

DOORアプローチと時間情報を取り入れた拡張法 DOOR-RMST

多くの臨床試験では有効性と有害性が別々に評価され、患者にとっての総合的な価値を十分に捉えきれない。例えば「入院日数」は短い方が良いと解釈されやすいが、早期回復と死亡という全く異なる結末を混在させる可能性がある。こうした限界から、近年はベネフィットとリスクを統合的に評価する枠組みが注目されており、規制当局も患者経験や嗜好データの活用を推奨している。

この動向を背景に、患者レベルでのペア比較による手法が提案されてきた。代表例として、Buyseの一般化ペア比較、PocockのWin Ratio、EvansのDOORが挙げられる。DOORは複数アウトカムを臨床的望ましさに基づき序列化し、治療効果を総合的に評価するものである。ただし従来のDOORは時間的要素を扱わないため、Shu (2025)は階層を多状態過程とみなし、各到達時刻からRMSTを用いて「より長く良い状態にいたか」を比較するDOOR-RMSTを提案している。

本抄読会では、DOORとその拡張であるDOOR-RMSTの考え方を整理し、今後の研究の方向性を示す。

参考文献

- [1] Scott R. Evans, Daniel Rubin, Dean Follmann, Gene Pennello, W. Charles Huskins, John H. Powers, David Schoenfeld, Christy Chuang-Stein, Sara E. Cosgrove, Vance G. Fowler Jr, Ebbing Lautenbach, and Henry F. Chambers. Desirability of outcome ranking (door) and response adjusted for duration of antibiotic risk (radar). *Clinical Infectious Diseases*, 61(5):800–806, 2015.
- [2] Buyse M. Generalized pairwise comparisons of prioritized outcomes... *Stat Med*. 2010;29(30):3245-3257.
- [3] Pocock SJ, et al. The win ratio: a new approach to the analysis of composite endpoints... *Eur Heart J*. 2012;33(2):176-182.
- [4] Shiyu Shu, Guoqing Diao, Toshimitsu Hamasaki, and Scott Evans. Desirability of outcome ranking (door) analysis for multivariate survival outcomes with application to actt-1 trial. *arXiv preprint arXiv:2505.11496*, 2025.