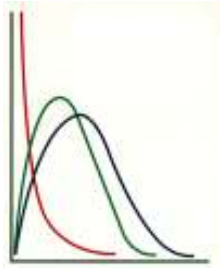


第一章 統計的意義及用途



大綱(p.1)

1.1 統計的意義

藉由說明統計的定義及統計學家做些什麼認識統計的意義。

1.2 統計的用途

說明如何以描述性統計來瞭解資料的特性，及以推論性統計作決策。

1.3 研習統計的目的

說明統計在研究執行、發表論文、判斷科學性結果的正確性均佔有重要的地位。

1.4 資料來源

分為調查及實驗研究。調查研究又分為回溯性及前瞻性。

1.5 臨床試驗

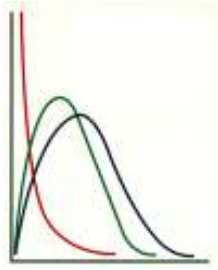
利用臨床試驗來評估新藥物或新方法的療效。

1.6 調查計畫

利用事前用心規劃，使調查資料達到最高的應用價值。

1.7 如何成功地研習統計

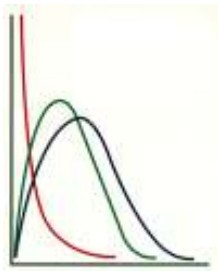
提供取得課外和其他資源的秘訣



學習目的(p.1-2)

在研習本章後，讀者應能：

1. 定義何謂「統計」
2. 重點式列出研讀統計的理由
3. 清楚分辨以下的不同
 - a. 描述性和推論性統計
 - b. 調查和實驗
 - c. 回溯性和前瞻性的研究
 - d. 描述性和分析性的調查
4. 定義「偏差」(bias)
5. 敘述臨床試驗的目的和構成要素



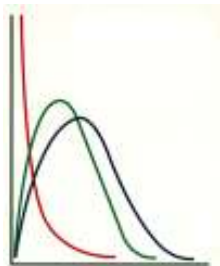
1-1 統計的意義 (p.2)

可藉由討論下面兩個問題來認識統計的意義：「統計是什麼？」「統計學家做些什麼？」

「統計」是什麼？

統計 (**statistics**) 一詞有不同的意思：(1)記錄及整理資料，如統計交通事故數，或門診人數等。(2)統計也被用來表示資料的指標，如平均數，標準差和相關係數等。

簡單地說，統計是將資料蒐集、組織、分析、說明，和量化的技術及程序。



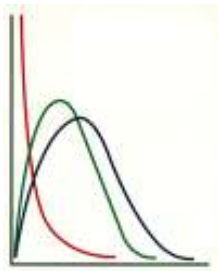
1-1 統計的意義(續) (p.2)

統計學家做些什麼？

統計學家對一些科學問題提出質疑，利用資料作驗證；因此，統計學家需發展一些理論，或利用現成的理論作分析。針對不同的研究問題，運用不同的統計方法經資料驗證，得到結論。統計學家的任務包括：

1. 指導實驗或調查的設計

統計學家在研究之初，提供一個有效率和低偏差的實驗設計。一般而言，待資料蒐集後，才進行實驗設計就太晚了，因為不可能對於不符合統計假設前題（**statistical assumption**）或非隨機抽樣的資料進行補救。



1-1 統計的意義(續) (p.3)

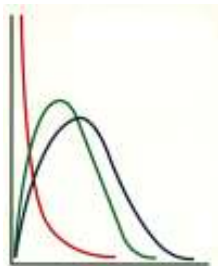
2. 分析資料

資料分析可以有很多種方式，如檢查變項間的相關性，描述或分析變項的特徵（如血壓、氣溫、身高、體重），或判斷某個結果的差異是否達到顯著意義。

3. 提供和解釋統計結果

以數據驗證多個假說的真偽，提供決策者作決定的依據。Mainland (1963:3) 定義統計為「科學與藝術結合，得到可信賴的結果」。統計學家的藝術在於運用適當的方法和經驗累積的技術去解決問題。

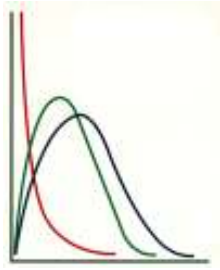
完成上述的三件任務，統計學家須做到：從母體抽樣的樣本中，對研究的母體做一個統計的推論。



1-2 統計的用途 (p.3)

統計可分為兩大類，**描述性統計 (descriptive statistics)** 和**推論性統計 (inferential statistics)**。描述性統計是以列舉一些指標或以繪圖說明資料的特性。推論性統計則是從非完整的資料中盡可能得到結論，也就是從樣本資料來推論整個母體的特徵。

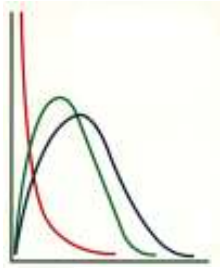
舉例來說，美國每十年一次的人口普查 (the decennial census of the United States) 包含所有居民的年齡、性別、種族和婚姻狀況的資料，以表格和繪圖來呈現當時人口的特質，這就是描述性統計 (descriptive statistics)。推論性統計 (inferential statistics) 可用在民意調查，如蓋洛普民意調查 (Gallup poll)，在選舉前從抽樣調查的結果來推論選舉的結果。這種抽樣的民意調查通常樣本數不超過 2000，卻可以用來預測 8 千萬人投票的結果。



1-2 統計的用途(續) (p.3-4)

又當無法獲得所有資料時，依不同的情況提供一個具有邏輯基礎的下
決策依據。以下的例子為運用統計方法來有效地回答科學問題：

1. 研究人員如何檢測新疫苗抵抗感冒的效力？
2. 某降低冠狀動脈性心臟病藥品的效力為何？
3. 家庭計畫的效果如何？
4. 口服避孕藥會導致婦女血栓性栓塞症的機會為多少？

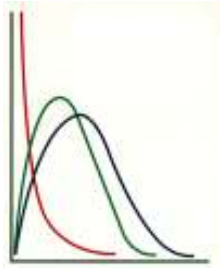


1-2 統計的用途(續) (p.4)

以下三個研究更加詳細說明統計的應用。

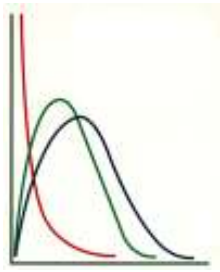
懷孕期吸菸：1957 年 Sampson 報導母親於懷孕期吸菸對新生兒的影響。她檢查 Loma Linda 大學附近的三家醫院的病患，發現母親每天吸菸量與早產兒發生率成正比。之後，有許多相似報告發表，這些報告的主要結論是：母親於懷孕期間吸菸對胎兒和新生兒的健康均造成負面影響。

健康習慣和死亡率：1973 年美國加州衛生部 (California State Health Department) Belloc 報告 6928 位 Alameda 郡居民的研究結果，顯示良好的生活習慣、不吸菸、不喝酒、不過胖、運動和正常飲食與死亡率呈反比。



1-2 統計的用途(續) (p.4)

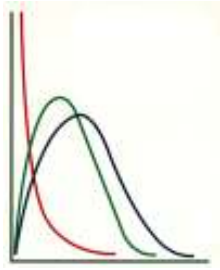
抑制多重危險因子試驗：1976 年降低冠狀動脈性心臟病發生率的國家型研究，針對中年男性，探討抑制危險因子是否可以預防冠狀動脈疾病的發生。抑制危險因子包括，降低血中膽固醇、治療高血壓和鼓勵戒菸。這個試驗為期 7 年，22 個醫療中心和 12,866 位試驗對象，以隨機方式抽樣一半的人施行抑制危險因子治療（治療組），另一半人則依照原來的生活習慣（對照組），經過 7 年的追蹤，治療組死於冠狀動脈性心臟病每千人有 17.9 名，對照組則為 19.3 名，這兩組心臟病發生率沒有顯著



1-2 統計的用途(續) (p.4-5)

抑制多重危險因子試驗： 差異。沒有顯著差異的原因可能是(1)冠狀動脈性心臟病在美國數十年來，已有下降的趨勢，若想要證明，兩組有所差異，的確非常困難。(2)治療組沒有徹底實行，所以沒有差異。(3)對照組醫師有可能也引導對照組的病患減少危險因子。

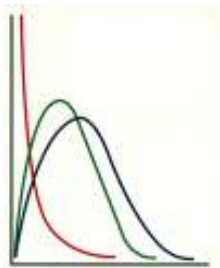
因為技術、設備和經費有限，如何以最有效率的方式取得最豐富的資料，便需要統計的協助，它可以有效地利用資源，以最少的花費，獲得精確的結果。



1-3 研習統計的目的 (p.5)

許多學生會問「爲什麼要學統計？」或「統計對將來的工作有什麼幫助？」答案則是因工作性質而異。

統計對一個專業的人，要進入研究單位或進行研究，是必需具備的知識。積極參與研究人員將會發現統計非常有用，除了幫助研究的進行，也有效地幫助發表研究成果和撰寫論文。精通統計可以幫助撰寫或評估研究計畫，盡量避免人爲偏差，和評估研究假說是否爲有效。

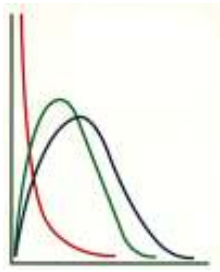


1-3 研習統計的目的(續)(p.5)

如果想要在自己的領域掌握最新的資料，則需要統計知識的協助。因為目前科學期刊都有很多統計用語與方法，若想要看懂這些文章，不落他人，便要學好統計。

熟識統計也可以幫助我們分辨日常生活中事件的真偽，如瞭解報紙和電視所報導的消息如何產生。

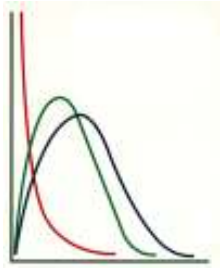
研習統計後，可分辨何種情況和何種研究目的，再去徵求統計專家的意見和協助。



1-4 資料來源 (p.5-6)

在觀察各種現象時，感興趣的是瞭解資料的特徵，如年齡、體重、身高、婚姻狀況，或是吸菸習慣等。這些特徵稱為變項 (**variable**)，這些

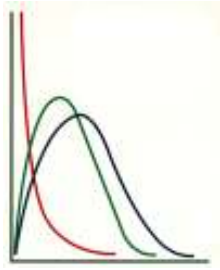
觀察值則稱為資料 (**data**)。資料為統計的原料，他們的來源各自不同。從資料的來源，可以瞭解資料的可信度，有效的勾勒出推論。



1-4 資料來源(續) (p.6)

調查和實驗 (survey and experiment)

資料來源有很多種：主要可分為調查 (survey) 和實驗 (experiment) 兩大來源。調查是觀察某一事件或現象，蒐集的變項是難以控制的。以廣島和長崎居民受原子彈的影響調查為例，對於生還者暴露在輻射環境下，卻無法有效地掌控。相對地，實驗是控制一些條件的研究，然後比較實驗組和對照組的差異。實驗研究控制實驗組治療或暴露狀況，而調查研究卻沒有控制的步驟。



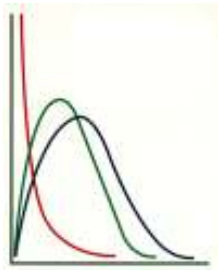
1-4 資料來源(續) (p.6)

調查和實驗 (survey and experiment) (續)

舉一個典型的實驗研究的例子，美國在 1963 年，對於 16 家美國退役軍人醫院的 523 名高血壓患者，一組患者吃口服降血壓藥，另一組則吃安慰劑 (placebo)。結果是吃降血壓藥的病患，血壓下降，另一組則無。

雖然實驗性研究優於調查性研究，但因實際情況往往違反醫療道德，所以實驗性研究不易進行，或是病人正進行某項治療，若加入研究則會中斷原來的治療，或是行政作業的問題，都會使實驗性研究結果受到影響。

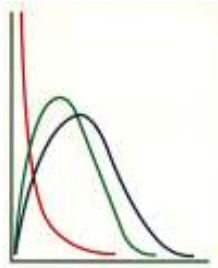
在調查研究可分為回溯性和前瞻性兩類。



1-4 資料來源(續) (p.6)

回溯性研究 (**restrospective study**)

回溯性研究 (**restrospective study**) 常用在病例對照研究(case-control study)，對病例組和對照組的過去資料進行分析，若有差異，便可能是危險因子。在研究裡，需將研究對象分組，病例組為罹患某種疾病或是暴露在某種狀況，對照組則沒有此疾病或沒有暴露。舉例說明，針對抽菸習慣的孕婦研究，研究人員發現有抽菸習慣的孕婦生早產兒高於沒有抽菸習慣的孕婦，比較兩組的刺激變項(**stimulus variable**)，或危險因子（如抽菸），和結果變項 (**outcome variable**，如早產) 的差異。回溯性研究的缺點，是資料屬回溯性，這些資料可能是因為其他目的所蒐集的，可能不完整。而研究的成敗在於有沒有加入某個重要變項來比較，如果判斷錯誤



1-4 資料來源(續) (p.7)

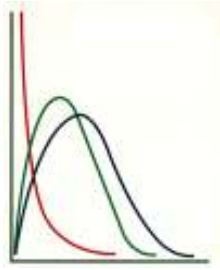
回溯性研究 (restrospective study) (續)

便會影響研究結果。因為回溯性研究是回溯以前的資料或仰賴記憶來提供資料，資料的合適性和正確性無法有效控制，不容易察覺偏差。

回溯性研究優點是研究罕見疾病時，較經濟和實際，因為病例組容易區分出來，所以也能快速地得到研究中想得到的答案。

表 1.1 2×2 表

刺激變項	結果變項		合計
	有病者	沒病者	
有	a	b	$a + b$
無	c	d	$c + d$
合計	$a + c$	$b + d$	

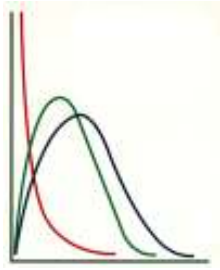


1-4 資料來源(續) (p.7)

回溯性研究 (restrospective study) (續)

在回溯性研究中，訂出刺激變項，所以結果和刺激變項是同時蒐集。前瞻性研究則是事先已知刺激變項，需要經過一段時間才能得到結果。表 1.1 為 2×2 表適用於回溯性和前瞻性研究，其中包括了 4 個數字 a、b、c 和 d：

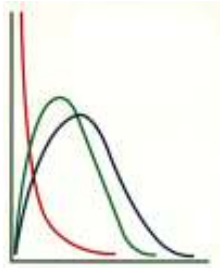
- a 為有刺激變項，有病的人數
- b 為有刺激變項，沒有病的人數
- c 為沒有刺激變項，有病的人數
- d 為沒有刺激變項，沒有病的人數



1-4 資料來源(續) (p.7)

前瞻性研究 (prospective study)

前瞻性研究 (prospective study) 通常是世代研究，蒐集一群健康的人為研究對象，觀察一段時間並記錄，進而得知罹患某種疾病的狀況。通常將研究對象分為有刺激變項和沒有刺激變項兩組（如抽菸習慣），對於某個疾病（如肺癌）所做的研究。前瞻性研究是比較有抽菸習慣得肺癌的比率和沒有抽菸習慣得肺癌的比率。

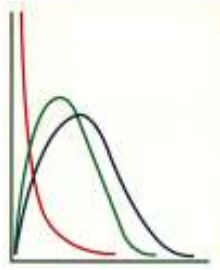


1-4 資料來源 (p.8)

前瞻性研究 (prospective study) (續)

前瞻性研究的優點可以精確地推估某疾病在母體的發生率，研究進行中盡可能蒐集相關變項，如年齡、性別和職業，蒐集所有可能會影響結果的變項。蒐集資料有一定的標準程序：在蒐集資料同時，掌控和控制研究偏差，稱為系統性誤差 (systematic error)。缺點是研究低發生率的疾病時，花費的時間和經費是很龐大。

舉個前瞻性研究很好的例子，研究婦女服用口服避孕藥對於健康的長期影響。研究時若未將正確的危險因子考慮進去，則前瞻性研究就無法證明危險因子（如抽菸習慣）和結果之間的關聯性。前瞻性研究提供了一個最好的方法探討因果關係，得到一個科學性的結果。MacMahon and Pugh (1970:22)曾提出利用研究結果推導因果關係時，必須謹慎處理偏差的問題，儘管研究中出現不可實行的阻力或涉及醫療道德問題，都盡量小心處理資料。



1-4 資料來源(續) (p.8)

比例之比較

在每一個研究中，不同的比例可以幫助瞭解事實。對回溯性研究中，可以比較以下的比例（參考表 1.1），

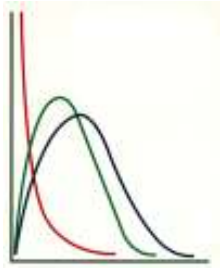
$$\frac{a}{a+c} \text{ 及 } \frac{b}{b+d}$$

藉由這兩個比例，可以瞭解早產兒母親的抽菸比例是否高於足月出生嬰兒母親的抽菸比例？

對於前瞻性研究，可以比較

$$\frac{a}{a+b} \text{ 及 } \frac{c}{c+d}$$

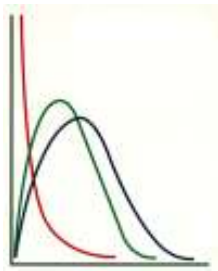
藉由這兩個比例說明抽菸的孕婦生早產兒機率是否高於不抽菸的孕婦？



1-4 資料來源(續) (p.8-9)

描述性和分析性調查 (**descriptive and analytical survey**)

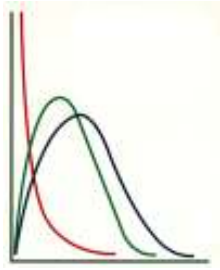
回溯性研究通常是分析性，即分析刺激因子與結果變項的關係。（如對於過去 12 個月所做的身體檢查記錄資料）。前瞻性研究可以是描述性或是分析性，瞭解疾病出現的比例，分析變項和影響因子的關聯性。



1-5 臨床試驗 (p.9)

臨床試驗 (**clinical trial**) 是一個嚴謹的實驗設計，在控制病人治療的狀況下，評估新藥物或新治療效果的研究。臨床試驗是現今廣泛使用在新藥上市前所必須進行的研究，如癌症的化學治療藥物，治療肺結核的鏈黴素。其他如評估小兒麻痺疫苗，多數性硬化症的生化藥物，控制糖尿病的口服降血糖劑，和上百種癌症的化學治療新藥物。

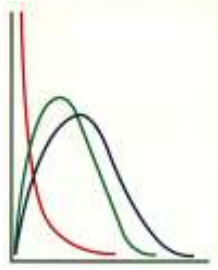
簡單來說，臨床試驗是用來比較兩組或多組的相同疾病患者經不同治療後的效果。如治療組 (**treatment group**) 接受新治藥治療，和對照組 (**control group**) 接受安慰劑或標準藥物治療。重要的是這兩組患者必須是可以比較的，必須是隨機分派 (**random allocation**)，即每一個人被分派到治療組或對照組的機會是相同的。



1-5 臨床試驗(續) (p.9)

研究者不僅要訂定兩個比較組，也要降低進行試驗時可能出現的偏差。其中一種方式是單盲研究（**single-blind study**），即病人不知道自己是治療組或是對照組。另一較好的雙盲研究（**double-blind study**），病人和執行實驗者均不知道病人屬於何組，直到試驗結束將資料匯集後，由病人的代碼才知道屬於何組，許多臨床試驗失敗的原因是沒有充分地好好控制研究偏差，關於偏差將會在第 17 章中討論。

臨床試驗要求合適的對照組，它必須是和治療組同時被選出的，是同一時間且來自相同的母體，對照組的人數是治療組的二倍。某些研究者試著改變這個規則，利用歷史性對照（**historical control**），它是在研究完成後才選擇對照組的病人。歷史性對照組會出現一個問題，母體的人群隨著時間一直變動，等研究完成才選擇對照組，顯然和當初選擇治療組時的母體不同，也就會造成選樣的偏差。志願者也可以被當做對照組，但是他們是自願參加試驗的人，並不是一般典型的人群，因此對照組是否能與實



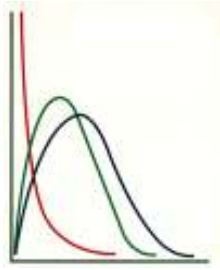
1-5 臨床試驗(續) (p.10)

驗組比較常受到質疑，結果的推論也有限制。也有研究是從醫院的病人中挑出對照組，這個方法面臨的問題是，對照組是某種疾病的病人，也可能會影響結果的正確性。因為臨床試驗是對人的一種試驗，也會面臨醫療道德問題，對照組的治療因試驗的設計而抑制應得到的治療效果，是否合乎醫療道德？這方面進一步的討論，請見 Hill (1963) 和 Calton (1974)。準備臨床試驗的逐步步驟請見 Kuzma (1970)。

臨床試驗自第二次世界大戰開始發展，至今仍被用來評估藥物有效或無效。臨床試驗普遍用在藥物上市前，可以避免激烈和危險的治療方式（如放血和用瀉藥清洗腸胃等）。

綜觀而言，臨床試驗的規則如下：

1. 同時治療和監控每一組病人
2. 兩組病人為隨機分派
3. 在可行的狀況下，進行雙盲研究

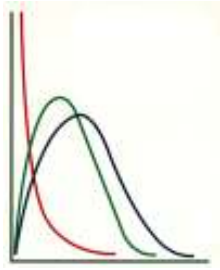


1-5 臨床試驗(續) (p.10)

實例：沙克疫苗臨床試驗（**the Salk vaccine clinical trial**）

1954 年沙克小兒麻痺症疫苗是一個很好的臨床試驗例子，也解決了一個重要的公共衛生問題。當時毫無預警地爆發小兒麻痺症，導致身體的癱瘓和死亡人數急遽的增加，引起所有父母和小孩的關注。沙克博士 (Dr. Jonas Salk) 在實驗室中培養小兒麻痺抗體疫苗，並證實安全且有效。但此疫苗是否有效地抵抗小兒麻痺？

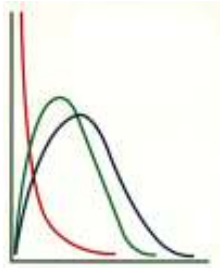
爲了回答這個問題，於是進行臨床試驗。統計學家建議至少讓 40 萬名小孩加入此試驗，20 萬人爲治療組，另 20 萬人爲對照組，如此充足的樣本數可以幫助獲得正確的結果。此試驗使用如此大的樣本，是因爲當時小兒麻痺發生率高達每十萬名幼童有 35 人。這 40 萬人隨機地分派至治療組（接受沙克疫苗）和對照組（接受安慰劑，注射生理食鹽水）。小心起見，進行雙盲研究，幼童和醫療人員都不知道誰接受疫苗治療，誰接受安慰劑，甚至檢查幼童是否得小兒麻痺的醫生也不知道幼童是屬何組。



1-5 臨床試驗(續) (p.11)

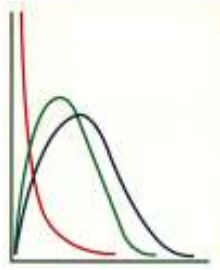
在這個研究中，隨機分派是很重要的，兩組幼童才能進行比較。如果當初沒有執行隨機分派，來自治療組的高社經地位的幼童會造成試驗的偏差。因為這些幼童的父母較會注意小兒麻痺的問題，會使這些幼童參與率提高，他們所接觸的環境較低社經地位的幼童衛生，導致他們對小兒麻痺的免疫力較低。

結果得知，治療組和對照組每十萬人發生率分別為 28 和 71，顯示沙克疫苗的確有效抵抗小兒麻痺，這個臨床試驗（史上最大樣本數之一的試驗）及其研究經費（5 百萬美金）都是值得的。



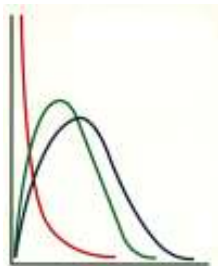
1-5 臨床試驗(續) (p.11)

某些人可能會考慮到另一半人並沒有得到應有治療的醫療道德問題。無論如何，在此試驗之前，並沒有任何證據證實沙克疫苗是有效的，而且如果沒有對照組的比較，就無法進行嚴謹的科學性試驗來提供決策性的答案，因此臨床試驗必須進行。這個結果是可信的，提供公共衛生的決策者有力的證據，實際著手進行撲滅小兒麻痺的行動。他們當初的努力是非常成功的，在 1952 年時小兒麻痺約有 6 萬名，到今天卻很少見了（Thomas, 1955）。



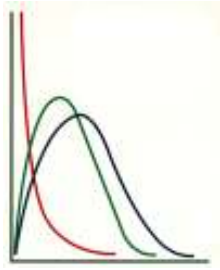
1-6 調查計畫 (p.11)

在上述討論中，提到一些醫藥上的調查和數據，在進行調查前清楚詳列計畫是必要的，計畫的大綱應包括應計畫進行中應遵循的步驟，詳見第17章。



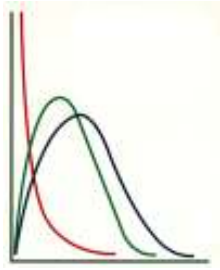
1-7 如何成功地研習統計 (p.11-12)

學統計好比學習一種外國語言，因為需要學習許多新的統計用語和概念。若要成功學習則要做到，上課前瀏覽整章大綱，讀結論和字彙表及預習整章的重點，課後儘快研讀書中所提及的用語、概念、規則和公式；做完規定的習題後，試著自己出題目並回答。重點式的問題與回答的練習，可以幫助你在考試前做複習，如果你不確定重點時，則需要回頭重讀該章節或再做些習題。儘可能多做習題演練，這是學習統計最好方法之一，如果仍然有不清楚的地方，則可以在課堂上或實驗課提出問題。



1-7 如何成功地研習統計(續) (p.12)

此外，閱讀不同的領域相關文章也是有幫助的。推薦一本不錯的書
“*Statistics: A Guide to the Unknown*”，作者 Judy M. Tanur et al. (1978)。
習題中有許多需要運算的式子，計算機則是非常有幫助的；最後，要記住
想要成功地學習統計，是不容許進度上落後。



1-7 如何成功地研習統計(續) (p.12)

總 結

統計學家設計有效率的和公正的研究，提供分析，解釋，和顯示資料結果，幫助下決策。統計學家藉由統計方法來完成研究。學習統計方法和如何將它與日常生活聯結一起，尤其是學習如何從樣本的資料推論母體。不僅學習科學方法，也要學習如何選擇一個適合該研究目的的研究方法。