

非劣性試験について

論点①

主たる解析対象集団の考え方

主たる解析対象集団はITT(FAS)なのか, PPSなのか？

FAS (Full Analysis Set) のメリット

- ICH-E9の考え方からするとFASを原則としている。PPSは治験実施計画書を遵守しているため、ITTからこぼれていく。こぼれた部分はバイアスと考えられる。
- Switchingを考えた場合、非劣性が成立した場合、優越性に切り替えたい。優越性はFASで考えるのが妥当であるため、非劣性試験もFASとすべき。
- PPSで例数を保つのが難しい。
- 検証的試験はFASと考えている。

PPS (Per Protocol Set) のメリット

- コンタミが起こった場合FASの解釈ができなくなる。
- FASにすると差が薄まる方向に近づいてしまう。
- Nが多ければ信頼区間が狭くなって、PPS結果の妥当性が担保される。

まとめ

- ICH-E9の原則に従うと、FASに従っていくことが一般的になるが、一概にFAS及びPPSを選ぶことはできない。
- FASとPPSのどちらも確認する必要がある。
- 対象領域ごとに検討する必要がある。
- FASとPPSで、どれくらい精度が異なるかを第Ⅱ相試験までに精査して、第Ⅲ相試験を組むべき。