

# MÉTHODES BIOSTATISTIQUES ET ESSAIS CLINIQUES EN CANCÉROLOGIE

## Finalité

Sensibiliser les biostatisticiens juniors aux méthodes et analyses statistiques en recherche clinique en cancérologie.



## Public

Biostatisticiens juniors BAC+5 et plus

Accessible aux personnes en situation de handicap

Contactez l'Ecole du Cancer



## Pré-requis

Connaissances théoriques des thèmes abordés



## Objectifs pédagogiques

- Expliquer les principales méthodes et analyses statistiques des études cliniques des phases I, II, III en cancérologie
- Appliquer les méthodes sur des exemples concrets : calcul du nombre de sujets, mise en œuvre de statistiques bayésiennes, utilisation de modèles spécifiques, et interprétation des résultats.



## Méthodes pédagogiques

- Méthode affirmative / expositive : apports théoriques par diaporama et illustration à partir d'exemples concrets
- Méthode interrogative : questionnement pendant la formation par les intervenants



## Modalités d'évaluation

- Evaluation prédictive, formative et sommative
- Evaluation de satisfaction du participant
- Evaluation des compétences acquises par le participant à 2 mois
- Evaluation des compétences du participant par son institution à 6 mois



## Intervenants

**Mme Sophie Gourgou** : Biostatisticienne, MSc et Responsable Unité de Biométrie

**Mme Frédérique Berger** : Biostatisticienne, MSc

**Mme Carine Bellera** : Biostatisticienne, PhD

**Mme Célia Touraine** : Biostatisticienne, PhD

**M Derek Dinard** : Biostatisticien, PhD

**M Thomas Filleron** : Biostatisticien, PhD, Responsable Biostatistics & Health Data Science Unit

## INFORMATIONS PRATIQUES

### Formation présentielle



**Jeudi 22 juin 2023**

de 8h45 à 17h30

ET

**Vendredi 23 juin 2023**

de 8h45 à 16h15

**Durée de la session : 14 heures**



ICM

208 avenue des Apothicaires

Parc Euromédecine

34298 Montpellier Cedex 5

Salle de conférence EPIDAURE



**Tarif : 500€ TTC repas compris**



**INSCRIPTIONS :**

<https://ecoleducancer.upility.com/>

**Date limite d'inscription : 12/06/2023**



**RENSEIGNEMENTS :**

[ecoleducancer@icm.unicancer.fr](mailto:ecoleducancer@icm.unicancer.fr)

04 67 61 47 40

# MÉTHODES BIOSTATISTIQUES ET ESSAIS CLINIQUES EN CANCÉROLOGIE

Enseignement présentiel

JOUR 1

## Autopositionnement

### Evaluation des connaissances

Evaluation des connaissances au moyen d'un quiz digitalisé

**Objectif** : Evaluer les connaissances en amont de la formation

8h45 à 9h00

### Autour d'un café

Accueil des participants par Mme Sophie Gourgou

9h00 à 9h30

### Mme Sophie Gourgou

#### Introduction

Présentation des formateurs et des participants ; Présentation de la logistique (horaires, repas) ; Echanges autour des résultats du Quiz autopositionnement et du recueil des attentes ; Exposé du programme et des objectifs

**Objectifs** : Se présenter (intervenants et participants) ; Présenter les modalités de la formation ; Valider l'adéquation avec le programme

9h30 à 11h00

### Mme Frédérique Berger

#### Essais cliniques de phase I

Phase I : Objectif et critères de jugement, définitions MTD et DLT, choix de la dose initiale et des paliers de dose

Schémas d'escalade de dose : basés sur des algorithmes (principe et présentation du design 3+3 avec exemple), basés sur un modèle de relation dose-toxicité (modèles CRM, CRML et autres méthodes bayésiennes)

**Objectifs** : Expliquer les principales méthodes et analyses statistiques des études cliniques de la phase I ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

11h00 à 11h15

## Pause

11h15 à 13h00

### Mme Carine Bellera

#### Essais cliniques de phase II

Phase II : Objectif et critères de jugement, choix des hypothèses a priori

Schémas d'études à un bras de traitement : Gehan, Fleming, Simon, Ensign ; deux critères de jugement (toxicité + efficacité) et deux étapes : Bryant et Day

Schémas d'études randomisées : Groupe témoin

**Objectifs** : Expliquer les principales méthodes et analyses statistiques des études cliniques de la phase II ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

13h00 à 14h00

## Repas

14h00 à 15h15

### M Derek Dinard

#### Essais cliniques de phase II : Approche Bayésienne

Phase II : Approche bayésienne

Introduction aux statistiques bayésiennes (loi a priori, a posteriori, distribution conjuguée, algorithme MCMC...)

Analyse d'essais de phase II avec une approche bayésienne : application pour des critères de jugement binaire

**Objectifs** : Expliquer les principales méthodes et analyses statistiques des études cliniques de la phase II et l'approche Bayésienne ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

15h15 à 15h30

## Pause

15h30 à 17h15

### Mme Sophie Gourgou

#### Essais cliniques de phase III

Phase III : Objectif et critères de jugement, type d'études, principes de randomisation, stratification, insu, analyses intermédiaires

**Objectifs** : Expliquer les principales méthodes et analyses statistiques des études cliniques de la phase III ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

17h15 à 17h30

### Mme Sophie Gourgou

#### Bilan de la 1ère journée

Evaluation des méthodes, du contenu, de la durée, les points positifs et les éventuels axes d'amélioration

**Objectif** : Evaluer la satisfaction et le ressenti des participants sur cette première journée de formation

# MÉTHODES BIOSTATISTIQUES ET ESSAIS CLINIQUES EN CANCÉROLOGIE

Enseignement présentiel

JOUR 2

8h45 à 9h00

**Mme Sophie Gourgou**  
**Accueil et Introduction**

Accueil ; Rappel de l'organisation et du déroulé de la journée ; Echanges et retours sur la journée 1  
**Objectif** : Accueillir et introduire

9h00 à 9h30

**Mme Sophie Gourgou**  
**Les Comités indépendants**

(IDMC/DMSB) : Quand ? Pourquoi ? Comment ?  
**Objectif** : Expliquer les principes et cadre réglementaire des comités indépendants

9h30 à 11h00

**M Thomas Filleron**  
**Analyses de Survie (1)**

Estimateur de Kaplan-Meier, modèle de Cox, hypothèses  
Gestion de la proportionnalité des risques  
Test pondéré  
Modèle Royston Parmar  
**Objectifs** : Expliquer les analyses de survie ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

11h00 à 11h15

**Pause**

11h15 à 13h00

**M Thomas Filleron**  
**Analyses de Survie (2)**

Censure Informative  
Biais d'immortalité  
Variables dépendant du temps  
Risques Compétitifs  
**Objectifs** : Expliquer les analyses de survie ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

13h00 à 14h00

**Repas**

14h00 à 16h00

**Mme Célia Touraine**  
**Analyse des données de la Qualité de Vie**

Recueil de la QdV et critères analysés  
Typologie des données manquantes en QdV  
Aperçu des différentes méthodes d'analyse  
Focus sur les modèles linéaires mixtes pour données longitudinales  
Modèles conjoints  
Approche du temps jusqu'à détérioration  
**Objectifs** : Expliquer l'analyse des données de la Qualité de Vie ; Appliquer les méthodes sur des exemples concrets

16h00 à 16h15

**Mme Sophie Gourgou**  
**Tour de table de la satisfaction**

Evaluation des méthodes, du contenu, de la durée, les points positifs et les éventuels axes d'amélioration  
**Objectif** : Evaluer la satisfaction des participants sur la formation reçue

**Post-Formation**

**Evaluation des acquis de connaissances et de la satisfaction**

Evaluation des acquis de connaissances et de la satisfaction au moyen de questionnaires digitalisés  
**Objectifs** : Evaluer la satisfaction des participants sur la formation reçue et mesurer la progression des connaissances acquises