**Statistische Beratung und Datenanalyse**

**Kompetenzzentrum für Klinische Studien** 

**KKS LINZ**

**(KKS Linz)**

am Zentrum für Klinische Forschung (ZKF) Medizinische Fakultät

T +43 732 2468 3309

[medstat@jku.at](mailto:medstat@jku.at)

jku.at/med/medstat



Vorbereitung für die Durchführung einer Fallzahlplanung mit dem Team Statistik des KKS Linz

Statistische Beratung und Datenanalyse

Vorbereitung für die Durchführung einer Fallzahl-planung mit dem Team Statistik des KKS LINZ

Die Planung einer Studie erfordert die Festlegung ihrer Ziele. Je nachdem, ob diese darin liegen, Informationen zu gewinnen oder eine Entscheidung über eine genau festgelegte Forschungs-hypothese zu treffen, unterscheidet man zwischen exploratorischen und konfirmatorischen Studien bzw. Fragestellungen.

**Konfirmatorische** Studien werden durchgeführt, um eine oder mehrere Hypothesen über den (bzw. eventuell die) Hauptzielparameter zu prüfen. Oft ist es das Ziel einer konfirmatorischen Studie, die Überlegenheit einer neuen Behandlung im Vergleich zu einer Standardbehandlung nachzuweisen.

In einer **Fallzahlplanung** wird die erforderliche Anzahl an Beobachtungen ermittelt, mit der es (unter gegebenen Annahmen) möglich ist, einen Effekt vorgegebener Größe nachzuweisen.

Eine Fallzahlplanung ist für eine konfirmatorische Studie/Fragestellung **zwingend erforderlich.**

Für explorative Studien ist eine Fallzahlplanung, nicht zwingend notwendig bzw. oft auch nicht möglich, weil die dafür erforderlichen Informationen noch nicht vorliegen. In der Studienplanung sind jedoch jedenfalls Angaben zur voraussichtlich erreichbaren Fallzahl bzw. eine **Fahlzahlrechtfertigung** erforderlich.

**Fallzahlplanung für eine konfirmatorische Fragestellung**

* Wenn ein Unterschied in Anteilen nachgewiesen werden soll, sind die Anteile in beiden Gruppen anzugeben
* Für den Vergleich von Mittelwerten eines quantitativen Zielparameters ist anzugeben, ob von einer Normalverteilung ausgegangen werden kann. In diesem Fall ist neben dem nachzuweisenden Unterschied in den Mittelwerten auch die Streuung in Kontroll- und Behandlungsgruppe anzugeben.

Beispiele:

* Der Anteil der erfolgreich behandelten Patient\*innen in der Standardgruppe ist 50%. Nachgewiesen werden soll eine Erhöhung dieses Anteils auf 60% in der Behandlungsgruppe.
* Der Score kann basierend auf den Ergebnissen bisheriger Studien als normalverteilt angesehen werden. Die Standardabweichung ist in beiden Studiengruppen gleich und hat den Wert 2. Da ein Unterschied von 10 Punkten nachgewiesen werden soll, ergibt sich eine nachzuweisende Effektstärke δ von 10/2 = 5.

**Um eine möglichst effiziente Abwicklung der statistischen Beratung für Ihre Fallzahlplanung durch das Team Statistik zu gewährleisten, ersuchen wir Sie die GELB MARKIERTEN TEXTTEILE der nummerierten Fragestellungen für Ihre Studie anzupassen.**

**WICHTIG:** Sollten in Ihrer Studie mehrere Hypothesen / Hauptzielvariablen gleichzeitig getestet werden, müssen die relevanten Angaben (z.B. zur Hauptzielvariable, Null- und Alternativhypothese, Anzahl der Gruppen, wiederholte Messungen, Effektstärke, Literatur) für jede der Hauptzielvariablen angegeben werden.

1. **Hauptzielvariable(n):**

Bitte geben Sie hier Ihre Hauptzielvariable(n) an

1. **Die Hauptzielvariable ist:**

nominal

ordinal

metrisch

Lebensdauer

*2a. Nur für metrische Hauptzielvariable: Ist die Hauptzielvariable normalverteilt?*

Nein  Ja (Angabe von Literatur)

1. **Gibt es in der Studie mehrere Hauptzielvariable?**

Nein  Ja

Wenn ja - wie viele:

Wenn ja - bitte vervollständigen Sie die nachfolgende Tabelle:

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Name der Variable** | **Skalenniveau (nominal, ordinal, metrisch, Lebensdauer)** | **Falls metrisch - Normalverteilt (ja/nein)** |
| Variable 1 | Nominal | NA |
| Variable 2 | Metrisch | Ja (Literatur) |
| Variable 3 | Ordinal | NA |
| … | … | … |

1. **Werden wiederholte Messungen der Hauptzielgröße am/an der selben Patient\*in durchgeführt?**

Nein  Ja

*4a. Wenn ja:*

* Wie viele? XX
* Zu welchen Zeitpunkten: XX

1. **Anzahl der zu vergleichenden Gruppen: XX**
2. **Gruppen: Liste der Gruppen**

**Hypothesen:**

**Die nachzuweisende Hypothese über die Hauptzielvariable ist die Alternativhypothese; die Nullhypothese ergibt sich als Verneinung der nachzuweisenden Hypothese. Üblicherweise sollen Unterschiede nachgewiesen werden, d.h. getestet wird beidseitig.**

Beispiel:

Ein Unterschied im mittleren Score zwischen Studiengruppe *A* und *B* soll nachgewiesen werden

* **Nullhypothese:** Die mittleren Scores in Studiengruppe *A* und *B* sind gleich.
* **Alternativhypothese**: Die mittleren Scores in Studiengruppe *A* und *B* sind ungleich.

Wenn ein Unterschied in nur eine Richtung (größer oder kleiner) nachgewiesen werden soll, wird einseitig getestet.

Beispiel:

Es soll nachgewiesen werden, dass der mittlere Score in Studiengruppe *A* um mindestens 10 Punkte höher als in Studiengruppe *B* ist.

* **Nullhypothese:** Der Score in Studiengruppe *A* ist um **höchstens 10 Punkte** höher als der Score von Studiengruppe *B*.
* **Alternativhypothese**: Der Score von Studiengruppe *A* ist um **mehr als 10 Punkte** höher als der Score von Studiengruppe *B*.

Um nachzuweisen, dass der Unterschied z.B. zwischen 2 Behandlungen hinsichtlich eines gegebenen Outcomes innerhalb einer vorgegebenen Äquivalenzgrenze (Äquivalenzmargin) liegt, ist ein Äquivalenztest durchzuführen.

1. **Hypothesen:** 
   1. **Nullhypothese(n):** Bitte geben Sie hier die Nullhypothese(n) an
   2. **Alternativhypothese(n):** Bitte geben Sie hier die Alternativhypothese(n) an
2. **Art des Tests:** einseitig (größer/kleiner)  zweiseitig (gleich/ungleich)  Äquivalenzprüfung
3. **Signifikanzniveau α: 0.05**
4. **Power (1-β): 0.8**
5. **Angaben zu nachzuweisendem Unterschied, Effektstärke, Äquivalenzmargin etc.:**

Bitte geben Sie hier die entsprechenden Informationen an.

1. **Drop-Out Quote** (Anteil der in die Studie eingeschlossenen Patient\*innen, die nicht bis zur Erfassung des Hauptzielparameters in der Studie verblieben)**:** X **%**
2. **Angabe Literaturliste**: Bitte führen Sie hier ähnliche Studien aus der Literatur an