

L'*Evidence-Based Medicine* (EBM) est présentée par ses promoteurs comme un changement de paradigme selon le sens qui a été donné à ce mot par T. Khun [1]. Ce concept est apparu en 1992 dans un article du *JAMA* [2]. Les auteurs proposaient la formalisation d'un nouveau mode d'enseignement de la médecine reléguant au second plan « la bonne pratique » fondée sur l'acquisition d'un savoir basé sur l'expérience clinique non systématisée et la rationalité physiopathologique au profit de « l'évidence venue de la recherche clinique ». Nous avons préféré dans ce texte garder le terme anglais *Evidence-Based Medicine* utilisé dans la littérature anglo-saxonne. Aucune de ses traductions françaises (médecine basée sur les faits, médecine factuelle, médecine basée sur les preuves, médecine basée sur le niveau de preuve...) ne nous donne satisfaction. Nous y reviendrons plus loin.

S. Taïeb

Département
d'imagerie
Centre Oscar Lambret
Lille

P. Vennin

Département
de sénologie

P. Carpentier

Unité de médecine
nucléaire

Mots clés :

Evidence-Based
Medicine,
préférence, décision
médicale

Première partie : décider, sur quelle « evidence » ?

La question du choix du patient face aux alternatives thérapeutiques se situe clairement dans le domaine de la « décision médicale ». Qui va décider ? D'après quelle logique ? Sur quels arguments ? Sauf s'il prend plusieurs avis, le patient ne se préoccupe pas lui-même des choix thérapeutiques. Le choix du patient, c'est avant tout le choix du médecin. Bien sûr, le patient peut choisir les médecins qui le prendront en charge, l'institution, le « circuit ». Mais le patient n'a pas choisi sa maladie et il ne choisit pas non plus l'attitude de son médecin confronté aux incertitudes de sa pratique.

C'est du fait du médecin que le patient sera ou non confronté à une alternative thérapeutique. Mais ce qui détermine l'attitude du médecin est peut-être plus lié à l'habitude qu'à une volonté consciente et réfléchie. Le dilemme est en tout cas ancien. Il y a d'un côté le désir du médecin de protéger le patient d'informations jugées insoutenables et de choix « impossibles », de l'autre le désir légitime du patient d'obtenir des informations précises et de participer éventuellement à des décisions qui le concernent personnellement.

Ces difficultés non spécifiques sont particulièrement aiguës dans le domaine de la cancérologie des tumeurs solides de l'adulte. Les traitements sont souvent irréversibles, lourds de conséquences et de contraintes par rapport à des bénéfices réels mais limités.

Médecine commence dans ce numéro la publication d'une série d'articles sur les changements de pratiques que nous imposent à la fois les données

conceptuelles de l'*Evidence-Based Medicine* (EBM) et les changements plus diffus mais tout aussi importants quant au partage de l'information avec le patient, maintenant encadré par différentes lois sur les droits des malades. Cinq articles seront consacrés à cette évolution majeure des systèmes de soins :

- 1) Décider : sur quelle « évidence » ?
- 2) EBM et pratiques médicales.
- 3) Le choix du patient (1^{re} partie) : avec quelles données ?
- 4) Le choix du patient (2^e partie) : pour quelle décision ?
- 5) EBM : la valeur de l'incertitude.

La prise de décision médicale selon l'EBM

Selon l'ancien paradigme, la résolution d'un problème clinique et la prise de décision afférente sont basées sur la propre expérience des cliniciens, leurs connaissances biologiques, la consultation d'un document de référence ou d'un expert. Pour D. Sackett *et al.*, le changement de paradigme est lié à et imposé par l'apparition dans les années 60 de l'essai randomisé, puis de la méta-analyse [2].

En pratique :

1) L'expérience clinique, part cruciale de la compétence médicale, doit se baser sur une analyse

systematique des observations cliniques, de manière reproductible et non biaisée, en évitant toute interprétation intuitive de l'information. Ainsi, la confiance que l'on peut accorder aux estimations du pronostic, des tests diagnostiques et du traitement a une plus grande valeur. L'étude et la compréhension des mécanismes intimes des maladies sont nécessaires, mais insuffisantes, pour guider la pratique. La rationalité issue de principes physiopathologiques peut se révéler incorrecte. Cependant, de nombreux aspects de la pratique médicale ne peuvent pas ou ne seront jamais testés rigoureusement.

2) Le clinicien doit donc consulter régulièrement la littérature originale pour résoudre ses problèmes cliniques et offrir une prise en charge optimale. La compréhension des règles méthodologiques permettant l'évaluation des niveaux de preuves (encadré 1) est indispensable pour interpréter correctement la littérature sur la causalité, le pronostic, les tests diagnostiques et la stratégie thérapeutique. Il faut savoir retrouver et sélectionner les articles importants. L'ampleur de la tâche n'est clairement pas à la portée du médecin praticien : avec 10 000 périodiques médicaux, 2 millions d'articles biomédicaux par an, il faudrait lire 17 articles par jour, 365 jours par an [3]. La collaboration Cochrane édite des bases de données spécifiques (*the Cochrane library*). Ces périodiques sélectionnent et résument les informations essentielles pour la pratique clinique (encadré 2).

3) Dans cette optique de l'EBM, les deux premières données ne sont en aucun cas suffisantes pour permettre une prise de décision. La discussion sur les préférences du patient fait partie intégrante du processus.

Il s'agissait-là d'une réflexion sur la formalisation de la décision médicale engagée par des cliniciens thérapeutes dont le but premier était de faire évoluer l'apprentissage de la médecine. Un modèle visuel assez simple et pragmatique la résume (figure 1). Il concrétise bien la symbiose entre l'expérience du médecin, les données de la recherche, et les préférences du patient. Dans cette tentative de rationalisation de l'acte médical, le patient est présumé autonome et capable de prendre les décisions le concernant.

Les critiques

En France, dès 1996, dans un ouvrage rédigé sous la direction de P. Even et B. Guiraud-Chaumeil [4], les réserves concernant l'EBM s'exprimaient ainsi : « *Au nom de ce que la médecine est un art autant qu'une science, les principes même de l'Evidence-Based Medicine, présentée comme un paradigme dominant, sont énergiquement combattus* ». Les auteurs reprochaient à l'EBM « *la prétendue supériorité d'une connaissance factuelle, statistique, impersonnelle et soi-disant objective sur les connaissances acquises* » et lui préféraient « *pour répondre à des situations cliniques différentes : l'intuition, l'expérience individuelle, les rationnels physiopathologiques et la qualité du raisonnement clinique* ».

Naylor [5] rappelait l'existence de *grey zones*, c'est-à-dire les très nombreux domaines de l'activité clinique pour lesquels les études et les données scientifiques n'existent pas ou ne

Encadré 1.

Les 4 niveaux de preuves de l'EBM

- Niveau A : grands essais randomisés, effectifs suffisants, résultats indiscutables.
- Niveau B : essais contrôlés, non randomisés, petits effectifs, résultats discutables.
- Niveau C : essais ouverts, non randomisés, existence de biais méthodologiques.
- Niveau D : études rétrospectives, études cas-témoin.

Encadré 2.

L'approche EBM du problème clinique vue côté médecin

- Formuler clairement le problème à résoudre pour un patient donné.
- Réaliser une revue des données à la littérature.
- Apprécier la validité et l'applicabilité des conclusions pratiques des articles.
- En déduire la conduite à tenir pour une prise en charge personnalisée de chaque patient.
 - Évaluer les conséquences afin d'améliorer son expérience clinique.

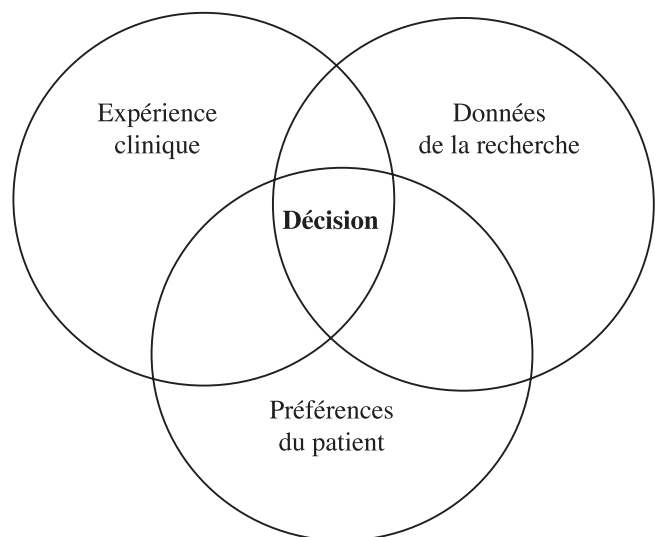


Figure 1. Modèle de l'Evidence-Based Medicine

sont pas représentatives des patients auxquels elles prétendent s'appliquer.

De plus, les problèmes à résoudre en médecine sont généralement complexes, souvent inscrits dans un cadre polypathologique où se mêlent les dimensions sanitaires, sociales et familiales.

Enfin, Maynard en 1999 [6] expliquait, en opposant l'éthique individuelle de l'EBM à la nécessaire réflexion sur la répartition des ressources, en quoi l'EBM était insuffisante pour

rationaliser la décision médicale. L'illustration était la suivante : si un traitement A vaut 1 000 francs et permet un gain de 5 ans en survie (de bonne qualité), il en coûte à la collectivité 200 francs par année de vie gagnée. Pour cette même pathologie, un traitement B, coût 7 000 francs, permet un gain de survie de 10 ans soit 700 francs par années de vie gagnée. L'EBM choisira le traitement B. Or, au plan économique, le traitement A présente un rapport coût/efficacité supérieur.

Nous reviendrons dans l'article suivant sur ce que Sackett lui-même, l'un des « pères fondateurs » de l'EBM, répondait en 1996 à ces objections en redéfinissant l'EBM comme l'utilisation consciencieuse, explicite et judicieuse de la meilleure « évidence » du moment, pour une prise en charge personnalisée de chaque patient.

Références :

1. La structure des révolutions scientifiques. T. Kuhn. Paris : Champs-Flammarion, 1983.
2. Evidence based-medicine group. Evidence-based medicine. A new approach to teaching the practice of medicine. JAMA. 1992;268:2420-5.
3. Davidoff F, Haynes RB, Sackett DL, Smith R. Evidence-based medicine. Br Med J. 1995;310:1085-6.
4. Guiraud-Chaumeil B, Even Ph. Confrontation avec le système de santé américain. In : Les hôpitaux universitaires de l'an 2000. Paris : Prévot edit., 1996 : 239.
5. Naylor CD. Grey zones of clinical practice: some limits to evidence-based medicine. Lancet. 1995;345:840-2.
6. Maynard A. Evidence-based medicine: an incomplete method for informing treatment choices. Lancet. 1999;349:126-8.

En pratique : décider, sur quelle « évidence » ?

- ▶ L'expérience clinique doit être basée sur l'analyse systématique des observations cliniques, de manière reproductible et non biaisée, en évitant toute interprétation intuitive de l'information.
- ▶ La compréhension des règles méthodologiques permettant l'évaluation des niveaux de preuves est indispensable pour interpréter correctement la littérature sur la causalité, le pronostic, les tests diagnostiques et la stratégie thérapeutique.
- ▶ Ces deux premières données ne sont en aucun cas suffisantes pour permettre une prise de décision. La discussion sur les préférences du patient fait partie intégrante du processus.

EBM et choix du patient

En 1996, Sackett précisait, en réponse aux critiques adressées à l'EBM, que celle-ci est l'utilisation consciencieuse, explicite et judicieuse de la meilleure « évidence » du moment, pour une prise en charge personnalisée de chaque patient [1, 2]. Durieux en 1998 insistait sur le rôle de l'EBM comme aide à la décision et la nécessité d'en connaître les limites si ce concept était utilisé dans un but de contrôle des coûts de la santé [3]. Les risques de dévoiement de l'idée initiale des promoteurs sont liés à la survalorisation de l'apport de la méthodologie des statistiques et à la prééminence de la recommandation, poussée par les difficultés économiques du secteur santé, sur le libre arbitre du praticien. Cela explique, d'une part, les réticences de ceux qui ne voient dans l'EBM qu'un moyen de rationnement des soins basés sur la preuve avec le risque de retard dans l'application de nouveaux traitements en l'absence de preuves, d'autre part le risque d'une application instrumentale du concept comme « outil à produire du standard et à réguler les coûts » en oubliant la nature probabiliste du savoir médical et la discussion sur les préférences des patients avant la prise de décision.

Deuxième partie : EBM et pratiques médicales

Un préalable majeur : la connaissance de la méthodologie statistique

Le test statistique qui peut aider le médecin à estimer l'intérêt d'un traitement ou d'un examen diagnostique ne saurait tenir lieu ni de démonstration, ni de preuve. Il s'agit d'une approche purement « probabiliste ». Les méthodes statistiques dont nous nous servons sont fondées sur une confrontation entre les faits tels qu'ils sont observés et une réalité qui est hors d'atteinte. Les valeurs de sensibilité et de spécificité présentent dans toutes les études évaluant les tests diagnostiques ne concernent que la population étudiée et la prévalence de la pathologie dans cette population. L'extrapolation à une population générale reste difficile. Un essai randomisé qui évalue un pronostic, la valeur d'un traitement ou la valeur d'un test diagnostique n'apporte pas de certitude. Il apporte des éléments à deux niveaux différents : au niveau du groupe, il ne peut pas conclure : *ce traitement est bénéfique*, mais : *ce traitement a tel effet thérapeutique et tel effet secondaire indésirable dans tel pourcentage de cas (situé dans tel intervalle de confiance) et dans cette population étudiée.*

Au niveau de l'individu on ne peut en déduire que ce traitement est bénéfique dans l'absolu, il peut ne pas l'être, on peut au mieux estimer une probabilité de bénéfice. De plus, il évalue une intervention médicale et non un patient particulier souvent porteur d'une polypathologie et qui, à ce titre, n'aurait jamais été inclus dans un essai clinique. Or, il s'agit bien de traiter *ce* patient particulier.

Les recommandations de pratique clinique (RPC)

Les RPC sont l'une des applications de l'EBM. Le risque serait de faire de la méthode statistique et de la méta-analyse un instrument de preuve indiscutable (pour toute situation ayant fait l'objet d'une étude rigoureuse) qui permettrait une standardisation des traitements (modalités, efficacité attendue, coûts), entraînant une application coercitive des RPC dans un but de contrôle des coûts de la santé. Or, des pans entiers de la pratique médicale n'ont pas fait (et ne feront pas) l'objet de telles études ; des faits prouvés peuvent se révéler inapplicables en pratique ; et si la littérature renseigne sur des faits positifs, elle n'informe quasiment jamais des résultats négatifs.

Sophie Taïeb

Département
d'imagerie
Centre Oscar Lambret,
Lille
s-taieb@o-lambret.fr

Philippe Vennin

Département
de sénologie

Philippe Carpentier

Unité de médecine
nucléaire

Mots clés : EMB,
recommandation

Il s'agit, en fait, d'une confusion entre l'objectif (une pratique médicale basée sur des faits prouvés) et la méthode (l'essai contrôlé). Un éditorial de la revue *Prescrire* en février 1999 disait : « Afin d'étayer leurs décisions quotidiennes, les professionnels de santé ont besoin de recommandations claires, synthétiques, adaptées à leur pratique. » Nous sommes complètement d'accord sur le fond, le médecin a besoin de recommandations claires et synthétiques, ces synthèses sont nécessaires. La pratique montre qu'elles ne sont en aucun cas suffisantes. D'un point de vue pragmatique, la diffusion de règles, de standards, de guides de bonne pratique, si elle est une aide à la prise en charge du patient, ne saurait suffire.

Standards et recommandations

La décision médicale repose sur l'addition de faits et de préférences [4-6]. Définir une pratique dépend d'un côté de ce que nous savons des conséquences du traitement (les faits) et de l'autre des préférences (valeurs) des individus par rapport au traitement. Deux mots sont importants : *incertitude* et *variabilité*, ils permettent de définir le degré de *flexibilité*. En effet, la flexibilité d'une règle dépend de la connaissance que nous avons des conséquences et des préférences d'une attitude thérapeutique. Lorsque les conséquences (positives et négatives) sont connues et que les préférences (des patients) sont connues et unanimes, il n'y a aucune difficulté, le traitement est un standard. D'un côté, on sait exactement ce que l'on fait, et de l'autre, tous les patients dans la même situation choisissent la même chose. Le standard d'Eddy est une règle quasiment inflexible à laquelle il est difficile de déroger, mais évidemment, il y a peu de standards. Dans les cas où les conséquences importantes du traitement sont connues et les préférences connues, majoritaires mais non unanimes, la



pratique est une recommandation. Les autres situations sont des options. Si les conséquences du traitement ne sont pas connues, les décisions sont de toute façon arbitraires, on ne peut pas expliquer au patient le pour et le contre, juste lui expliquer que l'on ne sait pas. Dans le cas où les préférences sont indifférentes, il n'est pas besoin d'expliquer, cela n'a pas d'importance. Si les conséquences sont connues, mais les préférences inconnues ou variables, il est indispensable d'expliquer au patient les conséquences des différentes options thérapeutiques pour tenir compte de ses préférences.

Cette définition du standard en médecine, tenant compte à la fois des données scientifiques et des préférences des patients, n'a jamais été réellement retenue comme telle. La FNCLCC, qui travaille depuis 1995 à l'édition de la collection « Standards, options, recommandations » touchant à différents pans de la cancérologie, donne comme définition pour un « standard » les « méthodes pour lesquelles les résultats sont connus et qui sont considérées comme bénéfiques, inappropriées ou nuisibles, à l'unanimité. Ils sont l'équivalent d'indications ou contre indications absolues ». Il s'agit bien sûr de l'unanimité des médecins...

Une lecture littérale de cette définition tendrait à faire admettre que dans une situation pathologique donnée, ne pas suivre le standard équivaut à une faute. Or la pratique quotidienne montre que dans nombre de cas il n'en est rien : il ne serait pas éthique pour un médecin de croire que son objectif est de suivre le standard en faisant abstraction du patient qui est devant lui [7]. Si un standard devient une obligation ou si une règle de bonne conduite est progressivement perçue comme un impératif, le médecin, en toute bonne foi, risque de croire que son objectif est désormais de respecter la règle et ainsi d'oublier le troisième cercle de l'EBM : le patient, comme s'il était réaliste de tirer des conclusions fortes à partir de la littérature sans tenir compte de l'avis des patients. La réflexion sur le rôle – récent – reconnu au patient dans la décision médicale fera l'objet des deux articles suivants.

Références :

1. Sackett DL, Rosenberg WM, Muir Gray JA, Haynes RB, Richardson WS. Evidence based medicine : what it is and what it isn't. *Br Med J*. 1996;312:71-2.
2. Taieb S, Vennin P, Carpentier P. EBM et choix du patient. Décider, mais sur quelle « évidence » ? *Médecine*. 2005;2:90-2.
3. Durieux P. « Evidence-based medicine ». Une médecine normalisée ou la promotion de l'esprit critique. *Presse med*. 1998;27:1900-4.
4. Eddy D. Anatomy of a Decision. *JAMA*. 1990;263:441-3.
5. Eddy D. Standards, Guidelines, and Options. Designing a Practice Policy. *JAMA*. 1990;263:3077-84.
6. Eddy D. Clinical decision making from theory to practice. Comparing benefits and harms: the balance sheet. *JAMA*. 1990;263:2493-505.
7. Vennin P, Taieb S, Carpentier P. À propos de standards : de la règle au patient. L'exemple du cancer du sein. *Bull Cancer*. 2001;88(2):221-2.

En résumé : EBM et pratiques médicales

- ▶ La méthodologie statistique utilisée pour estimer l'intérêt d'un traitement ou d'un examen diagnostique est la base d'une pratique fondée sur les preuves. Mais elle ne saurait tenir lieu ni de démonstration, ni de preuve.
- ▶ Le médecin a besoin de recommandations claires et synthétiques, ces synthèses sont nécessaires. La pratique montre qu'elles ne sont en aucun cas suffisantes.
- ▶ La décision médicale repose sur l'addition de faits (les conséquences des choix) et de préférences (les valeurs de l'individu par rapport à ces choix). Dans ce contexte, *incertitude* et *variabilité* permettent de définir le degré de *flexibilité* des choix envisagés.

La réflexion sur le rôle du patient dans la prise de décision médicale est récente et pose le problème d'un changement majeur de la pratique médicale. Ce changement repose sur deux éléments fondamentaux : l'information et la participation [1-4]. Ce troisième article est centré sur les conditions d'une bonne information du patient.

EBM et choix du patient (n° 3) : avec quelle information ?

Sophie Taïeb

Centre Oscar Lambret,
Département
d'imagerie, Lille
s-taieb@o-lambret.fr

Philippe Vennin

Département
de sénologie

Philippe Carpentier

Unité de médecine
nucléaire

Mots clés : EBM,
information
du patient, choix

Les modèles comportementaux médicaux

Avec E. Emanuel [5], écartons *a priori* le modèle « instrumental » selon lequel il n'est pas pensable d'imaginer qu'un patient puisse avoir besoin d'informations ou exprime des préférences puisque le médecin sait et décide seul ce qui est bon pour le patient et la société... Il faut alors distinguer plusieurs modes de comportements des médecins :

- Le modèle *paternaliste* présume qu'il existe des critères objectifs permettant de définir ce qui est le mieux pour le patient et que les préférences sont partagées entre médecin et patient. Il n'y a pas de problème de choix, puisque le patient pense comme le médecin : « *Docteur faites comme pour vous !* »
- À l'autre extrême, le modèle *informatif* présume que les faits et les préférences sont bien séparés. Le patient connaît ses valeurs, il est bien le seul, il ne lui manque que les faits pour choisir : au médecin de les lui fournir pour qu'il puisse déterminer tout seul ce qui est le mieux pour lui. Dans ces deux modèles, il n'y a pas de discussion entre le patient et le médecin.
- Dans le troisième modèle, *délibératif*, en plus de l'information et de l'élucidation des préférences, il y a discussion des valeurs entre médecin et patient pour l'aider à choisir, non des valeurs en général, mais des valeurs relatives à la santé. Par exemple, la participation à une étude clinique comporte un certain altruisme qui serait dans ce modèle encouragé par le médecin. Il paraît important d'évaluer son propre mode de fonctionnement qui n'est pas exclusif : il variera en fonction des patients, des situations cliniques, des alternatives thérapeutiques.

Information des patients : aspects légaux

La loi française est claire. Face au médecin qui se situe dans une obligation de moyens, le consentement du malade est indispensable pour conclure le contrat médical (article 1108 du Code civil). La jurisprudence exige un consentement « *libre, éclairé et conscient* ». Le consentement doit être éclairé par une « *information simple, approximative, intelligible et loyale* » (Cour de cassation, Chambre civile, 21/02/1961). Rappelons qu'en droit français tout individu adulte est présumé disposer de la plénitude de ses capacités intellectuelles et juridiques. L'article 34 du Code de déontologie précise : « *Le médecin doit à la personne qu'il examine, qu'il soigne ou qu'il conseille, une information loyale, claire, et appropriée sur son état, les investigations et les soins qu'il lui propose.* »

L'obligation d'information n'est pas nouvelle. Le changement récent tient au renversement de la charge de la preuve de l'information. Depuis l'arrêt Hédreul (25/2/1997), « *le médecin est tenu d'une obligation particulière d'information vis-à-vis de son patient et il lui incombe de prouver qu'il a exécuté cette obligation* ». La loi du 4 mars 2002 relative aux droits des patients renforce encore ce devoir d'information avec le droit au libre accès au dossier médical.

Le rapport de l'Anaes sur l'information des patients dissocie une conception défensive de l'information dans le but de se prémunir contre un procès, d'une conception positive dans le but de mettre le patient en situation de comprendre ce qui lui est proposé [6].

La mise en œuvre

Outre-Atlantique, les questionnaires ont depuis longtemps mis en évidence le besoin d'information des patients [1-3]. La demande du patient est cruciale : il paraît tout aussi anormal de ne pas apporter d'informations à un patient qui en demande que d'en apporter à un patient qui n'en demande pas.

En cancérologie, la plainte la plus fréquente des patients concerne l'insuffisance de communication et d'information. Les patients s'estiment peu ou mal informés [4]. Pourtant, à chaque stade de la maladie, la communication est perçue comme un élément important de la prise en charge [7]. Les médecins sous-estiment régulièrement les souhaits d'information des patients [1, 8]. Les études plus récentes confirment la demande générale d'information. Sowden en 2001 [9] montrait que 87 % de 2 000 patients atteints d'une lésion néoplasique souhaitaient obtenir toutes les informations concernant leur pathologie.

La question du type d'information et des modalités de sa délivrance se précisent. Le Plan cancer formalise une consultation d'annonce qui a pour but :

– d'informer le patient sur la maladie dont il est porteur, les différentes alternatives diagnostiques et thérapeutiques qui

lui sont proposées, les risques thérapeutiques que ces traitements comportent, les éléments du pronostic ;

- de permettre un dialogue autour de cette annonce, tout en respectant le poids de celle-ci et les émotions qu'elle peut susciter ;

- de permettre au patient, compte tenu des informations et des préconisations qui lui sont fournies, dont l'accès au dossier médical, de prendre les décisions concernant sa santé,

y compris avec un délai de réflexion et après consultation d'un deuxième avis s'il le souhaite ;

- d'expliquer le déroulement dans le temps des différents traitements.

Cette consultation intervient après le temps de concertation multidisciplinaire, qui apporte au patient la garantie que la stratégie qui va lui être proposée a été choisie entre plusieurs professionnels acteurs du diagnostic, voire du traitement.

Au-delà des aspects légaux et moraux qui font maintenant de l'information éclairée une fin en soi, le but du médecin qui informe son patient n'est pas de dire la Vérité et toute la Vérité, mais d'assu-

rer une information suffisante pour la discussion et la décision. L'information n'est que le moyen de permettre une participation active du patient à l'élaboration du plan de soins qui le concerne. Les différents aspects de cette participation feront l'objet de l'article suivant.



Références :

1. Strull WM, Lo B, Charles G. Do patients want to participate in medical decision making? JAMA. 1984;252:2990-4.
2. Sutherland HJ, Llewellyn-Thomas HA, Lockwood GA, Trichter DL, Till JE. Cancer patients: their desire for information and participation in treatment decisions. J Roy Soc Med. 1989;82:260-3.
3. Cassileth BR, Zupkis RV, Sutton-Smith K, March V. Information and participation preferences among cancer patients. Ann Int Med. 1980;92:832-6.
4. Veronesi U, Von Kleist S, Redmond K, et al. Caring about women and cancer (CAWAC): a european survey of the perspectives and experiences of women with female cancers. Eur J Cancer. 1999;35:1667-75.
5. Emanuel EJ, Emanuel LL. Four Models of the Physician-Patient Relationship. JAMA. 1992;267:2221-6.
6. Anaes. Information des patients – Recommandations destinées aux médecins. Service des recommandations professionnelles. Paris ; 2000.
7. Serin D, Pujol H, Schraub S, Chevalier H. Parcours de femmes. Opinion survey carried out among women treated for gynecologic and breast cancers and their medical teams. Bull Cancer. 1998;85:578-88.
8. Vennin P, Hecquet B, Marcuzzi I, Demaille MC. Cancer du sein : l'information en question(s). Enquête auprès des patientes et des médecins d'un Centre de lutte contre le cancer. Bull Cancer. 1995;82:698-704.
9. Sowden AJ, Forbes C, Entwistle V, Watt I. With people who have cancer: Informing, communicating and sharing decisions. Qual Health Care. 2001;10:193-6.

En résumé : choix du patient, avec quelle information ?

- ▶ Pour le médecin qui délivre l'information, il paraît important d'évaluer son propre mode de fonctionnement, au mieux de type « délibératif », qui variera en fonction des patients, des situations cliniques, des alternatives thérapeutiques.
- ▶ La jurisprudence exige un consentement « libre, éclairé et conscient ». Le consentement doit être éclairé par une « information simple, approximative, intelligible et loyale ».
- ▶ Au-delà des aspects légaux et moraux, le but est de permettre une participation active du patient à l'élaboration du plan de soins qui le concerne.

L'information du patient, dont l'article précédent (*Médecine*, n° 1, Janvier 2006) rappelait les conditions et les objectifs, est une chose, sa participation à la prise de décision médicale en est une autre. On ne peut participer aux décisions sans être informé, mais on peut souhaiter être informé sans participer aux décisions. Le médecin idéal aurait toutes les informations relatives au problème posé par le patient, il les traduirait en langage commun à un patient idéal qui comprendrait les conséquences du traitement et prendrait la décision qui le concerne en toute connaissance de cause. Mais nous savons bien qu'il existe de multiples obstacles, liés au médecin, liés à la médecine, liés au patient...

Sophie Taïeb

Centre Oscar Lambret,
Département
d'imagerie, Lille
s-taieb@o-lambret.fr

Philippe Vennin

Département
de sénologie

Philippe Carpentier

Unité de médecine
nucléaire

Mots clés : EBM,
information du
patient,
préférence,
partenariat

EBM et choix du patient (n° 4) : pour quelle décision ?

La demande des patients

Le souhait de participation aux décisions est souvent clairement exprimé, mais les chiffres annoncés sont variables. Dans une étude canadienne concernant 1 012 femmes atteintes de cancer du sein [1], 44 % souhaitaient prendre la décision avec le médecin, 22 % préféraient choisir leur traitement elles-mêmes et 34 % préféraient laisser cette responsabilité au médecin. Il y a dix ans [2], nous avons respectivement parmi 72 nouvelles patientes dans la même situation : 67 %, 14 % et 19 %. Dans l'étude canadienne, seulement 42 % des patientes estimaient avoir eu le degré de participation qu'elles souhaitaient ; 59 % de nos patientes estimaient que les décisions étaient prises ensemble, médecin et patient. Souvent, la demande de participation est liée à l'âge [1-3]. La grande majorité des patientes sont satisfaites de leur implication dans le choix thérapeutique [4] et ne paraissent pas plus traumatisées que les autres lorsqu'elles sont interrogées à distance de leur décision [5].

Globalement, le besoin de participation apparaît donc variable selon les études et les patients. Il est variable aussi dans le temps et selon le stade de la maladie : dans une étude australienne, les patients dont la condition s'était dégradée souhaitaient moins s'impliquer dans leurs décisions qu'au début de la maladie [6].

Les obstacles vrais ou supposés

Brody résumait en 1980 [7] les obstacles classiques à la participation du point de vue du médecin (*tableau 1*). En 2004 encore, selon un inventaire des « mythes » partagés entre professionnels et non professionnels, ces obstacles restaient peu surmontables, ôtant ainsi toutes capacités aux patients à la moindre autonomie concernant leur propre santé ; comme s'il était admis que le droit des patients de participer aux décisions qui les concernent ne puisse s'exercer que dans un cadre limité par le médecin, et sans évaluer précisément et sans parti pris la propre capacité des patients...

Il est vrai que les préférences des patients et des médecins peuvent être différentes. Une étude sur 57 patientes présentant un cancer du sein [9] ne retrouvait que 24 cas de concordance entre les préférences des patientes et des médecins sur les 51 patientes qui souhaitaient participer aux décisions. Pour les auteurs, l'augmentation de la concordance viendra d'une amélioration de la communication entre médecin et patient : meilleure évaluation du propre cadre de référence des patients et amélioration des capacités du médecin à faire participer les patients aux décisions les concernant. Dans une autre étude concernant la décision chirurgicale (chirurgie partielle *versus* mastectomie) chez 101 patientes atteintes de cancer du

Tableau 1. Ce que pens(ai)ent les médecins des obstacles à la participation du patient à la prise de décision

Obstacles « classiques »... (années 80) [7]	... Et mythes « nouveaux »* (2004) [8]
<ul style="list-style-type: none"> • Les éventuels manques de maturité et de capacités intellectuelles des patients. • Les possibles barrières psychologiques à la perception de l'information. • Le temps et les coûts induits par cette information. • Le caractère éventuellement anxiogène, voire l'inutilité de l'information et des choix. • Le risque pour le patient qui décide de son traitement de se sentir personnellement responsable de son échec en cas de récurrence. 	<ul style="list-style-type: none"> • La confusion possible entre capacité de décision et compétence. • L'idée qu'une divergence des avis du patient et du médecin rend toute participation du patient impossible. • ... ou que la participation des patients répond à une loi du tout ou rien. • ... ou qu'un affaiblissement des fonctions cognitives empêche la participation. • ... ou que la participation est une condition permanente quel que soit le stade de la maladie.

* Ils sont largement partagés entre professionnels et non professionnels...

sein, la concordance patientes/médecins était de 38 % [10]. La discussion sur la préférence n'augmentait pas le temps de consultation en augmentant nettement la satisfaction des patientes.

Les obstacles réels semblent principalement liés à l'attitude du médecin confronté aux incertitudes de sa pratique. Ce ne sont pas que des mots : qui croira qu'il n'y a pas de différence entre un médecin qui dit à ses patientes : « *J'ai réfléchi (ou nous avons réfléchi à plusieurs) à votre cas et je vous propose de faire une chimiothérapie.* » et un médecin qui dit : « *Je vais vous expliquer ce que vous pouvez attendre de la chimiothérapie, je vais vous expliquer aussi les contraintes, puis nous verrons ensemble si le traitement vous convient.* » Il est certain que présenter au patient une attitude thérapeutique comme « un impératif catégorique, un standard » enlève toute possibilité de discussion et gomme ses

préférences. Cela ne semble pas poser de réel problème pour l'instant, mais n'est-ce pas uniquement lié au fait que les règles construites pour la « moyenne » conviennent effectivement à la plupart des patients ?

Les préférences des patients : d'importantes variations

Il y a une littérature importante sur le choix de personnes, malades ou non, mises devant des scénarios hypothétiques. En 1990, Slevin a interrogé des patients atteints de cancer et adressés pour chimiothérapie, des médecins généralistes, des oncologues, des infirmières et des témoins en bonne santé



[11]. À la question : « À partir de quelle probabilité de guérison une chimiothérapie intensive vaut-elle la peine ? », les patients en situation répondaient 1 %, les cancérologues 10 %, les généralistes 25 %, les infirmières et les témoins 50 %...

En 1998, une enquête a été faite auprès de 318 patientes qui avaient reçu une chimiothérapie adjuvante pour cancer du sein [12]. Le gain médian à partir duquel la chimiothérapie paraît acceptable, du point de vue de ces patientes, est faible, 0,5 à 1 % en termes de réduction absolue du risque de récurrence, mais 26 % des patientes n'acceptent pas la chimiothérapie pour une réduction du risque inférieure à 5 %.

Même constatation auprès de patients atteints d'un cancer du poumon [13] : certains patients accepteraient la chimiothérapie pour des gains de survie d'une semaine, d'autres non, même pour un gain d'un an.

Évidemment, nous sommes dans l'hypothèse, mais les messages sont clairs [14-17]. La plupart des patients acceptent des contraintes importantes pour des bénéfices qui paraissent faibles à des gens en bonne santé, mais il y a une variabilité extrêmement importante d'un patient à un autre. C'est bien sûr cette variabilité des préférences, constamment observée, qui rend difficile toutes les tentatives de standardisation : ni le type de traitement, ni l'âge, ni le milieu socio-économique, ni même le stade de la maladie ne sont réellement significatifs pour expliquer cette grande variabilité.

Au quotidien...

La participation nous semble d'autant plus facile (pour le patient et pour le médecin) que le risque est faible et les échéances lointaines. En voici quelques exemples.

En consultation d'oncogénétique des cancers du sein et de l'ovaire, nous voyons des femmes, pour la plupart jeunes et en parfaite santé, qui se savent en situation de risque familial. Leur démarche est une demande d'information. Il est aisé de donner une information générale sur les conséquences des tests moléculaires de recherche de mutations des gènes BRCA. L'information est assimilée, mûrie, les recherches biologiques sont faites. Avant le résultat individuel, il y aura d'autres entretiens, souvent avec un psycho-oncologue. Le cheminement est le plus souvent fait avant le résultat des tests moléculaires. Les décisions sont presque prises d'avance, en fonction du vécu, de l'âge, des enfants, de la gravité des cancers dans la famille, du type de cancer, de leur âge de survenue...

En traitement complémentaire d'un carcinome intracanalair du sein, il est facile d'expliquer en chiffres les conséquences (positives et négatives) du traitement par tamoxifène. C'est un traitement « préventif » qui réduit le risque de récurrence d'un cancer invasif ou intracanalair. La lésion a été opérée, analysée, le risque est futur, le plus souvent faible. Les bénéfices sont à l'évidence faibles, mais les inconvénients aussi.

En traitement médical adjuvant des cancers du sein, les patientes sont là encore en bonne santé. Le médecin peut mesurer assez précisément un risque de métastase à distance, qui peut être insignifiant ou au contraire très élevé. C'est encore une fois une probabilité future. Le risque étant mesuré, on peut estimer le bénéfice attendu pour ensuite le confronter avec la patiente aux contraintes et aux risques du traitement médical, chimiothérapie et tamoxifène. Le bénéfice potentiel du traitement ne sera jamais mesuré directement pour la patiente, quoi qu'il arrive. Qui d'autre que la patiente peut juger du niveau de contraintes acceptable pour un bénéfice donné ? Il ne paraît pas *a priori* difficile d'expliquer à une patiente qui le souhaite que sur 100 femmes dans sa situation, 20 (ou plus, ou moins) auront une récurrence à distance dans les 10 ans sans traitement et que le chiffre ne sera plus 20 mais 15 (ou plus, ou moins) avec le traitement.

En situation de cancer avancé ou métastatique, il ne s'agit plus d'hypothèses lointaines mais d'une confrontation à une réalité inacceptable et plus ou moins proche. Les conséquences des traitements sont moins connues, difficiles à exposer sereinement. Le pronostic est grave, réservé, le patient qui vivait dans l'angoisse de la récurrence vit dans l'espoir d'une découverte médicale capable de le guérir. Le médecin n'est plus confronté à une décision ponctuelle mais à des processus décisionnels répétés associés à un accompagnement psychologique. La discussion des avantages et inconvénients, si elle est réelle, nous semble plus difficile à « chiffrer », moins rationalisée dans ce contexte où la compassion et l'espoir « malgré tout » prennent place dans l'accompagnement d'un échec programmé.

Quelques pistes de réflexion

Une revue systématique de la littérature entre 1966 et 2003 [18] a tenté d'identifier les différentes façons de communiquer les informations médicales qui pourraient augmenter la compréhension et la participation aux décisions des patients, y compris par une meilleure compréhension des conséquences de leur choix. En voici les propositions, qui selon les auteurs de cette analyse permettraient aux médecins de progresser vers une meilleure communication :

- Comprendre (dans le sens de faire preuve d'empathie) le cadre de référence du patient et de sa famille.
- Construire un partenariat en informant le patient sur ce qui est prouvé (niveaux de preuves fort et moyen), en n'omettant pas la discussion sur les incertitudes (niveaux modeste et faible).
- Faire état des recommandations apportées par l'expérience clinique et les préférences des patients quand celles-ci sont connues (et concernant le cancer du sein elles le sont de plus en plus).
- S'assurer d'avoir été compris avant de recueillir l'agrément du patient.

Références :

1. Degner LF, Kristjanson LJ, Bowman D, et al. Information needs and decisional preferences in women with breast cancer. JAMA. 1997;277:1485-92.
2. Vennin P, Hecquet B, Marcuzzi I, Demaille MC. Cancer du sein : l'information en question(s). Enquête auprès des patientes et des médecins d'un Centre de lutte contre le cancer. Bull Cancer. 1995; 82:698-704.
3. Cassileth BR, Zupkis RV, Sutton-Smith K, March V. Information and participation preferences among cancer patients. Ann Int Med.1980;92:832-6.
4. Protiere C, Viens P, Genre D, et al. Patient participation in medical decision-making: a french study in adjuvant radio-chemotherapy for early breast cancer. Ann Oncol. 2000;11: 39-45.
5. Fallowfield LJ, Hall A, Maguire P, Baum M, A'Hern RP. Psychological effects of being offered choice of surgery for breast cancer. Br Med J. 1994;309:448.
6. Butow PN, Maclean M, Dunn SM, Tattersall MHN, Boyer MJ. The dynamics of change: cancer patients' preferences for information, involvement and support. Ann Oncol. 1997;8:857-63.
7. Brody DS. The patient's role in clinical decision-making. Ann Intern Med. 1980;93:718-22.
8. Ganzini L, Volicer L, Nelson WA, Fox E, Derse AR. Ten myths about decision-making capacity. J Am Med Dir Assoc. 2004;5(4):263-7.
9. Bruera E, Willey JS, Palmer JL, Rosales M. Treatment decisions for breast carcinoma: patient preferences and physician perceptions. Cancer. 2002. 1;94(7):2076-80.
10. Janz NK, Wren PA, Copeland LA, Lowery JC, Goldfarb SL, Wilkins EG. Patient-physician concordance: preferences, perceptions, and factors influencing the breast cancer surgical decision. J Clin Oncol. 2004.1;22(15):3091-8.
11. Slevin ML, Stubbs L, Plant HJ, et al. Attitudes to chemotherapy: comparing views of patients with cancer with those of doctors, nurses, and general public. Br Med J. 1990;300:1458-60.
12. Ravdin PM, Siminoff IA, Harvey JA. Survey of breast cancer patients concerning their knowledge and expectations of adjuvant therapy. J Clin Oncol. 1998;16:515-21.
13. Silvestri G, Pritchard R, Welch HG. Preferences for chemotherapy in patients with advanced non-small cell lung cancer: descriptive study based on scripted interviews. Br Med J. 1998;317:771-5.
14. Hayman JA, Fairclough DL, Harris JR, Weeks JC. Patient preferences concerning the trade-off between the risks and benefits of routine radiation therapy after conservative surgery for early-stage breast cancer. J Clin Oncol. 1997;15:1252-60.
15. McQuellon RP, Muss HB, Hoffman SL, Russel G, Craven B, Yellen SB. Patient preferences for treatment of metastatic breast cancer: a study of women with early-stage breast cancer. J Clin Oncol. 1995;13:858-68.
16. Wilson RG, Hart A, Daves PJK. Mastectomy or conservation: the patient's choice. Br Med J. 1988;297:1167-9.
17. Bremnes RM, Andersen K, Wist EA. Cancer patients, Doctors and nurses vary in their willingness to undertake cancer chemotherapy. Eur J Cancer. 1995;31A:1955-9.
18. Epstein RM, Alper BS, Quill TE Communicating evidence for participatory decision making. JAMA. 2004. 291:2359-66.

En résumé : choix du patient, pour quelle décision ?

- ▶ Le besoin de participation à la décision médicale varie selon les patients, le moment, le stade de la maladie.
- ▶ Ni le type de traitement, ni l'âge, ni le milieu socio-économique, ni même le stade de la maladie ne sont réellement significatifs pour expliquer cette grande variabilité.
- ▶ Les obstacles réels semblent principalement liés à l'attitude du médecin confronté aux incertitudes de sa pratique.
- ▶ Le partenariat est à construire entre preuves, incertitudes et préférences du patient.

EBM et choix du patient

En conclusion de cette série d'articles, revenons sur le terme *Evidence Based Medicine*. Le terme anglais *evidence* ne fait référence ni à une proposition binaire (présence *versus* absence de preuves), ni à une proposition juridique (preuve à charge) ni à une proposition positiviste (certitude indiscutable). L'EBM se réfère au principe de « l'incertitude » scientifique (se traduisant pratiquement par des décisions différentes selon les praticiens), avec pour intérêt majeur de tenter d'en mesurer la valeur au lieu de l'évacuer ou de l'attribuer à l'incompétence. Cette approche permet un catalogue raisonné des pratiques médicales en distinguant ce qui est démontré comme utile, ce qui est démontré comme inutile et ce qui n'est pas démontré du tout. Parallèlement l'évolution sociétale et légale prend en compte le souhait légitime des patients d'être informés et de participer aux décisions les concernant. Une nouvelle répartition des rôles ?

Sophie Taïeb

Centre Oscar-Lambret,
Département
d'imagerie, Lille
s-taieb@o-lambret.fr

Philippe Vennin

Département
de sénologie

Philippe Carpentier

Unité de médecine
nucléaire

Mots clés : EBM,

choix, patient,
incertitude

EBM et choix du patient (n° 5)

Evidence-based medicine : la valeur de l'incertitude

Le modèle « classique » de la médecine expérimentale

Les résistances aux concepts de l'EBM nous semblent relever davantage de conceptions philosophiques qu'éthiques [1]. Les médecins de notre génération ont longtemps été portés par une vision positiviste de la médecine, dans la lignée de Claude Bernard, vision basée sur la science expérimentale, la compréhension des mécanismes et un déterminisme absolu : « *Il faut que le médecin sache bien qu'il y a une raison pour que les choses se passent ainsi qu'il les voit se passer et qu'il s'habitue à remonter jusqu'au déterminisme des choses* » [2].

De ce point de vue, il y a des critères objectifs, indépendants du patient, qui vont permettre de déterminer la meilleure attitude thérapeutique. Les études scientifiques vont permettre de définir dans une situation donnée le ratio avantages/inconvénients de chaque traitement. Un meilleur traitement existe pour chaque patient, il faut l'identifier, puis le proposer. Dans les

situations où l'information manque, il faut faire des études pour savoir. Pour avancer, il faut essayer d'uniformiser les attitudes thérapeutiques. Puisqu'il y a des critères objectifs de décision, les situations d'équivalence sont rares, ce sont surtout des défauts de puissance.

Il n'y a donc pas de débat sur le choix du patient, puisqu'il n'y a pas de choix du patient. Le médecin a proposé le meilleur traitement, d'après les données de la science. Les situations d'équivalence ne sont que les limites du savoir. Évidemment, ce meilleur traitement, une fois identifié, n'est pas imposé, son application nécessite le consentement du patient. Le consentement tient au domaine juridique, puisque du point de vue médical le principe de bienfaisance est atteint, la meilleure solution a été identifiée et présentée.

Ce modèle « classique » résiste assez bien aux situations extrêmes, lorsque les avantages dépassent clairement les inconvénients pour tout le monde, médecins et patients. Ces situations sont sans doute fréquentes et, de fait, ce modèle peut tenir. La difficulté est liée aux situations limites qui sont des sources de désaccord perpétuel entre les médecins.



Le modèle « EBM »

Mettant l'accent sur l'incertitude scientifique, il permet une autre relation médecin-patient : les études vont effectivement permettre de mesurer les avantages et inconvénients de chaque traitement, mais cette mesure « quantitative » des avantages et des inconvénients passe nécessairement par le patient : l'estimation chiffrée d'un risque est une chose, le « poids » que lui donnera le patient autre chose. Si l'on veut effacer les préférences des patients, et définir entre médecins la meilleure attitude, on n'a fait que déplacer le problème et l'on est confronté à la variabilité des préférences, non plus des patients, mais des médecins, eux-mêmes patients potentiels.

L'information n'est pas seulement un problème éthique, mais c'est une nécessité technique, indispensable pour que le patient puisse se faire une opinion sur les différentes options possibles. Comment définir un seuil d'action ? Le problème est par nature insoluble. Il y a presque toujours

plusieurs options, dont l'abstention thérapeutique. Le problème du « choix du patient », c'est en fait le problème de sa participation active à la discussion sur les options pour parvenir progressivement, avec le médecin, plus ou moins facilement, plus ou moins rapidement, selon les cas, à un accord mutuel sur l'attitude thérapeutique.

Une évolution inéluctable ?

Il nous semble que les mentalités changent progressivement. Les études prospectives randomisées ont « révolutionné » la pratique de la médecine. En peu d'années, les cancérologues ont compris que notre pouvoir face à la maladie avait été surestimé. La plupart de nos patients (et parfois les médecins) surestiment encore nos possibilités diagnostiques et thérapeutiques. Les médias entretiennent une confusion entre la connaissance (biologique) qui progresse à pas de géant et les conséquences (thérapeutiques) qui restent, pour le cancérologue de terrain, des espoirs bien lointains. Les bénéfices thérapeutiques étant revus à la baisse, les traitements demeurant lourds de conséquences, les préférences des patients étant variables, la nécessité d'impliquer le patient dans les décisions devient inéluctable. Cette évolution est inévitable. Elle ne se fait pas seulement pour des raisons morales ou juridiques, mais tout simplement pour des raisons médicales, pour ajuster au mieux le traitement au patient individuel. Le rôle du médecin est alors d'éclairer le patient sur son affection, sur l'évolution possible, sur les moyens à disposition pour changer l'évolution spontanée de la maladie, de l'éclairer suffisamment pour permettre une décision commune, partagée, réfléchie. Le patient est nécessairement face à des choix thérapeutiques. Il est de notre devoir qu'il n'y soit pas seul.

Références :

1. Vennin P, Taieb S, Carpentier P. Le patient face aux choix thérapeutiques en cancérologie : vers une décision partagée. Bull Cancer. 2001;88(4):391-7.
2. Bernard Claude. Principes de médecine expérimentale. Paris: Quadrige/PUF; 1947. p.265.

En résumé : EBM et choix du patient : la valeur de l'incertitude

- ▶ L'EBM tente de mesurer la valeur de « l'incertitude » scientifique au lieu de l'évacuer ou de l'attribuer à l'incompétence.
- ▶ Elle permet – et suppose – une autre relation médecin-patient : la mesure « quantitative » des avantages et des inconvénients du traitement exige de prendre en compte le « poids » que lui donnera le patient.
- ▶ Le patient est nécessairement face à des choix thérapeutiques, d'autant plus qu'il s'agit de traitements aux bénéfices revus à la baisse et lourds de conséquences. Il est de notre devoir qu'il n'y soit pas seul.