

Phase II/III 試験

臨床研究は第 I 相試験（安全性試験）、第 II 相試験（有効性・安全性試験）、第 III 相試験（検証試験）のステップを踏んで標準治療を決めて行きます。

- Phase II/III 試験はまず比較する治療行為の有効性・安全性の手応えを見ておき、P-II に登録された症例を含めて P-III に移行しますので、症例数の節約が図れます。
- Phase II/III 試験を行う場合は P-II 部分の Primary endpoint と P-III 部分の Primary endpoint を初めから決めておきます。
- Phase II/III 試験における P-II 部分は Screening が主な目的ですので α エラー、 β エラーを大きめに設定して手応えを確認します。
- JACCRO GC-05 試験は Phase II/III 試験で行われました。

Annals of Oncology 26: 1916–1922, 2015
doi:10.1093/annonc/mdv265
Published online 24 June 2015

Phase II/III study of second-line chemotherapy comparing irinotecan-alone with S-1 plus irinotecan in advanced gastric cancer refractory to first-line treatment with S-1 (JACCRO GC-05)

- S-1 を含んだ初回治療に耐性となった進行再発胃癌の二次治療として CPT-11 単剤と S-1 を継続使用する S-1/CPT-11 を Phase II/III 試験で検証しました。
- Phase II 部分の Primary endpoint は 6 週後の PD 率で閾値を 60% としました。 α エラーは 0.10（通常は 0.05）、信頼区間は 90%（通常は 95%）で計算し 60 例が必要と計算しました。Phase III 部分の Primary endpoint は OS ですので α エラー 0.05、power 80%、集積期間 2 年により 300 例の症例集積が必要と計算されています。
- JACCRO GC-05 の P-II 部分の Primary endpoint は PD 率としましたが、手応えを見るには他の評価法、例えば奏効率、安全性などが採用されることがあります。