

## **Kolloquium „Statistische Methoden in der empirischen Forschung“**

Wann: 22. Januar 2019, 17:00 – 18:30 Uhr

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

**Ralf Bender (IQWiG, Köln)**

### **Überlegungen zu Estimands aus Sicht der Nutzenbewertung**

Seit einigen Jahren wird vor allem im Bereich der Arzneimittelzulassung über Estimands diskutiert. Unter Estimand wird hierbei der in einer geplanten Studie zu schätzende Effekt verstanden, der aufgrund der wissenschaftlichen Fragestellung durch Spezifikation der interessierenden Population, der Zielvariable, des Umgangs mit auftretenden Zwischenereignissen sowie des verwendeten Effektmaßes zu wählen ist. Neben zahlreichen Veranstaltungen und Publikationen in wissenschaftlichen Fachzeitschriften beschäftigt sich auch der Entwurf des am 30.08.2017 von der EMA publizierten Addendums zur ICH E9 Guideline über die statistischen Prinzipien für klinische Studien mit Estimands (EMA, 2017).

In diesem Addendum werden 5 Strategien beschrieben, die zu unterschiedlichen Estimands führen, von denen jedoch ein Teil mit traditionellen Methoden der klinischen Forschung nicht mehr ohne hohes Verzerrungspotenzial schätzbar ist. Es stellt sich die Frage, welche Estimands im Rahmen der Nutzenbewertung sinnvoll verwendet werden können und welche Estimands für HTA-Entscheidungen irrelevant sind. Es besteht möglicherweise die Gefahr, dass die beschriebenen Strategien als Rechtfertigung verwendet werden, in klinischen Studien keine vollständige Datenerhebung durchzuführen. Aus Sicht der Nutzenbewertung sollte primär die Treatment-Policy-Strategie gewählt werden, und zwar sowohl für die gewünschten Effekte einer Therapie als auch die unerwünschten Ereignisse (Bender et al., 2016). Die anderen Strategien zur Wahl von Estimands können hilfreich sein für Sensitivitätsanalysen sowie ergänzende Auswertungen.

### **Literatur**

Bender, R., Beckmann, L. & Lange, S. (2016): Biometrical issues in the analysis of adverse events within the benefit assessment of drugs. *Pharm. Stat.* 15, 292-296

EMA (2017): ICH E9 (R1) addendum on estimands and sensitivity analysis in clinical trials to the guideline on statistical principles for clinical trials. European Medicines Agency, London, EMA/CHMP/ICH/436221/2017.