

Minimal Important Change を用いた 患者報告アウトカムのレスポンドー解析が有する問題点

患者中心の医療（patient-centered medicine）や患者中心の医薬品開発（patient-focused drug development）の気運が高まっている。そのような中、医療者などの他者が介在せずに患者から直接得られる患者報告アウトカム（patient-reported outcome）の重要性は増す一方である。患者報告アウトカムは、すでに多くの臨床試験で評価項目に設定され、統計解析が行われている。

近年の臨床試験でよく行われる患者報告アウトカムの統計解析に、レスポンドー解析がある。レスポンドー解析では、minimal important change（MIC）と呼ばれる意味のある最小の変化（改善や悪化）が認められた患者をレスポンドーと定義し、レスポンドー割合を群間で比較する。意味のある最小の変化までの時間を解析する場合もある。

レスポンドー解析は近年頻用されているが、結局のところ連続アウトカムを二値化した統計解析である。周知のとおり、連続アウトカムの二値化は古くから戒めの対象になっている。それにもかかわらず、MIC を用いたレスポンドー解析は、「解釈の容易さ」の名のもとに広い支持を得ている、というのが発表者の印象である。

本発表では、患者報告アウトカムのレスポンドー解析に潜む問題点を、患者報告アウトカム特有の事情と絡めて指摘する。さらに、これらの問題点の一部を解決するためのアイデアをいくつか示す。

参考文献

Terwee CB, Peipert JD, Chapman R, et al. Minimal important change (MIC): a conceptual clarification and systematic review of MIC estimates of PROMIS measures. Qual Life Res. 2021;30:2729–2754.

Devji T, Carrasco-Labra A, Qasim A, et al. Evaluating the credibility of anchor based estimates of minimal important differences for patient reported outcomes: instrument development and reliability study. BMJ. 2020;369:m1714.

Wang Y, Devji T, Carrasco-Labra A, et al. A step-by-step approach for selecting an optimal minimal important difference. BMJ. 2023;381:e073822.

Senn S. Disappointing dichotomies. Pharm Stat. 2003;2: 239–240.

Food and Drug Administration. Patient-focused drug development: incorporating clinical outcome assessments into endpoints for regulatory decision-making. Guidance for industry, Food and Drug Administration staff, and other stakeholders (draft guidance). 2023.