

先進医療総括報告書の指摘事項に対する回答1

先進医療技術名：重症低血糖発作を伴うインスリン依存性糖尿病に対する脳死ドナー又は心停止ドナーからの膵島移植

2022年5月9日

(京都大学/福島県立医科大学・穴澤貴行)

1. 考察と全般的結論において、「ベータ分布 Beta(12, 5) を事前分布として採用し、ベイズ流に達成割合の事後確率を推定した。達成割合 40%を超える確率が 99.9%であり、目標となった 90%を超えた。」とあるが、事前分布において達成割合 40%を超える確率が元々何%であったのかを追記していただきたい。

その上で、事後分布の解釈に誤解が生じることを避けるため、事前分布に用いた先行研究の 17 例分の情報に本試験で 8 例の情報が追加されたものであることの説明・考察の追記をご検討願いたい。

【回答】

事前分布として、本試験が計画された 2009 年当時まで実施された膵島移植症例 17 例中 12 例が本臨床試験の主要エンドポイントに関する成功例と考えられる点を考慮し、事前分布としてベータ分布 Beta(12,5)を採用いたしました。事前分布において達成割合 40%を超える確率は 99.5%でありました。本試験では 8 例の情報が追加されベイズ流に達成割合の事後確率を推定したところ、達成割合 40%を超える確率が 99.9%であり、目標となった 90%を超えております。以上の内容を『考察と全般的結論』の部分に記載いたしました。

以上