

## 医薬品開発における AI 活用をめぐる国際動向：FDA と EMA が医薬品開発における Good AI Practice に関する指導原則を共同発表

ライフサイエンス/ヘルスケアニューズレター

2026 年 3 月 9 日号

執筆者:

[安部 立飛](#)

[ha.abe@nishimura.com](mailto:ha.abe@nishimura.com)

### 1. はじめに

医薬品のライフサイクルにおける人工知能（AI）の活用をめぐることは、近年、技術革新と規制対応の両面で急速な進展がみられる。創薬研究における標的探索や候補化合物の最適化、臨床試験デザインの高度化、さらには、製造工程の効率化や市販後安全性監視に至るまで、AI は医薬品のライフサイクル全体にわたって重要な役割を担いつつある。一方で、AI の開発及び使用は複雑かつ変化の大きいプロセスであるため、そのアウトプットの信頼性を確保するためには、医薬品のライフサイクル全体を通じた統制が不可欠である。

このような状況を背景として、米国食品医薬品局（FDA：Food and Drug Administration）と欧州医薬品庁（EMA：European Medicines Agency）は、2026 年 1 月、医薬品のライフサイクルにおける AI の適切かつ信頼性の高い運用（グッドプラクティス）を確保することを目的として、『Guiding Principles of Good AI Practice in Drug Development』（医薬品開発における Good AI Practice に関する指導原則。以下「**本指導原則**」という。）<sup>1</sup>を共同で発表した。

本指導原則は、医薬品のライフサイクルの全段階、すなわち、基礎研究、臨床試験、製造、さらには、市販後の安全性監視に至る各プロセスにおいて、エビデンスの創出及び継続的なモニタリングに AI を活用する際の基本的な原則を示すものである。そのため、本指導原則は、医薬品の研究開発を担う開発者のみならず、販売承認申請者や販売承認保持者にも適用されることが想定されている。

また、本指導原則は、単なる個別ガイダンスにとどまらず、米国や欧州において今後策定される AI 関連ガイダンス<sup>2</sup>の基盤としての役割を果たすことが期待されている点でも重要である。さらに、FDA と EMA が共同で本指導原則を示したことにより、規制当局間の考え方の調和が促進されるだけでなく、技術基準設定機関や産業界、学术界等、様々なステークホルダー間の協力と対話が一層活発化することも見込まれる。なお、

---

<sup>1</sup> FDA：<https://www.fda.gov/media/189581/download>

EMA：[https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/guiding-principles-good-ai-practice-drug-development\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/guiding-principles-good-ai-practice-drug-development_en.pdf)

<sup>2</sup> 例えば、欧州連合（EU）においては、2024 年に公表された [EMA の AI リフレクションペーパー](#) を基盤として、既にガイドラインの策定が進められている。

EU においては、欧州医薬品パッケージ（Pharmaceutical Package）<sup>3</sup>と呼ばれる新たな医薬品の規制枠組みを踏まえた追加の EU ガイダンスにより、本指導原則はさらに補完される見込みである。

本稿では、本指導原則を解説した上で、医薬品開発における AI 活用をめぐる国際動向の展望を述べる。

## 2. 本指導原則の内容

本指導原則は、全体として 10 個の原則から構成されている。これらの原則は、医薬品の研究開発から市販後までのライフサイクル全体を俯瞰した上で体系的に整理されたものであり、特定の開発段階や技術領域に限定されるものではない点に特徴がある。以下、本指導原則を構成する 10 個の原則を順に示す。

### ① 人間中心設計（Human-centric by design）

AI 技術の開発及び使用は、倫理的かつ人間中心の価値観と整合しなければならない。

### ② リスクベースアプローチ（Risk-based approach）

AI 技術の開発及び使用は、使用文脈及び特定されたモデルリスクに基づき、相応の検証（バリデーション）、リスク低減策及び監視を伴うリスクベースアプローチに従わなくてはならない。

### ③ 基準の遵守（Adherence to standards）

AI 技術は、関連する法的、倫理的、技術的、科学的、サイバーセキュリティ上及び規制上の基準（GxP を含む。）を遵守しなければならない。

### ④ 明確な使用文脈（Clear context of use）

AI 技術は、それがなぜ使用されるのか（役割・範囲）という使用文脈が明確に定義されなければならない。

### ⑤ 学際的専門性（Multidisciplinary expertise）

AI 技術及びその使用文脈の両方をカバーする学際的専門性が、技術のライフサイクル全体を通じて統合されなければならない。

### ⑥ データガバナンス及び文書化（Data governance and documentation）

データソースの由来、処理手順、及び、分析上の判断は、GxP 要件に整合するよう、詳細で、追跡可能、そして、検証可能なかたちで文書化されなければならない。プライバシーや機微データの保護を含む適切なガバナンスが、技術のライフサイクル全体を通じて維持されなければならない。

### ⑦ モデル設計及び開発実務（Model design and development practices）

AI 技術の開発は、モデル及びシステム設計並びにソフトウェアエンジニアリングにおけるベストプラクティスに従って行われなければならない。また、解釈可能性・説明可能性・予測性能を考慮した「目

<sup>3</sup> <https://www.consilium.europa.eu/en/press/press-releases/2025/12/11/pharma-package-council-and-parliament-reach-a-deal-on-new-rules-for-a-fairer-and-more-competitive-eu-pharmaceutical-sector/>

的適合性（fit-for-use）のあるデータ」を用いなければならない。適切なモデル・システムの開発は、患者安全に資する AI 技術の透明性、信頼性、汎用性及び堅牢性を促進する。

⑧ **リスクベースの性能評価（Risk-based performance assessment）**

リスクベースの性能評価は、人間と AI の相互作用を含むシステム全体を対象とし、意図された使用文脈に適した、目的適合性のあるデータ及び指標を用いて実施されなければならない。これは、適切に設計された試験及び評価手法による予測性能の検証（バリデーション）により裏付けられる。

⑨ **ライフサイクル管理（Life cycle management）**

課題の把握・評価・対応を支援すべく、AI技術のライフサイクル全体を通じて、リスクベースの品質マネジメントシステムを実装しなければならない。また、AI 技術は、データドリフトへの対応を含め、十分な性能を確保するための定期的なモニタリング及び再評価を受けなければならない。

⑩ **明確で重要な情報提供（Clear, essential information）**

AI技術の使用文脈、性能、限界、基盤となるデータ、更新内容、及び、解釈可能性・説明可能性について、使用者や患者を含む想定聴衆に対し、平易な言葉で、明確かつアクセス可能で、文脈に即した情報を提供しなければならない。

### 3. 医薬品開発における AI 活用をめぐる国際動向の展望

AI は、データ解析能力や予測精度の向上を通じて、医薬品開発の在り方そのものを変革し得る技術であり、ひいては医療の質の向上に寄与する可能性を有している。しかし、医薬品は、人の生命や健康に直接的な影響を及ぼす性質を有することから、その品質、有効性及び安全性が科学的根拠に基づいて十分に実証され、かつ、患者及び社会にもたらされる便益が想定されるリスクやデメリットを上回る場合にのみ、その製造や販売が承認されるという厳格な規制枠組みの下に置かれている。

医薬品規制におけるこうした基本的要請は、いかなる技術革新の下でも揺らぐものではなく、AI の活用についても同様に妥当する。むしろ、AI に固有の課題（データバイアス（データの偏り）やモデルの不透明性、予期せぬ挙動、継続学習に伴う性能変動等）が加わることで、企業に求められる説明責任と統制水準は一段と引き上げられている。場当たりの PoC（概念実証）や部門最適にとどまる AI 活用では将来の当局審査や査察等に耐えられない可能性がある点は、医薬品業界として直視すべきである。

このような問題意識の下で策定された本指導原則は、医薬品分野における AI 活用ルール of 国際的調和に向けた重要な一歩である。米国及び欧州の規制当局が共通の原則を示したことにより、各国・地域で断片的に形成されつつあった規制姿勢に一定の共通ベースラインが敷かれたとすることができる。これは、各国（当局）における今後の規制やガイダンス整備等が本指導原則を起点として具体化していく可能性を示唆している。

AI 技術への投資を進める製薬企業にとっても、以上のような統一的な規制の方向性は、規制上の不確実性を低減し、より明確な開発戦略を構築するための重要な道標となる。製薬企業において、AI を競争力の源泉と位置付けるのであれば、技術導入と並行して、データ管理、モデル管理、説明可能性の確保、バリデーション

ン体制の整備等、規制適合性を見据えたガバナンス高度化を進めていくことが不可欠である。こうした取組みを早期に具体化し、継続的に運用していくことが、いま医薬品業界に強く求められている。

当事務所では、クライアントの皆様のビジネスニーズに即応すべく、弁護士等が各分野で時宜にかなったトピックを解説したニュースレターを執筆し、随時発行しております。N&A ニュースレター購読をご希望の方は [N&A ニュースレター 配信申込・変更フォーム](#) よりお手続きをお願いいたします。

また、バックナンバーは [こちら](#) に掲載しておりますので、あわせてご覧ください。

本ニュースレターはリーガルアドバイスを目的とするものではなく、個別の案件については当該案件の個別の状況に応じ、日本法または現地法弁護士の適切なアドバイスを求めている必要があります。また、本稿に記載の見解は執筆担当者の個人的見解であり、当事務所または当事務所のクライアントの見解ではありません。

西村あさひ 広報課 [newsletter@nishimura.com](mailto:newsletter@nishimura.com)