UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI DI MILANO-BICOCCA

COURSE SYLLABUS

Statistical Models Applied To Clinical Trials

2526-2-F8203B009

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

- strategia di analisi statistica nell'ambito degli studi clinici di non-inferiorità e degli studi di bioequivalenza

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

1. Simulazioni di dati di uno studio clinico in SAS
2. Modelli per l'analisi di studi clinici con outcome binari e di conteggio
3. Modelli per l'analisi di studi clinici con outcome di sopravvivenza
4. Modelli per l'analisi di studi clinici con outcome continuo misurato sia all’inizio che alla fine dello studio
5. Dimensione campionaria e potenza statistica di uno studio clinico: un approccio basato sulle simulazioni
6. Studi clinici di non-inferiorità e studi di bioequivalenza
7. Modelli per l'analisi di studi clinici con dati correlati

Programma esteso

1. Simulazioni di dati di uno studio clinico 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 studi clinici con outcome binari e di conteggio
2.1 Modello di regressione logistica per l'analisi di eventi singoli
2.2 Modello di Poisson e modello negativo-binomiale per l’analisi di eventi ripetuti

3. Modelli per l'analisi di studi clinici con outcome di sopravvivenza
3.1 Introduzione agli studi clinici con outcome di sopravvivenza
3.2 Curve di sopravvivenza
3.3 Legame tra il modello di Poisson e l'analisi di dati di sopravvivenza mediante il modello esponenziale
3.4. Modelli parametrici e semi-parametrici
3.5. Metodi di analisi di un trial clinico randomizzato in presenza di hazard non proporzionali

4. Modelli per l'analisi di studi clinici con outcome continuo misurato sia all’inizio che alla fine dello studio
4.1 Introduzione agli studi clinici pre-post
4.2 Confronto tra i modelli di analisi di un trial clinico randomizzato pre-post (analisi post, analisi delle differenze, analisi della covarianza, analisi del percent change)

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

6. Studi clinici di non-inferiorità e studi di bioequivalenza
6.1 Differenza tra l'analisi di uno studio clinico di superiorità e l'analisi di uno studio clinico di non-inferirorità
6.2 Gli studi clinici di bioequivalenza: definizioni, outcome utilizzati, e modelli di analisi

7. Modelli per l'analisi di studi clinici con dati correlati
7.1 Introduzione all’analisi dei dati correlati
7.2 Modelli lineari a effetti misti per l’analisi di risposte continue correlate

Prerequisiti

Nessuno

Metodi didattici

Le lezioni potranno essere svolte in due modalità: nella prima, i docenti esporranno i concetti (**modalità erogativa**); nella seconda, i docenti interagiranno con gli studenti proponendo problemi basati su dati clinici reali o fittizi, da svolgere in gruppo utilizzando il software indicato (prevalentemente SAS). Gli studenti svolgeranno e discuteranno i problemi, mentre la correzione sarà effettuata insieme ai docenti (**modalità interattiva**).
Indicativamente, il rapporto tra le ore in modalità erogativa e interattiva sarà di 2:1. Alcune lezioni in modalità erogativa saranno tenute da remoto (con un rapporto indicativo di 1:1 tra lezioni in aula e a distanza).

Modalità di verifica dell'apprendimento

L'esame si svolgerà in un solo giorno e sarà diviso in due sezioni:
- nella prima sezione, si dovrà rispondere per iscritto a domande aperte sugli argomenti del corso;
- nella seconda sezione, al computer, sarà richiesto di impostare uno studio di simulazione in SAS.
In entrambe le sezioni, non sarà possibile consultare alcun tipo di materiale, né accedere al web.

Testi di riferimento

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

Periodo di erogazione dell'insegnamento

Semestre I, Ciclo I

Lingua di insegnamento

Italiano

Sustainable Development Goals

SALUTE E BENESSERE