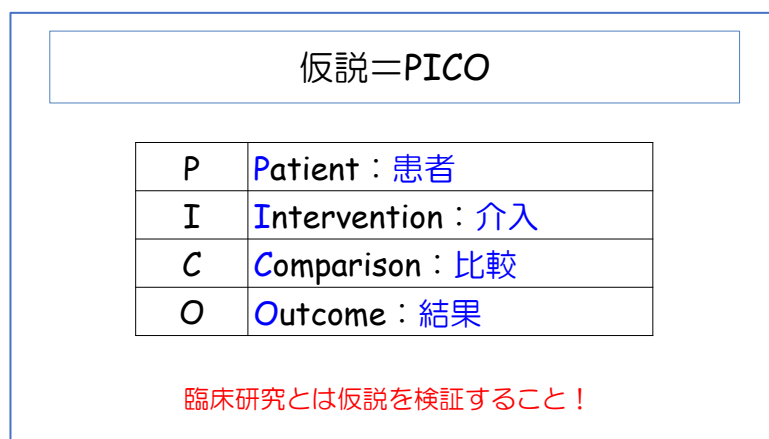


## 探索的研究

新しい治療法などのデータが不十分で、仮説を作ろうとしても検証するための症例数の正確な設定が出来無いことがあります。このような場合に仮説形成のために予め行われるのが、「探索的研究」= pilot study です。探索、すなわち「探りを入れてみる」研究であり、evidence level は低くなります。



一般的に 95%信頼区間が余り広くなならない程度で、25 例位の症例数が必要と言われていますが、比較する(Comparison: C)相手の成績を考慮して、仮説形成が可能な必要最低限の症例数があれば良いと思います。

例) 標準的治療の効果が 50%、新規治療法の効果は分からないが 70%位あれば臨床研究を計画したい。第 II 相試験で標準治療の効果 50%、新規治療の効果を 70%と仮定すると 36 例が必要となる。10 例で探索的研究を行なってみると  $7/10=70\%$  (95%信頼区間 41.6-98.4)、信頼区間の下限が標準治療の 50%を大きく超え、不安が残る。20 例で探索的研究を行うと  $14/20=70\%$  (95%信頼区間 49.9-90.1)、これなら大丈夫そうである。このように計画する臨床研究を行おうとする新規研究の仮説形成に必要なデータを探索する。しかし、10 例で探索的研究を行なってみると  $6/10=60\%$  (95%信頼区間 29.6-90.4)、第 II 相試験で標準治療の効果 50%、新規治療の効果を 60%とすると 152 症例必要。逆に 10 例で探索的研究を行なってみると  $8/10=80\%$  (95%信頼区間 55.2-104.8)、この位の効果が探索的に分かれば第 II 相試験で標準治療の効果 50%、新規治療の効果を 70%と仮定して 36 例で検証できる可能性がある。但し、少ない症例で探りを入れるとリスクが高く、一般には 20-25 例の探索をしておいた方が良い。

- 探索的研究であっても臨床研究審査委員会の承認が必要
- 探索的研究に引き続いて第 II 相試験に移行することも出来る (事前に計画)

例) 標準的治療の効果が 50%、新規治療法の効果は分からないが有望な新規治療になりそうなので

第 II 相試験を行いたい。まず、探索的に 20 例で効果判定を行い、検証可能な必要症例数を決め、探索的研究症例を含めて解析する。