

Abstract

Hypothesis tests for covariate-adjusted group comparisons in small-sample size settings

Bei Interventionsstudien (z.B. bei randomisierten kontrollierten klinischen Studien) werden oft primär mehrere Gruppen von Personen bezüglich einer uni- oder multivariaten Zielgröße verglichen. Häufig wird ein solcher Vergleich für zusätzliche Variablen adjustiert: Diese sind zwar nicht von vorrangigem Interesse, beeinflussen jedoch die Zielgröße eventuell und sollten folglich bei der Auswertung berücksichtigt werden. Die parametrische Kovarianzanalyse (ANCOVA) ist eine Standard-Methode, um eine solche Adjustierung vorzunehmen. Im Kontext von Studien zu seltenen Krankheiten (z.B. Querschnittlähmung), bei Pilotstudien, oder allgemein bei kleinen Fallzahlen ist es allerdings quasi unmöglich, die zugrundeliegenden Modellannahmen zuverlässig zu prüfen. Deshalb besteht das Ziel der vorliegenden Dissertation darin, statistische Methoden zu untersuchen, die robust gegenüber der Verletzung bestimmter Annahmen sind. Abgesehen von verschiedenen Techniken der Datenanalyse werden auch Methoden zur Fallzahlberechnung betrachtet. Die Asymptotik der vom Autor vorgeschlagenen Hypothesentests für die uni- und multivariate Kovarianzanalyse wird bewiesen, und die Simulationen zeigen, dass diese Tests den bereits bekannten klassischen Ansätzen überlegen sind. Ferner stellt die in der vorliegenden Arbeit betrachtete Fallzahl-Rekalkulations-Methode eine bedenkenswerte Möglichkeit dar, um sogar im Fall von fehlerhaften Annahmen, die vor Beginn der Studie getroffen wurden, sowohl gute Power-Eigenschaften als auch die Einhaltung des Typ-I-Fehlerniveaus sicherzustellen. Der abschließende Vergleich eines rangbasierten Verfahrens mit einem Permutations-Ansatz mag als Anhaltspunkt für etwaige weitere Forschungen dienen.