

予測医療の臨床試験デザイン

【背景】

バイオテクノロジーや遺伝子学の発展に伴い、臨床の現場では長年明らかとされてきた臨床経過や治療への反応の個体差について、生物学的な根拠が築かれてきた。疾患のメカニズム等が分子レベルで分かるようになり、より効果的な治療法の開発や効率的な臨床試験デザインやその解析方法が発展するきっかけとなっている。がん領域においては、少数の患者にしか効果をもたらさない効果な分子標的薬を用いたレジメンで広範な患者を治療することは経済的な面からも倫理的な面からも難しい。疾患の分子多様性が確立することにより、予測医療の根拠となるランダム化臨床試験のデザインと解析方法について新しいパラダイムが必要となっている。

【目的・方法】

本抄読会では、新治療と予測バイオマーカーの開発のための前向き試験のデザインの概要を理解するため、Simon R(2012)による予測医療に向けた臨床試験デザインについてのレビュー論文を紹介する。

【結果】

Simon R(2012)では、事前に候補マーカーが存在し、マーカー陰性の患者には新薬の効果がないという強い生物学的な根拠があり、陰性患者を試験に組み入れるのは非倫理的だと考えられる場合に用いられる **Enrichment design**、候補マーカーは開発されているが、マーカー陰性の患者には新薬の効果がないという生物学的データや PII 試験データがないときに用いられる **Biomarker stratified design**、予測マーカー候補があるが、適切な閾値が事前に定義されていないときに用いられる **Adaptive threshold design**、**Adaptive signature design** 等が紹介されている。

【文献】

- Simon R. Clinical trials for predictive medicine. *Stat Med.* 2012; 31: 3031-40