

# LE RAISONNEMENT ET LA DÉCISION EN MÉDECINE

## LA MÉDECINE FONDÉE SUR DES PREUVES. L'ALÉA THÉRAPEUTIQUE

1<sup>re</sup> PARTIE — LE RAISONNEMENT ET LA DÉCISION EN MÉDECINE  
LA MÉDECINE FONDÉE SUR DES PREUVES

Pr Jean-Michel Chabot

HAS, 93000 Saint-Denis et Laboratoire de santé publique, faculté de médecine, 13005 Marseille, France  
[m.chabot@has-sante.fr](mailto:m.chabot@has-sante.fr)

OBJECTIFS

**ANALYSER** les bases du raisonnement et de la décision en médecine.

**INTÉGRER** la notion de niveau de preuve dans son raisonnement et dans sa décision.

**EXPLIQUER** au patient, en termes compréhensibles, les bénéfices attendus d'un traitement, les effets indésirables et les risques.

### Raisonnement et décision médicale

L'histoire est connue et troublante. Heureusement, elle est ancienne, remontant à plus de 50 ans, ce qui permet de mettre en doute, sinon sa véracité, du moins la rigueur avec laquelle l'étude avait été menée. Les faits méritent cependant d'être rappelés : il s'agit d'un travail mené par l'*American Child Health Association* et rapporté dans le *New England Journal of Medicine*.<sup>1</sup>

Un premier médecin a examiné 389 enfants scolarisés, âgés de 11 ans, en bonne santé, pour déterminer ceux qui pouvaient bénéficier d'une ablation des amygdales. Il a recommandé l'opération pour 174 d'entre eux, soit 45 % de l'effectif. Les 215 enfants restants ont été montrés dans le même but à un deuxième médecin qui ignorait qu'ils avaient été jugés auparavant comme ne devant pas être opérés. Ce deuxième médecin préconisa l'ablation des amygdales pour 99 d'entre eux, soit 46 %. Restaient 116 enfants pour lesquels l'indication opératoire a été rejetée ainsi à deux reprises. Dans les mêmes conditions que précé-

demment, ces 116 enfants ont été montrés à un troisième médecin qui préconisa l'ablation des amygdales pour 51 d'entre eux, soit 44 %.

Les commentaires ont conclu que ce qui est remarquable dans cette histoire, c'est l'étonnante similitude des proportions de l'indication opératoire qui a été formulée pour ces trois groupes d'enfants bien portants dans 45, 46 et 44 % des cas (fig. 1).

Il reste qu'une constatation objective de cette nature peut encourager les médecins à réfléchir aux déterminants des décisions qu'ils ont à prendre tous les jours dans leur pratique. C'est précisément ce type de réflexion qu'a développée David Eddy — enseignant chercheur à l'université de Duke aux États-Unis. Dans une publication,<sup>2</sup> en 1990, il propose un schéma de la décision médicale, telle que la pratiqueraient les médecins.

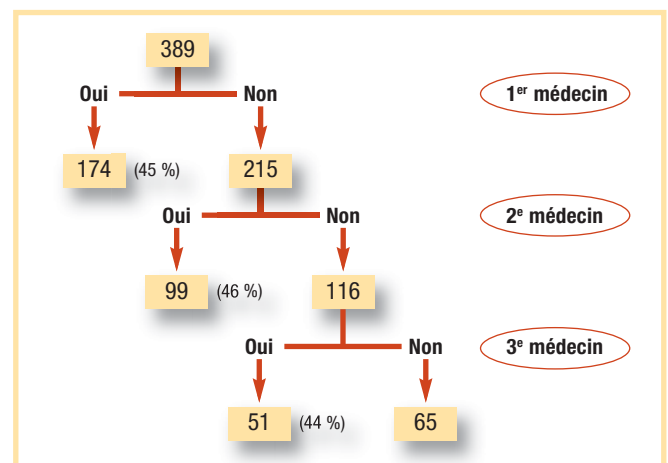


FIGURE 1 Examen de 389 enfants de 11 ans (d'après Bakwin<sup>1</sup>).

Selon ce schéma (fig. 2), le médecin part de faits (cliniques, biologiques...) constatés chez un malade ; il les analyse et en tire un résultat. C'est la première étape de la décision médicale qui peut être quantifiée, prouvée, c'est-à-dire rationalisée. C'est en particulier au cours de cette première étape que l'on a pu évoquer un raisonnement de type hypothético-déductif au cours duquel le médecin confronte de manière itérative les faits cliniques qu'il constate aux hypothèses qu'il génère (v. encadré 1).

Puis intervient la seconde étape, beaucoup moins objectivable, au cours de laquelle le médecin exploite le résultat obtenu à la première étape en tenant compte de toute une série de variables qui caractérisent notamment le malade en cause, son environnement et la relation établie avec le médecin. La véritable décision médicale intervient alors au terme de cette seconde étape.

C'est évidemment à la première étape de ce schéma de la décision médicale que devraient s'appliquer préférentiellement les efforts des cliniciens et des méthodologistes qui souhaitent voir s'imposer une formation et une pratique médicales fondées sur des éléments scientifiquement étudiés et prouvés. Ce sont ces cliniciens et ces méthodologistes qui s'attachent à développer le concept d'*Evidence-based medicine* (EBM), c'est-à-dire de la médecine fondée sur les niveaux de preuves (*evidence* étant un faux ami, qui signifie preuve et non pas évidence). Le terme « niveau » renvoie à la puissance — c'est-à-dire à la qualité — de la preuve. Ainsi, plusieurs systèmes de classification des preuves ont été élaborés ces dernières années. À l'international, le principal système de classification comporte 5 niveaux, allant du niveau 1 qui correspond aux essais comparatifs randomisés d'excellente qualité, jusqu'au niveau 5, qui traduit une simple opinion, non étayée par une analyse critique (tableau).

## Décision médicale : des théories pour des pratiques

Les figures 3 et 4, pages suivantes peuvent sembler d'une ambition démesurée : elles prétendent en effet représenter l'ensemble des facteurs qui interviennent dans la prise de décision médicale diagnostique et (ou) thérapeutique. Dans ces deux représentations, l'état du malade ne constitue que l'un des facteurs à prendre en compte.

La première est extraite des actes<sup>3</sup> d'un colloque organisé en France en mai 1995, et consacré aux évolutions des systèmes de santé en Europe (fig. 3). La seconde est extraite d'un commentaire publié dans les *Annals of Internal Medicine* à l'appui d'un article paru dans le même numéro sous la signature de spécialistes nord-américains d'épidémiologie clinique (fig. 4). Selon eux, l'EBM<sup>4</sup> est un modèle de décision clinique qui intègre les meilleures données de la recherche clinique (preuves) à l'expérience du médecin et aux valeurs du patient (v. encadré 2).

Bien que ces deux figures aient été organisées de manières fort différentes, force est de constater qu'elles reprennent, pour la quasi-totalité, les mêmes facteurs et paramètres. Dans les deux cas, l'éthique, les caractéristiques propres à chaque malade, l'environnement social, les éléments économiques et réglementaires sont présents, de même que les qualités spécifiques du médecin.

Tout au plus peut-on observer que l'analyse des facteurs déterminant la prescription médicale fait une large place à plusieurs éléments d'ordre professionnel ou commercial, comme la disponibilité et l'accessibilité aux technologies diagnostiques et thérapeutiques, ou les stratégies de promotion de l'industrie biomédicale.

## 1. Étapes de la démarche médicale hypothético-déductive

Dès les premiers instants d'une consultation sont recueillies des informations visuelles, auditives, tactiles et parfois olfactives concernant le patient. Ces « éléments cliniques », peuvent être « positifs » (présence d'un symptôme ou d'une anomalie à l'examen) ou « négatifs » (absence d'un symptôme ou normalité d'un examen). L'exactitude et la précision des éléments cliniques positifs et négatifs sont vérifiées par des recherches conjointes entre cliniciens et méthodologistes. Dans la mesure où les techniques cliniques apprises durant nos études de médecine ne peuvent plus suffire pour le reste de notre carrière, il faudra mettre au point des approches

nouvelles et créatives, visant à aider les débutants et les vétérans à apprendre les meilleures techniques, à « désapprendre » les moins efficaces et à intégrer le tout en un examen clinique efficace. Tout en recueillant les éléments cliniques, le problème du patient est appréhendé par l'agrégation de ces éléments en des ensembles ou des modèles cohérents, appelés « points d'intérêt clinique ». Ces ensembles peuvent être constitués par un seul élément accompagné de quelques variables d'ajustement (par exemple « lombalgie aiguë ») ou par des syndromes cliniques multidimensionnels tels que « dépression

de novo » ou « fièvre d'origine inconnue » ; ils peuvent en outre inclure des éléments de nature biologique, psychologique ou sociologique. C'est l'identification initiale du ou des points d'intérêt clinique du patient, et non le diagnostic final, qui guide nos premières démarches diagnostiques et thérapeutiques. De nouvelles preuves commencent à émerger sur notre façon de percevoir les informations relatives aux patients, de les modéliser et de les utiliser ensuite pour arriver à un diagnostic rationnel et exact. Lorsque ces notions seront définitivement prouvées, il nous faudra apprendre à les utiliser au mieux en pratique et à les enseigner aux autres.

Le raisonnement et la décision en médecine  
La médecine fondée sur des preuves

## POINTS FORTS À RETENIR

- ➊ Les décisions médicales diagnostiques et thérapeutiques obéissent à de nombreux déterminants parmi lesquels interviennent évidemment l'état du malade et les connaissances du médecin. Cependant, des facteurs extérieurs interviennent aussi, de natures très diversifiées, certains relevant des conditions d'exercice du médecin et d'autres provenant du malade et de son entourage.
- ➋ Depuis le début des années 2000, il est possible de hiérarchiser les connaissances médicales en « niveaux de preuves » selon des classifications mises au point par des auteurs anglo-saxons. Ces niveaux de preuves attribuent une crédibilité variable aux connaissances médicales selon la manière dont ces connaissances ont été élaborées. Ainsi, ce qui relève de la simple opinion peut être distingué de ce qui résulte d'une notion expérimentalement démontrée.
- ➌ L'EBM se définit comme « *l'intégration des meilleures données de la recherche à la compétence clinique du soignant et aux valeurs du patient* ». Dans cette mesure, l'EBM se distingue des recommandations de pratique qui peuvent apparaître comme des preuves « externes » devant être adaptées à chaque cas particulier.

Il reste que l'analyse de cette diversification des paramètres déterminant les décisions médicales a trouvé petit à petit son écho dans les programmes de formation destinés aux étudiants des facultés de médecine.

En France, l'institution du module de sciences humaines et sociales avait permis, dès le milieu des années 1990, d'aborder plusieurs des sujets présents dans les figures « théorisant » la décision médicale.

Depuis lors, plusieurs items concernant la décision médicale ont été inscrits dans le programme du 2<sup>e</sup> cycle des études médicales publié en septembre 2000 (et qui sera actualisé pour l'année 2010).

### Variabilité médicale

Une des raisons qui ont poussé au développement des démarches de consensus et à la formulation de recommandations de pratique réside dans la volonté d'harmoniser les conduites diagnostiques et thérapeutiques prescrites par les médecins.

Cette volonté d'harmonisation se traduit par :

- premièrement, établir l'état de l'art sur un sujet déterminé et, pour ce faire, analyser le plus grand nombre de travaux scientifiques de bonne qualité sur ce sujet, puis réunir un groupe suffisant d'experts qualifiés et de professionnels de bon sens, afin de formuler les données synthétiques qui représentent ce que l'on sait et ce que l'on peut conseiller de faire. Bien entendu, la durée de vie des conclusions de ce travail de synthèse est limitée par l'évolution et le progrès permanents ;
- deuxièmement, diffuser le plus efficacement possible ces données synthétiques de telle manière que le plus grand nombre de médecins les adoptent au profit de leurs malades.

Une telle orientation peut être l'objet de nombre de suspicions et de résistances. Ainsi, les travaux scientifiques de référence et (ou) les experts choisis peuvent être remis en cause ; on peut aussi, à chaque étape, évoquer de possibles conflits d'intérêts entre les hommes ou les structures concernés ; on peut également douter de l'objectif, qui ne serait pas d'« harmoniser les conduites diagnostiques et thérapeutiques prescrites par les médecins », mais plutôt de normaliser ces conduites qui deviendraient rigides et non adaptables à la réalité clinique propre à chaque malade. Enfin, que dire de la finalité ? S'agit-il d'accroître la qualité des soins ou de maîtriser les dépenses de santé ?

Sur ce dernier point, le fait que les théoriciens de la décision clinique, diagnostique ou thérapeutique incorporent de plus en plus, parmi les variables à prendre en compte pour décider, des paramètres comme les préférences du malade ou certaines caractéristiques de son environnement est encourageant.

Parmi les résistances, certaines tiennent au facteur humain lui-même et à la variabilité des pratiques médicales qu'il engendre. Deux publications récentes apportent des éléments d'information utiles sur ce point.

La première<sup>5</sup> relate un travail réalisé en Norvège avec l'aide de *general practitioners* (GP) et repose sur l'utilisation de malades simulés. Deux femmes âgées de 69 et 70 ans ont donc été sélectionnées puis entraînées par un groupe ad hoc, constitué d'un cardiologue chevronné et de deux GP. La simulation consistait à se plaindre d'une symptomatologie fonctionnelle d'angine de poitrine et à répondre de manière adaptée aux investigations cliniques du médecin ; bien entendu, l'examen physique, de même que les données électrocardiographiques, étaient strictement normaux. Quatre-vingt-sept GP ont été contactés afin de solliciter leur accord de principe pour participer à cette expérience ; aucune indication n'était donnée quant au nombre de malades simulés, au type d'affection dont ils seraient atteints et à la période précise de leur venue à la consultation. Vingt-huit médecins (32 %) ont immédiatement répondu favorablement et neuf autres ont demandé des compléments d'information. Finalement, pour des raisons budgétaires, 24 GP ont été informés qu'ils allaient participer à cette étude. Sur une période de six semaines, entre mars et mai 1994, chacun de ces 24 médecins a reçu en consultation l'une puis l'autre des deux malades



FIGURE 2 Schéma de la décision médicale.

## 2. Evidence based medicine

« La médecine fondée sur les (niveaux de) preuves » (*Evidence-based medicine* [EBM]) se définit comme « l'intégration des meilleures données de la recherche à la compétence clinique du soignant et aux valeurs du patient ». S'agissant d'un modèle de décision clinique, et non d'une théorie de la connaissance, l'EBM est une approche adaptée à la pratique médicale et à son évaluation. Concrètement, devant tout malade posant un problème clinique, il s'agit de suivre une démarche en 4 étapes :

1. formuler les questions qui traduisent les problèmes posés par le malade (selon l'acronyme PICO : *Patients, Interventions, Comparisons, Outcomes* [critères de jugement]) ;
2. rechercher méthodiquement dans la littérature les meilleures preuves permettant d'y répondre ;
3. évaluer validité et utilité de ces données ;
4. mettre en pratique les conclusions et évaluer la performance ultérieure.

Ce « processus d'auto-apprentissage poursuivi tout au long de la vie professionnelle » vise à substituer une harmonisation des pratiques – autour du meilleur niveau de preuves démontré – à la variabilité des prescriptions souvent constatée.

Des réserves doivent cependant être faites : il y a d'abord la faisabilité de la démarche qui est réduite, tant il apparaît non réaliste de s'astreindre aux 4 étapes ci-dessus pour chaque malade ; de plus, la recherche des preuves en temps réel, au lit du malade, est également un défi. Il y a aussi ce que Naylor a appelé les *Grey Zones* dans un éditorial du *Lancet* dès 1995 et qui désignent les nombreux domaines de l'activité clinique

pour lesquels les données (preuves) n'existent pas ou ne sont pas représentatives des malades auxquels elles prétendent s'appliquer. Par ailleurs, le champ d'étude et d'application de la démarche EBM ne se limite pas à la seule activité clinique du corps médical, mais inclut tous les acteurs du monde de la santé : paramédicaux, auteurs et promoteurs des recommandations de bonnes pratiques, autorités de tutelle, gestionnaires et financeurs du système, enseignants universitaires, etc. C'est pourquoi la dénomination d'*Evidence-Based Health Care* (EBHC) remplace progressivement celle d'EBM et repositionne le modèle dans une perspective de gestion médicalisée du système de soins. Intégrée à l'évaluation des pratiques, la démarche présente schématiquement 4 avantages qui sont autant de gages d'efficience.

**Responsabilisation** : en identifiant explicitement « la compétence clinique du soignant » comme l'un des déterminants de la décision, l'EBM reconnaît le rôle des praticiens, valorise leur jugement et les associe pleinement au processus. Les freins au changement, immanquablement suscités par toute tentative d'application autoritaire d'un référentiel externe, sont minimisés, sinon levés. Politiquement, il s'agit d'une stratégie de responsabilisation, voire de renforcement du pouvoir de décision (*empowerment*) des praticiens de première ligne, non d'une stratégie coercitive.

**Décision partagée** : la prise en compte systématique des « valeurs du patient » satisfait à la fois un impératif éthique et une évolution sociologique.

Elle permet aussi de mettre en œuvre des stratégies d'influence (du comportement des praticiens) médiées par les patients, dont l'efficacité est bien établie.

**Faisabilité** : s'ils se déclarent majoritairement favorables à la mise en application des preuves dans leur pratique personnelle – parce qu'ils y perçoivent une garantie de sécurité et d'efficacité – les praticiens demandent à utiliser des « synthèses de preuves adaptées à leurs besoins, élaborées par des collègues compétents et indépendants », car eux-mêmes estiment ne pas avoir la disponibilité et les compétences nécessaires. Fait capital, la simple utilisation pragmatique de telles synthèses suffit à assurer une qualité des soins satisfaisante, sans qu'il soit nécessaire de devenir un technicien accompli de l'EBM. Dès lors, la généralisation de la méthode devient concrètement réalisable.

**Cohérence** : parce qu'elle repose sur un socle méthodologique unique et scientifiquement fondé, l'EBHC constitue un langage commun interdisciplinaire et interprofessionnel, audible par tous les acteurs du système de santé dont elle facilite la coopération.

Ce modèle d'évaluation diffère sensiblement de celui des *guidelines* (Recommandations de pratique clinique [RPC]) tel qu'il avait été promu au milieu des années 1990. L'EBM reconnaît la valeur scientifique des *guidelines* quand elles sont développées de manière méthodique et se fondent sur des niveaux de preuves explicites. Toutefois, comme toute « preuve externe », elles ne peuvent s'appliquer aux cas individuels qu'après avoir été pondérées par les deux autres piliers de la décision : la « compétence clinique du praticien » et les « valeurs du patient » correctement informé.

TABEAU

**Systèmes de classification des preuves et des recommandations : critères du Center for Evidence Based Medicine et de l'ANAES**

Critères du <i>Center for Evidence Based Medicine</i>	Critères de l'HAS	
Niveau de preuve	Niveau de preuve scientifique fourni par la littérature	Grade des recommandations
1a Revue méthodique d'essais comparatifs randomisés (ECR)	<b>Niveau 1</b> Essais comparatifs randomisés de forte puissance Méta-analyse d'essais comparatifs randomisés Analyse de décision basée sur des études bien menées	<b>Grade A</b> Preuve scientifique établie
1b Essai comparatif randomisé unique, donnant des résultats avec un intervalle de confiance étroit		
2a Revue méthodique d'études de cohorte (prospective)	<b>Niveau 2</b> Essais comparatifs randomisés de faible puissance Études comparatives non randomisées bien menées Études de cohorte	<b>Grade B</b> Présomption scientifique
2 b Étude de cohorte unique, incluant les ECR de qualité moindre (en particulier ceux dont les perdus de vue sont $\geq 80\%$ )		
3a Revue méthodique d'études cas-témoins	<b>Niveau 3</b> Études cas-témoins	<b>Grade C</b> Faible niveau de preuve scientifique
3b Étude cas-témoins unique		
4 Série de cas incluant les études de cohorte et les études cas-témoins de qualité moindre	<b>Niveau 4</b> Études comparatives comportant des biais importants Études rétrospectives Séries de cas Études épidémiologiques descriptives (transversale, longitudinale)	
5 Opinion d'expert faisant l'impasse sur une analyse critique explicite		
Cette classification est consultable avec différents commentaires annexes sur le site <a href="http://www.cebm.net">www.cebm.net</a>		

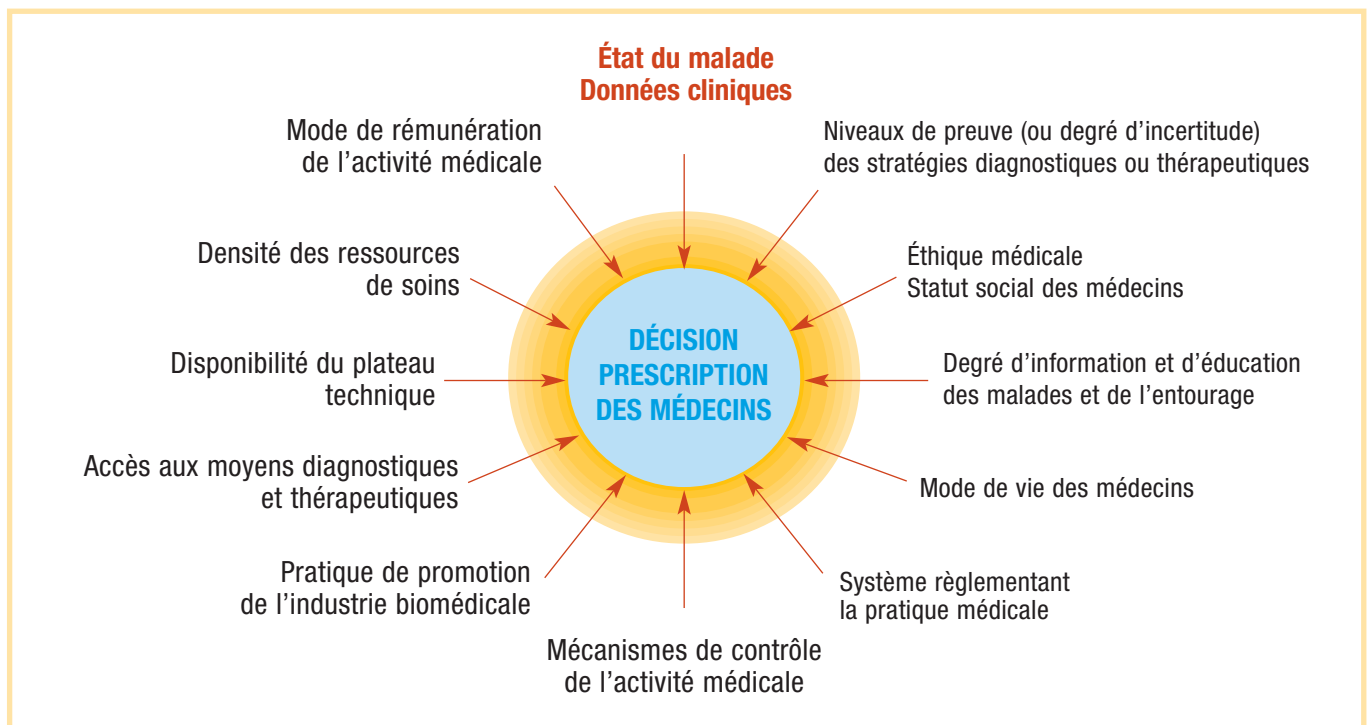


FIGURE 3 Éléments de la décision médicale.

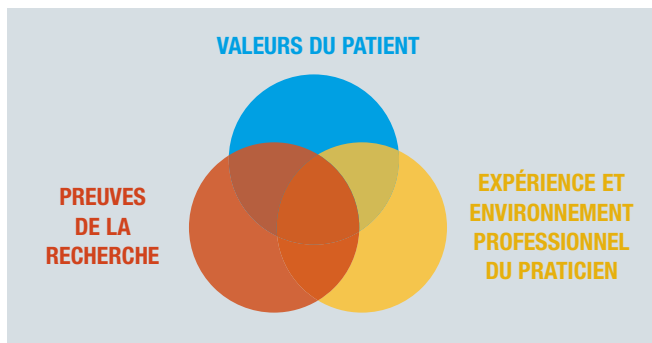


FIGURE 4 Modèle de décision clinique selon l'EBM.

simulées (ou inversement), qui présentaient exactement la même plainte. L'analyse des données recueillies sur l'ensemble de l'étude n'a porté que sur 23 GP, le 24<sup>e</sup> ayant démasqué la patiente simulée lors de la seconde consultation. Hors la bonne acceptabilité de ce type d'étude – sous réserve d'une information préalable levant toute ambiguïté – deux enseignements principaux peuvent être tirés. Tout d'abord, il n'y a pas de différence significative quand on compare l'ensemble des données traduisant le comportement clinique du groupe des 23 GP, soit lors de la consultation du premier malade simulé, soit lors de la consultation du second ; autrement dit, les valeurs moyennes de la performance clinique des 23 GP sont quasi équivalentes entre les deux

consultations successives. En revanche, des différences sensibles sont apparues dans le comportement de chacun des médecins, au cours des deux consultations successives, alors qu'ils se trouvaient confrontés au même problème (il est vrai présenté par deux malades distincts, ayant cependant appris strictement le même rôle).

La seconde publication<sup>6</sup> renvoie aux différences qui peuvent être éventuellement observées quand plusieurs experts ont à interpréter le même document iconographique. En l'occurrence, il s'agissait de comparer, dans le cadre d'une étude coût-efficacité, 3 stratégies d'interprétation de mammographies. L'option n° 1 consistait en une lecture par un seul radiologue ; l'option n° 2 impliquait l'intervention successive et indépendante de deux radiologues ; enfin, l'option n° 3 supposait l'interprétation consensuelle des deux radiologues. C'est cette troisième option qui s'est montrée la plus efficace, aussi bien pour le nombre de tumeurs malignes détectées par rapport au nombre de femmes examinées que pour la réduction du nombre de faux positifs. De même, selon les critères pris en compte, l'interprétation consensuelle par 2 radiologues est apparue comme la moins coûteuse.

Finalement, de tels travaux expérimentaux soulignent l'importance du facteur humain et de sa variabilité dans les décisions diagnostiques et thérapeutiques. •

La gestion des conflits d'intérêt n'est pas abordée dans cet article. C'est cependant un aspect déterminant de la qualité des recommandations. On peut donc conseiller sur ce sujet la lecture de l'éditorial « Evidence based medicine : paternité et filiation » (Rev Prat 2008;58:1925-6).

## RÉFÉRENCES

1. Bakwin HP. Pseudodoxia pediatrica. N Engl J Med 1945;232:691-7.
2. Eddy DM. Designing a practice policy: standards, guidelines, and options. JAMA 1990;263:3077, 3081, 3084.
3. Changes in health systems in Europe: towards new contracts between providers, payers and governments? ENSP-MIRE 1995, ENSP ed.
4. Mulrow CD, Cook DJ, Davidoff F. Systematic reviews: Critical links in the great chain of evidence. Ann Intern Med 1997;126:389-91.
5. Rethans JJ, Saebu L. Do general practitioners act consistently in real practice when they meet the same patient twice? BMJ 1997;314:1170-3.
6. Consensus double reading of mammograms was more effective and less easily than single reading [Abstract] EBM 1996;6:234.

## Qu'est-ce qui peut tomber à l'examen ?

L'intitulé de l'item n° 3 du module I « Apprentissage de l'exercice médical » attire l'attention des étudiants sur des sujets qui n'étaient pas jusqu'ici explicitement traités dans le programme des études médicales. Ces sujets (le raisonnement et la décision médicale – la médecine fondée sur les preuves) constituent avant tout un apport culturel pour les étudiants et les internes. Cet investissement culturel vise à accompagner une évolution sensible de la

formation et de la pratique de la médecine. Cette évolution apparue très progressivement au cours des années 1980 a consisté à substituer une médecine « fondée sur des faits démontrés » à une médecine « d'opinions ». Le développement considérable des études scientifiques et de la recherche clinique, à partir des années 1970, explique ce mouvement de substitution, qui reste toutefois contesté par les tenants d'une primauté de l'approche clinique du malade.

En pratique cependant, des questions peuvent être posées aux ECN, par exemple :  
 – les conditions d'élaboration des recommandations de pratique, en particulier la distinction entre les « preuves » issues de la recherche clinique publiée d'une part, et les consensus d'experts de l'autre ;  
 – les classifications des niveaux de preuve et, en conséquence, la robustesse des conclusions pratiques qui peuvent être tirées pour chaque malade.