

# 欠測のあるデータの解析

## テーブル3

### 午後

# 5. Estimandと感度分析を意識した 架空の臨床試験の試験計画

- Estimandと主要評価項目：結論
  - 設定するestimand：
    - Primary: Estimand 3
    - Secondary: Estimand 1(設定の意図：類薬との差別化)
  - 設定する主要評価項目：
    - HbA1cの24週時点の変化量  
(投与後のHbA1cを用いたMMRM)
  - 副次評価項目：
    - HbA1cの24週時点の目標値の達成割合

# 5. Estimandと感度分析を意識した 架空の臨床試験の試験計画

- Estimandと主要評価項目：議論の概要
  - 治療方針effectivenessよりも治療効果efficacyに興味がある
    - レスキュー治療薬の投与割合がプラセボで15%高く、Estimand 1では治療効果が過小推定される可能性が高いため
  - 投与中止後・レスキュー治療薬投与後もデータを取得できるデザインとしたため、effectivenessも考慮できる
    - Estimand(1)についても予め仮説構造に含め、多重性を調整することも考えられるのでは？ただし、解釈は要議論

## 5. Estimandと感度分析を意識した 架空の臨床試験の試験計画

- データの収集範囲：議論の概要
  - セカンダリEstimandとしてEstimand(1)も用意するので、中止後・レスキュー後のデータまで収集しておく

# 5. Estimandと感度分析を意識した 架空の臨床試験の試験計画

- データの取り扱い、主解析の計画：議論の詳細
  - プライマリEstimand(3)は中止後・レスキュー後のデータを含めないHbA1cの変化量のMMRM
  - セカンダリEstimand(1)は中止後・レスキュー後のデータを含めたHbA1cの変化量のMMRM
    - ただし、中止後・レスキュー後のデータを含めたMMRMは相関構造を考えると気持ち悪い？
    - Estimand(3)でもMMRMではなく、LOCF-ANCOVA

# 5. Estimandと感度分析を意識した 架空の臨床試験の試験計画

- 感度分析の計画：議論の詳細
  - 主解析に対する感度分析
    - 中止理由毎に補完モデルを変えたPMM
    - AEによる影響を見るためのTPAもありうるのでは
    - AEによる脱落時点もモデルに考慮できるが、簡単のためそこまでの考慮はしない
  - セカンダリEstimandは副次評価項目の一つとし、感度分析は計画しない
    - P値は解釈できない？

## 5. Estimandと感度分析を意識した 架空の臨床試験の試験計画

- 試験デザインの追加設定
  - そもそも治療中止割合を少なくする工夫が必要
- 被験者数の設定
  - セカンダリEstimand(1)については、検出力は少なくとも確認しておく。