

Statistica și studiile clinice: Eșantioanele de populație

Introducere

Metodele statistice asigură integrarea formală a surselor de variabilitate care apar în cadrul reacțiilor pacienților la tratament. Utilizarea statisticii permite unui cercetător clinic să efectueze deducții rezonabile și exacte pe baza informațiilor colectate și să ia decizii întemeiate atunci când există incertitudini. Statistica este esențială pentru prevenirea greșelilor și erorilor sistematice în cercetarea medicală. Acest articol abordează selectarea eșantioanelor de populație pentru studiile clinice.

Eșantioanele de populație

Obiectivul unui studiu clinic este de a obține informații privind efectele unui tratament asupra unei anumite populații de pacienți. Firește, cercetătorii nu pot administra tratamentul întregii populații, deoarece acest lucru nu ar fi corect din punct de vedere etic sau fezabil financiar; prin urmare, un studiu clinic se desfășoară asupra unui eșantion din populația de pacienți.

Calcularea dimensiunii eșantionului este acțiunea prin care se determină numărul corect de pacienți care vor fi incluși într-un studiu clinic. În mod evident, cu cât un studiu clinic include mai mulți pacienți, cu atât concluziile acestuia vor fi mai fiabile; studiile mari necesită, însă, mai multe resurse (atât financiare, cât și legate de implicarea pacienților) și pot, de asemenea, spori numărul pacienților

expuși la tratamente potențial ineficiente sau chiar periculoase.

Prin urmare, dacă este efectuat un studiu, ce putem spune despre efectele tratamentului asupra populației pe baza efectelor observate asupra eșantionului? Aici, intră în scenă inferența statistică, mai exact prin intermediul conceptului de testare a ipotezelor.

Pe ce se bazează calcularea dimensiunii eșantionului?

- **Structura studiului clinic** – diferitele faze ale studiilor au cerințe diferite, iar dimensiunile eșantioanelor vor fi adaptate corespunzător.
- **Alegerea obiectivelor principale** – obiectivele principale reprezentând rezultatele principale analizate la sfârșitul studiului pentru determinarea eficacității tratamentului.
- **Ipotezele studiului** – amplitudinea efectului tratamentului studiat în „ipoteza alternativă” – intensitatea efectului, cu alte cuvinte – este esențială. Dimensiunea eșantionului scade invers proporțional cu efectul așteptat. Acest lucru înseamnă că efectul noului tratament trebuie să fie suficient de puternic pentru a fi semnificativ din punct de vedere medical și a convinge comunitatea medicală că trebuie adoptat, în ciuda costurilor suplimentare, a efectelor secundare etc.
- **Rata erorilor de Tipul I și Tipul II** – poate vă imaginați că rata erorilor de Tipul I este întotdeauna mult mai mică decât cea a erorilor de Tipul II. Acest lucru este adevărat pentru studiile clinice din Faza III. În studiile din Faza II, însă, riscul de a trece cu vederea un medicament eficient este considerat a fi mai problematic în momentul respectiv al procesului de

dezvoltare a medicamentelor.

- **Resursele** – constrângerile financiare și cele privind disponibilitatea pacienților pot limita dimensiunea eșantionului unui studiu clinic.

A2-4.34.1-v1.2