

C.I. di Metodologia clinica

Modulo 5. I metodi per la sintesi e la comunicazione delle informazioni sulla salute

Di chi stiamo parlando?



Metodologia clinica 5.4 Le persone



I metodi per la produzione delle informazioni sulla salute

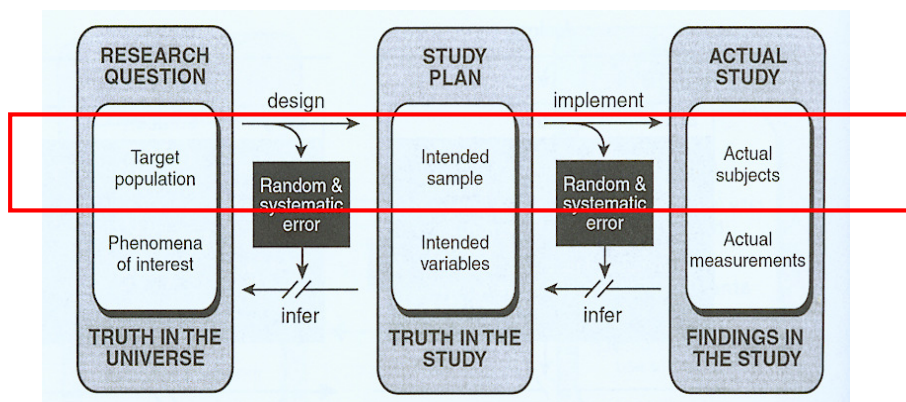
Alla fine di questa lezione dovrete essere in grado di:

- definire i concetti di popolazione e campione
- definire i criteri di selezione e interpretarne il potenziale impatto sull'interpretazione dei risultati
- definire i concetti di parametro e stima
- definire il concetto di inferenza
- descrivere il significato di errore sistematico e casuale
- descrivere i concetti di precisione e accuratezza della stima

Metodologia clinica 5.4 Le persone



La struttura della ricerca clinica



Chi sono i soggetti studiati?

Metodologia clinica 5.4 Le persone



ESPORT

Journal of Hypertension 2010, 28:2342-2350

Efficacia antipertensiva e sicurezza di olmesartan medoxomil e ramipril in pazienti anziani con ipertensione essenziale lieve-moderata: lo studio ESPORT

Obiettivo

Confrontare l'efficacia e la sicurezza dell'antagonista dell'angiotensina II olmesartan medoxomil (O) e dell'ACE-inibitore ramipril (R) in pazienti anziani con ipertensione arteriosa essenziale.

Metodologia clinica 5.4 Le persone

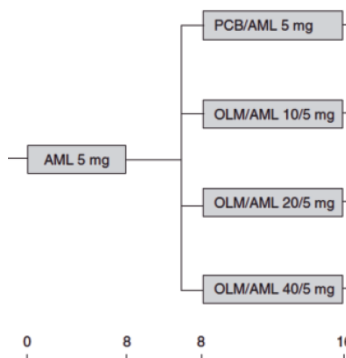


Volpe et al.

Clin Drug Invest 2008;29(1):1

*Efficacia e Tollerabilità di Olmesartan Medoxomil in Combinazione con Amlodipina in Pazienti con Ipertensione da Moderata a Severa dopo Monoterapia con Amlodipina***Obiettivo**

Scopo dello studio è determinare l'efficacia e la sicurezza della terapia combinata con olmesartan medoxomil/amlodipina in pazienti con ipertensione moderata o severa che non avevano risposto ad un trattamento di 8 settimane, in aperto, con amlodipina.



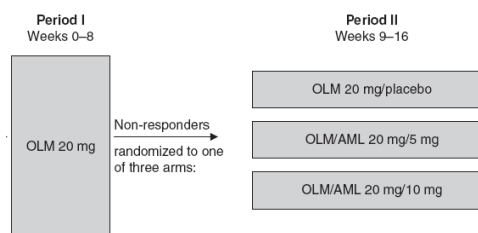
Metodologia clinica 5.4 Le persone

**Barrios et al.**

Clin Drug Invest 2009; 29 (7): 427-439

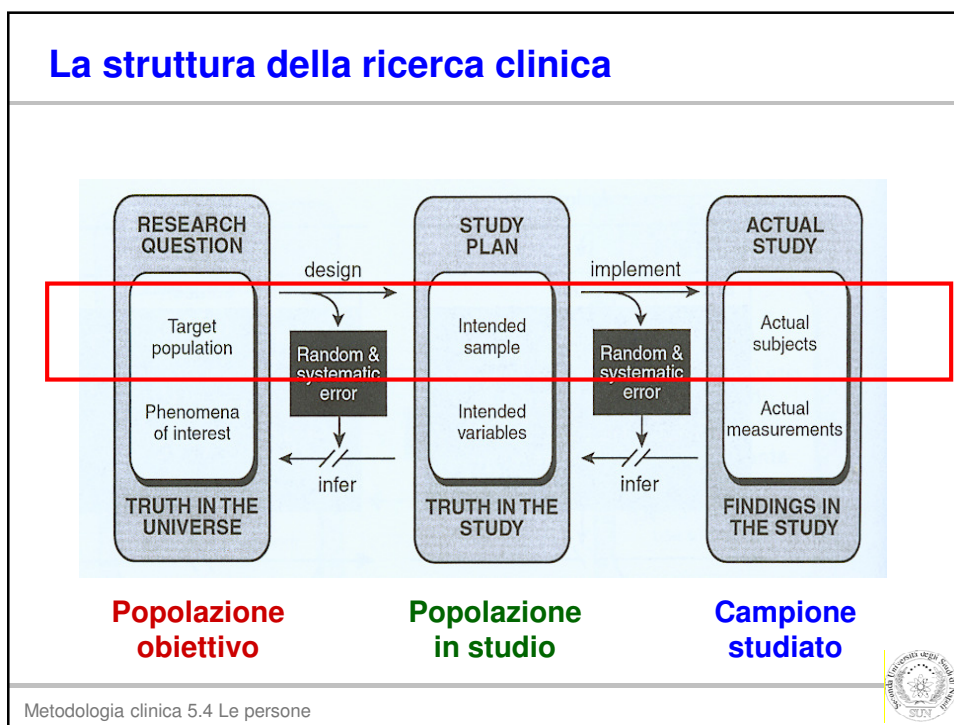
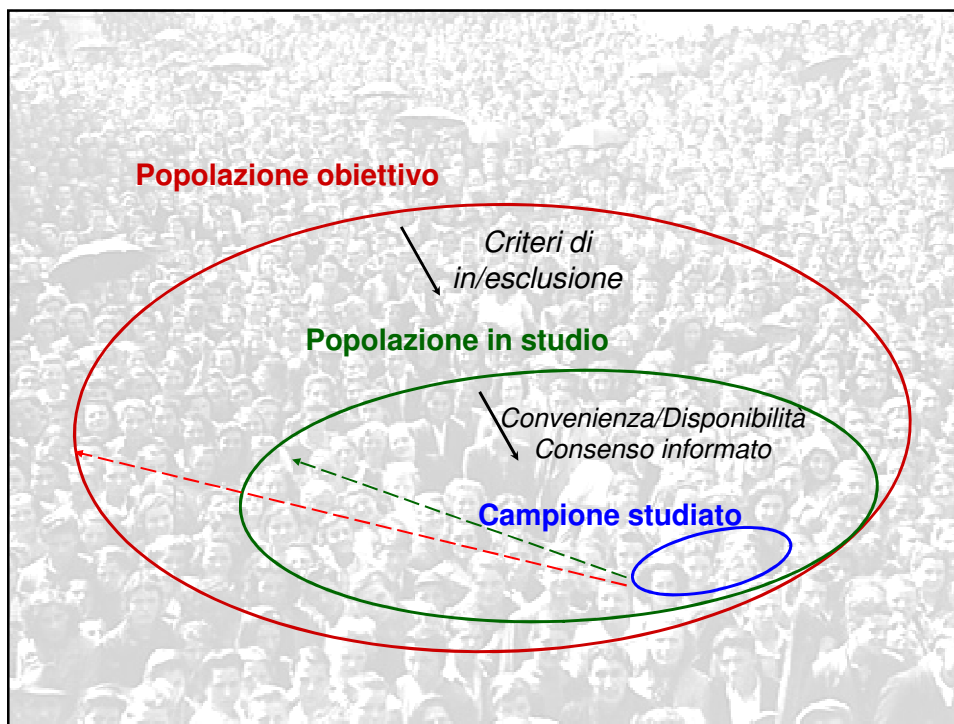
Olmesartan Medoxomil plus Amlodipine Increases Efficacy in Patients with Moderate-to-Severe Hypertension after Monotherapy

Obiettivo dello studio è dimostrare l'incremento dell'efficacia antiipertensiva ottenuto aggiungendo amlodipina ad olmesartan nei pazienti con ipertensione moderata o severa non rispondenti alla terapia con olmesartan.



Metodologia clinica 5.4 Le persone





Popolazione

L'insieme di tutte le persone (o altre unità statistiche) cui vogliamo che si riferiscano le nostre conclusioni

La definizione è operativa, nel senso che, sulla base di criteri predefiniti, ogni individuo è classificato in maniera non ambigua come appartenente o meno alla popolazione in studio

Metodologia clinica 5.4 Le persone



Criteri di selezione

Molto selettivi

- Pazienti omogenei
- Minore numerosità
- Maggiore efficienza
- Minore generalizzabilità

Poco selettivi

- Pazienti eterogenei
- Maggiore numerosità
- Minore efficienza
- Maggiore generalizzabilità

La popolazione in studio è coerente con la domanda di studio?

Metodologia clinica 5.4 Le persone



Popolazione

L'insieme di tutte le persone (o altre unità statistiche) cui vogliamo che si riferiscano le nostre conclusioni

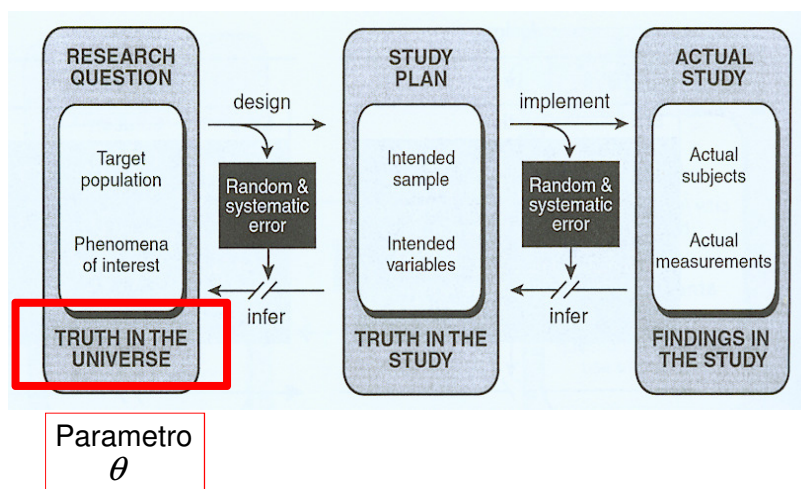
La definizione è operativa, nel senso che, sulla base di criteri predefiniti, ogni individuo è classificato in maniera non ambigua come appartenente o meno alla popolazione in studio

Indichiamo con il termine 'parametri' (θ) le caratteristiche della popolazione che vogliamo conoscere

Metodologia clinica 5.4 Le persone



La struttura della ricerca clinica



Metodologia clinica 5.4 Le persone



Popolazione e campione

I soggetti studiati comprendono tutta la popolazione?

SI



Descrizione

NO

Campione

Metodologia clinica 5.4 Le persone



Campione

Un sottoinsieme della popolazione su cui effettivamente vengono raccolte le informazioni

La definizione è operativa, nel senso che, sulla base di criteri predefiniti, ogni individuo è classificato in maniera non ambigua come appartenente o meno al campione in studio

Metodologia clinica 5.4 Le persone



Popolazione e campione

I soggetti studiati comprendono tutta la popolazione?

SI



Descrizione

NO

Campione



Descrizione
Inferenza

- Le persone del campione sono 'rappresentative' della popolazione in studio?
- Il numero di persone del campione è adeguato a raggiungere conclusioni attendibili?

Metodologia clinica 5.4 Le persone



Dov'è l'errore?

In un articolo sugli infortuni domestici sono riportati i risultati di un'indagine condotta tra i visitatori del sito di una rivista di consumatori. Qual è il principale problema di interpretazione di questi dati?

- a) La variabilità delle opinioni tra i visitatori del sito
- b) La variabilità delle opinioni tra il momento dell'indagine e la pubblicazione dei risultati
- c) La tipologia dei visitatori del sito
- d) L'eccessivo numero di visitatori del sito

Metodologia clinica 5.4 Le persone



Campione

Un sottoinsieme della popolazione su cui effettivamente vengono raccolte le informazioni

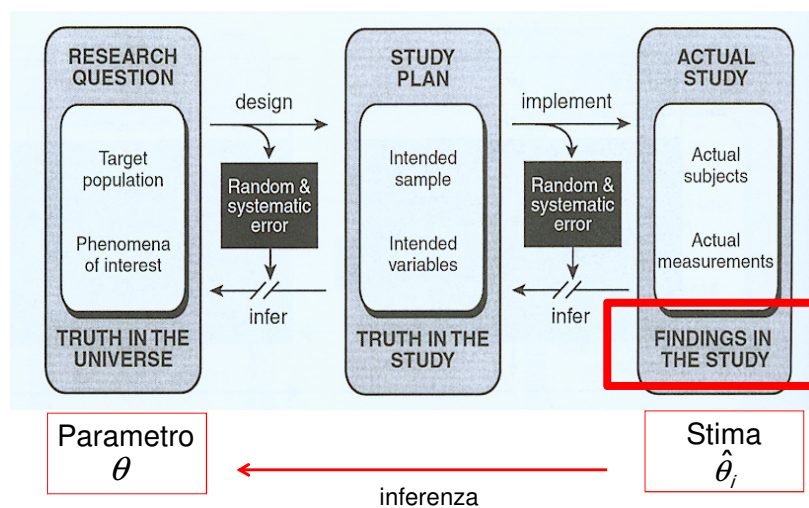
La definizione è operativa, nel senso che, sulla base di criteri predefiniti, ogni individuo è classificato in maniera non ambigua come appartenente o meno al campione in studio

Indichiamo con il termine 'stima' ($\hat{\theta}$) le quantità, calcolate a partire dai dati effettivamente osservati nel campione, che ci permettono di stimare ('indovinare') i corrispondenti valori dei parametri

Metodologia clinica 5.4 Le persone



La struttura della ricerca clinica



Metodologia clinica 5.4 Le persone



Inferenza

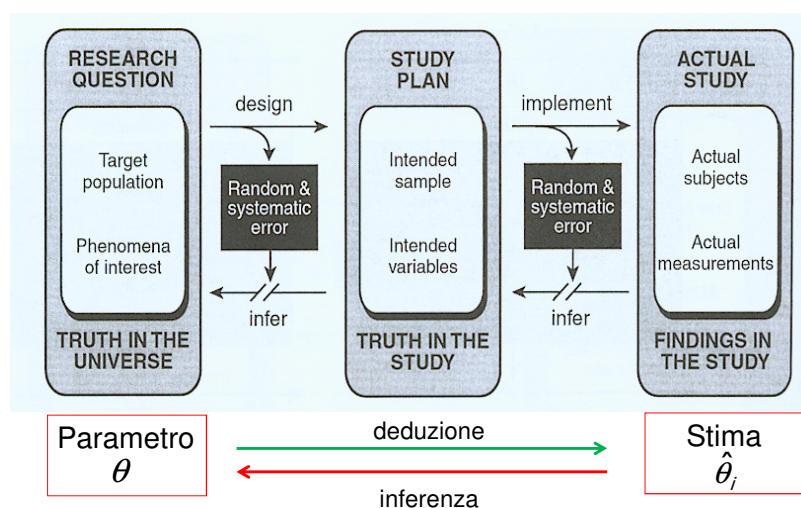
Come possiamo trarre inferenze attendibili sui parametri a partire dalle stime campionarie?

- La relazione fra campione e popolazione è comunque soggetta ad incertezza (la nostra conoscenza è imperfetta)
- Noi usiamo la probabilità per quantificare l'incertezza delle conclusioni
- E' importante definire che relazione probabilistica esiste fra campione e popolazione (cioè quali stime campionarie si possono ottenere a partire da un dato parametro della popolazione)

Metodologia clinica 5.4 Le persone



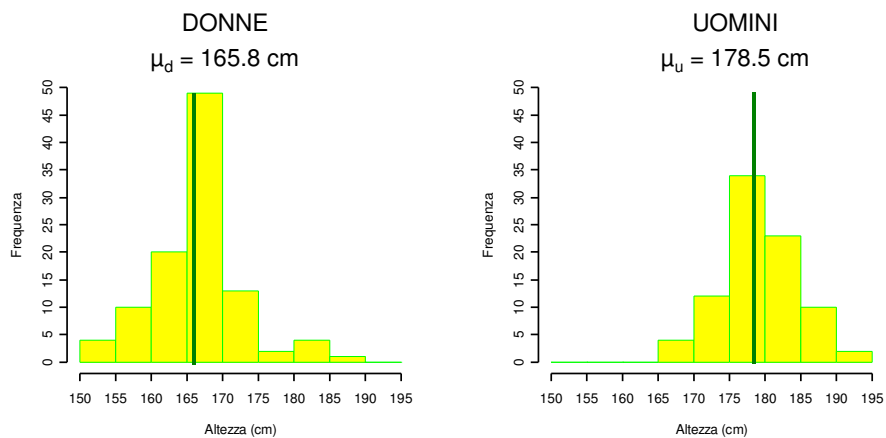
La struttura della ricerca clinica



Metodologia clinica 5.4 Le persone



C'è differenza di altezza fra uomini e donne?

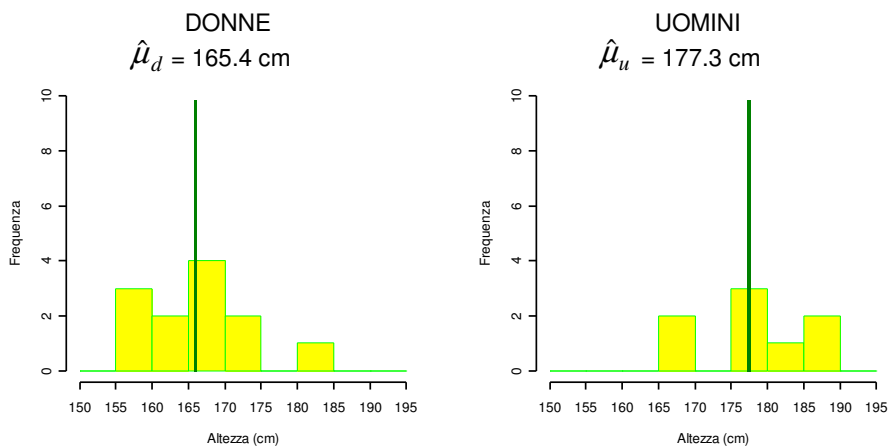


La differenza (δ) di altezza tra Uomini e Donne in tutti gli studenti ($\mu_u - \mu_d$) è uguale a 12.7 cm

Metodologia clinica 5.4 Le persone



C'è differenza di altezza fra uomini e donne?



La differenza ($\hat{\delta}$) di altezza tra Uomini e Donne in un particolare campione di 20 studenti ($\hat{\mu}_u - \hat{\mu}_d$) è uguale a 11.8 cm

Metodologia clinica 5.4 Le persone



C'è differenza di altezza fra uomini e donne?

Stem and Leaf ($\hat{\mu}_u - \hat{\mu}_d$)

5	39
6	38
7	
8	577
9	
10	033579
11	112234589
12	39
13	1223345
14	4567
15	58
16	002228
17	5

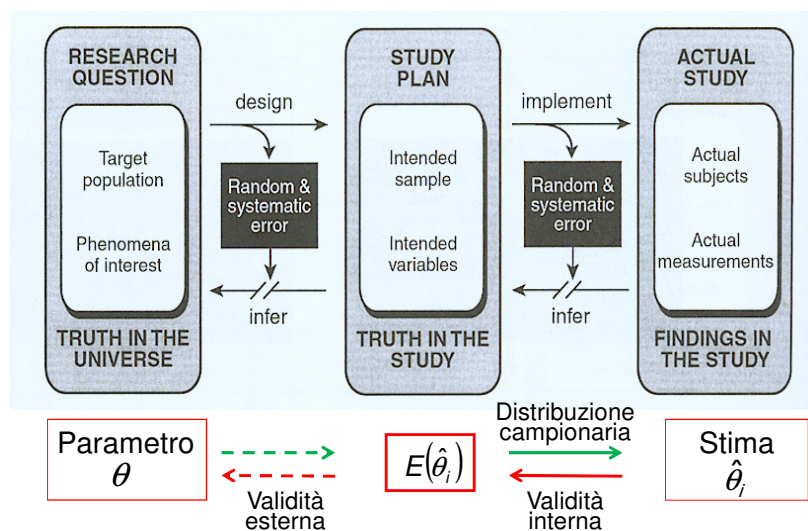
Grafico stelo-e-foglie della distribuzione della differenza delle altezze fra uomini e donne ($\hat{\mu}_u - \hat{\mu}_d$) di 46 campioni di 20 studenti

Le foglie rappresentano la prima cifra decimale

Metodologia clinica 5.4 Le persone



La struttura della ricerca clinica



Metodologia clinica 5.4 Le persone



C.I. di Metodologia clinica

Modulo 5. I metodi per la sintesi e la comunicazione delle informazioni sulla salute

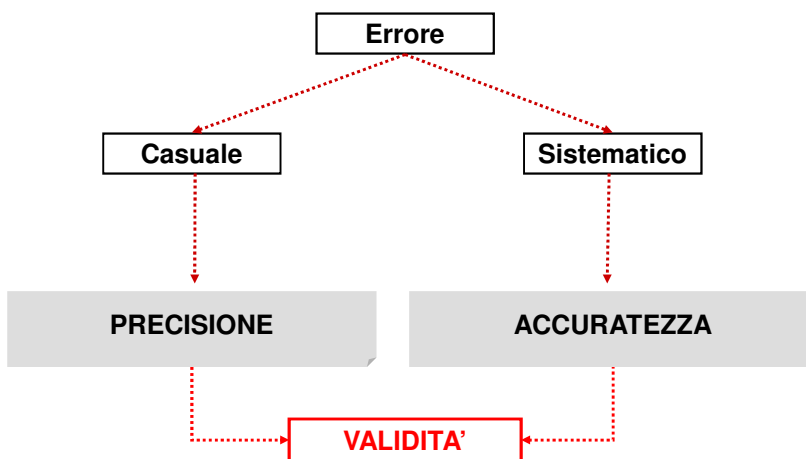
Quali errori influenzano le stime?



Metodologia clinica 5.4 Le persone



Gli errori nella ricerca clinica

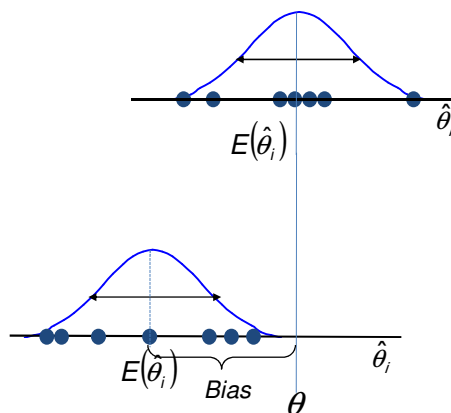


Metodologia clinica 5.4 Le persone



L'osservazione

Effetto studiato +
Errore sistematico +
Errore casuale =
Effetto osservato

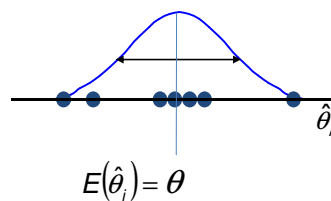


Metodologia clinica 5.4 Le persone



Il modello statistico

Effetto studiato +
Errore casuale =
Effetto osservato



N.B. In assenza di errore sistematico!

Metodologia clinica 5.4 Le persone



