

Metodologia: Caracterização da amostra e cálculo de tamanho da amostra, estudo piloto

Prof. Dra. Thaís Minett

Neurologista

thaisminett@hotmail.com

Poder e tamanho de amostras

- Existem vários métodos
- Todos baseados em fórmulas ou tabelas
- Todos requerem parâmetros desconhecidos



Poder e tamanho de amostras

- Quantos participantes eu preciso?
- Questão fundamental em pesquisa
- Deverá ser respondida **após** determinar o objetivo do estudo

Poder e tamanho de amostras


- Com poucos participantes
- posso não detectar diferenças clinicamente importantes

- Com participantes demais
- **não é ético**
- caro
- demanda mais tempo

Poder e tamanho de amostras

- 1º passo:
- Definir o objetivo primário
- Verificar se acrescentar leite na dieta de crianças de 5 anos aumenta o crescimento

Poder e tamanho de amostras

- 2º passo:
- Definir o desenho do estudo
- 5 anos 
 - dieta normal x
 - dieta rica em leite
- Variável dependente: altura

Poder e tamanho de amostras

- 3º passo:
- Definir quais são as diferenças clinicamente significantes que deseja detectar
- $\Delta = 0,5$ cm
- Nota: definida pelo **pesquisador** que supostamente sabe o que seria **cl clinicamente** significante em sua pesquisa

Poder e tamanho de amostras

- 4º passo:
- Definir qual é a variabilidade de resposta da variável dependente
- Ou seja o desvio padrão
- Retirado da literatura, de trabalhos prévios

- $DP = 2,0 \text{ cm}$

- Nota: dado fornecido pelo **pesquisador**

Poder e tamanho de amostras

- 5º passo:
- Definir o nível de significância
- Chamado erro tipo I ou α
- A probabilidade de detectar uma diferença estatisticamente significativa quando na realidade ela não existe
- Risco de falso positivo
- Tradicionalmente definido em $\leq 5\%$

Poder e tamanho de amostras

- Erro tipo I
- Risco de declarar que existe uma diferença significativa nas alturas em relação a dieta quando a diferença não existe
- Aceitamos que a cada 20 medidas produziremos 1 falsa positiva

Poder e tamanho de amostras

- 6º passo:
- Definir o grau de certeza para encontrar esta diferença
- Chamado erro tipo II ou β
- A probabilidade de não detectar uma diferença estatisticamente significativa quando na realidade ela existe
- Risco de falso negativo
- Tradicionalmente definido em $\leq 10\%$

Poder e tamanho de amostras

- Erro tipo II
- Risco de declarar que a não existe uma diferença significativa nas alturas em relação a dieta quando a diferença realmente existe

Poder e tamanho de amostras

- Poder do teste
- Probabilidade de detectar uma diferença clinicamente significativa pré-definida
- Poder = $1 - \beta$
 - = $1 - 10\%$
 - = 90%

Poder e tamanho de amostras

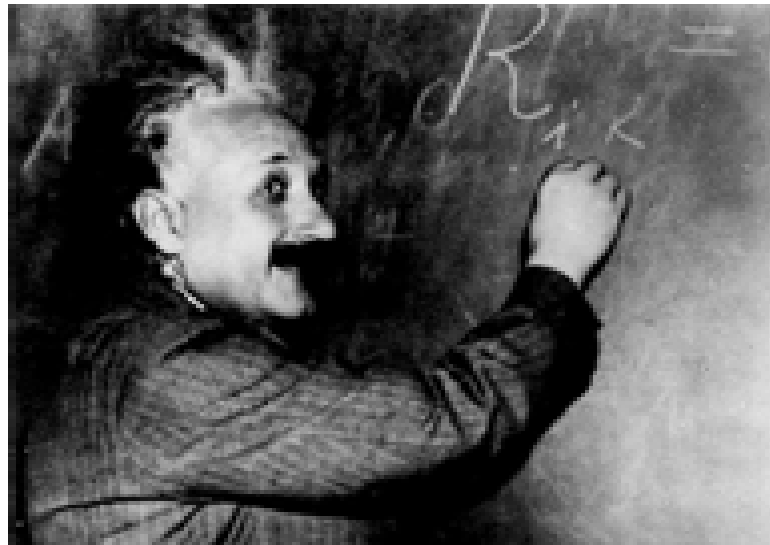
Testes de significância estatística não eliminam as chances erros apenas, as quantificam

Poder e tamanho de amostras

- Erro tipo I (α) = 0,05
- Erro tipo II (β) = 0,10
- Poder = $(1 - \beta) = 0,90$
- Diferença clinicamente significativa (Δ) = 0,5 cm
- Desvio padrão = 2,0 cm

Poder e tamanho de amostras

- Fórmula
- $$N = \frac{2 DP^2}{\Delta^2} \cdot f(\alpha, \beta)$$



Poder e tamanho de amostras

- Fórmula
- $N = \frac{2 DP^2}{\Delta^2} \cdot f(\alpha, \beta)$
- tamanho da amostra:
 - diretamente proporcional as variações na medida
 - inversamente proporcional ao tamanho da diferença clinicamente relevante

Tabela de funções

Alfa	Beta			
	0,05	0,10	0,20	0,50
0,10	10,8	8,6	6,2	2,7
0,05	13,0	10,5	7,9	3,8
0,02	15,8	13,0	10,0	5,4
0,01	17,8	14,9	11,7	6,6

Poder e tamanho de amostras

- Fórmula
- $N = \frac{2 DP^2}{\Delta^2} \cdot f(\alpha, \beta)$
- $N = \frac{2 \cdot 2^2}{0,5^2} \cdot 10,5 = 336$
- em cada grupo

Poder e tamanho de amostras

- Alternativas quando não temos o DP pela literatura:
 1. fazer um estudo piloto e calcular o DP
 2. considerar uma diferença clinicamente significativa = 1 DP. Assim, fixar o $DP = \Delta$. Muito discutível...

Poder e tamanho de amostras

- Para cálculo de amostras com dados nominais
- Diferenças em proporções

Poder e tamanho de amostras

- Objetivo do estudo:
- Verificar se uma droga nova contra o câncer pode aumentar a sobrevida em 5%
- P1: droga conhecida = 85% (da literatura)
- P2: droga nova = 90% (fixamos)
- Poder = 90% (fixamos)

Poder e tamanho de amostras

- Fórmula:

$$N = \frac{P1 (100 - P1) + P2 (100 - P2)}{(P2 - P1)^2} \cdot f(\alpha, \beta)$$

- 913,5
- em cada grupo

Poder e tamanho de amostras

- O cálculo do tamanho da amostra é longe de ser preciso e objetivo
- Se o grau de incerteza sobre os parâmetros chaves levam a uma variação da estimação p.ex. entre 400 e 800, pergunta:
- Por que é útil então?

Poder e tamanho de amostras

- O cálculo não deve ser considerado como objetivo imutável do estudo
- Entretanto, se o tamanho da amostra varia de 400 a 800, certamente isto exclui um $N = 100$
- Assim se o máximo N de sujeitos que você pode recrutar é 100, o cálculo ajudou um estudo bastante inadequado de continuar

Poder e tamanho de amostras

- As fórmulas de cálculo de amostras, podem ser usadas também para calcular o poder do estudo
- Assim, se souber quantos sujeitos pode recrutar, pode saber o poder do seu estudo

Significância clínica

- Qualquer estudo com um N bastante grande tem o poder de demonstrar pequenas diferenças
- Porém estas diferenças não necessariamente são **cl clinicamente significantes**

Significância clínica

Uma diferença
para ser uma diferença
tem que fazer a diferença