

午後テーマ： アダプティブデザイン

テーブル2の意見

症例数再設計に関する意見

- 適用が考えられる場面
 - エフェクトサイズが分からない時に利用価値があるかもしれない
- 症例数再設計を利用して試験途中に症例数を増やし、結果として試験が成功したという例は少ない印象
 - 早期無効中止のために症例数再設計を使えるが、それなら群逐次デザインでも良い
 - オペレーション上の問題が解決しているのであれば、適用を検討しても良い

アダプティブデザインを 実際に用いる上での留意点

- アダプティブデザインを適用するには、統計だけでなく、周囲の理解や土壌が整っている必要がある。
 - そうでなければ、統計的合理性の議論だけでは実用できない
- 非統計家の方々に説明をする際には、膨大な数のシミュレーションでパターンを網羅して説明することや、閾値の意味を臨床的に説明する等、説明に工夫が必要
- DMCからのコミュニケーションプランなども含めて、多大な労力がかかる
 - そうまでして実施する必要があるかは難しい判断
 - アダプテーションの種類によって、作業の量は異なるだろう

Adaptive Seamless P2/3に関する意見

- 検証的試験で実装は一般的には難しい
 - 特に検証的試験の主要評価項目がTime-to-eventで観察まで時間がかかるような場合には、探索的試験での主要評価項目はより観察しやすい評価項目とする傾向があり、そういった場合に適用できるかは悩ましい
 - 検証的試験と探索的試験で評価項目が同様の場合や、良いバイオマーカー(あるいはサロゲートエンドポイント)が存在すれば可能かもしれない
- 患者が少ない疾患領域では、組入れの時間や症例数の確保の点から、Adaptive Seamless P2/3試験の適用が合理的かもしれない
- 製薬企業としては予算の確保が一度に大量に必要なので、経営陣の説得が難しいかもしれない

Adaptive randomizationに関する意見

- 糖尿病のように、検証的試験と探索的試験で評価項目が同様の場合や良いバイオマーカー（あるいはサロゲートエンドポイント）がある領域の場合はAdaptive randomizationを利用することが合理的かもしれない
- 探索的試験でAdaptation randomizationを利用することは合理的かもしれない