

2025/2/5 (水)

東京大学大学院 公共健康医学専攻 1年 上田温大

## 第二相試験終了時点での医薬品開発の成功確率の算出方法

医薬品開発の一連のプロセスの中でも特に第三相試験には巨額の費用が必要となる。それにもかかわらず、80%以上の検出力を持つ設計で実施された第三相試験の半分以上は失敗に終わるともいわれている。この要因として真の治療効果の不確実性を十分に考慮できていないこと挙げられ、その対処法としてこれまでに数々の文献で不確実性を確率分布で捉える試みが行われてきた。

本抄読会では、「医薬品開発の成功確率」を「臨床試験で有効性を示すことができる確率」と限定したうえで、これまでに提案された手法を概観する。加えて、傾向スコアに基づく外部データ借用による成功確率算出法を紹介し、その利点と課題を特定する。最後に、これらを踏まえた今後の展望を示す。

### 【参考文献】

1. Cetinyurek Yavuz A, Fayyad MBN, Jiang C, Brion Bouvier F, Beji C, Zebachi S, et al. On the Concepts, Methods, and Use of “Probability of Success” for Drug Development Decision-Making: A Scoping Review. Clin Pharmacol Ther [Internet]. [cited 2025 Feb 3]; Available from: <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/abs/10.1002/cpt.3571>
2. Proper JL, Bunn V, Hupf B, Lin J. Predicting Probability of Success for Phase III Trials via Propensity-Score-Based External Data Borrowing. Stat Biopharm Res. 2024 Jul 2;16(3):348–60.