

2024/11/20 (水)

東京大学大学院 公共健康医学専攻 1年 上田温大

第II相試験終了時点での医薬品開発成功確率を算出する 定量的ベイズアプローチの紹介

医薬品開発には巨額の費用が必要である。2009年から2018年の間に米国食品医薬品局 (FDA) によって承認された355の新薬や生物学的製剤のうちデータが入手可能であった63の治療薬の研究開発費用の推計を行った研究では、上市に必要な研究開発費用の中央値は約11.4億ドルに上ると推計された。

巨額の開発費用が必要となる1つの要因として、創薬の成功確率が低いことが挙げられる。臨床研究に焦点を絞ったとき、第I相試験から段階的に臨床試験を経て承認に至る確率は全体で約13.8%、オンコロジーを除外したとしても約20.9%であるとも言われている。臨床試験の各フェーズの中でも第III相試験へのGo/No Go判断は、特に大規模な投資を必要とすることから開発を行う製薬企業にとっては極めて重要である。

本抄読会では、1つ以上の第IIb相試験から得られた内部臨床試験データと業界全体の成功確率データを利用することを基盤としつつ、必要に応じて専門家の意見や外部データを組み込むことで、第IIb相試験終了時点での臨床試験の成功確率を予測する定量的ベイズアプローチを提案した文献を紹介する。

参考文献

1. Wouters OJ, McKee M, Luyten J. Estimated Research and Development Investment Needed to Bring a New Medicine to Market, 2009-2018. JAMA. 2020 Mar 3;323(9):844-53.
2. Wong CH, Siah KW, Lo AW. Estimation of clinical trial success rates and related parameters. Biostatistics. 2019 Apr 1;20(2):273-86.
3. Hampson LV, Bornkamp B, Holzhauser B, Kahn J, Lange MR, Luo WL, et al. Improving the assessment of the probability of success in late stage drug development. Pharm Stat. 2022;21(2):439-59.