

厚生労働科学研究補助金（地域医療基盤開発推進研究事業）

分担研究報告書

有効性と安全性を維持した在宅呼吸管理の対面診療間隔決定と機器使用
のアドヒランスの向上を目指した遠隔モニタリングモデル構築を目指す検討

研究分担者 森田智視 京都大学大学院医学研究科 教授

研究要旨

臨床研究における臨床統計解析の果たす役割について検討した。特に最終検証
ステージであるランダム化第Ⅲ相試験の試験デザインについて検討・評価を行っ
た。

A. 研究目的

新規医療技術開発のための第Ⅲ相試験
で用いられている試験デザインおよ
びデータ解析方法について最近の動向
もあわせて検討する。

非劣性を検証するために実施される。開
発の最終段階にあるため慎重な実施が
求められる。最近では、個別化医療に目
指した治療開発のため、バイオマーカー
情報を考慮した臨床試験が盛んに行わ
れている。第Ⅱ相で複数の治療群を標準
治療と比較することで“ベスト”のもの
を選択し、そのまま第Ⅲ相に移行して標
準治療群との 2 群比較を実施していく
シームレス（seamless）第Ⅱ／Ⅲ試験デ
ザインが開発され、実際の臨床試験に適
用され始めている。

B. 研究方法

第Ⅲ相試験で用いられる試験デザイ
ンに関する公表論文をレビューし、有用
だと思われるデザインについてまとめ
る。

C. 研究結果

臨床試験は大きく第Ⅰ相～第Ⅲ相の
三つの相に分けて段階的に実施される。
第Ⅱ相試験では新規医療技術の効果を
評価し、その最大化のため対象集団を検
討することも重要な目的である。第Ⅲ相
試験は、新規医療技術の優越性あるいは

D. 考察

第Ⅱ相試験と第Ⅲ相試験は連続的に
実施されるため、第Ⅱ相試験において得
られた結果の解釈はそのまま第Ⅲ相試
験デザインに影響を与える。そのため、
第Ⅱ相試験の成否が当該新規医療技術

開発の成功・非成功につながると考えるべきであろう。

E. 結論

効率的に臨床開発を推進できる第Ⅱ相試験デザインの検討は重要である。第Ⅱ相試験では新規医療技術を効果的に推進できるデザイン検討が重要であり、第Ⅲ相試験では薬剤効果の検証を確実に実施できると同時に効率性も達成できるデザイン採用を検討すべきであろう。

F. 健康危険情報

なし

G. 研究発表

1. 論文発表

1) 特筆すべきものなし

2. 学会発表

1) 特筆すべきものなし

H. 知的財産権の出願・登録状況

なし