

LEZIONI DI STATISTICA MEDICA

Prof. Roberto de Marco

Lezione n.1

- Introduzione alla Statistica



*Sezione di Epidemiologia & Statistica Medica
Università degli Studi di Verona*

IL “PARADIGMA STORICO” DELLA FORMAZIONE E DELLA PRATICA MEDICA

Nella Medicina l'apprendimento e l'acquisizione delle competenze professionali è stato basato sulle autorità del settore

(approccio autoritario → principio d'autorità)

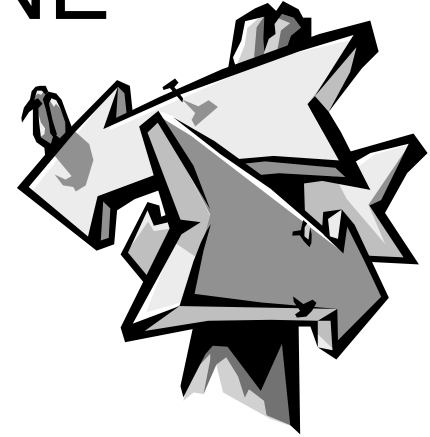
- *ESPERTI*
- *LIBRI DI RIFERIMENTO*
- *CONSENSUS CONFERENCE*



ASSUNZIONI DEL “PARADIGMA STORICO”

- Osservazioni non sistematiche basate sull’esperienza clinica sono valide per basare e formare le nostre conoscenze sulla prognosi, la diagnosi e l’efficacia dei trattamenti;
- La conoscenza dei meccanismi biologici e fisiologici è sufficiente per guidare la pratica clinica;
- Il buon senso, l’esperienza clinica e la conoscenza dei meccanismi biologici sono sufficienti per valutare nuovi strumenti diagnostici e nuovi trattamenti;
- Le autorità del settore (esperti) devono produrre per consenso le “linee guida per il trattamento e la diagnosi delle patologie”

IL NUOVO PARADIGMA “EVIDENCE BASED MEDICINE [EBM]”



Le decisioni e le conoscenze sui test diagnostici, sulla prognosi e sui trattamenti devono essere basate sulla *evidenza proveniente dalla ricerca clinica*

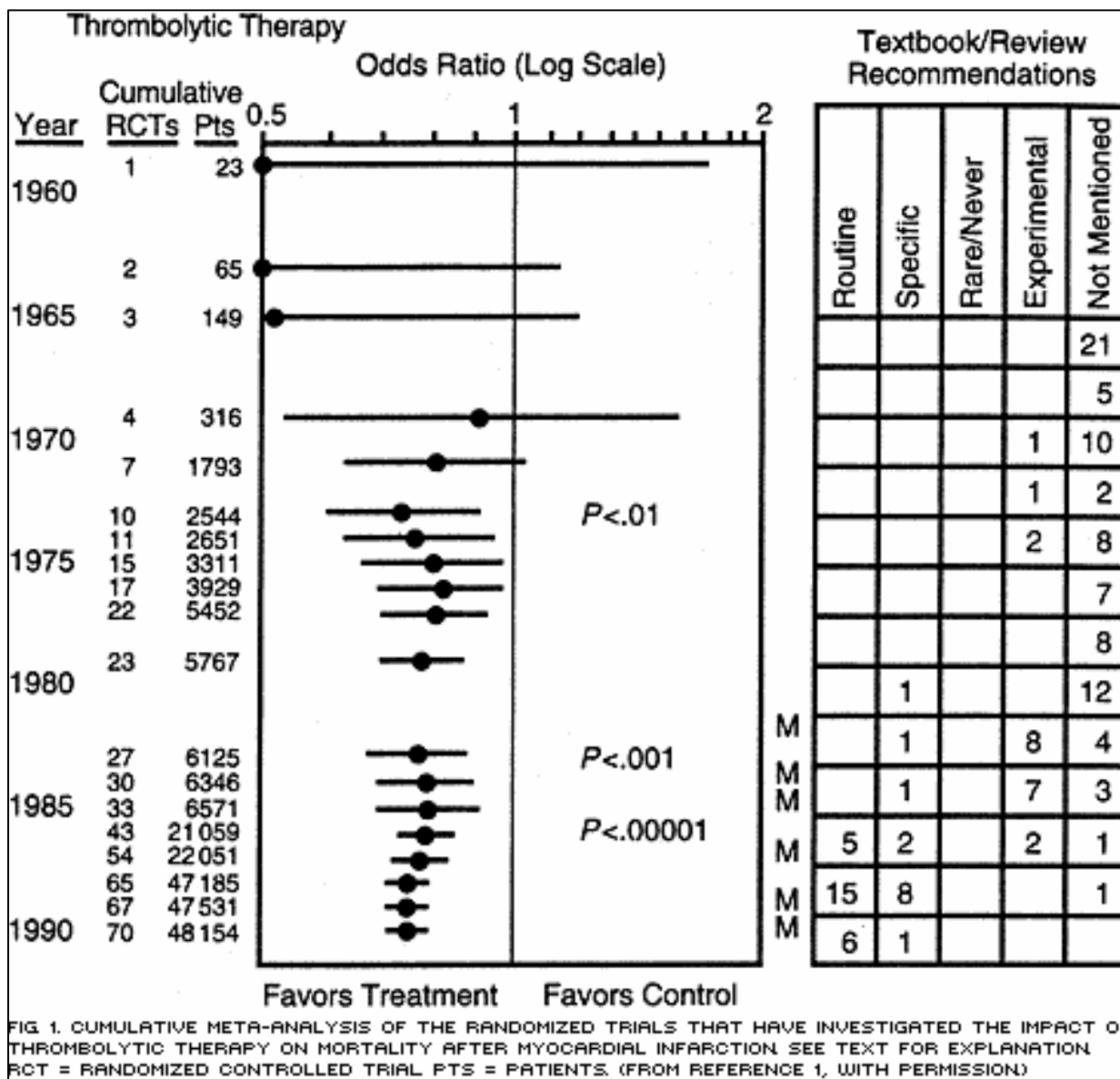
EBM

L'esperienza clinica è fondamentale. Tuttavia l'osservazione clinica deve essere fatta in modo sistematico, riproducibile e quantitativo (adottare la metodologia della ricerca);

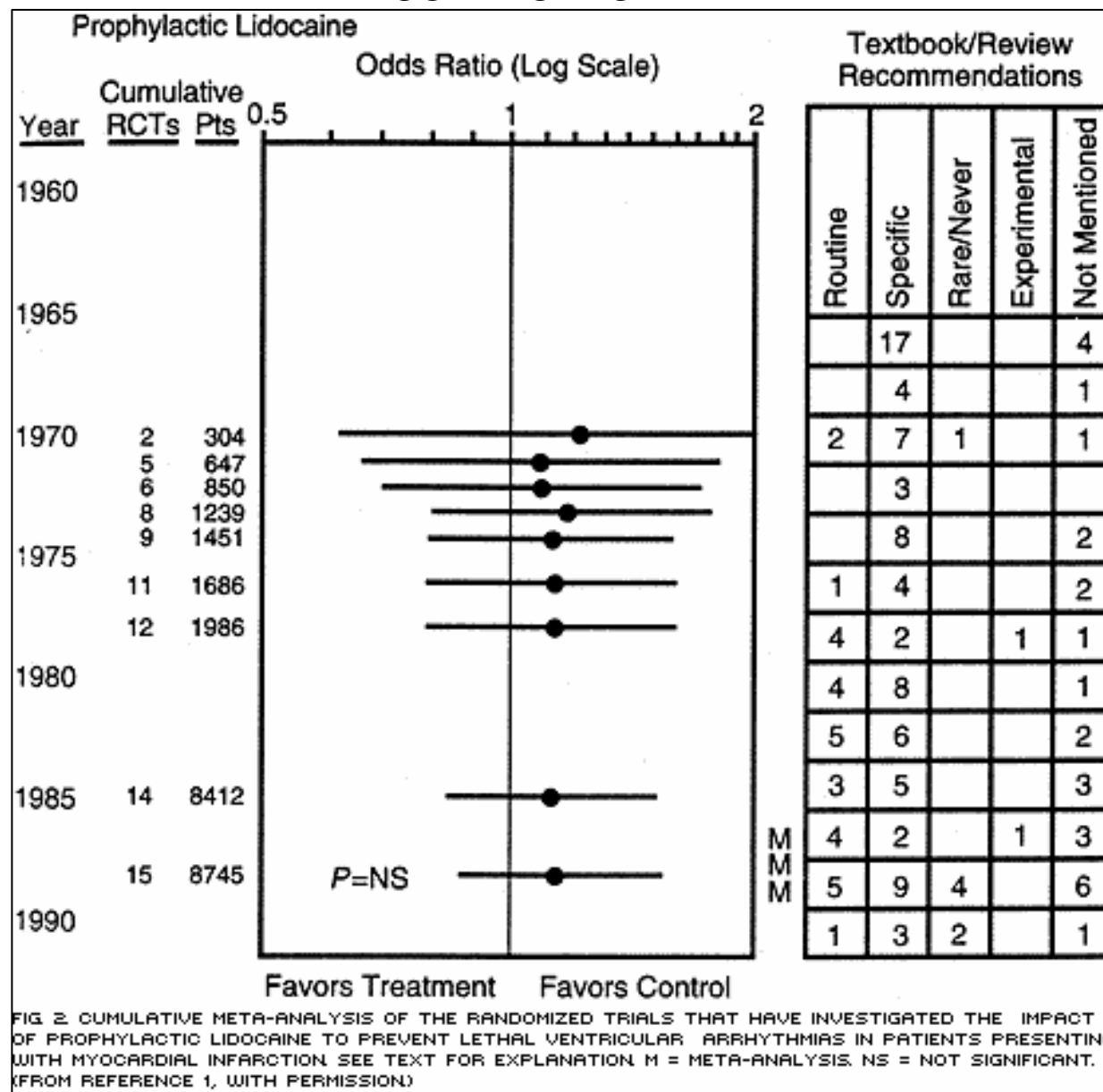
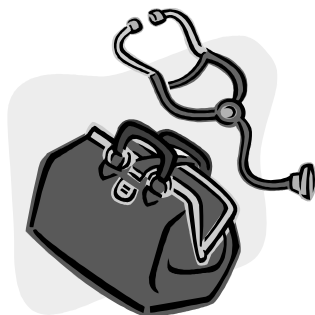
La conoscenza dei meccanismi biologici è necessaria, ma non è sufficiente per predire la “miglior” pratica clinica;

La formazione e la pratica medica deve essere basata anche sulla capacità da parte del medico di acquisire l'informazione sulla miglior evidenza possibile (basata sui risultati delle più importanti ricerche cliniche) circa un problema clinico (capacità di consultare la letteratura medica e le banche dati).

EFFETTO DELLA TERAPIA TROMBOLITICA SULLA MORTALITA' DOPO INFARTO AL MIOCARDIO: L'EVIDENZA SCIENTIFICA E L'OPINIONE DEGLI ESPERTI A CONFRONTO

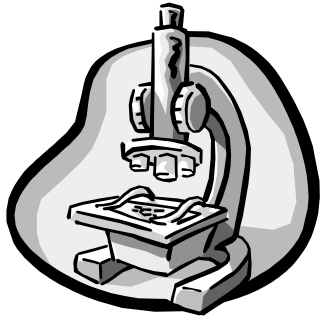


EFFETTO DELLA LIDOCAINA SULLA PREVENZIONE DI ARITMIA VENTRICOLARE LETALE IN PZ MI: L'EVIDENZA SCIENTIFICA E L'OPINIONE DEGLI ESPERTI A CONFRONTO



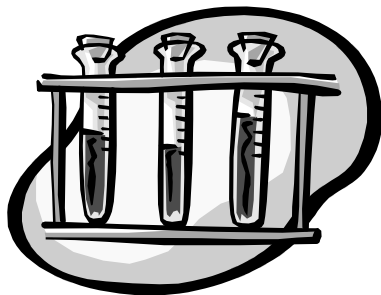
RICERCA SCIENTIFICA

Processo di indagine della realtà mirato a produrre conoscenze nuove e generalizzabili su fenomeni di interesse:



- sistematicità

- misurazione quantitativa



- riproducibilità del metodo

RESEARCH STARTING POINT

???



- Qual è la prevalenza (%) di diabete nella provincia di Verona? [*descrizione di un fenomeno=>programmazione sanitaria*];
- Esiste un'associazione tra andare all'asilo/condividere il letto con fratelli maggiori e la successiva insorgenza di asma? [*studio della relazione tra fenomeni =>formulazione di ipotesi etiologiche*];
- La combinazione ICS/long acting β -2 è migliore dei soli ICS nel controllo dell'asma severa persistente? [*studio sull'efficacia di un farmaco => causalità*].



STUDI SPERIMENTALI

- Condizioni di osservazione decise dal ricercatore (dosi, ...)
- Assegnazione delle unità ai “trattamenti” in studio mediante meccanismi casuali
- Tutti i fattori estranei al fenomeno in studio vengono controllati
- Misurazioni accurate

- Problemi etici, quando l’uomo o gli animali sono le unità sperimentali
- Costi molto elevati
- Impossibili per malattie o eventi che si verificano in tempi molto lunghi (latenza)

STUDI OSSERVAZIONALI



- Condizioni di osservazione “naturalì” o quasi
- Gli individui si trovano “spontaneamente” assegnati ai trattamenti
- Ridotta possibilità di controllare i fattori estranei
- Misurazioni in molti casi approssimate

- Meno problemi etici (Privacy/ Test diagnostici)
- Relativamente economici
- Permettono lo studio di qualsiasi malattia o evento

Le fasi della ricerca



Il processo della ricerca scientifica, sperimentazione o indagine, genera *l'evidenza empirica (dati)* relativa al problema in studio.

L'individuazione di regolarità o particolari andamenti nei dati (e la fantasia del ricercatore) permette di sviluppare generalizzazioni che descrivono le nostre osservazioni.

Tali generalizzazioni prendono il nome di leggi scientifiche.

LEGGE SCIENTIFICA: una **descrizione generalizzata**, usualmente **espressa in termini matematici**, che descrive il **comportamento empirico** di un fenomeno.

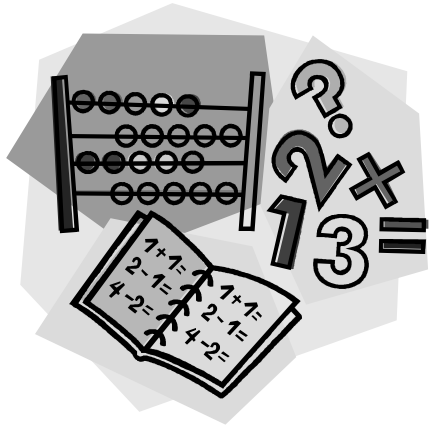


N.B. *Scientific laws describe things. They do not explain them*

ES:

$$P * V = K$$

legge di Boyle

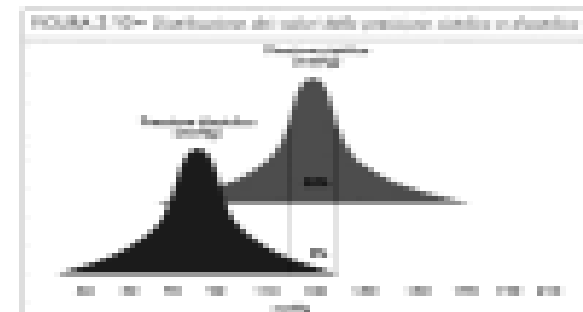
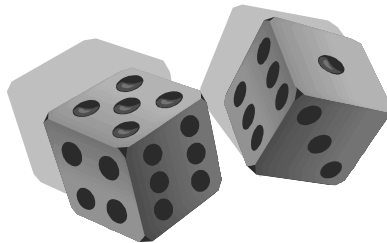


La matematica è fondamentale per la ricerca scientifica.

Essa permette di formulare modelli quantitativi le cui predizioni possono essere sottoposte a verifica sperimentale.

Nella ricerca biomedica la STATISTICA ha un ruolo fondamentale perché:

- 1) Fornisce i metodi per la sintesi delle osservazioni [STAT DESCR]**
- 2) Permette di formulare modelli in presenza di incertezza [PROB]**
- 3) Permette di generalizzare i risultati sperimentali [INF STAT]**
- 4) Controllare la variabilità delle osservazioni [DIS SPERIM]**



LA VARIABILITA' BIOLOGICA

Qual è la velocità della luce?

Misure nell'ultimo secolo: 300.000 km/sec +/- 1 km

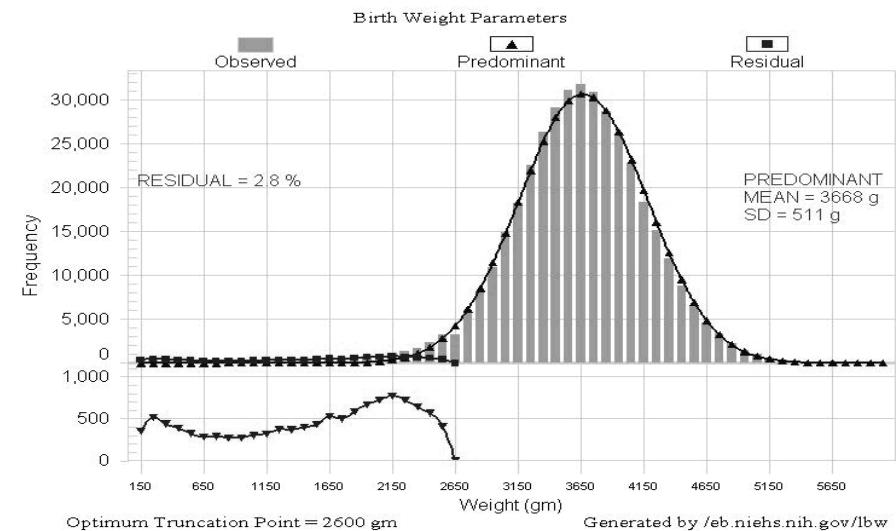
$$cv = 1/300.000$$

Attuale: 299.792.458 m/sec

Qual è il peso alla nascita di un bambino?

Misurato il peso di 400.000 bambini tra il 1992 e il 1998: 3668g +/- 511g

$$cv = 511/3668 = 14\%$$



Le sorgenti di variabilità nelle caratteristiche biologiche

- * Genetica
- * Ambiente Fisico
- * Ambiente Socio-economico
- * Ambiente culturale
- * Errore di misura

VARIABILITA INTRAINDIVIDUALE ELEVATA



MODELLI PROBABILISTICI E STATISTICI PER LA PREDIZIONE

PROGRAMMA DEL CORSO

<http://biometria.univr.it>

- Come sintetizzare, descrivere e rappresentare le osservazioni biomediche
- Introduzione alla probabilità
- La valutazione di un test diagnostico
- Principali modelli probabilistici
- Popolazione e campione: inferenza statistica
- Il disegno sperimentale
- Modelli lineari per lo studio delle relazioni tra variabili

I TESTI

- **Glantz S. Statistica per discipline bio-mediche *Mc Graw - Hill***
-