



Phase II Studien in



Tutorium zu Theorie, Anwendung und R-Paket

am **19. Mai 2014** in Heidelberg

Dozenten:

Meinhard Kieser (IMBI Heidelberg), Marius Wirths (IMBI Heidelberg), Cornelia Ursula Kunz (Warwick Medical School), Stefan Englert (Boehringer Ingelheim)

Zeit und Ort:

19. Mai 2014, 10.00 – 16.00 Uhr, Kommunikationszentrum des DKFZ, Im Neuenheimer Feld 280, 69120 Heidelberg

Programm:

10.00 – 12.00 Uhr:	Einführung in klassische Zwei-Stufen-Designs
12.00 – 13.00 Uhr:	Mittagspause
13.00 – 14.30 Uhr:	(Non-) stochastic curtailment und adaptive Zwei-Stufen-Designs
14.30 – 14.45 Uhr:	Kaffeepause
14.45 – 16 Uhr:	Anwendung des R-Pakets anhand von Praxisbeispielen

Anmeldung:

Bis zum 2. Mai 2014 per Email an wirths@imbi.uni-heidelberg.de

Die Teilnahme ist kostenlos und es sind keine R-Kenntnisse notwendig.

Lokale Organisation:

Meinhard Kieser, Marius Wirths, Andrea Wendel

Institut für Medizinische Biometrie und Informatik, Universität Heidelberg

Email: sek@imbi.uni-heidelberg.de

GEFÖRDERT VOM



Bundesministerium
für Bildung
und Forschung



Inhalt des Tutoriums:

Klinische Studien der Phase II spielen eine Schlüsselrolle bei der Evaluation neuer Therapieoptionen. Insbesondere im Bereich der Onkologie werden diese Studien häufig einarmig, mit binärem Endpunkt (z.B. Tumor-Response) und mit geplanter Zwischenauswertung durchgeführt. Derartige Designs werden mutmaßlich, insbesondere im regulatorischen Kontext, zukünftig eine noch größere Rolle spielen. In einer kürzlich publizierten Mitteilung wird Richard Pazdur, Director FDA Office of Hematology and Oncology Products, mit der Aussage zitiert “Pazdur appears to be re-opening – if not flat out advocating for – the single-arm trial regulatory pathway for truly active therapeutic drug candidates as the most appropriate route to approval.”

Eine in der Praxis häufig angewendete Methode ist das von Richard Simon 1989 vorgeschlagene Zwei-Stufen-Design. In den letzten Jahren gab es zahlreiche methodische Weiterentwicklungen. Beispielsweise wurden Methoden entwickelt, die einen vorzeitigen Studienabbruch erlauben, sobald ein erfolgreiches Studienergebnis nicht mehr oder nur noch mit geringer Wahrscheinlichkeit möglich ist (sogenanntes non-stochastic bzw. stochastic curtailment). Weiterhin wurden adaptive Zwei-Stufen-Designs vorgeschlagen, die eine Veränderung der Fallzahl des zweiten Studienteils auf der Basis der Ergebnisse der Zwischenauswertung gestatten. Im Rahmen eines vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) geförderten Projektes wurden diese Designs in ein R-Paket mit benutzerfreundlicher Oberfläche implementiert, das die Planung, Durchführung und Auswertung von einarmigen Studien mit binärem Endpunkt unterstützt. Für die Anwendung des R-Pakets und die Teilnahme am Tutorium sind keine R-Kenntnisse notwendig.

Im Rahmen des Tutoriums werden sowohl „klassische“ als auch aktuell entwickelte Studiendesigns vorgestellt. Die Anwendung der Methoden und der Einsatz des R-Pakets werden anhand praktischer Beispiele und Übungen illustriert. Die Teilnahme am Tutorium und das Software-Tool sind kostenlos.

GEFÖRDERT VOM



Bundesministerium
für Bildung
und Forschung

