

# Puissance conditionnelle lors de l'analyse intermédiaire en essai clinique

vendredi 17 novembre 2023 14:55 (25 minutes)

**Introduction** – L'analyse intermédiaire (AI) lors d'un essai clinique peut permettre d'évaluer le critère de jugement principal avant le recrutement ou la fin de suivi de l'ensemble des patients. Cela mène à l'arrêt précoce ou à la poursuite de l'essai. Cette étape inclut notamment l'évaluation de la puissance conditionnelle (PC, probabilité d'obtenir un résultat significatif à la fin de l'étude, conditionnellement aux hypothèses initiales et aux données collectées à l'AI). Notre objectif est de fournir les éléments nécessaires et suffisants au calcul de cette PC, ainsi que ses propriétés.

**Méthodes** – Trois zones sont définies pour étudier la PC : 1) une zone défavorable à la poursuite de l'essai, 2) une zone prometteuse à la poursuite après réévaluation du nombre de patients, et 3) une zone favorable à la poursuite dans les conditions initiales. A partir des données d'un essai clinique randomisé contrôlé en réanimation, l'évolution de la PC est explorée selon le nombre total de patients inclus et la différence observée de critère de jugement (binaire) entre les deux bras de traitement au moment de l'AI.

**Résultats** – La PC est positivement associée au nombre de patients total inclus à l'AI. La marge de différence entre randomisation et critère de jugement principal au moment de l'AI puis finale est plus importante. Une PC calculée lors de l'AI considérée dans la zone prometteuse a de plus grande chance de conduire à une puissance théorique finale élevée. Néanmoins, nous n'avons pas pu mettre en évidence d'association directe entre PC et significativité de la différence de critère de jugement en fin d'étude. Enfin, la PC peut être calculée au global ou par sous-groupe d'intérêt.

**Conclusion** – L'exploration des propriétés de la PC a mené à l'élaboration de fiches de bonnes pratiques pour des statisticiens.

**Mots-clés** - Essai clinique, analyse intermédiaire, puissance conditionnelle

**Auteur principal:** MURRIS, Juliette (HeKA, Inserm, Inria Paris)

**Co-auteurs:** Mlle MEGRET, Maud (ENSAI); Prof. KATSAHIAN, Sandrine (Assistance Publique-Hôpitaux de Paris URC APHP.Centre - INSERM CIC1418-EC - INSERM-INRIA HeKA)

**Orateur:** Mlle MEGRET, Maud (ENSAI)

**Classification de Session:** Inférence causale et essais cliniques