

テーマタイトル

生存時間型応答の評価指標

テーマ紹介文

近年、開発が盛んであるがん免疫療法の開発においては、効果が遅発的に現れることで、対照群の生存曲線と一定期間重なったまま推移した後に開き始める生存曲線や、途中で交差する生存曲線が報告され始めている。通常、生存曲線の差を要約する指標としてハザード比が頻用されているが、上述したような比例ハザード性が成り立たない状況下ではハザード比による結果の解釈が困難となる場合がある。

また、糖尿病や循環器関連の治療法開発のように、比較的イベント発生が少ない場合には、ログランク検定やハザード比に基づく解析手法ではサンプルサイズが大きくなりがちである。

このような近年の状況を踏まえ、生存時間型応答の評価指標をテーマとして、以下の 2 つの議題について議論する。なお、日本製薬工業協会の報告書「生存時間型応答の評価指標-RMST (restricted mean survival time) を理解する-」を通読して、生存時間型応答で用いる各評価指標の pros/cons を考えておくことを事前課題とする。また、2017年3月9日に行われた第4回データサイエンスラウンドテーブルの抗がん剤の第III相試験における生存時間解析に関する統計的課題のテーマの中でも RMST について議論されているので、当日資料や議論結果を事前に確認頂くとよい。

【議題 1】 想定される KM 曲線の形状に応じた主要評価項目の選択方法

いくつかの対象疾患を念頭に置き、想定される生存曲線の形をイメージしながら、その生存曲線の要約として妥当な主要評価項目及び主たる解析方法をどのように設定すればよいか、各評価指標の pros/cons を踏まえ議論する。

【議題 2】 RMST を実務で適用する場合の課題と解決策の整理

課題 1 を踏まえ、RMST を主要評価項目に設定した場合における、実務上あるいは承認申請上の注意点、問題点やその解決方法を議論する。