

AI創薬は幻想だったのか

エグゼクティブサマリー

結論から言うと、「AI創薬は幻想だった」という命題は条件付きで否定するのが最も妥当です。理由は二つあります。第一に、AIは候補化合物設計・探索のリードタイム短縮、化学空間探索、ADMET予測、患者層別化などで、すでに現実の成果を出しているからです。住友ファーマとExscientiaのDSP-1181では、住友側が業界平均4年半とされる探索研究を12カ月未満で完了したと公表し、Insilico MedicineのINS018_055では、プロジェクト開始から18カ月で前臨床候補選定、30カ月未満でPhase I到達が報告されました。アステラスも、社内のHuman-in-the-Loop型AI創薬プラットフォームにより、ヒット化合物から医薬品候補化合物までの期間を約2年から7カ月へ短縮し、約70%短くしたと開示しています。¹

しかし第二に、臨床有効性と承認実績の面では、2019–2024年時点のAI創薬はまだ「革命」よりも「有望な生産性技術」に近いからです。2024年末までに承認されたAI関与案件は、BenevolentAIがAI仮説形成に関与したbaricitinibのCOVID-19適応や、BioXcelのAIベース再創薬から生まれたIGALMIのように、主として再目的化・再創薬・既知化合物の新適応/新剤形でした。一方で、現代的な生成AI・AI de novo設計を中核に据えた新規低分子NMEについては、2024年末までに明確な承認例はなく、2025年のNature Medicine論文でも「AIで発見された薬はPhase 3に進んでいない」と整理されています。²

定量的にみると、探索・候補化合物創出の時間短縮は本物です。本レポートで公開一次資料から追跡できた3事例では、候補化合物創出までの期間短縮率は、DSP-1181で約78%、INS018_055で約67%、アステラス社内事例で約71%となり、単純平均では約72%短縮でした。ただし、これらは企業公表に依拠した小標本・異質な比較であり、第三者監査済みの絶対コスト削減額はほとんど開示されていません。公開一次資料の多くは「短縮」「大幅削減」「fraction of cost」といった表現にとどまり、時間短縮ほどコスト短縮は定量化されていないのが現状です。¹

臨床成功率については、見方が割れます。2024年のレビューでは、2023年末までにPhase Iを完了したAI発見分子24件のうち21件が成功し、Phase I成功率80–90%とする集計が示されています。一方で、本レポートが公開追跡可能なde novo AI低分子の早期コホートとして厳しめに絞った4案件（DSP-1181、DSP-0038、EXS-21546、INS018_055）では、2024年末時点でPhase IIへの明確な移行は1件、2件が中止/試験縮小、1件がPhase I継続でした。これは、AIが「ヒトに投与できる分子」を作る力では優位性を示し始めても、「ヒトで効く生物学」を当てる力ではまだ決定的優位性を示していないことを示唆します。³

投資面でも、2019–2022の「期待先行」から、2023–2024は選別と統合の局面に入りました。SanofiがExscientiaと最大52億ドル規模の提携を結び、Merck KGaAもExscientiaやBenevolentAIとのAI提携を打ち出す一方、BenevolentAIは2024年に事業優先順位の見直しを迫られ、Recursionは2024年にExscientiaを6.88億ドルで買収することで業界再編を象徴しました。他方で、CB Insightsによれば2024年のAI創薬バイオロジクス企業の資金調達額は16億ドル超で、2023年の2倍超に増えており、資本がAIそのものから「AI+独自データ+自動化+パイプライン」へと移ったことが分かります。⁴

したがって、本レポートの最終評価はこうです。AI創薬は幻想ではない。だが、万能の近道でもない。2019–2024に起きたのは「創薬の一部工程の劇的高速化」と「臨床での最終証明の難しさの再確認」であり、真に有望なのは、生成AI単独ではなく、患者由来データ、物理化学シミュレーション、ロボット実験、バイオマーカー、ヒト組織ベース検証を組み合わせたハイブリッド型です。短期的には生産性向上、中期的には疾患・患者選択の精緻化、長期的には承認実績の蓄積が成否を分けます。⁵

調査範囲と評価軸

本レポートは、主に2019–2024年を対象に、必要な範囲で2025–2026年の後続動向を補足しました。対象は、**学術研究、製薬大手、AI創薬スタートアップ、プラットフォームベンダー、規制当局**です。視点はグローバルを基本としつつ、日本については、住友ファーマ、アステラス、中外製薬、AMED、厚生労働省、PMDAの動向を明示的に厚く扱っています。⁶

重視した情報源は、**企業公式発表、企業パイプライン、FDA/EMA/MHLW/AMEDなどの公的資料、ClinicalTrials.gov、査読論文、主要レビュー**の順です。とくに、スピード短縮・臨床移行・開発中止のような重要論点は、できる限り一次情報で裏取りし、業界全体の成功率やトレンドはレビューや業界レポートで補いました。なお、AI創薬の「AI」の定義は資料ごとに大きく異なり、**de novo分子設計、既知化合物の再目的化、患者層別化、機能的精密医療、物理ベース設計のML補強**が混在しています。この定義の違い自体が、期待と現実のギャップを生んだ重要因子です。⁷

本レポートで明示的に用いた評価次元は、次の通りです。

評価次元	本レポートでの見方
期間	2019–2024を主対象、重要な前史と2025–2026の追跡を補足
情報源優先	一次情報 > 査読論文 > 主要レビュー > 業界集計
対象主体	学術、製薬大手、AI創薬スタートアップ、プラットフォーム企業、規制当局
技術軸	機械学習、生成モデル、強化学習、物理化学シミュレーション統合、データ拡張、マルチオミクス統合
成果軸	探索・候補化合物創出速度、IND/CTA、臨床開始、相移行、承認、失敗原因
実務軸	データ品質、説明可能性、再現性、スケールアップ、規制、倫理、産学連携、人材・組織
経済軸	資金調達、提携、M&A、パイプライン価値、期待と現実の差

なお、**費用対効果**については公開情報に大きな限界があります。多くの一次資料は「時間短縮」は具体的に示しますが、「コスト削減」は定性的な表現にとどまり、監査済み・比較可能な絶対額は乏しいため、本レポートでは**時間短縮の定量化を主、コスト削減は慎重評価**としました。⁸

歴史的背景と現在地

AI創薬は、2019年に突然始まったものではありません。前史には、**QSAR、ルールベースのexpert system、バーチャルスクリーニング、ドッキング、ベイズ最適化**がありました。2019–2024が転換点になったのは、**深層学習と生成モデル**だけでなく、**構造生物学AI、患者由来データ、ロボティクス、クラウド計算、マルチモーダルデータ統合**が実運用レベルで結びつき始めたからです。2023年のNature総説は、計算手法が多様な化学空間から高品質・高選択性のリガンド探索を加速しう一方、データ不足や検証の難しさがボトルネックだと整理しています。さらに2024年のAlphaFold 3は、タンパク質だけでなく**小分子、核酸、イオンを含む複合体相互作用**の予測へ進み、薬剤設計の上流条件を大きく変えました。⁹

日本でも、AI創薬は「民間のバズワード」だけではありません。厚生労働省は2021年の資料で、医薬品開発の生産性低下を背景に、**ゲノム情報を用いたAIターゲット探索、企業間のfederated learning、3Dシミュレーションと富岳連携による不足データ補完**を論点として提示しました。AMEDはDAIIA、さらにDAIIA-Xへと進み、**産学連携型の統合創薬AIプラットフォーム**を組み上げようとしています。これは、日本のAI創薬が単独

企業のアルゴリズム競争ではなく、**データ共有・計算基盤・産学官連携の制度設計**と一体で進んでいることを意味します。 ¹⁰

では、2019-2024に「何が実際に起きたのか」。最も象徴的な出来事は、**AI設計分子が臨床に入り始めたこと**です。住友ファーマとExscientiaのDSP-1181は2020年にPhase Iへ進み、Exscientia/住友からはDSP-0038、DSP-2342も後続しました。InsilicoのINS018_055は、**新規標的の発見と分子設計の双方にAIを使った候補**として、2023年にPhase IIに進みました。中外製薬では2024年に、**独自AI抗体支援技術MALEXAを用いたBRV10が初めて臨床開発段階**に入りました。つまり、AI創薬は2024年末までに、少なくとも「臨床入口までは越えた」と言えます。 ¹¹

一方で、「AIが薬を市場に連れてきたか」という問いには、もっと厳密な答えが必要です。承認の実例としてよく挙がるのは、BenevolentAIが知識グラフで仮説形成に関わった**baricitinibのCOVID-19適応**と、BioXcelのAIベース再創薬から生まれた**IGALMI**です。しかし前者は既存薬の再目的化、後者も既知薬理をもつ分子の新適応・新剤形に近く、**生成AIが一から設計し、初めて市場承認された新規低分子**とは言いにくい。2025年のNature Medicine論文が、AI発見薬について「Phase 3にまだ進んでいない」と総括したのは、この点をよく表しています。したがって、現時点の「成功」は**承認の有無だけでなく、どの工程でAIが実質的価値を出したか**で区別して見る必要があります。 ²

技術別評価

技術別に見ると、2019-2024のAI創薬は一様ではありません。**最も実務的に効いたのは、機械学習による予測・優先順位付けと、生成モデルを含む分子設計の高速化**です。逆に、**強化学習単独**や**合成データ単独**が臨床成果を直接押し上げたとする公開事例は乏しく、多くはハイブリッドスタックの一部として使われています。以下の表が要点です。

技術	主な用途	2019-2024の実証状況	現時点の評価
機械学習・深層学習	物性予測、ADMET、ヒット選抜、患者層別化	ExscientiaのEXALT-1では、 高コンテンツ画像+深層学習 で治療選択を支援し、40%の患者で期待値の3倍以上の例外的反応を報告。アステラスもAI+ロボット+研究者のDMTAで候補化合物到達時間を約70%短縮したと開示。 ¹²	実用成熟度は高い 。ただし、予測対象が狭く、社内データ依存が強い。
生成モデル	de novo分子設計、化学空間探索	DSP-1181、INS018_055、DSP-2342など、 臨床到達例 が出た。INS018_055は標的発見から分子設計までAI主導の代表例。 ¹³	探索速度には強い が、有効性の生物学的妥当性は別問題。
強化学習	多目的最適化、分子提案の探索戦略	実案件では生成モデル群の一部として組み込まれることが多く、 単独寄与の公開臨床実証は限定的 。総説でもAIは補完技術として語られ、単独での臨床優位は未確立。 ¹⁴	有望だが、証明不足 。
物理化学シミュレーション統合	ドッキング、結合様式予測、3D構造解釈	AlphaFold 3は分子間相互作用予測を大幅に改善。日本でもMHLWは 3Dシミュレーションで実測不足を補う方針 を示し、アステラスはTokyo-1で分子シミュレーションとAI分子設計を加速。 ¹⁵	今後の勝ち筋 。AI単独よりも堅い。
データ拡張・合成データ	希少データ補完、オフターゲット/ADMET推定	日本の政策文書でも、 実測が少ない部分をシミュレーションデータで補う 必要が明示。だが、規制面ではデータ由来・妥当性の説明が必須。 ¹⁶	必要だが、規制適格性が鍵 。

技術	主な用途	2019–2024の実証状況	現時点の評価
マルチオミクス統合	標的の同定、疾患サブタイプ化、患者選択	MHLWはゲノム情報等を使うAIターゲット探索を掲げ、Insilicoは新規標的TNIKを発見。Exscientiaは患者組織と単一細胞・画像データを用いる精密医療へ広げた。 ¹⁷	長期的に重要。だがデータ標準化が重い。

技術面で最も重要な発見は、AIが強い領域と弱い領域がはっきり分かれたことです。AIは、広大な化学空間から「作れそうで、そこそこ良さそうな分子」を出すこと、あるいは患者サンプルから反応性の高そうなサブセットを抽出することに強い。一方、疾患生物学の本質的な不確実性、すなわち「その標的を弄れば患者が本当に良くなるか」「動物で見えた作用がヒトで再現するか」を消すことはできません。DSP-1181、BEN-2293、EXS-21546の失敗理由が、いずれもこの“下流の翻訳”に集中していることは示唆的です。¹⁸

この構造は、規制当局の姿勢にも対応しています。FDAの2025年ドラフトガイダンスは、AIを「使ったかどうか」ではなく、**規制判断に使う情報の信頼性を、その文脈ごとにどう立証するか**というリスクベースのcredibility assessmentで整理しています。EMAも2024年のreflection paperで、**創薬から製造、市販後までのライフサイクル全体**を視野にAI利用の原則を整理しました。要するに、AIは「魔法のブラックボックス」ではなく、**検証可能なエビデンス生成手段**として扱われ始めています。¹⁹



上の因果図が示す通り、AI創薬の実務的な勝ち筋は、「B→D」つまり仮説生成からDMTA高速化までにあります。逆に、「E→G」つまり臨床有効性の実証では、依然として古典的な創薬の難しさが支配的です。日本のMHLWがfederated learningと3Dシミュレーション補完をセットで語り、アステラスがHuman-in-the-Loop、ChugaiがMALEXAとBRY10の臨床入りを強調するのは、単なるAI導入ではなく、**AIを組み込んだ研究運用体制の再設計**が重要だという認識の表れです。²⁰

定量分析とケーススタディ

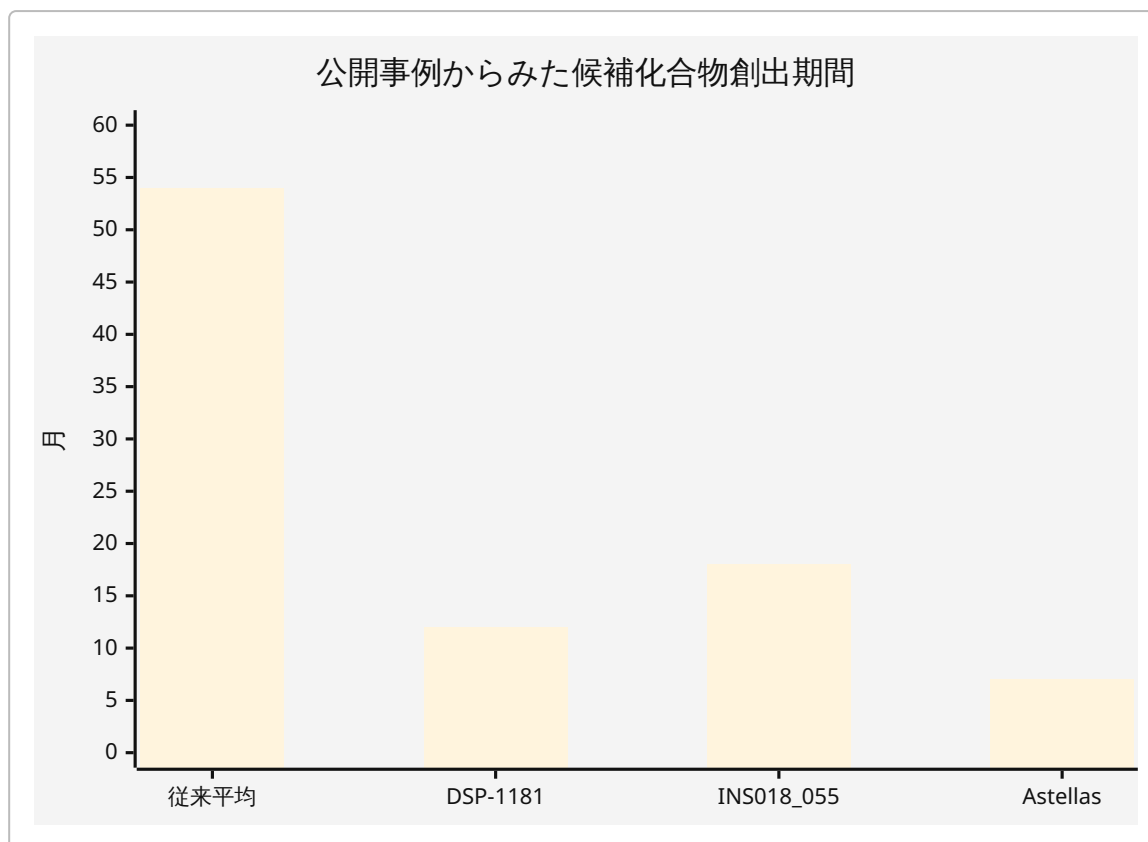
まず、公開一次資料から比較可能な候補化合物創出までの時間を整理すると、AIは少なくとも上流工程では明確な短縮効果を示しています。以下は、明示的な期間データを公表した代表例です。

事例	従来比較	AI導入後の期間	推定短縮率	注記
DSP-1181	54カ月（住友公表の業界平均4.5年）	12カ月未満	約77.8%	企業公表。探索研究ベース。 ²¹
INS018_055	54カ月を仮置き比較	18カ月で前臨床候補選定	約66.7%	企業公表。比較基準は異質であるため参考値。 ²²
アステラス社内事例	約24カ月	約7カ月	約70.8%	企業公表。ヒット→候補化合物。約60,000化合物をAI設計。 ²³

この3事例の単純平均短縮率は約71.8%です。重要なのは、この数字を「AI創薬全体の平均」と誤解しないことです。比較単位は統一されておらず、いずれも企業内部のベースラインとの比較で、対象疾患・アッセイ・

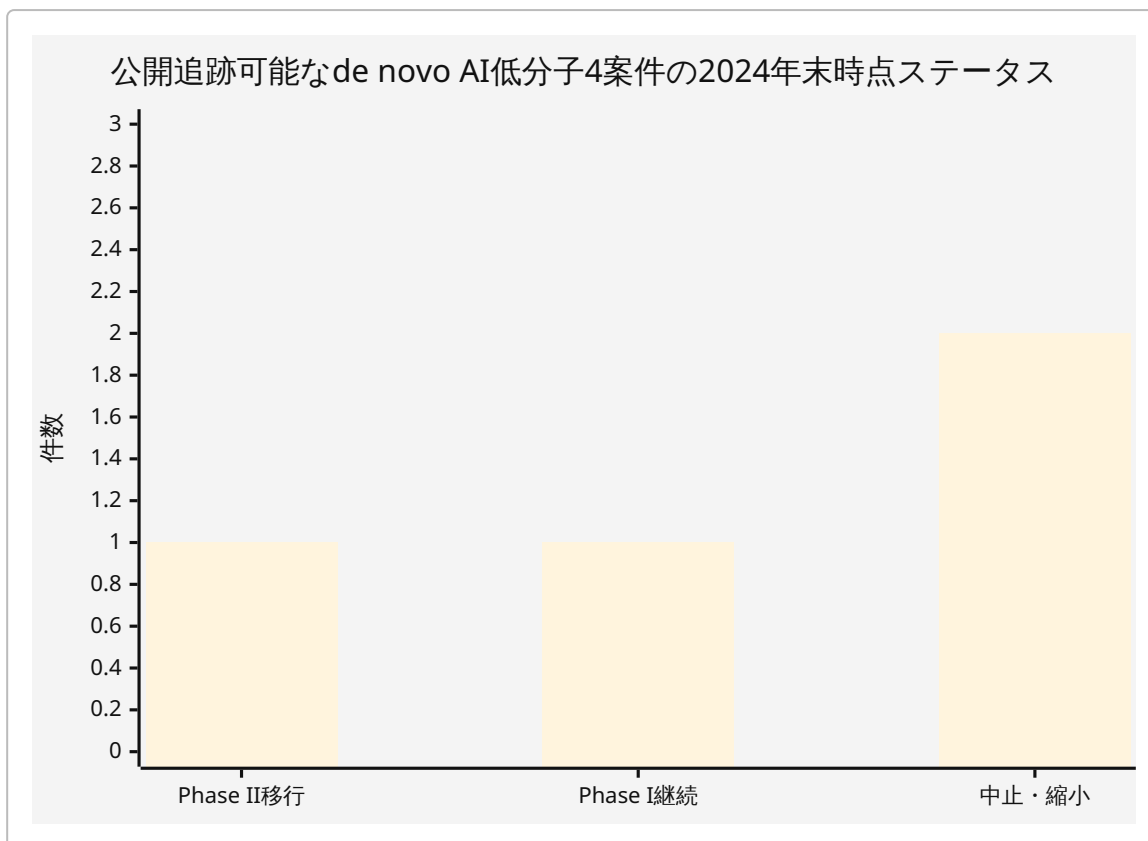
データ資産も異なります。それでも、少なくとも上流探索の速度改善が偶然ではないことは示しています。

1



一方で、臨床移行をみると景色は変わります。業界全体では、BIO/QLS/Informaの集計で**Phase Iから承認までのLOAは7.9%、Phase II移行が最大の難所**とされています。別の2024年レビューでは、AI発見分子は**Phase I成功率80-90%、Phase II成功率約40%**とされ、少なくとも初期臨床では良いシグナルが示唆されています。ところが、本レポートで**公開追跡可能かつde novo色の強い早期低分子4案件**を厳しめに追うと、2024年末時点で明確なPhase II移行はINS018_055の1件のみで、DSP-1181とEXS-21546は停止・縮小、DSP-0038はPhase I継続でした。これは、AIが**developability**には効いても、**translatibility**をまだ十分には高めていない可能性を示します。これは筆者推定ですが、公開パイプラインからはそう読むのが自然です。

24



成功例

企業・組織	プロジェクト	主な手法	成果	現状	根拠
BioXcel Therapeutics	IGALMI / BXCL501	AI-based drug re-innovation 。既知分子 dexmedetomidineの新適応・新剤形化	2022年、FDAが統合失調症/双極性障害に伴う激越の急性治療として承認	米国で承認・上市済み。AI創薬の承認例だが、de novo NMEではない	25
Insilico Medicine	INS018_055 / rentosertib	AIで新規標的発見+生成設計 、統合プラットフォームPharma.AI	前臨床候補を18カ月で選定、30カ月未満でPhase I、2023年にPhase II入り	2024年末時点でPhase II進行、2025年にPhase IIa結果公表	26
中外製薬	BRY10	抗体創薬支援AI MALEXA	2024年に、MALEXA利用案件として初めて臨床開発入り	2025年初時点でPhase I	27

この表から分かるのは、成功例の中身が一枚岩ではないことです。**IGALMIは承認に到達したが再創薬型、INS018_055はde novo性が高いが承認には未達、BRY10は日本企業のAI内製化の到達点を示すがまだ早期臨**

床という違いがあります。つまり、「AI創薬の成功」といっても、承認成功、工程短縮成功、臨床移行成功を分けて読む必要があります。²⁸

失敗例

企業・組織	プロジェクト	主な手法	失敗内容	現状	根拠
住友ファーマ × Exscientia	DSP-1181	AI設計低分子	探索研究は12カ月未満で完了したが、Phase Iで期待基準未達	2022年に開発中止	²⁹
BenevolentAI	BEN-2293	AI支援標的仮説・低分子開発	Phase IIaで安全性は確認されたが、NRS/EASIで統計学的有意差を示せず	後続進展の公表は乏しく、事業優先順位見直しの局面へ	³⁰
Exscientia	EXS-21546	AI設計A2A拮抗薬	臨床・前臨床モデリングから適切な治療域確保が難しいと判断	Phase 1/2を縮小終了、当該標的の内製研究を中止	³¹

失敗例の共通項もはっきりしています。**分子を早く出すことと、患者で効くことは別**です。DSP-1181は速度面では歴史的マイルストーンでしたが、臨床に入ると通常の創薬と同じリスクに晒されました。BEN-2293はAIが描いた生物学仮説の**患者有効性検証**でつまづき、EXS-21546は**治療域・薬物動態・臨床的妥当性**の壁にぶつかりました。AIは「分子設計の失敗率」は下げても、「疾患生物学の誤り」までは消せない、というのが実証的教訓です。¹⁸

経済・規制・実務課題

経済・投資面では、AI創薬は**ブーム崩壊**ではなく、**資本の選別と再配分**が起きたとみるべきです。2021年にはExscientiaが**5.25億ドル**の大型調達を行い、2022年にはSanofiがExscientiaと**最大52億ドル**の提携を締結しました。2023年にはMerck KGaAがBenevolentAIとExscientiaの双方とAI提携を進め、ビッグファーマの関心は継続しました。他方で、2024年にはBenevolentAIが事業優先順位の見直し局面に入り、ExscientiaはRecursionに**6.88億ドル**で買収されました。これは、**AIプラットフォーム単体の物語**よりも、**AI+自社パイプライン+自動化+独自データ**を持つ企業の方が市場で評価されやすくなったことを示しています。³²

同時に、期待が完全に消えたわけでもありません。CB Insightsは、**2024年のAI創薬バイオロジクス企業の調達額が16億ドルで2023年の2倍超**になったと報告しており、投資家はAIから撤退したのではなく、**より統合度の高いAIバイオ企業へ資金を移した**と読むのが自然です。期待と現実のギャップは、「AIで創薬が全部速くなる」という物語が過剰だったのであって、「AIが創薬の重要インフラになる」という命題まで否定したわけではありません。³³

規制面では、FDAとEMAが先行しています。FDAは2025年に、AIを使って**安全性・有効性・品質に関する規制判断を支える情報**を作る場合のドラフトガイダンスを公表し、**context of useごとのcredibility assessment**を求めました。EMAも2024年のreflection paperで、AIの適用を**drug discoveryからpost-authorisationまでのライフサイクル全体**で整理しています。日本は2024年まで、医薬品そのものに対するAI専用ガイダンスでは欧米に比べ慎重でしたが、MHLW・AMEDはデータ基盤・federated learning・統合AIプラットフォームの整備を進めています。つまり、日本は**規制細則の先行**より**基盤整備の先行**という性格が強いと言えます。³⁴

実務上の課題は、次の4群に集約できます。

課題	なぜ難しいか	現実的な打ち手	根拠
データ品質・バイアス	希少ターゲットやoff-targetでは実測不足が深刻で、企業データも全対象を十分に覆えない	federated learning、3Dシミュレーション、患者由来データの拡充	35
説明可能性・規制適格性	AIを規制判断に使うには、用途ごとに信頼性評価が必要	context-of-use明確化、credibility assessment、ログ管理	36
再現性	企業内データが閉じやすく、外部検証が難しい	生データ公開、追試可能な前臨床設計、患者サンプルベース検証	37
人材・組織	AI人材だけでも、創薬人材だけでも不十分。両者と自動化運用が必要	Human-in-the-Loop組織、横断人材育成、社内データ基盤整備	38

とくに重要なのは、**説明可能性**を「モデル内部の可視化」だけで考えないことです。規制実務では、「なぜこの予測を信用できるか」は、しばしば**学習データの来歴、適用範囲、外れ値挙動、更新管理、試験設計との整合性**で担保されます。AI創薬で本当に価値が出るのは、モデル可視化の美しさより、**申請資料や意思決定に耐える運用証跡**があるかどうかです。これは、FDA/EMAがAIを“精度だけでなく治理対象”として扱っていることから明らかです。³⁹

また、産学連携の障壁は、単純な「共同研究の数」の問題ではありません。日本のDAIIA/DAIIA-Xが、raw data共有ではなく**federated learning**や統合プラットフォームを重視していること自体が、**データ主権、機密性、知財、標準化不足**が本質課題であることを示しています。AI創薬が広がるほど、アルゴリズムよりも**データ契約・実験標準・IP設計**の重要性が増す、という逆説が起きています。⁴⁰

総合評価と提言

本レポートの最終判断は、改めてこうです。「**AI創薬は幻想だったのか？**」への答えは、**条件付きで否定です**。AI創薬は幻想ではありません。実際に、探索研究の期間短縮、候補化合物創出の高速化、初期臨床入りの増加、再目的化・再創薬での承認実績、患者層別化支援など、**複数の工程で既に現実の成果**があります。住友ファーマ、Insilico、アステラス、中外、BioXcel、BenevolentAIの事例は、その点を十分に示しています。⁴¹

ただし、「**AIが創薬全体を根底から容易にする**」という期待は誇張だったとも言えます。Phase II以降の失敗率の高さ、de novo NME承認の未達、公開コストデータの乏しさ、そして2023-2024の資本市場での再編は、AIが万能薬ではないことを示しました。より正確には、AIは**創薬のボトルネックを一様に解消する技術**ではなく、**上流の探索効率と設計品質を高める技術**です。臨床成功を決めるのは最後まで、患者生物学、バイオマーカー、試験設計、規制適格性、組織運用です。⁴²

短期の見通しとしては、今後2~3年で、AI起点の候補がさらにPhase I/IIへ進むことはほぼ確実です。とくに、**rare disease、線維化、腫瘍、抗体・RNA設計、患者層別化を伴うprecision medicine**で前進が出やすいでしょう。しかし、2024年までの実績を見る限り、**de novo AI低分子の承認が短期に多数出ると期待する**のは尚早です。⁴³

中期の見通しとしては、3~7年のスパンで、AIと患者由来データ、物理ベースシミュレーション、ロボット自動化が結びついた企業が優位になる可能性が高いです。アステラスのHuman-in-the-Loop、中外のMALEXA、Insilicoのend-to-end platform、MHLW/AMEDの統合AI基盤構想は、いずれも「**AI単体ではなく研**

「**究システム全体の再設計**」へ向かっています。ここが定着すれば、AIは“創薬部門の一ツール”ではなく“創薬オペレーティングシステム”に近づきます。 44

長期の見通しとしては、承認実績が積み上がるかどうかだけが唯一の決定打です。もし、de novo AI起点の分子がPhase IIIを越え、複数疾患で再現的に承認されれば、2019–2024は「幻滅の時代」ではなく「基盤形成の時代」と再評価されるでしょう。逆に、それが起きないなら、AI創薬は“優れた研究効率化技術”にとどまります。2024年末時点では、この分岐はまだ決着していません。 45

研究者への推奨は明確です。**分子生成の精度競争より、ヒト生物学への接続を優先すべき**です。患者由来サンプル、単一細胞、空間オミクス、機能的アッセイを早い段階で組み込み、モデルの目的関数に「薬らしさ」だけでなく「患者で効く確率」を近づける必要があります。再現性向上のために、Insilicoのような生データ公開や、Exscientiaのような患者組織ベース検証の拡張も重要です。 46

企業への推奨は、**AIを単独の部署ではなく、DMTA・自動化・データガバナンス・臨床バイオマーカー戦略まで含めた“事業設計”として扱う**ことです。短期KPIは「AIモデルの精度」ではなく、**合成成功率、候補化合物到達期間、前臨床→Phase I移行率、Phase I→II移行率**で持つべきです。また、プラットフォーム事業だけでなく、自社パイプラインや共同開発を通じて**成果帰属を明確に**することが、市場からの信頼維持に不可欠です。Sanofi/Exscientia、Merck KGaAのAI提携、RecursionによるExscientia買収は、その現実を物語ります。 47

政策立案者への推奨は、**アルゴリズム支援よりデータ連結と検証基盤整備を優先**することです。日本では、federated learning、富岳を含む計算基盤、AMEDのDAIIA-X、企業・アカデミア・医療機関をまたぐ標準化が重要です。さらに、PMDA審査につながる**規制適格性の早期対話**、バイオマーカー・患者層別化・AI由来証拠の評価枠組み整備を進めれば、日本のAI創薬は「導入事例の多い国」から「承認を出せる国」へ一段上がれます。 48

要するに、AI創薬の2019–2024は、**幻想の崩壊**ではなく、**誇大な物語の修正**でした。AIは薬を自動的に発明する魔法ではない。しかし、上流探索の速度と設計品質を大きく変え、創薬組織の作り方そのものを変え始めています。したがって、最も正確な一文はこうなります。**AI創薬は幻想ではない。だが、AI“だけ”で創薬できるという考えは幻想だった。** 49

1 11 13 21 29 41 <https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20200130.html>
<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20200130.html>

2 <https://www.fda.gov/media/143825/download>
<https://www.fda.gov/media/143825/download>

3 7 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38692505/>
<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38692505/>

4 47 <https://www.sanofi.com/en/media-room/press-releases/2022/2022-01-07-06-00-00-2362917>
<https://www.sanofi.com/en/media-room/press-releases/2022/2022-01-07-06-00-00-2362917>

5 9 <https://www.nature.com/articles/s41586-023-05905-z>
<https://www.nature.com/articles/s41586-023-05905-z>

6 10 16 17 20 35 40 48 <https://www.mhlw.go.jp/content/10601000/000926770.pdf>
<https://www.mhlw.go.jp/content/10601000/000926770.pdf>

8 22 26 https://insilico.com/blog/first_phase2
https://insilico.com/blog/first_phase2

- 12 <https://kommunikasjon.ntb.no/pressemelding/17941291/blood-cancer-discovery-publication-further-validates-exscientias-ai-precision-medicine-platform-for-improving-patient-outcomes?publisherId=90063>
<https://kommunikasjon.ntb.no/pressemelding/17941291/blood-cancer-discovery-publication-further-validates-exscientias-ai-precision-medicine-platform-for-improving-patient-outcomes?publisherId=90063>
- 14 <https://www.annualreviews.org/doi/10.1146/annurev-pharmtox-040323-040828>
<https://www.annualreviews.org/doi/10.1146/annurev-pharmtox-040323-040828>
- 15 <https://www.nature.com/articles/s41586-024-07487-w>
<https://www.nature.com/articles/s41586-024-07487-w>
- 18 <https://www.sumitomo-pharma.co.jp/ir/library/presentation/assets/pdf/transcript20220131.pdf>
<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/ir/library/presentation/assets/pdf/transcript20220131.pdf>
- 19 34 36 39 <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/considerations-use-artificial-intelligence-support-regulatory-decision-making-drug-and-biological>
<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/considerations-use-artificial-intelligence-support-regulatory-decision-making-drug-and-biological>
- 23 38 44 <https://www.astellas.com/content/dam/astellas-com/jp/ja/documents/integrated-reports/integrated-report-2025-jp.pdf>
<https://www.astellas.com/content/dam/astellas-com/jp/ja/documents/integrated-reports/integrated-report-2025-jp.pdf>
- 24 42 https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf
https://go.bio.org/rs/490-EHZ-999/images/ClinicalDevelopmentSuccessRates2011_2020.pdf
- 25 <https://www.bioxceltherapeutics.com/>
<https://www.bioxceltherapeutics.com/>
- 27 https://www.chugai-pharm.co.jp/english/ir/reports_downloads/annual_reports/files/eAR2024_12_single.pdf
https://www.chugai-pharm.co.jp/english/ir/reports_downloads/annual_reports/files/eAR2024_12_single.pdf
- 28 <https://ir.bioxceltherapeutics.com/node/9826/pdf>
<https://ir.bioxceltherapeutics.com/node/9826/pdf>
- 30 <https://www.businesswire.com/news/home/20230404006090/en/BenevolentAI-Announces-Top-Line-Phase-IIa-Results-for-Its-Topical-pan-Trk-Inhibitor-BEN-2293-1-in-Mild-to-Moderate-Atopic-Dermatitis>
<https://www.businesswire.com/news/home/20230404006090/en/BenevolentAI-Announces-Top-Line-Phase-IIa-Results-for-Its-Topical-pan-Trk-Inhibitor-BEN-2293-1-in-Mild-to-Moderate-Atopic-Dermatitis>
- 31 <https://www.businesswire.com/news/home/20220614005457/en/Exscientia-Reports-Topline-Data-From-EXS-21546-Phase-1a-Study-Demonstrating-Targeted-A2A-Receptor-Signaling-Inhibition-in-Healthy-Volunteers>
<https://www.businesswire.com/news/home/20220614005457/en/Exscientia-Reports-Topline-Data-From-EXS-21546-Phase-1a-Study-Demonstrating-Targeted-A2A-Receptor-Signaling-Inhibition-in-Healthy-Volunteers>
- 32 <https://www.businesswire.com/news/home/20210505005411/ja>
<https://www.businesswire.com/news/home/20210505005411/ja>
- 33 <https://www.cbinsights.com/research/ai-in-drug-discovery/>
<https://www.cbinsights.com/research/ai-in-drug-discovery/>

37 46 <https://www.prnewswire.com/apac/news-releases/novel-molecules-from-generative-ai-to-phase-ii-first-novel-tnik-inhibitors-for-fibrotic-diseases-discovered-and-designed-using-generative-ai-302085115.html>

<https://www.prnewswire.com/apac/news-releases/novel-molecules-from-generative-ai-to-phase-ii-first-novel-tnik-inhibitors-for-fibrotic-diseases-discovered-and-designed-using-generative-ai-302085115.html>

43 45 <https://www.nature.com/articles/s41591-025-03743-2>

<https://www.nature.com/articles/s41591-025-03743-2>

49 <https://www.nature.com/articles/d41586-023-03172-6>

<https://www.nature.com/articles/d41586-023-03172-6>