# Statystyka w badaniach klinicznych: Populacje próbne

## Wprowadzenie

Metody statystyczne umożliwiają przeprowadzanie formalnych obliczeń dotyczących zmienności odpowiedzi pacjentów na leczenie. Zastosowanie statystyki pozwala badaczom klinicznym na formułowanie uzasadnionych i dokładnych wniosków na podstawie zebranych informacji oraz na podejmowanie właściwych decyzji w razie braku pewności. Statystyki mają kluczowe znaczenie dla zapobiegania błędom, w tym systematycznym, w badaniach medycznych. W tym artykule przedstawiono sposób wybierania populacji próbnych do badań klinicznych.

## Populacje próbne

Celem badania klinicznego jest uzyskanie informacji o efekcie leczenia w pewnej populacji pacjentów. Oczywiste jest, że badacze nie mogą zastosować leczenia wobec całej populacji, ponieważ jest to niewykonalne z etycznego lub finansowego punktu widzenia, toteż do badań klinicznych wybiera się próbę z populacji pacjentów.

Obliczenie wielkości próby polega na określeniu odpowiedniej liczby pacjentów, którzy powinni zostać włączeni do badania klinicznego. I znów oczywiste jest, że im więcej pacjentów obejmie badanie kliniczne, tym bardziej wiarygodne okażą się wyniki; jednak większe badania wymagają większych zasobów (finansowych i zaangażowania pacjentów) i mogą powodować zwiększenie liczby pacjentów narażonych na potencjalnie nieskuteczne lub nawet niebezpieczne leczenie.

Zakładając, że badanie zostało przeprowadzone, co można powiedzieć o efektach leczenia w populacji na podstawie

efektów obserwowanych w próbie? Tu właśnie przychodzi z pomocą „wnioskowanie statystyczne”, a bliżej – koncepcja testowania hipotezy.

# Co wpływa na obliczenie wielkości próby?

- **Projekt badania klinicznego** – różne fazy badania mają różne wymagania, a wielkość próby musi zostać odpowiednio dostosowana.
- **Wybór pierwszorzędowych punktów końcowych** – pierwszorzędowe punkty końcowe stanowią główne wyniki badane po zakończeniu badania, aby przekonać się o skuteczności leczenia.
- **Hipotezy badawcze** – skala efektu terapeutycznego leczenia celowanego w przypadku „hipotezy alternatywnej” – czy lepiej moc efektu – ma krytyczne znaczenie. Wielkość próby zmniejsza się w miarę wzrostu wielkości oczekiwanego efektu. W tym sensie efekt nowego leczenia powinien być wystarczająco duży, aby mieć wartość medyczną potrzebną do przekonania społeczności medycznej, że leczenie powinno zostać wdrożone pomimo dodatkowych kosztów, działań niepożądanych itd.
- **Poziom błędów rodzaju I i II** – można przypuszczać, że poziom błędów rodzaju I powinien zawsze być znacznie niższy niż poziom błędów rodzaju II. Jest to z całą pewnością prawda w przypadku badań klinicznych Fazy III. Jednak w badaniach Fazy II ryzyko utraty skutecznego leku jest uważne za bardziej problematyczne w tym momencie procesu opracowywania leku.
- **Zasoby** – dostępność pacjentów i ograniczenia finansowe mogą ograniczać rozmiar próby w badaniu klinicznym.