

Erorile de tip I și II, puterea și marimea esantionului

α și testarea ipotezei

- Facem un studiu fiindcă vrem să știm dacă
 - tratamentul modifică prognosticul, sau
 - o variabila este factor de risc pentru un efect
- Avem nevoie de analiza statistica deoarece raspunsul poate fi ambiguu

α și testarea ipotezei

- programele statistice prezintă rezultatele sub forma unei valori p care răspunde la întrebarea:
 - dacă tratamentul nu are nici un efect în realitate, care este probabilitatea ca numai variabilitatea întâmplătoare să ducă la o diferență egală sau mai mare decât cea care a rezultat în studiul nostru?

α și testarea ipotezei

- Valoarea p este o fracție care ia valori de la 0 la 1.
- Dacă p este mic, suntem înclinați să credem că diferența observată în studiul respectiv se datorează tratamentului, și nu întâmplării.

α și testarea ipotezei

- vrem să luăm o hotărâre în urma studiului:
 - diferența observată este sau nu semnificativă statistic?

α și testarea ipotezei

- Hotararea se ia foarte simplu:
 - înainte de a începe studiul, se decide o valoare de prag pentru p , valoare numită α , care este de obicei egală cu **0,05**
 - după efectuarea experimentului în urma căruia a fost calculată valoarea lui p
 - dacă $p \leq \alpha$ tratamentul a avut un efect semnificativ statistic (și respingem ipoteza nulă că tratamentul nu a fost eficient)
 - dacă $p > \alpha$ experimentul nu ne convinge că tratamentul a avut vreun efect

α și testarea ipotezei

- $H_0 =$ ipoteza nula:
 - nu există o asocieră între efect și presupusul factor de risc (protecție)
- $H_1 =$ ipoteza alternativă:
 - există o asocieră între efect și presupusul factor de risc (protecție)

Erorile de tip I și II

- Concluzia că un rezultat este sau nu semnificativ statistic este mai puțin solidă în realitate, și asta pentru că putem face două tipuri de greșeli:
 - eroarea de tip I
 - eroarea de tip II

Erorile de tip I și II

- **Eroarea de tip I (α)** apare atunci când tragem concluzia că un efect este semnificativ statistic, însă diferența a fost datorată întâmplării.
- Tratamentul nu a avut nici un efect, iar variabilitatea întâmplătoare prezentă în cele două grupuri ne-a făcut să tragem concluzia greșită că între ele există o diferență.
- Probabilitatea de a efectua o astfel de greșeală este p .

Erorile de tip I și II

- **Eroarea de tip II (β)** apare atunci când tragem concluzia că nu există un efect semnificativ statistic, dar tratamentul este eficient.
- Tratamentul a avut efect, însă variabilitatea întâmplătoare prezentă în cele două grupuri a ascuns diferența.
- Această eroare apare atunci când studiul nu a avut destulă **putere** statistică.

β și puterea

- Chiar dacă tratamentul are efect, este posibil să nu obținem o diferență semnificativă statistic.
- Pur și simplu din întâmplare, datele noastre pot duce la un $p > \alpha$, cu alte cuvinte facem o eroare de tip II (β).

β și puterea

- Probabilitatea ca, atunci când există o diferență în realitate, să obținem și noi semnificație statistică în studiul nostru se numește **putere**.
- $\beta + \text{puterea} = 100\% \Rightarrow$
sunt complementare
(crescând puterea, scădem probabilitatea de a face o eroare de tip II și invers).

- Putem privi experimentul (studiul) nostru ca pe un test diagnostic prin care vrem să vedem dacă un tratament este sau nu eficient.
- α = rata fals pozitivilor
- $(100\% - \alpha)$ = specificitatea
- puterea = sensibilitatea
- β = rata fals negativilor

» Testul nostru va fi cu atât mai sensibil cu cât puterea este mai mare și cu atât mai specific cu cât α (p) este mai mic.

Mărimea eșantionului

De câți subiecți (date) avem nevoie pentru un studiu?

Raspunsul depinde de:

Mărimea eşantionului

1. Cât de mare este diferența pe care vreau să o evidențiez (semnificația clinică)?

$RRA \sim 1/\text{marimea esantionului}$

$\text{riscul bazal} \sim RRA$

$\text{nr. evenimente} \sim 1/\text{marimea esantionului}$

- preventie primara....HPS, ASCOT: UK, Suedia
- EUROPA
- ISOLDE (risc prea mare - au iesit din studiu)

Mărimea eșantionului

2. Cât de mare a fost variabilitatea datelor?

variabilitatea (SD) ~ mărimea eșantionului

Mărimea eșantionului

3. Ce eroare de tip I ne asumăm (cât suntem de dispuși să găsim o diferență care nu există în realitate).

– $\alpha=0,05$, dar

- uneori poate vrem să obținem un p mai mic (atunci când investim mulți bani într-un studiu) sau
- suntem dispuși să acceptăm un p mai mare (într-un studiu pilot, de exemplu).

– $p \sim 1/\text{marimea esantionului}$.

Mărimea eșantionului

4. Ce eroare de tip II ne asumăm (cât suntem de dispuși să ratăm evidențierea unei diferențe care există în realitate)

– $\beta \leq 20\%$

– **puterea** $\geq 80\%$

– $\beta \sim 1/\text{marimea esantionului}$

– **puterea** $\sim \text{marimea esantionului}$

Mărimea eșantionului

5. De cât timp și bani dispune cel care face (sponsorizează) studiul

- pentru că efectul medicamentului este dat, nu putem umbla decât la erorile de tip I și II atunci când calculăm mărimea eșantionului
- în funcție de banii și timpul disponibile, îți asumi riscuri mai mari sau mai mici

De ce date avem nevoie pentru a calcula mărimea eşantionului?

- **variabila dependentă numerică, continuă**
 - deviația standard (SD) a variabilei în cele două grupuri \sim mărimea esantionului
 - mărimea minimă a efectului tratamentului care considerăm că merită evidențiată ($\sim 1/\text{mărimea esantionului}$)
 - α
 - puterea ($1 - \beta$)

De ce date avem nevoie pentru a calcula mărimea eșantionului?

- Pentru un studiu înainte-după (TA înainte și după tratamentul cu NOU, așadar fiecare pacient este comparat cu el însuși și vom aplica un test t împerecheat)
 - este nevoie de mai puțini pacienți
 - SD este însă mai mare (în acest caz: SD a TA și nu a Δ TA)

De ce date avem nevoie pentru a calcula mărimea eşantionului?

- **variabila dependentă nominală, dihotomică**
 - câți dintre pacienții sub placebo (sau medicația martor) vor suferi efectul urmărit
 - = riscul bazal $\sim 1/\text{marimea esantionului}$
 - riscul relativ (RR) sau RRA minime care merită să fie evidențiate ($\sim 1/\text{marimea esantionului}$)
 - α
 - putere

software

- Epi info 6
 - <http://www.cdc.gov/epiinfo/Epi6/EI6dnjp.htm>
- Statmate
 - <http://www.graphpad.com>
- <http://stat.ubc.ca/~rollin/stats/ssize/index.html>
- Google: “sample size”