

# La statistica negli studi clinici: Popolazioni campione

## Introduzione

I metodi statistici forniscono un resoconto formale delle cause della variabilità nelle risposte dei pazienti al trattamento. L'uso della statistica consente al ricercatore clinico di sviluppare deduzioni ragionevoli e accurate a partire dalle informazioni ottenute e di assumere decisioni affidabili in presenza d'incertezza. Nella ricerca medica, i dati statistici sono fondamentali per impedire errori e distorsioni. Il presente articolo si occupa della selezione delle popolazioni campione negli studi clinici.

## Popolazioni campione

L'obiettivo di uno studio clinico è ottenere informazioni riguardo all'effetto di un trattamento in una certa popolazione di pazienti. Ovviamente, i ricercatori non possono somministrare un trattamento a tutta la popolazione, cosa che non sarebbe praticabile dal punto di vista etico o finanziario, perciò uno studio clinico seleziona un campione dalle popolazioni di pazienti.

Il calcolo delle dimensioni del campione è l'individuazione del numero idoneo di pazienti da includere in uno studio clinico. Di nuovo, quanto più elevato è il numero di pazienti che partecipa a una sperimentazione, tanto più affidabili saranno ovviamente le conclusioni; tuttavia, studi più grandi hanno bisogno di maggiori risorse (in termini di impegno finanziario e dei pazienti) e potrebbero aumentare il numero di pazienti esposti a un trattamento potenzialmente inefficiente o persino pericoloso.

Quindi, supponendo che venga condotto uno studio clinico, cosa possiamo dire sull'effetto del trattamento nella popolazione a partire dagli effetti osservati? In questa situazione entra in gioco l'"inferenza statistica"; più specificamente, tramite il concetto di test d'ipotesi.

## **Che cosa motiva il calcolo delle dimensioni del campione?**

- **Il disegno dello studio clinico:** fasi differenti degli studi possiedono requisiti differenti e modificheranno le dimensioni del loro campione in modo corrispondente.
- **La scelta degli endpoint primari** vale a dire i risultati principali esaminati al termine dello studio, per vedere se il trattamento ha funzionato.
- **Le ipotesi di ricerca:** l'entità dell'effetto del trattamento mirato nelle "ipotesi alternative"; per dirla meglio, la potenza dell'effetto è un elemento di fondamentale importanza. La dimensione del campione diminuisce in proporzione all'aumento atteso dell'effetto. In questo senso, l'effetto del nuovo trattamento deve essere abbastanza ampio da essere valido dal punto di vista medico per convincere la comunità degli specialisti ad adottarlo malgrado costi aggiuntivi ed effetti collaterali ecc..
- **Tasso di errore di tipo I e tipo II:** si può immaginare che il tasso di errore di tipo I debba essere sempre molto inferiore rispetto al tasso di errore di tipo II. Questo è certamente vero per gli studi clinici di fase III. Negli studi di fase II, a questo punto del processo di sviluppo dei medicinali il rischio di non ottenere un farmaco efficace viene tuttavia considerato problematico.
- **Risorse:** disponibilità di pazienti e restrizioni finanziarie possono limitare le dimensioni del campione di uno studio clinico.

A2-4.34.1-v1.2