

小規模二群比較試験データの統計解析方法の検討

1. 緒言

二群比較試験を実施するにあたって、適切なサンプルサイズを設定する必要がある。サンプルサイズが不足している場合、本来は効果があるにも関わらず、統計的な有意差が得られないと判断してしまう可能性がある。また、サンプルサイズが過剰な場合、精度は高まるが、被験者にとって有害であった場合の危険性が高まる。また、試験実施におけるコストや時間の制約、予想される被験者の数など、サンプルサイズが限られた状況で臨床試験を実施しなければならないこともある。

これから実施が予定されている「予後改善を目指したくも膜下出血(subarachnoid hemorrhage : SAH)の脳内血腫除去療法に関する Proof of Concept(POC)試験」はサンプルサイズの小さな臨床試験である。この臨床試験の特徴として、サンプルサイズが小さいこと、主要評価項目が0から1までの値しかとらないこと、割付け比が等しくないことが挙げられる。二群比較試験を実施する際に用いられる代表的な統計手法として、t検定やWilcoxonの順位和検定がある。ただ、このような特性を持つ場合にデータの正規性が保たれているのか判断することは難しく、用いるべき妥当な解析手法の提案はこれまであまりされていないため、検討の余地がある。

本抄読会では、疾患の背景と治療法、開発対象の追加治療、先行研究、検討している検定手法の特徴を紹介し、今後の卒論研究の方針を示す。

参考文献

- [1] De Winter J. C. F. Using the Student's t-test with extremely small sample sizes. *Practical assessment, research & evaluation*. 2013;18(10):10.
- [2] Fay MP, Proschan MA. Wilcoxon-Mann-Whitney or t-test? On assumptions for hypothesis tests and multiple interpretations of decision rules. *Statistics Surveys*. 2010;4:1.
- [3] Lesaffre E, Rizopoulos D, Tsonaka R. The logistic transform for bounded outcome scores. *Biostatistics*. 2007;8(1):72-85.