

## “Gamberges” : pour chatouiller les méninges et se raccrocher à des branches solides

Soigner, prévenir, conseiller, c’est intégrer en permanence les incertitudes et les probabilités, les possibilités et les impossibilités.

C’est un art difficile. Il s’agit d’avoir en permanence un pied sur la petite pointe émergée de l’iceberg des connaissances solides, plongé dans un océan d’approximations, d’hypothèses, de rumeurs. Et se débrouiller au mieux, avec l’autre pied, les deux mains et le sourire, pour répondre aux demandes. Encore faut-il garder l’esprit agile, ouvert aux remises en cause, et prompt à la réflexion.

**Menu gourmand.** Depuis 2008, chaque mois, *Prescrire* met à disposition de ses abonnés dans la rubrique “Gamberges”, des “Remue-méninges” et des “Grains de sel”, pour stimuler la réflexion et inciter à revoir, de manière ludique, quelques concepts utiles aux décisions, ou plus simplement donner l’occasion à l’esprit de s’évader de la routine. Depuis le mois d’avril 2011, quelques “Balises” ont été ajoutées au menu de “Gamberges”.

**“Remue-méninges” : une petite histoire et une question.** Chaque “remue-méninges” est un exercice fondé sur une petite histoire imaginée par la Rédaction, proche d’une situation de soin courante, ou totalement loufoque. Mais toujours accompagnée d’une question qui dépasse l’anecdote, pour remuer les méninges.

**“Grains de sel”.** Les “grains de sel” sont des jeux d’esprit fondés sur la lecture de petits textes hétéroclites, sans exercice à la clé, et sans autre prétention que de chatouiller autrement les méninges.

**“Balises” : pour se raccrocher à des branches solides.** Les “balises” sont des textes qui rappellent des fondamentaux de *Prescrire*. Ces textes mettent en valeur quelques principes pour bâtir les décisions de soins sur des fondations solides. Des points de repères utiles pour faire face aux incertitudes en se raccrochant à des branches solides.

©Prescrire

## Balises Évaluer les bénéfices d’un traitement : d’abord les critères cliniques utiles aux patients

Est-ce que je vais moins souffrir ou être moins handicapé(e) ou moins gêné(e) par la maladie avec ce traitement ? Est-ce que je vais guérir avec ce traitement ? Est-ce que ce traitement va réduire substantiellement mon risque d’avoir telle ou telle maladie ?

Répondre à ces questions élémentaires, que formulent plus ou moins explicitement les patients, est une des tâches des professionnels de santé.

Les bases de ces réponses sont à tirer des données d’évaluation du traitement. Pour analyser ces données, qu’il s’agisse d’un traitement curatif ou préventif, médicamenteux ou non, la première étape est de définir les objectifs du point de vue des patients (1).

Sur quels critères juger alors l’efficacité thérapeutique d’un traitement ?

**Critères cliniques utiles aux patients.** D’une manière générale, la mortalité, la souffrance, le handicap, la gêne fonctionnelle ou la qualité de vie sont des critères utiles aux patients (1). Un critère utile est le plus souvent un critère clinique, généralement perceptible par le patient lui-même.

Pour bien choisir les critères d’évaluation d’un traitement, il est nécessaire de connaître l’évolution naturelle de la maladie.

Par exemple, pour évaluer un traitement après un infarctus du myocarde, souvent mortel, la mortalité est un critère manifestement utile au patient. Après pose d’un “stent” coronaire, mieux vaut chercher à évaluer le risque d’infarctus du myocarde ou la mortalité plutôt que l’incidence de nouvelles sténoses détectées par angiographie.

Par contre, la mortalité n’est sûrement pas le critère d’évaluation d’efficacité le plus utile pour des patients ayant de l’arthrose, alors que la douleur, la mobilité articulaire ou la qualité de vie le sont manifestement.

**Prudence avec les critères intermédiaires.** Des critères intermédiaires sont souvent utilisés dans les essais cliniques, car il est plus facile et plus rapide de montrer par exemple qu’un médicament baisse la pression artérielle ou la cholestérolémie que d’attendre une éventuelle diminution du nombre d’accidents cardiovasculaires.

Pour la firme qui tire ses revenus du médicament, c’est un moyen de retour sur investissement plus rapide. Et pour les soignants, il est bien plus facile de mesurer l’effet d’un traitement sur un critère intermédiaire, effet mesurable dans un court intervalle de temps.

Mais c’est beaucoup plus discutable pour les patients, puisqu’un traitement efficace sur un critère intermédiaire est parfois inefficace, voire délétère, sur des critères qui importent pour les patients (2,3).

Ainsi, ce qui est utile aux patients hypertendus, c’est de prévenir l’accident vasculaire cérébral (AVC), l’infarctus du myocarde, etc. La mesure isolée de la pression artérielle dans un essai ne permet pas de répondre au patient sur les bénéfices cardiovasculaires du traitement testé. Par exemple, la *doxazosine*, un alphabloquant, et l’*hydrochlorothiazide*, un diurétique thiazidique, abaissent tous deux la pression artérielle. Mais l’*hydrochlorothiazide* est beaucoup plus efficace en termes de prévention des compli- [suite page 406] ►►

## Grains de sel

### Norme

« Il n'y avait pas d'anormaux quand l'homosexualité était la norme. »

Marcel Proust

### Variabilité

« (...) Mes rhododendrons fleurissant mal, j'avais fait venir un spécialiste :

« Vos rhododendrons manquent de terre de bruyère, fut son verdict.

Je rétorquai : — Vous m'étonnez.

Regardez ce roseum elegans, c'est celui qui fleurit le mieux, et je ne lui ai pas mis de terre de bruyère du tout.

Regard désolé de l'agronome :

— Voyons, Monsieur Schwartz, vous qui êtes statisticien, vous raisonnez sur un cas ? »

Tout en rougissant d'être tombé dans le piège contre lequel j'ai mis en garde des milliers d'élèves, je notai que le spécialiste griffonnait quelques remarques sur ses tablettes :

« Qu'écrivez-vous là ?

— Mais que le roseum elegans se passe de terre de bruyère.

— Eh là ! Vous raisonnez sur un cas ! »

En cinq minutes, il avait oublié la variabilité... » (1).

Daniel Schwartz

1- "La variabilité". In : Schwartz D "Le jeu de la science et du hasard" Flammarion, Paris 1994 : 5-10.

### Intérêt premier

« Dans la recherche médicale sur les sujets humains, les intérêts de la science et de la société ne doivent jamais prévaloir sur le bien-être du sujet. »

Extrait de la Déclaration d'Helsinki de l'Association médicale mondiale

Sur le site [formations.prescrire.org](http://formations.prescrire.org)

EXERCICES

Lectures critiques Prescrire

Remplacer les absents

L'exercice n° 41 des Lectures critiques Prescrire est présenté dans ce n° p. 477 et sur [formations.prescrire.org](http://formations.prescrire.org)

## Balises

Évaluer les bénéfices d'un traitement : d'abord les critères cliniques utiles aux patients

► [suite de la page 404] cations cardiovasculaires chez les patients hypertendus (4,5).

**Critères de substitution.** Dans certains cas cependant, force est d'utiliser des critères intermédiaires pour évaluer un traitement.

Par exemple, compte tenu de la gravité du sida en l'absence de traitement, la mesure de la charge virale et le taux de lymphocytes T CD4+ sont des critères intermédiaires qui se sont avérés satisfaisants pour évaluer l'efficacité des médicaments antirétroviraux car ils sont bien corrélés à l'évolution du sida, c'est-à-dire aux risques de maladies opportunistes ou de décès (6,7).

Ainsi, certains critères intermédiaires sont des critères d'évaluation des bénéfices d'une intervention, utiles aux patients ; on les appelle des critères de substitution.

**La balance bénéfices-risques a deux plateaux.** Cependant, un critère de substitution bien choisi pour sa bonne corrélation avec l'évolution de la maladie ne suffit pas.

Un tel critère risque fort de méconnaître les effets du traitement dans d'autres domaines que celui de la maladie traitée.

Ainsi, une autorisation de mise sur le marché avait été accordée pour le clofibrate, un fibraté, sur la foi de l'effet constaté en termes de baisse du taux sanguin de cholestérol. Ce n'est qu'après sa commercialisation qu'a été mise en évidence une augmentation de la mortalité dans les groupes de patients prenant ce médicament, du fait d'un excès de cancers (8,9).

**En conclusion.** Pour bien cerner les bénéfices d'une intervention préventive ou curative, mieux vaut donner la priorité aux critères cliniques utiles aux patients. Cependant, la décision thérapeutique doit aussi prendre en compte les risques et les options thérapeutiques, en comparant les balances bénéfices-risques. Pour cela, il est nécessaire d'évaluer les risques d'une intervention.

©Prescrire

Tiré de : Rev Prescrire 2008 ; 28 (291) : 69.

1- Prescrire Rédaction "Critères cliniques" Rev Prescrire 1989 ; 9 (84) : 150.

2- Prescrire Rédaction "Critères intermédiaires", "critères de substitution". À ne pas confondre avec "critères cliniques" Rev Prescrire 1989 ; 9 (85) : 200.

3- Greenhalgh T "Les articles qui décrivent des essais thérapeutiques". In : Greenhalgh T "Savoir lire un article médical pour décider" Rand, Meudon 2000 : 79-87.

4- Prescrire Rédaction "Hypertension artérielle : diurétique en première ligne. Confirmation par un grand essai" Rev Prescrire 2003 ; 23 (238) : 299-301.

5- Prescrire Rédaction "HTA : l'essai ASCOT-BPLA ne change pas la stratégie thérapeutique" Rev Prescrire 2006 ; 26 (270) : 205-206.

6- Prescrire Rédaction "Les lymphocytes T CD4+ dans l'infection HIV" Rev Prescrire 1993 ; 13 (132) : 467-469.

7- Prescrire Rédaction "Antirétroviraux : de nouveaux critères européens d'AMM" Rev Prescrire 1998 ; 18 (181) : 117.

8- Prescrire Rédaction "Médicaments hypocholestérolémiants. Une efficacité démontrée pour certaines substances, mais un intérêt différent en prévention primaire ou secondaire" Rev Prescrire 1999 ; 19 (194) : 282-288.

9- Prescrire Rédaction "Hyperlipidémies. Quelle place pour les fibrates en prévention cardiovasculaire ?" Rev Prescrire 2001 ; 21 (219) : 555-556.

