

## 必要症例数算定の基礎

何故、研究開始前に必要症例数算定をするのか？必要症例数算定とは「医学的な差と統計学的差をつなぐ作業」です。

医学的な差とは：効果の指標になります。A薬がB薬より効果がある＝差

統計学的な差とは：P値で表され、 $P < 0.05$ であれば有意差を持って統計学的にはA薬がB薬より効果があると結論されます。但し、p値は症例数を多くすれば $< 0.05$ 未満になり、統計学的な差＝医学的な差になりません。

必要症例数算定では「統計学的な差＝医学的な差になるように」設計しなくてはなりません。

何故、研究開始前に必要症例数を算定するのか？

- 目的を明確にするため
  - ▶ 仮説を証明するために必要な症例数を算定する
  - ▶ 研究が成功する確率（検出力）を予想するため
- 実現可能性を明確にするため
  - ▶ 必要症例数と症例集積能力のバランスの確認
  - ▶ 200例必要なのに年に20例しか集められない→10年かかる→現実的ではない

研究開始前に症例数を設定しないと？

- いつ研究を終了したら良いのか分からない
  - ▶ 何度も検定を繰り返す（多重解析）
  - ▶ 差が出た都合の良い時点で終了してしまう
- 本来なら多数例が必要な研究に患者を参加させてしまう
  - ▶ 症例数設計を行い少数例ならnegativeな結果が得られているのが事前に分かる（倫理違反）
  - ▶ 資源の無駄
- 本来なら少数例で可能な研究に多くの患者を参加させる
  - ▶ 資源の無駄

## 必要症例数計算に必要な情報

必要な情報	必要症例数 N
検出する差	差が大きいとNは小さくなる
バラつきの大きさ	バラつきが大きいとNは大きくなる
有意水準 $\alpha$	$\alpha$ が大きいとNは小さくなる
検出力( $1-\beta$ )	検出力が大きいとNは小さくなる

### 症例数算定での注意点

#### ① 手頃な数で済まさないこと

必要症例数が多数になり、実施可能性が低いと、実施可能な症例数にするために「差を実際より大きく見積もって」研究を計画することがあります。この場合スタートは良いのですが、成果が出た場合にネガティブに陥ります。むしろ「差を実際より小さく見積もる」ほうがポジティブな結果が出ることを念頭に置いて下さい。

#### ② 可能な限り両側検定で

他の項で詳しく述べますが、症例数の算定では片側検定の方が症例数は少なくて済みます。しかしながら、危険も伴いますので、両側検定を目指しましょう。