#### Kursus 02323: Introducerende Statistik

## Forelæsning 12: Forsøgsplanlægning

#### Peder Bacher

DTU Compute, Dynamiske Systemer Bygning 303B, Rum 010 Danmarks Tekniske Universitet 2800 Lyngby – Danmark e-mail: pbac@dtu.dk

Spring 2023

### Afsnit 3.3 og 7.2.2: Forsøgsplanlægning

#### Grundlæggende koncepter for forsøgsplanlægning:

• Testens styrke er  $1 - \beta$  (hvor  $\beta$  er sandsynligheden for at begå Type II fejl)

# Specifikke metoder, forsøgsplanlægning (middelværdi, både one og two sample setup):

- Stikprøvestørrelse n for ønsket præcision af konfidensintervaller
- ullet Stikprøvestørrelse n for ønsket styrke af tests

# Specifikke metoder, forsøgsplanlægning (andel, one sample setup):

• Stikprøvestørrelse n for ønsket præcision af konfidensintervaller

### Section 3.3 and 7.2.2: Design of experiments

General concepts for design of experiments:

• Power of a test is  $1 - \beta$  (where  $\beta$  is the probability of making a Type II error)

Specific methods, design of experiments (mean, both one and two sample setup):

- Sample size *n* for wanted precision of confidence intervals
- Sample size *n* for wanted power of tests

Specific methods, design of experiments (proportion, one-sample setup):

• Sample size *n* for wanted precision of confidence intervals

### Oversigt

- 1 Planlægning af studie med krav til præcision
- 2 Planlægning: Power og sample size
- 3 Andele: Bestemmelse af stikprøvestørrelse

#### Planlægning af studie med krav til præcision

#### Man vil gerne tænke sig om inden eksperimentet udføres:

- Brug for at vide hvor præcise resultater (f.eks. konfidensinterval) forventes at blive med et fremtidigt eksperiment
- Hvor stor en effekt forventes at kunne opdages (e.g. hvis sovemedicinen virker 2 timer bedre, hvad er sandsynligheden for at det opdages?)
- Spørgsmål om at optimere økonomiske ressourcer og etik!

### Method 3.63: The one-sample CI sample size formula

#### Antal observationer og den forventede (halve) bredde af konfidensintervallet

When  $\sigma$  is known or guessed at some value, we can calculate the sample size n needed to achieve a given margin of error, ME, with probability  $1-\alpha$  as

$$n = \left(\frac{z_{1-\alpha/2} \cdot \sigma}{ME}\right)^2$$

 Margin of error ME er den halve bredde af konfidensintervallets forventede bredde

# Eksempel på to mulige fejl ved hypotesetest – sovemedicin

#### To mulige sandheder vs. to mulige konklusioner:

Test udfald		
Virkelighed	Afvis $H_0$	Afvis ikke $H_0$
Sand $H_0$ : Medicinen virker ikke	Type I fejl (α)	Korrekt: Ingen effekt
Falsk $H_0$ : Medicinen virker	Korrekt: Påvist effekt	Type II fejl (β)

### Eksempel på to mulige fejl ved hypotesetest (repetition)

#### To mulige sandheder vs. to mulige konklusioner:

Test udfald		
Virkelighed	Afvis $H_0$	Afvis ikke $H_0$
Sand $H_0$	Type I fejl (α)	Korrekt accept af $H_0$
Falsk $H_0$	Korrekt afvisning af $H_0$	Type II fejl (β)

## Mulige fejl ved hypotesetests (repetition)

Der findes to slags fejl (dog kun een af gangen!)

Type I: Rejection of  $H_0$  when  $H_0$  is true

(Medicinen virker ikke, men vi kommer til at tro den virker)

Type II: Non-rejection of  $H_0$  when  $H_1$  is true (Medicinen virker, men vi opdager det ikke)

Risikoen for de to typer fejl kaldes sædvanligvis:

$$P(\mathsf{Type}\;\mathsf{I}\;\mathsf{error}) = \alpha$$

$$P(\mathsf{Type\ II\ error}) = \beta$$

# Testens styrke (power)

#### Hvad er styrken $1 - \beta$ for et kommende studie/eksperiment:

- ullet Sandsynligheden for at opdage en effekt (af en vis størrelse  $|\mu_0-\mu_1|$ )
- Probability of correct rejection of H<sub>0</sub>

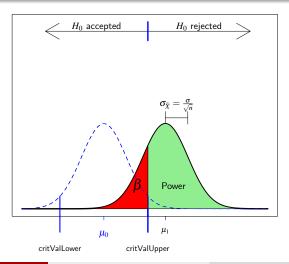
#### Udfordring: Nulhypotesen kan være forkert på mange måder!

I praksis, scenarie-baseret approach:

- F.eks. "Hvis nu sovemedicinen rent faktisk virker 2 timer bedre, hvor godt vil mit studie være til at opdage dette?"
- Eller, jeg vil gerne *hvis min sovemedicin virker 3 timer bedre*, opdage dette med en bestemt sandsynlighed (power)

 $ar{X}\sim N(\mu_1,rac{\sigma^2}{n})$  er den antagede fordeling (dvs. om  $\mu_1$  og  $ME=|\mu_1-\mu_0|$ )  $H_0:\mu=\mu_0$  er nulhypotesen

Vi kan se hvad  $\beta$  er:  $P(H_0 \text{ accepteres forkert}) = P(\mathsf{Type} \ \mathsf{II}) = \beta$ 



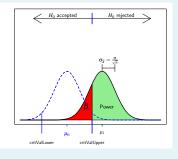
### Spørgsmål om power (socrative.com - ROOM:PBAC)

Vi antager at  $\bar{X} \sim N(\mu_1, \frac{\sigma^2}{n})$  (dvs. fordelt om  $\mu_1$ , som er effekten vi vil kunne påvise),  $H_0: \mu = \mu_0$  er nulhypotesen

Hvordan kan vi opnå en større power uden at kompromitere noget ved testen (dvs. ikke ændre på hypotesen eller risikoen for type I fejl)?

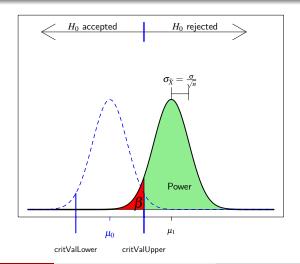
- A: Mindske  $\mu_0$  så  $ME = |\mu_0 \mu_1|$  øges
- B:  $\emptyset$ ge  $\alpha$  (på figur vil 'critvalUpper' mindskes)
- C: Øge n antallet af observationer
- D: Desværre kan det ikke lade sig gøre
- E: Ved ikke

Svar C: Hvis antallet af observationer øges så stiger power uden at kompromitere andet ved testen



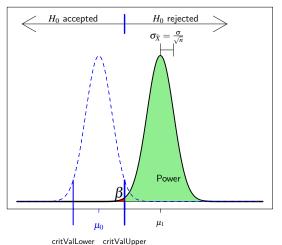
Vi antager  $\bar{X} \sim N(\mu_1, \frac{\sigma^2}{n})$  (dvs. fordelt om  $\mu_1$ , som er effekten vi vil kunne påvise),  $H_0: \mu = \mu_0$  er nulhypotesen

Flere observationer, dvs. større n



Vi antager  $\bar{X} \sim N(\mu_1, \frac{\sigma^2}{n})$  (dvs. fordelt om  $\mu_1$ , som er effekten vi vil kunne påvise),  $H_0: \mu = \mu_0$  er nulhypotesen

Endnu flere observationer, dvs. endnu større n



ritvaiLower CritvaiOppei

### Planlægning, find sample size n

#### Det store spørgsmål i praksis: HVAD skal *n* være?

Forsøget skal være stort nok til at kunne opdage en relevant effekt med stor power (som regel mindst 80%):

#### Metode 3.65: Tilnærmet svar for en one-sample *t*-test:

For the one-sample *t*-test for given  $\alpha$ ,  $\beta$  and  $\sigma$ 

$$n = \left(\sigma \frac{z_{1-\beta} + z_{1-\alpha/2}}{(\mu_0 - \mu_1)}\right)^2$$

where  $\mu_0-\mu_1$  is the difference in means that we would want to detect and  $z_{1-\beta}$ ,  $z_{1-\alpha/2}$  are quantiles of the standard normal distribution.

### Planlægning, sæt 4 prm. og beregn den sidste

#### Når man har fastlagt hvilket test, der skal bruges:

Kender man (eller fastlægger/gætter på) fire ud af følgende fem oplysninger, kan man regne sig frem til den femte:

- n Sample size
- $\alpha$  Significance level of the test
- $\delta$  A difference in mean that you would want to detect (effect size) (dvs.  $\mu_2$  er her den middelværdi med afstand til  $\mu_1$  som vi "mindst" vil kunne påvise)
- σ The population standard deviation
- $1 \beta$  The power

## Eksempel - The sample size for power= 0.80

```
## Stikprøvestørrelse for t-test
power.t.test(power = .80, delta = 4, sd = 12.21, sig.level=0.05,
      type = "one.sample")
##
##
        One-sample t test power calculation
##
##
                n = 75.08
##
             delta = 4
##
                sd = 12.21
         sig.level = 0.05
##
##
             power = 0.8
       alternative = two.sided
##
```

Svar: n = 76 (husk at runde op)

#### Metode 3.65: *Tilnærmet* svar for en one-sample *t*-test:

Formlen giver lidt lavere resultat, fordi normalfordelingen bruges i stedet for *t*-fordelingen:

$$n = \left(\sigma \frac{z_{1-\beta} + z_{1-\alpha/2}}{(\mu_0 - \mu_1)}\right)^2$$
$$= \left(12.21 \frac{0.84 + 1.96}{4}\right)^2$$
$$= 73.05$$

I opgaver bruges resultatet fra power.t.test(), hvis der ikke henvises konkret til formlen fra bogen.

### Eksempel - The power for n = 40

```
## Beregn power for t-test
power.t.test(n = 40, delta = 4, sd = 12.21, sig.level=0.05,
      type = "one.sample")
##
##
        One-sample t test power calculation
##
##
                 n = 40
##
             delta = 4
                sd = 12.21
##
##
         sig.level = 0.05
             power = 0.5242
##
##
       alternative = two.sided
```

### Styrke og stikprøvestørrelse - two-sample

Finding the sample size for detecting a group difference of 2 with  $\sigma=1$  and power= 0.9:

```
## Beregn stikprøvestørrelsen
power.t.test(power = 0.90, delta = 2, sd = 1, sig.level = 0.05)
##
##
        Two-sample t test power calculation
##
##
                 n = 6.387
             delta = 2
##
                sd = 1
##
##
         sig.level = 0.05
             power = 0.9
##
##
       alternative = two.sided
##
## NOTE: n is number in *each* group
```

Svar: n = 7 (husk at runde op)

### Styrke og stikprøvestørrelse - two-sample

Finding the power of detecting a group difference of 2 with  $\sigma = 1$  for n = 10:

```
## Power beregning
power.t.test(n = 10, delta = 2, sd = 1, sig.level = 0.05)
##
##
        Two-sample t test power calculation
##
##
                n = 10
             delta = 2
##
                sd = 1
##
##
         sig.level = 0.05
             power = 0.9882
##
##
       alternative = two.sided
##
## NOTE: n is number in *each* group
```

### Styrke og stikprøvestørrelse - two-sample

Finding the detectable effect size (delta) with  $\sigma = 1$ , n = 10 and power= 0.9:

```
## Berean margin of error
power.t.test(power = 0.90, n = 10, sd = 1, sig.level = 0.05)
##
##
        Two-sample t test power calculation
##
##
                n = 10
             delta = 1.534
##
                sd = 1
##
##
         sig.level = 0.05
             power = 0.9
##
##
       alternative = two.sided
##
## NOTE: n is number in *each* group
```

# Andele: Stikprøvestørrelse: "Margin of Error" (ME):

#### Margin of Error på estimat kan siges at være:

- Forventningsværdi af "halvdelen af konfidensintervallets bredde"
- "Den forskel i middelværdi" man gerne vil være i stand til at påvise
- Under  $H_0$ : Forventningsværdi af afstanden mellem middelværdien og det kritiske niveau

#### Margin of Error

 $med (1-\alpha)\%$  konfidens bliver

$$ME = z_{1-\alpha/2} \sqrt{\frac{p(1-p)}{n}}$$

hvor et estimat af p fås ved  $p = \frac{x}{n}$ 

### Spørgsmål om Margin of Error (socrative.com, ROOM: pbac)

Hvad er "Margin of Error" (ME) hvis man vil have et konfidensinterval med bredde på 0.2?

- A: 0.1
- B: -0.15
- C: 0.2
- D: 0.4
- F: Ved ikke

Svar: A. ME er forventningsværdi af "halvdelen af konfidensintervallets bredde"

## Spørgsmål om forskel i middel (socrative.com, ROOM: pbac)

Hvad er "Margin of Error" (ME) hvis man vil være i stand til at påvise forskel i middelværdi på 0.2?

- A: 0.1
- B: -0.15
- C: 0.2
- D: 0.4
- E: Ved ikke

Svar: C. "Den forskel i middelværdi" man gerne vil være i stand til at påvise

### Bestemmelse af stikprøvestørrelse

#### Method 7.13

Såfremt man højst vil tillade en Margin of Error (ME) med  $(1-\alpha)\%$  konfidens, bestemmes den nødvendige stikprøvestørrelse ved

$$n = p(1-p) \left[ \frac{z_{1-\alpha/2}}{ME} \right]^2$$

#### Method 7.13

Såfremt man højst vil tillade en Margin of Error  $ME \mod (1-\alpha)\%$  konfidens, og p ikke kendes, bestemmes den nødvendige stikprøvestørrelse ved

$$n = \frac{1}{4} \left[ \frac{z_{1-\alpha/2}}{ME} \right]^2$$

idet man får den mest konservative stikprøvestørrelse ved at vælge  $p=\frac{1}{2}$ 

### Eksempel 1 - fortsat

#### Venstrehåndede:

Antag vi ønsker ME = 0.01 (med  $\alpha = 0.05$ ) - hvad skal n være?

Antag  $p \approx 0.10$ :

$$n = 0.1 \cdot 0.9 \left(\frac{1.96}{0.01}\right)^2 = 3467.4 \approx 3468$$

UDEN antagelse om størrelsen af p:

$$n = \frac{1}{4} \left( \frac{1.96}{0.01} \right)^2 = 9604$$

#### Spørgsmål om stikprøvestørrelse (socrative.com, ROOM: pbac)

Ved test af hvilken af følgende nulhypoteser skal bruges den største stikprøvestørrelse (n) ved samme  $\alpha$  signifikansniveau?

- A:  $H_0: p = 0.2$
- B:  $H_0: p = 0.1$
- C:  $H_0: p = 0.4$
- D:  $H_0: p = 0.95$
- E: Ved ikke

Svar: C. Jo tættere på p = 0.5 man kommer jo højere n

#### Spørgsmål om stikprøvestørrelse (socrative.com, ROOM: pbac)

Kan I nu beregne hvor mange gange man skal slå med en terning for at teste om den har sandsynlighed 1/6 indenfor 0.01 for at slå en sekser?

A: Ja

B: Nej

C: Ved ikke

#### Svar: Ja, det har vi lige lært, så i R:

```
## Andel (sandsynlighed) vi vil teste for
p <- 1/6
## Signifikansniveau
## (hvor ofte vil vi lave denne fejl: Terningen er fair, men
## vi konkluderer den ikke er fair)
alpha <- 0.05
## Fejlmargen vi vil tillade
ME <- 0.01
## Beregn antal gange vi skal slå med terningen
p * (1-p) * (qnorm(1-alpha/2)/ME)^2
```



Husk også at sige at Exercise  $3.10~{\rm spørgsmål}~{\rm c})$  er ret abstrakt og man kan springe den over.