КАЗНУ ИМ. АЛЬ-ФАРАБИ · ФАКУЛЬТЕТ МЕДИЦИНЫ И ЗДРАВООХРАНЕНИЯ

Доказательная медицина · Лекция 10

Дизайн клинических исследований

и применение полученных данных на практике

Раушанова А.М.
и.о. профессора кафедры ЭБиДМ ФМиЗ КазНУ им. аль-Фараби

Алматы · 2026

О ЗАНЯТИИ

Цель и вопросы занятия

ЦЕЛЬ ЗАНЯТИЯ

Научить выбирать дизайн клинического исследования под исследовательский вопрос, выявлять систематические ошибки, рассчитывать меры эффекта и оценивать применимость результатов к практике.

РАССМАТРИВАЕМЫЕ ВОПРОСЫ

1. Исследовательский вопрос по схеме PICO
2. Классификация дизайнов: наблюдательные и экспериментальные
3. Описательные, когортные исследования, «случай–контроль», РКИ
4. Выбор дизайна под тип вопроса; пирамида доказательств
5. Систематические ошибки и смешивающие факторы
6. Меры эффекта; статистическая и клиническая значимость
7. От статьи к пациенту: оценка применимости

ОЖИДАЕМЫЕ РЕЗУЛЬТАТЫ

Что ожидаем по итогам занятия

Знать

- основные дизайны и их место в иерархии доказательств
- виды систематических ошибок и способы их контроля
- стандарты отчётности: CONSORT, STROBE, STARD, PRISMA

Уметь

- формулировать вопрос по PICO и подбирать дизайн
- рассчитывать и интерпретировать RR, OR, ARR, RRR и NNT
- оценивать применимость результатов к своим пациентам

Владеть

- навыком обоснования дизайна собственного исследования

Результаты занятия — часть итоговых компетенций цикла: сформулировать вопрос, найти и критически оценить доказательства, применить их на практике.

Всё начинается с вопроса

Дизайн выбирают под вопрос, а не наоборот.

P

пациенты, популяция

I

вмешательство или фактор

C

сравнение

O

исход

ПРИМЕР

У взрослых с артериальной гипертензией (P) снижают ли SMS-напоминания (I) долю пропусков приёма лекарств (O) по сравнению с обычным наблюдением (C)?

Классификация дизайнов

Главный вопрос: назначал ли исследователь воздействие?

Нет → наблюдательные исследования

Описательные

- описание случая, серии случаев
- поперечное (одномоментное)
- экологическое

Аналитические

- когортное
- случай–контроль
- аналитическое поперечное

Да → экспериментальные

Экспериментальные

- РКИ
- нерандомизированное контролируемое
- кластерное РКИ

Описательные исследования

Дизайн	На какой вопрос отвечает	Преимущества	Ограничения
Случай, серия случаев	Новое или редкое явление	Быстро, формирует гипотезы	Нет группы сравнения
Поперечное (одномоментное)	Распространённость «здесь и сейчас»	Недорого, широкий охват	Нельзя установить временную последовательность
Экологическое	Связь на уровне популяции	Использует готовые данные	Экологическая ошибка

Основной показатель: распространённость (prevalence).

Когортное исследование и случай–контроль

Когортное

Направление	от воздействия к исходу
Отбор	по наличию воздействия
Показатель	заболеваемость, относительный риск (RR)
Подходит для	частого воздействия, нескольких исходов, прогноза
Недостатки	длительно, дорого, потеря участников

Случай–контроль

Направление	от исхода к воздействию
Отбор	по наличию исхода
Показатель	отношение шансов (OR)
Подходит для	редких болезней, длительного латентного периода
Недостатки	ошибка воспоминания, сложность отбора контроля

Рандомизированное контролируемое исследование

Рандомизация

уравновешивает группы по известным и неизвестным факторам

Сокрытие распределения

исследователь не знает группу следующего пациента

Ослепление

пациента, врача и оценщика исходов

Контроль

плацебо или стандартное лечение

Анализ ITT

пациентов анализируют в исходно назначенных группах

Ограничения

строгие критерии отбора снижают внешнюю валидность; этические и финансовые ограничения. Стандарт отчётности: CONSORT.

Какой дизайн выбрать под вопрос

Тип вопроса	Оптимальный дизайн	Альтернатива
Эффективность вмешательства	РКИ	Когортное, если РКИ невозможно
Этиология, вред	Когортное	Случай–контроль при редком исходе
Прогноз	Проспективное когортное	Ретроспективное когортное
Диагностическая точность	Поперечное с референс-стандартом	Диагностическое случай–контроль (риск завышения точности)
Распространённость	Поперечное со случайной выборкой	Данные регистра
Опыт и ожидания пациентов	Качественное исследование	Смешанные методы

Пирамида доказательств



Уровень доказательности зависит не только от дизайна: важны риск систематической ошибки, согласованность и точность результатов (подход GRADE).

Систематические ошибки

Ошибка отбора

Группы различаются ещё до начала исследования.

Пример: эффект «здорового работника», добровольцы.

Контроль: случайная выборка, единые критерии включения.

Информационная ошибка

Воздействие или исход измерены неточно.

Пример: ошибка воспоминания, неверная классификация.

Контроль: стандартизированные инструменты, ослепление.

Смешивающий фактор

Третий фактор связан и с воздействием, и с исходом.

Пример: связь кофе с раком лёгкого из-за курения.

Контроль: рандомизация, ограничение, подбор пар, стратификация, многофакторный анализ.

Случайная ошибка уменьшается при увеличении выборки, а систематическая — нет.

Меры эффекта: условный пример

Исход за 5 лет (инсульт): контрольная группа — 20%, группа вмешательства — 15%.

Относительный риск

RR

0,75

0,15 / 0,20

Абсолютное снижение риска

ARR

5%

20% − 15%

Относительное снижение риска

RRR

25%

1 − 0,75

Число пациентов, которых необходимо лечить

NNT

20

1 / 0,05

Для предотвращения одного инсульта необходимо лечить 20 пациентов в течение 5 лет.

Для пациента и организатора здравоохранения ARR и NNT понятнее: «снижение на 25%» звучит убедительнее, чем «на 5 процентных пунктов».

Статистическая и клиническая значимость

p-значение

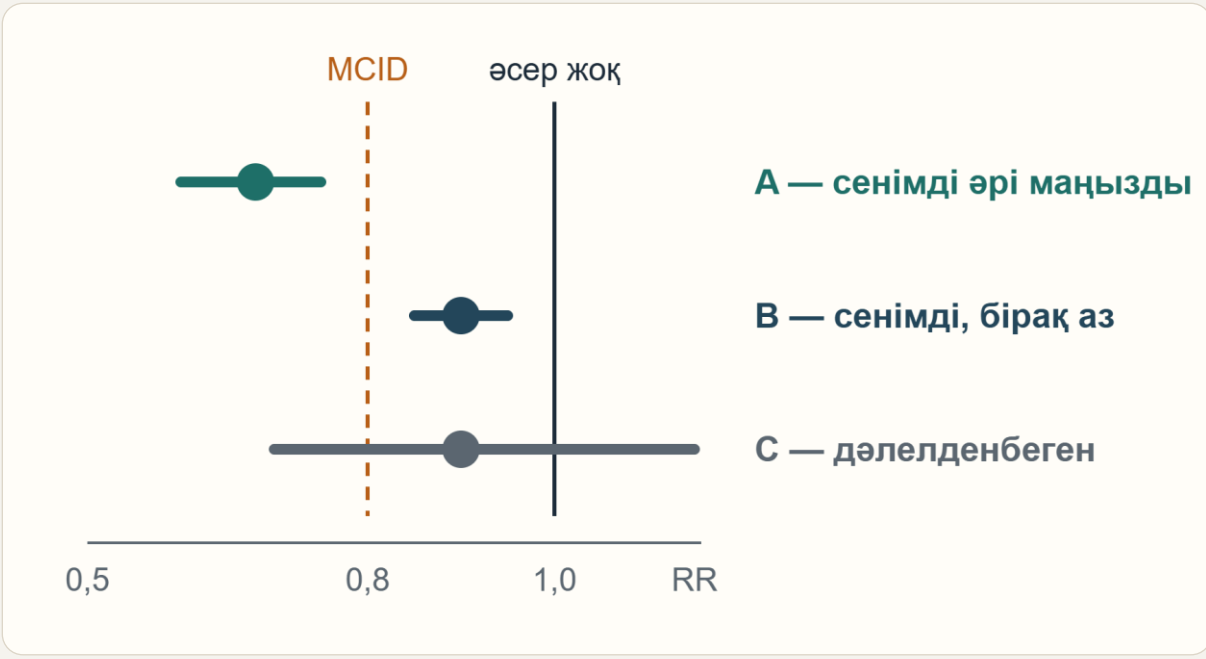
Вероятность получить такие или более экстремальные данные при верной нулевой гипотезе. Это не мера величины эффекта.

95% доверительный интервал

Диапазон возможных значений эффекта. Если интервал для RR включает 1, различие не доказано.

Клиническая значимость

Сопоставление эффекта с минимальным клинически значимым различием (MCID), учёт вреда, стоимости и предпочтений пациента.



От статьи к пациенту: пять шагов

1

Спросить

Вопрос по PICO

2

Найти

PubMed, Cochrane

3

Оценить

валидность, результаты, применимость

4

Применить

с учётом пациента и ресурсов

5

Проверить результат

аудит собственной практики

Три вопроса о применимости

Похожи ли мои пациенты на участников исследования?

Важны ли изученные исходы для пациента?

Превышает ли польза вред и затраты?

CONSORT · РКИ **STROBE · наблюдательные исследования** **STARD · диагностика** **PRISMA · систематические обзоры**

CASP · критическая оценка

Практическое задание: группы по 3–4 человека

1. Сценарий: низкая приверженность лечению артериальной гипертензии в городских поликлиниках. Сформулируйте вопрос по PICO.
2. Выберите дизайн и обоснуйте, почему не другой.
3. Назовите две возможные систематические ошибки и способы их контроля.
4. По таблице 2×2 от преподавателя рассчитайте RR, ARR и NNT и объясните результат «пациенту» за одну минуту.

Формат: устная защита 5 минут. Оценивается обоснование выбора, а не заученный текст.

Главные выводы

1. Вопрос определяет дизайн.
2. Дизайн определяет возможные ошибки и меры эффекта.
3. Для практики важны абсолютные эффекты, точность оценки и применимость к своему пациенту.

Вопросы?

ОБСУЖДЕНИЕ

Вопросы для обсуждения материала

1. Почему дизайн выбирают под вопрос, а не наоборот? Приведите пример неудачного выбора.
2. Какой дизайн оптимален для оценки точности нового экспресс-теста и какие ошибки возможны?
3. Как отличить смешивающий фактор от промежуточного звена причинной цепи?
4. Когда наблюдательное исследование даёт более надёжный ответ, чем РКИ?
5. Эффект статистически значим, но меньше MCID. Стоит ли внедрять вмешательство?
6. Как оценить, применимы ли результаты зарубежного РКИ к пациентам в Казахстане?
7. Какой стандарт отчётности вы примените в своей диссертации и почему?