

# **Erorile de tip I și II, puterea și marimea esantionului**

C Baicus

[www.baicus.ro](http://www.baicus.ro)

# $\alpha$ 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

# $\alpha$ 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?

# $\alpha$ 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.

# $\alpha$ și testarea ipotezei

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

# $\alpha$ și testarea ipotezei

- Hotararea se ia foarte simplu:
  - înainte de a începe studiul, se decide o valoare de prag pentru  $p$ , valoare numită  $\alpha$ , 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

# $\alpha$ 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 ( $\alpha$ )** 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 ( $\beta$ )** 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.

# $\beta$ 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 ( $\beta$ ).

# $\beta$ 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.
- $\alpha$  = rata fals pozitivilor
- $(100\% - \alpha)$  = specificitatea
- puterea = sensibilitatea
- $\beta$  = rata fals negativilor

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

# Mărimea eșantionului

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

Raspunsul depinde de:

# Mărimea eșantionului

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

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

$\text{riscul bazal} \sim RRA$

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

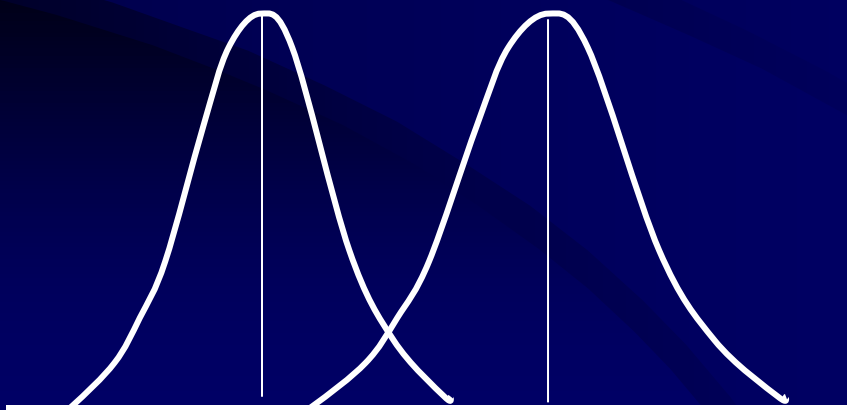
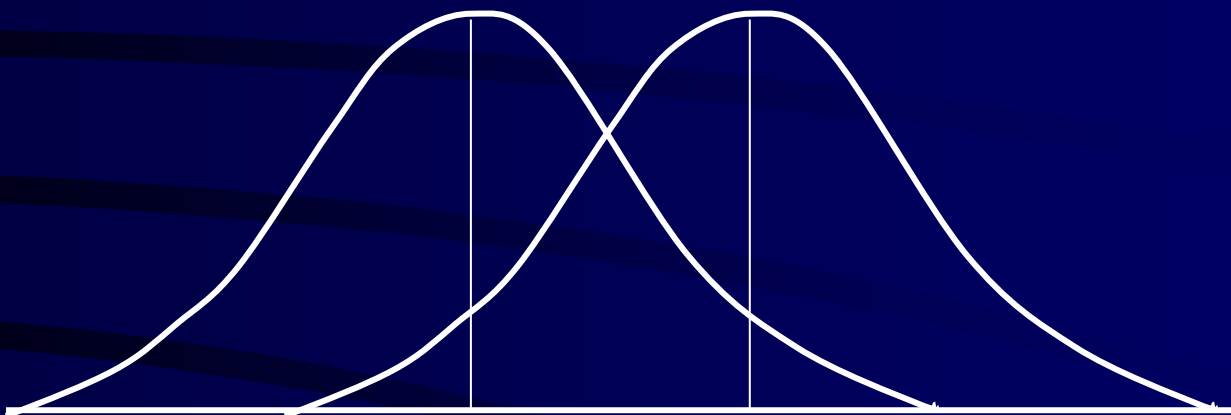
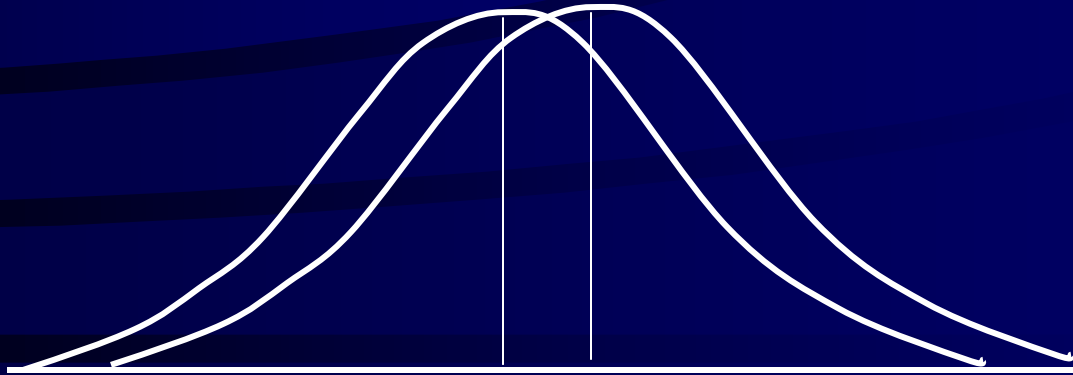
- prevenție primară....HPS, ASCOT: UK, Suedia
- EUROPA
- ISOLDE (risc prea mare - au iesit din studiu)

# 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 ( $\sim 1/\text{mărimea esantionului}$ )
  - $\alpha$
  - 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  $\Delta$ 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 ( $\sim 1/\text{marimea esantionului}$ )
  - $\alpha$
  - putere

# software

- Epi info 6
  - <http://www.cdc.gov/epiinfo/Epi6/EI6dnjp.htm>
- Statmate
  - <http://www.graphpad.com>
- WINPEPI
  - <http://www.brixtonhealth.com/pepi4windows.html>
- Google: “sample size”