

Fallzahlplanung für klinische Studien mit Zähldaten

Schneider, Simon (1); Schmidli, Heinz (2); Friede, Tim (1)

1: Abteilung Medizinische Statistik, Universitätsmedizin Göttingen; 2: Statistical Methodology, Novartis Pharma AG, Basel/Schweiz
simon.schneider@med.uni-goettingen.de

Um die Wirksamkeit und die Sicherheit neu entwickelter Medikamente zu überprüfen, wird jährlich eine Vielzahl an klinischen Studien durchgeführt. In der Planungsphase einer klinischen Studie ist die Fallzahlplanung ein wichtiger Baustein, um das erfolgreiche Abschließen einer Studie zu gewährleisten. Um einen Stichprobenumfang zu bestimmen, werden zunächst Annahmen an verschiedene Parameter benötigt. Handelt es sich um einen normalverteilten primären Endpunkt, dann müssen sowohl der voraussichtliche Effekt als auch die Varianz des primären Endpunktes spezifiziert werden. Ab Version SAS 9.1 stehen dem Anwender die beiden Prozeduren PROC POWER und PROC GLMPOWER zur Verfügung, die eine Vielzahl an Anwendungsbereichen abdecken. Wir stellen eine Erweiterung dieser Prozeduren in Form eines Makros vor, welches sich auf Zähldaten fokussiert. Im Detail sind Fallzahlplanungen für die Poisson- und Negativbinomialregression umgesetzt [1-3]. Durch den Einsatz des Makros wird dem Anwender die Möglichkeit eröffnet, eine Fallzahlplanung für Zähldaten durchzuführen und sich diese graphisch darstellen zu lassen.

Literatur:

[1] Friede T, Schmidli H. Blinded sample size reestimation with count data: Methods and applications in multiple sclerosis. *Statistics in Medicine* 2010a; 29: 1145-1156.

[2] Friede T, Schmidli H. Blinded Sample Size Reestimation with Negative Binomial Counts in Superiority and Non-inferiority Trials. *Methods of Information in Medicine* 2010b; 49: 618-624.

[3] Keene ON, Jones MRK, Lane PW, Anderson J. Analysis of exacerbation rates in asthma and chronic obstructive pulmonary disease: example from the TRISTAN study. *Pharmaceutical Statistics* 2007; 6:89-97.