

テーマタイトル

ベイズ統計学の医薬品の臨床開発での活用について

テーマ紹介文

本テーマでは、医薬品開発の臨床試験でのベイズ統計学の活用について議論する。ベイズ統計学は、最近名前はよく耳にするようになってきたが、実際の医薬品開発の臨床試験での適用事例は（がん以外では特に）少なく、臨床試験での実務経験が全くない生物統計家も多いであろう。本テーマでは、ベイズ統計学の比較的初心者を対象に、基礎的な理論も軽くサーベイしつつ、医薬品開発における課題を考えていく。なお、本テーマではがんの臨床試験は対象としない。

対象：

ベイズ統計学について、専門的な知識はお持ちでない方を想定している。特に、大学院等でベイズ統計学を専攻されていた方には、少し基本的な内容と感じられる可能性もあるため、ご注意ください。

進め方：

下記4つの議題について議論を行う。ベイズ統計学に関する基礎知識をあまり仮定せず、議論の導入としての解説の時間を比較的長くとることとする。一方、ベイズ統計学の入門講義を初歩から行うわけではなく、あくまで「ディスカッション」を行うことが目的である。

注意点：

本テーマでは、必ずしも「ベイズ統計学を今後広範に使用していくべき」という前提で議論を行うわけではない点にはご注意ください。「現状あまり使われていない理由」「使用に対する反対意見」「デメリット」等の、「使用するつもりならば、今後解決していかなければならない課題」「使用しない方がよい状況」などを洗い出すことも目的の一つとしている。

議題：

議題1：ベイズ統計学の導入と、FDAの医療機器ガイダンスから学べること

最初に、ベイズ統計学の基本事項を簡単に整理する。次に、FDAから発出された医療機器の臨床試験におけるベイズ統計学の使用に関するガイダンス"Guidance for the use of bayesian statistics in medical device clinical trials"の中からいくつかのトピックについて解説を行い、その後、「医薬品と医療機器の類似点および相違点」「医薬品でのベイズ統計学の適用可能性」について議論する。なお、医薬品での議論を主題と考えており、医療機

器については、医薬品との関わりの文脈でのみ議論する。

議題 2 : p 値についての議論

2016 年にアメリカ統計学会から出版された p 値についての論文 "The ASA's Statement on p-Values: Context, Process, and Purpose" を叩き台に、p 値の適切な使用方法を整理するとともに、「医薬品開発の意思決定に必要な条件は何か？」という観点からベイズ統計学の適用可能性を議論する。

議題 3 : ベイズ統計学の検証試験における意思決定での利用について

ベイズ流仮説検定(Bayesian Hypothesis testing)という方法のうち、いくつかについて統計的性質を解説する。その後、医薬品開発での適用可能性と、適用する際の注意点について議論する。

議題 4 : 事前分布の構成・ヒストリカルデータの利用

ベイズ統計学を臨床試験に応用した場合に事前分布を用いてどのようなことが出来るのか、どのような問題が起こり得るのかを適用例(架空のデータ)を通して議論する。ベイズ統計学固有に起こり得る事前分布の構成方法、事前分布および結果の解釈などの問題点に焦点を当てて議論する。

以上