

DE L'EBM À LA PSYCHOPATHOLOGIE

Pratique et critique de l'evidence-based medicine

Philippe Bizouarn*

RÉSUMÉ

L'*evidence-based medicine* (EBM) se définit comme une méthode de recherche et d'application consciencieuse et judicieuse des meilleures données actuelles de la recherche clinique dans la prise en charge personnalisée de chaque patient. Elle ne peut se réduire à l'utilisation non critique des recommandations qu'elle permet d'élaborer. La procédure décisionnelle de l'EBM est décrite. Les limites et les risques de l'EBM vus comme justification d'un contrôle institutionnel des pratiques sont présentés.

Mots clés : médecine basée sur les faits, pratique clinique, recommandations, politique de santé

ABSTRACT

Practice and critique of evidence-based medicine. Evidence-based medicine (EBM) is defined as "the conscientious, explicit and judicious use of current best evidence in making decisions about the care of individual patients". It cannot be reduced to the non critical use of the recommendations it gives rise to. The EBM decision procedure is described and the limits and risks of EBM, perceived as justifying an institutional monitoring of practice, are presented.

Keywords: evidence-based medicine, clinical practice, recommendations, health policy

RESUMEN

Práctica y crítica de la *evidence-based medicine*. La *evidence-based medicine* (EBM) se define como un método de investigación y de aplicación rigurosa y judiciosa de los mejores datos actuales de la investigación clínica en el tratamiento personalizado de cada paciente. La EBM no debe limitarse a la utilización no crítica de las recomendaciones que ella misma permite elaborar. El artículo describe el proceso decisional de la EBM y presenta los límites y los riesgos de la EBM vista como una justificación de un control institucional de las prácticas.

Palabras clave : evidence-based medicine, práctica clínica, recomendaciones, política de salud

* Docteur en médecine, anesthésiste-réanimateur, docteur en philosophie, service d'anesthésie-réanimation, Hôpital G. et R. Laennec, 44035 Nantes Cedex 01. <philippe.bizouarn@chu-nantes.fr>

La demande forte de nouveaux savoirs correspond à n'en pas douter à une demande toujours plus forte d'efficacité de la médecine, d'autant que les succès n'ont cessé de s'accumuler grâce à la recherche. Au fur et à mesure que la confiance dans les résultats des études croissait, il était devenu nécessaire de mettre un peu d'ordre dans ces résultats afin d'en hiérarchiser la portée pratique. En voyant les résultats fondés « en raison » et supposés valides, car méthodologiquement corrects et pertinents, le lien entre la recherche clinique et l'expérience du médecin était trouvé d'autant que les études cliniques avaient répondu aux questions posées par les médecins. Il ne suffisait plus qu'à trouver une procédure permettant d'appliquer directement les résultats des études aux patients : l'*evidence-based medicine* pouvait naître.

De plus, l'exigence d'évaluation des comportements, rendue nécessaire par les erreurs commises par certains acteurs peu soucieux des conséquences de leurs choix, impose celle du développement d'une médecine plus « rationnelle ». L'*evidence-based medicine* y trouve une place privilégiée, fournissant des outils pour l'évaluation « objective » des pratiques. Le but de ce travail sera d'en décrire la procédure et d'en repérer les limites.

Essai de définition

L'*evidence-based medicine* (EBM), que nous pouvons traduire par médecine factuelle, a été définie au cours des années 1980 par les enseignants chercheurs de la faculté des sciences de la santé McMaster à Hamilton, en Ontario, au Canada. Cette faculté a progressivement acquis une notoriété considérable en Amérique du Nord et s'est d'abord exprimée dans le milieu des *medical educators* où se discutaient âprement les innovations introduites par le nouveau programme d'enseignement. Ce programme, développé en particulier dans le département de médecine interne de l'université (*internal medicine residency program*), avait pour but de permettre aux étudiants, autour de cas cliniques, de rechercher dans la littérature les études concernant le sujet traité et d'en évaluer la portée sur le plan décisionnel (*critical appraisal*), grâce notamment à l'évaluation de leur qualité méthodologique (*methodological criteria*), tout en assurant au tuteur, investi dans l'EBM et dans la pratique de celle-ci, un rôle de première importance (*role model*).

Depuis le début des années 1990, les réflexions abordées par l'université MacMaster ont largement débordé le cadre de la formation initiale pour s'ouvrir sur la question de la pratique médicale et de la manière dont les médecins s'informent. Cette approche de la médecine, joignant formation et pratique, ne pouvait que s'opposer à l'« ancienne », fondée sur l'utilisation d'observations non systématiques, sur l'étude des mécanismes des maladies et des principes physiopathologiques, sur la pratique clinique propre et sur l'expertise fournissant au clinicien des recom-

mandations d'autorité [4]. Contre l'ancien « paradigme » de la pratique médicale, les concepteurs de l'EBM crurent lui opposer un nouveau paradigme, censé corriger les erreurs inhérentes à l'approche traditionnelle, « désastreuses » pour certains (Freeman, cité dans [7]). Pour ces nouveaux médecins, l'EBM se définit ainsi comme « *l'utilisation consciencieuse et judicieuse des meilleures données actuelles de la recherche clinique dans la prise en charge personnalisée de chaque patient* » [15]. Les expressions *utilisation consciencieuse et judicieuse* et *meilleures données actuelles de la recherche clinique* sont vues comme la mise en œuvre de standards de qualité du plus haut niveau (ce que nous appellerons les niveaux de preuve). Les termes *consciencieux* et *judicieux* impliquent et évoquent la *cohérence* dans l'application des données dites pertinentes à chaque patient et la mise en jeu de l'*expérience* du praticien. Cette expérience n'est jamais exclue de la procédure décisionnelle que revendique le défenseur de l'EBM. Elle se situe même au premier plan quand il faut soupeser les avantages et les inconvénients de chaque test diagnostique ou de chaque possibilité thérapeutique dans la situation particulière du patient en face de soi (du fait de ses pathologies associées, de ses facteurs de risques, de ses préférences par exemple).

Méthode

L'EBM consiste à intégrer à l'expertise clinique (l'expert étant, ici, celui qui *connaît par expérience*) et aux valeurs du patient les résultats des recherches cliniques les mieux conduites tant dans le domaine du diagnostic et du pronostic que dans celui des traitements à visée curative ou préventive. Le médecin de l'EBM s'engage à mettre en œuvre des standards de qualité de plus haut niveau par l'application d'un tri actif de toutes les études cliniques disponibles. Il s'assure dans cette perspective un accès rapide à des sources d'informations fiables, régulièrement mises à jour, présentant de façon explicite et honnête les résultats de la recherche [15].

L'EBM s'inscrit ainsi dans la perspective plus ancienne élaborée par Archibald Cochrane, médecin et épidémiologiste anglais, auteur en 1972 d'un ouvrage intitulé *Effectiveness and efficiency : random reflections on health services*, qui s'étonnait de ce que la profession médicale n'ait jamais entrepris de résumé critique, périodiquement mis à jour, de tous les essais cliniques pertinents publiés dans chaque spécialité médicale [3]. Le parti pris adopté par les avocats de l'EBM est le suivant : la décision médicale ne peut se fonder que sur l'*evidence* (qui est souvent traduite par preuve, même s'il ne s'agit pas de preuve au sens mathématique). C'est un impératif moral [11]. Or, l'*evidence* existe : il faut la traquer ! À partir du moment où il existe des faits bien établis, il faut les rassembler avec rigueur, afin de réduire les biais et la subjectivité liée à une collection non méthodique des faits issus de la recherche

clinique. La procédure décisionnelle proprement dite comprend ainsi quatre étapes [24]. Une dernière étape concerne l'évaluation des compétences à pratiquer la méthode prescrite.

Première étape

Elle consiste à formuler clairement les problèmes cliniques à résoudre dans le cas du malade considéré, c'est-à-dire à transformer le problème clinique envisagé (dans le domaine de la prévention, du diagnostic, du pronostic et du traitement) en une question individualisée et soluble (*answerable question*). L'expérience clinique reste au premier plan, car elle est indispensable au praticien pour évaluer le problème du patient, sa gravité, les pathologies associées, etc. Elle ne saurait être imitée par le plus sophistiqué des programmes informatiques du fait des nombreux aspects de l'expérience qui ne peuvent pas, ou ne doivent pas, s'intégrer dans un tel programme. Dans le même temps il est nécessaire, dans la perspective d'amélioration envisagée par les tenants de l'EBM, de recueillir de manière systématique, reproductible et non biaisée, les observations cliniques afin d'augmenter la confiance que nous pouvons avoir de nos connaissances au sujet du pronostic, de la valeur des tests diagnostiques et de l'efficacité des traitements.

Deuxième étape

Après avoir transformé chaque scénario clinique en une question comprise comme une occasion d'apprendre, la deuxième étape de la procédure décisionnelle consiste à rechercher la meilleure information qui permettra de répondre à la question.

Les sources d'informations cliniques peuvent être classées en au moins quatre types différents : les livres et manuels, les recueils informatisés de ressources cliniques spécialisées, les grandes bases bibliographiques donnant accès à la littérature médicale, les ressources Internet [20]. Les manuels classiques, électroniques ou sur papier, rapportent l'expérience collective d'auteurs considérés comme des experts dans leur domaine. Excellents pour les faits qui ne changent pas (l'anatomie par exemple), ils sont souvent dépassés et non valides car fondés sur des opinions plutôt que sur des niveaux de preuve et sont, par là, mal considérés par les tenants de l'EBM. Les recueils informatisés sont alors préférés, comme *best evidence* (comprenant tous les articles parus dans *ACP Journal Club*, *Evidence-Based Medicine Journal*) qui présente toutes les références cliniquement « importantes » reposant sur une méthodologie correcte (pour la psychiatrie, citons le journal *Evidence-based Mental Health*) ou comme la *Cochrane Library* (base de données payante, née en 1996 grâce à David Sackett et à Update Software, une firme informatique), qui comprend des centaines de revues méthodiques complètes, des références et résumés de milliers de revues

méthodiques (intégrés dans la *Cochrane Database of Systematic Reviews* ou CDSR de la Cochrane Collaboration et la *Database of Abstracts of Review of Effectiveness* ou Dare du NHS) et des résumés de plusieurs centaines de milliers d'essais contrôlés. La base Medline est l'une des bases bibliographiques la plus utilisée. Elle inclut des références et des résumés de plus de 4 000 journaux qui sont régulièrement mis à jour mais sont parfois difficiles d'utilisation (malgré la mise en place de fonctions filtres). Si les ressources internet, enfin, permettent un accès illimité à l'information, leur utilisation n'est pas toujours très simple et nécessite un regard très critique sur la validité des données qui y sont recueillies.

Troisième étape

Une fois identifiées des études concernant notre problème clinique, nous devons évaluer de façon critique cette *evidence*, c'est-à-dire apprécier son degré de validité, son impact (importance de l'effet) et son utilité en pratique [24].

• Validité

Un des principes fondamentaux sous-tendant ces règles concerne l'estimation de la validité des données et repose sur l'établissement d'une hiérarchie des preuves (*hierarchy of evidence*) guidant la décision clinique. Cette hiérarchie n'est pas absolue mais repose avant tout sur la confiance portée aux résultats des différents types d'études [13].

Dans le domaine thérapeutique, l'une des premières échelles a été proposée par la Canadian Task Force on Periodic Health Examination (*tableau 1*) [2]. D'autres échelles ont ensuite été publiées, comme celle de Guyatt [13] ou de la Fédération nationale des centres de lutte contre le cancer [2].

L'examen de ces échelles indique que les plus hauts niveaux de preuve sont accordés aux revues systématiques d'essais contrôlés randomisés fournissant des résultats homogènes et aux essais contrôlés dont les résultats se situent dans des intervalles de confiance étroits, alors que les études fondées sur des observations cliniques non systématiques ou les opinions d'experts sans évaluation critique ou fondées sur des données physiologiques reçoivent les plus bas niveaux de preuve.

Tableau 1. Hiérarchie des preuves dans la décision thérapeutique selon la Canadian Task Force on Periodic Health Examination. D'après Boissel [2]

| Niveau | Fondement des données disponibles |
|--------|---|
| I | Au moins un essai clinique randomisé de façon appropriée |
| II-1 | Essais cliniques bien menés, mais sans randomisation |
| II-2 | Études de cohorte ou cas-témoins bien menées, de préférence dans plus d'un centre ou par plus d'un groupe |
| II-3 | Séries chronologiques multiples, avec ou sans intervention |
| III | Opinions d'experts reconnus |

• Utilité en pratique : les recommandations

La force de la preuve (*strength of evidence*) peut être transformée en un niveau de recommandation (*grade of recommendation*) pour la pratique (les *guidelines*), les plus hauts niveaux de recommandation correspondant aux plus hauts niveaux de preuve, à condition toutefois que la recherche des études soit constamment actualisée (nécessité de prise en compte de toutes les études publiées dans l'année). Ainsi, après avoir identifié les meilleures preuves disponibles, l'étape suivante du processus de recherche entrepris consiste à élaborer des stratégies de soins fondées sur ces données, avant d'en envisager la mise en œuvre. Il s'agit finalement de définir les conduites à tenir en pratique quotidienne en tentant de répondre de façon optimale à la variabilité des pratiques observées dans des communautés médicales très voisines au plan géographique et qui ne peuvent être expliquées par des différences en termes de caractéristiques des patients (ou de leurs préférences).

Un groupe de travail a par exemple proposé une classification des grades de recommandation dans laquelle les revues systématiques et la taille des effets jugés cliniquement importants jouent un rôle prééminent (*tableau 2*) [12].

Ces recommandations sont élaborées et/ou rassemblées par des institutions professionnelles ou publiques comme l'Anaes (Agence nationale d'accréditation et d'évaluation en santé) en France, le Nice (National Institute for Clinical Excellence) en Grande Bretagne, le National Guideline Clearing House aux États-Unis pour ne citer qu'elles.

Ainsi, en s'inspirant en particulier de l'expérience de l'Agency for Health Care Policy and Research aux États-Unis, l'Andem a réalisé, dès 1993, une méthodologie d'élaboration des recommandations pour la pratique clinique (RPC), formalisée en 1999 par l'Anaes [1]. Ces recommandations s'appuient sur une analyse d'articles et sur l'utilisation d'échelles de niveau de preuve des articles et des recommandations dès la première phase du processus d'élaboration. Ce travail critique aboutit ainsi à retenir ou à rejeter les articles en leur attribuant un score selon leur qualité méthodologique. Notons toutefois que l'Anaes peut choisir d'établir des recommandations qui traduisent l'existence d'un « consensus professionnel fort » en l'absence de données dans la littérature ou en présence de données non solidement prouvées. La qualité des recommandations est établie selon une gradation déjà évoquée :

niveau A (preuve scientifique établie), niveau B (présomption scientifique), niveau C (faible niveau de preuve scientifique).

Si ces recommandations fournissent un bon outil pour guider les choix des cliniciens, leur utilisation systématique n'est pas souhaitée par les avocats de l'EBM. Si elles permettent de réduire l'incertitude face à un problème, elles ne doivent pas empêcher le clinicien de les adapter aux circonstances individuelles, à condition de le justifier. Contrairement à ce que redoutent les sceptiques, dignes défenseurs de la médecine comme art, les recommandations ne peuvent jouer le rôle d'instrument de contrôle des pratiques (*punitive instrument*) [11]. Paradoxalement, les recommandations sont devenues des outils de contrôle et de sanction des pratiques médicales (l'exemple du *managed care* aux États-Unis est flagrant), créant de ce fait un conflit entre les individus et la collectivité [11].

Quatrième étape

C'est l'étape du jugement clinique. C'est à ce stade du processus que les critiques de l'EBM sont les plus nombreuses et que l'entreprise de justification – de légitimation – des avocats de l'EBM se concentre. Il s'agit à cette étape, cruciale car survenant juste avant la décision, de repérer finalement le groupe auquel peut appartenir le patient et d'en caractériser les principaux attributs évalués le plus objectivement possible. Cette opération consiste à définir les critères d'applicabilité des données extraites des étapes précédentes au patient. Pour cela, il faut stratifier les résultats des études en fonction des caractéristiques individuelles des patients, évaluer si l'intervention (traitement et/ou méthode diagnostique) peut être mise en œuvre dans un cadre différent de celui de l'étude, quantifier les bénéfices ou les dangers de l'intervention, prendre en compte les préférences individuelles [8].

• Stratifier

Cette règle consiste à se poser la question suivante : mon patient est-il si différent des participants de l'étude que les résultats ne peuvent pas lui être appliqués ? Les auteurs reconnaissent que le patient ne satisfait pas à tous les critères d'inclusion et d'exclusion adoptés dans les études. Cependant, ils résolvent le problème en se posant une autre question : le processus pathologique sous-jacent de mon patient est-il si différent que l'étude ne m'est d'aucune

Tableau 2. Grades de recommandation pour un risque de base donné. D'après Gray [12]

| | |
|----|---|
| A1 | ECR avec des résultats homogènes, tous les IC étant du même côté du NST seuil |
| A2 | ECR avec des résultats homogènes, certains IC étant à cheval sur le NST seuil |
| B1 | ECR avec des résultats hétérogènes, tous les IC étant du même côté du NST seuil |
| B2 | ECR avec des résultats hétérogènes, certains IC étant à cheval sur le NST seuil |
| C1 | Études non contrôlées et observationnelles, tous les IC étant du même côté du NST seuil |
| C2 | Études non contrôlées et observationnelles, certains IC étant à cheval sur le NST seuil |

ECR : essais contrôlés randomisés ; IC : intervalle de confiance ; NST : nombre de sujets à traiter.

aide ? Et ils admettent que les différences observées entre les patients idéaux (ou moyens) de l'étude et le sujet sont plutôt quantitatives (différences des niveaux de risque ou de réponses thérapeutiques) que qualitatives (absence de réponse ou réponse défavorable à un traitement) en appliquant un raisonnement de type causal (physiopathologique). L'exemple suivant illustre parfaitement le problème posé [9].

Une patiente de 60 ans, hypertendue et alcoolique, présente une fibrillation auriculaire asymptomatique. Le risque chez cette patiente dont l'oreillette gauche est dilatée (ce qui augmente le risque de thrombose puis d'embolie cérébrale par exemple), est la survenue d'un accident vasculaire cérébral. Or, une méta-analyse de 5 essais randomisés sur la warfarine (un anticoagulant) dans la fibrillation auriculaire a montré une réduction relative du risque d'accident vasculaire cérébral de 68 %. La question est de savoir dans ce cas si cette patiente peut bénéficier d'un traitement par ce produit sachant que l'alcoolisme (critère de non-éligibilité dans les études citées) augmente par ailleurs le risque d'hémorragie majeure. L'auteur suggère qu'il n'y a pas de raison physiopathologique pour que la warfarine exerce un effet qualitativement différent en termes de réduction du risque d'embolie d'origine cardiaque chez cette patiente [9].

• Mise en œuvre

La question est alors la suivante : le traitement est-il réalisable dans le cadre de mon travail ? Les conditions géographiques, les données économiques et l'organisation du système sanitaire sont les contraintes évoquées pour ne pas appliquer facilement le traitement « idéal » et des solutions intermédiaires peuvent être proposées. Dans l'exemple ci-dessus, l'aspirine peut être prescrite en dépit des preuves indiquant qu'elle est moins efficace que la warfarine.

• Quantification des bénéfices et des risques

Elle repose sur l'étude des résultats observés dans les sous-groupes de patients ressemblant le plus au patient considéré. Elle peut également provenir de modèles de prédiction cliniques élaborés à partir d'une grande population de patients. L'étape finale est de proposer un nombre de sujets à traiter pour éviter un événement (NST) ou un nombre de sujets à traiter pour observer un événement défavorable supplémentaire (NSTD) connaissant le risque de base (exprimé par un taux d'événements augmenté dans le groupe témoin). Suivons l'exemple suivant [19].

Une femme et un homme de 65 ans sont admis à l'hôpital pour un accident vasculaire cérébral modéré. La découverte d'une sténose carotidienne comprise entre 50 et 70 % pose la question du choix entre un traitement chirurgical (endartériectomie carotidienne) ou un traitement médical. La consultation de la base de données *best evidence* permet de trouver une étude portant sur 2 267 patients souffrant

d'un accident vasculaire cérébral (AVC) et présentant une sténose carotidienne modérée. Le nombre de récurrences d'AVC à 5 ans (5,3 % contre 10,3 %, soit une réduction relative du risque RRR de 49 % avec un intervalle de confiance à 95 % de 14 à 83 %) ou de décès (13 % contre 15 %, soit un RRR de 13 % avec un intervalle de confiance à 95 % de -18 à 44 %) était moindre après chirurgie qu'après traitement médical seul. L'importance de l'effet bénéfique de la chirurgie était tel que 20 patients devaient être opérés pour prévenir un AVC qui surviendrait si seul le traitement médical était appliqué (NST = 20). Une méta-analyse de 51 études avait par ailleurs montré que le taux absolu de mortalité après chirurgie était de 1,6 % supérieur à celui observé après traitement médical, entraînant un NSTD de 63 (1/0,016). En appliquant ces résultats aux patients et en admettant que le risque de base évalué par le Malmo Stroke Registry était de 8,3 % à 3 ans, le NST devient :

$$\text{NST} = 1/(\text{risque de base} \times \text{RRR}) = 1/(0,084 \times 0,49) = 24$$

Cela signifie qu'un événement (le décès) sera évité tous les 24 patients opérés (par rapport au traitement médical).

• Prise en compte des « valeurs » et « préférences » des patients

Étudier le processus d'expression et de compréhension des valeurs du patient afin de les incorporer dans le processus de la décision médicale constitue, pour les défenseurs de l'EBM, un « enjeu » majeur. L'idéal de l'EBM consiste de cette façon à intégrer dans le processus de décision, de manière la plus pertinente possible, les choix « éclairés » du patient. Ses défenseurs reconnaissent que cette situation idéale n'est pas encore atteinte et que des questions non résolues concernant la mise en perspective, dans la décision finale, des préférences des patients, demeurent [13]. Ils reconnaissent que l'énumération par les patients des risques et bénéfices de telle ou telle décision, donnant alors à ceux-ci une responsabilité qu'ils ne veulent partager seuls, n'est pas toujours si facile et que le médecin devra choisir en fonction de ce qu'il croit être les préférences et valeurs du patient [13]. Cette attitude implique alors une compétence dans la compréhension de l'histoire du patient et du patient lui-même.

Dernière étape

Une dernière étape, que nous ne ferons qu'évoquer, consiste à évaluer la capacité du décideur à exécuter les quatre étapes précédentes. Le but de cette évaluation (auto-évaluation, audit interne ou externe, participation à des séminaires ou à des stages d'enseignement de l'EBM) recouvre celui de l'EBM compris comme nouveau « paradigme » de la décision médicale. Les défenseurs de l'EBM affirment que le médecin pourra ainsi se maintenir « au meilleur niveau » de sa pratique clinique quand il saura évaluer sa capacité à suivre les préceptes de l'EBM, dont celui-ci : « les meilleures études – à traquer – pour la

meilleure pratique – car centrée sur le patient ». En effet, l'apprentissage personnel de ses principes, la recherche permanente des recommandations élaborées par d'autres médecins suivant ses règles et leur mise en pratique effective selon des techniques validées conduiront inévitablement le médecin convaincu par la suprématie de la méthode à modifier les comportements cliniques qu'il aurait pu adopter « par erreur ».

C'est dans cette perspective résolument optimiste que l'enseignement de l'EBM, fondé sur l'auto-apprentissage en situation (réelle ou fictive) avec l'aide de *tutors*, peut se développer [24]. Il nécessitera une bonne connaissance de l'informatique (l'EBM n'est-elle pas avant tout une « *data-based medicine* » ?), dont le développement a permis l'essor de l'EBM. Plusieurs programmes pédagogiques existent, notamment ceux de l'université McMaster, pionnière dans ce domaine. Un programme court de trois jours a même été évalué dans une étude [6]. Celle-ci a permis de montrer qu'après ce stage intensif, les étudiants avaient amélioré leur capacité à rechercher et critiquer l'information trouvée. L'auteur admet cependant que d'autres recherches seront nécessaires pour étudier l'impact d'un tel programme sur les pratiques cliniques et sur l'état de santé des patients, les études disponibles actuellement étant insuffisantes et le plus souvent de faible qualité méthodologique [6].

Critiques

Les défenseurs de l'EBM affirment que le médecin pourra ainsi se maintenir « au meilleur niveau » de sa pratique clinique quand il saura évaluer sa capacité à suivre les préceptes de l'EBM. L'optimisme est ici de rigueur. En effet, l'apprentissage personnel de ses principes, la recherche permanente des recommandations élaborées par d'autres médecins suivant ses règles et leur mise en pratique effective selon des techniques validées [23] conduiront inévitablement le médecin convaincu par la suprématie de la méthode à modifier les comportements cliniques qu'il aurait pu adopter « par erreur ». Dès lors, l'unique ambition de l'EBM est, semble-t-il, de soutenir la décision du médecin, non pas de s'y substituer. Elle associe les travaux de synthèse permettant au médecin de faire le tri entre les études sur des critères de qualité impossible à réaliser de manière individuelle, son expérience professionnelle, l'individualité du patient, les normes professionnelles dans une démarche argumentative où le talent propre du médecin réalise « un arbitrage raisonné » face à la complexité de la situation décisionnelle et non une application irréfléchie de règles impératives. L'EBM s'inscrit bien dans une pratique rationnelle visant, non pas à réduire l'hétérogénéité des pratiques, inhérente à la médecine, mais à se demander à partir de quand il est raisonnable de considérer que cette variabilité des pratiques rencontrée devient inappropriée [21].

Prenons l'exemple de la psychiatrie, où les craintes sont les plus vives concernant l'éventuelle position dogmatique que pourraient prendre les experts d'une psychiatrie fondée sur les données probantes, selon la traduction franco-canadienne [10]. Pour ses défenseurs (au sein de sociétés comme la société canadienne), l'*evidence-based psychiatry* ne peut être que « le serviteur plutôt que le maître » [10] du processus décisionnel du clinicien. Si elle ne peut pas prévoir toutes les nuances d'une rencontre avec le patient, elle permet au médecin de trouver « un sens au déluge d'information accablant » [10], en instillant un réel esprit critique à tout clinicien : l'EBM ne serait alors qu'une méthode particulière pour apprendre à filtrer la bonne information ?

Pourtant, l'EBM, fondée sur les preuves, peut-elle réellement nous satisfaire ? Les études dont elle se réfère peuvent-elles répondre réellement à la réalité rencontrée dans la pratique ? En d'autres termes, quelle réalité est-elle censée construire quand elle est comprise comme un assemblage de faits dont l'interprétation dépend des procédures de validation scientifique, comme si la vérifiabilité par la méthode scientifique épuisait la signification de tout énoncé décrivant cette réalité ? De plus, de quelle nouvelle autorité dépendra-t-elle, quand il s'agira de rejeter l'autorité ancienne des professeurs de médecine ?

Contenu de l'EBM et limitation des contextes

La nouveauté de l'EBM ne provient pas de sa mise en pratique car, en voulant intégrer à l'expertise clinique individuelle les meilleures données de la recherche, cette méthode tend finalement à vouloir concilier en un jugement clinique fiable le savoir et le savoir-faire que toute pratique médicale suppose. La nouveauté provient du contenu des savoirs rassemblés en un nouveau type de référence (*text-book*) à utiliser pour bien conduire son action : la recherche systématique des études expérimentales bien conduites, devenues dès lors la règle d'or (*gold standard*) à laquelle toute décision se référera [5]. Ainsi, les principales critiques de l'EBM concernent avant tout le savoir (et son contenu) que produisent les études.

Si le savoir médical ne peut se limiter aux résultats des études cliniques randomisées contrôlées et des méta-analyses, ces études sont pourtant devenues la principale source d'information à laquelle l'EBM se réfère. Pour que l'information contenue dans ces études soit jugée digne de confiance, les études randomisées se sont concentrées sur l'obtention de données *hard* concernant la mortalité, la maladie et la démographie [5]. Les conditions de base des patients, avant tout traitement, sont ainsi caractérisées par des données objectives telles que l'âge, le sexe, la race, les résultats des examens complémentaires (tests de laboratoire, endoscopie, imagerie, biopsie, etc.). Les critères de jugement d'un essai thérapeutique sont ramenés à la mortalité ou à des mesures globales de certains symptômes (douleur, insomnie, etc.) dont une connaissance plus fine

n'est pas jugée nécessaire dans le contexte du double aveugle égalisant les contextes. À côté de ces données *hard*, l'information contenue dans les essais inclut parfois des données *soft*, identifiant des facteurs plus spécifiques de la maladie ou des données physiopathologiques particulières pour créer des sous-groupes de patients (types de symptômes, sévérité des symptômes, évolution de la maladie, facteurs de gravité, etc.) que le médecin utilise pour estimer un pronostic ou choisir un traitement. En supposant que les études puissent tenir compte de ces variables dont la pertinence clinique ne fait pas de doute, elles négligent souvent d'autres aspects plus subtils que le médecin jugera ou non pertinent pour conduire sa décision thérapeutique, comme une réponse aux traitements déjà donnés par le passé, la facilité de mettre en place un traitement à titrer, l'observance et les raisons de non-observance à un traitement, le contexte psychique et social, les désirs et attentes des patients face à un projet thérapeutique, etc. [5].

Cette limitation des contextes, inhérente à toute étude clinique, entraîne une ambiguïté qu'il faut lever. Il n'est pas question de faire dire aux études cliniques plus qu'elles sont capables de dire, ce que certains voudraient peut-être croire. Or, en voulant pourtant en dire un peu plus, elles manquent dès lors leur but, celui de connaître plutôt que de prescrire. C'est, semble-t-il, en accordant aux données fiables un statut de vérité indépendante de la recherche et du chercheur qui l'a conduite qu'un problème survient et qu'il faudra toujours éviter. Réduire la portée des études ne nous empêche pas d'y trouver ce que nous cherchons pour notre patient, s'il n'est pas si éloigné des patients ayant servi à l'étude. Mais, en aucun cas, nous ne saurions le ramener à ce patient moyen que nous avons créé par l'étude. Si l'étude contrôlée s'attache, en limitant le contexte de la recherche (en choisissant par exemple un patient ni trop gravement atteint, ni trop peu malade), à nous montrer ce que tel ou tel traitement est capable de faire dans ces cas, elle ne nous montrera pas ce qu'il faudra faire dans ce cas-là, mais nous indiquera seulement ce que nous pourrions faire.

Une difficulté survient quand aucune étude clinique n'existe, quand les résultats sont contradictoires ou n'apportent pas de conclusions claires, quand la mise en place d'une étude n'est ni possible, ni pertinente (études portant sur les traitements préventifs, sur des facteurs causaux comme le tabac ou l'alcool, sur des comparaisons entre des traitements où l'un est moins invasif que l'autre, etc.). Ainsi, pour de très nombreux domaines de la pratique clinique (dont la psychiatrie [7]), il n'existe pas d'étude ou de donnée scientifique ou, si elles existent, elles ne sont pas représentatives des maladies auxquelles elles prétendent s'appliquer. Ainsi, ce qui est blanc ou noir dans un article de revue peut rapidement devenir gris dans la pratique (les *grey-zones* de la pratique clinique) [22]. C'est pourquoi les études contrôlées ne peuvent se substituer au jugement clinique, quand les préférences personnelles, les facteurs psychosociaux, le confort et la réassurance sont d'impor-

tants déterminants pour la décision individuelle. C'est à la lumière de l'expérience future que les études devront être jugées, et non l'inverse. Si elles sont nécessaires, possibles, pertinentes [17], en supposant qu'un accord soit fait sur les critères de jugement, elles ne pourraient en aucun cas constituer la référence ultime de notre action, ce que les défenseurs de l'EBM admettent d'ailleurs [14].

Malgré cela, nous voyons pointer une autre difficulté, liée à l'émergence d'une nouvelle autorité, censée s'opposer à l'ancienne autorité des maîtres et de leurs opinions.

De l'autorité des faits à l'autorité des experts

En associant aux énoncés sur ce qui fait preuve des énoncés sur ce qui peut faire preuve, un glissement des domaines d'autorité semble survenir : de l'autorité des faits prouvés, indépendante des chercheurs, à celle de l'autorité des membres de la communauté scientifique et médicale construisant puis utilisant tel ou tel fait pour définir un niveau de pratique dont la légitimité provient de sa référence à ces faits. De la même manière, en s'accordant sur les faits et leur niveau de preuve, en définissant les contextes d'interprétation de ces faits, une institution naît : celle des membres de la communauté partageant un même langage, c'est-à-dire une même compréhension de la preuve que ces faits apportent. La prédominance de l'épidémiologie clinique et de l'EBM ne provient dès lors plus de sa capacité à révéler la réalité de tel phénomène clinique, mais de son accord à l'intérieur d'une même communauté médicale pour une variété de raisons donnant une plus grande autorité aux expressions statistiques de la preuve.

Il ne fait pas de doute que les promoteurs de la médecine factuelle appartiennent à ce mouvement formant « *une communauté politique, un groupe soudé par la croyance dans le pouvoir de la science pour unir les chercheurs et les praticiens de la médecine malgré d'évidentes différences de formation et de pratiques* », qu'ils nomment les « réformateurs thérapeutiques » [18].

Harry Marks soutient que les experts dotés d'un savoir spécialisé sur les maladies spécifiques, sur l'action des médicaments et sur les méthodes de recherche « *se parent d'une autorité dont sont dépourvus les autres médecins* », au sein d'une « république de la science » idéalisée. Dès lors, la question est posée de savoir comment le médecin profane pourra devenir un des membres de cette république ? La réponse fournie par les réformateurs thérapeutiques est double [18].

- soit on adopte une méthode scientifique générale, standardisée et compréhensible par tous (l'analyse statistique et l'essai clinique randomisé), permettant de juger des preuves attachées à un effet thérapeutique par exemple, selon des critères communs, cette attitude nécessitant toutefois une compétence particulière, dans le domaine statistique par exemple, ce qui ne garantit nullement l'indépendance intellectuelle du médecin face aux problèmes techniques

auxquels il est confronté quand il faut interpréter les résultats d'une étude ;

– soit, du fait des inégalités dans le savoir, l'expérience et la formation des médecins, le médecin désireux d'intégrer cette « république » devra reconnaître les autorités constituées au sein de la médecine.

C'est cette seconde voie qui est le plus souvent choisie, pouvant conduire à la fondation de nouvelles institutions qui, pour ceux jugeant obsolète la structure sociale actuelle de la médecine, permettront de mettre en œuvre les directives de la pratique clinique issues des essais cliniques validés selon les critères adoptés par cette autorité.

• Collaboration Cochrane

La Collaboration Cochrane (née en 1993), dont le but est de fournir à tous les membres d'une communauté médicale élargie des revues systématiques dans des domaines les plus divers possibles, est une de ces institutions réunissant des experts dans de nombreux domaines. En 2003, elle comprend ainsi une cinquantaine de groupes de revue (*collaborative review groups*) travaillant sur plusieurs domaines d'intérêts et coordonnés par une équipe éditoriale (*tableau 3*), une dizaine de groupes de méthodes (*method groups*) rassemblant des personnes expertes dans la « science » des revues systématiques, une quinzaine de centres nationaux ou supranationaux en Chine, Afrique du Sud, Pays-Bas, Italie, France (disparu fin 2002 pour des raisons budgétaires), Allemagne, pays nordiques, Royaume-Uni, Canada, États-Unis (3 centres), Brésil, péninsule ibérique, regroupant plus de 1 000 personnes. La coordination de l'ensemble de ces groupes est assurée par un *steering group* (16 membres élus), dont le but est de développer les stratégies générales de la Collaboration, auquel est lié le *publishing policy group*, le *Cochrane library users' group*, le *monitoring and registration group*, le *secretariat* et l'*executive group*. Un arbitrage des conflits est par ailleurs réalisé par deux commissaires (*ombudsmen*) et un arbitre des publications (*publication arbiter*), dont le but est de rechercher un accord à l'intérieur de la Collaboration ou entre les équipes éditoriales et les *reviewers* des revues systématiques. Cette institution se veut par ailleurs ouverte à tous ceux qui veulent s'engager dans la pratique des revues systématiques, à condition de bien vouloir y consacrer suffisamment de temps et d'adopter l'ensemble des critères reconnus par la Collaboration. Les revues sys-

tématiques qu'elle élabore (plusieurs milliers fin 2004) sont ainsi devenues des références pour la construction des recommandations.

• Haute autorité en santé (HAS)

Autorité indépendante à caractère scientifique, elle succède à l'Anaes et coordonnera le travail d'autres agences (Afssaps, Afssa, InVS).

Ses missions principales, précisées dans le décret d'octobre 2004, s'attachent à : « 1) évaluer et hiérarchiser le service attendu ou rendu des actes professionnels, des prestations et produits de santé tels que les dispositifs médicaux et les médicaments ; 2) contribuer, par son expertise médicale et de santé publique, au bien fondé et à la pertinence des décisions dans le domaine du remboursement, notamment sur les conditions particulières de prise en charge des soins pour les affections de longue durée ; 3) établir et mettre en œuvre la certification des établissements de santé ; 4) établir et mettre en œuvre l'évaluation des pratiques professionnelles et l'accréditation des professionnels et des équipes médicales ; 5) Veiller à la diffusion des référentiels de bonne pratique et de bon usage des soins auprès des médecins et des paramédicaux et à l'information des professionnels et du public dans ces domaines ». Ses missions s'inscrivent bien dans la perspective « EBMiste » développée plus haut, en accordant aux études validées un statut normatif et prescriptif indéniable. Elle va même plus loin, en s'inscrivant dans une perspective de normalisation et de contrôle que l'EBM n'avait pas voulu adopter. Aux questions posées par un psychiatre anglais [16] : Qui sera responsable de la diffusion et de l'incitation à suivre les principes de l'EBM ? Est-ce de la seule responsabilité du médecin de s'assurer de ses besoins d'informations ? Est-ce de la seule responsabilité du praticien en tant que membre de la profession médicale de s'assurer qu'il suit ces principes ? Quels sont les praticiens qui veulent recevoir une formation de type EBM ? Comment les initiatives locales et nationales peuvent s'harmoniser ? La réponse attendue est venue de l'extérieur de la profession, sans avoir au préalable interrogé les praticiens sur ce qu'ils voulaient réellement.

Conclusion

Si la médecine factuelle peut aider le médecin à diminuer la complexité et donc l'incertitude, à utiliser les connaissances nouvelles avec un esprit critique et à entretenir un jugement clinique mieux informé, elle ne peut se réduire à une utilisation des recommandations de pratique clinique pour résoudre le problème posé par un patient donné.

Pourtant, dans une perspective de normalisation et d'évaluation de la pratique médicale souhaitée par les pouvoirs publics, la médecine factuelle et les recommanda-

Tableau 3. Cochrane Collaboration : groupes de revues en psychiatrie

| Groupe de revue | Nombre de revues (ou protocoles pour revues) |
|-------------------------------------|--|
| Dementia and cognitive improvement | 148 |
| Depression anxiety and neurosis | 128 |
| Developmental/psychosocial/learning | 62 |
| Drugs and alcohol | 50 |
| Schizophrenia | 109 |

tions qu'elle élabore ne peut qu'aider à justifier les politiques de rationnement sous prétexte que seules les interventions efficaces selon les critères adoptés sont acceptables. Dès lors, une délibération à l'intérieur de la profession médicale même, sur ce qui fait preuve, est souhaitable de façon urgente afin d'éviter qu'une crise de légitimation du pouvoir politique survienne, ce qui risquerait d'aggraver les conflits entre experts et médecins et faire perdre à notre action son sens ultime : le soin aux patients.

Références

1. ANAES. *Les recommandations pour la pratique clinique. Base méthodologique pour leur réalisation en France*. 1999.
2. BOISSEL JP. *L'information thérapeutique*. Paris : Masson, 2000.
3. COCHRANE AL. *Effectiveness and efficiency: random reflections on health services*. London : Nuffield Provincial Hospitals Trust, 1972.
4. EVIDENCE-BASED MEDICINE WORKING GROUP. Evidence-based medicine : a new approach to teaching the practice of medicine. *JAMA* 1992 ; 268 : 2420-5.
5. FEINSTEIN AR, HORWITZ RI. Problems in the evidence of evidence-based medicine. *Am J Med* 1997 ; 103 : 529-35.
6. FRITSCHÉ L, GREENHALG T, FALCK-YTTER Y, NEUMAYER HH, KUNZ R. Do short courses in evidence based medicine improve knowledge and skills? Validation of Berlin questionnaire and before and after study of courses in evidence based medicine. *Br Med J* 2002 ; 7 : 1338-41.
7. GEDDES J, GOODWIN G. Bipolar disorder : clinical uncertainty, evidence-based medicine and large-scale randomised trials. *Br J Psychiatry* 2001 ; 178(suppl.41) : s191-4.
8. GLASZIOU P, GUYATT GH, DANS AL, *et al*. Applying the results of trials and systematic reviews to individual patients. *ACP J Club* 1998 : A15-6.
9. GLASZIOU P, GUYATT GH, DANS AL, *et al*. Comment appliquer les résultats des essais cliniques et des revues systématiques au cas particulier d'un patient donné. *EBM J* 1999 ; 19 : 5-7.
10. GOLDBLOOM DS. La psychiatrie fondée sur les données probantes. *CPA Bull* 2003.
11. GOODMAN KW. *Ethics and evidence-based medicine : fallibility and responsibility in clinical science*. Cambridge : Cambridge University Press, 2003.
12. GRAY MJA, HAYNES RB, SACKETT DL, COOK DJ, GUYATT GH. De la recherche aux pratiques : élaborer les stratégies cliniques basées sur les faits prouvés. *EBM J* 1998 ; 9 : 5-7.
13. GUYATT GH. User's guide to the medical literature. XXV. Evidence-based medicine : principles for applying the user's guide to patient care. *JAMA* 2000 ; 284 : 1290-6.
14. GUYATT GH, MEADE MO, JAESCHKE RZ, *et al*. Practitioners of evidence based care. Not all clinicians need to appraise evidence from scratch but all need some skills. *Br Med J* 2000 ; 320 : 954-5.
15. HAYNES RB, SACKETT DL, GRAY JMA, COOK DJ, GUYATT GH. De la recherche aux pratiques : 1. Rôle des preuves issues de la recherche dans les décisions cliniques. *EBM J* 1997 ; 7 : 4-6.
16. LAWRIE SM, SCOTT AIF, SHARPE MC. Implementing evidence-based psychiatry : whose responsibility? *Br J Psychiatry* 2001 ; 178 : 195-6.
17. MARCH JS, SILVA SG, COMPTON S, SHAPIRO M, CALIFF R, KRISHNAN R. The case for practical clinical trials in psychiatry. *Am J Psychiatry* 2005 ; 162 : 836-46.
18. MARKS H. *La médecine des preuves. Histoire et anthropologie des essais cliniques [1900-1990]*. Paris : Les empêcheurs de penser en rond, 1999.
19. MCALLISTER FA. User's guides to the medical literature. XX. Integrating research evidence with the care of the individual patient. *JAMA* 2000 ; 283 : 2829-36.
20. MCKIBBON KA, RICHARDSON WS, WALKER-DILKS C. Trouver les réponses à des questions bien posées. *EBM J* 2000 ; 25 : 4-10.
21. MIDY F, PICARD H. Rationalité et décision médicale. In : BÉJEAN S, PEYRON C, eds. *Santé, règles et rationalité*. Paris : Economica, 2002.
22. NAYLOR CD. Grey-zones of clinical practice : some limits of evidence-based medicine. *Lancet* 1995 ; 345 : 840-2.
23. SACKETT DL, HAYNES RB. De la nécessité d'une médecine basée sur des faits prouvés. *EBM J* 1996 ; 1 : 5-6.
24. SACKETT DL. *Evidence-Based Medicine. How to practice and teach EBM*. London : Churchill Livingstone, 2000.

BIZOUARN P. Pratique et critique de l'evidence-based medicine. *L'Information psychiatrique* 2005 ; 81 : 683-91