

# Sommaire

---

|                    |    |
|--------------------|----|
| Préface .....      | V  |
| Avant-propos ..... | XV |

## Partie 1 Généralités : de la description à l'inférence

|   |    |
|---|----|
| Chapitre 1. Distributions statistiques .....  | 3  |
| <i>V. Berger, C. Guérin-Charbonnel</i>  |    |
| Chapitre 2. Statistiques descriptives .....   | 13 |
| <i>B. Lacas, E. Karamouza, A. Laplanche, E. Benhamou</i>                                |    |
| Chapitre 3. Compréhension des tests statistiques.....                                   | 23 |
| <i>B. Pereira</i>   |    |
| Chapitre 4. Quand dit-on qu'une différence est statistiquement<br>significative ? ..... | 31 |
| <i>A. Maillard, C. Hill, A. Laplanche</i>   |    |
| Chapitre 5. Statistiques bayésiennes .....  | 35 |
| <i>P. Roy, R. Porcher</i>   |    |

## Partie 2 Études et essais cliniques : critères et designs

|  |    |
|--|----|
| Chapitre 6. Phases de développement pour l'évaluation des tests<br>médicaux et des technologies de santé diagnostiques ..... | 49 |
| <i>P. Perez, C. Bellera, C. Mollevi</i>  |    |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 7. Critères de réponse.....</b>  | <b>85</b>  |
| <i>T. Filleron, R. Porcher</i>   |            |
| <b>Chapitre 8. Critères de tolérance.....</b>  | <b>97</b>  |
| <i>S. Gourgou, A. Kramar, L. Poignie</i>   |            |
| <b>Chapitre 9. Critères de qualité de vie relative à la santé.....</b>   | <b>107</b> |
| <i>C. Mollevi, A. Anota, E. Chamorey</i>   |            |
| <b>Chapitre 10. Validation des critères de substitution.....</b>   | <b>121</b> |
| <i>X. Paoletti, C. Bellera</i>   |            |
| <b>Chapitre 11. Planification d'un essai de phase I.....</b>   | <b>137</b> |
| <i>X. Paoletti, M. Ezzalfani, E. Chamorey</i>  |            |
| <b>Chapitre 12. Mise en œuvre d'un essai clinique de phase II.....</b>   | <b>151</b> |
| <i>B. Pereira, S. Mathoulin-Pélissier</i>  |            |
| <b>Chapitre 13. Mise en œuvre d'un essai clinique de phase III.....</b>  | <b>173</b> |
| <i>S. Mathoulin-Pélissier, A. Kramar, S. Gourgou</i>   |            |
| <b>Chapitre 14. Essais randomisés en clusters.....</b>   | <b>195</b> |
| <i>B. Giraudeau, B. Pereira</i>  |            |
| <b>Chapitre 15. Essais à plusieurs bras et plusieurs étapes<br/>(MAMS).....</b>                                      | <b>207</b> |
| <i>D. Dinart, L. Richert, X. Paoletti</i>  |            |
| <b>Chapitre 16. Essais de type plateforme, panier (<i>basket</i>),<br/>parapluie (<i>umbrella</i>).....</b>          | <b>215</b> |
| <i>X. Paoletti, D. Dinart</i>  |            |
| <b>Chapitre 17. Spécificités des essais cliniques en chirurgie.....</b>  | <b>233</b> |
| <i>S. Mathoulin-Pélissier, S. Gourgou</i>  |            |
| <b>Chapitre 18. Les spécificités des essais en radiothérapie.....</b>  | <b>241</b> |
| <i>S. Gourgou, L. Roca</i>   |            |
| <b>Chapitre 19. Spécificités des essais cliniques pour la population<br/>des personnes âgées avec un cancer.....</b> | <b>247</b> |
| <i>S. Mathoulin-Pélissier, S. Gourgou, A. Galvin</i>   |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 20. Les comités indépendants de surveillance des essais thérapeutiques : rôle et modalités de fonctionnement .....</b> | <b>255</b> |
| <i>F. Castan, B. Asselain, A. Kramar</i>   |            |

|   |            |
|---|------------|
| <b>Chapitre 21. Gestion des données .....</b>     | <b>263</b> |
| <i>L. Roca, R. Schiappa, C. Berneur-Morisseau</i> |            |

### **Partie 3**

### **Études et essais cliniques : analyses**

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 22. Modèles statistiques pour l'évaluation des tests médicaux et des technologies de santé diagnostiques .....</b> | <b>293</b> |
| <i>C. Mollevi, P. Perez, C. Bellera</i>  |            |

|   |            |
|---|------------|
| <b>Chapitre 23. Suivi et surveillance .....</b> | <b>307</b> |
| <i>T. Filleron, C. Cropet</i>                   |            |

|   |            |
|---|------------|
| <b>Chapitre 24. Facteurs pronostiques et prédictifs de la réponse à un traitement .....</b> | <b>321</b> |
| <i>X. Paoletti, S. Michiels</i>   |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 25. Analyses multiples .....</b> | <b>335</b> |
| <i>A. Bardet, S. Chabaud</i>                 |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 26. Données de survie.....</b>                   | <b>351</b> |
| <i>L. Campion, C. Bellera, V. Seegers, A. Blanc-Lapierre</i> |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 27. Modèle de Cox pour données de survie .....</b> | <b>371</b> |
| <i>J.M. Boher, C. Zemmour, F. Kwiatkowski</i>                  |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 28. Événements à risque compétitif .....</b> | <b>383</b> |
| <i>T. Filleron, J.M. Boher, C. Bellera, R. Giorgi</i>    |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 29. Méta-analyse d'essais randomisés .....</b>                     | <b>403</b> |
| <i>E. Ollier, S. Chabaud, C. Chapelle, A. Aupérin, S. Laporte, J.P. Pignon</i> |            |

|  |            |
|--|------------|
| <b>Chapitre 30. L'évaluation médico-économique en cancérologie .....</b> | <b>417</b> |
| <i>J. Bonastre, A.G. Le Corroller, A. Bénard</i>                         |            |

|   |            |
|---|------------|
| <b>Chapitre 31. Données manquantes .....</b>  | <b>429</b> |
| <i>B. Cuer, C. Touraine, C. Mollevi</i>   |            |
| <b>Chapitre 32. Plan d'analyse statistique et rapport d'analyse<br/>d'essai clinique.....</b> | <b>439</b> |
| <i>S. Gourgou, A. Savignoni, E. Mouret-Fourme, F. Castan</i>                                  |            |

## **Partie 4**

### **Données de grande dimension : génomique et vie réelle**

|   |            |
|---|------------|
| <b>Chapitre 33. Données de vie réelle pour la recherche clinique :<br/>le Système national des données de santé<br/>et la Cohorte Cancer.....</b> | <b>453</b> |
| <i>C. Le Bihan-Benjamin, P. Tuppin, S. Foulon, P.J. Bousquet</i>  |            |
| <b>Chapitre 34. Données de vie réelle en oncologie .....</b>  | <b>465</b> |
| <i>D. Pérol, M. Ezzalfani, M. Robain</i>  |            |
| <b>Chapitre 35. <i>Machine learning</i> : illustration pour la technologie<br/>des puces à ADN.....</b>   | <b>479</b> |
| <i>J. Gal, J. Gilhodes</i>  |            |