

【日本製薬工業協会シンポジウム】 ランダム化比較試験における統計的効率改善のための共変量調整

■ [事前視聴動画] 用語の解説

3-1: ICH E9(R1) の estimand のフレームワークの説明 (3.2.1 節)



2026年3月16日
医薬品評価委員会 データサイエンス部会
2025年度タスクフォース3-1

○中外製薬株式会社

澤本 涼

事前視聴動画一覧と本発表の位置づけ



PR0	はじめに	関
	3章: 用語の解説	-
PR3-1	ICH E9(R1) のestimandのフレームワークの説明 (3.2.1節)	澤本
PR3-2	「Estimand: 条件付き治療効果と条件なし治療効果」と 「Estimator: adjusted estimator/unadjusted estimator」の違い (3.2.2節, 3.2.3節, 3.2.4節, 3.3.1節, 3.4節)	澤本
PR3-3	併合可能性と併合不能性 (3.7節)	山田, 平井
PR3-4	Model-assistedな手法 (3.9節)	飯田
	4章: 4.2節まで (補足説明を含むガイダンス本文の説明)	-
PR4-1	ドラフトガイダンスと最終化までの経緯 (4.1節) と I. Introduction (4.2.2節)	山田
PR4-2	II. Background (4.2.3節)	山田
PR4-3	III.A. General Considerations (4.2.4.1節)	飯田
PR4-4	III.B. Linear Models (4.2.4.2節)	宋
PR4-5	III.C. Nonlinear Models (4.2.4.3節)	平井, 山田, 大野

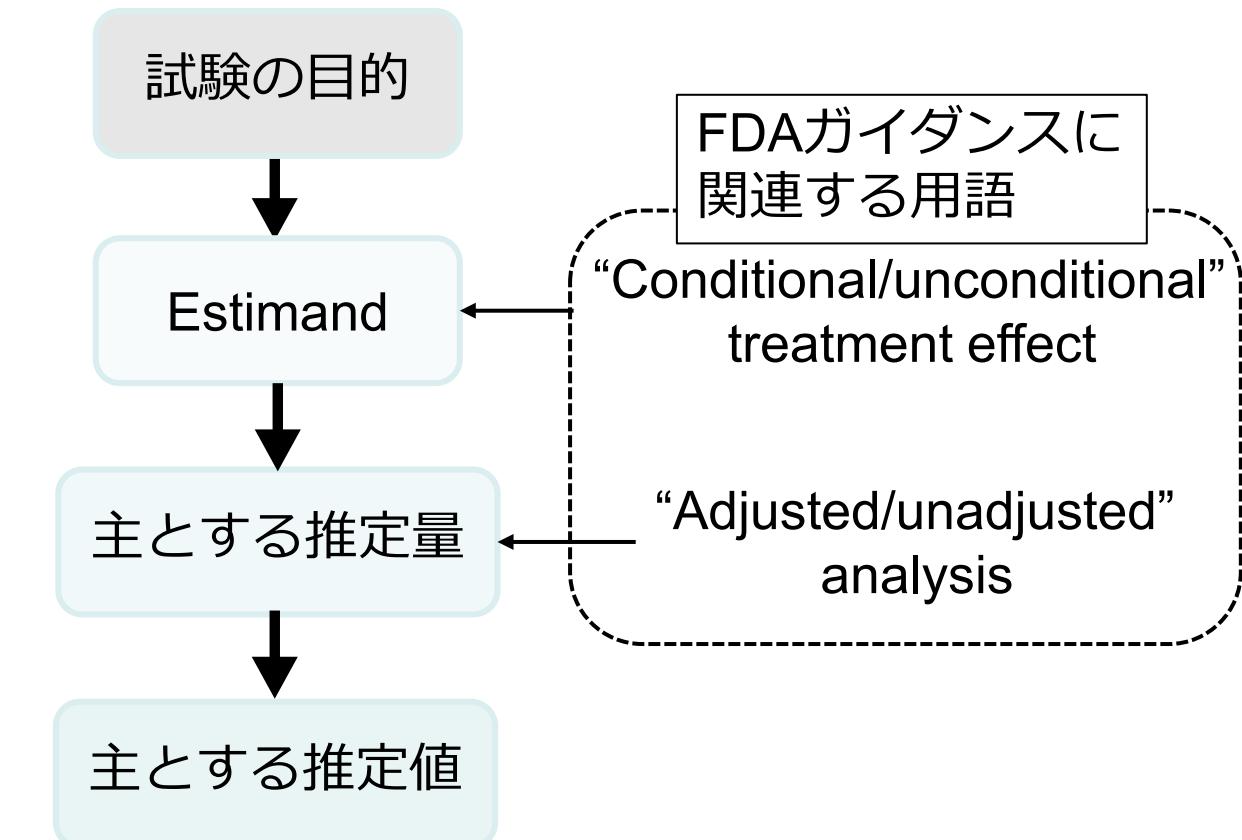
➤ ICH E9(R1) のestimandのフレームワークの説明 (3.2.1節)

➤ **Estimand :**
臨床試験の目的によって提起される
臨床的疑問を反映する治療効果の
詳細な説明

関心のある臨床的疑問に応じて何を推定すべきか
(すなわち, 「推定されるべきもの」)

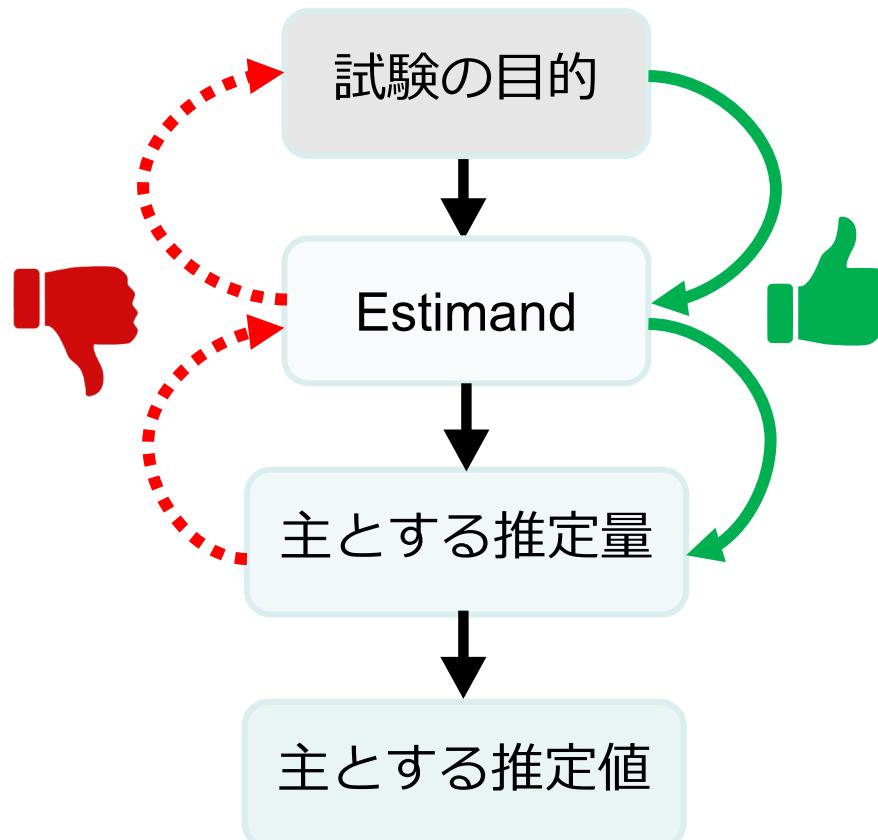
Estimandとして試験計画時に明示的に検討

推定される治療効果と試験目的の潜在的な不整合を
回避できることを期待



ICH E9(R1) 図1より一部抜粋・改変

➤ 試験計画は、順を追って進めるべきである



- 👍 試験目的の設定の上, estimandの定義, 推定方法の選択, といった順番で進められるべき
- 👎 推定方法（推定量）からestimandを遡り決定すべきではない
 - ✖ “ロジスティック回帰モデルを用いているため, 条件付き治療効果を関心のある効果 (estimand) と定義しよう”
 - ➡ 条件なし治療効果の推定に, ロジスティック回帰モデルを使用可能(C9)

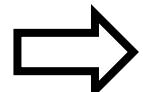
➤ **Estimandは、五つの要素によって構成され、その詳細な規定が必要**

治療	治療法、一連の介入を表す「治療計画」
対象集団	対象集団、すなわち、科学的疑問の対象となる患者
変数	評価項目（エンドポイント）
その他の中間事象	関心がある科学的疑問に際して考慮される中間事象
集団レベルでの要約	治療効果の比較の基礎となる、集団レベルでの要約

⇒共変量調整して推定される治療効果は変数の集団レベルでの要約にあたる

➤ **推定方法の選択に先立ち、estimandを特定すべき**

- 条件なし治療効果
- 条件付き治療効果



どちらが試験目的と整合しているか？

参考文献



- ICH E9(R1) 臨床試験のための統計的原則 補遺 臨床試験におけるestimandと感度分析 <https://www.pmda.go.jp/files/000269154.pdf>
- 「臨床試験のための統計的原則 補遺 臨床試験におけるestimandと感度分析」に関するトレーニングマテリアル
<https://www.pmda.go.jp/files/000245136.pdf>