

Von SAS Anwendern für SAS Anwender: Neue PhUSE Projekte rund um die pharmazeutische Forschung und Entwicklung

Beate Hientzsch
HMS Analytical Software
GmbH

Otto-Volger Straße 3c
65843 Sulzbach
beate.hientzsch@phuse.eu

Sascha Ahrweiler
Bayer Pharma AG

Building 0470, 342
42096 Wuppertal
sascha.ahrweiler@phuse.eu

Zusammenfassung

Vor mehr als 10 Jahren hat PhUSE (Pharmaceutical Users Software Exchange) sich zum Ziel gesetzt, firmenunabhängigen Austausch von Wissen und Erfahrungen rund um statistische Programmierung, Biostatistik, Datenmanagement und Softwareentwicklung zu ermöglichen. Daraus ist eine globale Gemeinschaft von Freiwilligen aus Pharmafirmen, CROs und Hochschulen entstanden, die in vielen internationalen Projekten diese Idee mit zukunftsweisenden Inhalten füllt. Das hat unter anderem zur Zusammenarbeit mit den verantwortlichen Behörden geführt und das gemeinsame Verständnis der zahlreichen und sich verändernden Herausforderungen verbessert. Dies hat PhUSE zur Stimme der Industrie zwischen Standardorganisationen (z.B. CDISC) und Zulassungsbehörden (z.B. FDA, PMDA, EMA) gemacht.

Schlüsselwörter: PhUSE, Clinical Data Science, Future Forum, Computational Science Symposium, statistische Programmierung, Biostatistik, Datamanagement

1 Was ist PhUSE?

PhUSE (Pharmaceutical Users Software Exchange) wurde im Jahr 2004 durch Veteranen ins Leben gerufen, die davon überzeugt waren, dass es einen großen und industrieweiten Bedarf für Statistische Programmierer in der Pharmabranche gibt, sich über Ideen und Einschätzungen und zukünftige Entwicklungen auszutauschen und zu beraten. So ist PhUSE mit nur 10 Gründungsmitgliedern gestartet, die 2005 die erste Konferenz in Heidelberg (Deutschland) mit bereits 270 Teilnehmern aus 12 Ländern organisierten. Inzwischen hat PhUSE erfolgreich 12 Jahrestagungen in Europa, 5 Computational Science Symposien in USA und fast 100 Single Day Events weltweit organisiert. Für 2018 ist die erste jährliche, mehrtägige Konferenz in den USA geplant.

PhUSE ist aber viel mehr als Konferenzen und hat sich sukzessive zu einer globalen Gemeinschaft entwickelt, die relevante Themen im Bereich Clinical Data Science, also statistische Programmierung, angewandte Statistik und Datamanagement aktiv voranbringt und mitgestaltet.



Abbildung 1: Logo von PhUSE

Durch das kontinuierliche und stetig wachsende Engagement von Freiwilligen bietet die Nonprofit-Organisation PhUSE der Industrie eine exzellente Plattform, um Ideen, Tools und Standards rund um klinische Daten und Auswertungstechnologien zu teilen und weiterzuentwickeln. Experten setzen sich leidenschaftlich für Fortschritte bei der Wertschöpfung aus klinischen Informationen ein. Eine Übersicht, wie Freiwillige sich bei der PhUSE engagieren können, findet sich online im YouTube Kanal von PhUSE unter <https://www.youtube.com/watch?v=ZxWG1xi3GZU>. Dabei sind die Prinzipien von PhUSE essentiell: Alle Vorträge, Diskussionen und Initiativen sind unabhängig von geschäftlichen Interessen und einzig und allein inhaltlich angetrieben. Es geht um Austausch von Wissen und Ideen, Mitgestaltung der Zukunft der Gesundheitsbranche und letztendlich und vor allem um die Interessen der Patienten.

2 Mitgliedschaft und Organisation

2.1 Mitglieder

PhUSE hat sich seit 2005 zur inzwischen weltweit größten, global vernetzten Gesellschaft für Clinical Data Scientists in der Pharma- und Gesundheitsbranche entwickelt. Ende 2016 waren es über 7000 Mitglieder, davon die Mehrzahl in den USA, gefolgt von Europa und Asien. Das kontinuierliche Wachstum ist dem Schaubild zu entnehmen:

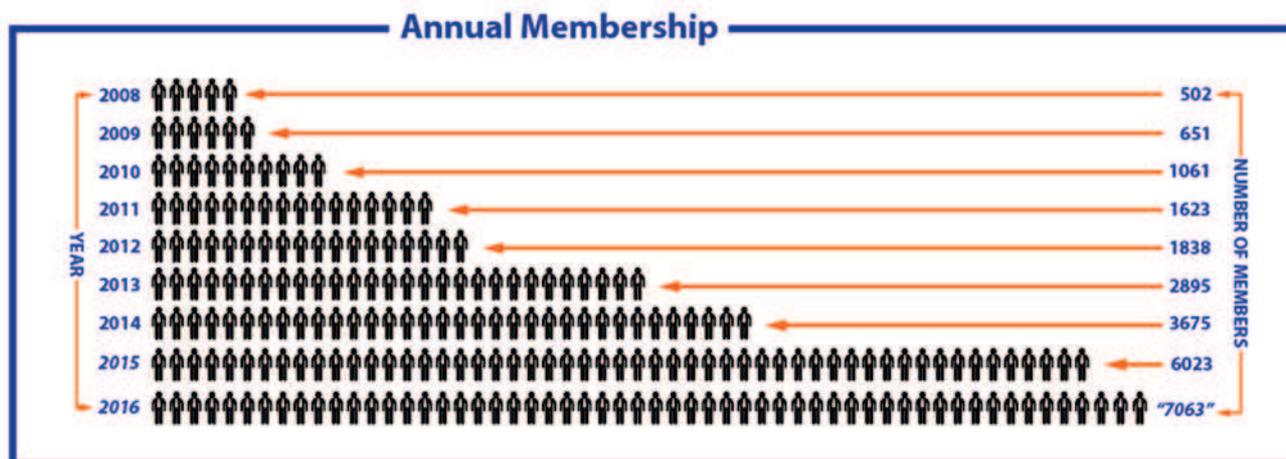


Abbildung 2: PhUSE Mitgliederzahlen pro Jahr seit Einführung eines Mitgliedschaftsmodells im Jahr 2008

2.2 Leitung und Organisation

Das “Board of Directors (BoD)“ steuert alle Aspekte von PhUSE, die Konferenzen, Mitgliedschaften, die Öffentlichkeitsarbeit, die Leitungsgremien der diversen Arbeitsgruppen sowie die Vernetzung innerhalb der Industrie und mit Behörden und stellt so strukturierte Wachstumsmöglichkeiten der Organisation sicher. Im Laufe der Jahre und dank steigender Mitgliederzahlen wurde das PhUSE BoD den aktuellen Anforderungen angepasst.

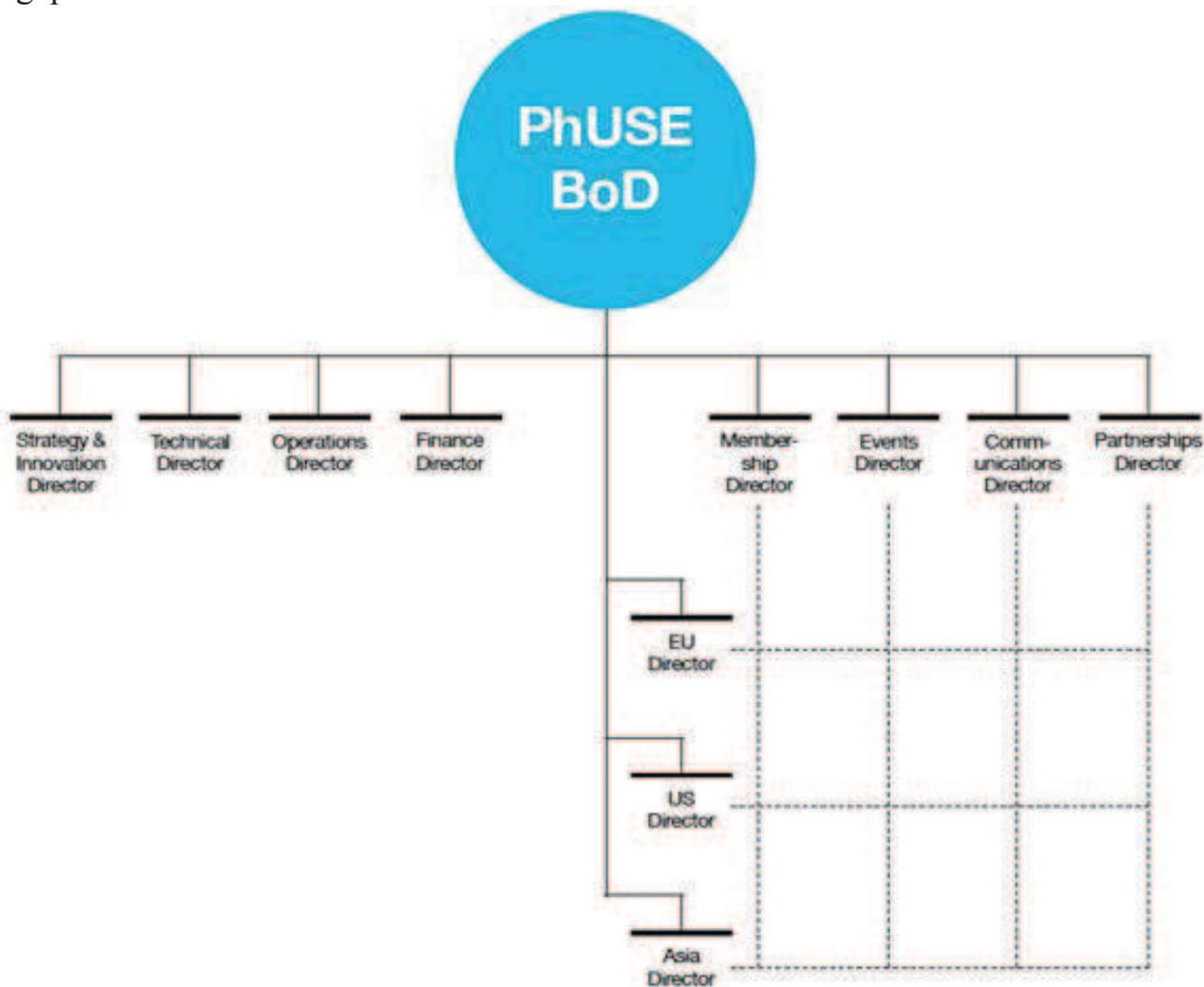


Abbildung 3: Struktur des PhUSE „Board of Directors“ (Stand März 2017)

2.3 Plattformen für globale Zusammenarbeit

- Konferenzen und Events
- Online
- Veröffentlichungen

3 Projekte und Arbeitsgruppen

Aufgrund kontinuierlicher Veränderungen und wachsenden Anforderungen in der pharmazeutischen Industrie sind unter dem Dach von PhUSE diverse Arbeitsgruppen entstanden, die sich mit aktuellen Themen und Fragestellungen befassen. Beim PhUSE BoD laufen alle Initiativen und Informationen zusammen. PhUSE stellt den Arbeitsgruppen die entsprechenden Plattformen zum Austausch zur Verfügung und sorgt dafür, dass Arbeitsgruppen sich regelmäßig, virtuell oder persönlich treffen können.

Darüber hinaus werden über das PhUSE BoD regelmäßige Webinare initiiert, in denen die Mitglieder aktuelle Informationen und Updates aus den Arbeitsgruppen erhalten.

Seit der Gründung von PhUSE wurden Projekte initiiert, die von Freiwilligen geleitet und mit Inhalten gefüllt wurden und werden. Dies reicht von der Erstellung einer firmenunabhängigen Good Programming Practise Guideline, über die Definition von KPIs (Key Performance Indicators), bis hin zu Initiativen, die eng mit Behördenvertretern an Implementierung und Weiterentwicklung von Guidelines und Industriestandards arbeiten, wie zum Beispiel für die Veröffentlichung von Studiendaten.

3.1 Computational Science Steering Committee

Durch enge Zusammenarbeit mit Behörden, insbesondere der FDA, Organisationen und der Industrie bringt das PhUSE Computational Science Symposium (CSS) Themen rund um Clinical Data Science global zukunftsweisend voran.

Gesteuert durch das Computational Science Steering Committee werden aktuelle Themen in diversen Arbeitsgruppen adressiert, wodurch Implementierungslösungen, Standards und Richtlinien entstanden sind.

Beispiele, die die maßgebliche Beteiligung von PhUSE zeigen, sind die neuen, behördlich geforderten Reviewer's Guides SDRG (Study Data Reviewer's Guide) und ADRG (Analysis Data Reviewer's Guide), die als verbindende Dokumentationen mit den elektronischen Daten und den Datenbeschreibungen eingereicht werden. Die Computational Science Arbeitsgruppen haben mehrere White Paper zu Themen wie angewandte statistische Methoden publiziert. Diese sind unter <http://www.phuse.eu/css-deliverables> zu finden.

3.2 Future Forum Steering Committee

Mit der Fragestellung „Die Vision von Clinical Data Science - wo werden wir in 2025 sein“, hat sich eine Gruppe von engagierten und erfahrenen Managern aus verschiedenen Firmen in der Gesundheitsbranche auseinandergesetzt und Kernthemen für die Zukunft von klinischer Entwicklung und Data Science identifiziert. Diese werden jetzt sukzessive in neue Projekte umgesetzt. Schwerpunkte liegen derzeit auf Fragestellungen rund um „Prozesse“ und „Interoperabilität & Technologie“.

3.3 Partnerschaften

Im Laufe der Jahre hat sich PhUSE zur Stimme der Industrie gegenüber Zulassungsbehörden und anderen Organisationen, entwickelt.

Dazu gehören:

- Food & Drug Administration (FDA)
- European Medicines Agency (EMA)
- Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA)
- Clinical Data Interchange Standards Consortium (CDISC)

Aufbauend auf der Zusammenarbeit PhUSE/CSS/FDA hat PhUSE maßgeblich den Übergang zu CDISC konformen Dateneinreichungen mitgestaltet. Durch die Übersetzung der Dokumente ins Japanische nicht nur für Einreichungen bei der FDA, sondern auch bei der PDMA.

Die Relevanz von PhUSE wurde bei der EMA durch die aktive Beteiligung am Portal für Klinische Studien der Europäischen Union und an Treffen der Interessensgruppen deutlich.



Abbildung 4: Übersicht der PhUSE Arbeitsgruppen

4 Konferenzen und Events

Persönliche Interaktion ist der Eckpfeiler von PhUSE.

4.1 Jährliche PhUSE Konferenz

Die jährliche, europäische PhUSE Konferenz verknüpft seit 2005 alle PhUSE Aktivitäten und lädt zum Vernetzen ein. Nach Heidelberg im Jahr 2005 fanden die jährlichen Konferenzen in anderen europäischen Metropolen statt: Dublin, Lissabon, Manchester, Basel, Berlin, Brighton, Budapest, Brüssel, London, Wien und Barcelona. Im Jahr 2017 wird die Konferenz in Edinburgh sein. Neben der Möglichkeit Kollegen und Freunde zu treffen, werden die Konferenzen durch Keynotes von Sprechern innerhalb oder außerhalb der pharmazeutischen Industrie, Vertretern von Behörden oder Patienten inhaltlich ausgerichtet. Sorgfältig ausgewählte und vorbereitete Präsentationen und Poster in verschiedenen Streams, die im Anschluss an die Konferenz veröffentlicht werden, geben Gelegenheit zur Auseinandersetzung mit aktuellen Themen und zur Diskussion. Zudem bieten die Konferenzen den Rahmen für Treffen von Arbeitsgruppen, für Diskussionsrunden und andere Initiativen, wie z.B. dem Austausch mit Studenten von lokalen Universitäten.

Im Jahr 2018 ist nun ein weiterer großer Schritt geplant: Es wird die erste jährliche mehrtägige Konferenz in USA, Raleigh, NC stattfinden.

4.2 Single Day Events

Single Day Events (SDEs) finden seit 2009 regional in Europa, USA und Asien statt. Durch die räumliche Nähe und die zeitliche Begrenzung auf einen Tag geben sie allen PhUSE Mitgliedern die Chance zum Austausch über aktuelle Themen. Single Day Events richten sich in der Organisation und den inhaltlichen Themen nach den regionalen Anforderungen und Gegebenheiten. Ihre Attraktivität steigt kontinuierlich, sodass PhUSE im Mai 2017 den 100. Single Day Event feiern kann. Insgesamt finden im Jahr 2017 21 Single Day Events, 6 in USA, 7 in Europa und 8 in Asien statt.

4.3 Computational Science Symposium

Seit 2012 trifft sich jährlich während des Computational Science Symposium in der Nähe von Washington, D.C. (USA) die Industrie mit der FDA. Fokus dieser Konferenzen ist es, einen Rahmen für Arbeitsgruppen zu geben, in denen sich Behörden- und Industrievertreter mit aktuellen Themen und Herausforderungen der Industrie auseinandersetzen und Lösungen und Standards erarbeiten. Aufgrund der Erfolge in USA fand 2016 die erste europäische CSS Konferenz in Basel statt.

5 Ressourcen und Informationen

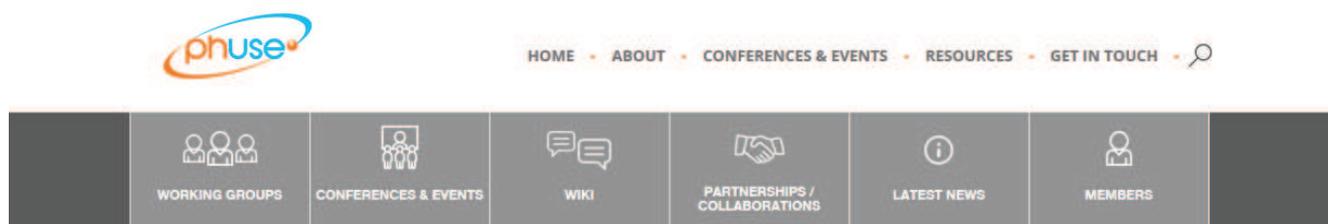


Abbildung 5: Einstieg in die PhUSE Webseite

Alle Informationen rund um PhUSE, Newsletter, Präsentationen, Paper, Poster, White Paper und andere Ergebnisse sind unter <http://www.phuse.eu> frei verfügbar.

Die PhUSE Onlineplattformen stellen Werkzeuge für weltweite Interaktionen und Zusammenarbeit zur Verfügung.

Zudem kann jede und jeder auf das PhUSE Wiki, Webinare und das Archiv von Postern und Präsentationen, Veröffentlichungen und andern Ressourcen zugreifen.

PhUSE ist auf sozialen Medien wie Twitter (@PhUSETwitta) und Facebook (PhUSEbook) vertreten, sowie über die PhUSE APP, die kostenfrei vom AppStore for iOS und Playstore für Android heruntergeladen werden kann.

6 Zusammenfassung und Ausblick

PhUSE ist eine global wachsende Gemeinschaft, die, unabhängig von Firmen- oder individuellen Interessen dazu beitragen will, die Zukunft der Gesundheitsbranche im Sinne der Patienten mitzugestalten. Jede/jeder, der daran interessiert ist Wissen zu teilen, von anderen zu lernen, sich an Arbeitsgruppen zu beteiligen und Einfluss zu nehmen oder einfach mehr über PhUSE zu erfahren, kann weitere Information auf der PhUSE-Webseite finden oder PhUSE Mitglieder direkt ansprechen.