

審査の結果の要旨

上村 鋼平

本研究は群間差に関する事前情報を考慮に入れたベイズ流被験者数再設定方法を提案し、シミュレーション研究によりその性能評価、及び **Adaptive Sample Size Design** に特化した新しい評価系の提案を行ったものであり、下記の結果を得ている。

1. 提案したベイズ流被験者数再設定方法は、既存の被験者数再設定方法及び群逐次デザインと比較し、検出力及び期待被験者数がいずれも真の群間差に基づく理想の被験者数再設定デザインに最も近く、検証的臨床試験における被験者数設定の不確実性へ対処可能な方法として、より優れた適応的性能を有することが示された。
2. 群逐次デザイン及び被験者数再設定という **Adaptive Sample Size Design** に特化した評価系を新たに提案したことにより、不足検出力と過剰被験者数が試験効用に与えるトレード・オフ及び試験デザインの性能のばらつきを考慮した評価が可能になった。これによって、提案するベイズ流被験者数再設定方法が、中間データの不確実性に対する頑健性を持つことが確認された。

以上、本論文は、中間データが真であると仮定したもとの必要被験者数を推定する既存の各手法に対し、中間データのもつ不確実性に着目し試験開始前に得られる事前情報をベイズ流に利用するという新しいアイデアに基づく被験者数再設定方法を提案し、**Adaptive Sample Size Design** としてより優れた性能を持つことを示した。本研究は、近年その実際の応用に期待が高まりつつある被験者数再設定という新しい臨床試験デザイン分野に対し、より性能の良い新しいデザインを提供でき、また実際に **Adaptive Sample Size Design** を計画する際に有用なデザイン性能指標も提供できたことから、新薬の臨床開発成功確率の向上を目指す上で重要な貢献をなすと考えられ、学位の授与に値するものと考えられる。