

ベイズ流標本サイズ設定再考
- demands, expectation, and beliefs

2021年7月14日

京都府立医科大学生物統計学 手良向 聡

臨床試験の標本サイズ設定とは、試験前に最大標本サイズおよび／または中止規則を決定しておくことである。決定規則に基づく方法がよく用いられており、ベイズ流接近法では、同等範囲、事前分布（解析、デザイン）、確率閾値（境界を超える事後確率、ベイズ流検出力）、事前予測分布などに基づいて計算が行われる。

単群・2値評価項目の試験を例として、demands, expectation, and beliefs という概念と標本サイズ設定との関連について考察する。また、expectation/beliefs の設定について専門家意見の誘出 (elicitation) の方法についても言及する。最後に、事例を紹介しながら、理論的な概念が経験的にどのように収束するのかについて考える。

文献

Dallow N *et. al.* Better decision making in drug development through adoption of formal prior elicitation. *Pharmaceutical Statistics* 2018;17:301-316.

Kunzmann K *et. al.* A Review of Bayesian perspectives on sample size derivation for confirmatory trials. *The American Statistician*, 2021 Apr 22 (online).

Sambucini V. A Bayesian predictive two-stage design for phase II clinical trials. *Statistics in Medicine* 2008;27:1199-1224.

Spiegelhalter DJ, *et al.* Bayesian Approaches to Clinical Trials and Health-Care Evaluation. Wiley, 2004.

Teramukai S, Daimon T, Zohar S. A Bayesian predictive sample size selection design for single-arm exploratory clinical trials. *Statistics in Medicine* 2012;31:4243-4254.

Wang F, Gelfand AE. A simulation-based approach to Bayesian sample size determination for performance under a given model and for separating models. *Statistical Science* 2002;17:193-208.