

## AG Jahresbericht

### AG Querschnittsinitiative *Querschnittsinitiative Causal Inference*

Sprecher\*innen: Uwe Siebert

Berichtszeitraum: September 2022 bis August 2023

Aktivitäten:

#### 1. Gemeinsamer Herbstworkshop der AGs GMDS, DGEpi, IBS-DR & DGSMP 2022 , "Data Quality and Initial Data Analysis"



- Der Herbstworkshop zum Thema „Data Quality and Initial Data Analysis“ wurde gemeinsam mit den AGs „Statistische Methoden in der Medizin“ (IBS-DR), „Statistische Methoden in der Epidemiologie“ (IBS-DR, DGEpi), „Statistische Methodik in der klinischen Forschung“ (GMDS) und „Epidemiologische Methoden“ (DGEpi, GMDS, DGSMP) am 17. und 18.11.2022 in Kooperation mit NFDI4Health und TMF e.V durchgeführt (<https://www.nfdi4health.de/community/veranstaltungen/item/157-workshop-data-quality-and-initial-data-analysis.html>)

Dieses Thema wurde gewählt, um das Paradoxon im Umgang mit der Datenqualität in den Health & Life Sciences zu beleuchten: Einerseits wird das Erreichen einer hohen Datenqualität als wesentlich für valide wissenschaftliche Schlussfolgerungen angesehen. Auf der anderen Seite wird der Definition, der Bewertung und der Berichterstattung über die Datenqualität nur unzureichende Aufmerksamkeit geschenkt. Trotz zahlreicher einschlägiger theoretischer und angewandter Arbeiten fehlt es meist an entsprechenden Standards. Erschwerend kommt hinzu, dass weder die Bewertung noch die daraus resultierende Datenqualität von Datenstellen in der Regel transparent sind und das Thema in der akademischen Lehre vergleichsweise wenig Beachtung findet.

Dieser Workshop bestand daher aus zwei Teilen: zunächst einem theoretischen Teil zu Definitionen von Datenqualität und Datenqualitätsrahmen. Eingeladene Vorträge befassten sich mit dem Umgang mit Datenqualität in Forschungsdatensammlungen (Carsten Oliver Schmidt), elektronischen Gesundheitsakten (Clair Blacketer), der Bedeutung von gemeinsamen Datenmodellen (CDMs) zur Erleichterung von Datenqualitätsbewertungen (Matthias Löbe) sowie einer Einführung in die Facetten erster Datenanalysen (IDA, Marianne Hübner). Der zweite Teil befasste sich mit Werkzeugen, Statistik und Anwendungsbeispielen zur Bewertung der Datenqualität und allgemeiner Dateneigenschaften. In den Vorträgen wurden Übersichten über Datenqualitätssoftware (Lisa Ehrlinger) und zugehörige R-Pakete (Joany Marino, Elisa Kasbohm) sowie Präsentationen frei verfügbarer R-Pakete (Richard Iannone, Stephan

Struckmann) und statistische Anwendungen für Dateninspektionen zur Vorbereitung anschließender statistischer Analysen (Georg Heinze, Lara Lusa) vorgestellt. Die Vorträge über Software umfassten auch praktische Demonstrationen. Weitere interessante eingereichte Beiträge zum Thema IDA ergänzten den Workshop.

Organisator\*innen des Herbstworkshops waren: Sigrid Behr, Ralph Brinks, Sarah Friedrich, Juliane Hardt, Verena Hoffmann, Antje Jahn, Ulrike Krahn, Anne Lotz, Philipp Mildenerger, Ann-Kathrin Ozga, Kerstin Rubarth, Nicole Rübsamen, Carsten Oliver Schmidt, Irene Schmidtmann, Uwe Siebert und Maria Stark für die Arbeitsgruppen.

## **2. Vorbereitung gemeinsamer Herbstworkshop der AGs GMDS, DGEpi, IBS-DR & DGSMP 2023 "Causal Machine Learning"**

- Für das Jahr 2023 wurde der jährliche Herbstworkshop der Arbeitsgruppen "Statistische Methoden in der Medizin" (IBS-DR), "Statistische Methoden in der Epidemiologie" (IBS-DR, DGEpi), "Statistische Methoden in der klinischen Forschung" (GMDS) und "Epidemiologische Methoden" (DGEpi, GMDS, DGSMP) vorbereitet. Der Workshop findet am 9. und 10. November 2023 in Mainz zum Thema "Causal Machine Learning" statt. Organisator\*innen sind: Sigrid Behr, Ralph Brinks, Stella Erdmann, Manuel Feißt, Sarah Friedrich, Juliane Hardt, Anne Lotz, Philipp Mildenerger, Tim Mori, Kerstin Rubarth, Nicole Rübsamen, Irene Schmidtmann, Uwe Siebert und Alexandra Strobel für die Arbeitsgruppen.

Uwe Siebert aus der Querschnittinitiative „Causal Inference“ der DGEpi kam die Aufgabe zuteil, die internationalen Keynote Speakers anzusprechen. Es konnten zwei renommierte Speaker für die Keynote Lectures gewonnen werden: Nicholas Latimer (Professor of Health Economics, <https://www.sheffield.ac.uk/smph/nicholas-latimer>) und Noemi Kreif (Senior Research Fellow, <https://www.york.ac.uk/che/staff/research/noemi-kreif/>).

Neben den eingeladenen Keynote Lectures wird zu weiteren Beiträgen zum Workshopthema eingeladen. Detailinformation zu Programm, Anmeldung und Einreichung von Abstracts werden auf Social Media (Twitter/X, LinkedIn), z.B. unter [twitter.com/Herbstworkshops](https://twitter.com/Herbstworkshops) und unter <https://www.unimedizin-mainz.de/smde/aktuelles.html> sowie über die Verteiler der einzelnen AGs veröffentlicht.

## **3. 5-tägige Online-Veranstaltung „Causal Inference for Assessing Effectiveness in Real World Clinical Trials: A Practical Hands-on Workshop“**

- Von 31.01.-04.02.2023 fand die 5-tägige Online-Veranstaltung „Causal Inference for Assessing Effectiveness in Real World Data and Clinical Trials: A Practical Hands-on Workshop“ statt. Die Veranstaltung wurde vom AG-Sprecher Uwe Siebert geleitet und von der DGEpi beworben. Es nahmen über 30 Teilnehmer:innen aus verschiedenen Ländern teil. Die Veranstaltung soll im Jahr 2024 wiederholt werden.

## **4. Virtual ISPOR Asia Pacific Summit 2022**

- Mitglieder der DGEpi Querschnittsinitiative „Causal Inference“ veranstalteten auf dem Virtual ISPOR Asia Pacific Summit 2022 am 20. September 2022 einen Workshop zu „Target Trial Emulation in Health Economics and Outcomes Research: Opportunities and

Challenges“ (<https://www.ispor.org/conferences-education/conferences/past-conferences/ispor-asia-pacific-2022>).

Das Ziel des Workshops war, einen Überblick zu geben über die Herausforderungen von Real-World-Evidence (RWE) für die Verwendung in Health Technology Assessment (HTA). Es wurden erörtert das Risiko verschiedener potenzieller Verzerrungen bei RWE und das Konzept der Target Trial Emulation, um diesen Verzerrungen Rechnung zu tragen. Drei Referenten präsentierten das Konzept der Target Trial Emulation, Beispiele und Herausforderungen bei der Anwendung dieses Konzept auf Daten aus der realen Welt sowie deren Akzeptanz in HTA-Organisationen, gefolgt von einer Diskussion mit dem Publikum. Der Schwerpunkt des Workshops lag dabei auf der Erörterung der Frage, wie unverzerrte kausale RWE gewonnen werden kann. Der Workshop bestand aus vier Teilen: (1) Felicitas Kühne gab einen Überblick über das Konzept der Target Trial Emulation und erläuterte, wie dieses Konzept mögliche Verzerrungen bei RWE berücksichtigt; (2) Uwe Siebert stellte Fallbeispiele der praktischen Anwendung von Target Trial Emulationen vor und beleuchtete diese kritisch; (3) Isao Kamae zeigte die Potenziale, Erwartungen und Herausforderungen bei der Anwendung des Target Trial-Konzepts für RWE im HTA-Prozess auf; und (4) es folgte eine aktive Einbindung der Teilnehmenden in die Diskussion und mit Hilfe von Polls wurde die Meinung des Publikums zu den diskutierten Themen eingeholt.

## 5. Short Courses, Lectures and Keynotes

- SMDM 2022:  
Auf der internationalen Jahrestagung der Society for Medical Decision Making (SMDM) 2022 in Seattle, WA, USA wirkten Mitglieder der Querschnittsinitiative Causal Inference am 23.10.2022 an einem englischsprachigen Short Course zum Thema "Causal Inference and Causal Diagrams in Medical Decision Making Using Big Real World Observational Data and Pragmatic Trials“ mit (Course Faculty: Uwe Siebert, Felicitas Kühne, Douglas E. Faries). Es nahmen Teilnehmer:innen aus verschiedenen Ländern teil.  
Web: <https://smdm.org/meeting/44th-annual-north-american-meeting>
- ESMDM 2023:  
Auf der europäischen Jahrestagung der Society for Medical Decision Making (ESMDM) 2023 in Berlin hielten Mitglieder der Querschnittsinitiative Causal Inference am 21.05.2023 einen englischsprachigen Short Course zum Thema "Causal Diagrams, Target Trial Emulation and Causal Inference in Medical Decision Making – Theory and Application in Real World Observational Data and Pragmatic Trials“. Es nahmen Teilnehmer:innen aus verschiedenen Ländern teil (Course Faculty: Uwe Siebert, Felicitas Kühne, Lara Hallsson).  
Web: <https://smdm.org/meeting/18th-biennial-european-conference1>
- Annual Cochrane Meeting Portugal 2022:  
Für das Cochrane Portugal Annual Meeting 2022 am 15. Dezember 2022 in Porto mit dem Topic „Real World Data and Evidence-based Decision Making: Present and Future, Promises and Challenges“ wurde Uwe Siebert eingeladen, um die Keynote Address zum Thema „Using Real-World Data to Answer Causal Questions and to Inform Medical Decision Making and Health Technology Assessment – Evolving Methodological Concepts, Promises and Challenges“ zu halten. Die Inhalte wurden anschließend im Rahmen eines Roundtable Discussion Panels diskutiert. Diskutanten waren: Luís Filipe Azevedo (Moderator, Director of the Porto Associate Centre of Cochrane Portugal), Uwe

Siebert (Chair of the Dept. of Public Health, Health Services Research and Health Technology Assessment, UMIT TIROL, Austria), Melanie Calvert (University of Birmingham and Director of the Centre for Patient Reported Outcomes Research, UK), Jesper Kjær (Co-chair of the European Medicines Agency Big Data Steering Group and Director of the Data Analytics Centre at the Danish Medicines Agency, Denmark) und Kenneth Quinto (Senior Medical Advisor in the Real World Evidence Analytics Staff at the Office of Medical Policy at FDA's Center for Drug Evaluation and Research, USA).  
Web: <https://portugal.cochrane.org/noticias-e-eventos>

- Toronto Health Economics and Technology Assessment THETA Collaborative:  
Uwe Siebert wurde von der Toronto Health Economics and Technology Assessment THETA Collaborative eingeladen zu einer Keynote Lecture „Causal Diagrams for Health and Life Scientists“ am 5. Mai 2023 im Rahmen der THETA Rounds (<https://theta.utoronto.ca/theta-rounds>).  
Eine der wichtigsten Aufgaben von Forschern in den Health & Life Sciences ist die Unterstützung von Entscheidungsträgern durch die Bereitstellung von kausalen Interpretationen aus statistischen, epidemiologischen oder gesundheitsökonomischen Analysen von Beobachtungsdaten und Daten aus der realen Welt. Diese Lecture gab eine Einführung in die Prinzipien der Kausalität und die Verwendung von Kausaldiagrammen. Insbesondere wurden gerichtete azyklische Graphen (DAGs) verwendet, um (1) ein logisches und visuelles Werkzeug für das Verständnis von Assoziation und Kausalität bereitzustellen, (2) zu erkennen, ob ein kausaler Effekt angesichts der beobachteten Daten geschätzt werden kann oder nicht (Identifizierbarkeit), und (3) zu entscheiden, welche statistischen Methoden zur Lösung der kausalen Forschungsfrage geeignet sind (z. B. traditionelle Regressionsanalyse oder g-Methoden). Das theoretische Konzept wurde auf klinische Forschungsfragen angewandt. Es wurden mögliche Anwendungen von DAGs und Fragen aus dem Publikum diskutiert.

## 6. Internationales

- European Conference der Society for Medical Decision Making 2023:  
Der Leiter der Querschnittsinitiative „Causal Inference“ wurde nominiert als Co-Chair der European Conference der Society for Medical Decision Making 2023 (ESMDM23), die von 21.-23. Mai 2023 in Berlin mit dem Topic ‚Linking Research to Evidence-Based Action for Patients, Providers and Policy Decision Makers‘ stattfand. Im Rahmen dieser Konferenz wurden in diversen Vorträgen, Poster und einem Short Course die Herausforderungen kausaler Modellierung diskutiert.  
Weitere Information: <https://smdm.org/meeting/18th-biennial-european-conference1>

**Hall in Tirol, 31.08.2023**  
**Uwe Siebert**