

基于预测分布的样本量选择——单臂试验（二项分布，适用于两阶段）

简介

通过分析先验与设计先验计算参数的后验预测分布，指定试验成功的概率，从而计算试验所需的样本量。

参数

α : beta 分布的第一个参数，用于分析先验 $\text{beta}(\alpha, \beta)$ 。

β : beta 分布的第一个参数，用于分析先验 $\text{beta}(\alpha, \beta)$ 。

nd: 用于控制设计先验的参数，nd=-1 表示 nd 趋于无穷大，此时设计先验为单点分布。

Pd: 用于控制设计先验的参数，即备择假设下疗效值的先验信息。

P0: 对照组或历史数据提供的发生率的参考值。

δ : 可接受的疗效差异。

λ : 分析先验下试验成功的概率。

γ : 设计先验下试验成功的概率。

详细

为比较单臂试验中疗效 θ 是否达到预估的水平，假设检验为 $H_0: \theta \leq P_0 + \delta$ vs $H_1: \theta \geq P_d$ 。 θ 的分析先验为 $\text{beta}(\alpha, \beta)$ ，设计先验 $\text{beta}(nd \cdot p_d + 1, nd(1 - p_d) + 1)$ ，在给定 λ 和 γ 的条件下返回样本量。

参考

Teramukai S , Daimon T , Zohar S . A Bayesian predictive sample size selection design for single-arm exploratory clinical trials[J]. Statistics in Medicine, 2012,

案例

为估计单臂试验所需样本量，假设检验为 $H_0: \theta \leq 0.2 + 0.1$ vs $H_1: \theta \geq 0.5$ 。 θ 的分析先验为 $\text{beta}(1, 1)$ ，设计先验 $\text{beta}(51, 51)$ ，给定 $\lambda=0.9$ 和 $\gamma=0.8$ 的条件下计算试验样本量与 power。

Tips:该算法模拟需要时间，预计时间小于 5 分钟。