

La determinazione delle dimensioni campionarie negli studi di "non inferiorità": una possibile implementazione per Stata

Giovanni Capelli

Dipartimento di Scienze Motorie e della Salute, Università di Cassino

In considerazione dell'aumento del numero di farmaci dei quali è provata l'efficacia tramite Trial Clinici Randomizzati, è sempre meno eticamente accettabile che un nuovo farmaco possa essere confrontato con un placebo: in generale, quasi tutti i Trial Clinici Randomizzati oggi condotti prevedono un confronto del nuovo farmaco con un farmaco di riferimento, che abbia mostrato provata efficacia rispetto al placebo in precedenti studi. Tuttavia, l'effect size di un nuovo farmaco rispetto ad un farmaco attivo di riferimento sarà sempre ridotto rispetto all'effect size che è possibile attendersi in un confronto rispetto al placebo. Ciò rende necessarie numerosità campionarie sempre maggiori per i Trial Clinici Randomizzati. Inoltre, nella valutazione di applicabilità clinica di un trattamento, anche un farmaco di efficacia "pari" o "non inferiore", potrebbe, in ragione di considerazioni legate alla riduzione di costi o effetti collaterali, avere tutti i requisiti per essere immesso sul mercato. E' sulla base di queste considerazioni che si sono andati diffondendo negli ultimi 10 anni, e tendono oggi ad essere sempre più in aumento gli studi di "non inferiorità", proposti da case farmaceutiche o da ricercatori indipendenti. Tuttavia, laddove i metodi per il calcolo delle dimensioni campionarie per gli studi di "superiorità" è sostanzialmente consolidato e presente in tutti i pacchetti di statistica, il calcolo delle dimensioni campionarie e la valutazione di "non inferiorità" vedono ancora, nella letteratura scientifica e nelle linee guida di riferimento anche più recenti, un dibattito sui metodi e sugli algoritmi utilizzabili. Nel presente lavoro sarà discussa la possibile implementazione in Stata 9.0 di alcune strategie per il calcolo della numerosità campionaria o la valutazione di non inferiorità al termine di uno studio.