

# DIA

## 第13回DIA 医薬品・医療機器開発の すべてのフェーズに必要な生物統計ワークショップ

2024年9月8日(日) 13:00-17:30 基礎コース  
2024年9月9日(月)~10日(火)  
会場開催 | 会場:日本橋ライフサイエンスハブ



「統計は難しくして私には無理!」、「統計家が言ってることはよくわからん」、「統計家はプロトコールの例数設計と解析計画を書いてくれて助かっております」、「p値<0.05じゃん!この結果は信じられるな!」、「統計はごちゃごちゃしたデータからメッセージを捻り出してくれる魔術みたい」、「難しいことは統計家に任すから、このデータで何が言えそうかサクッと教えて!」…これらのどれか一つでも思ったことのあるあなた!思ってるあなた!このワークショップは、あなたのためのワークショップです。2, 3日だけ、統計に漬かってみませんか? 2, 3日で統計家にはなれなくても、今までの業務の中で「霧が立ち込めた部分」に向き合ってみることで、今までとは違った視界が開けるかもしれません。

2019年に承認されたICH E9(R1)では、臨床試験の計画、デザイン、実施、解析及び解釈をよりよいものとするを目的として、臨床的疑問を反映する治療効果の詳細な説明であるestimand(エスティマンド)が明示されました。このICHによるE9ガイドラインの補遺「臨床試験におけるestimandと感度分析」が、今年6月に邦訳が正式に通知されました。今後、実施計画書を作成する際に、試験や研究の対象となる患者集団の定義(組み入れ基準、症例定義など)、介入方法の定義、中間事象の取り扱い方、評価方法の定義など、実施計画書にエスティマンドを取り入れるために統計家と相談する機会は増えるものと思います。日本語版が出てからとしては、おそらくこのDIAのワークショップが初めてのICH E9(R1)関連のトピックを取り扱うものであり、estimandをしっかりと盛り込んだ内容となっています。

試験計画時以外でも、開発早期に次の段階に投資できるかの企業内の意思決定、アカデミアが創出した医薬品や医療機器の導出先候補となる企業への売り込み(当該企業のお買い上げの意思決定)などの場面でメッセージをまとめる際にも、統計は関わってきます。製造販売承認の申請や審査、適正使用につながるための研究(安全性監視を含む)という段になれば、何が検証されていて、何がどのくらい不確実なのか、更には、得られているデータや情報から一般の患者集団に何が外挿できそうかという難しい評価が必要で、ここでも統計や疫学が科学的な思考の土台になっています。

一方、医療に従事する方々は、添付文書、広告資料、インタビューフォーム、論文などの形で、これらの情報に接することになります。その製品がどのような患者に使用できるか、使用できないか、使用した際にどのような留意が必要かを知るためです。情報をきちんと理解するためには統計的なセンスがある程度必要です。しかし、すべての医療従事者の方々にに対して情報リテラシーを前提にすることはできないので、情報を提供する側には、もう一段のわかりやすい説明をする配慮が求められます。ここにも統計的なセンスが利いてきます。

本ワークショップは、産官学の第一線で活躍されている統計家たちの支援の下、臨床試験・臨床研究に関わる「生物統計を専門としない方」を対象に、統計的コンセプトをご理解頂くためのコンテンツを12回にわたりお届けしてきました。今回は、これまで参加された皆様からのフィードバックを踏まえて対象を広げ、アカデミアで医薬品・医療機器の創出~開発(あるいは企業への導出)に関わる方々、市販後の育薬(安全性監視を含む)に関わる方々、これらを支援する組織や企業の方々にも有益なワークショップにしよう準備を進めています。

1日目は、ちょっと自信のない方向けに、統計学の基礎的内容を説明する基礎コースを開催いたします。ここでは「最新版医薬統計ポケット資料集 第4部:初学者のための医薬統計講座」で示されている内容に沿って基礎知識を丁寧に説明いたします。このポケット資料集は電子版を教材として参加者全員に配布し、2-3日目でも取り上げる予定です。

2日目は、本ワークショップの目的や骨格を理解するための講演(「エビデンス構築と統計が貢献できること」)を皮切りに、医薬品評価での基本的な統計の原理、試験デザインやEstimand、検定などの多岐にわたる解説し、モンテカルロシミュレーションで検定結果の意味を体感していただきます。

3日目は、PMDAの立場から医薬品の承認審査の際に考慮される臨床試験のデザインと結果の考察について解説します。また、グループワークでは、本ワークショップの内容を踏まえた具体的な事例を紹介し、その事例に沿った試験の計画や結果の解釈に関する課題を数名のグループで議論していただきます。各グループには講師陣の1人がファシリテーターとして、皆様の議論をサポートいたします。講師陣のアドバイスを受けながら、グループ内でいろいろと意見交換することで、本ワークショップの内容をより深く理解することができますので、参加された皆様が、臨床試験の計画を立案し、論文等で公表されている臨床試験データを解釈する際に変え役立つ内容となっています。

今年も昨年に引き続き会場開催を予定しており、2日目の講義後は情報交換会も行います。生物統計の知識は必要だけれども、なかなか学ぶ機会がない、独学だけではどうにも理解が進まない方は、ぜひご参加ください。

講師陣を質問攻めにしていたいただけだと本望です。なお、本ワークショップは日本語のみで行います。

### プログラム委員長

- 東京大学
- 大庭 幸治

### プログラム副委員長

- 第一三共株式会社
- 大和田 章一

### プログラム委員

- ファイザーR&D合同会社
- 荒川 明雄
- 小野薬品工業株式会社
- 富金原 悟
- 北海道大学病院
- 伊藤 陽一
- 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
- 加藤 凌輔
- 第一三共株式会社
- 菊森 久仁佳
- ファイザーR&D合同会社
- 小宮山 靖
- 第一三共株式会社
- 小山 暢之
- シミック株式会社
- 宮里 盛幸
- 順天堂大学
- 坂巻 顕太郎
- 興和株式会社
- 菅波 秀規
- 東京大学
- 上村 鋼平
- ファイザーR&D合同会社
- 吉山 保

### DIA Operation Team

- 中外製薬株式会社
- 皆川 祥子
- 独立行政法人 医薬品医療機器総合機構
- 杉崎 俊文

### 一般社団法人ディー・アイ・エー・ジャパン

- 中森 省吾

DIA volunteers, members, and staff provide a comprehensive catalogue of conferences, workshops, training courses, scientific publications, and educational materials, throughout the year, all around the world.

DIAglobal.org



Nihonbashi Life Science Building 6F,  
2-3-11 Nihonbashihoncho, Chuo-ku Tokyo  
103-0023 Japan  
Tel +81.3.6214.0574 Japan@DIAglobal.org

The Drug Information Association, Inc.

DIA Global Center: Washington, DC, USA | Basel, Switzerland | Beijing, China Horsham, PA, USA | Mumbai, India | Tokyo, Japan

## 2日目：9月9日(月) / 3日目：9月10日(火)

15:15-16:30

### モンテカルロシミュレーションの概念と例数設計を体感する

講師： シミック株式会社 宮里 盛幸

近年、いろいろな場面で「シミュレーション」という言葉を聞きます、近年は新型コロナウイルス関連でも飛沫や感染状況について良く聞くことがあったのではないのでしょうか。臨床試験の計画も複雑な試験デザインが多くなってきたこともあり、その臨床試験で推定したいことについて様々な想定の下で確率論と統計モデルに基づくシミュレーションを行い、一定の不確実性を考慮した結果の挙動や算出された成功確率に基づいたリスク評価を行うことが有用です。被験者数設定の検討はその活用例の一つです。本セッションでは、モンテカルロシミュレーションを概念的に体感して頂き、関連して被験者数設定での実際を少しご紹介します。

16:30-17:00

### 2日目のQ&A、3日目・グループワークのイントロダクションと自己紹介

ご質問への回答例の紹介、また、3日目に行うグループワークのイントロダクション説明と、各グループのメンバー間での自己紹介、ご挨拶の時間を設けます。

17:00-

### 情報交換会

## 3日目：9月10日(火)

9:30-11:00

### 臨床試験における検定の多重性

講師： 順天堂大学

坂巻 顕太郎

いくつかの試験結果から「都合のよい」結果を恣意的に選択することは、誤った情報に基づいて開発を進めたり、宣伝したりする可能性を高めます。これは多重性に起因する問題です。医薬品の承認申請において、検証試験で生じる多重性は調整が必須と考えられています。また、企業が広告資材に試験結果を提示する際にも、多重性に対する理解が必要になってきています。本講義では、サブグループ解析や複数の評価項目の解析などの多重性が生じる状況や多重性の問題を説明し、第1種の過誤確率と検出力への影響を説明します。また、検定の多重性への対処方法として、古典的な方法からゲートキーピング法までを概説します。

ブレイク

11:10-12:25

### 臨床試験のデザインと結果の考察 - 医薬品の審査・相談業務の経験から -

講師： 独立行政法人医薬品医療機器総合機構 加藤 凌輔

本セッションでは、医薬品開発において統計学の考え方が実際にどのように活かされているのかについて、規制当局の観点から、審査の実例を用いて紹介し、Estimandや医薬品開発の最近の話題について触れる予定です。今後のよりよい開発計画の立案に向けて、生物統計以外のご専門の皆様と生物統計担当者との間の相互理解を促すことを目的としています。

ランチブレイク

13:30-17:10 (途中、ブレイクあり)

### グループワーク

講師： 第一三共株式会社

大和田 章一

第一三共株式会社

菊森 久仁佳

興和株式会社

菅波 秀規

ファイザーR&D合同会社

荒川 明雄

ファイザーR&D合同会社

吉山 保

審査報告書で公表されている臨床試験を事例とし、試験デザインを立案する際のEstimand(特に中間事象の取り扱い)及び、設定したEstimandに対する解析方法を議論いただきます。与えられた課題に対して、小人数のグループで議論いただくことで、Estimandや解析方法に関するより実践的な知識と考え方を身に着けることができると思います。なお、各グループにはワークショップの講師、およびプログラム委員メンバーがファシリテータとして参加し、適宜サポートしながら円滑な議論を促します。

17:10-17:30

### Q&Aと総括

講師： 小野薬品工業株式会社

富金原 悟

興和株式会社

菅波 秀規

ワークショップ終了

1日目：9月8日(日) 13:00-17:30 基礎コース / 2日目：9月9日(月)

## 1日目：9月8日(日) 基礎コース

13:00-17:00 (途中、2回ブレイクあり)

### 生物統計学の基本を見直そう：ワークショップ前の基礎コース

講師： 東京大学 大庭 幸治

- ・ 記述統計：データの把握
- ・ バイアスとバラツキ
- ・ 推測統計：点推定と区間推定
- ・ 仮説検定を用いた判断
- ・ 例数設計の概念
- ・ 2日目以降に向けたその他の話題

臨床試験では研究計画から結果の解釈、説明に至るまで統計学を避けて通ることはできません。一方で、統計学を学びたい、学んでもすぐに忘れてしまうといったお話をよく耳にします。このような方々のために、初学者のための生物統計講座として、1日目に臨床試験で必要となる統計学の基礎を復習できる基礎コースを設けました。2日目以降、様々な応用事例が出てきます。そこで用いられる統計手法や統計的な考え方の予習となる内容ですので、この基礎コースでしっかりとおさらいしてください。講演は、2023年版医薬統計ポケット資料集「第4部：初学者のための医薬統計講座」をもとに行います。1週間前からスライドを確認できますので、予習も可能です。当日の講演で内容の詳細について解説し、質問にも丁寧に回答します。統計の基礎を学びたい方、2日目以降の理解を深めたい方は3日間通しでの受講をお勧めいたします。

17:00-17:30

### Q&A と総括

## 2日目：9月9日(月)

9:30-9:45 開会の挨拶と趣旨説明

9:45-11:00

### まずは俯瞰して眺めてみましょう！

講師： ファイザーR&D合同会社 小宮山 靖

医薬品開発は有効性や安全性を見極め、エビデンスを高めるための学習過程であり、さまざまな場面で統計的なセンスや、統計手法が必要になります。この学習過程は探索的な側面が大半を占め、主要評価項目(多くの場合は有効性)については厳格な検証が行われます。統計には仮説検定、推定、モデリングなどあらゆる場面で基礎となる考え方・手法もあれば、特に検証において重要性が増すEstimand、例数設計、事前規定、多重性問題への対処などの考え方の考え方・手法があります。本コースの導入として、本コース全体の見通しが良くなるように、これら全体をまずは俯瞰して眺めてみましょう。

ブレイク

11:10-15:05 (ランチブレイク-12:30-13:30)

### 臨床試験で押さえておくべき統計手法と試験デザインのポイント

講師： 東京大学 上村 鋼平  
北海道大学病院 伊藤 陽一

- ・ 試験のタイプ(優越性試験、非劣性試験)
- ・ 点推定と区間推定
- ・ 仮説検定と症例数設計・P値・検定の過誤・多重性
- ・ 臨床試験におけるバイアス
- ・ バイアスを取り除くための工夫(ランダム化の手法と盲検化)
- ・ 背景因子が偶然偏った場合の調整解析
- ・ 解析の事前規定と盲検下レビュー
- ・ 試験対象集団
- ・ Estimand

本セッションでは、臨床試験の計画や実施に関わる方であれば、必ず知っておくべき常識的な試験デザインの知識や典型的に用いられる統計手法のポイントを広範囲にわかりやすく解説します。具体的には、治験治療群と対照群の比較可能性を保証するためのランダム化の手法と臨床試験の実施にかかわるバイアスを防ぐための盲検化、背景因子が偶然偏った場合の調整解析、統計解析に関連する解析の事前規定と盲検下レビュー、解析対象集団、Estimandといった内容です。実際に臨床試験を計画するにはさまざまな議論が行われますが、これらの基本的な事項を適切に理解しておくことは、担当者間のコミュニケーションを円滑にするだけでなく、実際の業務の中で発生し得るイレギュラーな議論や問題事例へ対処する際にも役立ちます。また、Estimandについては、本セッションにおいて基本的な概念を説明し、ワークショップで学ぶ応用事例を含めた内容により、さらに理解を深めていただけるものと思います。

ブレイク

# 会議参加申込書

一般社団法人ディー・アイ・エー・ジャパン Mail Address: [Japan@diaglobal.org](mailto:Japan@diaglobal.org)

〒103-0023 東京都中央区日本橋本町2-3-11  
日本橋ライフサイエンスビルディング6F Tel: 03-6214-0574

## 第13回DIA 医薬品・医療機器開発のすべてのフェーズに必要な生物統計ワークショップ [カンファレンスID #24308]

2024年9月8日-10日 ※会場開催 | 会場: 日本橋ライフサイエンスハブ

### ◆ 参加申込方法

DIAウェブサイト ([www.DIAglobal.org](http://www.DIAglobal.org)) よりお申し込みいただくか、この申込書に必要事項をご記入の上、メール添付 ([Japan@DIAglobal.org](mailto:Japan@DIAglobal.org)) にてお申し込みください。受理後、10営業日以内にEメールにて申込受領書を送付いたします。

### ◆ 参加費用 (該当する口にチェックしてください)

会員資格が失効している方および非会員の方は、会員登録(更新)することにより、会員価格にてご参加いただけます。会員資格はお支払いいただいてから翌年同月末まで1年間有効です。DIA各種機関紙の入手、DIAウェブサイトの会員専用ページへのアクセス等、種々の特典も得られます。不明な点がございましたら、ディー・アイ・エー・ジャパンまでお問い合わせください。

①年会費 現在会員でない方で、会員登録をされる場合は希望する年会費の欄に印を入れてください。

\*参加費の早期割引価格は現会員の方または会員登録と同時に申し込みされる方のみに適用されます。会員資格が失効している方および非会員の方は、この機会に是非ご登録ください。

Membership (有効期間:1年間)	<input type="checkbox"/>	¥ 29,150 (税込)
2-Year Membership (有効期間:2年間/10%割引)	<input type="checkbox"/>	¥ 52,470 (税込)
Academia Membership ** (対象:大学関係・医療従事者、有効期間:1年間)	<input type="checkbox"/>	¥ 21,450 (税込)
Academia 2-Year Membership ** (対象:大学関係・医療従事者、有効期間:2年間/10%割引)	<input type="checkbox"/>	¥ 38,610 (税込)

②参加費 所属カテゴリと会員資格の有無により異なりますので、該当欄に印を入れてください。

		3日間のご参加		*1日目のみ		*2日目&3日目のみ	
会員	一般	早期割引*:2024年8月16日までのお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 81,730 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 18,150 (税込)	
		2024年8月17日以降のお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 88,770 (税込)		<input type="checkbox"/>	¥ 76,450 (税込)
	政府関係/非営利団体 大学関係/医療従事者	早期割引*:2024年8月16日までのお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 31,900 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 10,890 (税込)	
		2024年8月17日以降のお申込み	<input type="checkbox"/>	¥ 35,200 (税込)		<input type="checkbox"/>	¥ 29,370 (税込)
非会員	一般	<input type="checkbox"/>	¥ 109,450 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 28,600 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 97,020 (税込)
	政府関係/非営利団体	<input type="checkbox"/>	¥ 55,880 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 21,120 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 49,940 (税込)
	大学関係/医療従事者	<input type="checkbox"/>	¥ 49,390 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 17,930 (税込)	<input type="checkbox"/>	¥ 43,450 (税込)

\*1日目のみ、2日目&3日目のみのお申し込みは、メールのみで承ります。本申込書を[Japan@diaglobal.org](mailto:Japan@diaglobal.org)宛て、添付にてお送りください。

③合計金額 (①+②):

合計  円 \*最終確定金額は DIA Japan からお送りする受領書メールにてご確認ください。

### ◆ お支払方法

ご希望の支払方法にチェックを入れてください。

[支払方法] 銀行振込 請求書を送付しますので、その案内に従って振り込み手続きを行ってください。

クレジットカード 使用可能クレジットカード(どちらか1つにチェック) VISA MasterCard

カード有効期限(mm/yy)

カード番号

カード名義人

ご署名

ご入金の際は、ご依頼人の欄に必ず参加者名もしくは請求書番号を記載してください。同一会社で複数名の参加費を同時に振り込まれる場合は、書面にて参加者名と振込日をディー・アイ・エー・ジャパンまでお知らせください。振込に関する手数料は、振込人負担をお願いいたします。

### アルファベット(英語)でご記入ください

Last Name (姓)  Dr.  Mr.  Ms. First name (名) Company

Job Title Department

Address City State Zip/Postal Country

email (必須) Phone Number (必須) Fax Number

職種 (必須/該当するものを全てご選択ください) 医薬品開発に関する経験年数 (必須)

プランニング CRA CRC DM 薬事 PM MW 統計 その他 ( ) 5年未満 5~10年 10年以上

プロトコル作成経験 (必須)

あり なし

\*参加のキャンセルは、お申し込み受理後、2024年8月13日までは手数料として一般会員・非会員とも20,000円、政府/大学関係者/非営利団体/医療従事者については会員・非会員とも10,000円を申し受けます。それ以降のキャンセルについては参加費全額を申し受けますのでご注意ください。同一会社からの参加変更は可能ですが、その際はお早めにディー・アイ・エー・ジャパンまでお知らせください。(会員資格の譲渡はできませんので、非会員としての参加費を申し受ける場合があります。) 参加をキャンセルされる際には、必ず書面にてディー・アイ・エー・ジャパンまでご連絡願います。

\*DIA主催の会議には、必ず登録者ご本人にご参加いただくよう、お願いしております。

\*本会議では、DIAの宣伝活動に使用する目的で、開催期間中に参加者を含むPC画面の映像・写真を撮影することがあります。本会議の参加者は、DIAが記録した映像・写真等について、DIAの宣伝資料、出版物及びインターネット等への掲載その他一切の利用に係る権利(肖像権、パブリシティ権等を含みます)はDIAに帰属することを認め、DIAが無償で任意に利用できることを許諾するものとします。

【DIAが取り扱う個人情報について】 お申し込みいただいた個人情報はDIAからの会議案内送付等の目的に使用させていただきます。また本コースでは、ご参加いただく皆様の会社名または組織名とご氏名を記載したリストを参加者・講師・関係者(プログラム委員)に限り配布いたします。本申込書の提出をもって以上の個人情報のお取扱いにご同意いただいたものと解釈いたしますが、ご同意いただけない場合はDIA Japanまでご連絡ください。