



## **Biometrie leicht gemacht - inklusive CDISC-Einführung**

**Referent: Dr. Elke Sennewald**

**Welche Rolle spielt die Biometrie bei der Beurteilung der Sicherheit und Wirksamkeit eines Arzneimittels?**

**Biometrisches Vorgehen bei der Planung, Durchführung und Auswertung einer klinischen Prüfung**

- **Von der medizinischen zur statistischen Fragestellung**
- **Studienplanung**
- **Studiendurchführung**
- **statistische Auswertung**
- **Interpretation der Ergebnisse**

**Weitere medizinische Fragestellungen bei denen die Biometrie ebenfalls eingesetzt wird**

- **Prävention**
- **Epidemiologie**
- **Gesundheit-Ökonomie**
- **Diagnose**
- **Prognose**
- **Früherkennung**

**Welche statistischen Methoden sind für klinische Prüfungen relevant?**

- **Methoden der deskriptiven Statistik**
- **Methoden der konfirmativen Statistik**



## **Biometrie leicht gemacht - inklusive CDISC-Einführung**

**(Fortsetzung)**

**Statistik und Wahrscheinlichkeitsrechnung: was haben sie gemeinsam und was unterscheidet sie?**

**Von der medizinischen zur statistischen Fragestellung kommt man durch die sog. Modellbildung. Wie geht man dabei vor?**

- **Definition der Grundgesamtheit (Indikationsgebiet) und der dazugehörigen Stichprobe (Studienkollektiv)**
- **Festlegung der relevanten Variablen (Endpunkte, Störgrößen)**
- **Möglichkeiten der statistischen Fragestellung (superiority, equivalence, non-inferiority)**

**Was muss man bei der Studienplanung beachten?**

**Welche Anforderungen müssen erfüllt sein, damit die klinische Prüfung aussagekräftig und effizient ist?**

- **Wie kann man diese Anforderungen erfüllen?**
- **Welche Typen von Vergleichen gibt es (intra- bzw interindividueller Vergleich) und welche Vor- und Nachteile haben sie?**
- **Wie bestimmt man die benötigte Fallzahl?**

**Die benötigte Fallzahl richtet sich nach den geforderten Eigenschaften des für die Auswertung geplanten statistischen Test. Was ist ein statistischer Test und wie geht man dabei prinzipiell vor?**

**Welche Möglichkeiten gibt es, während der klinischen Prüfung biometrisch einzugreifen?**

- **Zwischenauswertungen**
- **Adaptive Designs**



## **Biometrie leicht gemacht - inklusive CDISC-Einführung**

**(Fortsetzung)**

**Wie geht man bei der statistischen Auswertung vor?**

- **Konfirmative Analyse**
- **Explorative Analyse**

**Welche speziellen Probleme ergeben sich häufig bei der Auswertung?**

- **Wie sollen mehrere Endpunkte gleichzeitig berücksichtigt werden?**
- **Wie verhält man sich, wenn Werte fehlen?**
- **Was macht man bei einem nicht-signifikantem Ergebnis?**

**Nach der statistischen Auswertung muss das Ergebnis hinsichtlich statistischer Signifikanz und medizinischer Relevanz bewertet werden. Wie geht man dabei vor?**

**Die Standardisierung klinischer Prüfungen trägt wesentlich zur Einsparung von Entwicklungszeit und Kosten bei. In Zusammenarbeit mit den Behörden entstanden und entstehen global akzeptierte CDISC Standards, um den Informationsfluss vom Prüfplan bis zur Einreichung der Ergebnisse bei den Behörden zu standardisieren.**

- **Welchen Stellenwert hat CDISC?**
- **Welche CDISC Standards gibt es?**
- **Wie kann man den CDISC CRF Standard CDASH implementieren?**
- **In welcher Form sollten Daten an die FDA gegeben werden (SDTM)?**
- **Wie sehen standardisierte Auswertungsdatensätze aus?**
- **Warum sollte nicht nur die Biometrie mit CDISC vertraut sein und wo findet man alle notwendigen Informationen?**