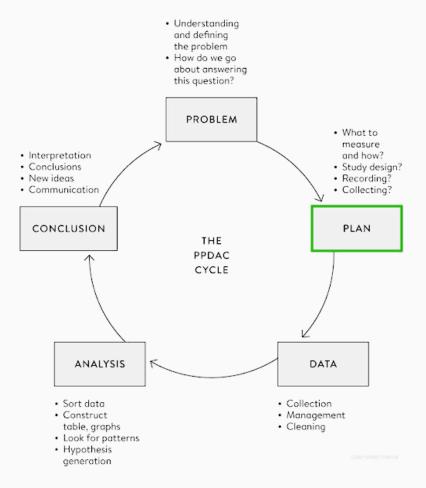
# Popolazione e Campione

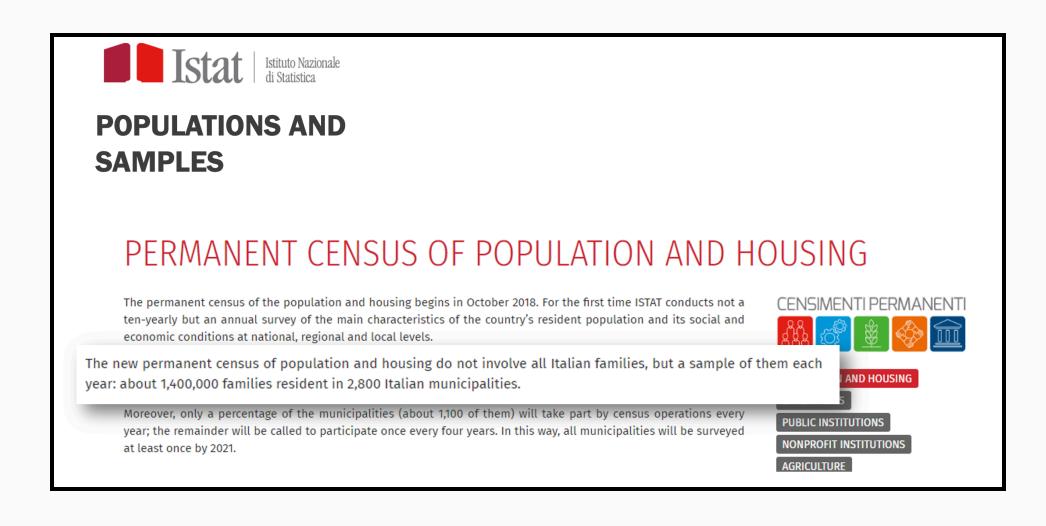
### Obiettivi di apprendimento

- Conoscere le differenze tra popolazione e campione
- Conoscere le due maggiori strategie di campionamento
- Individuare distorsioni sistemistiche (o bias) nei campioni

#### Le fasi della ricerca



### Popolazione vs campione



### Popolazione vs campione (nella clinica)

# Delirium as a Predictor of Mortality in Mechanically Ventilated Patients in the Intensive Care Unit

E. Wesley Ely, MD, MPH
Ayumi Shintani, PhD, MPH
Brenda Truman, RN, MSN
Theodore Speroff, PhD
Sharon M. Gordon, PsyD
Frank E. Harrell, Jr, PhD
Sharon K. Inouye, MD, MPH
Gordon R. Bernard, MD
Robert S. Dittus, MD, MPH

**Context** In the intensive care unit (ICU), delirium is a common yet underdiagnosed form of organ dysfunction, and its contribution to patient outcomes is unclear.

**Objective** To determine if delirium is an independent predictor of clinical outcomes, including 6-month mortality and length of stay among <u>ICU patients receiving mechanical ventilation</u>.

**Design, Setting, and Participants** Prospective cohort study enrolling 275 consecutive mechanically ventilated patients admitted to adult medical and coronary ICUs of a US university-based medical center between February 2000 and May 2001. Patients were followed up for development of delirium over 2158 ICU days using the Confusion Assessment Method for the ICU and the Richmond Agitation-Sedation Scale.

#### Esercizio #1

#### Abstract BACKGROUND

Experimental studies and small clinical trials have suggested that treatment with intranasal oxytocin may reduce social impairment in persons with autism spectrum disorder. Oxytocin has been administered in clinical practice to many children with autism spectrum disorder.

#### **METHODS**

We conducted a 24-week, placebo-controlled phase 2 trial of intranasal oxytocin therapy in children and adolescents 3 to 17 years of age with autism spectrum disorder. Participants were randomly assigned in a 1:1 ratio, with stratification according to age and verbal fluency, to receive oxytocin or placebo, administered intranasally, with a total target dose of 48 international units daily. The primary outcome was the least-squares mean change from baseline on the Aberrant Behavior Checklist modified Social Withdrawal subscale (ABC-mSW), which includes 13 items (scores range from 0 to 39, with higher scores indicating less social interaction). Secondary outcomes included two additional measures of social function and an abbreviated measure of IQ.

- Qual è la popolazione di studio?
  - a) Bambini e adolescenti tra 3-17 anni con autismo
  - b) Bambini e adolescenti in Inghilterra
  - c) Bambini e adolescenti con autismo
  - d) Bambini e adolescenti che non presentano sintomi di autismo

#### Esercizio #1 -- Soluzione

#### Abstract BACKGROUND

Experimental studies and small clinical trials have suggested that treatment with intranasal oxytocin may reduce social impairment in persons with autism spectrum disorder. Oxytocin has been administered in clinical practice to many children with autism spectrum disorder.

#### **METHODS**

We conducted a 24-week, placebo-controlled phase 2 trial of intranasal oxytocin therapy in children and adolescents 3 to 17 years of age with autism spectrum disorder. Participants were randomly assigned in a 1:1 ratio, with stratification according to age and verbal fluency, to receive oxytocin or placebo, administered intranasally, with a total target dose of 48 international units daily. The primary outcome was the least-squares mean change from baseline on the Aberrant Behavior Checklist modified Social Withdrawal subscale (ABC-mSW), which includes 13 items (scores range from 0 to 39, with higher scores indicating less social interaction). Secondary outcomes included two additional measures of social function and an abbreviated measure of IQ.

- Qual è la popolazione di studio?
  - a) Bambini e adolescenti tra 3-17 anni con autismo
  - b) Bambini e adolescenti in Inghilterra
  - c) Bambini e adolescenti con autismo 🗹
  - d) Bambini e adolescenti che non presentano sintomi di autismo

#### Esercizio #2

#### Abstract BACKGROUND

Experimental studies and small clinical trials have suggested that treatment with intranasal oxytocin may reduce social impairment in persons with autism spectrum disorder. Oxytocin has been administered in clinical practice to many children with autism spectrum disorder.

#### **METHODS**

We conducted a 24-week, placebo-controlled phase 2 trial of intranasal oxytocin therapy in children and adolescents 3 to 17 years of age with autism spectrum disorder. Participants were randomly assigned in a 1:1 ratio, with stratification according to age and verbal fluency, to receive oxytocin or placebo, administered intranasally, with a total target dose of 48 international units daily. The primary outcome was the least-squares mean change from baseline on the Aberrant Behavior Checklist modified Social Withdrawal subscale (ABC-mSW), which includes 13 items (scores range from 0 to 39, with higher scores indicating less social interaction). Secondary outcomes included two additional measures of social function and an abbreviated measure of IQ.

- Qual è il campione selezionato?
  - a) Bambini e adolescenti tra 3-17 anni con autismo
  - b) Bambini e adolescenti in Inghilterra
  - c) Bambini e adolescenti con autismo
  - d) Bambini e adolescenti che non presentano sintomi di autismo

#### Esercizio #2 -- Soluzione

#### Abstract BACKGROUND

Experimental studies and small clinical trials have suggested that treatment with intranasal oxytocin may reduce social impairment in persons with autism spectrum disorder. Oxytocin has been administered in clinical practice to many children with autism spectrum disorder.

#### **METHODS**

We conducted a 24-week, placebo-controlled phase 2 trial of intranasal oxytocin therapy in children and adolescents 3 to 17 years of age with autism spectrum disorder. Participants were randomly assigned in a 1:1 ratio, with stratification according to age and verbal fluency, to receive oxytocin or placebo, administered intranasally, with a total target dose of 48 international units daily. The primary outcome was the least-squares mean change from baseline on the Aberrant Behavior Checklist modified Social Withdrawal subscale (ABC-mSW), which includes 13 items (scores range from 0 to 39, with higher scores indicating less social interaction). Secondary outcomes included two additional measures of social function and an abbreviated measure of IQ.

- Qual è il campione selezionato?
  - a) Bambini e adolescenti tra 3-17 anni con autismo
  - b) Bambini e adolescenti in Inghilterra
  - c) Bambini e adolescenti con autismo
  - d) Bambini e adolescenti che non presentano sintomi di autismo

Sikich, L. et al., Intranasal Oxytocin in Children and Adolescents with Autism Spectrum Disorder, NEJM, 2021

#### Esercizio #3

Table 1. Demographic Characteristics of the Participants					
Characteristic	All Participants (N=277)				
	Oxytocin (N=139)	Placebo (N=138)			
Age					
Mean — yr	10.4±4.1	10.4±4.0			
Distribution — no. (%)					
3–6 yr	34 (24)	35 (25)			
7–11 yr	54 (39)	53 (38)			
12–17 yr	51 (37)	50 (36)			
Sex — no. (%)					
Male	122 (88)	120 (87)			
Female	17 (12)	18 (13)			

? Qual è la numerosità del campione

- a) 277
- b) 139
- c) 138
- d) non è possibile dirlo

01:00

#### Esercizio #3 -- Soluzione

Table 1. Demographic Characteristics of the Participants					
Characteristic		All Participants (N = 277)			
	Oxytocin (N=139)	Placebo (N=138)			
Age					
Mean — yr	10.4±4.1	10.4±4.0			
Distribution — no.	(%)				
3–6 yr	34 (24)	35 (25)			
7–11 yr	54 (39)	53 (38)			
12–17 yr	51 (37)	50 (36)			
Sex — no. (%)					
Male	122 (88)	120 (87)			
Female	17 (12)	18 (13)			

Qual è la numerosità del campione

- a) 277 🗸
- b) 139
- c) 138
- d) non è possibile dirlo

Sikich, L. et al., Intranasal Oxytocin in Children and Adolescents with Autism Spectrum Disorder, NEJM, 2021

### Campione di convenienza

Un campione di convenienza è un campione estratto da una parte della popolazione a cui abbiamo un facile accesso e che potrebbe non rappresentarla nella sua interezza

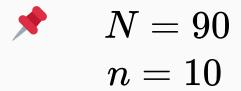
Tutti i pazienti che si presentano in uno specifico ambulatorio, in uno specifico ospedale, in un dato periodo di tempo

### Campionamento casuale semplice

Nel campionamento casuale semplice tutti i soggetti della popolazione hanno la stessa probabilità di venire inclusi nel campione

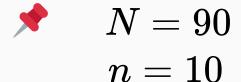
Un sottoinsieme estratto in modo casuale dall'elenco dei pazienti con la malattia

# Campionamento casuale semplice



	La Tombola di TABELLONE						en Channe		
1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
11	12	13	14	15	16	17	18	19	20
21	22	23	24	25	26	27	28	29	30
31	32	33	34	35	36	37	38	39	40
41	42	43	44	45	46	47	48	49	50
51	52	53	54	55	56	57	58	59	60
61	62	63	64	65	66	67	68	69	70
71	72	73	74	75	76	77	78	79	80
81	82	83	84	85	86	87	88	89	90

### Campionamento casuale semplice



49, 65, 25, 74, 18 90, 47, 24, 71, 37

La T Piane	ombola taBambir	di	A	BELLONE STREET S					
1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
11	12	13	14	15	16	17	18	19	20
21	22	23	24	25	26	27	28	29	30
31	32	33	34	35	36	37	38	39	40
41	42	43	44	45	46	47	48	49	50
51	52	53	54	55	56	57	58	59	60
61	62	63	64	65	66	67	68	69	70
71	72	73	74	75	76	77	78	79	80
81	82	83	84	85	86	87	88	89	90

#### **Esercizio #4**

- In quale tipi di studio può capitare di selezionare un campione di convenienza?
  - a) Censimenti
  - b) Studi di popolazione
  - c) Studi clinici
  - d) Nessuno: durante uno studio, il campione è sempre casualmente selezionato dalla popolazione

#### Esercizio #4 -- Soluzione

- In quale tipi di studio può capitare di selezionare un campione di convenienza?
  - a) Censimenti
  - b) Studi di popolazione
  - c) Studi clinici
  - d) Nessuno: durante uno studio, il campione è sempre casualmente selezionato dalla popolazione

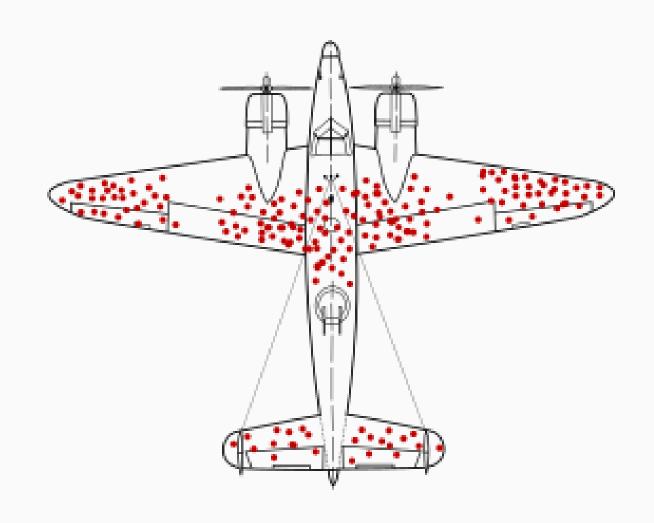
#### Esercizio #5

- Quale tra i seguenti esempi si può definire campione di convenienza per un'indagine sierologica sul COVID-19 nella popolazione italiana?
  - a) Un campione scelto in maniera casuale dalla popolazione
  - b) Il campione selezionato per l'indagine sierologica COVID-19 avviata dal Ministero della Salute (campione composto da 150.000 persone residenti in 2000 Comuni)
  - c) Un campione selezionato tra gli studenti di UniTO
  - d) Nessuno dei precedenti

#### Esercizio #5 -- Soluzione

- Quale tra i seguenti esempi si può definire campione di convenienza per un'indagine sierologica sul COVID-19 nella popolazione italiana?
  - a) Un campione scelto in maniera casuale dalla popolazione
  - b) Il campione selezionato per l'indagine sierologica COVID-19 avviata dal Ministero della Salute (campione composto da 150.000 persone residenti in 2000 Comuni)
  - c) Un campione selezionato tra gli studenti di UniTO 🗸
  - d) Nessuno dei precedenti

Survivor bias



Survivor bias

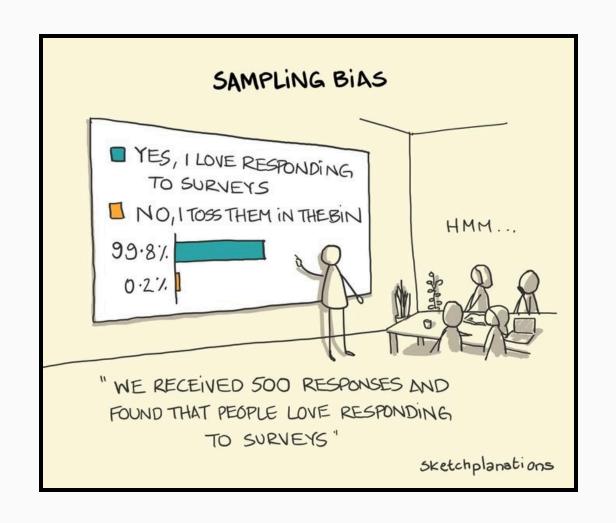
"Una volta gli edifici erano più belli/resistenti"

Survivor bias

"Una volta gli edifici erano più belli/resistenti"

"Non capisco perché oggigiorno bisogni fare X, io non l'ho mai fatto e sono ancora qui a raccontarlo"

- Survivor bias
- Volunteer bias



- Survivor bias
- Volunteer bias

Un insegnante si chiede se una serie di esercitazioni migliora il rendimento agli esami. Invita quindi gli studenti interessati a iscriversi.

- Survivor bias
- Volunteer bias
- Lost to follow up bias

- Survivor bias
- Volunteer bias
- Lost to follow up bias

Una ditta sta valutando l'efficacia di un nuovo farmaco su una corte di 100 pazienti oncologici reclutati in un certo di eccellenza, 30 dei quali non si presentano alla visita di controllo. Cosa concludiamo sul farmaco se vi dico che queste 30 persone...

- Survivor bias
- Volunteer bias
- Lost to follow up bias

Una ditta sta valutando l'efficacia di un nuovo farmaco su una corte di 100 pazienti oncologici reclutati in un certo di eccellenza, 30 dei quali non si presentano alla visita di controllo. Cosa concludiamo sul farmaco se vi dico che queste 30 persone...

- sono morte?

- Survivor bias
- Volunteer bias
- Lost to follow up bias

Una ditta sta valutando l'efficacia di un nuovo farmaco su una corte di 100 pazienti oncologici reclutati in un certo di eccellenza, 30 dei quali non si presentano alla visita di controllo. Cosa concludiamo sul farmaco se vi dico che queste 30 persone...

- sono morte?
- hanno smesso di prendere il farmaco?

- Survivor bias
- Volunteer bias
- Lost to follow up bias

Una ditta sta valutando l'efficacia di un nuovo farmaco su una corte di 100 pazienti oncologici reclutati in un certo di eccellenza, 30 dei quali non si presentano alla visita di controllo. Cosa concludiamo sul farmaco se vi dico che queste 30 persone...

- sono morte?
- hanno smesso di prendere il farmaco?
- sono ritornate alla loro città di origine?

- Survivor bias
- Volunteer bias
- Lost to follow up bias
- . . .

### Cosa abbiamo imparato in questa lezione?

- La popolazione è l'insieme di tutti gli individui per cui vogliamo studiare un fenomeno ed è, teoricamente, infinita
- Il campione è un sotto insieme (rappresentativo?) della popolazione
- Più un campione è rappresentativo della popolazione, più le nostre conclusioni sono robuste
- Anche campioni rappresentativi (casuali) possono soffrire di bias