

2024 年 10 月 30 日

生物統計学分野 博士後期課程 1 年

金田 匠海

前向き非ランダム化比較試験での IPTW 推定量に基づくサンプルサイズ再設定

【背景】医療機器の有効性/安全性の評価のために非ランダム化比較試験を実施し、傾向スコア法に基づいて交絡調整を行うことがしばしばある。サンプルサイズの計算は、傾向スコア法を考慮して行うことが推奨されるものの、傾向スコアの分布やモーメントに関する事前の情報や仮定が必要である。

【目的】IPTW (Inverse Probability of Treatment Weighting) 推定量に基づき、中間解析時にアウトカムの情報を利用することなくサンプルサイズを再設定、任意のサンプルサイズに対する検出力を計算する方法を検討する。

【方法】Design effects を利用した IPTW 推定量に基づくサンプルサイズの計算が、中間解析時にアウトカムの情報を利用することなく行えることを確認した。また、任意のサンプルサイズに対する IPTW 推定量の検出力の計算について、ブートストラップ法を用いて中間解析時に得られたデータの不確実性を評価する方法を提案した。前向き非ランダム化比較試験において、中間解析時に IPTW 推定量を考慮したサンプルサイズの再設定法や検出力の計算法の性能をシミュレーション実験で評価した。

【結果】シミュレーション結果より、提案した再設定法では α エラーを名目水準に保ちつつ、事前に定めた検出力を達成した。対して、一般の RCT で用いられる IPTW 推定量を考慮しないサンプルサイズの計算法の下では、検出力が名目水準に達しなかった。任意のサンプルサイズに対する IPTW 推定量の検出力の計算は、ブートストラップ法により得られるヒストグラムを確認することで中間解析データの不確実性を評価できた。

【結論】前向き非ランダム化比較試験で IPTW 推定量を用いて交絡調整を行う場合、中間解析時に IPTW 推定量を考慮したサンプルサイズの再設定、検出力の計算を行うことは有用である。

【主要文献】

1. Yue LQ. Statistical and regulatory issues with the application of propensity score analysis to nonrandomized medical device clinical studies. *J Biopharm Stat.* 2007;17(1):1–13.
2. Shook-Sa BE, Hudgens MG. Power and sample size for observational studies of point exposure effects. *Biometrics.* 2022;78(1):388–398.