

# Gli esperimenti nel mondo reale, nella ricerca psico-sociale

Appropriati quando:

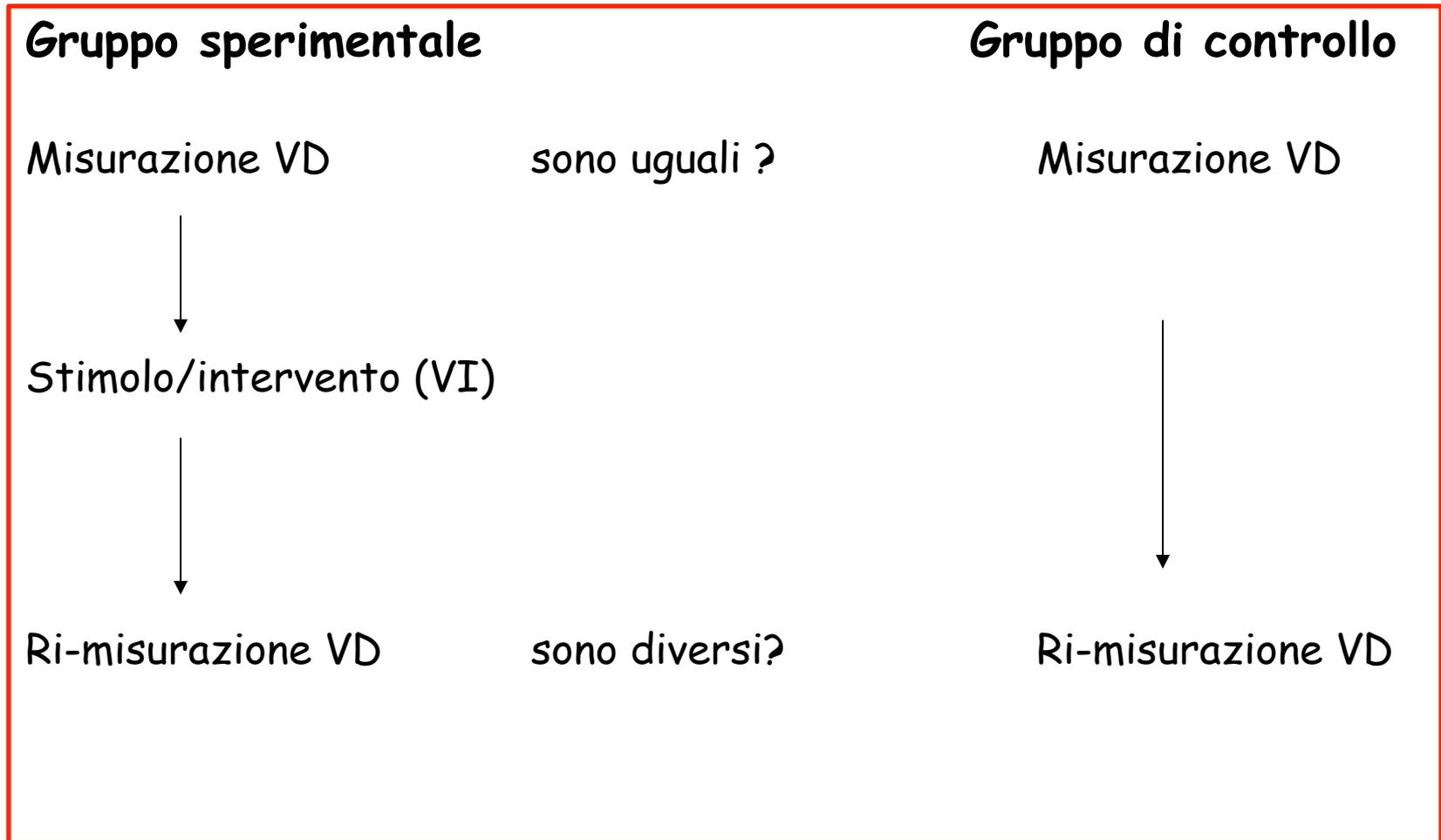
- La questione di ricerca è circostanziata e ben definita
- L'obiettivo è dimostrare una relazione causale

⇒ Nel "mondo reale", spesso si tratta di *valutazioni* di interventi

# Elementi dell'esperimento

- Variabile indipendente (VI) (stimolo/intervento) e Variabile dipendente (VD) (da definire con chiarezza prima dell'esperimento: non scontato quando si valutano interventi nel mondo reale!)
  - Pre-test ⇒ definire la posizione dei soggetti riguardo la variabile dipendente; confrontare GS e GC sulle possibili variabili confondenti
  - Post-test ⇒ misurare nuovamente la variabile dipendente
  - Idealmente, assegnazione casuale dei soggetti a condizioni diverse: gruppo sperimentale (GS) e gruppo controllo (GC)
- ⇒ Le variazioni nella VD tra pre-test e post-test possono essere attribuite alla VI ... se tutti gli altri elementi sono stati tenuti "sotto controllo"

# Disegno sperimentale di base



# Esperimenti, quasi-esperimenti e disegni non sperimentali

- Quasi esperimenti: pre-test e post-test, *GS* e *GC*, *MA* manca la randomizzazione (*GS* e *GC* sono spesso "gruppi naturali")
- *GS* e *GC*, post-test, senza pre-test (static-group comparison)
- Prima-dopo, senza *GC* (one-group pre-test-post test design)
- Studio di casi singoli (one shot case study): solo *GS* e solo post-test

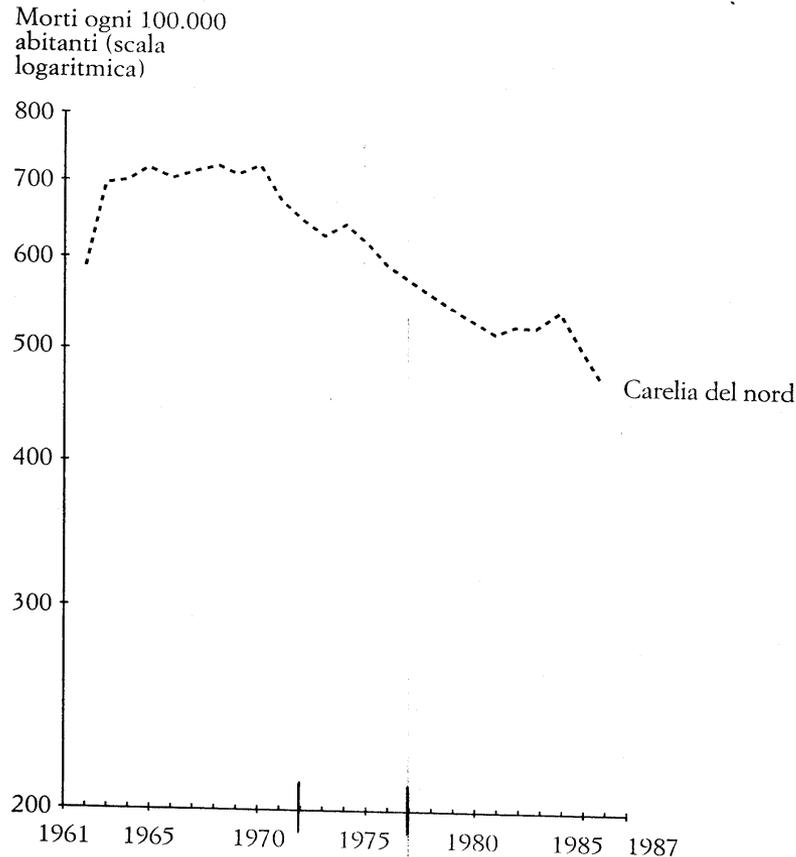
Campbell & Stanley, 1963

# Strategie e punti chiave dell'esperimento

- *GS* e *GC* devono equivalersi  $\Rightarrow$  Randomizzazione o abbinamento/matching
- Controllare l'effetto dell'esperimento : gruppo di controllo; placebo
  - Per isolare/neutralizzare l'effetto dell'esperimento in sé (Effetto Hawthorne)
  - Per controllare l'effetto "maturazione" (cambiamento dovuto ad altri eventi, guarigioni spontanee....)
- Controllare l'effetto delle "motivazioni" e delle aspettative, dello sperimentatore e del soggetto  $\Rightarrow$  esperimenti in ceco o doppio ceco, placebo
- L'inclusione dei soggetti nello studio dovrebbe avvenire prima della randomizzazione  $\Rightarrow$  questione etica e "tecnica"

## Esperimenti nel mondo reale

FIG. 2. *Mortalità per coronaropatie nelle diverse contee in Finlandia dal 1961 al 1987. Scarto medio di tre anni. Maschi fra i 35 e i 64 anni*



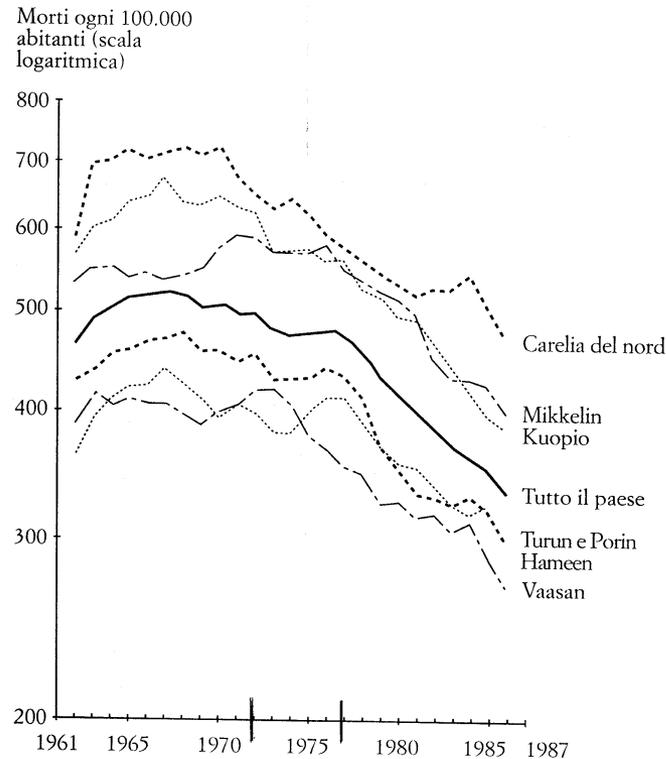
Il grafico si basa sui dati dell'Ufficio centrale di statistica finlandese ed è stato riprodotto per gentile concessione di Tapani Valkonen, del Dipartimento di sociologia dell'Università di Helsinki.

**Efficacia di un intervento educativo a livello di comunità (1972-77) nella prevenzione delle malattie cardiovascolari nella provincia della Carelia del Nord, in Finlandia**

Skraabæk e McCormick  
Follie e inganni della medicina

# Esperimenti nel mondo reale: Necessità del gruppo di controllo

FIG. 2. Mortalità per coronaropatie  
nelle diverse contee in Finlandia dal 1961 al 1987.  
Scarto medio di tre anni.  
Maschi fra i 35 e i 64 anni



Il grafico si basa sui dati dell'Ufficio centrale di statistica finlandese ed è stato riprodotto per gentile concessione di Tapani Valkonen, del Dipartimento di sociologia dell'Università di Helsinki.

MA ... un  
declino simile  
osservato  
anche nelle  
altre province  
(gruppo di  
controllo)

Skrabavala e Mc Cormick  
Follie e inganni della medicina  
D. P. ...

## GS e GC devono equivalersi: randomizzazione o matching ?

Dalla popolazione "eligible":

- ⇒ Randomizzazione: assegnazione casuale a GS o GC
- ⇒ Matching/abbinamento : bisogna poter definire quali sono le variabili rilevanti su cui compiere l'abbinamento

La randomizzazione è più efficace del matching ⇒ si presuppone che GS e GC siano equivalenti sia per le variabili pertinenti e note sia per quelle non note

# Randomizzazione e gruppo di controllo

Assenza di gruppo di controllo o di randomizzazione

⇒ Possibili bias

⇒ Attacco alla validità

Meno lo studio è rigoroso,  
più è probabile trovare un risultato positivo!

# La necessità del gruppo di controllo e della randomizzazione

Disegno di ricerca ed efficacia dell'intervento:  
un'analisi di 100 ricerche sperimentali per valutare l'effetto di interventi psico-sociali sulla prevenzione della delinquenza (Usa, GB)

	INTERVENTO	
	efficace	non efficace
Studi senza gruppo di controllo	69%	31%
Gruppo di controllo non randomizzato	50%	50%
Gruppo di controllo randomizzato	27%	73%

Citato da Oakley, 2000

Nelle valutazioni sperimentali di interventi,  
più è rigoroso il disegno di ricerca,  
meno è probabile trovare degli effetti positivi

**NB: Nel mondo reale, forti resistenze alla randomizzazione**

# Esperimenti: minacce alla validità interna

- Storia : interferenza di avvenimenti esterni
- Maturazione/guarigione spontanea
- Il test: apprendimento/sensibilizzazione/desiderabilità sociale
- Errori nella costituzione di *GS* e *GC*
- Demotivazione, soprattutto nel *GC*
- Affidabilità e validità delle misure
- Mortalità/attrito

# Mortalità/attrito

Le persone, a volte :

- Non seguono le terapie prescritte (non compliers)
- Non completano il trial

Come dobbiamo analizzare i risultati?

- Includendo nell'analisi solo i soggetti che hanno completato correttamente il trattamento?
- Includendo nell'analisi tutti i soggetti inclusi all'inizio nel trial ?

# Intention to treat analysis (ITT)

Include nell'analisi tutti i pazienti randomizzati nei gruppi a cui sono stati casualmente assegnati,

- indipendentemente dalla loro aderenza al trattamento davvero ricevuto (compliance)
- e dall'eventuale "abbandono" del trial

*As randomized, so analyzed*

# Analisi pragmatiche vs esplicative

**Analisi pragmatica** : identifica l'utilità del trattamento nella pratica clinica, o in una prospettiva di Public Health

L'ottica di una analisi ITT è pragmatica: valutare l'efficacia di un trattamento utilizzato da individui autonomi, nel mondo reale

I "non compliers" vengono inclusi nell'analisi

**Analisi esplicativa**: isola ed identifica gli effetti specifici del trattamento (in un contesto ideale)

Spesso vien fatta escludendo i soggetti "non compliers": non avrebbe senso cercare gli effetti del trattamento, se il trattamento non è avvenuto

# Non compliers e abbandono del trattamento

Nella presentazione di un esperimento, bisogna essere MOLTO precisi su quanti (e quali!) soggetti sono stati "perduti"

**ATTENZIONE a chi escludiamo!**

I soggetti "perduti", così come i "non compliers", rappresentano **un problema**: in cosa sono diversi dai compliers, e dai soggetti che hanno completato lo studio?

Se i soggetti "perduti" sono troppi, i risultati perdono in validità

# Il Coronary Drug Project

Trial per studiare l'effetto del clofibrato come trattamento delle cardiopatie coronariche rispetto a un placebo: studio multicentrico, longitudinale, randomizzato, in doppio ceco

- Gruppo sperimentale (clofibrato): 1103 uomini
- Gruppo di controllo (placebo): 2789 uomini

Mortalità a 5 anni dall'inizio dello studio:

GS, Clofibrato: 20,0%

GC, Placebo: 20,9%

Ns

Quanto incide la compliance nei risultati?

# Il Coronary Drug Project: La compliance

Definizione di "Buona compliance" : assunzione dell'80% del trattamento prescritto

# Il Coronary Drug Project: la compliance

Analisi della compliance nel gruppo sperimentale  
(clofibrato)

Mortalità a 5 anni dall'inizio dello studio:

Compliant: 15,0%

Non compliant: 24,6%

p=0001

Analisi esplicativa: solo i soggetti che hanno assunto tutto il trattamento ne hanno tratto beneficio

# Il Coronary Drug Project: la compliance

Analisi della compliance nel gruppo controllo  
(placebo)

Mortalità a 5 anni dall'inizio dello studio:

Compliant: 15,1%

Non compliant: 28,2%

p=0001

Analisi esplicativa non avrebbe potuto tener conto  
dell'effetto della compliance

# Il Coronary Drug Project: sintesi

- Il clofibrato non portava più benefici del placebo
- Invece il fatto di essere compliant portava benefici!
- Per inciso: fattori psico-sociali più potenti di quelli biologici.....
- L'analisi ITT è corretta (nessun beneficio del clofibrato) e permette di vedere l'effetto della compliance

# La logica del lavoro scientifico

"Ci sono uomini (*sic*) con idee coraggiose, ma che sono fortemente critici delle loro idee.

Cercano di scoprire se le loro idee sono giuste cercando innanzitutto di scoprire se le loro idee non sono invece sbagliate.

Lavorano con ipotesi coraggiose e con tentativi rigorosi di refutare le loro stesse ipotesi."

Karl Popper