

[検証試験におけるアダプティブデザインについて]

アダプティブデザインは従来の臨床試験デザインよりも複雑な運用が必要となるが、国内において臨床試験への適用例はまだ少なく、そのための知識や経験が十分に蓄積されていない。このことが企業やアカデミアがアダプティブデザインの計画を躊躇する理由の1つになっていると考える。そこで本グループでは、特に医薬品開発における検証試験でアダプティブデザインを採用することを想定し、理論と実践の両面について総合的な議論を行い、産官学の立場から意見交換したい。

アダプティブデザインの理論については、検証試験において実装されることの多い症例数再設計、シームレス第 II/III 相試験における理論について議論したい。議題例は以下のとおりである。

- ・ 検定統計量の統合法の選択
- ・ エフェクトサイズとその信頼区間の推定
- ・ アダプティブデザインの効率について
- ・ 事前のシミュレーションで押さえておくべき事項について

アダプティブデザインの実践については、検証的試験における非盲検下の症例数再設計に関してこれまでの実施経験を開発企業側の立場から紹介いただき、その実例を基にアダプティブデザインを計画・運用する上で検討すべき事項及び留意点について議論したい。議題例は以下のとおりである。

- ・ 実施の目的，メリット・デメリット
- ・ 計画時に検討すべき事項（症例数の上限設定等）
- ・ 運用上の留意点，実装の手順
- ・ オペレーショナルバイアス