

## 第3回データサイエンス・ラウンドテーブル会議

### 【午後】欠測のあるデータの解析：予習資料

下記資料のうち、ご参加いただくテーマの【必読】の文献は、事前に読んで来られていることを前提に議論を始めます。全て Web 上に公開されておりますので、目を通していただいた上で、当日必ずご持参下さい（電子ファイルを PC 等でご持参いただくことは問題ありません）。【参考】の文献は、当日の議論をより充実させるために役立つ資料です。予備知識としてご一読いただくことをお勧めします。

#### テーマ 1：Dry Powder Mannitol を承認すべきか

- 【必読：当日持参して下さい】

- ① 製薬協レポート(2014/7) (注意：2016/1 公開の製薬協レポートではありません)

臨床試験の欠測データの取り扱いに関する最近の展開と今後の課題について

- NAS レポート, EMA ガイドライン, estimand と解析方法の概説 -

付録 審査資料で欠測データが議論された事例：p16～25

[http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/allotment/pdf/data\\_140704\\_2.pdf](http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/allotment/pdf/data_140704_2.pdf)

- ② 製薬協シンポジウム資料(2015/2/13)

事例紹介 ～Dry Powder Mannitol～

[http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/pdf/20150213/20150213\\_2.pdf](http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/pdf/20150213/20150213_2.pdf)

- 【参考】

- ① FDA

- Advisory Committees

<http://www.fda.gov/AdvisoryCommittees/CommitteesMeetingMaterials/Drugs/Pulmonary-AllergyDrugsAdvisoryCommittee/ucm329187.htm>

- Advisory Briefing Package

<http://www.fda.gov/downloads/advisorycommittees/committeesmeetingmaterials/drugs/pulmonary-allergydrugsadvisorycommittee/ucm336995.pdf>

- ② CHMP

- assessment report

[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/EPAR\\_Public\\_assessment\\_report/human/001252/WC500130591.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_Public_assessment_report/human/001252/WC500130591.pdf)

- ③ 嚢胞性線維症について

- メルクマニュアル

<http://merckmanuals.jp/home/%E5%B0%8F%E5%85%90%E3%81%AE%E5%81%A5%E5%BA%B7%E4%B8%8A%E3%81%AE%E5%95%8F%E9%A1%8C%E5%9A%A2%E8%83%9E%E6%80%A7%E7%B7%9A%E7%B6%AD%E7%97%87%E5%9A%A2%E8%83%9E%E6%80%A7%E7%B7%9A%E7%B6%AD%E7%97%87.html>

- 難病情報センター  
<http://www.nanbyou.or.jp/entry/4532>
- 嚢胞性線維症患者と家族の会  
<http://jcfm.jimdo.com/>

## テーマ 2：欠測に関する経験や情報の共有、相談

- 【参考】
  - ① 製薬協レポート(2014/7)
    - [http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/allotment/missing\\_data.html](http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/allotment/missing_data.html)
  - ② 製薬協レポート(2016/1)
    - <http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/allotment/statistics.html>

## テーマ 3：Estimand を計量生物セミナーの事例に基づいて考える

- 【必読：当日持参して下さい】
  - ① 2015 年計量生物セミナー
    - 導入  
[http://biometrics.gr.jp/news/all/seminar\\_2015-1.pdf](http://biometrics.gr.jp/news/all/seminar_2015-1.pdf)
    - 事例紹介：Nintedanib (OFEV®) (スライド 21-38), Vedolizumab (ENTYVIO®) (スライド 51-74)  
[http://www.biometrics.gr.jp/news/all/seminar\\_2015-5.pdf](http://www.biometrics.gr.jp/news/all/seminar_2015-5.pdf)
  - ② 製薬協シンポジウム(2015/02/13)【Day2】臨床試験の欠測データの取り扱いに関する最近の展開と今後の課題について
    - 【Day2-7】Estimand の紹介  
[http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/pdf/20150213/20150213\\_7.pdf](http://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/pdf/20150213/20150213_7.pdf)
- 【参考】
  - ① FDA Statistical Review
    - Vedolizumab (ENTYVIO®)  
[http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/nda/2014/125476Orig1s000StatR.pdf](http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2014/125476Orig1s000StatR.pdf)
    - Nintedanib (OFEV®)  
<http://www.fda.gov/Drugs/DevelopmentApprovalProcess/DrugInnovation/ucm429247.htm>