

# Estimand

【第5回データサイエンスラウンドテーブル会議】

2018年2月27日

---

テーブル 1

# テーマ1

## 中間事象に対応するための戦略の 選択

---

# ディスカッション結果

---

## ● 主解析・感度分析・補足的解析の選択

### □ 感度分析と補足的解析の境目があいまい

(事例1) 連続量経時的解析でMMRMが主解析の場合

- ・ モデルの相関構造のみを変更した解析 ⇒ 感度分析！
- ・ 中止理由を考慮したTipping Point Analysis ⇒ 感度分析？
- ・ placebo Multiple Imputation ⇒ 補足的解析？

(事例2) FASが主要な解析対象の場合

- ・ PPSによる解析 ⇒ 補足的解析！

### □ 抗がん剤(特定の疾患領域)の検討

(事例3) 生存時間解析でPFSがエンドポイントの場合

- ・ 打ち切りの定義の変更 ⇒ 補足的解析！
- ・ 打ち切りの理由を考慮したTipping Point Analysis に対応した解析も考えられるのでは？

### □ PPS(特定の対象集団)の検討

- ・ ICH E9(R1) step2はITTが原則となっている
- ・ PPSの解析は同じ被験者集団の比較になっていない。中間事象を適切に考慮することによりこれまでITTの解析でもこれまでPPSの解析で期待されていた結果を算出することができるのではないか？

⇒ 今後、PPSの位置づけが変化するかもしれない(なくなっていく?)

# テーマ4

## 架空の臨床試験の計画

---

# ディスカッション結果

---

## ● Estimandの4つの構成要素の設定

- 対象集団
  - 適切な選択／除外基準により定義 (ITT)
- 変数 (又は評価項目)
  - 完了例は24週時、試験治療中止例は投与中の最終時点の達成
  - 達成基準はHbA1cがベースラインより0.5%改善
  - ただし、低血糖での試験治療の中止は失敗と扱う (複合ストラテジー)
  - 低血糖以外での試験治療の中止は投与中の最終時点で評価 (治療下ストラテジー)
  - レスキュー薬使用は中間事象として扱わない
- 中間事象の取扱い
  - 変数に記載
- 集団レベルの変数の要約
  - 群間での達成率の差

※ 主要のestimandを複合ストラテジーと治療下ストラテジーにより設定  
ただし、副次のestimandを治療方針ストラテジーにより設定

# ディスカッション結果

---

- データの収集範囲

- 中間事象が発生しても、最終評価時点の24週時まで全て収集する

- 主解析の計画、欠測データの取扱い

- 主解析

- Fisher's exact test

- 欠測データ

- 考慮しない(主要のestimandの下では発生しないため)

# ディスカッション結果

---

## ● 感度分析・補足的解析の計画

### □ 感度分析

- ベースラインを共変量としたCMH検定

### □ 補足的解析

- ターゲットHbA1cを変更した解析
- 全ての試験治療中止を失敗と扱った解析
- 12週未満の試験治療中止を失敗と扱った解析

## ● 被験者数の設定

- 主解析で想定する達成率に基づき設定
- 主解析に欠測データは発生しないため、中止率は考慮不要。