



“十二五”普通高等教育本科国家级规划教材

全国高等学校医学规划教材

(供临床·基础·预防·护理·检验·口腔·卫生管理·药学等专业用)

# 医学统计学

第3版

主编 李晓松

高等教育出版社



“十二五”普通高等教育本科国家级规划教材

全国高等学校医学规划教材

(供临床·基础·预防·护理·检验·口腔·卫生管理、药学等专业用)

# 医学统计学

Y i x u e T o n g j i x u e

第3版

主 编 李晓松

副主编 张菊英 郝元涛 王 彤

编委(按章节顺序排列)

李晓松 四川大学

张菊英 四川大学

贾 红 泸州医学院

潘晓平 中国疾病预防控制中心

张福良 大连医科大学

王立芹 河北医科大学

吴思英 福建医科大学

石武祥 桂林医学院

尚 磊 第四军医大学

杨兴华 首都医科大学

殷 菲 四川大学

宇传华 武汉大学

杨土保 中南大学

李新华 贵阳医学院

高晓凤 川北医学院

郝元涛 中山大学

刘美娜 哈尔滨医科大学

尹 平 华中科技大学

曹明芹 新疆医科大学

王 彤 山西医科大学

薛付忠 山东大学

陈卫中 成都医学院

张 强 四川大学

孙 高 中国医科大学

学术秘书(四川大学)

马 越 刘 祥 张 韬

高等教育出版社·北京

## 内容简介

本教材共 21 章, 内容涵盖了国家医师资格考试的全部知识点。本版教材对第 2 版部分章节进行了合并和精简, 新增了与教材内容相关的数字课程资源, 着力突出对学生开展医学科学研究、进行研究设计、运用统计学方法分析资料、应用统计软件实现数据管理和分析、正确解释和表达统计分析结果的综合能力培养。在文字上力求通俗易懂, 在公式上淡化推导及计算过程。整个教材力图达成定位明确、内容优化、重点突出、循序渐进、便于自学的编写特色与风格。

本教材读者对象以临床、基础、预防、护理、检验、口腔、卫生管理及药学等专业的本科生为主, 同时也可供研究生、临床医生、公共卫生专业人员及相关科研工作者参考使用。

## 图书在版编目(CIP)数据

医学统计学 / 李晓松主编. --3 版. --北京: 高等教育出版社, 2014. 8

ISBN 978-7-04-039723-9

I. ①医… II. ①李… III. ①医学统计—统计学—高等学校—教材 IV. ①R195.1

中国版本图书馆 CIP 数据核字(2014)第 151147 号

策划编辑 席雁 孙葵葵  
责任印制 刘思涵

责任编辑 孙葵葵

封面设计 张楠

出版发行 高等教育出版社  
社址 北京市西城区德外大街 4 号  
邮政编码 100120  
印刷 山东省高唐印刷有限责任公司  
开本 787mm × 1092mm 1/16  
印张 23  
字数 530 千字  
购书热线 010-58581118  
咨询电话 400-810-0598

网 址 <http://www.hep.edu.cn>  
<http://www.hep.com.cn>  
网上订购 <http://www.landaco.com>  
<http://www.landaco.com.cn>  
版 次 2003 年 12 月第 1 版  
2014 年 8 月第 3 版  
印 次 2014 年 8 月第 1 次印刷  
定 价 42.00 元

本书如有缺页、倒页、脱页等质量问题, 请到所购图书销售部门联系调换  
版权所有 侵权必究  
物料号 39723-00

数字课程 (基础版)

# 医学统计学

(第3版)

主编 · 李晓松

## 登录方法:

1. 访问<http://abook.hep.com.cn/39723>
2. 输入数字课程用户名 (见封底明码)、密码
3. 点击“进入课程”

账号自登录之日起一年内有效, 过期作废  
使用本账号如有任何问题  
请发邮件至: [medicine@pub.hep.cn](mailto:medicine@pub.hep.cn)



“十二五”普通高等教育本科国家级规划教材

## 医学统计学 (第3版)

主编 李晓松

用户名  密码  验证码  6092

相关教材

内容介绍

纸质教材

版权信息

联系方式

本数字课程是《医学统计学》(第3版)纸质教材的配套资源, 是利用数字化技术整合优质教学资源的出版形式, 可扩展纸质教材的内容。为读者提供教学大纲、CAI课件(PPT)、例题数据等, 供读者完善学习内容。

《医学统计学实习指导》  
(第3版)

李晓松 (四川大学)

《循证医学》(第3版)

李幼平 (四川大学)

《临床流行病学》(第2版)

主编 黄民主

Copyright © 2014-2015 高等教育出版社 版权所有

<http://abook.hep.com.cn/39723>

## 第 3 版前言

医学统计学是医学科学研究的重要方法和技术手段,在医学教育和医学生培养中具有举足轻重的地位和作用。2008 年 12 月,四川大学华西公共卫生学院组织编写了普通高等教育“十一五”国家级规划教材《医学统计学》(第 2 版),该教材密切联系医疗卫生科研和工作实际,具有适教适学的特点,深受全国高等医学院校广大师生的喜爱和欢迎。2012 年入选第一批“十二五”普通高等教育本科国家级规划教材。本次修订在保留第 2 版特色的基础上做了进一步完善。

针对医学生在医学科研设计及数据分析中运用基本统计思想和方法能力不足、不恰当解释统计分析结果等普遍存在的问题,教材在注意课程内容完整性和系统性的基础上,注重学生统计思维和统计方法运用能力的培养和训练。在教材体系和篇章结构安排上,强化统计设计在医学统计学中的地位。突出对学生开展医学科学研究、进行医学科研的统计设计、运用统计方法分析资料、应用统计软件实现数据管理和统计分析、正确解释和报告统计分析结果的综合能力培养。针对医学生的思维特点和知识背景,尽量从各类医学卫生相关实际问题出发,讲解医学统计学的基本概念、原理、方法以及适用条件和注意事项。在文字上力求深入浅出、增加可读性。在统计公式上,淡化推导及计算过程。同时注意与相关教材衔接,避免简单重复。教材整体力图达到定位明确、内容优化、重点突出、循序渐进、通俗易懂、便于自学的编写特色与风格。

第 3 版教材对部分章节进行了合并和精简,共 21 章,内容涵盖了医学统计学的基本内容,包括统计设计和基本的统计分析方法,但对本科生学习阶段部分不常用或是在其他专业教材中已有介绍的内容进行了删减。删除了原第 17 章“诊断和筛检试验的评价”,将原第 20 章“测量手段的效度和信度”的核心概念和指标并入第 2 章“调查研究设计的基本内容”,原第 24 章“数据管理及 EpiData 软件简介”和原第 25 章“SPSS 软件简介”则放入配套教材《医学统计

学实习指导》(第3版)中,完善了后者的结构和内容,方便了教学和学习。同时对“SPSS软件简介”内容进行了更新,以最新版本 SPSS Statistics 21.0 为例,介绍了 SPSS 的主要统计功能模块,并对其中新增的一些共性功能做了简要介绍。《医学统计学实习指导》(第3版)提供了习题和参考答案。本教材配有数字课程资源,内容包括 CAI 课件、例题和习题数据,CAI 课件将抽象的统计学理论和原理形象化,有助于教师讲解及学生理解和领悟;例题和习题数据可供学生练习。

本教材适合临床、基础、预防、护理、检验、口腔、卫生管理及药学等专业各年制本科生使用。由于各校开设的课程内容和学时不尽相同,各校可根据专业和学制特点自行安排教学内容。同时本书也可供研究生、临床医生、公共卫生专业人员及相关科研工作者参考使用。

在本教材修订过程中,得到了高等教育出版社、四川大学教务处、华西公共卫生学院领导和同仁的关心与支持,编委会得到了山东大学公共卫生学院领导和卫生统计学教研室的大力支持。华西公共卫生学院流行病与卫生统计学系硕士研究生陈楠、罗艺、张娟、徐浩、焦治蛟、陈飞为本教材的编辑、排版、例题计算和结果复核等付出了艰辛的劳动,在此一并致以衷心的感谢。

在修订过程中,虽经全体编委的努力工作和反复修改,力争保证本书质量,但限于编者水平,教材中难免存有疏漏或缺陷,欢迎广大同仁与读者批评指正。



2013年12月 成都

# 目 录

001	第一章	绪论	073	第四节	率的标准化
001	第一节	医学统计学的地位和作用	078	第六章	总体均数的估计
002	第二节	医学统计学基本内容和统计工作基本步骤	078	第一节	均数的抽样误差与标准误
003	第三节	统计学的若干基本概念	083	第二节	$t$ 分布
005	第四节	统计思维的培养和本书内容的安排	084	第三节	总体均数的估计
008	第二章	调查研究设计	090	第七章	假设检验
008	第一节	调查研究的特点	090	第一节	基本思想
009	第二节	调查研究设计的基本内容	092	第二节	基本步骤
014	第三节	常用的抽样方法	093	第三节	I型错误与II型错误
017	第四节	调查研究的质量控制	095	第四节	单侧检验与双侧检验
019	第五节	测量工具的质量评价	096	第五节	假设检验需要注意的问题
024	第三章	实验研究设计	097	第六节	假设检验与区间估计的联系
024	第一节	实验设计的基本原则	100	第八章	$t$ 检验
027	第二节	实验设计的基本内容	100	第一节	样本均数与总体均数的比较
031	第三节	常用的实验设计类型	101	第二节	配对设计均数的比较
037	第四节	临床试验设计	102	第三节	两独立样本均数的 $t$ 检验
044	第四章	定量资料的统计描述	104	第四节	正态性检验与方差齐性检验
044	第一节	频数分布表与频数分布图	107	第五节	变量变换
048	第二节	集中位置的描述	109	第九章	方差分析
053	第三节	离散程度的描述	109	第一节	方差分析的基本思想和应用条件
057	第四节	正态分布及其应用	111	第二节	完全随机设计资料的方差分析
065	第五章	定性资料的统计描述	113	第三节	随机区组设计资料的方差分析
065	第一节	常用相对数及其应用	116	第四节	多个均数的两两比较
068	第二节	应用相对数的注意事项	119	第五节	其他常见设计资料的方差分析
071	第三节	动态数列及其应用	130	第十章	二项分布和Poisson分布及其应用

130	第一节	二项分布	213	第十六章	常用多变量统计方法简介
135	第二节	Poisson 分布	213	第一节	多重线性回归
142	第十一章	$\chi^2$ 检验	220	第二节	Logistic 回归
142	第一节	$\chi^2$ 检验的基本思想	226	第三节	Cox 比例风险回归
145	第二节	独立样本率或构成比比较的 $\chi^2$ 检验	232	第十七章	Meta 分析
150	第三节	配对设计样本率比较的 $\chi^2$ 检验	232	第一节	Meta 分析的基本原理和步骤
153	第四节	拟合优度的 $\chi^2$ 检验	237	第二节	Meta 分析的基本方法
156	第五节	率的线性趋势 $\chi^2$ 检验	246	第三节	Meta 分析的注意事项
157	第六节	四格表的 Fisher 确切概率法	250	第十八章	样本含量估计
160	第十二章	秩和检验	250	第一节	样本含量估计的意义及方法
160	第一节	Wilcoxon 符号秩和检验	251	第二节	调查设计中样本含量估计
164	第二节	成组设计两样本比较的秩和检验	254	第三节	实验研究中样本含量估计
167	第三节	成组设计多个样本比较的秩和检验	260	第四节	样本含量估计中的注意事项
171	第四节	随机区组设计的秩和检验	261	第五节	检验效能的估计
174	第十三章	双变量关联性分析	264	第十九章	医学人口与疾病统计常用指标
174	第一节	直线相关	264	第一节	医学人口统计常用指标
179	第二节	秩相关	275	第二节	疾病统计常用指标
181	第三节	分类变量的关联性分析	279	第三节	寿命表及其应用
188	第十四章	直线回归分析	291	第二十章	统计方法选择与结果解释
188	第一节	直线回归方程的建立	291	第一节	方法的正确选择
191	第二节	直线回归的统计推断	295	第二节	结果的正确解释
194	第三节	直线回归分析的应用	299	第二十一章	统计分析结果的正确表达
196	第四节	直线回归分析需注意的问题	299	第一节	常用统计表与统计图
197	第五节	直线回归与直线相关分析的区别与联系	308	第二节	医学论文统计报告的基本要求
199	第十五章	生存分析	311	第三节	统计分析结果表达的常见错误
199	第一节	生存资料的特点	313	附录 1	统计用表
200	第二节	生存分析的基本内容及几个基本概念	342	附录 2	英汉专业术语
203	第三节	未分组资料的生存分析	355	参考文献	
206	第四节	分组资料的生存分析			
208	第五节	生存曲线的比较			



## 第一节 医学统计学的地位和作用

当人们研发了一种治疗高血压的新药,应该怎样评价该新药的疗效?最基本的方法就是比较。通常将患者以随机的方式分成两组,一组服用该新药,另一组服用对照药物,观测并记录两种药物的疗效,最后统计分析该新药的有效性和安全性,这就是一个常见的临床试验。在这个临床试验中有诸多问题需要回答:需要多少名患者参加试验?如何随机地将患者分为两组?如何保证两组患者除了接受不同药物治疗外,其他影响疗效的因素在两组的分布是否一致?如果分布不一致,如何在诸多的影响因素中,分离出药物因素的效应?采用什么样的指标来反映新药的有效性和安全性?怎样测量这些指标以保证数据的准确性和可靠性?如何控制临床试验的误差?如果两组疗效存在一定差别,怎样判断两种药物的疗效是否存在差别?换言之,我们需要了解这种差别是机会造成的,还是真实存在的。统计学可以回答上述问题。

我们再看另一种情形,假定为了解一个城市居民高血压的患病现状,通常的做法是在这个城市调查一部分个体,利用这一部分个体的高血压患病状况来反映整个城市的患病状况。只有这部分个体能够很好地代表整个城市人群,用这种部分个体推断全体的做法才是准确的,那么,如何在这个城市选取这一部分个体?此外,需要选取多少人进行调查?如何保证收集到的资料是准确和可靠的,又如何评价这种准确性和可靠性?如何描述高血压的患病状况,如何才能推论到整个城市人群?我们对于这种推论的正确性有多大把握?统计学也可以回答上述问题。

每个人的血压值都不一样,每个高血压患者对同一种药物治疗的反应也存在差别,这就是所谓的个体差异和不确定性。个体差异是自然界普遍存在的现象,统计学将这种差异称为变异(variation)。机体反应受到各种自然和社会环境因素的影响和制约,对内外环境刺激的反应同样存在很大差别。William Osler 爵士曾指出:“医学就是关于不确定性的科学和概率的艺术(Medicine is a science of uncertainty and an art of probability)。”生物医学中充满了个体变异和不确定性,其原因有些是已知的,有些是未知的,有的是可以人为控制的,有的则是无法控制的。事实上,客观事物在数量上所表现出来的现象既受到本质规律的制约,又受到诸多偶然因素的影响,这就妨碍了我们对事物规律性的认识。统计学正是处理数据中变异和不确定性的一门科学和艺术。它透过具有偶然性的现象来探测和揭示那些令人困惑的医学问题的规律

性,对不确定性的数据作出科学推断,它是认识客观世界的重要工具和手段。因此,医学与统计学的结合是必然的,它们的联姻就催生了医学统计学。更准确地说,医学统计学就是运用统计学的基本原理和方法来研究医学问题的一门学科,它包括了研究设计、数据收集、整理分析以及分析结果的正确解释和表达。

医学统计学在整个医学科学研究中有着举足轻重的地位和作用,但这一点并非从一开始就被人们所认识。历史经验表明,它是在人类社会百余年的探索和实践逐步形成,甚至是在付出了若干生命代价后才逐步达成共识的。现实中,由于研究设计、数据收集、统计分析、结果解释以及结论报告任何一个环节中的缺陷或错误,断送了不少先进的甚至非常前沿的医学研究成果,而且即使是已经发表的研究成果也存在着不少统计学缺陷或错误。现在,人们已逐步认识到了统计学在医学和公共卫生科学研究中的重要性,越来越多的临床医生、公共卫生专业人员以及实验室科学家主动寻求与统计学家合作,许多医学专业期刊邀请统计学家审稿,医学科研基金评审邀请统计学家参加,基金申请要求有统计学家合作等,这些都彰显了医学统计学蓬勃的生命力和广阔的应用空间。

## 第二节 医学统计学基本内容和统计工作基本步骤

在统计设计的基础上,对数据收集、整理、分析以及对分析结果的正确解释和表达是医学统计学的基本内容以及统计工作的基本步骤。值得强调的是,医学科研的统计设计是医学统计学的重要内容,也是统计工作的第一步和最关键的一步。一个常见和普遍的误解,即认为“统计”就是分析数据。我们经常会遇到这样的情形,医生或研究人员在研究结束后拿着数据咨询统计学专业人员或请其代为分析,但其研究的统计设计却存在着缺陷甚至错误。现代统计学的奠基人之一、著名统计学家 Fisher 曾精辟地指出:“做完实验后才找统计学家,无异于请他作尸体解剖,他能做的全部事情就是告诉你这实验死于什么原因。”没有科学严谨的统计设计,数据的收集以及分析常常是没有价值的。对于不准确或不可靠的数据,试图寻求统计方法加以弥补亦是徒劳无益的,即使再高深的统计方法也一样于事无补,基于这些不准确或不可靠数据的统计分析所得结论常常是站不住脚的,甚至是误导他人的。因此,研究的统计设计和统计分析是统计学不可分割的两个重要组成部分。

研究的统计设计按照是否对研究对象施加干预措施分为观察性研究(observational study)和实验性研究(experimental study)两大类,前者又可分为横断面研究(cross-sectional study)、病例对照研究(case-control study)和队列研究(cohort study),后者又可根据研究对象的不同分为动物实验(animal experiment)、临床试验(clinical trial)和社区干预试验(community intervention trial)。对于不同研究设计所获得的数据,采用的统计分析方法常常是不同的,而且所得研究结论也存在差异。在后面的相关章节将详细讲述。

数据的统计分析(statistical analysis)主要包括两方面的内容:一是统计描述(statistical description),主要是运用一些统计指标诸如平均数、标准差、率以及统计表和统计图等,对数据的数量特征及其分布规律进行客观描述和表达,不涉及样本推论总体的问题;二是统计推断(statistical inference),即在一定的可信程度或概率保证下,根据样本信息推断总体特征。统计推断通常包括参数估计和假设检验两个内容。参数估计是指用样本指标推断总体相应的指标,例如根据部分人群的高血压患病率去估计整个城市的高血压患病率;假设检验是指由样本

之间的差异推断总体之间是否可能存在差异,例如高血压治疗药物在两组的疗效存在一定差别,假设检验回答这种差别是机会造成的,还是真实存在的。

### 第三节 统计学的若干基本概念

#### 一、总体与样本

上面已屡屡提及总体与样本的概念。什么是总体?什么是样本?人们通常需要了解或研究整个的一类个体,简单地说,这个类就是总体(population)。但是,研究整个总体一般并不现实,能研究的通常只是它的一个部分,这个部分就是样本(sample)。人们再根据部分对整体进行推断,用统计学专业术语描述,即根据样本信息对总体特征作出统计推断。

更准确地讲,总体就是所有同质观察单位某种观察值(即变量值)的全体,例如调查某地2012年正常成年男子的红细胞数,则观察对象是该地2012年的正常成年男子,观察单位是每个人,观察值是每个人测得的红细胞数,该地2012年全部正常成年男子的红细胞数就构成一个总体。样本是总体中抽取部分观察单位的观测值的集合,如从该地2012年正常成年男子中,随机抽取300人,分别测得其红细胞数就组成样本。注意,个体间的同质性是构成总体的必备条件,也是进行研究的基本前提。

总体是根据研究目的所确定的,一般有无限总体和有限总体之分。前者指总体中的个体数量是无限的,如研究降压药物的疗效,高血压患者就是无限总体;后者指总体中的个体数量是有限的,它是指特定时间、空间中有限的研究个体。在医学研究中,多数情况下总体是无限的,直接研究总体是不可能的。即使是有限总体,直接研究总体也是不现实的。这里值得注意的是,总体中的个体在多数情形下是人,但也可以是其他个体(individual),如动物、家庭、学校、工厂、地区等,还可以是一个器官、一个细胞等。这里的个体是研究的基本单位,也是统计分析的基本单位。注意鉴别基本单位到底是什么,这在统计分析以及结果解释中都是十分重要的。

医学研究通常都想了解关于总体的某些数值特征,这些数值特征称为参数(parameter),如整个城市的高血压患病率;根据样本算得的某些数值特征称为统计量(statistic),如根据几百人的调查数据所算得的样本人群高血压患病率。后者是研究人员知道的,而前者是他们想知道的。显而易见,只有当样本代表了总体时,根据样本统计量所估计的总体参数才是准确的。

因此,选择样本的方法至关重要。机会是没有偏袒的,因而正确的方法就是采用客观的概率抽样方法选取样本。在实验设计中,应该采用随机分配的方法将实验对象分配到处理组或对照组(详见实验研究设计部分)。将具有某一类特征的个体排除在样本之外所表现出的系统倾向性称为选择偏性。当存在选择偏性时,抽取一个更大的样本无助于统计推断,相反,它只是在一个更大的规模上去重复错误。概率抽样方法的最重要标志就是总体中的每一个个体都有同样的机会被选入样本,在理论上可计算出总体中任一个体被选入样本的机会大小。样本包含的观察单位数称为样本含量或样本大小(sample size)。

即便采用概率抽样方法抽取样本,但毕竟样本只是总体的一部分,这就存在着误差,统计学上将其称为抽样误差(sampling error)。那么,对于一次具体的概率抽样,抽样误差可能有

多大?它对样本含量的依赖程度怎样?为了将抽样误差置于控制之下,样本含量需取多少?这时用样本统计量去估计总体参数时,将会达到怎样的接近程度?这些都是统计学中十分重要的问题,大家将在后面的相关章节学习。

## 二、变量

变量(variable)是观测单位的某种特征或属性,变量的观测值就是所谓的变量值,有时也称数据或资料(data)。更准确地讲,数据或资料是由具有若干变量值的观测单位所组成的。例如在调查中常规问及的问题:你年龄多大?是什么学历?结婚了吗?有工作吗?家里有多少人?对应的变量就是:年龄、学历、婚姻状况、就业情况、家庭人口数。有些问题的答案如年龄、家庭人口数是具体的数值,所对应的变量是定量的,称为定量变量。有些问题的答案如学历(文盲、小学、初中、高中、大学、研究生)、婚姻状况和就业状况是用语言来描述的,对应的变量是定性的,称为定性变量。

定量变量有连续和离散之分。年龄就是一个连续变量,因为不同人的年龄差异在理论上可以任意地小,如1年、1个月、1天、1h等,它一般有度量衡单位。而家庭人口数就是一个离散变量,不同家庭的人口数可相差0、1、2等,在这些值之间不可能取其他值。当然,一个定量变量要么是连续的,要么是离散的。而对于定性变量,其取值是定性的,往往表现为互不相容的类别或属性。根据其取值特征,定性变量又可以分为有序分类和无序分类的变量,所谓有序分类变量,是指其取值的各类别之间存在着程度上的差别,给人以“半定量”的感觉,因此也称为等级变量,如学历;无序变量又可分为二项分类变量和多项分类变量,前者取值为相互对立的两类,如性别;后者取值为互不相容的多个类别,如血型。

上述对变量类型的区分在统计学中至关重要,因为它在很大程度上决定了统计分析方法的选择。当然,出于某些研究目的,各种类型变量间可以进行转换,如血压值为定量变量,可按照一定的临床标准,将其转换为高血压、正常血压和低血压。这种变量的转换通常具有方向性,一般从定量到半定量,再到定性,但须知这种转换后的数据,其信息量将减少。另外,为了对定性变量进行统计学处理,往往需要对其进行编码,例如性别的编码:男为1、女为0。这里,值得再次指出,变量类型的区分也与分析的基本单位有关。例如,患病与否的问题,若以人为基本测量和分析单位,它是二项分类变量,但若以乡为基本测量和分析单位,患病率则为定量变量。

## 三、误差

误差(error)泛指实测值与真实值之差,一般可分为随机误差和非随机误差两大类。随机误差是一类不恒定的、随机变化的误差,实测值往往无方向性地围绕着某一数值左右波动。抽样误差即为随机误差,是由随机抽样造成的实测值与真实值之差。随机误差在随机抽样和观测中是不可避免的,但一般服从正态分布,可以通过统计学方法进行分析。

非随机误差最常见的即所谓的系统误差,是指实测值系统偏离真实值的、具有方向性的误差,因此也常称为偏性或偏倚(bias)。其产生的原因往往是可知的或可掌握的,例如仪器未校正,操作不规范等。因此,通过完善研究设计、规范操作流程、改进技术手段等方式,可以降低或消除系统误差。此外,还有一些非随机误差是在研究过程中由于研究者的偶然失误造成的,即所谓过失误差,例如误读检验结果、记录失误等。

## 四、概率

概率(probability)是统计推断中最为重要的概念。生活中,人们经常谈论诸如中奖的机会是多少或毕业后找到工作的机会是多少这类问题,数学家们为了给“机会”这个词一个确切和清晰的解释而奋斗了数个世纪。机会的含义可以用简单的抛硬币游戏加以说明,如获得反面的机会是50%,那么最终结果大约就有50%的次数反面向上。因此,当某一实验是在相同条件下独立地一次又一次重复进行时,某事件发生次数的百分数就是该事件的机会,这就是机会的频数理论。一个事件机会的大小,取决于该事件的可能发生数与这一事件的可能发生和不发生的全部数之比,这个比值就是这一事件发生概率的表示。如一个事件有4次机会发生和6次机会不发生,4/10就恰当地表示了这一事件发生的频率,并且可取作该概率的度量值。概率论和数学的其他组成部分一起组成了推理艺术的重要基础,统计学的重要组成部分——统计推断就是建立在此基础上的。

医学研究的现象,大多是随机现象。根据某一研究目的,在一定条件下对某一随机现象(不确定现象)进行观测,其结果在事先是不确定的,将其称之为随机事件(random event),在统计学中简称事件。如同一药物治疗同一疾病,治疗后究竟会产生什么结果是不确定的,可能治愈、好转,也可能无效、死亡。这里的每一种可能发生的结果都是一个随机事件。概率是度量随机事件发生可能性大小的数值。治疗200例患者,120例患者治愈,治愈率为60%,这是一个频率(frequency)。在现实中,概率是难以获得的,在观测单位数足够多时,可以将频率作为概率的估计值。但在观测单位数较少时,用频率估计概率是不可靠的。

概率通常用 $P$ 表示,如果某事件不可能发生,其发生概率为0,另一个极端就是,如果某事件肯定要发生,那么其发生概率为1,概率取值界于0与1两个极端之间。当某事件发生的概率小于或等于0.05时,统计学习上称该事件为小概率事件(small probability event),其含义是该事件发生的可能性很小,进而认为它在一次抽样中不可能发生,这就是所谓小概率事件原理,它是进行统计推断的重要基础。

## 第四节 统计思维的培养和本书内容的安排

### 一、统计思维的培养

医学生学习统计学,并非要成为医学统计学的专业人员,其目的是培养统计思维,掌握基本的统计设计方法和收集准确可靠的数据,运用基本的统计分析方法来正确分析数据,掌握操作统计软件的技能,正确解释和表达分析结果。

学习统计学的关键是通过统计思维的培养,提高科学素养和科研能力。所谓统计思维就是指统计学独特的逻辑思维方法。由于存在个体差异,用样本推断总体就会出现误差,但这种误差是有规律的,它构成了统计推断的理论基石。理解了假设检验的推理逻辑,也就理解了统计结论的概率性。因此,学习统计学就需要牢固树立起个体变异和不确定性的观念,抽样误差的观念,假设检验结论的概率性观念等。前面反复提及一个例子就是如果两种药物疗效存在差别,那么这是机会造成的,还是真的存在?统计学用假设检验的方法来回答这一问题(后面的相应章节将对此进行详细讲解)。现在阅读一篇医学科研论文,不遇到假设检验和 $P$ 值几

乎是不可能的。因此,弄清楚假设检验和  $P$  值的真实含义是学习统计学和培养统计思维的核心问题之一,尚需结合后面的学习内容加以细心体会和领悟。

此外,值得指出的一个重要问题就是,医学统计学与数学和计算机运用联系密切,但作为一门应用学科,学习它不能脱离医学背景,必须紧密结合医学专业的实际问题。学习医学统计学的最终目的是运用统计思维和统计方法去分析和解决医学实际问题。医学生由于习惯于观察、记忆、判断和操作,逐步淡化了抽象思维和逻辑思维,但这并不意味着学习医学统计学一定要具备高深的数学知识,事实上,医学统计学的许多先驱并非数学家。对于统计公式,我们认为不必深究其数学推导过程,重要的是要了解其意义、用途和应用条件。计算机技术的迅速发展和普及,使统计计算趋于简化并推动了统计学的发展,但与此同时,也出现了统计方法的误用甚至滥用的问题。须知,医学统计中的每个数据都有其特定的专业含义,而不是抽象的数字,但计算机并不能识别数据的含义,无法确认数据是否准确可靠以及如何分组和分析等。如果不紧密结合医学专业背景,将会导致统计方法的误用或滥用,以及统计结果的错误解释。

## 二、本书内容的安排

这里简要概述本书的框架结构和章节安排,有助于学生从整体上把握本书的内容及其逻辑关系。

第一章绪论(即本章)讲解医学统计学的基本内容以及统计学的若干基本概念,它是后面章节的重要基础;第二、三章是医学科学研究的统计设计,包括调查和实验研究设计两部分,主要内容包括两种设计类型的区别与特点、基本内容和原则,在调查研究设计部分介绍了常用的抽样方法以及测量效度和信度的核心概念和指标,在实验设计部分介绍了常用的实验设计类型,尤其较为详细地介绍了临床试验设计。样本含量估计属于统计设计内容,但由于涉及若干尚未学习的统计学概念,故放在后面专门章节介绍。

第四、五章为数据的统计描述,主要涉及描述定量和定性资料的常见统计指标等;第六、七章为统计推断的基本内容,包括参数估计和假设检验两部分,主要涉及其基本思想、概念及原理,如抽样误差的概念与标准误、假设检验的基本思想、I型与II型错误,总体均数估计的方法和假设检验的基本步骤等;第八至十二章为基本的和常用的单变量统计推断方法,针对不同类型的资料 and 不同的设计类型分别介绍了常用的组间比较的假设检验方法,如  $t$  检验、方差分析、 $\chi^2$  检验和秩和检验等;第十三、十四章介绍双变量的相关和回归分析,亦包括统计推断的内容。

第十五章介绍针对生存资料的一类统计分析方法即生存分析,主要涉及生存资料的特点、生存分析的基本概念,以及生存分析中统计描述和推断的内容;第十六章简要介绍最常用的多变量统计方法包括多重线性回归、logistic 回归和 Cox 比例风险回归;第十七章主要介绍 Meta 分析的基本原理、基本方法及其注意事项;第十八章介绍统计设计中常用的样本含量估计方法;第十九章介绍医学人口和疾病统计常用指标、寿命表及其应用。

第二十章和第二十一章阐述统计方法的正确选择、结果的正确解释和表达。这两章的主要目的是针对在统计方法选择、结果解释和表达中大量存在的问题和常见错误,帮助学生梳理正确选择统计方法的基本思路 and 原则,阐释在结果理解和解释上容易发生的错误,介绍医学论文统计报告的基本要求。



## 小 结

1. 从医学科学研究中的个体差异和不确定性出发,介绍了什么是医学统计学、医学统计学在医学科研中的地位和作用、医学统计学的基本内容和统计工作的基本步骤。尤其强调了医学科研的统计设计是医学统计学的重要内容之一,统计设计和统计分析是统计学不可分割的两个重要组成部分。

2. 介绍了统计学的若干基本概念,包括总体与样本、参数和统计量、概率抽样和抽样误差、定量与定性变量、随机与非随机误差、概率与频率等,它们是学习医学统计学的重要基础。

3. 学习医学统计学的目的是培养统计学独特的逻辑思维方法,掌握统计设计方法和收集准确可靠的数据,运用统计分析方法正确分析数据,掌握操作统计软件的技能,正确解释和表达研究结果。关键是运用统计思维和统计方法去分析和解决医学科研问题,提高科学素养和科研能力。

### 本章需掌握的核心要点和内容

1. 统计工作的四个步骤。
2. 统计学的几个基本概念 ① 同质与变异。② 资料的类型。③ 总体和样本。④ 参数和统计量。⑤ 概率与频率。

(李晓松)

## 第二章

# 调查研究设计

### 第一节 调查研究的特点

医学研究可分为观察性研究(observational study)和实验性研究(experimental study)两大类。观察性研究是一种客观地观察、记录和描述事物或现象的认识活动。作为人类获取科学事实和认识客观世界的基本方法,它具有一个显著特征,即是对处于自然状态下的事物或现象进行观察。换言之,是观察者对被观察事物或现象在不进行任何干预的情况下所作的观察。通过观察性研究通常只能得到有关事物或现象及其相关因素关系的线索。实验性研究通常是在观察性研究的基础上,在人为控制实验条件或对研究事物或现象施加一定干预措施条件下,所作的进一步研究,第三章“实验研究设计”将对此作详细介绍。

这里讨论的调查(survey)研究属于一种观察性研究。在医疗卫生领域,观察性研究通常可分为横断面研究(cross-sectional study)、回顾性研究(retrospective study)和前瞻性研究(prospective study)。常见的回顾性研究方法有病例对照研究(case-control study),常见的前瞻性研究方法有队列研究(cohort study),流行病学教材都详尽介绍了病例对照研究和队列研究。本章所讨论的调查研究是指横断面研究,或称横断面调查、现况研究或现况调查。

横断面研究是医学领域常见的研究方法,通过收集特定时间、空间和人群中疾病或卫生事件以及相关因素的信息,描述疾病或卫生事件在该时间、空间和人群中的分布状况并初步探讨与之相关联的因素。例如,通过调查发现肝癌高发区人群的乙型肝炎表面抗原阳性率比低发区高,这就提示乙型肝炎病毒感染与肝癌高发有一定联系。由于这种调查通常是在一个较短的时间段完成的,因此被称为横断面调查。它通常是在对研究事物或现象不太了解时进行的,可为进一步的相关因素研究打下基础和提供线索。调查研究按其研究目的一般又可分为描述性研究和分析性研究两种类型。描述性研究是对疾病或卫生事件在时间、空间和人群的分布和强度进行描述,如通过样本数据推断相应的总体参数(如描述某地居民冠心病患病率现状),它通常回答研究事物或现象“是什么”的问题;分析性研究侧重探讨和分析疾病或卫生事件的相关因素,及其影响作用的大小,它通常回答研究事物或现象“为什么”的问题,即分析变量间相互关系(如分析患冠心病与血压等的关系)。但在实际工作中,描述性研究和分析性研究并无截然界线,常结合使用。因此,通过横断面研究,可以了解某一特定时间断面上特定人群中疾病或卫生事件的现状及其相关因素的分布情况。

横断面研究的主要特点是:① 研究过程中没有人为施加的干预措施,研究事物或现象及



其相关特征(包括研究因素和非研究因素)是客观存在的。② 不能将研究因素随机地分配到研究对象中,如在冠心病患病危险因素的调查中,研究者不能随机地要求某些人吸烟,而要求另外一些人不吸烟;也不能用随机化分组来平衡非研究因素对调查结果的影响。这是调查研究区别于实验研究的另一个重要特征。例如,比较两个社区某肿瘤患病率时,年龄和性别构成不同可能成为混杂因素,但不能在调查设计阶段通过随机分配的方法进行控制。故常在资料分析阶段利用标准化法、分层分析或多因素分析等统计学方法对混杂因素进行调整或控制。③ 横断面研究反映的是某个时间断面上的情况,事物或现象的现状以及与之相联系的因素可能是同时存在的,两者的先后顺序不清楚,因此不能得出因果关系的结论。综上所述,横断面研究一般可为进一步的相关因素研究,尤其是因果关系研究提供线索,下结论时应十分慎重。

## 第二节 调查研究设计的基本内容

调查研究设计是调查研究取得真实和可靠结果的重要保证,它包括资料收集、整理和分析各个环节以及整个调查过程的统计设想和科学安排。调查研究设计的要点就是根据研究目的确定调查对象和观察单位,进而确定调查方法和样本含量;将观察指标转化为调查项目,进而设计成调查表或问卷;然后确定资料收集方法和资料整理、分析计划;最后制定调查组织计划以及调查质量控制措施等。现将调查设计的基本内容介绍如下。

### 一、明确调查目的和指标

首先应根据研究工作的需要,明确调查目的。虽然各种调查的具体目的不同,但从统计学角度来说,进行参数估计用以说明总体特征,或是研究事物或现象间的相关联系用以探索病因或相关因素,这些都需要通过具体指标来说明。调查者应该在设计中把调查目的转化成具体指标及调查项目。

例如,2013年我国开展第五次国家卫生服务调查,拟通过对全国城乡及不同类型地区家庭居民健康询问调查,了解居民卫生服务需要及主要健康问题,医疗保障制度对居民卫生服务利用产生的影响,居民医疗卫生服务需求和利用水平及特点,卫生服务利用的经济负担,以及对卫生服务的反应性等。具体调查指标包括:通过样本地区居民两周患病率、慢病患病率、伤残率、疾病严重程度及其丧失劳动能力程度等健康状况指标,了解我国不同类型地区居民和特殊人群卫生服务需要量以及存在的主要健康问题;通过居民就诊率、住院率等卫生服务利用指标了解居民卫生服务需要向需求转化的程度、卫生服务需求与供给之间的关系;通过样本地区居民医疗保障制度和医疗保健费用等方面的指标,了解城乡和不同类型地区医疗保障制度改革进展、各种医疗保障制度覆盖范围、居民医疗保健负担能力和负担水平。

由此可见,调查目的是选定调查指标的依据,而调查指标又是调查目的的具体体现。因此,调查研究设计时,应将调查目的转化为具体的观察指标,通过指标来达到目的。

测量事物或现象的性质或数量的指标有主观指标与客观指标之分。显然,客观指标可靠性较高,应尽量采用。此外,指标的选择还应注意其灵敏度和特异性。指标选择应紧扣研究目的,做到少而精。如果在调查中纳入与调查目的无关的内容,既增加调查成本,也可能影响资料的准确性和可靠性。