



UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI DI MILANO-BICOCCA

COURSE SYLLABUS

Statistical Models Applied To Clinical Trials

2122-2-F8203B036

Obiettivi formativi

Obiettivo dell'insegnamento è approfondire gli aspetti statistici legati alla pianificazione e all'analisi di uno studio clinico.

Conoscenza e comprensione

Questo insegnamento fornirà conoscenze e capacità di comprensione relativamente a:

- Implementazione di simulazioni con il linguaggio di programmazione SAS;
- Pianificazione della dimensione campionaria e della potenza statistica di uno studio clinico;
- Strategia di analisi statistica di uno studio clinico nel caso di outcome di sopravvivenza, eventi ripetuti, outcome continui misurati sia all'inizio che alla fine dello studio, dati correlati;
- Le fasi di una sperimentazione clinica.

Capacità di applicare conoscenza e comprensione

Alla fine dell'insegnamento gli studenti saranno in grado di:

- Impostare in autonomia delle simulazioni nel linguaggio di programmazione SAS;
- Riconoscere gli elementi fondamentali necessari per il calcolo della dimensione campionaria e della potenza statistica di uno studio clinico;
- Analizzare studi clinici con outcome di sopravvivenza, eventi ripetuti, outcome misurati prima e dopo la fine dello studio, dati correlati.

L'insegnamento consente allo studente di acquisire solide basi nella pianificazione e analisi di uno studio clinico con il supporto del software di programmazione SAS.

Contenuti sintetici

- Simulazioni di dati in SAS
- Approfondimenti sulla regressione di Poisson e Negativa Binomiale per l'analisi di eventi ripetuti
- Dimensione campionaria e potenza statistica di uno studio clinico: un approccio basato sulle simulazioni
- Introduzione alle fasi della sperimentazione clinica
- Strategie per l'analisi di studi con outcome continuo misurato sia all'inizio che alla fine dello studio
- Analisi di dati correlati

Programma esteso

1. Simulazioni di dati in SAS

- 1.1 Importanza delle simulazioni come strumento di lavoro per il biostatistico
- 1.2 Elementi e tecniche di base per la simulazione dei dati
- 1.3 Utilizzo delle simulazioni per valutare distribuzioni campionarie, validità di tecniche statistiche e proprietà di un disegno statistico

2. Modelli per l'analisi di eventi ripetuti ed eventi singoli in uno studio clinico

- 1.1 Modello di Poisson e modello negativo-binomiale per l'analisi di eventi ripetuti
- 1.2 Modello di Poisson e modello esponenziale per l'analisi di eventi singoli
- 1.3 Modello di Poisson e analisi della sopravvivenza

3. Dimensione campionaria e potenza statistica di uno studio clinico: un approccio basato sulle simulazioni

4. Elementi di metodologia della ricerca clinica

- 4.1 Le fasi della sperimentazione clinica: modelli statistici per gli studi di fase I, II e III

4.2 Studio di superiorità e studio di non-inferiorità

4.3 Studi adattativi

5. Strategie per l'analisi di studi con outcome continuo misurato sia all'inizio che alla fine dello studio

6. Analisi di dati correlati

6.1 Introduzione all'analisi dei dati correlati

6.2 Modelli lineari a effetti misti per l'analisi di risposte continue correlate

6.3 Modelli lineari generalizzati a effetti misti per l'analisi di risposte binarie correlate

Prerequisiti

Nessuno

Metodi didattici

Lezioni

Esercitazioni al computer con applicazioni in SAS

Modalità di verifica dell'apprendimento

Prova scritta - project work (solo per frequentanti)

Durante il corso saranno proposti alcuni problemi che dovranno essere affrontati e risolti con uno studio di simulazione. Le simulazioni saranno impostate in aula da gruppi di lavoro formati da due persone. Ogni studente poi, individualmente, dovrà approfondire uno dei problemi proposti e dovrà scrivere una relazione in cui presenterà i risultati dello

studio seguendo lo stile di un lavoro originale di ricerca.

Non sono previste prove di esame in itinere.

Prova orale

Valutazione sui contenuti delle slide del corso, e dei capitoli di libro e articoli che saranno indicati e messi a disposizione durante il corso.

La prova orale consente di verificare le conoscenze dei principali metodi legati alla pianificazione e all'analisi di uno studio clinico.

Testi di riferimento

Tutto il materiale didattico (estratti di libri, articoli, codice SAS, dataset) distribuito agli studenti durante il corso

Periodo di erogazione dell'insegnamento

Semestre I, Ciclo I

Lingua di insegnamento

Italiano
