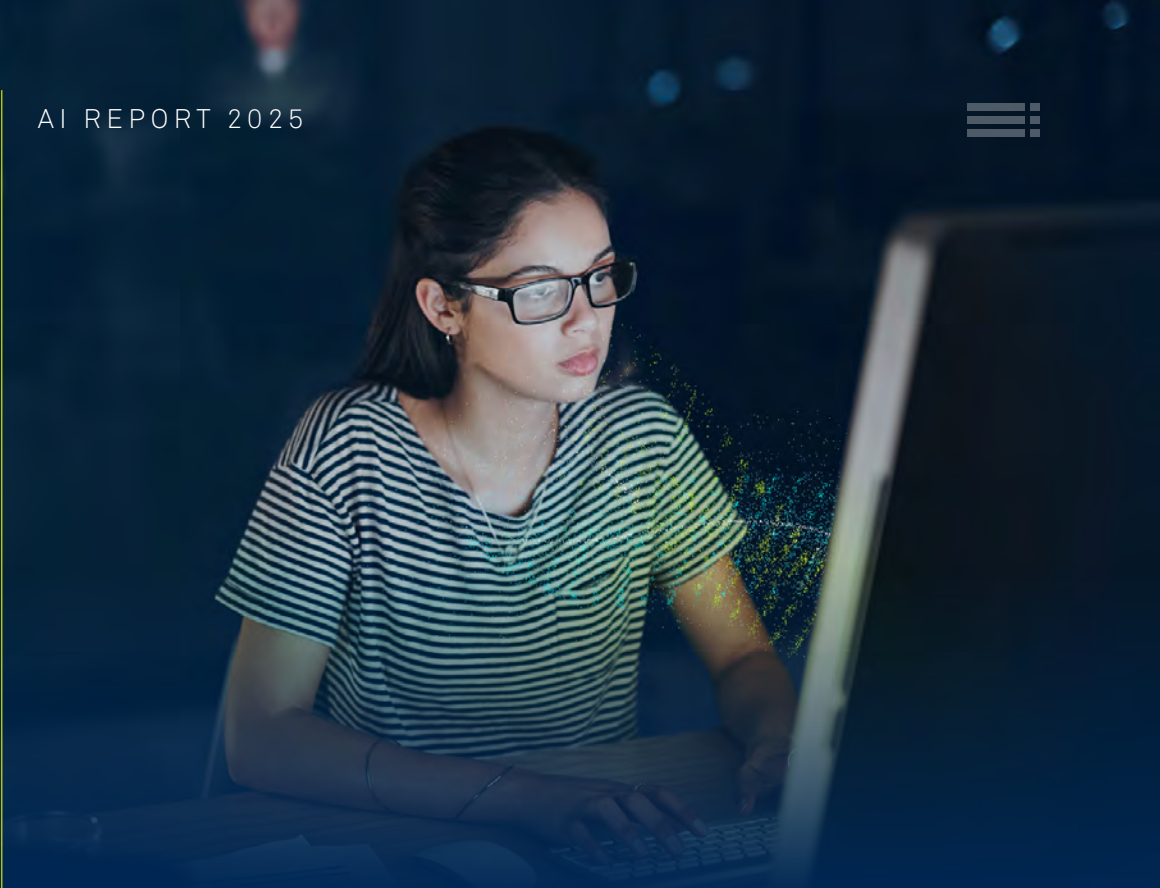
現在AIを利用していない企業のうち、約半数が、今後12か月以内にデータ可視化の分野でAIの利用を開始すると予測しています。この結果から、データ可視化が最も導入されやすい領域であることが示されています。

また、非AI利用企業の約3分の1は、今後1年間で以下の分野においてAIを導入すると見込んでおり、想定される利用率は30~38%の範囲となっています（図9）：

- プロトコル開発および作成
- データ管理
- データ標準化
- 患者エンゲージメント
- Feasibility調査および立ち上げ

図9 今後12か月間における臨床試験関連業務でのAI活用予測（非AI利用企業）





まとめ

臨床研究業界は、他の多くの業界と同様に、特有の課題に直面しています。一方で、いち早くAIを取り入れる企業にとっては、取り残されることを避けるための大きな機会が広がっています。

早期導入企業は、開発プログラムにおいて競合を上回るスピードで前進できることにより、複合的な競争優位性を獲得しています。さらに、AIがすでに試験的に活用されているものの、まだ十分にその潜在力を発揮しきれていない領域には、多くの投資機会が存在します。特に、時間やコストへの影響が大きい領域に重点的に投資することで、市場において大きな競争優位を築くことが可能です。

経験豊富なパートナーや協業先と早期に対話を開始することで、AIがもたらす新たな機会を最大限に活かし、開発プログラムの成功確率を高めることができるでしょう。

参考文献

1. ACRP. 2019. Protecting Cash Flow: How Site Investigators and Staff Can Keep Site Payments on Track. Available at: <https://acrpnnet.org/2019/03/12/protecting-cash-flow-how-site-investigators-and-staff-can-keep-site-payments-on-track>
2. Alsumidaie, M. 2024. Tufts CSDD: New Insights on The Clinical Trial Industry. The Clinical Trial Vanguard. Available at: <https://www.clinicaltrialvanguard.com/conference-coverage/tufts-csdd-new-insights-on-the-clinical-trial-industry/>
3. Anastasi JK, Capili B, Norton M, McMahon DJ, Marder K. Recruitment and retention of clinical trial participants: understanding motivations of patients with chronic pain and other populations. *Front Pain Res (Lausanne)*. 2024 Mar 28;4:1330937.
4. Anuyah S, Singh MK, Nyavor H. Advancing clinical trial outcomes using deep learning and predictive modelling: Bridging precision medicine and patient-centered care. *World Journal of Advanced Research and Reviews*, 2024(3), 001–025.
5. Askin S, Burkhalter D, Calado G, El Dakrouni S. Artificial Intelligence Applied to clinical trials: opportunities and challenges. *Health Technol (Berl)*. 2023;13(2):203-213.
6. Azenkot T, Rivera DR, Stewart MD, Patel SP. Artificial Intelligence and Machine Learning Innovations to Improve Design and Representativeness in Oncology Clinical Trials. *Am Soc Clin Oncol Educ Book*. 2025 Jun;45(3):e473590.
7. Bahador B, Edwards K. Input Needed On Using AI To Create Lay Summaries Of Trial Results. *Clinical Leader*. Feb 7, 2025. Available at: <https://www.clinicalleader.com/doc/cisrcp-seeks-input-on-using-ai-to-create-lay-summaries-of-trial-results-0001>
8. Beattie J, Neufeld S, Yang D, Chukwuma C, Gul A, Desai N, Jiang S, Dohopolski M. Utilizing Large Language Models for Enhanced Clinical Trial Matching: A Study on Automation in Patient Screening. *Cureus*. 2024 May 10;16(5):e60044.
9. Bieganeck C, Aliferis C, Ma S. Prediction of clinical trial enrollment rates. *PLoS One*. 2022 Feb 24;17(2):e0263193.
10. Bobbitt DR, LeRoy B, Palmer A, Hamidi M, Facile R, Ueno S, Hume S, Van Reusel P, Neville J. Clinical data standards and the new world of research science, technology, and data sources. *Journal of the National Institute of Public Health*. 2019 Aug 1;68(3):194-201.
11. Brøgger-Mikkelsen M, Ali Z, Zibert JR, Andersen AD, Thomsen SF. Online Patient Recruitment in Clinical Trials: Systematic Review and Meta-Analysis. *J Med Internet Res*. 2020 Nov 4;22(11):e22179.
12. Butryn T, Cornejo K, Wojda TR, Papadimos TJ, Gerlach AT, Deb L, Sethi A, Kramer C, Stawicki SP. Keys to success in clinical trials: a practical review. *International Journal of Academic Medicine*. 2016 Jul 1;2(2):203-16. Cowey, C. L. et al. Real-world treatment outcomes in patients with metastatic Merkel cell carcinoma treated with chemotherapy in the USA. *Futur. Oncol*. 2017. 13, 1699–1710.
13. Chen L, Gu Y, Ji X, Lou C, Sun Z, Li H, Gao Y, Huang Y. Clinical trial cohort selection based on multi-level rule-based natural language processing system. *J Am Med Inform Assoc*. 2019 Nov 1;26(11):1218-1226.
14. Chopra H, Annu, Shin DK, Munjal K, Priyanka, Dhama K, Emran TB. Revolutionizing clinical trials: the role of AI in accelerating medical breakthroughs. *Int J Surg*. 2023 Dec 1;109(12):4211-4220.
15. CISCRP. 2025. Input Needed On Using AI To Create Lay Summaries Of Trial Results. Available at: <https://www.cisrcp.org/input-needed-on-using-ai-to-create-lay-summaries-of-trial-results>
16. Cunningham JW, Abraham WT, Bhatt AS, Dunn J, Felker GM, Jain SS, Lindsell CJ, Mace M, Martyn T, Shah RU, Tison GH, Fakhouri T, Psotka MA, Krumholz H, Fiuzat M, O'Connor CM, Solomon SD; Heart Failure Collaboratory. Artificial Intelligence in Cardiovascular Clinical Trials. *J Am Coll Cardiol*. 2024 Nov 12;84(20):2051-2062.
17. Dahm IC, Kolb M, Altmann S, Nikolaou K, Gatidis S, Othman AE, Hering A, Moltz JH, Peisen F. Reliability of Automated RECIST 1.1 and Volumetric RECIST Target Lesion Response Evaluation in Follow-Up CT-A Multi-Center, Multi-Observer Reading Study. *Cancers (Basel)*. 2024 Nov 29;16(23):4009.
18. Dirks A, Florez M, Torche F, Young S, Slizgi B, Getz K. Comprehensive Assessment of Risk-Based Quality Management Adoption in Clinical Trials. *Ther Innov Regul Sci*. 2024 May;58(3):520-527.



19. Duley L, Gillman A, Duggan M, Belson S, Knox J, McDonald A, Rawcliffe C, Simon J, Sprosen T, Watson J, Wood W. What are the main inefficiencies in trial conduct: a survey of UKCRC registered clinical trials units in the UK. *Trials*. 2018 Jan 8;19(1):15.
20. FDA. 2020. Clinical Outcome Assessment (COA): Frequently Asked Questions.
Available at: <https://www.fda.gov/about-fda/clinical-outcome-assessment-coa-frequently-asked-questions#COADefinition>
21. FDA. 2022. Complex Innovative Trial Design Meeting Program.
Available at: <https://www.fda.gov/drugs/development-resources/complex-innovative-trial-design-meeting-program>
22. FDA. 2024. Guidance for Industry: Electronic Systems, Electronic Records, and Electronic Signatures in Clinical Investigations: Questions and Answers.
Available at: <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/electronic-systems-electronic-records-and-electronic-signatures-clinical-investigations-questions>
23. FDA. 2025. Discussion Paper: Using Artificial Intelligence & Machine Learning in the Development of Drug & Biological Products.
Available at: <https://www.fda.gov/media/167973/download>
24. Fierce Biotech. 2025. Transforming life sciences with AI, powered by Salesforce Life Sciences Cloud.
Available at: <https://www.fiercebiotech.com/sponsored/transforming-life-sciences-ai-powered-salesforce-life-sciences-cloud>
25. Fougner C, Cannon J, The L, Smith JF, Leclerc O. Herding in the drug development pipeline. *Nat Rev Drug Discov*. 2023 Aug;22(8):617-618.
26. Friends of Cancer Research. 2025. ai.RECIST Project: Artificial Intelligence-Based Measurement of Response Evaluation Criteria in Solid Tumors Project. Available at: <https://friendsofcancerresearch.org/ai-recist/>
27. Getz, K. Doubling Down on Protocol Amendments and Deviations. *Pharmaceutical Outsourcing*. March 1, 2022.
Available at: <https://www.pharmoutsourcing.com/Featured-Articles/584137-Doubling-Down-on-Protocol-Amendments-and-Deviations/>
28. Gligorijevic J, Gligorijevic D, Pavlovski M, Milkovits E, Glass L, Grier K, Vankireddy P, Obradovic Z. Optimizing clinical trials recruitment via deep learning. *J Am Med Inform Assoc*. 2019 Nov 1;26(11):1195-1202.
29. Harrer S, Shah P, Antony B, Hu J. Artificial Intelligence for Clinical Trial Design. *Trends Pharmacol Sci*. 2019 Aug;40(8):577-591.
30. Hassan AE, Ravi S, Desai S, Saei HM, Mckennon E, Tekle WG. An artificial intelligence (AI)-based approach to clinical trial recruitment: The impact of Viz RECRUIT on enrollment in the EMBOLISE trial. *Interv Neuroradiol*. 2023 Jun 22;15910199231184604.
31. Hutson M. How AI is being used to accelerate clinical trials. *Nature*. 2024 Mar;627(8003):S2-S5.
32. Jin Q, Wang Z, Floudas CS, Chen F, Gong C, Bracken-Clarke D, Xue E, Yang Y, Sun J, Lu Z. Matching patients to clinical trials with large language models. *Nat Commun*. 2024 Nov 18;15(1):9074.
33. Lawrence CE, Bruce VNM, Salberg LD, Edwards T, Morales C, Palm M, Bernard GR. Quantitative assessment of the impact of standard agreement templates on multisite clinical trial start up time. *J Clin Transl Sci*. 2023 Sep 6;7(1):e204.
34. Lu X, Yang C, Liang L, Hu G, Zhong Z, Jiang Z. Artificial intelligence for optimizing recruitment and retention in clinical trials: a scoping review. *J Am Med Inform Assoc*. 2024 Nov 1;31(11):2749-2759.
35. Mariam Z, Niazi SK, Magoola M. Unlocking the Future of Drug Development: Generative AI, Digital Twins, and Beyond. *BioMedInformatics*. 2024; 4(2):1441-1456.
36. Markey N, Howitt B, El-Mansouri I, Schwartzberg C, Kotova O, Meier C. Clinical trials are becoming more complex: a machine learning analysis of data from over 16,000 trials. *Sci Rep*. 2024 Feb 12;14(1):3514.
37. McKinsey & Company. January 2025a. Charting the path to patients.
Available at: <https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/charting-the-path-to-patients>
38. McKinsey & Company. January 2025b. Unlocking peak operational performance in clinical development with artificial intelligence.
Available at: <https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/unlocking-peak-operational-performance-in-clinical-development-with-artificial-intelligence>

39. McKinsey & Company. 2024. Generative AI in the pharmaceutical industry: Moving from hype to reality. Available at: <https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/generative-ai-in-the-pharmaceutical-industry-moving-from-hype-to-reality>
40. McKinsey & Company. November 2023. How artificial intelligence can power clinical development. Available at: <https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/how-artificial-intelligence-can-power-clinical-development>
41. McKinsey & Company. October 2020. COVID-19 digital transformation & technology. Available at: <https://www.mckinsey.com/capabilities/strategy-and-corporate-finance/our-insights/how-covid-19-has-pushed-companies-over-the-technology-tipping-point-and-transformed-business-forever>
42. Medidata. 2021. Blog Post: Clinical Trial Financial Management: Investigator Grants Clinical Trial Forecasting. Available at: <https://www.medidata.com/en/life-science-resources/medidata-blog/clinical-trial-financial-management-investigator-grants-clinical-trial-forecasting/>
43. Medidata. 2024a. Blog Post: AI in Clinical Data Management: What Does It Do, and How Does It Work? Available at: <https://www.medidata.com/en/life-science-resources/medidata-blog/ai-in-clinical-data-management/>
44. Medidata. 2024b. Blog Post: eCOA 101: What is Electronic Clinical Outcome Assessment? Available at: <https://www.medidata.com/en/life-science-resources/medidata-blog/electronic-clinical-outcome-assessment-ecoa>
45. Medidata. 2025a. Medidata Artificial Intelligence Thought Leadership Research. June 2025.
46. Medidata. 2025b. Blog Post: The New Era of Audit Trail Review in Clinical Research. Available at: <https://www.medidata.com/en/life-science-resources/medidata-blog/audit-trail-review/>
47. Medidata. 2025c. Blog Post: The Advantages of AI for Clinical Trial Sites. Available at: <https://www.medidata.com/en/life-science-resources/medidata-blog/ai-for-clinical-trial-sites/>
48. Meystre SM, Heider PM, Cates A, Bastian G, Pittman T, Gentilin S, Kelechi TJ. Piloting an automated clinical trial eligibility surveillance and provider alert system based on artificial intelligence and standard data models. *BMC Med Res Methodol.* 2023 Apr 11;23(1):88.
49. Najjar R. Redefining Radiology: A Review of Artificial Intelligence Integration in Medical Imaging. *Diagnostics (Basel).* 2023 Aug 25;13(17):2760.
50. National Academies of Sciences. Committee on the Return of Individual-Specific Research Results Generated in Research Laboratories; Downey AS, Busta ER, Mancher M, et al., editors. *Returning Individual Research Results to Participants: Guidance for a New Research Paradigm.* National Academies Press; 2018 Jul 10.
51. Ohayon JL, Cousins E, Brown P, Morello-Frosch R, Brody JG. Researcher and institutional review board perspectives on the benefits and challenges of reporting back biomonitoring and environmental exposure results. *Environ Res.* 2017 Feb;153:140-149.
52. Pinto-Coelho L. How Artificial Intelligence Is Shaping Medical Imaging Technology: A Survey of Innovations and Applications. *Bioengineering (Basel).* 2023 Dec 18;10(12):1435.
53. Poongothai S, Anjana RM, Aarthy R, Unnikrishnan R, Narayan KMV, Ali MK, Karkuzhali K, Mohan V. Strategies for participant retention in long-term clinical trials: A participant-centric approach. *Perspect Clin Res.* 2023 Jan-Mar;14(1):3-9.
54. Recklitis A (2024). Implementing Artificial Intelligence in Clinical Trials: Potential Benefits and Challenges. *J Clin Res Bioeth.* 15:488.
55. Satlin A, Wang J, Logovinsky V, Berry S, Swanson C, Dhadda S, Berry DA. Design of a Bayesian adaptive phase 2 proof-of-concept trial for BAN2401, a putative disease-modifying monoclonal antibody for the treatment of Alzheimer's disease. *Alzheimers Dement (N Y).* 2016 Feb 4;2(1):1-12.
56. Shah, S. 2022. The Power of Automation. *Applied Clinical Trials.* Available at: <https://www.appliedclinicaltrialsonline.com/view/the-power-of-automation>
57. South BR, VanHouten C, Willis, VC, et al. Real-World Use of AI for Coding of Adverse Events in Clinical Trials. *Applied Clinical Trials.* Vol. 31, Iss. 7/8, Jul/Aug 2022: 20-24.
58. Thukral A & Bhardwaj S. The Future of SDTM Transformation: AI and HITL. *Applied Clinical Trials.* July 2023.



59. Tomioka, S. US CDISC Interchange Conference Proceedings: SDTM Mapping based on Natural Language Process and Machine Learning. 2018.
60. Top Legal. 2025. Automated Contract Review: Faster, More Precise, More Secure.
Available at: <https://www.top.legal/en/knowledge/automatic-contract-review>
61. Tufts CSDD (Center for the Study of Drug Development). 2021. January/February Tufts CSDD Impact Report: Rising Protocol Design Complexity is Driving Rapid Growth in Clinical Trial Data Volume. January/February Vol. 23 No. 1.
62. Tufts CSDD (Center for the Study of Drug Development). 2023. Prevalence and mean number of protocol amendments increasing across all phases. Impact Report. March/April. Vol. 25, No. 2.
63. Tufts CSDD (Center for the Study of Drug Development). 2019. Outsourcing outpaces internal spending but remains tactical and reactive. Impact Report. Mar/Apr;21(2).
64. Ullagaddi P. Digital transformation strategies to strengthen quality and data integrity in pharma. International Journal of Business and Management. 2024;19(5):16-26.
65. Vellanki, J. Explore how AI-driven validation tools can enhance data integrity and compliance in clinical trial management. International Research Journal of Modernization in Engineering Technology and Science. Volume:07/Issue:02/February-2025.
66. Venet D, Doffagne E, Burzykowski T, Beckers F, Tellier Y, Genevois-Marlin E, Becker U, Bee V, Wilson V, Legrand C, Buyse M. A statistical approach to central monitoring of data quality in clinical trials. Clin Trials. 2012 Dec;9(6):705-13.
67. Waters M. AI meets informed consent: a new era for clinical trial communication. JNCI Cancer Spectr. 2025 Mar 3;9(2):pkaf028.
68. Yin X, Davi R, Lamont EB, Thaker PH, Bradley WH, Leath CA 3rd, Moore KM, Anwer K, Musso L, Borys N. Historic Clinical Trial External Control Arm Provides Actionable GEN-1 Efficacy Estimate Before a Randomized Trial. JCO Clin Cancer Inform. 2023 Jan;7:e2200103.
69. Zheng S, Cui X, Ye Z. Integrating artificial intelligence into radiological cancer imaging: from diagnosis and treatment response to prognosis. Cancer Biol Med. 2025 Feb 4;22(1):6–13.