

Kolloquium „Statistische Methoden in der empirischen Forschung“

Wann: 10. Januar 2017, 17:00 – 18:30 Uhr

Wo: Robert Koch-Institut | Nordufer 20 | 13353 Berlin (Wedding),
S41, S42, U9 Westhafen | U9, Bus 142 Amrumer Str

Christoph Gerlinger & Michael Kunz (Bayer AG, Berlin)

Das neue Estimands Konzept für Arzneimittelstudien – Eine Einführung und ein praktisches Beispiel

Medizinische Interventionen werden möglichst durch randomisierte klinische Studien untersucht. Werden alle randomisierten Patienten nach dem intent-to-treat Prinzip in die statistische Analyse einbezogen, so kann ein beobachteter Behandlungsunterschied allein auf die randomisierten Behandlungen zurückgeführt werden. Das Studienergebnis ist leicht zu interpretieren, falls alle in die klinische Studie eingeschlossenen Patienten die Behandlung weitgehend wie im Studienprotokoll vorgesehen absolvieren.

In der Praxis trifft diese ideale Situation jedoch oft nicht zu: Patienten brechen ihre Teilnahme an der Studie aus unterschiedlichen Gründen ab, nehmen die Studienmedikation nur unzureichend ein, nehmen neben der Studienmedikation zusätzliche Medikation (zum Beispiel ein weiteres Schmerzmittel in einer Schmerzstudie) ein, oder wechseln mitten in der Studie den Behandlungsarm (zum Beispiel von Placebo auf Aktiv nach Tumorprogression in einer Krebsstudie). Derartige Post-Randomization Events können die Interpretation einer intent-to-treat Analyse ganz erheblich erschweren. Es stellt sich die Frage, was eigentlich der sogenannte „Estimand“ einer Studie ist, d.h. was überhaupt geschätzt werden soll – unter angemessener Berücksichtigung der Post-Randomization Events, die ja nur zum Teil von der Behandlung abhängig sind.

Seit Oktober 2014 arbeitet eine internationale Expert Working Group von Statistikern aus Zulassungsbehörden und Pharmaindustrie an einer neuen Richtlinie zu Estimands in für eine Marktzulassung durchgeführten klinischen Studien. Die Veröffentlichung eines Entwurfs der Richtlinie wird für Mitte 2017 erwartet.

Wir geben einen Überblick über die aktuelle Diskussion und präsentieren eine aktuelle Fallstudie über eine symptomatische Behandlung von Schmerz.