

テーマ 1 : Dry Powder Mannitol を承認すべきか？

内容 : Dry Powder Mannitol は検証試験で欠測が多く発生し、結果の解釈に大きな議論が起こった薬剤である。結果的に EMA では 2012 年に承認されたが、FDA では 2013 年に承認しないという決定がなされ、規制当局間でも意見の分かれることとなった。本テーマでは、実施された臨床試験の成績に基づき、その後の欠測に関する方法論の進展や他の事例なども踏まえた上で、本剤が承認されるべきか否か、承認にあたってはどのような追加考察が必要か、また追加臨床試験が必要な場合にはどのような試験デザイン・実施・解析の工夫が必要と考えられるか等について議論を行う。参加者を 2 グループ（「承認可」と「承認不可」）に分け、ディベート形式で議論を行う予定である。

テーマ 2 : 欠測に関する経験や情報の共有、相談

内容 : NRC レポートが 2010 年、EMA のガイドラインが 2011 年、ICH E9(R1) の Final Concept Paper が 2014 年にそれぞれ発表され、欠測データに関して本格的に議論されるようになってから今日までに 5 年以上が経過した。近年の欠測データを取り巻く状況の変化を受け、本テーマでは、実務において欠測データの取り扱いに悩むことがある人を対象に、解析計画を検討するうえで以前と比べて何か変わったところや計画時に苦慮する点についてブレインストーミング的に経験や情報交換を行う予定である。ただし、ここではがん領域の話題は取り扱わない。

テーマ 3 : Estimand を計量生物セミナーの事例に基づいて考える

内容 : Estimand の誤った選択や不明瞭な定義は、試験デザイン、実施及び解析に関連する問題を引き起こし、推論と意思決定において矛盾を導く可能性があるとして ICH E9 (R1) Final Concept Paper で指摘されている。しかし、estimand を明確に定義した上で、試験デザイン及び解析方法が検討されている試験は少ない。本テーマでは、まず estimand の概念を理解し、不明点や必要性等について検討を行う。次に、実際に欠測データの取り扱いで問題となった事例に基づき、どのような estimand のもとで試験が実施されたと解釈できるかを検討する。さらに、他の estimand の利用可能性の検討として、より適切なデータの取り方、解析対象集団および解析方法について議論を行う。なお、事例は 2015 年度計量生物セミナーで紹介されているものを用いる。資料は計量生物学会 Web ページ (<http://www.biometrics.gr.jp/>) に公開されているのでご参照頂きたい。