

RCTにおける例数設計のためのガイダンス【第15回生物統計学】

1. ガイダンスの紹介

Cook JA, et al (2015) より例数設計に関わるガイダンスが公表されました。ランダム化比較試験 (RCT) の計画において例数設計を行う際にプライマリーエンドポイントの差 (本稿では目標差とします。) を特定しておく必要があります。本ガイダンスではその特定方法をまとめています。

2. 目標差を特定する具体的な方法

Table 1 に 7 種類のアプローチが示されていますが、Pilot study が最も現実的ではないでしょうか?食品を健康者に介入させる臨床試験 (ヒト試験) は、エビデンスが乏しいため、Pilot study の実施が重要です。ただ、Pilot study の注意点として得られた差が臨床的に意味があり、目標差となりうるかを検証することが挙げられます。また、Pilot study を実施していなくても、臨床的意味のある差が明確であり、アウトカムの分布がある程度わかれば例数設計を行うこともできるので身近な生物統計家に相談してみてください。

3. 参考文献

- Cook JA, Hislop J, Altman DG, Fayers P, Briggs AH, Ramsay CR, Norrie JD, Harvey IM, Buckley B, Fergusson D, Ford I, Vale LD; DELTA group. Specifying the target difference in the primary outcome for a randomised controlled trial: guidance for researchers. *Trials*. 2015; 16: 12. doi: 10.1186/s13063-014-0526-8.[PMID: 25928502]