

Q：症例数の算定はなぜ必要なのでしょうか？

A：必要な症例数を設定せずに、少ない症例で比較を行うと本来は差があるのに差が無いと判定する、多すぎる症例で比較を行うと患者さんと言う資源を無駄遣いすることになり、集積に掛かる時間の無駄遣いをするようになります。また、集積する症例数を決めていないと、いつ試験を終了するのかが分からなくなります。そのため仮説を検証するためには、比較するために必要な症例数を設定しなくてはなりません。

仮説(PICO)を「進行胃癌の患者さんに新治療である A 治療を行うと、標準治療である X 治療と比較して奏効率が高くなる」とします。必要症例数を算定するには、「進行胃癌の患者さんに新治療である A 治療を行うと、標準治療である X 治療の奏効率 50%と比較して奏効率が 10%高い 60%になる」と具体的な数値が必要になります。この場合の必要症例数は 152 例と計算されます (エクセルの簡易計算： $\alpha=0.05$ 、 $\beta=0.2$ )<sup>1</sup>。対象症例が 50 例/年あれば 3 年で症例集積が完了することになり、10 例/年しか無ければ 15 年も集積に時間が掛かるので臨床研究の実現可能性が無いと判断されます。必要症例数の算定は臨床研究の実現可能性を検討する上で最も重要です。

「進行胃癌の患者さんの標準治療である X 治療の平均生存期間が 11 ヶ月、新治療である A 治療を行うと平均生存期間が 13 ヶ月と推定して無作為比較試験を行う」とすると、両群で 1323 例が必要と計算されます (エクセルの簡易計算： $\alpha=0.05$ 、 $\beta=0.2$ )。この場合は多施設共同研究が必要であり、3 年の症例集積期間 (441 例/年) で 100 施設が参加して、各参加施設から年最低 4 例の症例登録があれば実現可能と判断されます。

次に、後向き症例集積研究の場合における必要症例数を考えてみましょう。基本的に後向きでは事前に必要症例数を計算する必要はありません。もし、前向きと同じように仮説(PICO)を「進行胃癌の患者さんに過去に新治療である A 治療を行った患者さんと、過去に標準治療である X 治療を行った患者さんを比較すると新治療 A の奏効率の方が高い」と仮定します。過去のカルテを調査する前に、おおよそ新治療 A の奏効率は 60%で標準治療である X 治療の奏効率 50%と推定すると、前向き試験と同様に新治療である A 治療の患者さんが 152 例、標準治療である X 治療の患者さんも同数程度必要になります。

---

<sup>1</sup> Q & A：エクセルによる簡易計算、 $\alpha$ エラー、 $\beta$ エラー