

## Prioritized outcomes による複合評価項目の解析

臨床的に最も重要と考えられるイベントの発生が稀である場合、評価項目の定義に複数の種類のイベントを用いることがある。例えば、がん臨床試験における死亡・増悪、循環器臨床試験における死亡・心筋梗塞・脳卒中、などがある。このような場合、最初に発生するイベントまでの時間 (time-to-first event) を評価項目 (複合評価項目; composite endpoint) とすることが多い。Time-to-first event を用いる場合、それぞれのイベントの重要度が適切に考慮されない可能性が問題となる。近年、イベント (もしくは outcome) の重要度を考慮する方法 (prioritized outcomes) を用いて複数の評価項目を統合する解析に注目が集まっている。Prioritized outcomes の考え方は、複数の種類のイベントに関する評価項目に限らず、AIDS 臨床試験における生存時間 (死亡) と経時データ (CD4)、感染症臨床試験におけるカテゴリカル変数 (clinical benefit) と連続変数 (抗菌薬使用日数) など、様々な評価項目で用いられている。

本発表では、prioritized outcomes による複合評価項目の解析における "win ratio" や "proportion in favor of treatment" と呼ばれる指標に関する特徴をまとめ、今後の応用を議論する。

## 参考文献

- Finkelstein DM, Schoenfeld DA. Combining mortality and longitudinal measures in clinical trials. *Statistics in Medicine* 1999; 18: 1341-1354.
- Buyse M. Generalized pairwise comparisons of prioritized outcomes in the two - sample problem. *Statistics in Medicine* 2010; 29: 3245-3257.
- Pocock SJ, Ariti CA, Collier TJ, et al. The win ratio: a new approach to the analysis of composite endpoints in clinical trials based on clinical priorities. *European Heart Journal* 2011; 33: 176-182.
- Evans SR, Rubin D, Follmann D, et al. Desirability of outcome ranking (DOOR) and response adjusted for duration of antibiotic risk (RADAR). *Clinical Infectious Diseases* 2015; 61: 800-806.
- Food and Drug Administration. Draft guidance for industry on multiple endpoints in clinical trials. 2017.