

第二相試験終了時点での医薬品開発の成功確率の算出

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、前回抄読会時に扱った外部データ借用による成功確率の算出を行った文献を再度使用し、文献内のシミュレーションを実際に手元で動かした結果を共有する。最後に、課題研究に向けた今後の展望を示す。

【主要文献】

1. 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.
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.