# 随机实验和观察性研究中因果推理的基本概念:一个非凡的历史

唐纳德B. 鲁宾 清华大学杨数学科学中心教授,清华大学高级研究 员,福克斯/寺庙大学名誉教授

### 因果推理的序言

- 我的介绍
  - Physics John Wheeler 1961
  - Psychology & consciousness Julian Jaynes 1964
  - Experimental design William Cochran 1968
- 之间的清晰分离
  - 科学=推理的对象
  - 如何学习来了解科学
    - 采取干预措施, 在某个时间点测量各个方面
- 同样的科学符号/表示,无论我们如何尝试学习或衡量它
- 缺少数据总是存在的
  - 无法及时地回到过去
  - 海森堡不确定性原理与观察者效应

## Fisher (1925) -实际上是随机 化的

- 从而在预期中的所有预处理变量上创造平衡
- 重新建议=如果不平衡重新随机化
  - 理论和应用最终被追求-计算成为可能
- 假设再随机化以进行评估-基准分布
  - 由尖锐零假设相矛盾得到的随机证明
  - 后验预测p值的特例(Rubin, AoS1984)
- Fisher, 1918年对非零因果效应的隐含定义): 如果我们说, "这个男孩长得很高是因为他吃得很好,"我们不仅是在追踪个体的因果关系;我们暗示他可能吃得更糟,在这种情况下,他会更矮。
- 但是,尽管在基于对称参数的尖锐零假设下,在基于对称论证的尖锐零假设下,并没有巨大的几何见解

### Neyman (1923) - 潜在结果

- 在随机实验中定义估计为N个单位的潜在结果的函数
  - Y(0)=治疗下的潜在结果阵列0
  - Y(1)=治疗下的潜在结果阵列1
  - 等等,隐含地假设SUTVA: Yi(w)(i、w)的功能
  - 不能在任何一个单元上观察到"海森堡"
- 评估随机化分布上程序的操作特性(如估计的)
- 非加性单位级因果效应的作用

• 但后来在1923年否认了深入的理解

### 对这些见解的评论

- · 20<sup>th</sup>世纪的洞察力,就像量子力学中一样
  - 估计是用可测量的量来定义的,即使在理论上,它们也不是同时可测量的
- 费雪真的是第一个吗? 皮尔斯,19年末<sup>th</sup>世纪
- 随机对照试验很快主导了整个英联邦和美国的农业和动物繁殖(FisherDOE1935)
  - 更多的应用工作(例如, 肯普索恩, 科克伦&G考克斯, Box, D考克斯)
  - 支持数学工作(例如, ISI数学学, Bose、Nair、Rao)
- 随后,随机对照试验进入了西方工业
  - 二战后: (例如,1951年日本戴明奖章,为质量控制)

• 但这些见解仅限于具有无意识单位的随机对照试验

# 将洞察力运输到具有有意识单 位的rct

#### 医学

- 1946年,英国MRC&希尔-斯特雷普
- 1954年在美国进行的索尔克疫苗随机对照试验
- 美国FDA和制药公司-PaulMeier20世纪50年代
- 过分热心地坚持ITT来评估分配的效果,而不是分配和接受药物的效果,而不是使用
- 但在非rct中没有使用Fisher/Neyman的见解或符号
  - E.g., 1964年美国卫生局局长关于吸烟和肺癌
  - Epi、econ、社会科学都使用回归和潜在结果代替观察结果和指标wi对于每个单元

# RCM (1974、1975、1976、1977、1978)

- 潜在的结果定义了所有情况下的因果估计, 而不仅仅是在随机实验中
  - Neyman不同意("过于推测性",没有随机化)
- 因果推理所需的分配机制:治疗指标W的概率
  Pr(W|X,Y(0),Y(1)),一般依赖于Y(0)和Y(1)未混淆的=Pr(W|X),如rct
  Ignorable=Pr(W|X,Y<sub>obs</sub>),如顺序rct
  Y<sub>obs</sub>Y(0)和Y(1)的=观测值
- Bayes=除了建立分配机制之外,还建立了科学(X,Y (0),Y(1))的模型,从而产生缺失和观察到的潜在结

果; 艺术触摸是需要的

因果推理面临的基本问题 (Rubin, 1975)这是一个缺 失的数据问题!

• 对于每个i, 只有Y(1)或Y可以观察到(0)

_, ,	<b>,</b>	Ý(1)	Y(0)	W
	1		·.	1
		$\checkmark$	?	1
单位		$\checkmark$	?	1
		?	<b>√</b>	0
		?	<b>√</b>	0
		?	<b>√</b>	0

N

- 随机分配主动和对照=>代表样本的Y(1)将与Y的代表性样本进行比较(0)-显而易见吗?
- 必须建模分配机制,以推断缺失的潜在结果

### 回归Y的"错误"obs, i在Wi和Xi

• 在使用观察值符号时,失去潜在的结果和关键的Fisher/内曼概念

$$Y_{obs,i} = W_i Y_i(1) + (1 - W_i) Y_i(0)$$

- 混合分配机制和科学!
- 抑制关键见解,不丢失数据!
  - 该估计什么? 必须是参数吗??!
- 生物统计学、经济学、流行病学的标准,无处不在!!
- 即使是伟大的统计学家和流行病学家(如费舍尔、科克伦、康菲尔德、·····)也把自己与观

#### 察值符号混淆了

9

# 对观察性研究的不良影响-没有设计阶段,分析混乱

- 关联与因果关系之间的关系,混乱的
- E.g.,病例-非病例(对照)研究
  - 这些方法使用的抽样机制是混淆的,因为根据定义,它们依赖于 观察到的潜在结果
- 试着用回归来"修复",但没有任何原则

"我们现在考虑观察性研究可以支持的推论类型,无论是前瞻性的还是回顾性的,以及那些可以由实验研究支持的推论。这种区别似乎是不可否认的,但其确切的性质却难以捉摸。"康菲尔德,1959年,《研究原理》

### 启动结论

- 保留来自过去的关键见解
- 避开了过去的混乱
- 意识到RCT的想法是非常新的
- 更新针对设计和分析的统计方法,以利用现代计算环境
- 鼓励数学精度,特别是在符号和逻辑流程中
- 精度可能会对具有挑战性的应用产生关键的后果,例如,安慰剂效应

### 一些新的一般想法

- 设计研究的倾向得分,包括实验性和观察性R&R(1983…)
- 在实验中重新随机化,以避免"不幸"的分配,并作为观察性研究M&R的扩展模板(2010·····)。
- 处理并发症的主要分层,如不遵守指定治疗的R&T(2002)和安慰剂效应R(2020)