

Στατιστική σε κλινικές δοκιμές: Πληθυσμοί δείγματος

Εισαγωγή

Οι στατιστικές μέθοδοι παρέχουν επίσημη αναφορά για τις πηγές μεταβλητότητας όσον αφορά την ανταπόκριση των ασθενών σε μια θεραπεία. Η χρήση στατιστικής επιτρέπει στον κλινικό ερευνητή να εξάγει λογικά και ακριβή συμπεράσματα από τις συλλεχθείσες πληροφορίες και να λαμβάνει σωστές αποφάσεις σε περίπτωση αβεβαιότητας. Η στατιστική είναι το κλειδί για την πρόληψη σφαλμάτων και μεροληψίας στην ιατρική έρευνα. Αυτό το άρθρο καλύπτει την επιλογή των πληθυσμών δείγματος για κλινικές δοκιμές.

Πληθυσμοί δείγματος

Σε μια κλινική δοκιμή, στόχος είναι να ληφθούν πληροφορίες σχετικά με την επίδραση μιας θεραπείας σε έναν συγκεκριμένο πληθυσμό ασθενών. Προφανώς οι ερευνητές δεν μπορούν να χορηγήσουν μια θεραπεία σε ολόκληρο τον πληθυσμό, καθώς δεν θα ήταν δεοντολογικά ή οικονομικά βιώσιμο, οπότε μια κλινική δοκιμή επιλέγει ένα δείγμα από τους πληθυσμούς των ασθενών.

Ο υπολογισμός του μεγέθους του δείγματος είναι η πράξη προσδιορισμού του κατάλληλου αριθμού ασθενών που πρέπει να συμπεριληφθούν σε μια κλινική δοκιμή. Προφανώς, όσο περισσότεροι ασθενείς συμμετέχουν σε μια δοκιμή τόσο πιο αξιόπιστα θα είναι τα συμπεράσματα. Ωστόσο, για μεγαλύτερες μελέτες απαιτούνται περισσότεροι πόροι (από άποψη χρηματοδότησης και δέσμευσης των ασθενών) και έτσι θα μπορούσε να αυξηθεί ο αριθμός των ασθενών που εκτίθενται σε πιθανώς αναποτελεσματικές ή ακόμη και επικίνδυνες θεραπείες.

Υποθέτοντας, λοιπόν, ότι διεξάγεται μια δοκιμή, τι μας λένε οι

παρατηρούμενες επιδράσεις σε ένα δείγμα για την επίδραση της θεραπείας στον πληθυσμό; Σε αυτό το σημείο εισάγεται ο όρος της «στατιστικής συμπερασματολογίας», πιο συγκεκριμένα μέσω της έννοιας του ελέγχου υποθέσεων.

Τι επηρεάζει τον υπολογισμό του μεγέθους του δείγματος;

- **Ο σχεδιασμός της κλινικής δοκιμής** – Οι διάφορες φάσεις των δοκιμών έχουν διαφορετικές απαιτήσεις και το μέγεθος του δείγματος προσαρμόζεται ανάλογα.
- **Η επιλογή των πρωτεύοντων καταληκτικών σημείων** – Τα πρωτεύοντα καταληκτικά σημεία είναι τα κύρια αποτελέσματα που μελετώνται στο τέλος μιας μελέτης ώστε να διαπιστωθεί αν η θεραπεία λειτούργησε.
- **Οι υποθέσεις της έρευνας** – Το μέγεθος της επίδρασης της στοχευμένης θεραπείας στην «εναλλακτική υπόθεση» (η αξιοπιστία του αποτελέσματος, ελλείψει καλύτερης έκφρασης) είναι κρίσιμης σημασίας. Το μέγεθος του δείγματος μειώνεται όσο αυξάνεται το αναμενόμενο αποτέλεσμα. Υπό αυτήν την έννοια, η επίδραση της νέας θεραπείας θα πρέπει να είναι αρκετά μεγάλη ώστε να έχει ιατρική αξία, πείθοντας έτσι την ιατρική κοινότητα ότι θα πρέπει να υιοθετηθεί παρά το πρόσθετο κόστος και τυχόν παρενέργειες κ.λπ.
- **Ποσοστό σφαλμάτων τύπου I και τύπου II** – Θα μπορούσε να θεωρήσει κανείς ότι το ποσοστό σφαλμάτων τύπου I θα πρέπει πάντα να είναι πολύ χαμηλότερο από το ποσοστό σφαλμάτων τύπου II. Αυτό ισχύει σίγουρα για τις κλινικές δοκιμές φάσης III. Στις δοκιμές φάσης II, ωστόσο, ο κίνδυνος να παραβλεφθεί ένα αποτελεσματικό φάρμακο θεωρείται πιο προβληματικός σε αυτό το σημείο της διαδικασίας ανάπτυξης φαρμάκων.
- **Πόροι** – Η διαθεσιμότητα των ασθενών και οι οικονομικοί περιορισμοί μπορεί να περιορίσουν το μέγεθος του δείγματος μιας κλινικής δοκιμής.

A2-4.34.1-v1.2