

当日の議題

1. 自社データベースの概要紹介
2. データベースを利用して試験を計画(開発戦略やデザインなど)したことがあれば, その経験を紹介. 経験がない方については, 何を情報源にしているのかを紹介.
3. これらのデータの利用時に, 疑問(不安)に思ったことや問題となったことを紹介.
4. 自社データベースに蓄積されているデータをベイズ推定に利用するにあたって解決すべき課題は何かについて議論.

自社データベースの概要紹介

- 自社データベースを構築している企業は少ない
 - ✓ 試験計画時に、似たような疾患の臨床試験データを参考にすることはある
 - ✓ その他にも、論文、公開されているCTD、非臨床データ、KOL の意見を参考にする
 - ✓ 自社データベースの有無は、外資と内資で異なるかもしれない
- データベースを共有するという可能性は？
 - ✓ PMDA, UMIN等にデータが集まるため、蓄積されたデータを共有し、希少疾患の開発等に役立てることができるとよい
 - ✓ 共有データを使って、ベイズ流の方法を用いることができるとよい
 - ✓ いずれにしても、承認申請で利用できなければ意味がないだろう
 - ✓ ベイズ流の方法の妥当性は、case by case で判断されるため、その普遍的ルールを作るのが難しく、承認申請で使いにくい

ヒストリカルデータ利用時の留意点や懸念点

- 抗癌剤での事例
 - ✓ 対照群のデータを使用する際、エンドポイントが全生存期間であれば、時代によって標準治療が異なり、結果として全生存期間も異なるので、注意が必要であった
- 計画中の試験とヒストリカルデータでは、患者背景や施設が異なる等で、実際にはヒストリカルデータとは異なる結果が得られる可能性がある
 - ✓ 実際に異なった事例もある
 - ✓ ベイズ流の方法を用いる場合、結果に応じて事前分布の動的な選択が必要
- 標準薬のヒストリカルデータとして、どのデータを採用するか難しいケースもあった
 - ✓ PMDAとの合意が必須
 - ✓ 様々な専門家の意見を集めて、分布を持たせることが有用かもしれない

ベイズ流の方法を用いる際の懸念点・課題

- 事前分布にどこまで情報を持たせるか
 - ✓ 何例分のデータを事前分布を持たせるか
- 利用時のルール作りが難しい
 - ✓ 事前分布の設定が難しい
 - ✓ 有効と判断する基準(閾値)の設定