

## デジタルツインによる創薬と医療のパラダイムシフト

### ① ビジョンの概要

患者個人のゲノム情報などを含むマルチオミクス情報と細胞から個体に至る分子レベルの構造・機能情報をコンピューター上に再現し、超精密デジタルツインを構築する。デジタルツインは疾患のビッグデータとともに人工知能（AI）開発に活用されるとともに疾患原因や治療標的の決定さらには創薬およびデジタル臨床試験に活用される。デジタルツインと AI 技術の融合により超精密医療が実現し医療世界にパラダイムシフトをもたらす。

### ② ビジョンの内容

30 年後の世界では、ゲノム情報やプロテオミクス、メタボロミクス情報が一人の患者について 1 細胞レベルで高感度・高速に網羅的解析され、低コストかつ短時間で得られるようになる。その結果、膨大な患者情報が蓄積される。さらに、クライオ電子顕微鏡単粒子解析、X 線／中性子結晶構造解析、細胞内 NMR といった構造解析技術が共創的に活用され、細胞から個体に至る精緻でダイナミックな構造や機能が解明される。

こうして得られた情報はコンピューター上に集積され、細胞、組織、臓器、個体へと階層的に統合される。そこから原子・分子レベルの情報を含む超精密なデジタルツインが構築される。デジタルツインは患者ごとに生成され、その数は超巨大化し、超精密人工知能（AI）の開発にも活用される。個人固有のデジタルツインと AI を組み合わせることで、食品、環境因子、医薬品などが生体に及ぼす影響を予測・再現できる。さらに、加齢に伴う不可逆的な変化や経時的な疾患発症過程までも再現可能となり、アンチエイジングや予防医療への応用が進展する。

デジタルツインと AI は、疾患原因の特定、治療方針や標的分子の決定を可能にする。創薬 AI はバイオ医薬や低分子医薬など多様な医薬モダリティーを設計し、個人のデジタルツインを用いた臨床試験で薬効や副作用を検証する。候補薬は構造最適化を経てデジタル医薬品として決定され、AI 合成ロボットによって超高速・高純度・低コストでリアル医薬が製造される。その後、オルガノイドや臓器チップを利用したマルチオミクス情報に基づく薬効・副作用評価が行われ、最終的な候補薬が選定される。

こうして創薬された治療薬はまず一人の患者で臨床試験され、さらに他の患者のデジタルツインを通じて適応可能な患者群が特定される。これにより、従来の「多数の患者を対象とする大規模臨床試験を前提とした創薬」から、「一人の患者のために創薬し、そこから多数の患者へ展開する創薬」へとパラダイムシフトが起こる。結果として、従来は膨大な費用と期間を要した創薬が、個々の患者に即した低コストかつ短期間の創薬へと変革する（説明図 1）。

### ③ 学術研究構想の名称

創薬パラダイムシフトを目指したデジタルツイン創薬フォーラム

### ④ 学術研究構想の概要

デジタルツインを活用した創薬におけるパラダイムシフトの実現に向け、リアルワールド研究の革新とデジタルワールドへの橋渡しとして「デジタルツイン創薬フォーラム」を設置し、薬学・創薬関連分野における学際的かつ融合的な活動を推進する。

本フォーラムを通じて実験に基づくリアルな研究と計算科学や AI などのデジタル技術を両者を相互補完的に融合し、デジタルツイン創薬における革新的イノベーションを加速させる。

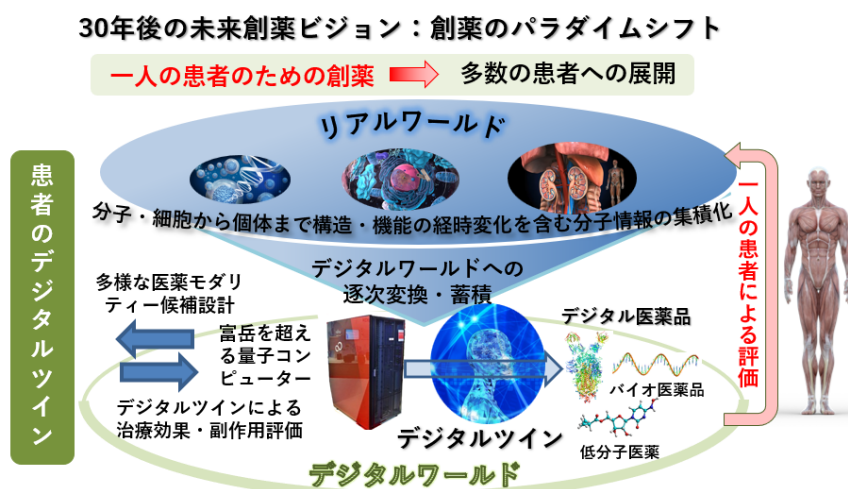


図 1 患者のデジタルツインによる創薬のパラダイムシフト

さらに、レギュラトリーサイエンスの進展と規制制度の変革のため、デジタルツインを用いた臨床試験や法的・倫理的取り扱いについての基礎研究を開始し、将来の制度設計に資する知見を提供する。

## ⑤ 学術的な意義

本構想では、細胞構造生物学、マルチオミクス研究、薬理学研究、化学合成研究、コンピュータサイエンスなどの学術領域を統合的に融合・進化させ、患者固有のデジタルツインの構築を促進する。これにより、創薬は一人の患者に固有のデジタルツインを用いて実施されるだけでなく、各患者が持つ固有のデジタルツインを活用した臨床試験を経て、多数の患者へと展開される。こうしたアプローチは、従来の多数を一括して対象とする創薬の枠組みから大きく転換するものであり、創薬におけるパラダイムシフトを引き起こす。

患者のデジタルツインには、分子レベルから細胞、さらには個体に至るまでの分子および構造情報が組み込まれるが、生命科学が発展している現在においても、生体現象のすべてを網羅することはできない。ビッグデータで事前学習した AI を活用し、患者のデジタルツインを解析する過程で、未知の生命現象や疾患原因の発見につながり、新たな医療技術や学術研究に発展する可能性がある。

## ⑥ 国内外の研究動向と当該構想の位置付け

すでに諸外国では、ビッグデータで事前学習した AI を活用し、低分子創薬を短期間で臨床試験まで進めた例や、1 細胞 RNA シーケンスデータを活用して点変異による疾患予測や核酸医薬の開発の例など、AI を用いた創薬事例が増加している。

本デジタルツイン創薬の基本構想は、生体の経時的変化を、原子・分子レベルから細胞・組織・臓器・個体へとボトムアップ的にデジタル空間上に再構築することを目指し、デジタルツイン構築のための疾患原因の学術的解明、独自の AI 開発、高純度・超高速 AI 合成ロボット技術、さらには新たなレギュラトリーサイエンス理論の構築、などを統合的に研究することで、革新的デジタルツイン創薬の実現を目指す点が、本構想の最大の特色である。

## ⑦ 社会的価値

患者固有のデジタルツインを使用する一人の患者のための個別創薬においては、個人のゲノム情報やオミクス情報に基づき、個別の臨床試験が行われることになるため、患者や国民に対する啓発活動を通して、臨床試験への理解（リテラシー）が格段に進む。小規模な臨床試験での新薬開発が可能になり、長期にわたる大規模臨床試験や巨額の投資が不要となり、また、使用が特定の患者に限定される高額な医薬品の適用範囲の拡大に繋がるなど、患者負担や医療コストが低減するという社会的意義がある。

## ⑧ 実施計画等について

### ＜実施計画・スケジュール＞

初年度～3 年度：デジタルツイン創薬フォーラムを開設し、分子・複合体や細胞内構造といった階層毎のユニットを設ける。

4 年度～6 年度：リアル研究およびデジタル研究の進展と融合研究を開始する。

7 年度～10 年度：デジタルツイン創薬を実施する。

### ＜実施機関と実施体制＞

初期は、日本薬学会（以下、薬学会）がフォーラムの立ち上げを担い、次に独立した事務局および運営組織を創設する。薬学会を構成する 10 部会の枠を超えて新たにユニットが創設し、広く参画団体を募集しフォーラムの活動基盤とする。

### ＜総経費＞

121 億円

### ＜所要経費＞

フォーラム事務局運営経費：10 年間で 1 億円。研究費：計 6 ユニット、1 ユニット年間 2 億円、10 年間の経費 120 億円

## ⑨ 連絡先

石井 伊都子（日本薬学会）