

Statistiques et essais cliniques : Échantillons de population

Introduction

Les méthodes statistiques fournissent une comptabilisation formelle de l'origine de la variabilité des réponses à un traitement. Les statistiques permettent aux chercheurs cliniciens de tirer des conclusions raisonnables et exactes à partir des données recueillies et de prendre des décisions pertinentes en présence d'une incertitude. Les statistiques sont indispensables pour prévenir les erreurs et les biais en recherche médicale. Cet article couvre la sélection des échantillons de population pour les essais cliniques.

Échantillons de population

L'objectif d'un essai clinique est d'obtenir des informations sur l'effet d'un traitement dans une certaine population de patients. Il est évident que les chercheurs ne peuvent pas administrer un traitement à la population tout entière ; ce ne serait pas acceptable sur le plan éthique et pas viable financièrement. Ils doivent donc sélectionner un échantillon dans la population des patients concernés.

Le calcul de la taille de l'échantillon consiste à définir le nombre de patients qu'il faut inclure dans l'essai clinique. Là encore, il est évident que plus le nombre de patients est important, plus les résultats de l'essai clinique seront fiables ; cependant, les études de grande envergure exigent des ressources importantes (en termes d'investissement financier et d'engagement de patients) et augmentent aussi le

nombre de patients exposés à des traitements potentiellement inefficaces, voire dangereux.

Supposons donc qu'un essai clinique ait lieu ; des effets observés dans un échantillon de patients que pouvons-nous conclure sur l'effet du traitement dans la population ? C'est là qu'intervient la notion de déduction statistique, et plus précisément, celle de test d'hypothèse.

Sur quels éléments repose le calcul de la taille de l'échantillon ?

- **La conception de l'essai clinique** : les différentes phases des essais ont des exigences distinctes et ajustent en conséquence leur taille d'échantillon.
- **Le choix du ou des critères d'évaluation principaux** : les critères d'évaluation principaux constituent le ou les résultats majeurs qui sont étudiés à l'issue de l'essai pour savoir si le traitement a eu l'effet escompté.
- **Les hypothèses de recherche** : l'ampleur de l'effet thérapeutique visé dans l'hypothèse alternative, la puissance de l'effet si l'on peut dire, est cruciale. La taille de l'échantillon diminue au fur et à mesure que l'effet escompté augmente. Dans ce sens, l'effet du nouveau traitement doit être suffisamment important pour présenter un intérêt thérapeutique permettant de convaincre le corps médical qu'il doit être adopté en dépit des coûts supplémentaires, des effets secondaires, etc.
- **Le taux de risque d'erreur de Type I et II** : on comprend que le taux d'erreur de Type I doit nécessairement être largement inférieur au taux d'erreur de Type II. Ceci est certainement le cas dans les essais cliniques de phase III. Dans les essais cliniques de phase II toutefois, on estime que le défaut de détection d'un

médicament efficace est un risque plus problématique à ce stade du processus de développement des médicaments.

- **Les ressources** : la disponibilité des patients et les contraintes financières peuvent limiter la taille de l'échantillon d'un essai clinique.

A2-4.34.1-v1.2