

## <<临床试验的设计与分析>>

### 图书基本信息

书名：<<临床试验的设计与分析>>

13位ISBN编号：9787811169171

10位ISBN编号：7811169177

出版时间：2010-8

出版单位：北京大学医学

作者：(美)周贤忠//刘仁沛|译者:中国药学会药物临床评价研究专业委员会组织

页数：643

字数：1086000

译者：中国药学会药物临床评价研究专业委员会

版权说明：本站所提供下载的PDF图书仅提供预览和简介，请支持正版图书。

更多资源请访问：<http://www.tushu007.com>

## <<临床试验的设计与分析>>

### 前言

近几年来,有关临床试验的文献资料出现了爆炸性的增长。正如本书第工版指出的,本书旨‘在对指导各类临床试验设计和统计分析的原则和方法学作一个全面而统一的阐述,并简要总结当前各种监管要求和在该领域内最新出现的统计学方法。自1998年发行第工版以来,本书得到了广大临床研究人员的一致认可,并已成为临床研发中广泛使用的参考书和研究生教材。

能为临床研究领域提供一部完整、全面和最新的参考书和教科书是我们不懈追求的目标。

第2版在第1版的基础上作了以下方面的修改。

首先,我们修改或更新了部分章节,从注册审评/审批过程来阐述药物临床试验质量管理规范,并体现出有关临床研究设计和统计分析方面的最新进展。

比如,第2版提供了有关临床试验及其监管的最新要求,特别是自1998年以来ICH(人用药物注册技术要求国际协调会议)发布的临床试验指南。

其次,第2版扩展为15章,新增的多个主题和章节阐述了临床试验中的最新进展。

## <<临床试验的设计与分析>>

### 内容概要

国内引进出版的第一部关于药物临床试验设计与分析的专业著作。

由两位具有丰富理论与实践经验的华裔科学家编著。

作者用通俗的语言阐述了复杂的药学、医学和统计学问题，内容涉及药物研发的基本流程、监管程序和相关要求，以及各临床试验阶段和与之对应的概念、统计学解释、设计和分析的基本原理与基本方法，而且选用了大量的临床试验实例以说明、解读这些基本概念与原理。

充分体现了临床试验设计和统计分析方法的最新进展，如：新的临床试验设计方法和试验类型，包括组群随机化设计、成组序贯设计、安慰剂激发设计、评估者盲法设计(第5章)；优效性试验、阳性对照和等效性/非劣效性试验、量效关系试验、桥接试验和疫苗临床试验(第7章)；等效性和非劣效性试验的样本量确定以及比较变异性(第11章)；抗肿瘤药物临床试验的设计(第6章)；临床试验数据管理(第15章)等。

对于在药物临床研发领域工作或学习的医师、教师、学生及相关研究人员，以及监管机构的相关工作人员，本书是一部非常实用有益，且不可缺少的教材或专业参考书。

## &lt;&lt;临床试验的设计与分析&gt;&gt;

## 书籍目录

## 第1章 概述 1.1 什么是临床试验？

1.2 临床试验的历史 1.3 监管流程和要求 1.4 新药临床试验申请 1.5 新药上市申请 1.6 临床研发和实践 1.7 本书的主旨和结构

第2章 基本统计概念 2.1 引言 2.2 不确定性和概率 2.3 偏倚和变异性 2.4 混杂效应和相互作用 2.5 描述性统计值和推断性统计值 2.6 假设检验和P值 2.7 临床显著性和等效性 2.8 重复性与外延性

第3章 基本设计考虑 3.1 引言 3.2 临床试验目的 3.3 目标人群和患者选择 3.4 对照的选择 3.5 统计学考虑 3.6 其他问题 3.7 讨论

第4章 随机化和设盲 4.1 引言 4.2 随机化模型 4.3 随机化方法 4.4 随机化的执行 4.5 随机对照试验的外延性 4.6 设盲 4.7 讨论

第5章 临床试验设计 5.1 引言 5.2 平行分组设计 5.3 整群随机化设计 5.4 交叉设计 5.5 剂量递增设计 5.6 富集设计 5.7 成组序贯设计 5.8 安慰剂激发设计 5.9 评估者盲法设计 5.10 讨论

第6章 抗肿瘤药物临床试验的设计 6.1 引言 6.2 工期抗肿瘤药物临床试验的一般考虑因素 6.3 单阶段上下法 期研究设计 6.4 工期试验的二阶段上下法设计 6.5 持续再评估法的工期设计 6.6 最佳/可变多阶段设计 6.7 随机化 期设计 6.8 讨论

第7章 临床试验的分类 7.1 引言 7.2 多中心试验 7.3 优效性试验 7.4 阳性对照和等效性/非劣效性试验 7.5 剂量-效应试验 7.6 联合治疗试验 7.7 桥接研究 7.8 疫苗临床试验 7.9 讨论

第8章 连续型数据的统计分析 8.1 引言 8.2 估计 8.3 统计学检验方法 8.4 方差分析 8.5 协方差分析 8.6 非参数检验 8.7 重复方法 8.8 讨论

第9章 分类数据分析 9.1 引言 9.2 单样本统计推断 9.3 独立样本推断 9.4 有序分类数据 9.5 合并分类数据 9.6 基于模型的方法 9.7 重复分类数据 9.8 讨论

第10章 截尾数据和期中分析 10.1 引言 10.2 生存函数的估计 10.3 生存函数之间的比较 10.4 COX比例风险模型 10.5 日历时间和信息时间 10.6 成组序贯方法 10.7 讨论

第11章 样本量确定 11.1 引言 11.2 基本概念 11.3 双样本 11.4 多重样本 11.5 截尾数据 11.6 剂量-效应研究 11.7 交叉设计 11.8 等效性试验和非劣效性试验 11.9 抗肿瘤药物临床试验的多阶段设计 11.10 变异性比较 11.11 讨论

第12章 疗效评价问题 12.1 引言 12.2 基线比较 12.3 意向治疗原则和疗效分析 12.4 协变量校正 12.5 多中心试验 12.6 多重性 12.7 数据监查 12.8 应用遗传信息评价疗效 12.9 重新估计样本量 12.10 讨论

第13章 安全性评估 13.1 引言 13.2 暴露程度 13.3 不良事件的编码 13.4 不良事件分析 13.5 实验室数据的分析 13.6 讨论

第14章 临床试验方案的制订和实施 14.1 引言 14.2 试验方案的结构和组成 14.3 试验方案制订和起草过程中考虑的要点和常见问题 14.4 方案实施过程中的常见偏离 14.5 监查、稽查和视察 14.6 临床试验质量评估 14.7 讨论

第15章 临床数据管理 15.1 引言 15.2 法规要求 15.3 病例报告表的设计 15.4 数据库的开发 15.5 数据的录入、质疑和更正 15.6 数据的验证和质量 15.7 数据库的锁定、存档和转移 15.8 讨论

参考文献附录A 表格附录B SAS程序汉英对照术语表英汉对照术语表

## &lt;&lt;临床试验的设计与分析&gt;&gt;

## 章节摘录

如上一章节所述,一般而言,FDA要求进行两项充分的、良好对照的临床试验以证明药品的有效性和安全性。

成功地进行良好对照的临床试验取决于设计良好的试验方案。

设计良好的试验方案中描述了如何进行临床试验,以确保试验中收集的临床数据的质量。

根据高质量的临床数据,可使用适当的统计方法对药品的有效性和安全性进行可靠和无偏评估。

Spilker (1991)指出,对临床试验的计划阶段的关注越大,则按期望进行临床试验的可能性越大。

在本章节中,我们将描述在计划、设计、执行、分析和报告等阶段中出现的可对成功进行临床试验产生较大影响的几个基本统计概念和问题。

这些基本统计概念包括,不确定性和概率、偏倚和变异性、混杂和相互作用、描述性统计以及使用假设检验和P值的推断性统计。

在医学界,关于特定疾病,例如AIDS的临床研究尚且存在许多未知之处。这些未知或不确定性常常是临床科学家需要特别关注的科学问题。

一旦明确阐述不确定性相关的科学问题,则需要通过临床试验来提供科学或临床证据,从而在统计学角度解决不确定性。

在某些潜在的概率分布假设下,根据从目标患者人群的有代表性的样本中收集的临床数据可进行统计推断。

为了在期望的准确度和可靠性下对不确定性进行可靠的统计评估,在任何情况下,统计方法和估算程序必须具备无偏性和最小变异性。

事实上,计划良好的统计设计可避免产生不必要的偏倚和减少临床试验期间的潜在变异性。

在某些临床试验中,设计因素如人种和性别,可能对所研究药物的临床评估的统计推断产生影响。

在这种情况下,需要慎重确定可能存在的混杂和/或相互作用,并将其与治疗效应分离,从而对该研究药物进行可靠和无偏的临床评估。

完成临床试验后,可对研究期间收集的临床数据进行描述性总结,从而快速回顾临床结果,或对其进行分析,从而提供相关临床终点的统计推断。

描述性统计值通常可提供潜在治疗效应的有用信息。

可靠的统计推断方法(例如假设检验和P值)可有一定把握度地证实这些信息。

<<临床试验的设计与分析>>

版权说明

本站所提供下载的PDF图书仅提供预览和简介，请支持正版图书。

更多资源请访问:<http://www.tushu007.com>