

新規の Conditional error function を用いた症例数再設計法の提案

大規模な医師主導臨床試験が計画されたものの、目標症例数を達成できずに途中で登録を中止し、十分なエビデンスを出せずに試験が終了することは決して少なくない。多くの場合、このような登録の中止の判断は、集積されたデータとは独立に主に追加登録の見込みの有無によって決定されている。しかし、臨床試験は多くの患者さんの協力の下で、多くの費用を投じて実施されているので、集積されたデータからどの程度の結論を出せるのかを統計的に検討した上で登録中止の判断をすることが本来は必要ははずである。統計的推測に対する影響を考慮した上で目標症例数を変更することは、アダプティブデザインの症例数再設計の方法論により可能である。

症例数再設計を行うための方法論は、既に数多く提案されている。よって、それらを用いれば盲検解除を伴う中間解析の実施により症例数再設計を行うことは十分可能である。しかし、既存の症例数再設計方法により目標症例数を変更した場合には、検定効率が低下することが分かっており、再設計された目標症例数が当初の目標症例数から乖離すればするほど効率低下の程度は大きくなる。本抄読会では、この問題を緩和する症例数再設計法を提案する。

当日は、既存の方法と提案法の方法の説明に加え、それらの簡単な性能比較結果を示す。

参考文献

- Gao P, Ware JH, Mehta C. Sample size re-estimation for adaptive sequential design in clinical trials. *Journal of Biopharmaceutical Statistics* 2008;**18**:1184-1196.
- Müller H-H, Schäfer H. A general statistical principle for changing a design any time during the course of a trial. *Statistics in Medicine* 2004;**23**(16):2497-2508.
- Proschan MA, Hunsberger SA. Designed extension of studies based on conditional power. *Biometrics* 1995;**51**:1315-1324.