Medical Statistics: grandària mostral

Cristian Tebé Cordomí, PhD

ctebe@igtp.cat

Unitat de Suport i Recerca en Bioestadística

Germans Trias i Pujol Research Institute and Hospital

"Statistics is the science of making decisions under uncertainty"

Leonard Savage

Quants pacients necessitaré?

Vull anar de vacances al Caribe, quin pressupost necessitaré?

Quants pacients necessitaré?

- Resultats esperats
- Variabilitat
- Distribució de probabilitat del resultat principal
- Mida de l'efecte
- Mostra probabilística
- Ratio
- Quin error, confiança
- Factibilitat

Formula general

$$\text{grandària mostral} = \text{error}\frac{\text{variability}}{\text{effect}^2}$$

Comparació de dues mitjanes

Estem planejant un assaig clínic per avaluar l'eficacia d'una intervenció en relació a un grup control (1:1) amb una variable de resposta contínua. En un estudi anterior, la resposta en cada grup seguia una distribució normal amb una desviació estàndard 10.

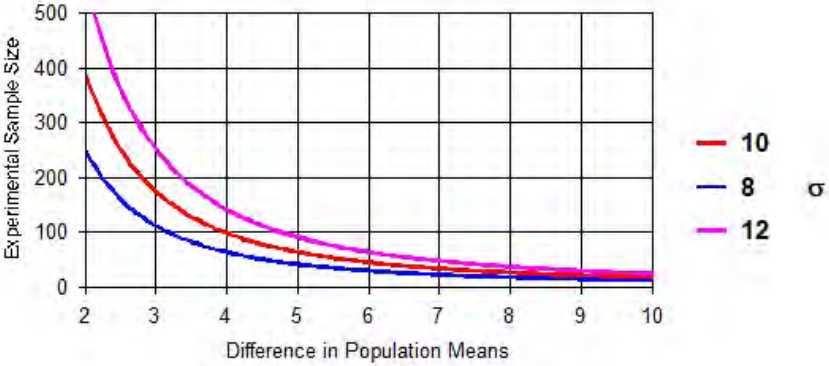
Si la diferència en la població de les mitjanes del grup experimental i de control és de 5, quants pacients he d'incloure?

$$H_0 : \mu_{\text{control}} = \mu_{\text{experimental}}$$
$$H_a : \mu_{\text{control}} \neq \mu_{\text{experimental}}$$

error tipus I: 5% potència: 80%

Comparació de dues mitjanes

$$\text{grandària mostral} = \text{error}\frac{\text{variabilitat}}{\text{efecte}^2}$$



Taxa de resposta

Taxa d'abandonament esperada 10% - 20%.

$$\text{grandària mostral}^{**} = 100 * \frac{\text{grandària mostral}}{(\text{100- taxa d'abandonament})}$$

Warning:

- No ho feu així:

  $$\text{grandària mostral}^{**} = \text{grandària mostral} * (1 + \text{taxa d'abandonament}/100)$$

- Arrodoniu a l'alça

Analisis interim

Avaluació provisional de les dades recollides durant un assaig clínic abans que aquest finalitzi.

- Avaluar assumpcions sobre la grandària mostral
- Avaluar seguretat
- Avaluar futilitat

Data Safety Monitoring Board

Missatges finals

- Revisió de la literatura
- Significació clínica
- Estudi pilot/ viabilitat
- Anàlisis interim
- Consulteu un bioestadístic!

Referències

- Chow S, Shao J, Wang H. 2017. Sample Size Calculations in Clinical Research. 3rd Ed. Chapman & Hall/CRC Biostatistics Series.
- Steven A. Julious. 2023. Sample size for Clinical Trias. 2nd Ed. CRC Press.
- Dupont WD, Plummer WD: "Power and Sample Size Calculations: A Review and Computer Program", Controlled Clinical Trials 1990; 11:116-28.
- https://powerandsamplesize.com/

Moltes gràcies!

Germans Trias i Pujol
Hospital

IGTP
Institut de Recerca Germans Trias i Pujol