

Estimand

【第5回データサイエンスラウンドテーブル会議】

2018年2月27日

テーブル 3

テーマ1

中間事象に対応するための戦略の 選択

ディスカッション結果

- 中間事象の定義について。
 - Q.引っ越し等のアウトカムに影響を及ぼさないと考えられる事象も考慮しなくてはならないのか？
 - A. ICH-E9(R1)では現状、そのような事象も中間事象と定義されているため、考慮する必要がある。
 - Q.事前に想定していなかった中間事象の取扱いはどうすればよいか？
 - A.大きく2つの案が提案された。
 - ① 「想定していなかった中間事象」としてまとめてしまい、その取扱いを事前に規定しておく。
 - ② そういったことが起きないように、中間事象を事前に規定することが前提であるため、想定外の中間事象は事後的な解析で評価を行う。
 - 2つの中間事象があるときの主解析における取扱い。
 - Q.ICH-E9(R1)では中間事象毎にストラテジーを設定するとされているが、具体的には、主解析においてどのように取扱いを行えばよいのか？
 - A.大きく2つの方策が提案された。
 - 解析に用いる各被験者の評価時点を中間事象に合わせて設定。
 - 複合エンドポイントの利用。

ディスカッション結果

- 1例の被験者に2つ以上の中間事象が起きた場合の取扱い。
 - 大きく2つの案が提案された。
 - ① 事前に中間事象に優先順位を付け、優先度が高い中間事象に基づいて取扱う。
 - ② 複合エンドポイントを用いることで考慮する。
- 全体的な結論として、中間事象の取扱いについては、臨床試験の目的が明確であれば、自ずと定まるもの、と考えられる。

テーマ4

架空の臨床試験の計画

ディスカッション結果

- 治験実施計画書におけるestimandの記述方法について、大きく2つの案が提案された。
 - ① 治験実施計画書の試験の目的の部分にestimandを記述し、試験デザイン、選択除外基準、観察スケジュール、及び評価指標の設定根拠において、主たるestimandと関連づける形で説明を記述する。また、中間事象については、試験デザイン等と共に項立てして記述する。
 - ✓ 長所は、治験実施計画書の全体の説明として、ICH-E9(R1)のフレームワークに沿った形での説明が可能。
 - ✓ 短所は、主たるestimand以外の副次的なestimandも設定する場合、中間事象の取扱い等の説明が複雑になる。
 - ② 治験実施計画書の統計解析の項に、estimand、中間事象、感度解析及び補足的解析を記述する。なお、設定するestimandが主たるestimand以外にもある場合には、estimand毎に上述した説明を行う。
 - ✓ 長所は、主たるestimand以外の副次的なestimandも設定する場合、中間事象の取扱い等の説明が①の方法よりも容易となる。
 - ✓ 短所は、治験実施計画書の全体の説明として、ICH-E9(R1)のフレームワークに沿った形での説明が①の方法よりも難しくなる。