



SAPIENZA  
UNIVERSITÀ DI ROMA

**Corso di Laurea in:  
Infermieristica  
(Presidente Prof. Giuseppe La Torre)**

**Infermieristica basata  
sulle prove di efficacia**

**Prof.ssa Carolina Marzuillo**

**Prof. Giuseppe La Torre**

**Prof. Volpe**

**[carolina.marzuillo@uniroma1.it](mailto:carolina.marzuillo@uniroma1.it)**

- **Studi Analitici: Studi di Coorte; Studi di Caso-Controllo; Studi Trasversali.**



# ➡ Ricapitolazione.

## EPIDEMIOLOGIA: OBIETTIVI

Descrivere stati di salute e di malattia nella popolazione

Studi Descrittivi

Individuare determinanti di salute e di malattia

Studi Analitici

Valutare l'efficacia degli interventi sanitari (preventivi o curativi)

Studi Sperimentali

---

## Le misure di occorrenza

### PREVALENZA & INCIDENZA

Prevalenza: frequenza dei **cas**i esistenti

Incidenza: occorrenza di **nuovi cas**i

**PREVALENZA** Numero di casi sul totale della popolazione



**INCIDENZA** Numero di nuovi casi sulla popolazione sana durante un determinato intervallo di tempo

- Incidenza cumulativa
- Tasso di incidenza (densità di incidenza)

# TASSO DI INCIDENZA

Numero di nuovi eventi verificatisi in un determinato periodo di tempo in una data popolazione, diviso per il "tempo di osservazione" accumulatosi durante l'intervallo considerato

Numero di nuovi casi di malattia verificatisi durante un dato intervallo di tempo

Tasso di incidenza =

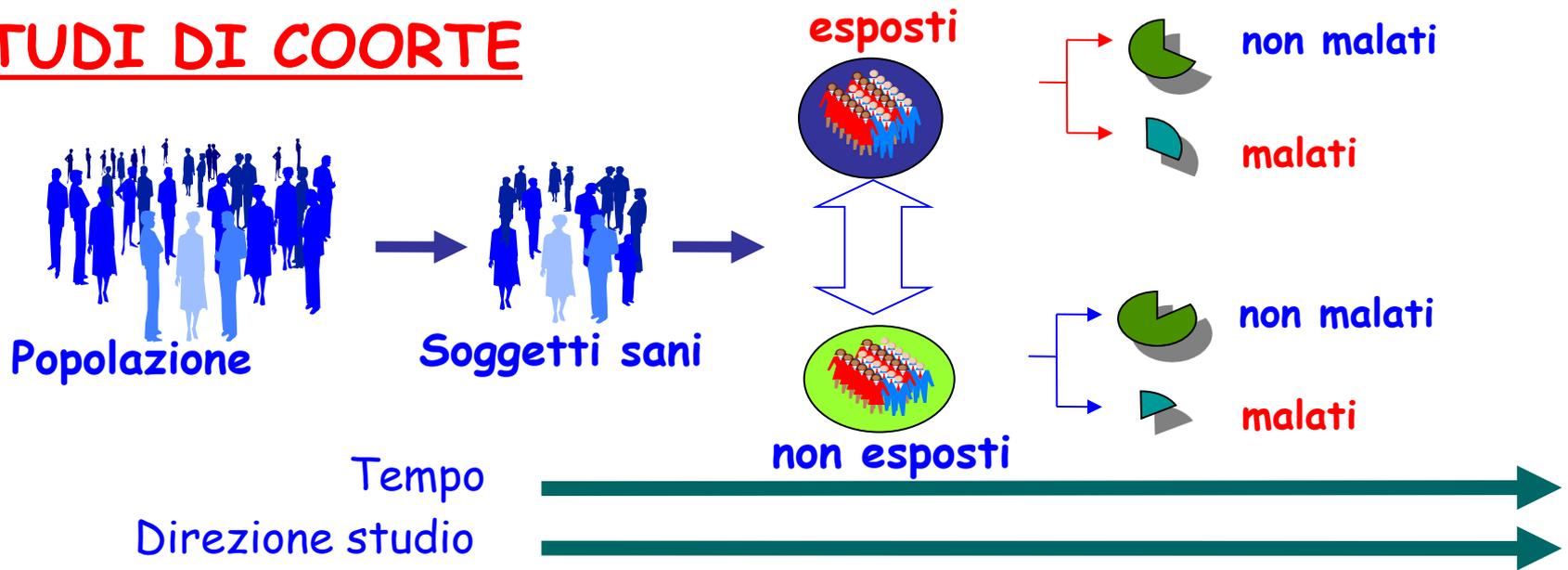
---

SUM persone - anni di osservazione  
(Somma del tempo persona a rischio)

- **Studi Analitici: Studi di Coorte; Studi di Caso-Controllo; Studi Trasversali.**



# STUDI DI COORTE



## VANTAGGI

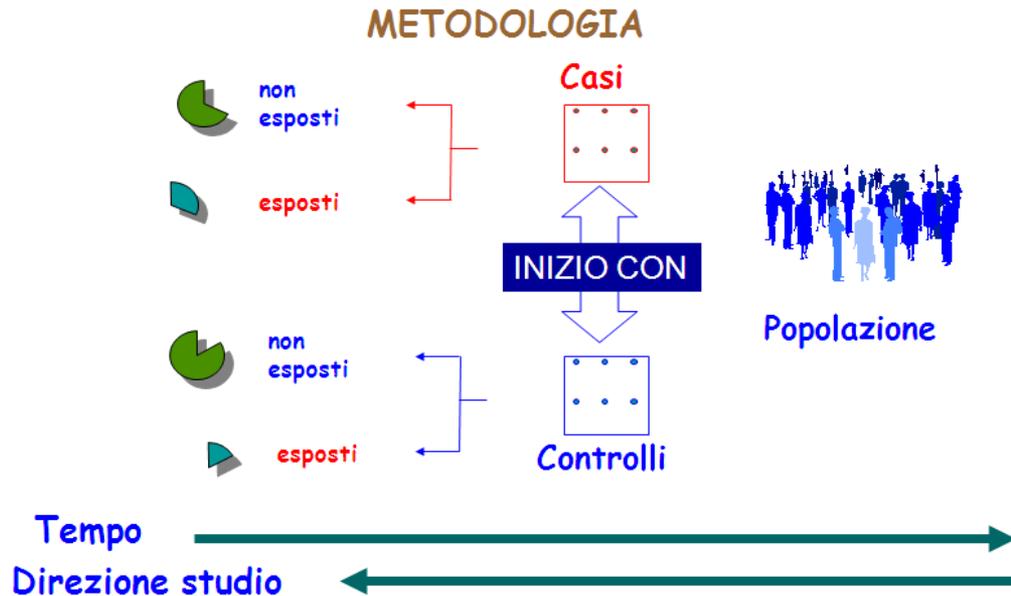
Calcolo diretto dei tassi di incidenza nei gruppi esposti e non esposti  
Valutazione attendibile dei nuovi casi di malattia e misurazione attendibile dei fattori di rischio possibilmente associati alla malattia  
Possibilità di valutare il ruolo di fattori di esposizione su patologie multiple nonché analizzare i fattori di esposizione rari.

## SVANTAGGI

Lunga durata  
Laboriosa organizzazione  
Costi elevati  
Possibilità di perdita dei soggetti al follow-up  
Non utilizzabili per valutare malattie rare

# STUDI CASO-CONTROLLO

Valutare l'associazione tra fattori di rischio e malattie confrontando le frequenze (odds) di esposizione tra soggetti malati (casi) e soggetti non malati (controlli)



## VANTAGGI

Breve durata; Costi limitati; Utile per valutare malattie rare; Possibilità di valutare il ruolo di fattori di rischio multipli

## SVANTAGGI

Non consentono il calcolo della frequenza di malattia (prevalenza e incidenza); Dati relativi all'esposizione non sempre attendibili; Non utilizzabili per valutare esposizioni rare

- **Studi Analitici: Studi di Coorte; Studi di Caso-Controllo; Studi Trasversali.**



# STUDI TRASVERSALI

Descrizione della prevalenza di un fenomeno (malattia, fattore di rischio, etc) in una popolazione

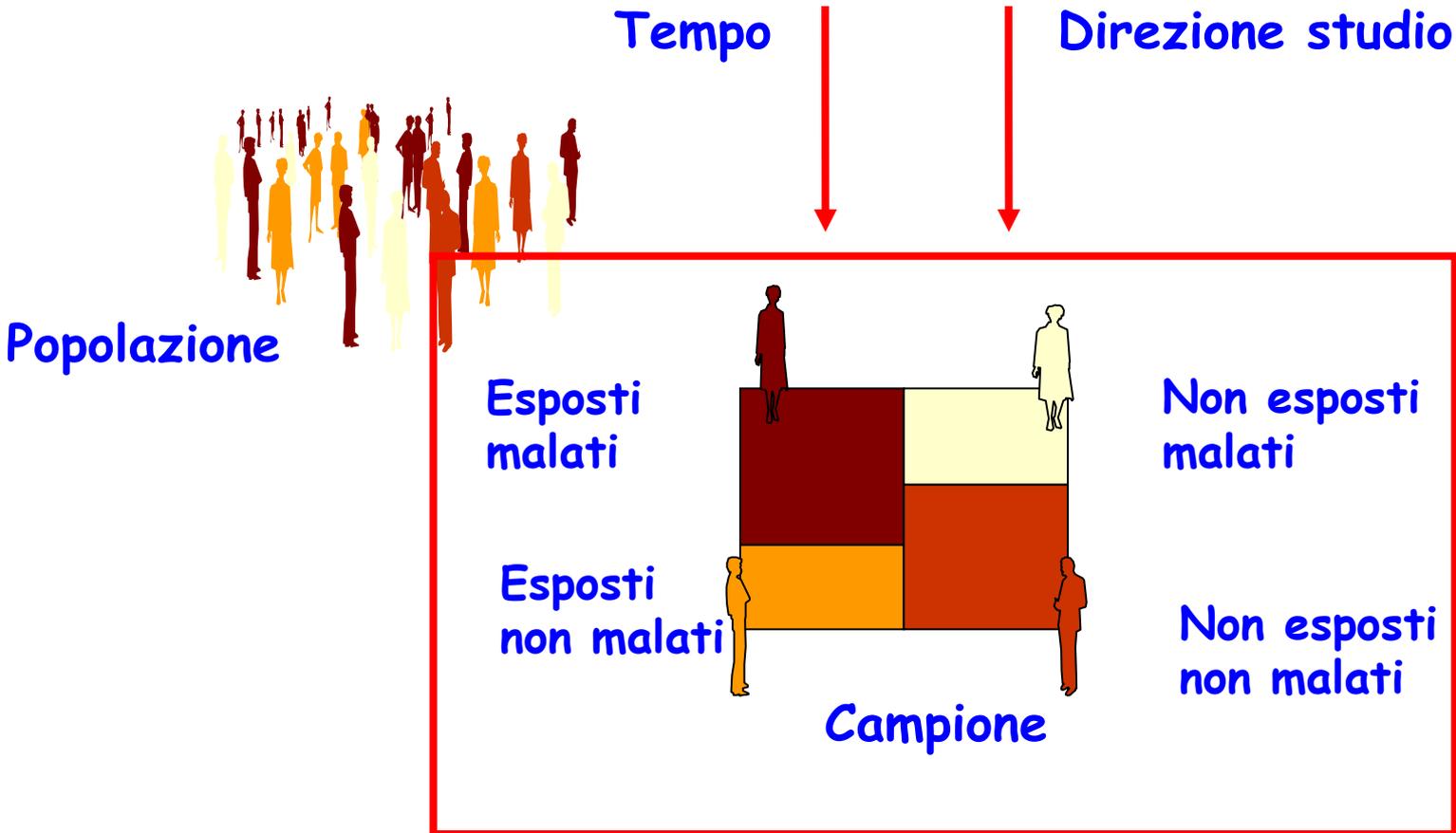
Informazione su atteggiamenti della popolazione a: servizi sanitari, bisogni di salute percepiti, etc.

OBIETTIVI

Valutazione dell'associazione tra fattori di rischio e malattie confrontando la prevalenza di malattia tra soggetti esposti e non esposti

# STUDI TRASVERSALI

## METODOLOGIA



N.B.: necessità che il campione sia rappresentativo della popolazione di riferimento

# STUDI TRASVERSALI: ESEMPIO

TCD "non sharers" HIV -	440	290	TCD "sharers" HIV +
TCD "non sharers" HIV +	125	376	TCD "sharers" HIV -

Prevalenza di HIV+ nei TCD "non sharers" = 22,1%

Prevalenza di HIV+ nei TCD "sharers" = 43,5%

*(Sasse et al: Risk behaviours for HIV 1 infection in italian dug users: report from a multicenter study. J AIDS 2:486, 1989)*

# STUDI TRASVERSALI

## VANTAGGI

- Breve durata
- Costi limitati
- Se il campionamento è corretto i risultati di prevalenza sono generalizzabili all'intera popolazione

## SVANTAGGI

- Non consentono il calcolo dell'incidenza
- Non garantiscono una buona qualità delle informazioni sull'esposizione e sulla malattia
- Non consentono di stabilire con esattezza la sequenza temporale tra esposizione e malattia

# STUDI DI EPIDEMIOLOGIA ANALITICA

## MISURE DI FREQUENZA E DI ASSOCIAZIONE

	MISURE DI FREQUENZA	PRINCIPALI MISURE DI ASSOCIAZIONE
STUDI TRASVERSALI	Prevalenza	Odds ratio di prevalenza
STUDI CASO-CONTROLLO	Frequenza (ODDS) di esposizione tra i casi Frequenza (ODDS) di esposizione tra i controlli	Odds ratio
STUDI DI COORTE	Incidenza cumulativa Tasso di incidenza	Rischio relativo

# STUDI SPERIMENTALI

## OBIETTIVI

Paragonare l'efficacia di due o più trattamenti terapeutici o preventivi (sperimentazione clinica) su gruppi di persone

Valutare l'efficacia di un intervento di prevenzione o di rimozione di fattori di rischio su intere popolazioni (sperimentazioni di intervento comunitario)

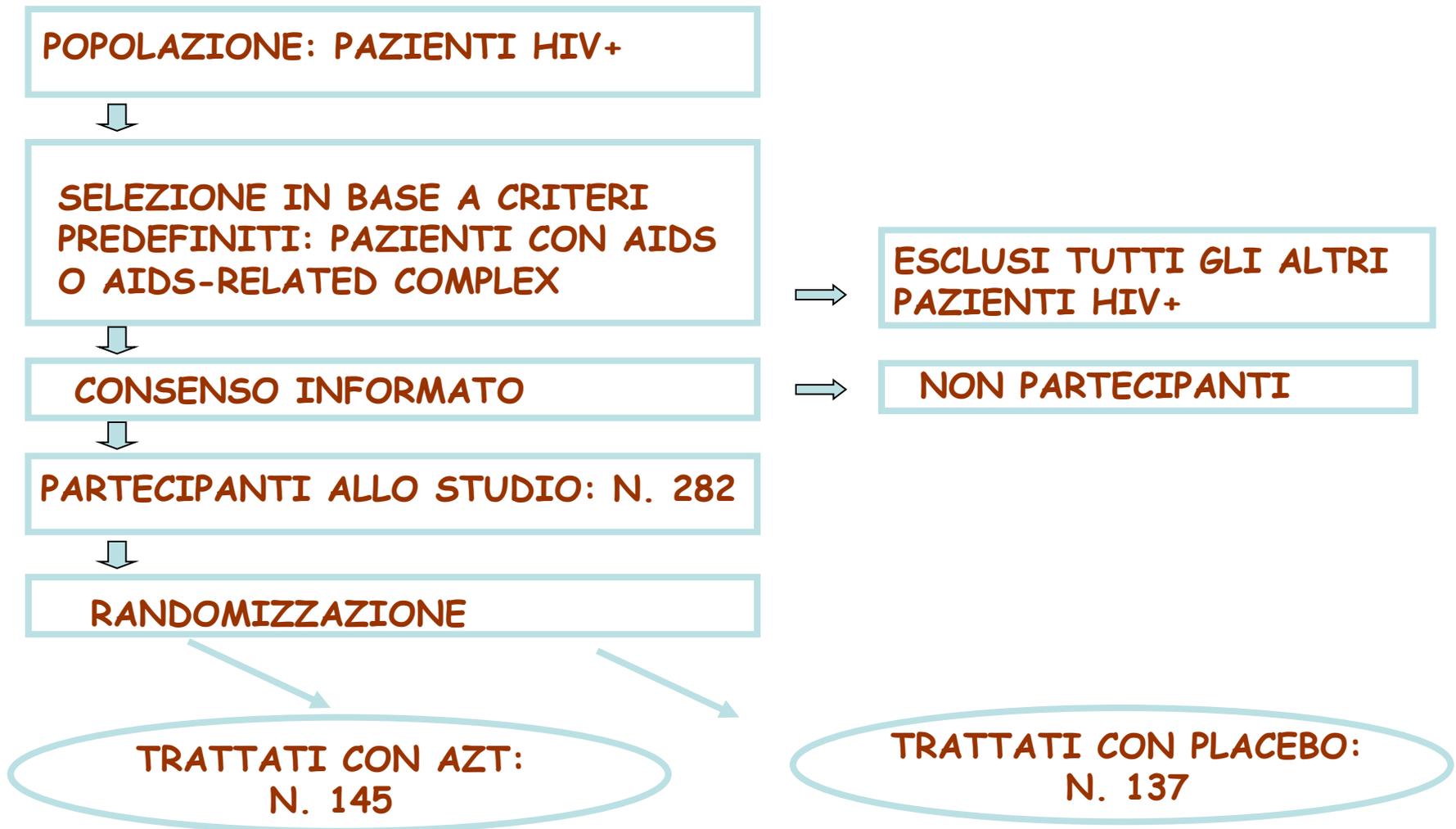
# STUDI SPERIMENTALI

## METODOLOGIA



# STUDI SPERIMENTALI: ESEMPIO

Fischl MA et al. *The efficacy of azidothymidine (AZT) in the treatment of patients with Aids or Aids-related complex.* NEJM, 1987, 317: 185.



Mortalità a 24 settimane nel gruppo trattato con AZT:  $1/145 = 0.7\%$   
Mortalità a 24 settimane nel gruppo con placebo:  $19/137 = 14\%$

# RANDOMIZED CONTROL TRIALS (RCTs) MISURE DI EFFETTO

	morti	vivi	
AZT	1	144	145
placebo	19	118	137

Mortalità a 24 settimane nel gruppo AZT:  $1/145 = 0.7\%$   
Mortalità a 24 settimane nel gruppo placebo:  $19/137 = 14\%$

$$\text{Rischio relativo (RR)} = [a/(a+b)]/[c/(c+d)] = 0.05$$

RR = 1 la mortalità è eguale in entrambi i gruppi

RR < 1 la mortalità è più bassa nel gruppo di trattamento

RR > 1 la mortalità è più alta nel gruppo di trattamento

# RANDOMIZED CONTROL TRIALS (RCTs) MISURE DI EFFETTO

$$\text{Rischio relativo (RR)} = [a/(a+b)]/[c/(c+d)] = 0.05$$

**RR = 1** la mortalità è eguale in entrambi i gruppi

**RR < 1** la mortalità è più bassa nel gruppo di trattamento

**RR > 1** la mortalità è più alta nel gruppo di trattamento

RR>1 NUMERATORE + GRANDE DEL DENOMINATORE- NEL CASO DELLE INCIDENZE  
DI MALATTIA SIGNIFICA CHE CHI è ESPOSTO AD UNA ESPOSIZIONE  
RISCHIA DI + DI AMMALARSI

RR>1 NUMERATORE + GRANDE DEL DENOMINATORE- NEL CASO DELLA MORTALITÀ ASSOCIATA ALL'UTILIZZO DI UN FARMACO SIGNIFICA CHE  
CHE CHI è TRATTATO MUORE DI PIÙ RISPETTO A CHI NON è TRATTATO

# RANDOMIZED CONTROL TRIALS (RCTs) MISURE DI EFFETTO

	morti	vivi	
AZT	1	144	145
placebo	19	118	137

$$\text{Odds Ratio (OR)} = a \times d / c \times b = 1 \times 118 / 19 \times 144 = 0.043$$

OR = 1 la mortalità è eguale in entrambi i gruppi

OR < 1 la mortalità è più bassa nel gruppo di trattamento

OR > 1 la mortalità è più alta nel gruppo di trattamento

$$\text{IC 95\% OR} = 0.001 - 0.257$$

# STUDI SPERIMENTALI

## VANTAGGI

- sono gli studi più corretti da un punto di vista metodologico
- costituiscono gli unici modelli di studio in grado di stabilire l'efficacia degli interventi
- se ben condotti non sono suscettibili a bias di selezione, di misclassificazione e di confondimento

## SVANTAGGI

- problemi etici, in particolare per le valutazioni di trattamenti già entrati nella pratica clinica
- lunga durata
- costi elevati
- difficoltà organizzative

# RANDOMIZED CONTROL TRIALS (RCTs)

## MISURE DI EFFETTO

SI DECIDE DI SPERIMENTARE L'EFFICACIA DI AZT (FARMACO) SU PAZIENTI AFFETTI DA AIDS CON Età MAGGIORE DI 65 ANNI SENZA COMPLICANZE, FIRMANO IL CONSENSO INFORMATO 400 PERSONE CHE VENGONO RANDOMIZZATI E COSÌ 200 SARANNO SOTTOPOSTI AO TRATTAMENTO E 200 NON SARANNO TRATTATI. DOPO AVER SEGUITO TUTTI I PAZIENTI PER 30 SETTIMANE SI HA LA SEGUENTE SITUAZIONE:

LA MORTALITÀ TOTALE è DI 12,5%

LA MORTALITÀ DEI TRATTATI è 5% MENTRE DEI NON TRATTATI è 20%.

COSTRUIRE LA TABELLA 2x2 E LA MISURA DI EFFICACIA.

MORTALITÀ TOTALE = NUMERO MORTI / TOTALE POPOLAZIONE

MORTALITÀ TOTALE = (NUMERO MORTI / 400) = 0,125

NUMERO TOTALE MORTI = 0,125 x 400 = 50

MORTALITÀ TRATTATI = NUMERO MORTI / TOTALE TRATTATI

MORTALITÀ TRATTATI = (NUMERO MORTI / 200) = 0,05

NUMERO TOTALE MORTI = 0,05 x 200 = 10

MORTALITÀ NON TRATTATI = NUMERO MORTI / TOTALE NON TRATTATI

MORTALITÀ NON TRATTATI = (NUMERO MORTI / 200) = 0,2

NUMERO TOTALE MORTI = 0,2 x 200 = 40

	morti	vivi		
AZT	10	190	200	RR = (10/200) / (40/200) = 0,25 RR=25%
placebo	40	160	200	