

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。