

# MAT02010 - Tópicos Avançados em Estatística II

Entre estudos observacionais e experimentos

Rodrigo Citton P. dos Reis  
citton.padilha@ufrgs.br

UNIVERSIDADE FEDERAL DO RIO GRANDE DO SUL  
INSTITUTO DE MATEMÁTICA E ESTATÍSTICA  
DEPARTAMENTO DE ESTATÍSTICA

Porto Alegre, 2019

# Relembrando

# Relembrando

- ▶ Um estudo aleatorizado com base em uma covariável.
  - ▶  $\pi_i = \Pr(Z_i = 1)$  é diferente para cada indivíduo;  $\pi_i$  depende do estrato (de uma característica) do indivíduo.



# Relembrando

```
# Desfecho
df$desfecho <- 0
df$desfecho[df$estrato == 1][1:40000] <- 1
df$desfecho[df$estrato == 2][1:30000] <- 1
df$desfecho[df$estrato == 3][1:20000] <- 1
df$desfecho[df$estrato == 4][1:10000] <- 1
df$desfecho <- factor(df$desfecho, labels = c("Vivo", "Morto"))

# Grupo de tratamento
df$grupo <- ifelse(df$idade == "Idosos",
                  rbinom(n = 100000, size = 1, prob = 0.8),
                  rbinom(n = 100000, size = 1, prob = 0.2))
df$grupo <- factor(df$grupo, labels = c("Controle", "Tratado"))
df$desfecho <- relevel(df$desfecho, ref = "Morto")
df$estrato <- factor(df$estrato, labels = paste("Estrato", 1:4))
df$grupo <- relevel(df$grupo, ref = "Tratado")
```

# Relembrando

```
# Tabela 5.1
tab_5.1 <- table(df$grupo, df$desfecho, df$estrato,
                 dnn = c("Grupo", "Desfecho", "Estrato"))
tab_5.1
```

```
## , , Estrato = Estrato 1
```

```
##
```

```
##           Desfecho
```

```
## Grupo      Morto  Vivo
```

```
## Tratado   31884 47982
```

```
## Controle   8116 12018
```

```
##
```

```
## , , Estrato = Estrato 2
```

```
##
```

```
##           Desfecho
```

```
## Grupo      Morto  Vivo
```

# Relembrando

```
## Tratado 23889 55977
## Controle 6111 14023
##
## , , Estrato = Estrato 3
##
## Desfecho
## Grupo Morto Vivo
## Tratado 3948 15944
## Controle 16052 64056
##
## , , Estrato = Estrato 4
##
## Desfecho
## Grupo Morto Vivo
## Tratado 2000 17892
## Controle 8000 72108
```

# Relembrando

```
library(dplyr)
library(knitr)
library(kableExtra)

tab.df <- as.data.frame(matrix(
  ftable(
    addmargins(tab_5.1, margin = 2),
    row.vars = c(3, 1)),
  ncol = 3, byrow = F))
names(tab.df) <- c("Morto", "Vivo", "Total")
tab.df$Taxa.Mortalidade <- round(
  100 * tab.df$Morto/tab.df$Total, 1)

kable(tab.df, "latex", col.names = c("Morto", "Vivo", "Total"))
```



# Relembrando

Morto	Vivo	Total	Taxa de Mortalidade (%)
31.884	47.982	79.866	39,9
8.116	12.018	20.134	40,3
23.889	55.977	79.866	29,9
6.111	14.023	20.134	30,4
3.948	15.944	19.892	19,8
16.052	64.056	80.108	20,0
2.000	17.892	19.892	10,1
8.000	72.108	80.108	10,0

# Relembrando

- ▶ Paradoxo de Simpson.
- ▶ O ajuste direto.
- ▶ Testando a hipótese nula de Fisher de nenhum efeito de tratamento (o teste de Mantel-Haenszel).
- ▶  $\pi_i$  importa?
  - ▶ Sim e não!

## Combinando estratos com mesmo $\pi_i$

# Pares combinados

## O escore de propensão

**Quando é suficiente ajustar para as covariáveis observadas?**

# Um experimento com um dos problemas de um estudo observacional

*Table 5.1.* A small simulated example, with randomized treatment assignment inside each of four strata, and with no treatment effect

<i>Stratum 1: Older men</i>				
<i>Group</i>	<i>Dead</i>	<i>Alive</i>	<i>Total</i>	<i>Mortality rate (%)</i>
Treated	31,868	47,960	79,828	39.9
Control	8,132	12,040	20,172	40.3
<i>Stratum 2: Older women</i>				
<i>Group</i>	<i>Dead</i>	<i>Alive</i>	<i>Total</i>	<i>Mortality rate (%)</i>
Treated	23,983	55,796	79,779	30.1
Control	6,017	14,204	20,221	29.8
<i>Stratum 3: Younger men</i>				
<i>Group</i>	<i>Dead</i>	<i>Alive</i>	<i>Total</i>	<i>Mortality rate (%)</i>
Treated	3,993	16,028	20,021	19.9
Control	16,007	63,972	79,979	20.0
<i>Stratum 3: Younger women</i>				
<i>Group</i>	<i>Dead</i>	<i>Alive</i>	<i>Total</i>	<i>Mortality rate (%)</i>
Treated	2,021	17,777	19,798	10.2
Control	7,979	72,223	80,202	9.9

## Um experimento com um dos problemas de um estudo observacional

- ▶ Do que trata o experimento?
- ▶ O que sabemos sobre o efeito causal?
- ▶ Como os indivíduos foram alocados aos grupos de tratamento?
- ▶ Qual a relação, ou qual a diferença deste estudo para um experimento completamente aleatorizado?
- ▶ Qual o papel das covariáveis aqui?
- ▶ O que é um estrato?
- ▶ Quais as conclusões que chegamos (para cada estrato)?



# Um experimento com um dos problemas de um estudo observacional

## O problema!

*Table 5.2.* The four strata from Table 5.1 collapsed, leading to the false impression of a treatment effect

<i>Merged table</i>				
<i>Group</i>	<i>Dead</i>	<i>Alive</i>	<i>Total</i>	<i>Mortality rate (%)</i>
Treated	61,865	137,561	199,426	31.0
Control	38,135	162,439	200,574	19.0

# O Paradoxo de Simpson

- ▶ Como podemos caracterizar o paradoxo de Simpson?
- ▶ Há algum paradoxo de fato?
- ▶ Qual o **lembrete** irritante (importante) de Simpson?

## Ajuste direto: um método para estimar os efeitos médios do tratamento

- ▶ Estimativa ajustada:

$$(39, 9 - 40, 3)/4 + (30, 1 - 29, 8)/4 + (19, 9 - 20, 0)/4 + (10, 2 - 9, 9)/4 = 0,025.$$

- ▶ O que entendemos por ajuste direto?
- ▶ Qual a relação desta abordagem com respeito à estimativa de  $\bar{\delta}$  em um experimento completamente aleatorizado?

## Um único teste de hipóteses combinando resultados estrato-específicos

- ▶ Neste estudo, é possível testar a hipótese nula de Fisher de nenhum efeito de tratamento?
- ▶ Se sim, de que forma isto é feito?
- ▶ Se sim, qual a diferença de realizar tal teste e um teste exato de Fisher na Tabela 5.2?

## É importante conhecer as probabilidades de atribuição de tratamento?

- ▶ É importante conhecer as probabilidades de atribuição de tratamento?
- ▶ Qual o atributo importante deste experimento para que possamos concluir adequadamente?

## O que aprendemos com esse experimento aleatorizado peculiar?

- ▶ Como nos referimos a este tipo de estudo?
- ▶ O que buscaremos, em termos de delineamento/métodos, em estudos observacionais para concluirmos a respeito de associações causais?
- ▶ Qual a crítica central em um estudo observacional?

# Avisos

# Avisos

- ▶ **Próxima semana (09/10):** Tabagismo e câncer de pulmão.
- ▶ **Para casa:** Ler o restante do Capítulo 5 do livro “The Book of Why” do Judea Pearl.
- ▶ **Atividade de avaliação (09/10):** a condução da discussão deste capítulo será realizada pelos estudantes da turma.



Por hoje é só!

# Cause & Effect

When one event causes another to happen. The **cause** is WHY it happens, the **effect** is WHAT happens.

