

## テーマタイトル

ベイズ統計学を利用して、既存情報を臨床試験にどう有効活用するか？

## テーマ紹介文

臨床開発の効率化のため、co-data（ヒストリカルデータ、同時データ）の有効活用が注目されている。昨今、ベイズ統計学を利用した co-data の利用法が提案されている（例えば Neuenschwander et al. 2016）。ベイズ統計学を利用することで、試験間あるいは region（地域）間の違い等を考慮しながら（dynamic に）互いの情報を利用し合うことができる。この特徴を活かすことで、より効率的な臨床開発が可能になることが期待される。

そこで、今回は、今後の臨床開発の効率化につながることを期待されるベイズ流 co-data 活用場面の例として、国際共同治験（Multi-Regional Clinical Trials; MRCT）における region 別の有効性評価及び第 I 相試験から第 III 相試験を通じた包括的な日本人の有効性評価を取り上げ、適切な利用方法、及び利用する際に注意すべき点について、参加者で議論する。

## 対象

ベイズ統計学について、今後実務での利用を検討される方を対象とする。これまでの実務での利用経験は問わないが、一定の学習経験（例えば書籍を 1 冊以上読まれた、等）のある方を歓迎する。また、当日は議論により多くの時間を割くため、各手法の詳細な説明は省略する予定であるため、参考文献を事前に読んでから参加していただくことを推奨する。

本テーマでは、ベイズ統計学の詳細な手法について議論するのではなく、「ベイズ統計学の利用が適切と考えられる場面は？」「適切に利用していくために留意すべきことは？」と言った、より実用面に焦点を当てて議論する予定である。また、必ずしも「ベイズ統計学を今後広範に利用していくべき」という前提で議論するわけではない点にご注意いただきたい。

## 内容

当日は以下の内容で進める予定である。

- Co-data とは何か？
  - Co-data（ヒストリカルデータ、同時データ）
- Co-data の利用方法・利用例の紹介
  - Power prior, mixture prior : 武田（2015）

- 他地域の情報を借用しながら各地域の治療効果を推定：Quan et al. (2013), Guo et al. (2016)等
- Meta-analytical approach (MAP, MAC)：Neuenschwander et al. (2016)
- 今回取り上げる活用場面の紹介
  - MRCT における region 別の有効性評価
  - 第 I 相試験から第 III 相試験を通した日本人の有効性評価
- Discussion
  - 上記で挙げた活用場面について、以下の内容を議論する。
    - 実際に利用する際に気を付けることは何か？
    - より効率的に利用する方法はあるだろうか？
  - 上記であげた活用場面の他に、ベイズ流 co-data 活用法を利用できる場面はあるか？

#### 参考文献

Neuenschwander et al. On the Use of Co-Data in Clinical Trials. *Statistics in Biopharmaceutical Research*. 2016; 8(3): 345-354.

Lim et al. Minimizing Patient Burden Through the Use of Historical Subject-Level Data in Innovative Confirmatory Clinical Trials: Review of Methods and Opportunities. *Therapeutic Innovation & Regulatory Science*. 2018; 52(5): 546-559.

武田他. 臨床試験におけるヒストリカルコントロールデータの利用. *計量生物学*. 2015; 36(1): 25-50.

Quan et al. Empirical shrinkage estimator for consistency assessment of treatment effects in multi-regional clinical trials. *Statistics in Medicine* 2013; 32(10):1691-1706.

Guo et al. Evaluation of local treatment effect by borrowing information from similar countries in multi-regional clinical trials. *Statistics in Medicine*. 2016; 35(5): 671-684.

以上