

「AI創薬の幻想」の真実：2026年における臨床的現実、パラダイムシフト、そして次世代医薬品開発の全貌

Gemini 3.1 pro

1. 序論：AI創薬に対する過剰な期待と「幻想」という言説の起源

2026年現在、医薬品開発の領域において「AI創薬は幻想だったのではないか」という極めて懐疑的な声が、一部の投資家や製薬業界の周辺から上がっている。この言説の根底にあるのは、テクノロジー業界が主導した過度な期待（ハイプ）と、生物学という極めて複雑な適応システムが持つ泥臭い現実との間に生じた「巨大な乖離」に対する失望である。

過去数年間にわたり、シリコンバレーの先駆者や著名なテクノロジストたちは、人間の病気を「パッチの適用を待っているソフトウェアのバグ」のように描写してきた¹。例えば、2025年の世界経済フォーラム（ダボス会議）において、Anthropic社のCEOであるDario Amodei氏は生物物理学のバックグラウンドを引き合いに出し、「AIは100年分の生物学的進歩をわずか10年に短縮し、人間の寿命を倍増させる可能性がある」という野心的な予測を展開した¹。また、Google DeepMindの立役者でありノーベル賞受賞者でもあるDemis Hassabis氏も、AIによって「今後10年以内ですべての病気を根絶する」という壮大なタイムラインを示唆し、通常10年を要する創薬プロセスを数ヶ月に圧縮することを目標として掲げていた¹。

このような「人体をコンピュータ上で実行されるコードのように扱い、問題を診断し、修正をシミュレートし、疾患が現れる前にデバッグする」という還元主義的なアプローチは、計算機科学の数学的優雅さには見事に適合する。しかし、現実の生物学はそのようには機能しない¹。人間の身体は、数百万年の進化によって形成された驚異的に複雑で適応的なシステムであり、予測不可能な生体内毒性や、生きた人間の免疫システムが引き起こす混沌とした反応を、AIが魔法のように計算で完全に排除することは不可能である¹。

その結果、AIによって「発見」された化合物の多くが、伝統的な医薬品と全く同じ臨床試験の壁（特にフェーズIIIにおける有効性評価の壁）に衝突し、ハイプロファイルな開発中止やパイプラインの削減が相次いだ¹。これが「AI創薬は幻想である」という言葉を生み出した直接的な原因である。

しかし、2026年初頭までに蓄積された詳細な臨床データ、高名な失敗事例の解剖、そしてNature Medicine誌等で証明されつつある最新の成功事例を網羅的に紐解くと、AI創薬は決して幻想に終わったわけではないことが明らかになる。むしろ、現在のAI創薬市場は2025年の19億4000万ドルから2026年には26億ドル規模へと力強い成長を遂げており、テクノロジーの採用はかつてないほど深まっている²。2026年は、AI創薬が「魔法の杖」という誤った概念実証（PoC）の段階から抜け出し、臨床的検証と市場のボラティリティの間にある「変曲点」に到達した決定的な年として位置づけられる³。

本レポートでは、臨床データの冷徹な分析を通じて、AIが医薬品開発プロセスにおいてすでに打破した壁と、依然として残されている課題を浮き彫りにする。さらに、業界を揺るがした失敗事例と最先端

の成功事例を対比させることで、AI創薬の真の価値と限界、そして今後の展望を網羅的かつ専門的に解き明かしていく。

2. 医薬品開発の残酷な現実と「生物学のバグ」の正体

AIが直面している課題の解像度を上げるためには、まず医薬品開発プロセスが歴史的に抱えてきた構造的な困難さを理解する必要がある。新しい医薬品を市場に投入するプロセスは、悪名高いほど時間がかかり、かつ莫大な費用を要する。初期の発見からFDA(米国食品医薬品局)の承認に至るエンドツーエンドのプロセスには、通常15年から16年という長い歳月が費やされ、承認された医薬品1つあたりの平均研究開発(R&D)費用は28億ドルを超える²。さらに、初期段階の医薬品候補が最終的に市場に出る確率はわずか約8%にとどまっており、このプロセスの非効率性が、患者への救命治療の提供を遅らせ、医療費を高騰させる根本原因となっている²。

製薬業界における臨床試験の失敗率は、過去数十年にわたり約90%という驚異的な水準で高止まりしている¹。この90%という数字は、すでに前臨床段階をクリアし、フェーズI臨床試験に進んだ候補化合物のみを対象としたものであり、前臨床段階の候補も含めれば、全体的な失敗率はさらに跳ね上がる¹。

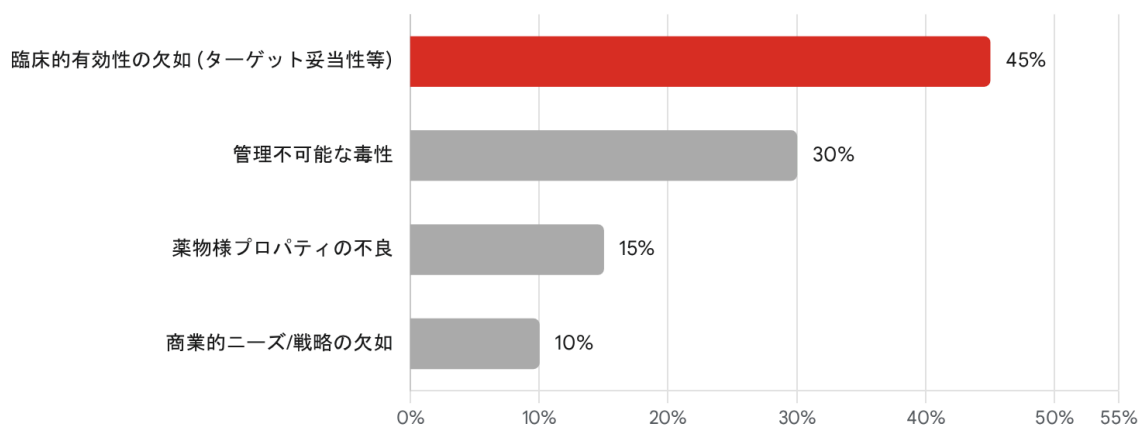
2010年から2017年の臨床試験データを基にした包括的な分析によれば、この90%の失敗は主に以下の4つのカテゴリーに分類される¹。

失敗の主要因	割合	詳細なメカニズムと課題
臨床的有効性の欠如	40%~50%	最も重大な要因。分子標的が人間の疾患の真の原因であること(ターゲットバリデーション)の確認が困難。In vitroシステムや動物モデルと、実際の人間の疾患との間の生物学的な不一致が、薬理的な有効性の証明を阻む。
管理不可能な毒性	30%	標的へのオンターゲット阻害、または予期せぬオフターゲット阻害による毒性。特に、重要な臓器(肝臓など)や血球への薬物候補の蓄積が主な要因。生きた免疫系の予測不可能性に起因する。
薬物様プロパティの不良	10%~15%	溶解性などの物理化学的性質の問題。1990年代には失敗の30%~40%を占めてい

		たが、最適化段階での厳格な選択基準の導入により大幅に減少した。
商業的・戦略的理由	約10%	開発期間中の治療環境の変化、市場ニーズの低下、競合薬の出現、あるいは企業のポートフォリオ戦略の変更による開発中止。

臨床試験における開発失敗の主要因

開発失敗要因の内訳 (割合 %)



臨床試験に進んだ候補化合物のうち、約半数がターゲットの妥当性など「有効性の欠如」によって失敗している。AIは溶解性などの物理化学的性質（薬物様プロパティ）の改善には寄与しているが、複雑な生体メカニズムの予測には依然として課題が残る。

Data sources: [National Center for Biotechnology Information \(NCBI\)](#)

上記が示す通り、医薬品開発における最大の壁は「臨床的有効性の欠如」である。シリコンバレーの起業家たちが考えるように、タンパク質の3D構造に対して完璧にフィットする分子を設計するアルゴリズムを構築することは可能である。しかし、「そのタンパク質を阻害することが、本当に人間の病気を治癒に導くのか」という生物学的な前提自体が間違っていれば、いかに洗練された分子であっても臨床試験では無価値となる¹。

最適化プロセスにおける構造的欠陥: SARへの過剰依存

現在のAIを用いた薬物最適化プロセスが抱えるシステム上の弱点として、SAR(構造活性相関: Structure-Activity Relationship)への過剰な依存が指摘されている¹。現在の計算化学的アプローチは、標的タンパク質に対する化合物の結合力や特異性(オフターゲット効果を抑えるために、KiやIC50をnMやpMの極微量レベルまで高めること)の最適化に極端に偏重している¹。

一方で、実際の生体内における疾患組織と正常組織での選択的曝露を評価するSTR(構造-組織曝露/選択性相関: Structure-Tissue exposure/selectivity-Relationship)の研究は頻繁に見過されている¹。臨床試験で成功するためには、理想的な薬物候補は「高い効力・特異性」「疾患組織での高い曝露(低用量での有効性達成)」「健康な組織での最小限の曝露(毒性の回避)」という、臨床用量・有効性・毒性の複雑なバランスをとらなければならない¹。STRを軽視し、アルゴリズム上で単なる結合親和性のみを追求する姿勢が、生体内に入った際の予測不可能な毒性や有効性の欠如を招き、最終的に臨床試験の失敗という結果へと繋がっているのである¹。

3. 臨床試験データの冷徹な現実: 二極化するAIのパフォーマンス

過去10年間の多額の資本投下により、AIネイティブなバイオファーマ企業のパイプラインからは173以上の臨床プログラムが生み出されてきた⁴。2026年初頭までに蓄積されたこれらのフェーズIおよびフェーズIIの臨床試験アウトカムデータを系統的に分析すると、AIの能力に関する非常に明確な「二極化(bifurcated picture)」の実態が浮かび上がってくる⁴。AIはプロセスの一部を劇的に改善したものの、特定の壁の前では立ち止まっている。

フェーズIIにおける圧倒的な優位性: 安全性エンジニアリングの勝利

AIを基盤技術として活用するAIネイティブ企業は、主に安全性と薬物動態を評価するフェーズII臨床試験において、約80%~90%という驚異的な成功率を達成している⁵。これは、従来の手法を用いた製薬業界の過去の平均成功率(約40%~65%、あるいは約52%というデータもある)を統計的に有意に上回る数値である⁴。

このフェーズIIでの目覚ましいパフォーマンスは、単なる偶然ではなく、AIが持つ「分子の安全性エンジニアリング」および「ADMET(吸収、分布、代謝、排泄、および毒性)予測」における真の優位性を明確に反映している⁴。物理化学的特性の最適化や、既知の毒性パターンとの照合といった、データ駆動型のパターン認識が威力を発揮しやすい領域において、AIは人間の直感や従来のスクリーニング手法を完全に凌駕したと言える。

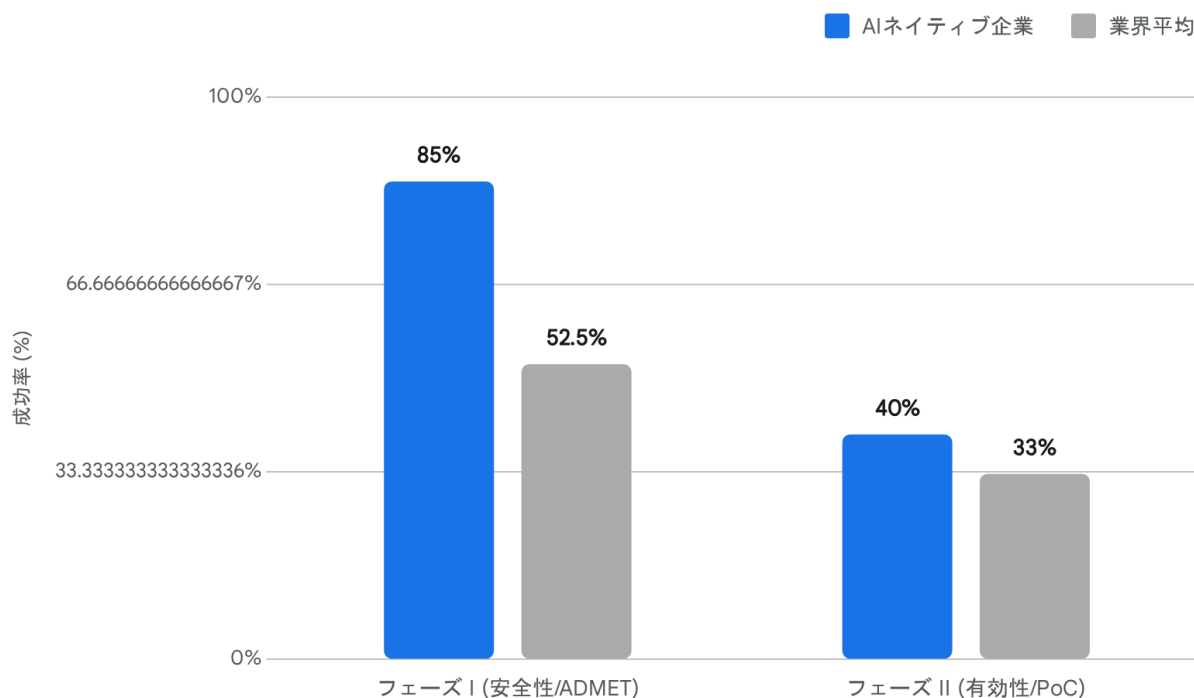
さらに、AIは前臨床段階における「タイムラインの圧縮」においても目覚ましい成果を上げている。例えば、AI創薬企業のInsilico Medicine社は、22の医薬品候補の調査において、プロジェクトの開始から前臨床プログラム(PCC)の候補指名までの期間を、通常の2.5年~4年からわずか12~18ヶ月へと短縮することに成功している⁵。このような構造的デリスキング(コストをエスカレートさせることなく、より多くの「ゴールへのシュート」を放つ能力)は、バイオテクノロジー企業が巨大製薬企業(ビッグファーマ)のように振る舞うことを可能にしている⁵。

フェーズIIIにおける停滞: 生物学的複雑性の壁

しかしながら、患者に対する有効性(概念実証: Proof of Concept)を評価するフェーズIII臨床試験に

進むと、状況は一変する。AIネイティブ企業のフェーズII成功率は約40%に急落する⁵。この40%という数字は、現在の業界平均である29%や過去の平均約37%をわずかに上回っているものの、フェーズIで見せたような「圧倒的かつ統計的に有意な優位性」とは到底言えない水準に留まっている⁴。

AI創薬はフェーズIで劇的な改善を示すも、フェーズIIの壁に直面



AIネイティブ企業のフェーズI成功率は約85%（範囲の中央値）に達し業界平均を大きく上回るが、有効性を問われるフェーズIIでは成功率約40%に留まっており、ターゲット選定という生物学的な課題が浮き彫りになっている。

データソース: [JPSDR](#), [BioSpace](#)

この根強いフェーズIIでの高い失敗率は、単一の根本原因にマッピングされる。それが「標的仮説の妥当性 (Target hypothesis validity)」である⁴。どれほどAIを用いて迅速に化合物を生成し、毒性を排除できたとしても、AIは「正しい生物学的前提(標的)を選択する確率」をまだ根本的には向上させられていないのである⁴。PitchBookの分析によれば、AI革命によって初期の成功率が向上した結果、全体の成功率(承認まで)は約8%から18%に増加する可能性が示唆されているが、これは依然として、後期開発に進むにつれて多くのAI由来の資産が脱落していくことを意味している⁵。データが示す結論は明確である。AIは「タンパク質構造の予測(2024年のノーベル賞を受賞したAlphaFoldに代表される)」「リード化合物の最適化」「タイムラインの圧縮」において確かな価値を付加している⁴。しかし、「疾患標的の検証」「患者の層別化」、そして「動物モデルからヒトへの翻訳可能性の予測」といった高度に生物学的なドメインにおいては、AIはいまだ革命を起こせていないのであ

る⁴。

4. 業界を揺るがしたハイプロファイルな失敗とパイプラインの再編

シリコンバレーの技術的楽観主義と、臨床の厳しい現実との間にある摩擦は、過去数年間にわたり極めて残酷な形で業界に露呈した¹。AI創薬(TechBio)分野のベテラン開拓者たちは、自社のAIプラットフォームが「発見」した最先端の化合物が、人間の生体という予測不可能な環境下で、従来の医薬品と全く同じ臨床的障害に直面するという事実¹に直面し、大規模な再編や戦略転換を余儀なくされた¹。

Recursion Pharmaceuticals: 期待と現実のギャップによる大幅な削減

AI創薬の代表的企業であるRecursion Pharmaceuticalsの動向は、この「幻滅期」を象徴するケーススタディである。同社は、10年以上にわたるAIへの投資と、50ペタバイトを超えるマルチモーダルデータ、そしてTempusやHelixといったパートナーからの匿名化された数十万の患者記録を統合した「Recursion OS」を武器に、AI創薬プラットフォームの未来を牽引してきた⁷。2024年には同業の英国Exscientia社との大型合併を果たし、腫瘍学、希少疾患、感染症、線維症にまたがる強力なパイプラインを構築した¹。

しかし、2025年に入り、Recursionは防衛的なピボット(方向転換)を余儀なくされ、最も進展していた臨床ステージのプログラムを含む複数の資産を密かに、そして大幅に削減した¹。この決断は、AIによって設計された化合物であっても、最終的な有効性証明の壁を越えられないという厳しい現実を反映している。

開発中止・休止となった主要プログラム	対象疾患	開発段階	失敗・中止の科学的および戦略的理由
REC-994	脳海綿状血管腫 (CCM)	フェーズII	スーパーオキシド消去作用を持つ低分子化合物。第II相 SYCAMORE試験の初期データでは一部の有効性評価項目で有望な傾向が見られたが、12ヶ月時点の長期延長試験のデータにおいて、MRI および機能的アウトカムの両面でプラセボ群(自然経過)と区別がつかない結果に終わったため開発中

			止 ¹ 。
REC-2282	神経線維腫症2型 (NF2)	フェーズII/III	内耳の神経に腫瘍を形成する疾患に対するHDAC阻害剤。第II/III相POPLAR試験において、これまでに得られたデータの全体像が「無益性閾値 (futility threshold)」を超えたと判断され、有効性の欠如により試験を中止 ¹ 。
REC-3964	クロストリジオイデス・ディフィシル感染症	進行段階	市場における「治療環境の変化」により、当該薬剤の商業的ニーズが低下したと判断。自社での試験を一時停止し、アウトライセンス(外部への導出)の機会を模索 ¹ 。

このパイプラインの刈り込みの背景には、臨床的な失望だけでなく、極めて現実的な財務上の理由が存在した。合併前のRecursionとExscientiaの合計キャッシュバーン(資金燃焼)は2024年時点で約6億600万ドルに達しており、Recursion単体でも約464万ドルの純損失を計上していた¹。持続不可能なコスト構造の中で、臨床試験での曖昧な結果や期待外れのデータは投資家の信頼を急速に失わせた¹。その結果、同社はリソースを「科学的根拠が最も強く、短期および長期的な影響の可能性が最も高い」腫瘍学領域などに集中させ、2027年半ばまで資金を延命させるための「意図的なトレードオフ」を行わざるを得なかったのである¹。

Exscientiaと大日本住友製薬の「DSP-1181」の挫折

さらに歴史を遡れば、AI創薬に対する過度な期待に冷や水を浴びせた初期のハイプロファイルな事例として、Exscientiaと日本の大日本住友製薬(現・住友ファーマ)による共同研究の挫折が挙げられる。両社はAIプラットフォーム「Centaur Chemist」を活用し、強迫性障害(OCD)を対象としたセロトニン5-HT1A受容体作動薬「DSP-1181」を開発した¹¹。このプロジェクトは、通常4.5年かかる探索研究フェーズをわずか12ヶ月未満で完了させ、「世界で初めてAIによって設計され臨床試験に入った医薬品候補」として世界中から喝采を浴びた¹¹。

しかし、結果は非情であった。日本で開始されたフェーズI臨床試験において、DSP-1181は「期待したクライテリア(基準)を達成することができず」、敢え無く開発中止となった¹²。この失敗は、化合物の生成速度(Speed to IND)がいかに劇的であろうとも、それが臨床的成功を少しも保証するものでは

ないという事実を業界に痛感させた¹³。なお、両社の協業自体がすべて無に帰したわけではなく、アルツハイマー病に伴う精神症状を対象とした「DSP-0038(5-HT2A拮抗/5-HT1A作動)」や、精神疾患向けの「DSP-2342(5-HT2A/5-HT7デュアル拮抗)」など、他のAI生成化合物は現在も臨床試験が継続されている¹²。

BenevolentAIの戦略的オーバーホール

また、英国の有力TechBio企業であるBenevolentAIも、臨床中期段階での相次ぐ失敗に直面し、大幅なリストラクチャリング(戦略的オーバーホール)を余儀なくされた¹。同社は人員削減や予算削減を実施し、維持コストの高いユーロネクスト・アムステルダム市場からの上場廃止を検討するに至った¹。この動きは、莫大な資本を投じて自社で後期臨床試験までプログラムを推進するリスクを回避し、AIプラットフォーム技術のモジュール化や、早期段階での資産の外部導出(アウトライセンス)といった、より安全なビジネスモデルへの回帰を示している¹。

これらの事例はすべて、「AIによる創薬プロセスの一部効率化」と「ヒトにおける疾患治療の成功」が全くの別次元の課題であることを物語っている。

5. 臨床的検証を突破しつつあるAI創薬の金字塔

数多くの手痛い失敗と幻滅期を経て、AI創薬は現在、誇大広告から脱却し、「真の価値」を証明する段階に入っている。失敗から得た教訓を生かし、AIによる分子設計の強みを極限まで活用することで、臨床試験のフェーズII、さらにはフェーズIIIにおいて明確な成功を収めつつあるプロジェクトが確実に台頭している。2026年現在、業界の希望を牽引している2つの象徴的な成功事例を詳述する。

1. Insilico Medicineの「Rentosertib (ISM001-055)」: 標的発見から臨床有効性までのエンドツーエンド証明

香港を拠点とする臨床段階の生成AI創薬企業であるInsilico Medicineは、AIによる特発性肺線維症(IPF)治療薬候補「Rentosertib (ISM001-055)」の開発を通じて、AI創薬の有効性を世界で最も力強く証明しつつある⁶。

IPFは、肺組織が進行性かつ不可逆的に線維化(瘢痕化)し、呼吸機能が致命的に低下する疾患であり、全世界で約500万人が罹患している²⁰。生存期間の中央値が3~4年という極めて予後不良の疾患でありながら、既存の承認薬(ニンテダニブやピルフェニドン)は病行の進行を遅らせる程度の中等度の有効性しか持たず、吐き気、下痢、肝機能障害といった重篤な副作用により高い投与中止率を伴うため、アンメット・メディカル・ニーズが非常に高かった²⁰。

Rentosertibの革新性は、Insilico社のプラットフォーム「Pharma.AI」が、既存のよく知られた標的を追うのではなく、TNIK(TRAF2- and NCK-interacting kinase)という全く新しい抗線維化標的を発見し、その標的に対する最適な分子構造をゼロから生成(De novoデザイン)した点にある⁶。つまり、「ターゲットアイデンティフィケーション(何を狙うか)」と「分子設計(どうやって狙うか)」の両方をAIが主導した、真の意味でのファースト・イン・クラス薬である¹⁹。

このプログラムは「ムーンショット」として開始され、わずか18ヶ月未満で前臨床候補(PCC)として指名される驚異的なスピードを見せた⁶。そして2025年、フェーズIIa試験(GENESIS-IPF)の結果が発表され、業界に衝撃を与えた¹⁹。

- 顕著な有効性の証明: 60mgを1日1回(QD)経口投与されたIPF患者群は、肺機能の主要な指標である努力肺活量(FVC)において、平均+98.4 mLの改善を示した。これに対し、プラセボ群

は平均-20.3 mLの悪化を示しており、疾患修飾効果(病気の進行を止める、あるいは逆転させる可能性)が強く示唆された²⁰。

- 最高峰の学術的評価: この臨床結果の堅牢性は、世界最高峰の医学誌『Nature Medicine』(インパクトファクター:58.7)への掲載、および米国胸部疾患学会(ATSS 2025)での同時発表という形で、学術的にも完全に裏付けられた²¹。

現在、Insilico社はこの経口投与版の成功に満足することなく、さらなる最適化を進めている。より低い用量で高い局所生体利用効率を達成し、血中への全身曝露とそれに伴う副作用リスクを最小限に抑えることを目的とした「吸入液(Inhalation Solution)」フォーマットを開発したのである¹⁹。この吸入液版Rentosertibは、中国CDEからIND(治験薬概要書)クリアランスを獲得し、健常者およびIPF患者を対象としたフェーズI試験を開始している¹⁹。注目すべきは、この吸入液プログラムが同社のAIパイプラインからIND認可を受けた「13番目のプログラム」であるという事実である¹⁹。これは、AI創薬がもはや一回限りの幸運ではなく、再現性のある工業的プロセスへと昇華されつつあることを強力に証明している⁷。

2. Takeda / Nimbus / Schrödingerの「TAK-279 (Zasocitinib)」: AIが実現した究極の「選択性」

もう一つの決定的なマイルストーンが、日本のメガファーマである武田薬品工業(Takeda)、Nimbus Therapeutics、そして計算化学ソフトウェアの世界的リーダーであるSchrödinger社が共同で推進した、TAK-279(一般名:Zasocitinib)である²²。

Zasocitinibは、尋常性乾癬や乾癬性関節炎などの免疫介在性疾患を対象とする、革新的な経口アロステリック・チロシンキナーゼ2(TYK2)阻害剤である²²。この開発における最大の技術的障壁は「選択性(Selectivity)」であった。TYK2はJAK(ヤヌスキナーゼ)ファミリーに属しているが、TYK2と他のファミリーメンバー(JAK1、JAK2、JAK3)の触媒ドメイン(リガンド結合部位)はアミノ酸配列が極めて似通っており、実質的に同一と言えるほど構造が類似していた²³。従来の実験的なスクリーニング手法では、TYK2だけをピンポイントで阻害し、他のJAKファミリーを阻害しない分子を設計することは至難の業であった。JAKファミリー全体を阻害してしまうと、広範な免疫抑制に伴う重篤な副作用リスクが高まるため、選択性の欠如は臨床上の致命傷となる。

ここで突破口を開いたのが、Schrödinger社の高度なAIと物理化学シミュレーション技術であった²³。研究チームは、大規模なFEP+(高精度な自由エネルギー摂動計算)技術を活用し、膨大な数の化合物のデザインとスクリーニングをハイスループットで実行した²³。標的酵素(TYK2のJH2偽キナーゼ調節ドメイン)の極めて特異的なポケットに、3Dパズルのピースのように「可能な限り完璧にフィットする」分子構造をAI支援によって算出したのである²³。

その結果生み出されたZasocitinibは、構造ベース創薬(SBDD)の極致とも言えるプロファイルを持っていた。Yale University School of MedicineのChristopher Bunick博士によれば、ZasocitinibのTYK2に対する結合親和性は、JAK1に対するそれと比較して約170万倍も高いという、従来では考えられないレベルの驚異的な選択性を達成した²⁴。

この人間技を超越した分子設計は、臨床試験で見事に開花した。2025年に報告されたフェーズ2bおよびフェーズ3臨床試験の画期的なデータにおいて、Zasocitinibは1日1回の経口投与で皮膚病変の劇的な改善をもたらし、既存のJAK阻害剤の懸念を払拭する安全性プロファイルを示した²²。この成功は、AIが単に開発スピードを上げるだけでなく、「人間の直感や従来のスクリーニングでは到達不可能なレベルの精密な分子」を創出できることを実証した、AI創薬史に残る金字塔である²⁴。

プログラム名 (企業)	対象疾患	標的 / 機序	臨床段階	AIが果たした決定的な役割と成果
Rentosertib / ISM001-055 (Insilico Medicine)	特発性肺線維症 (IPF)	TNIK阻害	フェーズIIa成功 (吸入薬はPh I)	新規標的の発見とDe novo分子設計を両立。フェーズIIaでFVCの劇的改善(+98.4mL)を達成し、Nature Medicine誌に掲載 ¹³ 。
Zasocitinib / TAK-279 (Takeda/Nimbus/Schrödinger)	尋常性乾癬 など	TYK2阻害 (アロステリック)	フェーズ3進行・完了	FEP+技術により、構造が酷似するJAKファミリーの中でTYK2に対し170万倍という究極の選択性を実現。副作用を低減 ¹³ 。

6. パラダイムシフト: 標的探索への回帰とデータ共有革命 (連合学習)

AI創薬が初期の「何でもできる魔法の杖」というハイプから脱却したことで、業界はAIを適用すべき「真のボトルネック」を極めて冷静に再定義しつつある。それは「どうやって薬の構造を作るか (How to drug)」という化学の課題から、「そもそも人間の病気を治すために、どの遺伝子やタンパク質を標的とすべきか (What to drug)」という生物学の課題への回帰である。

Novartisのチームが的確に指摘するように、製薬業界は歴史的に、がん細胞の増殖ドライバーや肥満の食欲調節因子といった、少数の「よく知られた有望な標的」に群がる (herd) 傾向があった²⁶。しかし、真のブレイクスルーを生み出すには、誰も手をつけていない新しい標的 (Target Identification) を発見しなければならない²⁶。Novartisは現在、大規模なAI駆動型シミュレーションを駆使し、常染色体優性多発性嚢胞腎 (ADPKD) 細胞のデジタルモデル上で数千もの遺伝子を系統的にオン・オフし、疾患への関与を探索する取り組みを進めている²⁶。AIが次なる10年で真価を発揮するのは、ヒト遺伝学やマルチオミクスデータ (ゲノミクス、プロテオミクス等) を統合した「因果推論モデル」の構築による、根本的な標的仮説の精緻化である⁴。

データの壁と連合学習 (Federated Learning) の登場

AIの予測精度(特に生体内での毒性や動態を予測するモデル)を飛躍的に高める上で、製薬業界が直面していた最大の障害が「学習データの不足とサイロ化」である²⁷。AIの学習には膨大で多様なデータが不可欠だが、製薬企業にとって過去数十年にわたる実験データや、数百万の化合物構造、特に「失敗した化合物のデータ」は、企業の競争力の源泉となる極秘の知的財産(IP)である²⁷。これらのデータを競合他社や外部のAI企業に開示することは絶対に不可能であった。各社が自社のファイアウォール内部の限られたデータのみでAIを細々と訓練している状態では、業界全体としてのモデルの精度向上には自ずと限界があった²⁷。

この「機密保持」と「ビッグデータ活用」という強烈なジレンマを打ち破る革新的な技術的ブレイクスルーとして、2025年から2026年にかけて実用化フェーズに入ったのが、「連合学習(Federated Learning)」である。

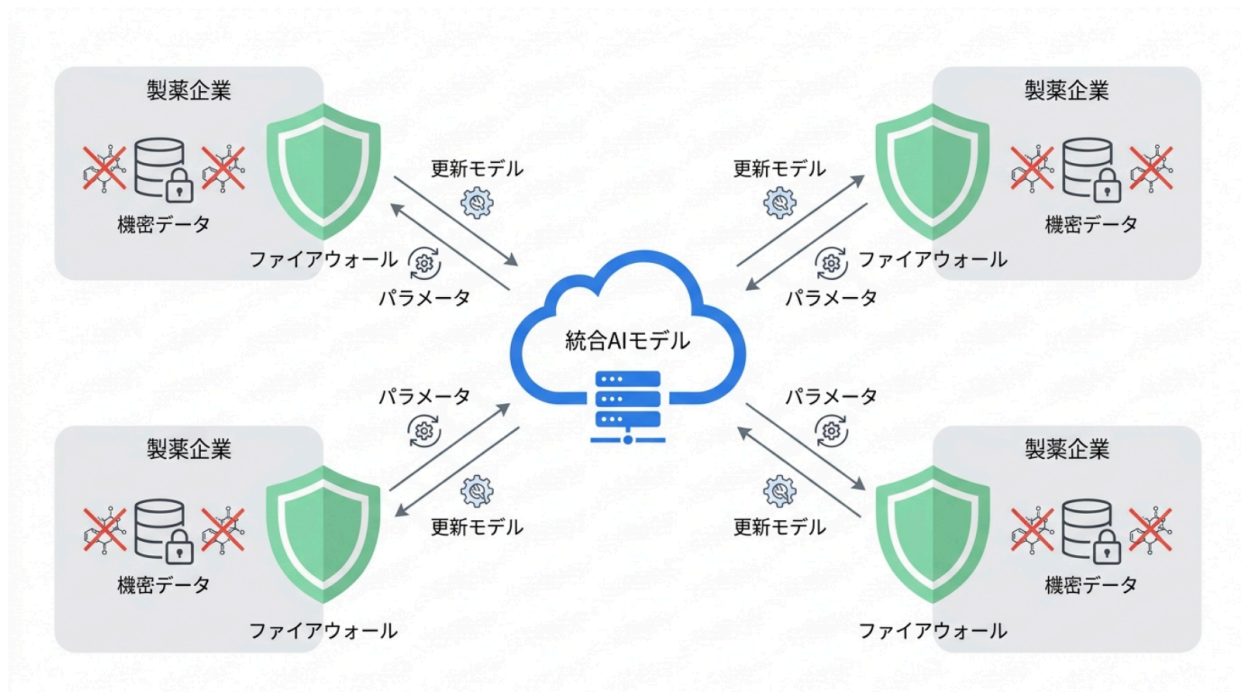
欧州におけるMELLODDYプロジェクトの衝撃

欧州で実施された「MELLODDY(Machine Learning Ledger Orchestration for Drug Discovery)」プロジェクトは、世界最大規模の製薬企業10社が参加した、前例のない規模のクロス・ファーマ連合学習プラットフォームである²⁸。

このプロジェクトは、約26億の極秘実験データポイント、2100万以上の物理的低分子、4万以上の薬力学および薬物動態(ADME)アッセイという、一社では到底集めることが不可能な天文学的規模のデータを統合的に活用した²⁸。MELLODDYの革新性は、「データそのものは、各企業のインフラの奥深くから一歩も外に出さない」という点にある²⁸。各社のサーバー内でAIアルゴリズムがローカルデータを用いて学習し、その「学習結果(モデルの重みやパターンの更新情報)」だけを中央サーバーに送って統合(クロスエンドポイントフェデレーション)する²⁸。

企業間で独自の化合物構造やアッセイ情報(エンドポイント)を一切開示・共有することなく、同一の化学構造を持つ化合物を暗黙的にマッピングすることで、参加企業全10社すべてが自社の分類・回帰モデル(特に薬物動態や安全性パネル予測)の予測パフォーマンスを統計的に有意に向上させることに成功した²⁸。これは、機密情報を一切危険にさらすことなく業界全体の知見を集約できることを実証した歴史的な成果である²⁸。

機密性を担保する連合学習（Federated Learning）のアーキテクチャ



各製薬企業は自社のファイアウォール内でローカルAIモデルを学習させ、更新されたパラメータのみを中央サーバーに送信する。機密性の高い実験データが外部に出ることはなく、業界全体の知見を集約した高度な予測モデルが構築される。

日本発の実用化：LINCとElixによる「DAIIAプロジェクト」の商用化

連合学習の波は、日本国内でも急速に実用化のフェーズを迎えている。2025年7月、ライフインテリジェンスコンソーシアム(LINC)とAIスタートアップのElix社は、国内の製薬企業16社が保有するデータを連合学習したAIモデルを搭載する「AI創薬プラットフォーム」を世界で初めて事業化(商用化)したと発表した²⁷。

この取り組みは、日本医療研究開発機構(AMED)の主導による産学連携プロジェクト「次世代創薬AI開発(DAIIA)」の成果を基盤としている²⁷。京都大学大学院医学研究科とElix社が共同で開発した、連合学習機能を備えたAI創薬向け機械学習ライブラリ「kMoL」を活用し、公共データと参加企業16社の非公開データを組み合わせて学習させた「化合物プロファイル予測AI」および「新規化合物提案AI」を構築した²⁷。

これらのモデルは「DAIIA AIPF LINC Edition」およびElix社の「Elix Discovery™」として提供され、参加企業は自社の機密データを外部に一切さらすことなく、メガファーマ16社分のデータから得られた知見が凝縮された極めて精度の高いAIモデルを、日々の新薬探索に活用できる体制が整った²⁷。プラットフォームに参加する企業が増えれば増えるほど学習データが拡張され、すべての参加企業の利益となるネットワーク効果が期待されている²⁷。

7. 日本メガファーマの独自のAI実装と「リアリズム」

グローバルな動向と歩調を合わせるように、日本の大手製薬企業（メガファーマ）も独自のAI戦略を加速させている。彼らのアプローチの特徴は、AIを単なる「魔法の杖」やパスワードとして扱うのではなく、既存の強固な創業基盤をエンハンス（拡張）する「現実的なパートナー」として実装している点にある。

アステラス製薬：「人 × AI × ロボット」の高度な融合

アステラス製薬は、最先端のテクノロジーを活用した統合的な創業プラットフォームの構築において、極めて実務的な成果を上げている³⁴。同社のアプローチは、AI単独に頼るのではなく、「人、AI、そしてロボット工学」のシームレスな融合にある。

同社では、AIが膨大なデータから化合物のデザインを提案し、それを自律型のロボットが自動合成、さらに合成された化合物の薬効評価実験までもロボットが実行し、世界中の研究者がその実験プロセスをリアルタイムで追跡・監視できるリモートシステムを導入している³⁴。このAIとロボットが主導する革新的なプロセスの導入により、医薬品候補化合物を創出するまでの期間を、従来と比べて約70%も短縮することに成功した³⁴。

さらに重要なのは、AI導入に伴う「研究者の役割の変化」である。AIがデータ収集や単純な化合物合成・評価といった膨大な時間を要する作業から研究者を解放したことで、研究者はAIがもたらすデータに基づいた高度な意思決定や、創業の要となる「貴重なアイデアの創出」にリソースを集中できるようになった³⁴。同社のイノベーションラボ・ユニット長は、「研究者はAIに任せるべきタスクと人が担うべきタスクのバランスを判断できるようになり、これがAI導入の成功に寄与した」と語っており、極めて成熟したAI活用の姿勢を示している³⁵。また、計算創業プラットフォーム「ModBind™」を有するアリヴェクス社との共同研究も開始し、In silico評価から化合物の設計・合成に至る統合的な基盤強化を図っている³⁷。

中外製薬：抗体創薬へのAI適用と「AI Everyday」の深化

抗体医薬品の世界的リーダーであり、Rocheグループの中核を担う中外製薬は、自社の強みである抗体技術や中分子（環状ペプチド）創薬にAIを深く組み込んでいる³⁸。

同社は人工知能を用いた独自の抗体創薬支援技術「MALEXA-LI」を開発し、その成果をScientific Reports誌に発表した⁴⁰。MALEXA-LIは、機械学習を用いて最適な結合活性や物理的特性を持つ抗体のアミノ酸配列を生成・予測する技術であり、実際に既存の抗体と比較して1800倍以上という驚異的な結合強度を持つ配列を提案するなどの具体的な成果を上げている³⁸。

興味深い事例として、中外製薬は2025年1月、AI（MALEXA）支援によって開発され、日本でフェーズ1臨床試験（健康な成人男性対象）に入っていた唯一の候補抗体「BRY10（慢性疾患向け）」の開発を中止したことを明らかにした⁴²。しかし同社は、開発中止の理由は「これまでに得られたデータの総合的な見直し」に基づくものであり、MALEXA技術自体の欠陥によるものではないと明言している⁴²。

BRY10の開発中止後、臨床段階にあるMALEXA設計の資産は一時的にゼロとなったが、中外製薬はAI創薬への投資を縮小するどころか、さらに深化させている⁴²。同社は「CHUGAI DIGITAL VISION 2030」のもと、「AI Everyday」「AI Everywhere」「AI Transformation」というビジョンを掲げ、AIを「パートナー」として位置づけている⁴¹。具体的には、Preferred Networks社などとの連携を通じて、標的探索、分子設計、さらにはリアルワールドデータやデジタルバイオマーカーの分析を用いた臨床開発プロセスの革新、早期臨床データに基づくPoC判定の加速に至るまで、創業バリューチェーン全体へ

のAI組み込みを強力に推進している³⁹。

中外製薬のこの姿勢は、現在の製薬業界が到達した「リアリズム」を象徴している。AIが作った化合物だからといって無条件に特別扱いするのではなく、従来の化合物と同様に厳格な生物学的基準で評価し、見込みがないと判断されれば早期に損切りを行う。しかし、プラットフォームとしてのAIの基盤的価値は揺るぎないと確信し、開発中止に動じることなく継続的に全社的投資を行うという、極めて合理的かつ成熟したアプローチである。

8. AI創薬の経済学と将来展望：2026年以降の市場動向

技術的な成熟は、ビジネスモデルと市場の評価のあり方にも劇的な変化をもたらしている。AI創薬市場の規模は、2025年の19億4000万ドルから、2026年には26億ドルへと着実に拡大しており、持続的な成長軌道にある²。しかし、投資家やステークホルダーの評価基準は、「プラットフォームの先進性」から「臨床試験での生存証明(Clinical Proof)」へと完全に移行した⁶。

ライセンスモデルへの回帰と戦略的ジレンマ

巨額の臨床開発費用(フェーズII、IIIへと進むにつれて飛躍的に増大する)を負担しきれず、パイプラインの刈り込みを余儀なくされたRecursionやBenevolentAIの事例が示すように、自社単独で初期探索からFDA承認まで持ち込む「フルスタックの統合型AIバイオ企業」として生き残れるプレイヤーはごく一握りである¹。

その結果、多くのAIネイティブ企業は、莫大なコストとリスクを伴う後期臨床試験を回避し、前臨床段階(IND)やフェーズIの初期段階で化合物の権利を大手製薬企業(ビッグファーマ)に導出する「アウトライセンス・モデル」や、大手製薬企業との共同研究を通じてマイルストーン収入を得るパートナーシップ・モデルをビジネスの主軸に据えるようになってきている¹。Insilico Medicineの財務戦略の変遷(ソフトウェアプロバイダーから始まり、香港IPOを経て、自社アセットの大部分を後期試験前に導出するポートフォリオ戦略の構築)は、この領域における戦略的ジレンマと適応を見事に体現している⁶。

最初の「AI設計薬」のFDA承認はいつになるか

「AI創薬の成功」を定義する究極のマイルストーンは、AIプラットフォームによってエンドツーエンドで発見・設計された新薬が、主要な規制当局(特に米国FDA)から正式に承認され、市場に出ることである。2026年4月の時点において、このマイルストーンを達成した医薬品はまだ一つも存在しない⁴。しかし、現在のパイプラインの進行状況を鑑みると、その日は確実に近づいている。TakedaのZasocitinib(フェーズ3完了・進行中)や、Insilico MedicineのRentosertib(フェーズIIa完了、吸入薬のフェーズI進行中)といった最先端のプログラムが、承認に向けた先頭集団を形成している¹³。もしこれらのプログラムのいずれかが2026年中に良好な後期臨床データをもって規制当局への承認申請(NDA/BLA)を行い、FDAから優先審査(Priority Review)の指定を受けた場合、最も楽観的なシナリオでは2026年後半から2027年初頭に初承認が降りる可能性がある³。しかし、規制当局の慎重な審査プロセスや、製造プロセス等の不確実性を考慮すると、より現実的なタイムフレームとしては2027年から2028年に最初の承認が行われる公算が大きいと予測される³。

ただし、注意すべき点がある。その承認の日が来たとき、医薬品開発のプロセスが一夜にして魔法のように変革されるわけではない。なぜなら、「AIが発見した」とされる化合物の開発過程においても、依然として生化学者や臨床医による多大な人的介入(Human intervention)と判断が不可欠であり、純粋に「AIだけの手柄」と帰属させることは極めて困難だからである³。それでもなお、最初の承認がもたらすインパクトは計り知れない。それは、AIが単なるパスワードではなく、医薬品開発におけ

る「正当で不可欠な発見ツール」であることを、世界の市場に向けて決定的に証明する出来事となる³。

9. 結論:「幻想」の終焉と、真のパラダイムシフトの幕開け

「『研究が加速』するという期待から数年が経過しても劇的な変化が起きていないため、AI創薬は幻想だったのではないか」という問いに対する最終的な結論は、極めて明確である。

AI創薬は、決して幻想ではない。しかし、「AIが生物学的な複雑性を無視し、数ヶ月で魔法のようにすべての病気を治す薬を作り出す」という、テクノロジー業界由来のハイプ(過剰な期待)は、完全に終焉を迎えたのである。

現実世界の臨床データが示す通り、AIは医薬品開発プロセスの「特定の局面」において、すでに破壊的なイノベーションを起こしている。分子構造の最適化、ADMET予測による安全性の確保、そして前臨床段階のタイムライン圧縮において、AIは人間の能力を劇的に凌駕し、フェーズI臨床試験の成功率を前例のない水準(80~90%)にまで引き上げた⁴。Zasocitinibが示した170万倍という究極の選択性や、Rentosertibが成し遂げた18ヶ月での新規標的・新規化合物の創出は、AIの計算能力なくしては絶対に到達不可能であった成果である⁶。

その一方で、フェーズII試験における40%という成功率の壁が冷酷に示す通り、AIはいまだ「複雑な人間の生体システム」を完全にシミュレートし、疾患の真の標的(ターゲットバリデーション)を正確に予測する能力を獲得するには至っていない⁴。

2026年以降の次なるフェーズにおいて、製薬業界とAIの主戦場は、化合物の設計(How to drug)から、マルチオミクスデータや連合学習を活用した高度な生物学的因果推論、すなわち「標的の探索と検証(What to drug)」へと完全にシフトしていく⁴。日本のメガファーマが実践しているように、AIを人間やロボットと協調する「現実的なパートナー」としてプロセスに深く組み込み、失敗を恐れずデータを蓄積し続ける企業だけが、次のディケイドにおける勝者となる。

AI創薬は幻想ではなく、今まさに、真の実力を試される最も過酷で、かつ最もエキサイティングな「臨床」という名の現実の荒波の中を、力強く前進している最中なのである。

引用文献

1. The AI drug revolution is real but the hype around it isn't - Fast ..., 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.fastcompany.com/91520205/the-ai-drug-revolution-is-real-but-the-hype-around-it-isnt>
2. Accelerating Drug Development with AI in the U.S. Pharmaceutical Industry | IntuitionLabs, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://intuitionlabs.ai/articles/accelerating-drug-development-ai-pharma>
3. AI in drug discovery: predictions for 2026 | Opinion - Drug Target Review, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.drugtargetreview.com/ai-in-drug-discovery-predictions-for-2026/1865962.article>
4. Decade of AI in Drug Discovery: Hype or Reality? | International ..., 6月 4, 2026にアクセス、
<https://ijpsdronline.com/index.php/journal/article/view/11145>
5. AI-Enabled Clinical Improvements Confirm Biotech Hype as Success Rates Rise - BioSpace, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.biospace.com/drug-development/ai-enabled-clinical-improvements>

- [-confirm-biotech-hype-as-success-rates-rise](#)
6. Case Study: Insilico's Transformation, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://insilico.com/casestudy>
 7. Our Unique Approach to AI Drug Discovery - Recursion, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.recursion.com/mission>
 8. Recursion's homegrown assets hardest hit in AI-discovered pipeline cull | FirstWord Pharma, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://firstwordpharma.com/story/5956641>
 9. Recursion Cuts Two Rare Disease Programs - Global Genes, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://globalgenes.org/raredaily/recursion-cuts-two-rare-disease-programs/>
 10. Several months after Exscientia merger, AI biotech outfit Recursion reworks pipeline, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.fiercebiotech.com/biotech/several-months-after-exscientia-merge-ai-outfit-recursion-reworks-pipeline>
 11. Sumitomo Dainippon Pharma and Exscientia Joint Development New Drug Candidate Created Using Artificial Intelligence (AI) Begins Clinical Study, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.sumitomo-pharma.com/news/20200130.html>
 12. Exscientia: a clinical pipeline for AI-designed drug candidates - UKRI, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.ukri.org/who-we-are/how-we-are-doing/research-outcomes-and-impact/bbsrc/exscientia-a-clinical-pipeline-for-ai-designed-drug-candidates/>
 13. How AI is Transforming Drug Discovery in 2026 | by unicodeveloper - Medium, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://medium.com/@unicodeveloper/how-ai-is-transforming-drug-discovery-in-2026-0d8c7c600428>
 14. AI製薬はマーケットの爆発に何が不足していますか？|焦点 - Moomoo, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.moomoo.com/ja/news/post/48259899/what-does-ai-pharmaceuticals-still-lack-before-a-market-explosion>
 15. 2021 年度第 3 四半期決算カンファレンスコール, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/ir/library/presentation/assets/pdf/transcript20220131.pdf>
 16. AI drug hunter Exscientia chops down 'rapidly emerging pipeline' to focus on 2 main oncology programs - Fierce Biotech, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.fiercebiotech.com/biotech/ai-drug-hunter-exscientia-chops-down-rapidly-emerging-pipeline-focus-2-main-oncology>
 17. Exscientia Announces Sixth Molecule Created Through Generative AI Platform to Enter Clinical Stage - The Oxford Science Park, 6月 4, 2026にアクセス、
https://oxfordsp.com/news/384/exscientia_announces_sixth_molecule_created_through_generative_ai_platform_to_enter_clinical_stage
 18. Profiles of Major Products under Development - Sumitomo Pharma, 6月 4, 2026にアクセス、
https://www.sumitomo-pharma.com/rd/pipeline_new-medicine/pipeline_profile.html
 19. Insilico's Rentosertib Inhalation Solution Receives IND Clearance for the World's

- First AI-Driven Candidate to Enter Direct-to-Lung Clinical Study, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://insilico.com/news/pdmncgky51-insilicos-rentosertib-inhalation-solutio>
20. Rentosertib - Insilico Medicine, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://insilico.com/interactive/drugs/rentosertib>
 21. Insilico Announces Nature Medicine Publication of Phase IIa Results of Rentosertib, the Novel TNIK Inhibitor for Idiopathic Pulmonary Fibrosis Discovered and Designed with a Pioneering AI Approach, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://insilico.com/news/tnrecuxsc1-insilico-announces-nature-medicine-publi>
 22. 尋常性乾癬を対象としたザソチニブ、1日1回経口投与で皮膚病変の改善をもたらし、治療の新時代を切り開く可能性を示した画期的な第3相臨床試験データについて | 武田薬品, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.takeda.com/jp/newsroom/newsreleases/2025/takeda-zasocitinib-phase-3-plaque-psoriasis-data-once-daily-pill/>
 23. Design of a highly selective, allosteric, picomolar TYK2 inhibitor using novel FEP+ strategies, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.schrodinger.com/design-of-a-highly-selective-allosteric-picomolar-tyk2-inhibitor-using-novel-fep-strategies/>
 24. AI-Powered Innovation: Zasocitinib's Journey to Precision Inhibition | Dermatology Times, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.dermatologytimes.com/view/ai-powered-innovation-zasocitinib-s-journey-to-precision-inhibition>
 25. Design of a highly selective, allosteric, picomolar TYK2 inhibitor using novel FEP+ strategies - Schrödinger, 6月 4, 2026にアクセス、
https://www.schrodinger.com/wp-content/uploads/2024/07/23_530_TYK2-Case-Study_Mkt_R7-4_Digital.pdf
 26. Here's how AI is reshaping drug discovery | World Economic Forum, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.weforum.org/stories/2026/01/how-ai-is-reshaping-drug-discovery/>
 27. LINCとElix、製薬企業16社のデータを連合学習したAIモデルを搭載 ..., 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.link-j.org/bulletinboard/article-47624.html>
 28. MELLODDY: Cross-pharma Federated Learning at Unprecedented ..., 6月 4, 2026にアクセス、
<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11005050/>
 29. MELLODDY | IHI Innovative Health Initiative - European Union, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.ihl.europa.eu/projects-results/project-factsheets/melloddy>
 30. MELLODDY: Cross-pharma Federated Learning at Unprecedented Scale Unlocks Benefits in QSAR without Compromising Proprietary Information - ACS Publications, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://pubs.acs.org/doi/10.1021/acs.jcim.3c00799>
 31. ElixとLINC、製薬企業16社のデータを連合学習したAI創薬プラットフォームを事業化 | Biz/Zine, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://bizzine.jp/news/detail/11821>
 32. ElixとLINC、製薬企業16社のデータを連合学習したAIモデルを搭載するAI創薬プラットフォームを世界で初めて事業化, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.elix-inc.com/jp/news/newsrelease/2208/>
 33. 製薬16社のデータを連合学習したAI創薬プラットフォーム、ElixとLINCが事業化 など, 6

- 月 4, 2026にアクセス、<https://answers.and-pro.jp/pharmanews/30503/>
34. アステラスのAI創薬がつくる未来～新たな創薬プロセスの探求～ - YouTube, 6月 4, 2026にアクセス、<https://www.youtube.com/watch?v=5NSIzKAZRWU>
 35. 創薬の最先端へ：人×AI×ロボットが切り拓く未来 | アステラス製薬, 6月 4, 2026にアクセス、<https://jp.newsroom.astellas.com/2025-04-22-xAix>
 36. 高度な創薬プラットフォーム・トランスレーショナルサイエンス | アステラス製薬 - Astellas, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://astellas.com/jp/science/research-and-development/drug-discovery-capabilities>
 37. アリヴェクシス、アステラス製薬と新規の創薬標的についての共同研究を開始 - PR TIMES, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://prtmes.jp/main/html/rd/p/000000021.000035986.html>
 38. Platforms & Technologies | R&D | Innovation | CHUGAI PHARMACEUTICAL CO., LTD., 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.chugai-pharm.co.jp/english/innovation/rd/technologies.html>
 39. AI-leveraging drug discovery | Digital Transformation | Innovation | CHUGAI PHARMACEUTICAL CO., LTD., 6月 4, 2026にアクセス、
https://www.chugai-pharm.co.jp/english/innovation/digital/ai_technology.html
 40. 中外製薬の人工知能(AI)を用いた抗体創薬支援技術 MALEXA-LIの成果がScientific Reportsに掲載, 6月 4, 2026にアクセス、
https://www.chugai-pharm.co.jp/news/detail/20210322150001_1087.html
 41. Performance of Chugai's AI-based Antibody Discovery Technology MALEXA-LI Published in Scientific Reports | News, 6月 4, 2026にアクセス、
https://www.chugai-pharm.co.jp/english/news/detail/20210322150001_809.html
 42. Chugai drops only AI-assisted antibody from pipeline but still holds high hopes for tech, 6月 4, 2026にアクセス、
<https://www.fiercebiotech.com/biotech/chugai-drops-only-ai-assisted-antibody-pipeline-still-has-high-hopes-technology>