

製造販売後調査 (PMS) と RCT データの統合的活用：
相対所信比による定量的評価

製薬企業は、ランダム化比較試験 (Randomized Controlled Trial, RCT) に加え、製造販売後調査 (Post Marketing Surveillance, PMS) やデータベース研究といったリアルワールドデータ (Real World Data, RWD) など、多様なデータソースを保有する。しかし、これらのデータは組織内で独立して扱われることが多く、横断的な統合・比較を通じた包括的なエビデンス創出は十分とは言えない。特に、医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律 (薬機法) 及び GPSP (Good Post-marketing Study Practice) 省令の下で、厳格な規制に基づき実施される本邦の PMS は、治験では捉えきれなかった実臨床における貴重なエビデンスを提供するものの、再審査申請時の評価では治験データとの点推定値の比較に留まることが多い。

本抄読会では、まず文献 1 を紹介し、観察研究データと RCT データを効果的に活用・統合するための広範な方法論的アプローチを概観する。その上で、多くは単群観察研究として実施される本邦の PMS が直面する、承認時までの情報と市販後の単群データを統計的に意義のある形で接続し評価するという課題に焦点を当てる。この問題に対する有望な解決策の一つとして、文献 2 で提案されている「相対所信比 (Relative Belief Ratio)」に基づく新たな定量的評価法を紹介し、その理論と応用可能性について議論する。本発表が、製薬企業におけるデータサイエンスの推進と、より科学的根拠に基づいた医薬品評価の一助となることを目指す。

参考文献

1. Dahabreh IJ, Matthews A, Steingrimsson JA, Scharfstein DO, Stuart EA. Using Trial and Observational Data to Assess Effectiveness: Trial Emulation, Transportability, Benchmarking, and Joint Analysis. *Epidemiol Rev.* 2024 Dec 16;46(1):1-16. doi: 10.1093/epirev/mxac011. PMID: 36752592.
2. 丸谷 あおい, 眞下 奈々, 高木 佑実, 大森 崇, 医薬品リスク管理計画書で同定されたリスク確認のための使用成績調査データを用いた相対所信比に基づく定量的評価法, 計量生物学, 2025, 46 巻, 1 号, p. 51-60, 公開日 2025/05/15, Online ISSN 2185-6494, Print ISSN 0918-4430, <https://doi.org/10.5691/jjb.46.51>, https://www.jstage.jst.go.jp/article/jjb/46/1/46_51/article-char/ja
3. Evans M. Measuring statistical evidence using relative belief. *Comput Struct Biotechnol J.* 2016 Jan 7;14:91-6. doi: 10.1016/j.csbj.2015.12.001. PMID: 26925207; PMCID: PMC4726790.