

Inverse Probability of Censoring Weighted (IPCW) Estimator for the Net Benefit in Survival Analysis

Net Benefit は, 試験群と対照群からそれぞれランダムに一人ずつ対象者を選んだときの, (試験群の対象者の生存が長い確率 - 対照群の対象者の生存が長い確率) で定義され, 比例ハザード性が成立しない場合にも適用可能である点や直感的にも解釈しやすい点などから, がん領域の第 III 相試験などを中心にハザード比に替わる新たな治療効果の指標として着目されている。

Time-to-event データに対して Net Benefit を適用する際には打ち切りへの対処が必要となるが, これまでのところ比較可能なペアのみを計算に用いる方法や打ち切りがあるペアのスコアを Kaplan-Meier 法に基づく条件付き確率で補完する方法が提案されている。本研究では, Net Benefit の新たな推定方法として, 各対象者が打ち切られない確率の逆数で重み付けた IPCW 推定量を提案する。打ち切りがない場合 Net Benefit は古くから知られている Wilcoxon-Mann-Whitney 統計量や Probabilistic Index と呼ばれる指標の差になっており, これらは U 統計量の枠組みで理論的な正当化が可能である。提案する推定法は, U 統計量の理論を打ち切りのあるデータに拡張した IPCW-U 統計量を応用したものである。

発表当日は, Net Benefit の概要と提案する IPCW 推定法の理論的な背景を簡単に紹介し, 提案法の性能を評価したシミュレーション実験の結果を報告する。

References

- Saad, E.D., Zalcberg, J.R., Peron, J., Coart, E., Burzykowski, T. and Buyse, M. (2018) Understanding and Communicating Measures of Treatment Effect on Survival: Can We Do Better? *Journal of the National Cancer Institute*.
- Péron, J., Roy, P., Ozenne, B., Roche, L. and Buyse, M. (2016) The net chance of a longer survival as a patient-oriented measure of treatment benefit in randomized clinical trials. *JAMA Oncology*, **2**, 901–905.
- Péron, J., Buyse, M., Ozenne, B., Roche, L. and Roy, P. (2016) An extension of generalized pairwise comparisons for prioritized outcomes in the presence of censoring. *Statistical Methods in Medical Research*, .
- Buyse, M. (2010) Generalized pairwise comparisons of prioritized outcomes in the two-sample problem. *Statistics in Medicine*, **29**, 3245–3257.
- Datta, S., Bandyopadhyay, D. and Satten, G.A. (2010) Inverse Probability of Censoring Weighted U-statistics for Right-Censored Data with an Application to Testing Hypotheses. *Scandinavian Journal of Statistics*, **37**, 680–700.