

小規模二群比較試験データの統計解析方法の検討

臨床試験を実施するにあたり、適切なサンプルサイズの設定は重要である。サンプルサイズが不足していると、実際には治療効果が存在していても、統計的有意差が得られないリスクが高まる。一方で、サンプルサイズが過剰であれば、精度は向上するものの、被験者が有害事象にさらされる可能性も増加する。また、試験のコストや時間的制約、さらには予想される被験者数の制限などの現実的な条件から、必ずしも十分なサンプルサイズを確保できない場合もある。

これから実施予定の「予後改善を目的としたくも膜下出血(subarachnoid hemorrhage : SAH)の脳槽内血腫洗浄除去療法に関する POC(Proof of Concept)試験」は、小規模なサンプルサイズを用いた臨床試験である。本試験の特徴として、サンプルサイズが少なく、主要評価項目が血腫除去率のため 0 から 1 の値しかとらないこと、さらに治療群とプラセボ群の割り付け比が不均等である点が挙げられる。

二群比較試験において、t 検定や Wilcoxon 検定、並び替え検定などの統計手法が一般的に用いられているが、今回の試験のように特異な条件を伴う場合、妥当な解析手法の提案はまだ十分な議論がされておらず、さらなる検討が必要である。

本抄読会では、疾患背景や治療法について、先行研究の状況、検討している検定手法の特徴、シミュレーション実験の方法と結果を紹介し、今後の卒論研究における方向性を示す。

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.