



# 大阪医学統計学セミナー 第20回

Osaka Biostatistics Seminar

CLOSED

6月19日 (水)  
18:00~20:00

## Small Clinical Trialsにおいて 有効な新規臨床試験デザインの提案

講演者: 三宅 顕光 (大阪大学医学部附属病院未来医療開発部)

概要:

希少疾患、小児疾患領域では、対象患者が少ない、あるいは、倫理的問題により、十分な被験者の組み入れが困難な状況が多いものの、臨床試験の目的に直結する仮説に対する回答を与える、いわゆるSmall Clinical Trials(SCTs)の問題がある。

一般的な医薬品開発における検証的試験では、通常、ランダム化並行群間比較試験により、対照群と比較して試験治療の薬効評価が行われるが、SCTsでは実施可能性から対照群が設定されない場合がほとんどである。多くのSCTsは試験治療群単群の非盲検試験で、有効性は事前に設定された閾値を上回るか否かで評価されているが、閾値の設定根拠(外部データの利用、臨床的知見や患者背景の違いなど)の妥当性やバイアスの問題など、ランダム化比較試験よりも検討すべき点が多く、薬効評価が難しくなることも多い。

本研究では、実施可能性の側面から試験治療単群での臨床試験しか実施できないような場合に、従来の単群閾値設定試験デザインを少し改良することで従来の閾値を上回ることでの薬効評価に加えて、有効性に関する付加的な情報を与えることが可能な新たな臨床試験デザインを提案し、シミュレーションにより提案法の性能に関する検討を行う。



場所：  
医学系研究科基礎研究棟L階  
医学統計学研究室

お問い合わせ：大阪大学大学院医学系研究科 医学統計学講座  
E-Mail : [office@biostat.med.osaka-u.ac.jp](mailto:office@biostat.med.osaka-u.ac.jp) TEL : 06-6879-3301