

# **A estatística nos ensaios clínicos: Populações da amostra**

## **Introdução**

Os métodos estatísticos contabilizam formalmente as fontes de variabilidade nas respostas dos doentes ao tratamento. A utilização da estatística permite ao investigador clínico chegar a inferências razoáveis e precisas a partir da informação recolhida e tomar decisões sólidas na presença de incertezas. A estatística é fundamental para prevenir erros e desvios na investigação médica. Este artigo aborda a seleção de populações da amostra para ensaios clínicos.

## **Populações da amostra**

Num ensaio clínico, o objetivo é obter informação sobre o efeito de um tratamento numa determinada população de doentes. Obviamente, os investigadores não podem administrar um tratamento a toda a população, uma vez que não seria viável nem ética nem financeiramente. Como tal, um ensaio clínico seleciona uma amostra das populações de doentes.

O cálculo do tamanho da amostra é a ação de determinar o número adequado de doentes a incluir num ensaio clínico. Mais uma vez, obviamente, quantos mais doentes forem incluídos num ensaio, mais fiáveis serão as conclusões. No entanto, os estudos de maior dimensão requerem mais recursos (em termos de compromisso económico e de doentes) e poderão aumentar o número de doentes expostos a tratamentos potencialmente ineficazes ou inclusive perigosos.

Ou seja, assumindo que um ensaio é realizado a partir dos

efeitos observados numa amostra, o que é que se pode dizer sobre o efeito do tratamento na população? É aqui onde entra a “inferência estatística”, mais especificamente, através do conceito de teste de hipóteses.

## **O que influência do cálculo do tamanho da amostra?**

- **O desenho do ensaio clínico** – as diferentes fases dos ensaios têm requisitos diferentes, pelo que os tamanhos da amostra deverão ser ajustados em conformidade.
- **A escolha do(s) parâmetro(s) de avaliação primário(s):** – os parâmetros de avaliação primários são os resultados principais que são estudados no final do estudo para ver se o tratamento funcionou.
- **A hipótese de investigação** – a magnitude do efeito do tratamento alvo da “hipótese alternativa” (a intensidade do efeito, à falta de melhor frase) é fundamental. O tamanho da amostra diminui à medida que o efeito esperado aumenta. Neste sentido, o efeito do novo tratamento deverá ser relevante o suficientemente para que valha a pena do ponto de vista médico, para convencer a comunidade médica de que deveria ser adotado apesar dos custos adicionais, dos efeitos secundários, etc.
- **Taxa de erros do tipo I e II** – poderia pensar-se que a taxa de erros do tipo I teria que ser sempre muito inferior à do taxa de erros do tipo II. E isto é verdade nos ensaios clínicos de Fase III. No entanto, nos ensaios de Fase II, o risco de perder um medicamento eficaz é considerado mais problemático nesta fase do processo de desenvolvimento de um medicamento.
- **Recursos** – a disponibilidade dos doentes e as restrições financeiras podem limitar o tamanho da amostra de um ensaio clínico.

A2-4.34.1-v1.2