

# **La estadística en los ensayos clínicos: Muestras de población**

## **Introducción**

Los métodos estadísticos contabilizan formalmente las fuentes de variabilidad en las respuestas de los pacientes al tratamiento. El uso de la estadística permite al investigador clínico llegar a conclusiones razonables y precisas a partir de la información recogida, y sondear decisiones cuando escasean las certezas. La estadística es clave a la hora de prevenir errores y sesgos en la investigación médica. Este artículo abarca la selección de muestras de poblaciones para ensayos clínicos.

## **Muestras de población**

En un ensayo clínico, el objetivo es obtener información sobre el efecto de un tratamiento en una determinada población de pacientes. Obviamente, los investigadores no pueden administrar un tratamiento a toda la población; ya que no sería viable ni ética ni económicamente. Por ello, el ensayo clínico selecciona una muestra de las poblaciones de pacientes.

El cálculo del tamaño de la muestra es la acción de determinar el número adecuado de pacientes a incluir en un ensayo clínico. De nuevo, obviamente, cuantos más pacientes se incluyan en el ensayo, más fiables serán las conclusiones. Sin embargo, los estudios de mayor tamaño requieren más recursos (en términos de compromiso económico y de pacientes) y podrían aumentar el número de pacientes expuestos a tratamientos

potencialmente ineficaces o incluso peligrosos.

O sea que, si asumimos que se realiza un ensayo, a partir de los efectos observados en una muestra, ¿qué podemos decir sobre el efecto del tratamiento en la población? Aquí es donde entra en juego la «inferencia estadística»; más específicamente, mediante el concepto de contraste de hipótesis.

## ¿Qué hay detrás del cálculo del tamaño de la muestra?

- **El diseño del ensayo clínico:** las diferentes fases de los ensayos presentan diferentes requisitos, por lo que hay que ajustar los tamaños de muestra en consecuencia.
- **La elección de criterio(s) de valoración primario(s):** los criterios de valoración primarios son el/los resultado(s) principal(es) que se estudia(n) al final del estudio para ver si ha funcionado el tratamiento.
- **Las hipótesis de investigación:** la magnitud del efecto del tratamiento buscado en la «hipótesis alternativa» (la intensidad del efecto, por así decirlo) es crítica. El tamaño de la muestra disminuye según aumenta el efecto esperado. En este sentido, el efecto del nuevo tratamiento debería ser lo suficientemente relevante para que valga la pena médicamente, para convencer a la comunidad médica de que debería adoptarse a pesar de los costes adicionales, los efectos secundarios, etc.
- **Tasa de errores de tipo I y II:** podría imaginarse que la tasa de errores de tipo I tendría siempre que ser muy inferior a la de tipo II. Y así es, desde luego, en los ensayos clínicos de fase III. En los ensayos de fase II, sin embargo, el riesgo de perder un medicamento eficaz se considera más problemático en este punto del proceso de desarrollo de un fármaco.
- **Recursos:** la disponibilidad de pacientes y las

restricciones económicas pueden limitar el tamaño de la muestra de un ensayo clínico.

A2-4.34.1-v1.2