

## Kolloquium „Statistische Methoden in der empirischen Forschung“

Wann: 29. Oktober 2024, 17:00 – 18:30 Uhr

Wo: [Campus Charité Mitte | Raum 02.002 | Sauerbruchweg 3, 10117 Berlin](#)

Online-Übertragung: der Link wird auf der [Website](#) zur Verfügung gestellt

Vortragssprache: Deutsch

**Felicitas Kühne (Pfizer, Berlin, UMIT TIROL, Hall i.T.)**

### **Real world data analyses in healthcare – blessing or curse?**

Ob und welche Evidenz im Gesundheitswesen durch randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) oder durch die Analyse praxisbezogener Daten (Real world evidence (RWE)) generiert werden sollte, ist ein zentrales und teilweise emotional diskutiertes Thema in der medizinischen Forschung. RCTs gelten als Goldstandard, da sie durch zufällige Zuweisung von Teilnehmern zu Interventions- und Kontrollgruppen und deren enger Kontrolle systematische Fehler minimieren und kausale Zusammenhänge klarer aufzeigen können. RWE (z.B. Pragmatische Trials, Beobachtungsstudien, etc.) hingegen bieten Einblicke in reale Szenarien und sind oft praktischer und ethisch vertretbarer, insbesondere wenn es um seltene Erkrankungen oder langfristige Effekte geht. Steigende Verfügbarkeit von Beobachtungsdaten lassen Beobachtungsstudien kosteneffektiver erscheinen. Kritiker von Beobachtungsstudien weisen auf die erhöhte Anfälligkeit für Bias hin.

In dem Vortrag werden die Herausforderungen von RWE dargestellt, die die Aussagekraft und Zuverlässigkeit beeinflussen können. Kausalmethoden werden kurz beschrieben. Diese Methoden sind bei Beobachtungsdaten entscheidend, um verlässliche Schlussfolgerungen zu ziehen. Hier sind drei Ansätze besonders wichtig:

1. Directed Acyclic Graphs (DAGs): DAGs sind visuelle Werkzeuge, die helfen, die Beziehungen zwischen Variablen darzustellen und zu verstehen, für welches Set von Variablen kontrolliert werden muss, um Bias zu minimieren. DAGs sind besonders nützlich, um Confounder zu identifizieren und die Struktur kausaler Zusammenhänge zu verdeutlichen.
2. Target Trial Emulation: Diese Methode zielt darauf ab, Beobachtungsdaten so zu analysieren, als ob sie aus einer randomisierten kontrollierten Studie stammen würden. Durch die Nachahmung eines hypothetischen “Trials” können kausale Effekte besser und mit größerer Validität abgeschätzt werden und u.a. sog. time-related Biases zu vermeiden (wie z.B. der Immortal Time Bias).
3. g-Methods: Dazu gehören statistische Methoden wie g-Estimation, g-Formula und Inverse Probability Weighting. Diese Methoden sind besonders nützlich, wenn es darum geht, für zeitabhängiges Confounding zu kontrollieren und robuste kausale Rückschlüsse zu ermöglichen.

Die genannten Methoden tragen dazu bei, die Qualität und Aussagekraft von Beobachtungsstudien zu verbessern, indem sie systematische Fehler minimieren und kausale Zusammenhänge valider ableiten.

Es werden Fallbeispiele beschrieben, bei denen sowohl RCTs als auch Beobachtungsdaten für die Entscheidungsfindung eine tragende Rolle gespielt haben. Diese zeigen, dass komplexe

Methoden helfen, aus RWE kausale Rückschlüsse zu ziehen. Beide Studienformen, RCTs und RWE können sich ergänzen. Während RCTs die Wirksamkeit unter idealen Bedingungen testen, liefern RWE wertvolle Daten zur Anwendung und Wirksamkeit in der Praxis. Diese Kombination kann zu einer umfassenderen Evidenzbasis führen, die sowohl die wissenschaftliche als auch die klinische Praxis bereichert.

## Literatur

Hernan M, Robins J. Causal Inference: What If (Preprint at: <https://www.hsph.harvard.edu/miguel-hernan/causal-inference-book/>). London: Chapman & Hall/CRC; 2020

Greenland S. Quantifying biases in causal models: classical confounding vs collider-stratification bias. *Epidemiology* (Cambridge, Mass). 2003;14(3):300-6.

Faries D, Zhang Z, Kadziola ZA, Siebert U, Kuehne F, Obenchain RL, et al. Real World Health Care Data Analysis: Causal Methods and Implementation Using SAS2020.

Kuehne, F., Hallsson, L., Arvandi, M., Puntcher, S., Jahn, B., Sroczynski, G., & Siebert, U. (2023). Vergleich der Effektivität von multiplen dynamischen Behandlungsstrategien unter Nutzung der Target-Trial-Emulierung. *Prävention und Gesundheitsförderung*. <https://doi.org/10.1007/s11553-023-01033-8>

Kuehne F, Arvandi M, Hess LM, Faries DE, Matteucci Gothe R, Gothe H, et al. Causal analyses with target trial emulation for real-world evidence removed large self-inflicted biases: systematic bias assessment of ovarian cancer treatment effectiveness. *Journal of clinical epidemiology*. 2022;152:269-80.