

国際共同試験

(Bayesian Methods for Evaluating
Regional Treatment Effect
in Multi-regional Clinical Trials)

当日の議題

仮想的な臨床試験(以下,「事例」)に対するベイズ流アプローチの適用結果に基づき, 以下の内容を議論した.

1. 事例についてどう判断するか(日本人で有効が期待できる/できない)
2. ベイズ流アプローチの適用及びその結果解釈する上で留意すべき点
3. 従来の評価方法に加えてベイズ流アプローチを導入することの意義

1. 事例についてどう判断するか

- ベイズ流アプローチの適用結果から、「日本人で有効性が期待できる」という意見は少数であった。

「日本人で有効性が期待できる」と判断できない理由

- 今回適用したベイズ流アプローチに関して以下の懸念がある。
 - 特定地域における治療効果を検討する上で、試験成績から推定される地域間差に大きな影響を受ける。
 - 内因性及び外因性民族的要因の差異について事前に検討し、地域間差がないという前提で試験が実施されているものの、その前提が正しいことを保証することが難しい。

2. ベイズ流アプローチの適用及びその結果解釈する上で留意すべき点

適用上の留意点

- 試験計画時にベイズ流アプローチにより評価する事を規定すべき.
 - 従来法により有効性が期待できない結果であった時に, その救済処置として後付けで適用することは適切ではない.
- 複数のシナリオを想定して, 動作特性(性能)を確認すべき.

結果解釈上の留意点

- ベイズ流アプローチの適用結果のみに基づいて判断すべきではない.
 - 地域間差に関連した前述の懸念

3. 従来の評価方法に加えてベイズ流アプローチを導入することの意義

- 意義はある(かも知れない).
 - 点推定値, 地域間の被験者背景の異同など検討に加えて, 追加の数値的な判断材料になる.

ベイズ流アプローチの利用方法に関する提案

- 特定の地域における有効性の評価に着目するのではなく, 地域差があるかなどの検討に用いる.
 - 例えば, 地域間差がないという仮説とあるという仮説をベイズファクターで比較する.