

Статистика в клинических исследованиях: Выборка пациентов

Введение

Статистические методы обеспечивают формальный учет факторов, вызывающих различные реакции пациентов на лечение. Использование статистики позволяет специалистам, проводящим клинические исследования, формировать рациональные и точные выводы на основе полученной информации и обосновывать решения в неоднозначных случаях. Статистика лежит в основе предотвращения ошибок и погрешностей при проведении медицинских исследований. В этой статье рассказывается о формировании выборки пациентов для клинических испытаний.

Выборка пациентов

Любое клиническое испытание проводится с целью получить информацию об эффекте применяемого лечения для определенной группы пациентов. Безусловно, исследователи не могут применить курс лечения для всего населения, ввиду того, что это неоправданно ни с этической, ни с финансовой точек зрения, поэтому в ходе клинического испытания производится выборка из всех групп пациентов.

При определении размеров выборки определяется количество пациентов, необходимое для проведения клинического испытания. Следует еще раз отметить очевидность того, что чем больше пациентов участвуют в испытании, тем более достоверными являются его результаты. Однако более масштабные исследования требуют большего количества ресурсов (с точки зрения финансового обеспечения и участия пациентов), и при их

проведении может возрасти количество пациентов, подвергаемых потенциально неэффективному или даже опасному лечению.

В этой связи что можно сказать об эффекте от лечения для всего населения с учетом изучения эффекта от лечения в определенной выборке пациентов? Именно здесь вступают в действие «статистический анализ», то есть, выражаясь более конкретно, происходит проверка гипотезы.

От чего зависит определение размера выборки?

- **Дизайн клинического испытания** – различные фазы испытаний имеют разные требования, и размеры выборки корректируются соответственно этим требованиям.
- **Выбор основных конечных точек** – основные конечные точки представляют собой главные результаты, которые изучаются в конце исследования с целью выяснить, подействовало ли лечение.
- **Исследовательские гипотезы** – решающую роль играет величина, или сила, эффекта адресной терапии согласно «альтернативной гипотезе». Размер выборки уменьшается по мере того, как увеличивается ожидаемый эффект. В данном случае новый метод лечения должен быть достаточно эффективным, чтобы быть оправданным с медицинской точки зрения, с тем чтобы медицинское сообщество удостоверилось в целесообразности его применения, несмотря на дополнительные расходы и побочные эффекты.
- **Частота ошибок 1-го и 2-го типов** – легко предположить, что частота возникновения ошибок 1-го типа должна всегда быть гораздо ниже, чем частота возникновения ошибок 2-го типа. Безусловно, это характерно для клинических испытаний 3 фазы. Однако, при текущем положении дел в сфере разработки лекарственных препаратов при проведении исследований 2 фазы наиболее острая проблема заключается в риске не обнаружить эффективный лекарственный

препарат.

- **Ресурсы** – наличие пациентов и финансовые ограничения могут сократить размер выборки при проведении клинического испытания.

A2-4.34.1-v1.2