

---

# 非劣效试验的统计分析方法

作者：陶立元 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/1920.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！**

近日有读者提出能否介绍一下，非劣效试验的统计分析过程，本文将向读者简单介绍一下该部分内容。

## 非劣效试验

的统计分析方法与常规的生物统计学类似，其原则是一样的，都是基本的医学统计分析过程。我们知道统计分析分为统计描述和统计推断，统计描述是对样本的统计量进行一些描述；统计推断是用样本量统计量来推断总体的参数，或者推断两个样本是否来源于同一个总体。

## 统计推断

又分为参数估计和假设检验，参数估计就是用样本统计量去估计总体参数，可分为点估计和区间估计；假设检验在大部分情况下是检验不同样本是否来源于同一个总体。假设检验存在两个假设，一个是原假设( $H_0$ )，一个是备择假设( $H_1$ )，它是利用小概率的思想求证原假设发生的概率，再用反证法推断备择假设是否成立。

聊了这么多，跟非劣效有半毛钱关系？当然有关系，非劣效试验的统计推断也是分为两类：参数估计和假设检验，下面将分别叙述。举个例子，假设需要比较试验药物T和对照药物C的疗效 $E(t)$ 和 $E(c)$ 的差别，非劣效界值为  $\delta$ 。

## 一、参数估计

参数估计就是求对照药物与试验药物的疗效差值的可信区间，看看这一可信区间是否包含非劣效界值，如果包含则得不出非劣效的结论。这儿涉及几个问题：1、疗效的评价是大好，还是小好？比如对高血压患者降压，那么血压在适当的范围内是降低的越多越好(此类指标称为低优指标)；又比如对贫血患者升高血红蛋白，也是在适当的范围内升高的越多越好(此类指标称为高优指标)。2、可信区间的选择可以是双侧95%的一侧，也可以是单侧97.5%。3、非劣效界值的确定，这是一个难题，需要统计学人员和临床研究者共同讨论决定，之前本微信号也有文章讨论过这个问题，可以查阅。

参数估计的结果判断如下图(此图源自参考文献)：

图中有3条竖线，第一条表示 $E(c)-E(t)=0$ (即C与T相等)，第一条表示 $E(c)-E(t)=M2$ ( $M2$ 为非劣效界值)，第一条表示 $E(c)-E(t)=M1$ ( $M1$ 为阳性对照药相对于安慰剂的疗效)。图中有4条带圈的横线，这是不同研究的C-T的点估计和区间估计值。

依据图来判断：第1条横线的显示为试验药非劣效于阳性药结果;第2和3条横线的显示不确定试验药为非劣效于阳性药，但可间接推断优于安慰剂;第4条横线显示试验药疗效不优于安慰剂组。注意此图为高优指标，低优指标依次类推。

## 2、假设检验

非劣效检验也可以采用假设检验进行比较，首先建立检验假设(以连续性变量高优指标为例)，原假设为： $C-T$ ，备择假设为： $C-T <$ ， $\alpha=0.025$ 。均数比较的计算公式为：

SAS示例程序为：

```
procttesth0=50alpha=0.05 sides=L;
```

```
var x;
```

```
run;
```

计算结果为：

---

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](http://www.iikx.com)转发