

# Synthetic Control Arm®: 스마트 합성 대조군 솔루션

## 개요

많은 의뢰자들은 무작위배정 임상시험과 관련하여 여러 가지 큰 문제를 경험합니다.

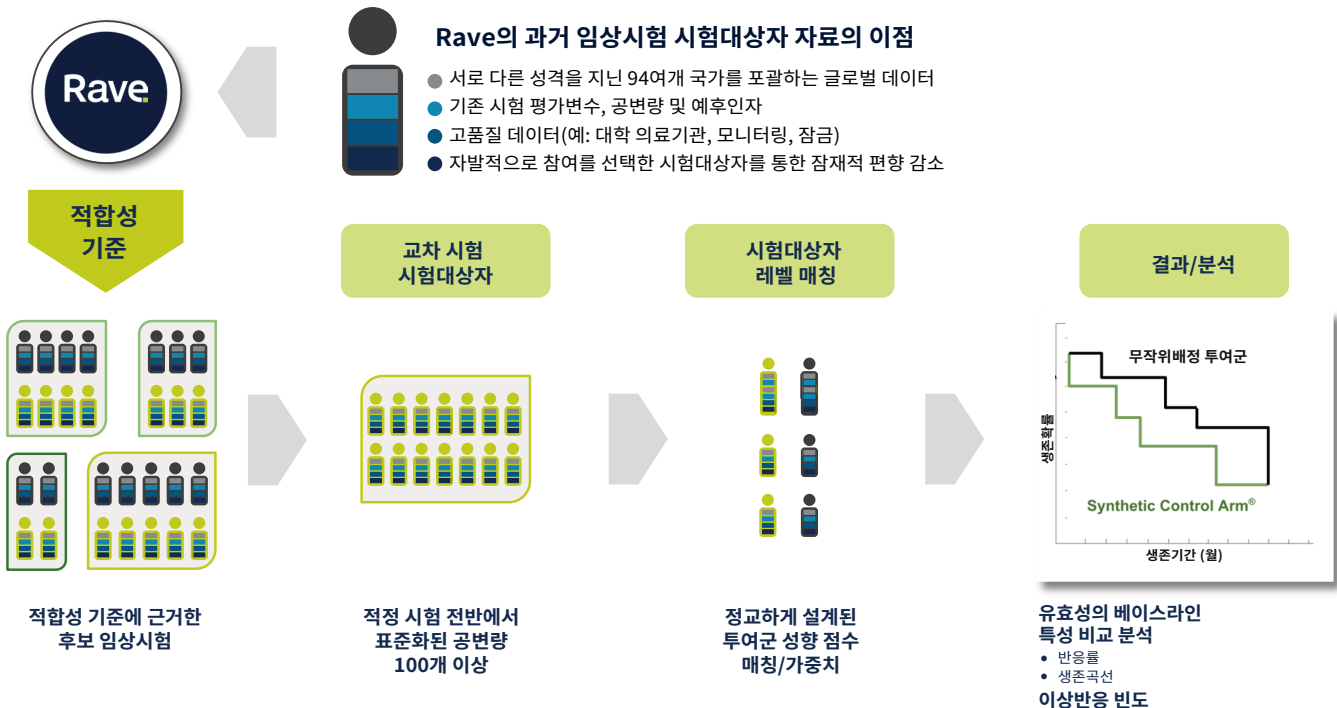
- 윤리적 문제나 질병의 희귀성으로 인해 무작위배정이 불가능한 상황
- 대조군 환자의 임상시험용 의약품 또는 동일 계열 유사 제제에 대한 낮은 복약 순응도
- 수용 불가능한 대조군 치료로 인한 낮은 등록률
- 파이프라인 중 가장 성공 가능성이 높은 제품을 결정하는 문제

## Medidata AI의 강력한 솔루션

메디데이터 Medidata AI는 여러 상이한 데이터세트를 통합하는 플랫폼을 통해 과거 임상시험과 리얼월드 데이터(RWD)를 결합하는 역할을 수행합니다. Synthetic Control Arm® (SCA) 솔루션은 임상시험에 중대한 가치를 더하며, 최종적으로 핵심 파이프라인 자산의 전반적 성공 가능성을 높입니다. 또한 SCA는 등록시험 또는 초기단계 시험의 대조군을 강화하거나 대체할 수 있는 시험 설계 방식을 선택할 수 있도록 지원합니다. 이를 통해 보다 나은 결정을 내리고, 등록을 가속화하며, 임상 개발 비용을 절감할 수 있습니다.

## Medidata AI의 데이터

메디데이터는 20여 년에 걸쳐 의뢰자의 임상시험 수행을 지원한 경험을 바탕으로 22,000여 건의 시험, 6백만 명 이상의 시험대상자 데이터가 저장된 임상시험 데이터 저장소를 구축했습니다. 이러한 메디데이터의 고유한 데이터 자산은 기존의 리얼월드 데이터 소스와는 확연히 다른 이점을 제공합니다.



# Synthetic Control Arm®의 이점

적용 영역	설명
임상시험 설계 개선	임상시험 시나리오 시뮬레이션을 통한 데이터 기반 설계 (예: 대조약 요법, 코호트)
실험적 근거 보완	추가 분석을 통해 확증적 임상시험 실시 이전, 실시 중 및 실시 이후의 규제 제출 지원
무작위배정 대조군 증강 또는 대체	필요하거나 적절한 경우, 규제 제출/승인 지원을 위해 규제 기준에 부합하는 매칭 과거 대조군 생성

## 사례: rGBM 임상시험에서의 SCA 사용에 대한 FDA 허가

규제적 채택을 위한 획기적 진전

### 배경

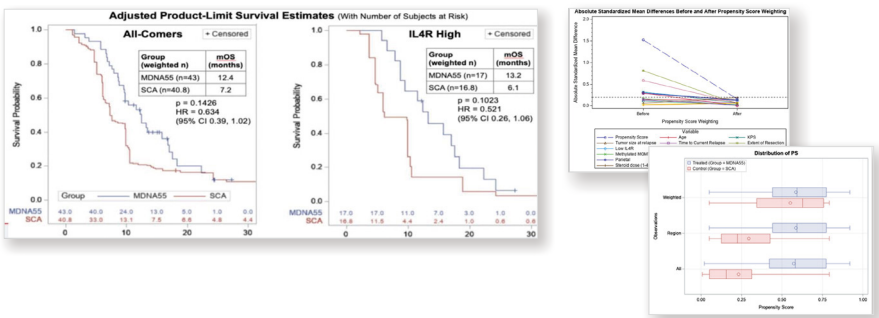
SCA의 개념 증명, 제2상 단일군 시험에서의 효율성을 입증하고, 그 결과를 활용하여 제3상 SCA/합성 대조군 기반 등록시험을 설계하고자 한다.

### 해결책

EoP2 브리핑 팩트(briefing packet) 준비: 합성 대조군/SCA 기반 등록시험 설계, 임상시험계획서 프로파일 준비; 통계분석계획 제안, 합성 대조군/SCA 데이터 처리.

### 결과

- SCA는 모든 참여 시험대상자 및 높은 수준의 IL 4R 발현 시험대상자에서 대규모 유효성 효과를 입증했다.
- FDA는 rGBM 제3상 임상시험 설계에서의 하이브리드(증강) Synthetic Control Arm® 사용을 허가했다.



“재발성 교모세포종 치료(rGBM)를 위한 합성 대조군과 MDNA55를 결합하는 등록시험 설계에 대한 과학적 근거를 제시한 Medidata 시팀의 역량에 감탄했다. Medidata 시팀의 전문 지식 및 각 분야 권위자들과의 적극적 협력은 등록시험에서의 합성 대조군 사용에 대한 타당성을 FDA에 입증하는 데 중요한 역할을 했다. 혁신적인 설계와 관련한 FDA의 이번 결정이 재발성 교모세포종 제3상 시험의 완료 일정을 앞당겼고, 그 결과 충족되지 않은 필요를 가진 예후 불량 환자들에게 MDNA55를 조기에 공급할 수 있는 길이 열리게 됐다.”

Dr. Fahar Merchant,  
President and CEO of Medicenna,  
2020년 10월 16일