

La statistica nel mondo della medicina



Maria Pia Sormani

Statistica Medica, Facoltà di Medicina e Chirurgia

Università degli Studi di Genova

Cosa c'entra la Statistica con la medicina?





La Statistica è la scienza che studia l'incertezza

La Statistica serve a capire se esistono delle relazioni di causa-effetto o se invece quello che si osserva è solo frutto del caso.

Metodi statistici sono necessari tutte le volte che si studiano fenomeni variabili





- Studi epidemiologici: fattori di rischio per malattie o mortalità
- Studi clinici: efficacia dei farmaci



Esempio



Negli anni 90 soprattutto negli USA era di moda l'idea che imbottirsi di vitamine prevenisse il cancro

Caso clinico: un uomo di 72 anni, forte fumatore che ha fatto uso di vitamine a scopo preventivo per tutta la vita, si ammala di cancro al polmone.

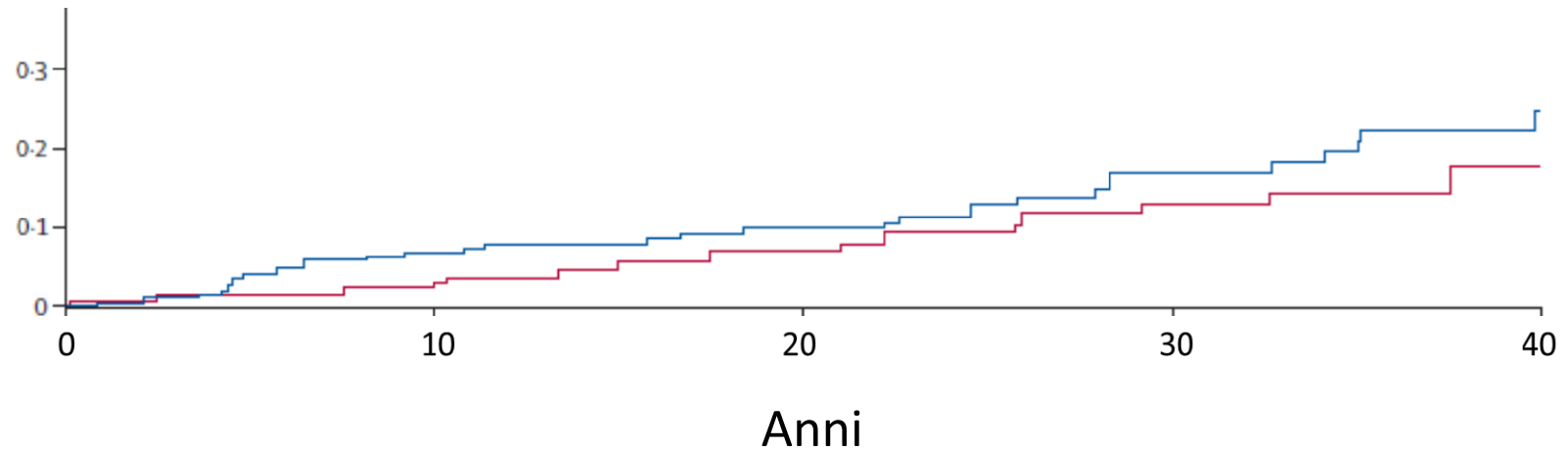
Cosa concludiamo?



Per capire se le vitamine diminuiscono il rischio di cancro al polmone bisogna fare uno studio a lungo termine su molti pazienti: si selezionano due gruppi di forti fumatori, a un gruppo si danno vitamine all'altro si dà un placebo e si osserva nel tempo l'incidenza di cancro al polmone

Curva blu: Placebo
Curva rossa: Vitamine

Incidenza cumulativa di cancro al polmone per 1000 fumatori



Cosa fa uno statistico che lavora in campo medico

- Analisi dei dati. Non sempre è come sembra

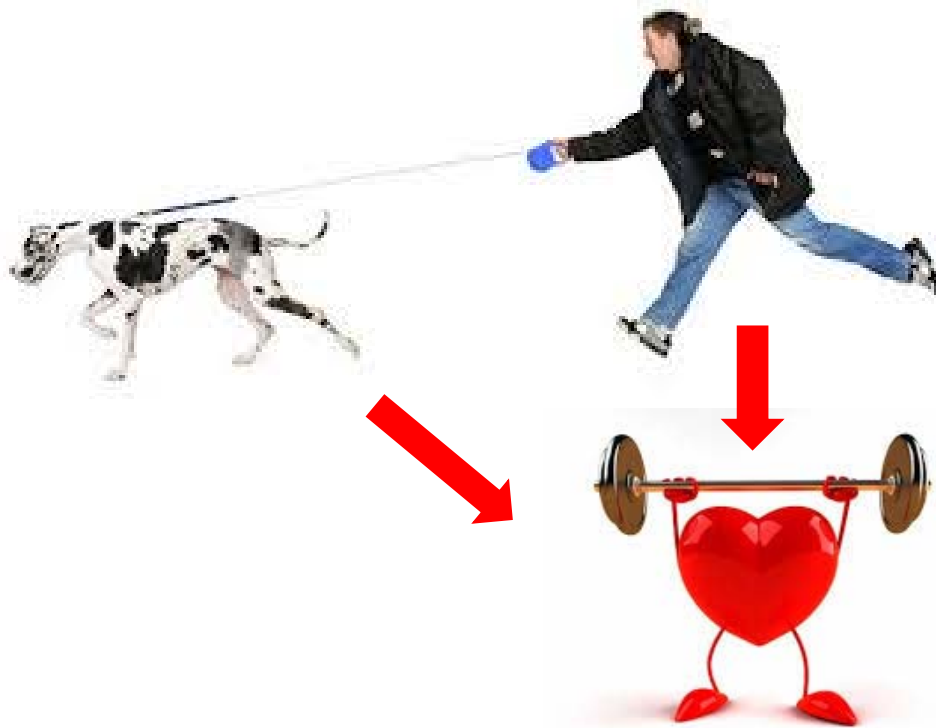
I sopravvissuti a un infarto hanno migliori prestazioni cardiache post-infarto se hanno un cane (ma non un gatto)



Am J Cardiology, March 2003
**Relation Between Pet Ownership and Heart Rate
Variability in Patients With Healed Myocardial Infarcts**

I fattori confondenti

L'esercizio fisico è un fattore confondente : chi possiede un cane fa più esercizio fisico di chi non lo possiede, e l'esercizio fisico è associato a migliori prestazioni cardiache post-infarto



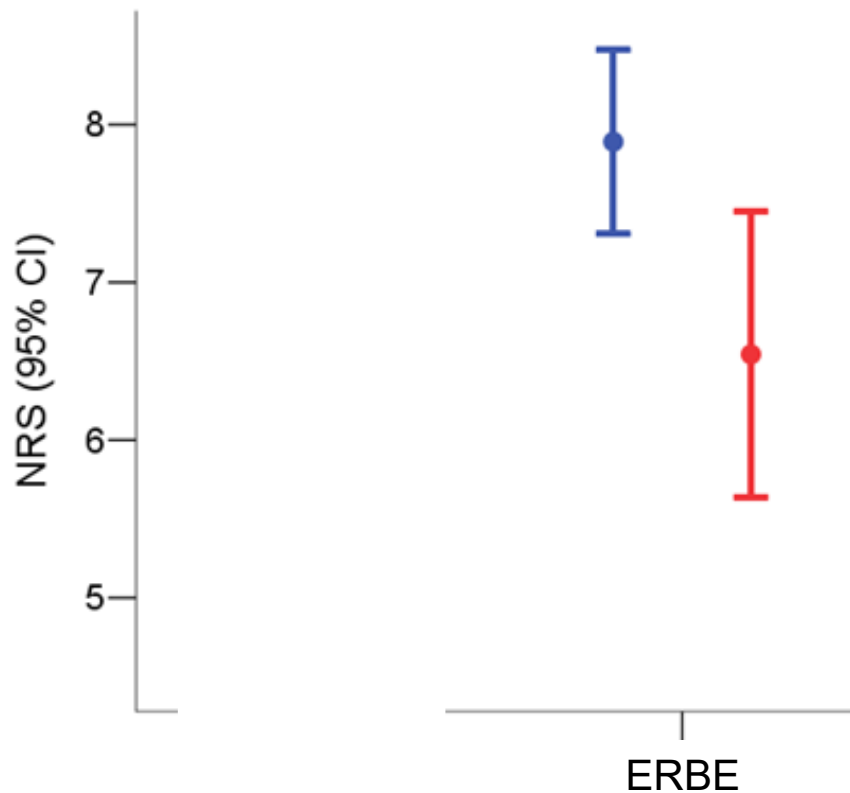
Correzione per fattori confondenti

- L'effetto di un fattore confondente noto si può correggere in fase di analisi statistica
- Avere un cane ha un effetto sulla salute cardiaca post-infarto a parità di esercizio fisico?



Cosa fa uno statistico che lavora in campo medico

- Disegno dello studio



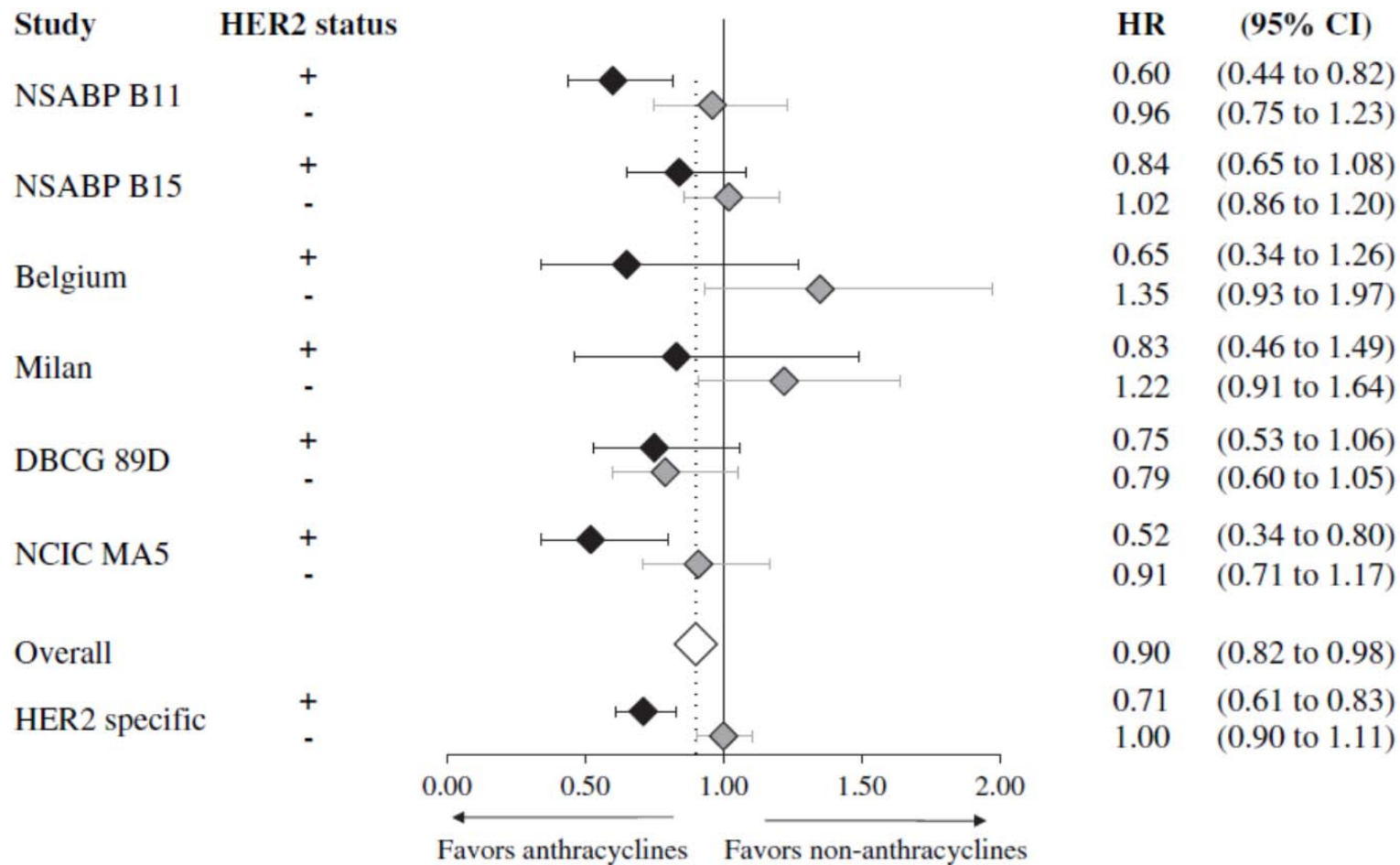
Estratto di erbe per il dolore neuropatico

Viene misurato il dolore (NRS) in un gruppo di pazienti a cui poi viene dato l'estratto di erbe. Dopo 2 settimane di trattamento si misura di nuovo il dolore

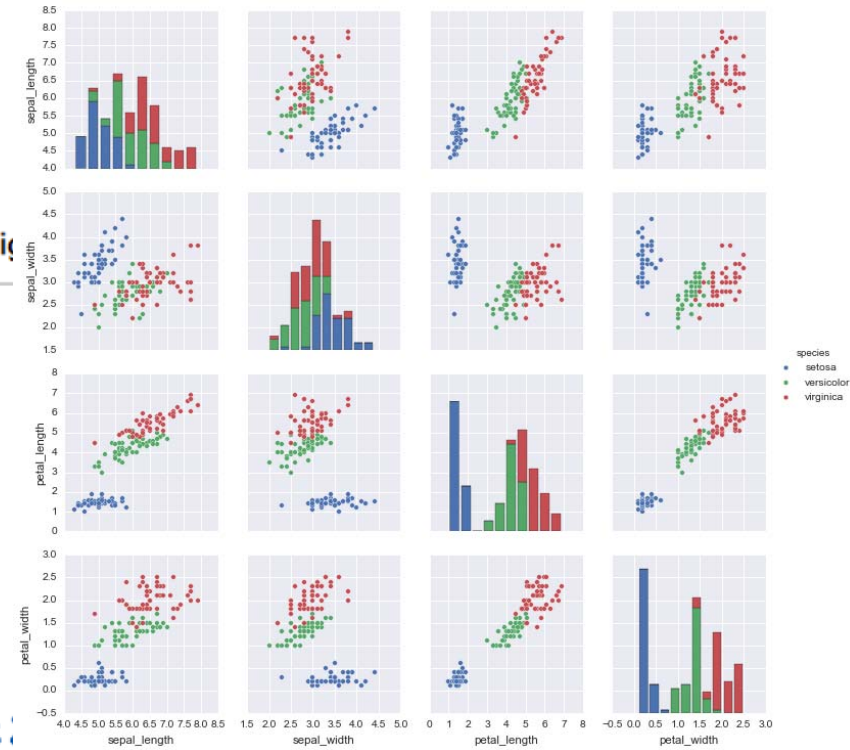
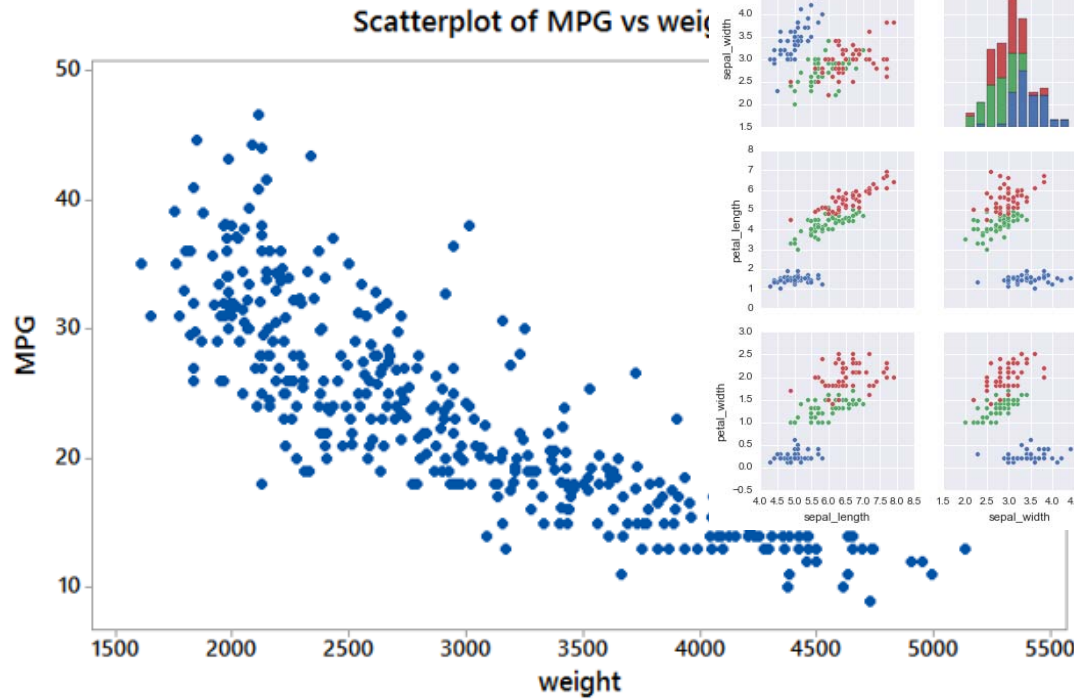
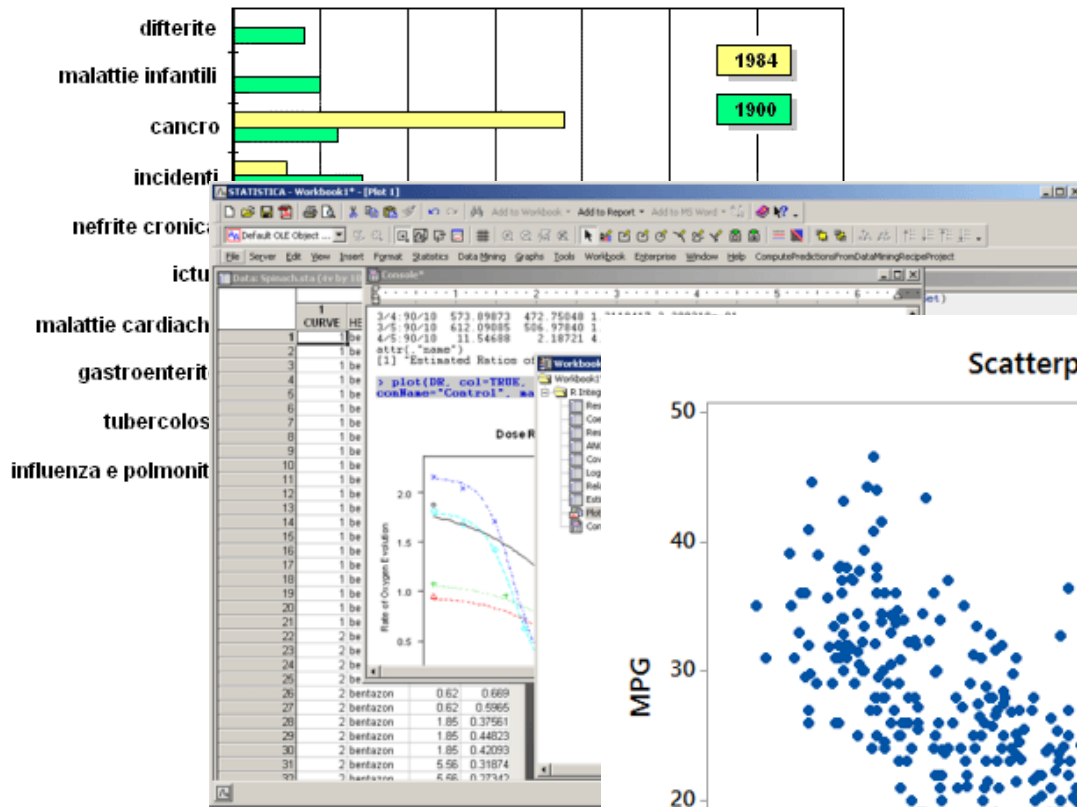
Cosa fa uno statistico che lavora in campo medico

- Supporto nel disegno degli studi e nell'analisi dei dati
- Ricerca in campo bio-statistico
- Ricerca in campo bio-medico

La pratica clinica può cambiare grazie al contributo di una analisi statistica



Cosa fa uno statistico che lavora in campo medico



Le pubblicazioni : un modo per comunicare con tutto il mondo scientifico

MRI lesions as a surrogate for relapses in multiple sclerosis: a meta-analysis of randomised trials



Maria Pia Sormani, Paolo Bruzzi

Summary

Background A meta-analysis of randomised trials in relapsing-remitting multiple sclerosis published in 2009 showed a quantitative relation between the treatment effects detected on MRI lesions and clinical relapses. We aimed to validate that relation using data from a large and independent set of clinical trials in multiple sclerosis.

Methods We searched Medline for clinical trials that assessed disease-modifying drugs for relapsing-remitting multiple sclerosis published from Sept 1, 2008, to Oct 31, 2012. We extracted data for the treatment effects on MRI lesions and on relapses from each trial, and the correlation of log transformed relative measures of these treatment effects was assessed with a weighted linear regression analysis. The R^2 value was estimated to quantify the strength of the correlation, and we used an interaction test to test for a difference in slope from the previously estimated equation. We also ran several sensitivity analyses.

Findings We identified 31 eligible trials, which provided data for 18901 patients with relapsing-remitting multiple sclerosis. The regression equation derived using data from these studies showed a relation between the concurrent treatment effects on MRI lesions and relapses (slope=0.52; $R^2=0.71$), much the same as was previously estimated ($p_{\text{interaction}}=0.45$). Analysis of trials that tested the same drugs in phase 2 and phase 3 studies showed that the effects on MRI lesions over short follow-up periods (6–9 months) can also predict the effects on relapses over longer follow-up periods (12–24 months), with reported effects on relapses that were within the 95% prediction intervals in eight of nine trials.

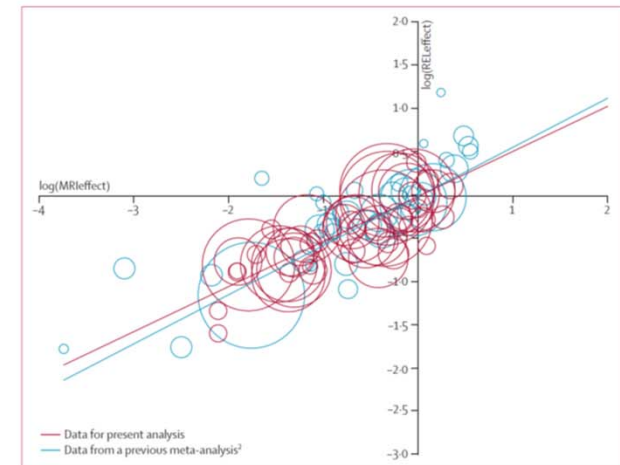
Interpretation Our findings indicate that the effect of a treatment on relapses can be accurately predicted by the effect of that therapy on MRI lesions, implying that the use of MRI markers as primary endpoints in future clinical trials of treatments for multiple sclerosis can be considered, in specific situations, such as in trials testing generics or biosimilars of drugs with a well known mechanism of action or in paediatric trials testing drugs already approved for adults.

Published Online
June 3, 2013
[http://dx.doi.org/10.1016/S1474-4422\(13\)70103-0](http://dx.doi.org/10.1016/S1474-4422(13)70103-0)

See Online/Comment
[http://dx.doi.org/10.1016/S1474-4422\(13\)70108-X](http://dx.doi.org/10.1016/S1474-4422(13)70108-X)

Biostatistics Unit, Department of Health Sciences, University of Genoa, Genoa, Italy (M P Sormani PhD); and Unit of Clinical Epidemiology, IRCCS San Martino-IST, National Cancer Research Institute, Genoa, Italy (P Bruzzi MD)

Correspondence to:
Dr Maria Pia Sormani,
Department of Health Sciences (DISSAL), Via Pastore 1, Genoa, Italy
mariapia.sormani@unige.it



Prof Maria Pia Sormani
Dipartimento di Scienze della Salute
Via Pastore 1

mariapia.sormani@unige.it