

## テーマタイトル

ベイズ流手法を利用する際の留意点－CID 事例に基づく検討

## テーマ紹介文

米国 FDA は従来の試験デザインと比較して革新的および新規性のある計画要素を含む試験デザインを **Complex Innovative Trial Design**（以下、CID）と呼び、CID に関する議論を開始している[1]。CID の中でも特にベイズ流の手法の利用が注目されており、例えば、階層ベイズモデルや外部データを活用したベイズ流の **Hybrid control** デザイン等のベイズ流手法を利用した事例が議論されている [2,3,4]。

ベイズ流手法を用いることで、頻度流手法と比較して、効率的に試験治療を評価することが期待されるが、ベイズ流手法の利用に伴う特有の留意点が存在する。ベイズ流手法の留意点は、過去のデータサイエンスラウンドテーブル会議でも議論されており、FDA ガイダンス[5,6]や本邦での希少疾患領域におけるベイズ流手法の適用に関する基本指針[7]でも言及されている。

がん第 I 相試験の用量探索や単群第 II 相試験での有効性スクリーニングを除いては、世界的にベイズ流手法を利用した事例の蓄積が十分とは言えない状況であり、ベイズ流手法を利用する際の留意点が明確になっていないため、利用に至っていない可能性がある。以上の背景を踏まえて本テーマでは、ベイズ流手法が利用された CID 事例を参照し、ベイズ流手法を利用する際の留意点を議論する。

## 対象

ベイズに関する臨床試験の経験は問わない。ただし、当日の議論を円滑に進めるためベイズの基礎知識について復習してくることが望ましい。また、以下の参考文献に示す、本テーマの議論に関連するガイドラインや文献は事前に読んで理解を深めておくことを推奨する。

## 参考文献

1. Food and Drug Administration. "Interacting with the FDA on Complex Innovative Trial Designs for Drugs and Biological Products" (2020)  
<https://www.fda.gov/media/130897/download>
2. Complex Innovative Trial Design Meeting Program の web site  
<https://www.fda.gov/drugs/development-resources/complex-innovative-trial-design-meeting-program>
3. 日本製薬工業協会. "Rare disease の治療効果の推測法" (2022)

3.6.1 項 CID パイロットプログラムの中で実施された試験

[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/jtrngf00000085m-att/ds\\_202212\\_rare.pdf](https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/results/allotment/jtrngf00000085m-att/ds_202212_rare.pdf)

4. 日本製薬工業協会. ”Rare disease の臨床開発における治療効果推測の現状と課題” (2023)  
シンポジウム 2-2\_CID パイロットプログラムとその実例  
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/jtrngf0000001cap-att/DS\\_202302\\_cid.pdf](https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/jtrngf0000001cap-att/DS_202302_cid.pdf)
5. Food and Drug Administration. “Guidance for the Use of Bayesian Statistics in Medical Device Clinical Trials” (2010)  
<https://www.fda.gov/media/71512/download>
6. Food and Drug Administration. “Adaptive Design Clinical Trials for Drugs and Biologics” (2019)  
<https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents/adaptive-design-clinical-trials-drugs-and-biologics>
7. AMED 医薬品等規制調和・評価研究事業. ”希少疾患領域の臨床試験におけるベイズ流アプローチの適用に関する基本指針” (令和3年7月16日)  
[https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/jtrngf0000001cap-att/DS\\_202302\\_hirakawa1.pdf](https://www.jpma.or.jp/information/evaluation/symposium/jtrngf0000001cap-att/DS_202302_hirakawa1.pdf)