这个标书好像应该采用整群随机对照试验？

作者：王晓晓，赵一鸣 来源：临床流行病学和循证医学

本文原地址：https://www.iikx.com/news/statistics/1547.html

本文仅供学习交流之用，版权归原作者所有，请勿用于商业用途！

前段时间，看到这么一个标书，咱们摘出一部分看一看：

研究目的：比较两种疾病管理模式，探讨新模式是否可以提高糖尿病患者对并发症的认识，以促进患者积极复查，做到早发现早治疗，从而降低并发症的危害。

研究设计：随机对照研究，纳入400例患者，随机分为两组：新模式和现有模式。

主要指标：并发症的检出率，满意度评分(申请人也在纠结选什么指标合适)。

首先，假设已经处于验证阶段了，也就是目前已有很多观察性研究的结果了，那咱们开展一个RCT又有什么问题呢?

快听听李大爷跟张大叔在聊什么。李大爷是A组的，张大叔是B组的，但是李大爷和张大叔在一个小区里，抬头不见低头又见了，一不小心把医生交代的秘密(具体的管理模式)都给分享出去了，这叫什么呀，话唠，没办法保守秘密，还有一个说法，那就是沾染。但是，咱们又不能天天看着他们，怎么办呢?

咱们可以这样，纳入几个社区，以社区为单位，随机分为两组：新模式和现有模式。这下好了，李大爷和张大叔在同一组了，下个棋喝个茶想说啥说啥。

所以，一般对于疾病管理模式和护理模式的研究，如果涉及到随机分组，选择整群随机分组比较合适。之前曾老师和褚老师都写过整群随机对照试验的文章，大家可以温习一下，除了减少沾染还能干什么?——整群随机对照分组试验的优点，整群随机对照试验。

还有一个问题，一般针对这种管理和护理模式的研究，主要指标的选择很让人费神。

如果选一个硬指标，比如并发症的检出率，往往会因为研究周期或者是样本量限制了我们的梦想。如果选一个知信行、满意度这样的指标，又会让人觉得太不实在。

让我们回过头想想，申请人是为了提高患者的认识，促进患者去医院复查的。那如果我们就用这个作为指标呢，在规定时间内前去复查的人数/总人数。如果新模式真的提高了患者的认识，促进患者前去复查，这不就说明新模式的确是有帮助的吗。另外，这种指标理论上比并发症检出率这些硬指标更可行。

最后呢，在确定了整群随机对照试验的设计后，咱们说说怎么估算样本量。

首先，咱们可以估算出传统RCT所需的样本量，这个容易啊，查阅文献或预实验获得主要指标的参数后，比如两组主要指标的均数和标准差，或者两组主要指标的率或比例，在0.05的检验水准和0.8或0.9的检验效能下，直接利用公众号的实用工具就可以估算出样本量n。

整群随机对照试验的样本量N=(1+(m-1)*r)*n，其中m为群的数目，r为群内相关系数，n为传统RCT估算的样本量。关于r的估计，咱们以后再探讨。

更多 统计方法 请访问 https://www.iikx.com/news/statistics/

本文版权归原作者所有，请勿用于商业用途，爱科学iikx.com转发