

Buchbesprechung: Introduction to Statistical Methods for Clinical Trials

Rainer Muehe¹

¹ Institut für Biometrie,
Universität Ulm, Deutschland

Bibliographische Angaben

T.D. Cook, D.L. DeMets (Eds.):
Introduction to Statistical Methods for Clinical Trials
Chapman & Hall/CRC Press Boca Raton, 2008, 439
Seiten, ISBN 978-1-58488-027-1

Rezension

In dem von Cook und DeMets zusammengestellten Buch werden die wesentlichen Aspekte von statistischen Methoden in der Planung und Durchführung klinischer Studien beschrieben. Das Buch ist ein gemeinschaftliches Werk von insgesamt 12 Autoren des Department of Biostatistics and Medical Informatics der Universität Wisconsin, die in unterschiedlicher Zusammensetzung insgesamt 12 Kapitel zusammengestellt und geschrieben haben. Das Buch orientiert sich an den Überlegungen, die bei der Studienprotokollerstellung einer klinischen Studie, typischerweise einem RCT (Randomized Controlled Trial), vorgenommen werden müssen. Die Planungsphase der Studie steht dementsprechend gegenüber der Auswertungsphase im Vordergrund. Dies spiegelt sich an den im Buch behandelten Themen wieder.

Im Kapitel 1 wird zuallererst in einer Art Übersicht der Sinn und Zweck kontrollierter klinischer Studien beschrieben und einige wichtige Rahmenbedingungen wie Regelwerke und Kontrollinstanzen eingeführt. Anschließend werden in den folgenden Kapiteln statistische Aspekte bei der Protokollerstellung genauer beschrieben wie u.a. Studiendesign, Fallzahlplanung, Randomisierung, Zwischenauswertungen. Im Kapitel 2 werden die Definition der Fragestellung und die Wichtigkeit der Festlegung der Zielgröße dargestellt. Im Kapitel 3 werden dann verschiedene Studiendesigns vorgestellt, vom einfachen Parallelgruppendesign bis hin zu Non-inferiority- und adaptiven Designs. Wichtige Punkte bei der Planung von Studien sind die Fallzahlplanung und Randomisierung, die in den Kapiteln 4 und 5 dargestellt werden. Im Abschnitt 6 werden dann Aspekte der Datenkontrolle und -qualität beschrieben. In den Kapiteln 7 und 8 werden eher spezielle Auswertungssituationen für Survival- und Longitudinalstudien dargestellt. Speziell im Bereich der Onkologie,

aber nicht nur dort, sind heute viele Aspekte der Lebensqualität der Patienten (mit) zu betrachten. Definition, Auswahl von Instrumenten und Auswertungsaspekte von QoL (Quality of Life) werden in Kapitel 9 beschrieben. Im anschließenden Kapitel 10 wird die begleitende Beobachtung von Studien z.B. im Rahmen von Zwischenanalysen in gruppensequentiellen Studienplänen dargestellt. Bevor im abschließenden Abschnitt 12 der Abschluss und die Berichterstattung klinischer Studien im Vordergrund steht wird im Kapitel 11 auf verschiedene weitere Aspekte im Zusammenhang klinischer Studien wie Selektionseffekte, Missing Data, Subgruppenauswertungen und Multiples Testen eingegangen.

Insgesamt werden so alle wesentlichen Aspekte der Planung und Durchführung klinischer Studien angesprochen und beschrieben. Die Autoren gehen dabei von klinischen Prüfungen aus, die Hypothesen bezüglich der eingesetzten Therapien untersuchen wollen. Dementsprechend wird eine frequentistische Sichtweise auf die Planung und Auswertung der Studien gesucht und über alle Kapitel eingehalten. Deshalb wird auch die konfirmatorische Prüfung in den Vordergrund gestellt, die Problematik der explorativen Analysen in klinischen Studien im Kapitel 11 unter „Verschiedenes“ unter den Stichworten Subgruppenanalysen und Multiples Testen abgehandelt. Komplexere Regressionsansätze werden notwendigerweise in den Abschnitten über Survival Analyse und besonders über Longitudinalstudien eingeführt.

Im Vorwort weisen die Autoren darauf hin, dass das Buch als *Introduction to statistical methods for clinical trials* für graduate Studenten der Statistik oder Biostatistik gedacht ist. Dementsprechend finden sich am Ende der meisten Kapitel einige Aufgaben, die das Verständnis des Textes erhöhen sollen. Leider sind die Lösungen nicht verfügbar, weder im Buch noch im Internet. Eine mathematische Grundausbildung ist für einige Formelpassagen im Buch sinnvoll. Im Wesentlichen werden die Methoden verbal beschrieben. Die notwendigen Formeln und Abbildungen werden allerdings dargestellt, so dass das Buch auch als Nachschlagewerk für Wissenschaftler nach dem Studium geeignet ist. Das Buch ist schon sehr umfangreich, allerdings hätten einige praktische Beispiele die verschiedenen Aspekte noch besser verdeutlichen können.

Insgesamt ist das Buch von der Intention anwendungsbezogen geschrieben und wendet sich hauptsächlich an Studenten und Wissenschaftler, die klinische Studien planen oder reviewen müssen. Die Sichtweise aus frequentistischer Sicht mit dem Augenmerk auf RCTs ist sehr praxisbezogen und gut nachvollziehbar. Gerade diese letztgenannten Aspekte in Verbindung mit dem praxisnahen Ansatz machen dies Buch sehr lesenswert. Als Hintergrundlektüre für die Lehre im Bereich der ma-

thematischen Biometrie und in der Beratung von Wissenschaftlern bei der Planung klinischer Studien kann ich das Buch empfehlen.

Korrespondenzadresse:

Prof. Dr. Rainer Muche
Institut für Biometrie, Universität Ulm, Schwabstraße 13,
89075 Ulm, Deutschland, Tel.: +49 731 50 26903 oder
26901, Fax: +49 731 50 26902
rainer.muche@uni-ulm.de

Bitte zitieren als

Muche R. Buchbesprechung: Introduction to Statistical Methods for Clinical Trials. *GMS Med Inform Biom Epidemiol.* 2009;5(2):Doc16.

Artikel online frei zugänglich unter

<http://www.egms.de/en/journals/mibe/2009-5/mibe000095.shtml>

Veröffentlicht: 17.12.2009

Copyright

©2009 Muche. Dieser Artikel ist ein Open Access-Artikel und steht unter den Creative Commons Lizenzbedingungen (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/3.0/deed.de>). Er darf vervielfältigt, verbreitet und öffentlich zugänglich gemacht werden, vorausgesetzt dass Autor und Quelle genannt werden.