



Grundbegriffe der Statistik für Pharma & Healthcare

Sehr geehrte Leser*innen,

ein fundiertes Verständnis klinischer Daten und statistischer Methoden ist für Fach- und Führungskräfte in der pharmazeutischen Industrie unerlässlich.

Statistik bildet die Grundlage, um den medizinischen und ökonomischen Wert eines Produkts wissenschaftlich fundiert zu belegen und überzeugend zu kommunizieren. Sie ermöglicht es, Studien korrekt zu interpretieren, Hypothesen zu prüfen und sowohl Signifikanz als auch Relevanz von Ergebnissen zu bewerten.

Dieses Whitepaper vermittelt Ihnen auf verständliche und kompakte Weise die wichtigsten statistischen Grundbegriffe.

Autor: Marion Ocak

Marion Ocak ist seit über 25 Jahren im Bereich klinischer Forschung (Clinical Research) tätig und verfügt über umfangreiche Erfahrung in der Planung, Durchführung und Auswertung präklinischer und klinischer Studien für Auftraggeber aus der veterinär- und humanpharmazeutischen Industrie sowie für Contract Research Organizations (CROs). Ihr beruflicher Schwerpunkt liegt auf biometrischer Planung, statistischer Analyse und Interpretation von Studienergebnissen gemäß internationalen Leitlinien (u. a. ICH-E9, VICH, EMA und FDA-Guidelines).



Warum Statistik in der pharmazeutischen Industrie unverzichtbar ist

Um den medizinischen und ökonomischen Wert eines Produkts überzeugend darzustellen und dessen Marktzugang zu sichern, müssen Sie klinische Studien korrekt interpretieren und kommunizieren können. Die Statistik ist dabei Ihr wichtigstes Werkzeug, da sie die Sprache der Evidenz spricht.

In Medical Affairs geht es darum, fundierte, wissenschaftlich belegte Antworten auf medizinische Fragestellungen zu geben. Dies erfordert das Verständnis, wie Studien Hypothesen überprüfen – von der Aufstellung einer Nullhypothese (H_0) bis hin zur statistischen Widerlegung, um die Alternativhypothese (H_1) zu stützen. Es ist entscheidend, zu erkennen, ob eine Studie darauf abzielt, eine bereits festgelegte Annahme zu beweisen (Konfirmative Studien), oder ob sie lediglich neue Ideen generiert (Explorative Studien).

Für Market Access ist die Statistik unverzichtbar, um den Wert und die Kosteneffizienz eines neuen Therapeutikums gegenüber Kostenträgern und Health Technology Assessment (HTA)-Organisationen zu belegen. Dabei reicht es nicht aus, nur zu wissen, ob ein Ergebnis statistisch signifikant ist. Sie müssen beurteilen, wie groß oder wichtig der Effekt tatsächlich ist – hier kommen Relevanzmaße (Effektgrößen) wie die Odds Ratio (OR) ins Spiel.

Von der Signifikanz zur Robustheit

Ein solides Verständnis statistischer Konzepte ermöglicht es Ihnen, fundierte und robuste/belastbare Entscheidungen zu treffen, indem Sie die Risiken des Alpha-Fehlers (fälschliche Annahme eines Effekts) und des Beta-Fehlers (Übersehen eines echten Effekts) abwägen. Darüber hinaus benötigen Sie zur Bewertung der Präzision eines Ergebnisses die Konfidenzintervalle (KI), welche den Bereich angeben, in dem der wahre Wert mit einer bestimmten Wahrscheinlichkeit liegt. Schließlich helfen Sensitivitätsanalysen zu prüfen, ob die Studienergebnisse auch dann Bestand haben, wenn kleine Änderungen an der Analysemethode vorgenommen werden.

Nachfolgende erhalten sie eine kompakte Übersicht statistischer Grundbegriffe für Ihren Berufsalltag:

Datentyp: Die Art der Information, die wir sammeln, nennen wir Datentyp. Er entscheidet, welche Werkzeuge wir nutzen können.

- **Quantitative Variablen** (messbare Werte, die in Zahlen angegeben werden z.B. Gewicht in Kilogramm, Größe in Zentimetern oder Prozentwerte)
- **Qualitative Variablen** (beschreiben Merkmale/Kategorien, die keine direkten Messgrößen sind),
 - Mit Reihenfolge (Ordinal-skaliert), z.B. Schulnoten oder Schweregrad (mild/mittel/schwer).
 - Ohne Reihenfolge (Nominal-skaliert), z.B. Blutgruppe oder Geschlecht.

Verteilungen: Eine Verteilung zeigt uns, wie die einzelnen Werte in unseren Daten verteilt sind.

- Symmetrisch (wie eine Glocke) versus schief (mit einem „Schwanz“ auf einer Seite).
- Sie kann auch nur einen „Gipfel“ oder mehrere „Gipfel“ haben. Manchmal gibt es auch einzelne Werte, die stark abweichen (sogenannte „Ausreißer“).
- Normalverteilung: Sie ist wie eine perfekt symmetrische Glockenkurve.

Statistische Tests: Je nach Datentyp und Verteilung wählen wir den passenden Test.

- **Parametrische Tests** (für messbare, normalverteilte Daten), z.B. t-Test, Varianzanalyse (ANOVA), Lineare Regression oder die Pearson-Korrelation für den linearen Zusammenhang
- **„Nicht-parametrische“ Tests** (für alle Datentypen, besonders wenn keine Normalverteilung vorliegt), z.B. Mann-Whitney-U-Test, Wilcoxon-Test, Chi-Quadrat-Test, Kruskal-Wallis-Test oder die Spearman-Korrelation für den monotonen Zusammenhang

Hypothesen: Statistische Tests helfen uns, Annahmen zu überprüfen.

- **Nullhypothese (H_0).** Das ist die Annahme, dass es keinen Unterschied oder keinen Zusammenhang gibt. Ziel ist es, diese Nullhypothese statistisch zu widerlegen.
- Wenn uns das gelingt, können wir sagen, dass unsere **Alternativhypothese (H_1)** – also, dass es einen Unterschied gibt – wahrscheinlich stimmt.

- **Wichtig:** Wenn wir die Nullhypothese nicht widerlegen können, heißt das aber nicht, dass sie wahr ist. Es bedeutet nur, dass wir keinen ausreichenden Beweis für einen Unterschied gefunden haben.

Konfidenzintervalle: Ein p-Wert sagt uns nur, ob ein Unterschied statistisch signifikant ist – aber nicht, wie genau die Schätzung ist.

- Ein **Konfidenzintervall (KI)** gibt einen Bereich an, in dem der wahre Wert einer Kennzahl (z. B. Mittelwert, Effektgröße) mit einer bestimmten Wahrscheinlichkeit (z. B. 95 %) liegt.

Die häufigsten Fehler – Alpha (α) und Beta (β):

Bei statistischen Entscheidungen gibt es immer ein gewisses Risiko, sich zu irren.

- **Alpha-Fehler** (Fehler 1. Art / Patientenrisiko): Das ist das Risiko, fälschlicherweise zu glauben, es gäbe einen Effekt oder Unterschied, obwohl in Wirklichkeit keiner da ist. Üblich ist ein Risiko von maximal 5% (das sogenannte Signifikanzniveau).
- **Beta-Fehler** (Fehler 2. Art / Sponsorenrisiko): Das ist das Risiko, einen echten Effekt zu übersehen und fälschlicherweise anzunehmen, es gäbe keinen Unterschied, obwohl er tatsächlich existiert. Üblich ist ein Beta-Fehler von 10-20%.

Relevanzmaße: Es reicht nicht immer aus, nur zu wissen, ob ein Unterschied „statistisch signifikant“ ist. Wir wollen auch wissen, wie groß oder wichtig (medizinisch relevant) dieser Unterschied tatsächlich ist. Dafür gibt es sogenannte Relevanzmaße (**Effektgröße**).

- Mittelwertvergleiche: Cohan's d, η^2 (Eta-Quadrat)
- Bei 2x2-Tabellen (Ja/Nein-Entscheidungen): Ratendifferenz, Risikoverhältnis (RR), Odds Ratio (OR)
- Überlebenskurven: Hazard Ratio (HR)
- Nicht-parametrisch: Hodges-Lehmann-Kennwert, Mann-Whitney-Kennwert (MW)

Konfirmative Studien: Beweisen vorher festgelegte Annahmen (Hypothese). Sie haben die höchste statistische Aussagekraft und sind oft teuer und aufwendiger (z.B. Phase-III-Studien).

Explorative Studien: Wollen neue Ideen finden und herausfinden, welche Effekte es überhaupt gibt (hypothesengenerierend). Sie sind günstiger und kürzer, können aber keine Ursache-Wirkung-Beziehungen beweisen.

Sensitivitätsanalysen: Diese Analysen prüfen, ob die Ergebnisse der Studie immer noch gelten und robust sind, wenn man kleine Änderungen an der Analyse vornimmt. Das kann zum Beispiel der Umgang mit fehlenden Daten, Verwendung verschiedener Datasets oder die Nutzung alternativer statistischer Verfahren sein.

Passende Weiterbildungen finden Sie hier:

Seminare zu Pharma & Healthcare

Wir bieten Ihnen maßgeschneiderte Weiterbildungsoptionen für die gesamte Healthcare-Branche. Wir konzipieren unsere Weiterbildungen gründlich recherchiert und nach didaktischen Gesichtspunkten. Wir garantieren fachlich hochwertige Weiterbildung für Ihren Erfolg – unsere ISO-Zertifizierungen nach 9001 und 21001 unterstreichen dies. [Jetzt informieren.](#)

e-Learning – Klicken und Lernen

Das FORUM Institut bietet mit hochwertigen e-Learning-Programmen eine flexible Weiterbildungsform. Entscheiden Sie selbst, wann und wo Sie lernen. [Jetzt informieren und testen.](#)

Inhouse-Seminare – Maßgeschneiderte Lösungen

Alle unsere Seminare eignen sich auch hervorragend als [Inhouse-Training](#). [Jetzt individuelles Angebot anfordern.](#)