

## ランダム化臨床試験でのゲノムデータを用いた治療効果予測マーカーの開発と検証

Matsui et al. (2012) [1] は、治療前のゲノムワイドデータを用いた治療効果予測マーカーの開発とマーカー規定集団での治療効果の検証を同時に行うための第三相試験のデザインを提案しました。これは治療効果をマーカー値の連続的な関数としてモデリングするもので、個人レベルでの治療成績（生存時間）の予測も可能とします。これを多発性骨髄腫のランダム化試験に適用し、治療前がん細胞のマクロアレー遺伝子発現データを用いたサリドマイド治療の全生存時間上での効果予測を行いました。従来のランダム化試験の枠組みは患者集団での平均治療効果の推測を行うものですが、治療効果に大きな個体差があるときは個々の患者の効果予測として用いることはできませんでした。本研究は、「集団での推測」のみならず「個での予測」も可能とする、個別化医療に向けた新しい臨床試験デザインの枠組みを提案するものです。なお、本論文は、*Clinical Cancer Research* 誌 18 巻 21 号のハイライトペーパーとして紹介されました[2]。

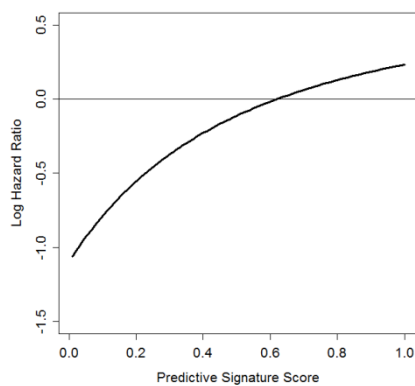


図 1. 治療効果（群間のハザード比）を遺伝子発現マーカー値の関数として推定したもの

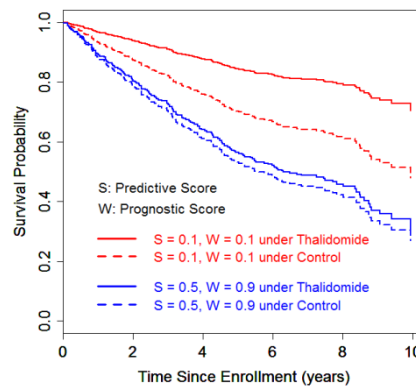


図 2. 効果予測マーカーと予後予測マーカーを同時に用いた患者レベルの生存曲線予測

文献：

[1] Matsui S, Simon R, Qu P, Shaughnessy JD, Barlogie B, Crowley J. Developing and validating continuous genomic signatures in randomized clinical trials for predictive medicine. *Clinical Cancer Research* 2012; 18: 6065-6073.

[2] <http://clincancerres.aacrjournals.org/content/18/21/5831.full.pdf+html>