

## COURSE SYLLABUS

### Big Data in Health Care

2526-2-FDS01Q026-FDS01Q029M

---

#### Obiettivi

Il corso si propone di fornire i concetti di base di epidemiologia clinica che sono alla base di un adeguato approccio metodologico a un progetto di ricerca nel campo clinico. Lo studente sarà in grado di gestire i big data nella ricerca medica, concentrandosi in particolare su diversi aspetti tra cui la progettazione, la gestione e l'analisi dei dati. Lo studente sarà in grado di implementare strategie di disegno adeguate ai trial clinici e studi osservazionali. Lo studente sarà in grado di applicare modelli di regressione per l'analisi di dati di sopravvivenza e di utilizzare questi modelli per la predizione del rischio e la valutazione di relazioni tra le variabili. Lo studente sarà in grado di usare metodologie statistiche adeguate per lo studio di dati omici.

#### *Conoscenza e capacità di comprensione*

Questo corso fornisce conoscenze e comprensione di base su:

- progettazione di studi clinici
- quantità fondamentali nell'analisi di sopravvivenza (sopravvivenza, incidenza cumulativa, funzioni di rischio)
- metodi statistici per l'analisi di dati "time-to-event", sia in contesti standard che ad alta dimensionalità
- misure di performance predittiva e utilità di un modello di predizione clinica

#### *Conoscenza e capacità di comprensione applicate*

Alla fine del corso, gli studenti saranno in grado di:

- stimare e confrontare funzioni di sopravvivenza utilizzando metodi non parametrici (stimatore di Kaplan-Meier e test Log-Rank)
- applicare un modello di regressione di Cox e interpretarne i coefficienti
- usare il modello per predire la funzione di sopravvivenza specifica per profilo
- valutare la performance predittiva e di utilità di un modello di predizione clinica
- applicare un modello penalizzato nel contesto di dati ad alta dimensionalità (omics)

## *Autonomia di giudizio*

Alla fine del corso, gli studenti saranno in grado di:

- verificare la validità delle assunzioni richieste dal modello di regressione di Cox
- giudicare e confrontare la calibrazione, la discriminazione e l'utilità clinica dei modelli di predizione

## **Contenuti sintetici**

Epidemiologia clinica. Disegni di trial clinici e studi osservazionali. Metodi statistici per l'analisi di dati di sopravvivenza, dati con misure ripetute, modelli di predizione del rischio e inferenza causale. Metodi statistici per l'analisi di dati "omici".

## **Programma esteso**

Nozioni di base sull'epidemiologia clinica.

Disegni di studio: cross-sectional, caso-controllo, trial randomizzati, disegni per la validazione di biomarkers.

Metodi statistici per l'analisi della sopravvivenza (stimatore di Kaplan-Meier, test Log-Rank, modello di Cox), metodi per rischi competitivi e modelli multistato, modelli predittivi di rischio (stima e validazione).

Metodi di regressione penalizzata per l'analisi della sopravvivenza su dati di "omica".

## **Prerequisiti**

Statistica descrittiva e inferenziale.

## **Modalità didattica**

Insegnamento con ore frontali e attività di laboratorio:

- 3 lezioni da 3, 2 e 2 ore (7 ore complessive) svolte in modalità erogativa in presenza;
- 7 lezioni da 3 o 2 ore (18 ore complessive) di attività di laboratorio informatico (tramite l'utilizzo del software R) in modalità interattiva in presenza.

## **Materiale didattico**

Slides proiettate a lezione.

Si segnalano i seguenti testi per approfondimento:

Machin D., Campbell M.J. (2005). Design of studies for medical research, Chichester: John Wiley & Sons.

E. Marubini, M.G. Valsecchi (1995). Analysing survival data from clinical trials and observational studies, Chichester: John Wiley & Sons.

Vittinghoff, E., Glidden, D. V., Shiboski, S. C., McCulloch, C. E. (2005). Statistics for biology and health. Regression methods in biostatistics: Linear, logistic, survival, and repeated measures models. New York, NY, US: Springer Publishing Co.

Laird N.M., Lange C. (2011). The fundamentals of modern statistical genetics. New York, NY, US: Springer Publishing Co.

## **Periodo di erogazione dell'insegnamento**

Secondo semestre

## **Modalità di verifica del profitto e valutazione**

L'esame sarà composto da due prove:

- progetto individuale riguardante l'analisi di big data per testare la capacità dello studente nell'applicazione della metodologia di ricerca negli studi clinici. Verrà valutata la capacità dello studente di elaborare un'analisi completa tramite il software R e di saper correttamente interpretare i risultati. Il voto (in trentesimi) peserà per il 60% sul giudizio finale.
- questionario con risposte chiuse a scelta multipla per testare la preparazione sugli aspetti teorici del programma complessivo. Verrà valutata la conoscenza dello studente di alcuni concetti chiave che riguardano sia il disegno che l'analisi degli studi clinici. Il voto (in trentesimi) peserà per il 40% sul giudizio finale.

Non sono previste prove *in itinere*.

## **Orario di ricevimento**

Si riceve su appuntamento da concordare via e-mail.

## **Sustainable Development Goals**

SALUTE E BENESSERE | VITA SULLA TERRA

