



**HAL**  
open science

# Le raisonnement médical. De la science à la pratique clinique

Joël Coste, Jean-Baptiste Paolaggi

► **To cite this version:**

Joël Coste, Jean-Baptiste Paolaggi. Le raisonnement médical. De la science à la pratique clinique. ESTEM, 2001. hal-04133540

**HAL Id: hal-04133540**

**<https://cnrs.hal.science/hal-04133540>**

Submitted on 20 Jun 2023

**HAL** is a multi-disciplinary open access archive for the deposit and dissemination of scientific research documents, whether they are published or not. The documents may come from teaching and research institutions in France or abroad, or from public or private research centers.

L'archive ouverte pluridisciplinaire **HAL**, est destinée au dépôt et à la diffusion de documents scientifiques de niveau recherche, publiés ou non, émanant des établissements d'enseignement et de recherche français ou étrangers, des laboratoires publics ou privés.

Copyright

# **Le raisonnement médical, de la science à la pratique clinique**

J.B. Paolaggi, J. Coste



ÉDITIONS ESTEM

Éditions ESTEM  
7, rue Jacquemont - 75017 Paris  
Tél. : 01 53 06 94 94 – Fax : 01 53 06 95 00

**AUTEURS :**

**Jean-Baptiste PAOLAGGI**, Ancien Médecin des Hôpitaux, est Professeur Émérite à l'Université Paris V et Membre de l'Académie Nationale de Médecine.

**Joël COSTE** est Maître de Conférences-Praticien Hospitalier en Biostatistique et Santé Publique à l'Université Paris V (Faculté Cochin-Port-Royal).

© 2001 Éditions ESTEM – ISBN 2 84371 108 8

Toute représentation ou reproduction, intégrale ou partielle, faite sans le consentement de l'auteur, ou de ses ayants droit ou ayants cause, est illicite (loi du 11 mars 1957, alinéa 1<sup>er</sup> de l'article 40). Cette représentation ou reproduction par quelque procédé que ce soit, constituerait une contrefaçon sanctionnée par les articles 425 et suivants du Code Pénal.

## SOMMAIRE

|  |     |
|--|-----|
| <b>Préface</b> .....   | 7   |
| <b>Avertissement</b> .....   | 9   |
| <b>Introduction</b> .....  | 11  |
| <b>Historique du raisonnement médical dans le monde occidental</b> .....   | 15  |
| <b>PARTIE I. ÉLABORATION DES CONNAISSANCES MÉDICALES</b>   |     |
| <b>Notule introductive</b> : justification de connaître les modes d'élaboration des connaissances médicales .....          | 25  |
| <b>Chapitre 1.</b> Notions d'épistémologie générale pour les sciences du vivant ..   | 27  |
| <b>Chapitre 2.</b> Épistémologie médicale .....  | 35  |
| <b>Chapitre 3.</b> La métrologie médicale. La validation des instruments de mesure et des tests utilisés en médecine ..... | 49  |
| <b>Chapitre 4.</b> L'élaboration de la nosologie .....   | 61  |
| <b>Chapitre 5.</b> L'élaboration de la sémiologie médicale .....   | 75  |
| <b>Chapitre 6.</b> L'élaboration des connaissances sur l'évolution des maladies et leur prédiction .....                   | 81  |
| <b>Chapitre 7.</b> L'élaboration et la validation des méthodes thérapeutiques .....  | 89  |
| <b>Chapitre 8.</b> L'élaboration et la validation des mesures de prévention et de dépistage .....                          | 109 |
| <b>PARTIE II. PASSAGE DE LA THÉORIE À LA PRATIQUE</b>  |     |
| <b>Chapitre 9.</b> Le savoir et le savoir-faire .....  | 121 |
| <b>Chapitre 10.</b> L'utilisation des différentes façons de pensée en pratique médicale quotidienne .....                  | 125 |
| <b>Chapitre 11.</b> La médecine basée sur les faits démontrés .....  | 141 |
| <b>Chapitre 12.</b> Démarche générale de prise en charge des patients .....  | 147 |
| <b>PARTIE III. LA MISE EN ŒUVRE DES RAISONNEMENTS EN PRATIQUE</b>  |     |
| <b>Chapitre 13.</b> Raisonnement appliqué au diagnostic .....  | 155 |
| <b>Chapitre 14.</b> Raisonnement appliqué au pronostic .....   | 185 |
| <b>Chapitre 15.</b> Raisonnement appliqué à la thérapeutique .....   | 189 |
| <b>Chapitre 16.</b> Raisonnement appliqué à la prévention et au dépistage .....  | 199 |

**PARTIE IV. LES FACTEURS INTERFÉRANT AVEC LE RAISONNEMENT MÉDICAL EN PRATIQUE**

|   |     |
|---|-----|
| <b>Notule introductive</b> .....  | 207 |
| <b>Chapitre 17.</b> L'éthique dans le raisonnement médical .....  | 211 |
| <b>Chapitre 18.</b> La communication médecin-malade et ses déterminants culturels .....                               | 223 |
| <b>Chapitre 19.</b> La protection sociale et l'économie de la santé .....   | 229 |
| <b>Chapitre 20.</b> Cas de résolution complexe. Polypathologie et pathologies rares, psychologie et psychiatrie ..... | 237 |
| <b>Chapitre 21.</b> Raisonnement médical et décisions en médecine de soins individuels .....                          | 245 |
| <b>Index</b> .....  | 259 |

## PRÉFACE

L'enseignement de la médecine a toujours fait l'objet de discussions passionnées car il doit combiner une formation universitaire théorique avec l'apprentissage précoce, en milieu hospitalier, de la pratique médicale. La création de Centres Hospitalo-Universitaires (C.H.U.) a tenté de répondre à cette nécessité sans vraiment y réussir. Une difficulté tient aux modifications renouvelées et rapides des connaissances médicales. Pour y faire face, une formation critique est indispensable dès le début des études médicales et au-delà dans toute la vie du médecin. Les auteurs pensent que cette formation nécessite un apprentissage à ce qu'ils appellent le raisonnement médical. Certains pourraient y voir comme un "discours de la méthode" appliqué à la science clinique avec ses deux aspects à savoir : l'acte individuel en pratique médicale allant du diagnostic au traitement et la recherche clinique.

Comment s'élaborent les connaissances médicales ? Les auteurs consacrent à ce sujet la première partie de leur ouvrage. Ils y développent les concepts et les méthodes, c'est-à-dire l'épistémologie de la médecine scientifique. La rigueur souhaitée doit s'appliquer à l'étude des faits pathologiques d'observation qui servent de fondement à l'élaboration des connaissances. En ce qui concerne les connaissances relatives au diagnostic, le premier stade est la sémiologie. Ici la rigueur s'est installée peu à peu avec la métrologie des symptômes, des signes d'examen clinique et des explorations complémentaires. Une des raisons à ceci est qu'il a fallu évaluer l'efficacité et les dangers possibles de ces derniers en utilisant des méthodes. Ainsi la sémiologie de qualitative et "artistique" (en référence à l'art médical) devient quantitative et reprend sa place qui doit être la première dans la pratique clinique et le suivi du malade. Le second stade est l'interprétation et la synthèse des faits. Le qualitatif y a encore sa place. Mais là aussi la quantification permet une approche plus scientifique. La même rigueur préside à l'étude des évolutions et surtout à l'administration des preuves de l'efficacité (ainsi que des dangers) des méthodes thérapeutiques depuis leur appréciation grâce aux essais contrôlés et randomisés.

En un mot souvent répété, à côté du **savoir**, il y a le **savoir-faire**, de loin le plus difficile et le plus long à acquérir. L'internat des hôpitaux, analogue au résidanat américain et mieux que l'internat dit universitaire, constitue la meilleure réponse à l'apprentissage du savoir-faire et de la responsabilité.

On en arrive ainsi à la deuxième et à la troisième partie de l'ouvrage consacrées au passage de la théorie à la pratique et à l'étude critique et détaillée du raisonnement médical appliqué au diagnostic, au pronostic, à la thérapeutique et aux problèmes posés par la prévention et les méthodes de dépistage.

Ainsi sont passés en revue les différents modes du raisonnement, qu'il soit descriptif, causal, physiopathologique, probabiliste, et leur possibilité d'association, sans oublier l'utilisation des algorithmes ou arbres de décision qui sont en fait des aide-mémoire. Mais il y a aussi les heuristiques qui sont des modes de pensée plus ou moins conscients et intuitifs mais dont il faut se méfier. Le rôle du jugement du médecin y est souligné.

Au passage est signalée la médecine basée sur les faits prouvés (Evidence-based-medicine, 1992). Elle utilise l'interrogation informatique des banques de données disponibles permettant l'accès aux "meilleurs" travaux. Ceux-ci sont toutefois surtout consacrés, à ce jour, aux essais thérapeutiques et publiés en langue anglaise pour la plupart.

Enfin est envisagée l'influence des facteurs non médicaux (économie, éthique et religion, psychologie, médias, lois et décisions de justice, etc.) qui interfèrent au quotidien dans la pratique médicale ainsi qu'en matière de santé publique. On s'éloigne alors du raisonnement médical idéal, mais le médecin ne peut manquer, pour prendre ses décisions, de tenir compte de ces facteurs tout en sachant inclure avec prudence les opinions apportées par des tiers et se conformer au consentement du patient (ou de son "représentant" pour le mineur) tout en se souciant de ne pas nuire.

Cet important ouvrage vient à son heure, appuyé sur une bibliographie considérable. Il convient d'en féliciter les auteurs. Tous deux sont médecins. L'un termine une carrière de clinicien qui s'est déroulée dans diverses conditions d'exercice et d'enseignement, en particulier en milieu hospitalo-universitaire. L'autre est biostatisticien, clinicien et chercheur. Ils ont mené ensemble un certain nombre de travaux de recherche clinique et d'évaluation. Ils ont constaté des lacunes chez les étudiants et chez certains médecins face aux difficultés de l'exercice médical. De cette réflexion commune est née la création, à la Faculté de médecine Paris-Ouest, d'un enseignement du raisonnement médical. À partir d'une analyse critique, pertinente et bien documentée de diverses situations, les auteurs se sont efforcés d'y apporter des solutions raisonnées et raisonnables.

**Louis AUQUIER**


Secrétaire perpétuel de l'Académie Nationale de Médecine

## AVERTISSEMENT DES AUTEURS

Les objectifs de cet ouvrage, consacré au raisonnement médical sont :

- de présenter les éléments conceptuels de la médecine d'inspiration *biopathologique* scientifique du début du *xxi*<sup>e</sup> siècle, et les moyens humains de son exercice ;
- de susciter une prise de conscience de la nécessité d'adopter de nouveaux modes de pensée et de comportement en médecine, et d'abandonner bon nombre d'habitudes et de schémas intellectuels obsolètes qui imprègnent les mentalités médicales, sans qu'ils soient explicites dans l'esprit de leurs utilisateurs ;
- d'aider les étudiants et les praticiens à s'adapter à ces modes de pensée et d'agir.

L'ouvrage considère les différents domaines de l'activité médicale de soins, à savoir le diagnostic, le pronostic, la thérapeutique et la prévention, en envisageant l'élaboration des connaissances (1<sup>re</sup> partie), le passage des connaissances théoriques à la pratique (2<sup>e</sup> partie), l'application des raisonnements en pratique (3<sup>e</sup> partie), et les facteurs qui interfèrent avec ces raisonnements (4<sup>e</sup> partie). Ces quatre parties sont divisées en chapitres dotés d'une autonomie de lecture, qui justifie certains rappels des sources et des éléments de cohérence des raisonnements recommandés. Certaines redites sont donc inévitables d'un chapitre à l'autre, afin d'éviter de trop nombreux renvois, qui rendraient la lecture hachée et fastidieuse.

Pour chaque chapitre de l'ouvrage, il existe un texte principal, un rappel des quelques définitions indispensables, des "encadrés", un récapitulatif intitulé "Ce qu'il faut retenir" et une suggestion de lectures complémentaires. Les textes encadrés sont disjoints du texte principal dont ils constituent un complément. Ils sont destinés à mieux faire comprendre la teneur du discours principal, mais ils ont en eux-mêmes une certaine autonomie. Ils sont appelés dans le texte principal par le symbole . Les récapitulatifs ne sont pas des résumés exhaustifs mais font apparaître les idées fortes du chapitre.

Les auteurs sont conscients des imperfections de leur ouvrage, dont la rédaction n'a pu s'inspirer de modèles antérieurs. Mais ils espèrent des critiques saines et constructives de la part de tous les lecteurs, étudiants, praticiens ou enseignants, qui partageront leur intérêt pour défendre une médecine à la fois scientifique et humaine, efficace et économe, et répondre aux attentes d'une société de plus en plus exigeante.

## INTRODUCTION

Le terme "médecine" a une double signification. D'une part, il exprime la discipline scientifique régissant les connaissances médicales avec l'ensemble des méthodes mises en œuvre pour recueillir et valider les éléments utiles à la reconnaissance, la prévention, la guérison ou les soins des maladies, blessures ou infirmités. D'autre part, il désigne l'exercice de la profession du médecin. Il doit être souligné que, si la discipline scientifique médicale est essentiellement préoccupée de biopathologie, l'exercice de la profession médicale s'intéresse au patient dans un contexte plus large, "bio-psycho-social".

La médecine s'exerce dans un monde en rapide changement, et au sein d'une science innovante et en continu renouvellement. L'accélération de ces changements implique aujourd'hui qu'un médecin ne peut plus se contenter, pour l'exercice de sa profession, des connaissances qu'il a acquises pendant sa formation, et dont on estime que *la moitié est périmée au bout de dix ans*. Un état d'esprit ouvert et critique, et un "outil" adéquat et adaptable, sont maintenant indispensables aux praticiens qui vont désormais devoir exercer la médecine dans des conditions diverses et changeantes, mais toujours avec l'objectif de la meilleure prise en charge de la pathologie humaine. Cet outil adaptable nous semble être un *bon raisonnement médical*.

## NÉCESSITÉ DE RECONSIDÉRER LE RAISONNEMENT MÉDICAL

Le *raisonnement médical* est l'ensemble des opérations intellectuelles que font les médecins lors de l'élaboration des connaissances médicales et lors de leur utilisation dans l'exercice de leur profession. Il tient sa spécificité du fait qu'il débouche, in fine, sur une prise de décision concernant des êtres humains.

### L'état précédent

De tout temps les médecins ont utilisé des modes de pensée plus ou moins explicites. Pendant des millénaires, la pensée médicale a été le plus souvent inspirée de théories philosophiques. La pensée médicale a évolué depuis l'ère des pensées archaïques, magiques ou théurgiques, à la conception rationnelle qui prévaut actuellement dans le monde occidental. La plupart des conceptions préscientifiques sont devenues actuellement obsolètes. Mais il faut bien observer qu'elles imprègnent encore bien des civilisations et même influencent une partie des patients que les médecins des pays occidentaux sont amenés à traiter quotidiennement.

Jusqu'à ces dernières années, bien que la pensée rationnelle et scientifique ait, de plus en plus, sous-tendu leur mode de raisonnement, les médecins ont été éduqués, essentiellement, par apprentissage au lit du malade à la manière des compagnons. Ils apprenaient ainsi de leurs aînés, et dans le même temps, en s'imprégnant de leurs conceptions, en observant et en reproduisant les gestes et attitudes élémentaires de l'examen médical, le cheminement intellectuel menant du symptôme au diagnostic, au pronostic et à la décision thérapeutique. C'est aussi par cette sorte de "compagnonnage" que se transmettaient les gestes de technique (chirurgicale, opératoire ou autre). Cette méthode reste irremplaçable car elle transmet un savoir-faire qui est fondamental dans de très nombreux domaines. Ce serait une faute lourde de la déclarer périmée et susceptible d'être remplacée par une autre méthode. Mais elle doit être complétée et améliorée.

### Une nouvelle nécessité

Le type d'éducation traditionnel n'apparaît, en effet, plus suffisant. Il est remis en question par les changements majeurs qui se sont produits ces dernières décennies tant en ce qui concerne les connaissances médi-

\* Il ne faut pas confondre la médecine avec d'autres disciplines ou activités apparentées comme :

- la *biologie* qui imprègne, cependant, la pensée médicale dont elle a permis des progrès fondamentaux à l'origine de l'efficacité de l'activité médicale ;
- les *sciences humaines ou sociales* qui ont un discours tourné essentiellement vers ce qu'on désigne sous l'appellation de "la santé" et qui relève de concepts d'ordres philosophique, social, voire religieux. Or, la santé, sa conservation et son rétablissement, et les moyens pour atteindre ces objectifs, sont une préoccupation importante de notre civilisation occidentale et tout le monde s'y intéresse : les usagers, les organismes d'assurances et de sécurité sociale, les économistes, les juristes, les philosophes - particulièrement ceux qui se préoccupent d'éthique - les hommes politiques, les journalistes, les chercheurs en intelligence artificielle ou en sciences cognitives, les gestionnaires hospitaliers, les membres de l'industrie pharmaceutique, les constructeurs d'appareils et de prothèses diverses, etc.

cales, les moyens diagnostiques, la compréhension des mécanismes des maladies et les thérapeutiques disponibles qui en découlent, qu'en qui concerne le champ et les conditions de l'exercice médical :

- D'abord et surtout, le *corpus des connaissances* médicales et biologiques fondamentales et appliquées s'accroît de façon quasi exponentielle avec une multiplication des disciplines fondamentales, des spécialisations cliniques et des explorations complémentaires. Chacune des spécialités médicales a ses méthodologies et ses raisonnements spécifiques qui peuvent faire perdre de vue le fil conducteur de la démarche médicale globale. Il faut s'adapter à cette situation de diversité et d'innovation grâce à un mode de pensée cohérent, suffisamment homogène pour être partagé par tous les praticiens des différents domaines de la médecine.
- Les concepts médicaux et leur expression ont évolué vers la *quantification*. La métrologie médicale et l'épidémiologie sont de plus en plus utilisées. L'épidémiologie confronte le médecin à la quantification des mortalités, des morbidités, des différents facteurs de risques. Elle est très exigeante en matière d'évaluation des manœuvres de dépistage et de prévention. Le raisonnement probabiliste, les méthodes statistiques et l'informatique, et dans certains cas même "l'intelligence artificielle" ont investi presque tous les champs de la médecine et de la biologie, entraînant un mode d'abord et l'application de méthodologies qui se différencient nettement des modes d'abord antérieurs (auxquels ils s'ajoutent).
- La médecine devient de plus en plus *efficace* du fait de la connaissance des causes et de la compréhension des mécanismes physiopathologiques qui sous-tendent les maladies et de la mise en œuvre des corrections à leur apporter. Cette efficacité s'est étendue à la plupart des domaines depuis les plus simples traitements instrumentaux ou chirurgicaux jusqu'aux traitements les plus sophistiqués de la thérapie génique qu'on commence à entrevoir, sans oublier les progrès de l'inféctiologie. Enfin, des procédures de suppléances prolongées de fonctions vitales (hémodialyse, greffes rénales et de divers autres organes ou viscères) se sont spectaculairement mises en place. Elles suppléent des fonctions vitales défaillantes et permettent des survies prolongées pour des affections auparavant mortelles à court terme. Mais les moyens utilisés relèvent de l'application de procédures et de techniques qui ne souffrent pas l'approximation. La plus grande rigueur y devient de mise. Un raisonnement et un abord irréprochables deviennent une nécessité absolue.
- Nombre d'événements de société extérieurs à la médecine s'imposent à elle ou interfèrent avec l'exercice professionnel. Les exigences des patients augmentent. Le poids de la société sur le contrôle des dépenses de santé se fait de plus en plus lourd car certaines innovations médicales ont des répercussions économiques majeures. Celles-ci impliquent une évaluation des procédures pour une recherche maximale d'efficacité au moindre coût et elles amènent à encadrer les comportements médicaux. Par ailleurs, de nouvelles situations sociales se créent, de nouvelles règles et de nouvelles législations sont établies entraînant des modifications des conditions d'exercice. Les notions juridiques se modifient, les rapports entre médecins et patients évoluent. Les migrations de populations confrontent les praticiens à de nouveaux problèmes. Les patients, qu'il faut examiner et traiter, ont des caractéristiques et des pathologies souvent très différentes (maladies parasitaires et exotiques). Les sujets n'appartiennent plus à la même culture ou ne se rattachent plus à des valeurs sociales communes (comme il y a seulement quelques décennies).
- Une *multiplication des discours médicaux* s'est produite. Certains émanent de scientifiques "purs", ce qui peut entraîner une inadéquation de points de vue avec les interlocuteurs médicaux de terrain. D'autres ont une base irrationnelle. La multiplication des médecines dites "parallèles" en est un indice, ainsi que la persistance de la pensée magique, encore très répandue dans le public et qui concerne même certains médecins. On peut conclure, de leur persistance et de leur succès, que la médecine scientifique ou plutôt son application n'ont pas réussi à donner d'elles une image suffisamment attrayante et satisfaisante.

Devant les évolutions de la médecine et de son exercice, deux attitudes sont désormais possibles chez le médecin :

- Une attitude passive consistant en l'attente de documents de mise au point ou de mise à jour sur l'état des questions et en l'application de recommandations ou de recettes toutes faites, ce qui implique la délégation à une partie du corps médical et scientifique des facultés de raisonnement et de prise de décision. Cela paraît en contradiction avec tout le passé humaniste et philosophique de l'exercice médical.
- Une attitude active, de critique de compréhension et d'analyse, et même de participation à l'élaboration des connaissances. Cela paraît conforme aux aspirations de ceux qui embrassent une carrière médicale et aux traditions humanistes de l'exercice médical. Seule cette dernière attitude permet de se retrouver dans la multitude des informations, d'en retenir celles qui paraissent scientifiquement valables et utiles, d'en faire la synthèse, d'en juger la valeur humaine et de les utiliser au mieux pour prendre les décisions.

Pour permettre cette attitude active, il apparaît que l'éducation médicale nécessite un certain nombre de changements et d'adaptations :

- Tout d'abord, en ce qui concerne le corpus des connaissances, il est nécessaire que tous les médecins aient la maîtrise des moyens et méthodes permettant de le comprendre et de l'acquérir, *mais aussi, et surtout, de juger et de pouvoir critiquer les nouveautés* du savoir médical. Cela concerne aussi bien les médecins qui, par leurs travaux, participent à l'élaboration des connaissances nouvelles, que ceux qui participent à leur évaluation et les praticiens qui en assurent et en adaptent l'application.
- Puis, en ce qui concerne *l'application pratique et les décisions*, une méthodologie d'application de ces connaissances médicale devient nécessaire. Cette application se révèle de plus en plus délicate en raison de la complexité croissante des problèmes et du retentissement dans les domaines familial, social, psychologique et, enfin, économique. C'est dire que la mise en œuvre des processus permettant la séquence du diagnostic, base de toutes les démarches ultérieures, puis de l'établissement du pronostic et du traitement ne peut se concevoir qu'avec une méthode correcte.
- De plus, aussi bien les problèmes de pratique quotidienne que les recherches innovantes se doublent de ceux, aussi fondamentaux, d'éthique qu'ils soulèvent. Cette grande efficacité dont les médecins se sont dotés n'est pas sans entraîner des problèmes éthiques concernant notamment le respect de la personne humaine, de l'espèce et du patrimoine génétique humains. Ils se doublent de problèmes de bioéthique qui interfèrent continuellement avec les possibilités d'action qu'ouvrent les capacités techniques des applications de la biologie à la médecine. Et ce sont, essentiellement, ces innovations, ouvrant des possibilités inimaginables il y a quelques décennies, qui posent les plus aigus des problèmes éthiques.

Il est indispensable, pour toutes les raisons évoquées ci-dessus, de disposer d'un raisonnement médical, à la fois rigoureux et éthique, susceptible de diriger pour le mieux les activités diagnostiques, pronostiques, thérapeutiques... de l'exercice médical et de permettre ainsi, in fine, la prise des meilleures décisions compte tenu de l'état de la science médicale du moment.

*En conclusion*, un raisonnement médical pertinent et adéquat est la boussole nécessaire aux médecins de toutes disciplines.

Cet ouvrage a été conçu pour servir d'outil d'éducation aussi bien pour les médecins que pour tous ceux qui s'intéressent à la médecine. Il tente de présenter les modes de raisonnement fondamentaux utiles, *d'une part*, à l'acquisition, à la mise à jour et à la critique des connaissances médicales et, *d'autre part* et surtout, à la maîtrise de leur application. Il peut ainsi être utile pour remédier aux déviations de pratique observées, qu'elles aient pour origine une déficience des connaissances (savoir), ou de la mise en œuvre des connaissances dans l'exercice proprement dit (savoir-faire).

# HISTOIRE DU RAISONNEMENT MÉDICAL DANS LE MONDE OCCIDENTAL

## INTRODUCTION

Les notions développées dans ce chapitre introductif sont une schématisation très élémentaire de l'histoire du raisonnement médical. L'individualisation de ce raisonnement pose elle-même des problèmes et il est très vraisemblable qu'à certaines périodes, ce que nous considérons actuellement comme le raisonnement médical n'existait pas et que les individus qui agissaient dans le champ de la médecine utilisaient d'autres modes de pensée. Les premières conceptions de la médecine s'apparentaient, très vraisemblablement, à une sorte de délégation d'une fonction magique ou sacerdotale à certains individus. Il est probable aussi que ces conceptions devaient varier suivant les groupes humains concernés.

L'examen de l'évolution du raisonnement médical au cours du temps - et surtout au cours des deux derniers siècles - peut permettre de mieux saisir les mécanismes qui sous-tendent l'état actuel de la pensée médicale dans le monde occidental en ce début de XXI<sup>e</sup> siècle.

Il est certain que cette évolution ne peut être considérée comme solidement étudiée que pour certaines périodes et certains pays. En effet, les pratiques des périodes préhistoriques ne peuvent qu'être suspectées ou imaginées, faute de preuves directes. Mais, même en ce qui concerne les périodes historiques, il est certain que nous ne disposons que de connaissances fragmentaires et il est bien improbable que les écrits sauvegardés de ces diverses périodes puissent résumer tous les modes de pensée des médecins qui en étaient les contemporains.

Toutefois, on peut essayer de retracer les grands traits de l'évolution des "mentalités médicales" et de les replacer dans le contexte historique où elles s'exprimaient. Il est très intéressant, à cette occasion, d'essayer de reconnaître, malgré les différences d'expression, une part constante et "intemporelle" des mécanismes de la pensée médicale. Cela permettra de mieux saisir ce qu'il y a de plus utile aujourd'hui dans cet éventail des modes de pensée et d'en tirer profit, autant que possible.

## UN APERÇU D'HISTOIRE

### La médecine des temps préhistoriques

Peu de traces permettent de se faire une idée des conceptions médicales, probablement très nombreuses et variées, des époques préhistoriques. L'étude de l'archéo-pathologie nous apprend toutefois que certaines lésions constatées sur les squelettes de ces époques relevaient d'une intervention humaine particulière. La cicatrisation de certaines trépanations indique en effet qu'elles ont été réalisées à dessein. Toutefois il est difficile de savoir s'il s'agissait de pratiques rituelles ou thérapeutiques.

Qui exerçait alors la médecine ? Celle-ci était-elle dévolue à des "spécialistes" ? À des sorciers comme le suggère les observations des ethnologues de certaines peuplades africaines ou océaniques ? Mais les guerriers et les chasseurs devaient aussi avoir un certain savoir-faire dans le traitement des blessures.

Il est très vraisemblable que ces époques étaient caractérisées par un environnement mental marqué par la magie. Cette même mentalité magique caractérise la plupart des croyances et des pratiques dans les tribus isolées de chasseurs-cueilleurs que les ethnologues ont pu observer. Mais ces rapprochements sont hypothétiques et probablement assez discutables. \*

\* L'intervention de puissances maléfiques y est habituellement invoquée. Il est question d'envoûtement, de sortilèges, de mauvais sorts, d'agents surnaturels pénétrant dans le corps des personnes atteintes. La médecine est, elle-même, conçue comme le recours à des forces surnaturelles, occultes et mystérieuses qui chassent le mauvais sort par des incantations et des rituels. Il n'y a pas de raisonnement médical au sens où nous l'entendons, c'est-à-dire qu'il n'y a pas une suite discursive d'actes intellectuels cohérents permettant d'établir une conception basée sur la réalité des faits observables. Par contre, des individus appelés mages ou sorciers ou guérisseurs opposent des rituels de magie ou de sorcellerie. Il est probable que des phénomènes de suggestion interviennent dans ces conditions et entretiennent l'illusion d'une efficacité.

Il faut tout de même noter que dans ces groupes "primitifs", des pratiques empiriques tout à fait rationnelles (comme des sutures grossières de plaies et d'autres manœuvres utiles en traumatologie comme l'immobilisation de membres blessés par des attelles de fortune) coexistent avec les pratiques magiques précédemment citées.



Magie et théurgie semblent avoir été les fondements des croyances médicales de l'époque qui a vu apparaître les premières manifestations de civilisation de l'humanité. Dans ces modes de pensée, la croyance en des phénomènes surnaturels ou cosmiques les fait considérer comme les responsables de la pathologie observée.

## Les débuts des temps historiques

Les temps historiques (définis par l'apparition de l'écriture) coïncident avec la médecine théurgique. C'est le cas des médecines babylonienne et égyptienne qui étaient encore très fortement imprégnées de notions d'interventions de diverses puissances magiques et de la divinité. L'interprétation des astres et des présages semble avoir été privilégiée par la médecine babylonienne tandis que la médecine égyptienne attribuait les maladies à l'intervention de puissances surnaturelles et avait recours à l'invocation des dieux pour obtenir la guérison. Cependant les papyrus révèlent, dès cette époque, des descriptions assez bien faites de maladies reconnues. Certains médicaments et onguents accompagnaient les incantations. Il semble que la médecine égyptienne ait, en partie, servi ultérieurement de référence à certains médecins grecs.

Magie et surtout théurgie sont restées très présentes dans les croyances et les pratiques médicales du début de l'époque historique de l'humanité. Mais des éléments ou notions tirés de l'observation sont recueillis et utilisés.

## Les premiers éléments de raisonnement

La rationalité apparaît dans la médecine de la Grèce antique. Initialement, toutefois, les médecins étaient des prêtres d'Asclépios (Esculape en latin) et la médecine y était exercée dans des temples. Hippocrate, bien que né d'une famille de médecins (les Asclépiades de Cos) qui étaient des prêtres d'Esculape, a posé, au <sup>ve</sup> siècle avant J.C., les bases d'une médecine dégagée de l'influence théurgique. Les données de l'observation sont très présentes chez Hippocrate ainsi que chez ses disciples (voire ses prédécesseurs car on ne connaît pas la paternité exacte des écrits qui lui sont attribués). On peut dire que cette école a inauguré les descriptions précises de plusieurs maladies, dont : la goutte, le paludisme, la lithiase, l'épilepsie qui portait auparavant le nom de "mal sacré". Cependant cette époque faisait appel à des "principes", comme le principe vital censé guérir ou la théorie des "humeurs" qui étaient des constructions spéculatives basées sur le raisonnement analogique et ne reposant sur aucune démonstration. Cette médecine se préoccupait déjà des principes moraux de l'exercice. Le serment d'Hippocrate, que prêtent les médecins lors de leur soutenance de thèse, en est le témoin encore vivant.

Dans l'antiquité, des philosophes comme Platon et Aristote ont conforté et perpétué l'esprit d'Hippocrate. Puis à l'époque hellénistique, les médecins de l'école d'Alexandrie ont développé l'étude de l'anatomie (particulièrement Hérophile), ce qui a conduit à un début de compréhension rationnelle des phénomènes.

À l'époque romaine, au <sup>II</sup> siècle après J.C., Galien, a enrichi la médecine par l'observation des faits (symptômes, anatomie et chirurgie) et par la conception d'un ensemble de théories rationnelles. Il a pratiqué aussi des expérimentations animales, en particulier des sections nerveuses qui étaient déjà des ébauches de médecine expérimentale pertinente. La médecine dite "galénique" a été enseignée, ensuite, pendant plus d'un millénaire.

Les médecins arabes comme Rhazès ou Avicenne ont maintenu cette conception et permis une sauvegarde de la médecine antique. Pendant toutes ces périodes il n'y avait pas dans les autres civilisations, même assez "évoluées", d'Asie (Inde, Chine) de médecine proche d'une médecine scientifique.

Dans l'antiquité gréco-romaine, malgré la persistance d'éléments de magie et de théurgie, l'ébauche d'une médecine basée sur l'observation des faits s'est constituée (ou confirmée ?). Par contre, dans l'interprétation de ces données d'observation, les spéculations n'ont produit que des théories non démontrées qui ont eu, néanmoins, une influence prolongée avant d'être abandonnées au <sup>XVIII</sup> et au <sup>XIX</sup> siècle.

## L'aube de la médecine scientifique

À la Renaissance, la prise en considération des faits et l'ébauche de leur compréhension sans interprétations théoriques dogmatiques commencent, à nouveau, à se faire jour. Les travaux des anatomistes, Sylvius, Vésale, Fallope, Eustache, pour ne citer que ceux dont les noms sont restés très familiers, et qui faisaient aussi des expériences sur les animaux, ont renoué avec l'observation des réalités. Ceux de certains chirurgiens, comme Ambroise Paré, ont traduit un respect accru des phénomènes constatés et des faits d'observation.

Au <sup>XVII</sup> siècle, un mouvement intellectuel se précise, qui a le souci de l'observation rigoureuse et de l'analyse critique des observations et des phénomènes. Harvey (1578-1658) décrit la circulation du sang. Sanctorius

de Padoue introduit la métrologie ou tout au moins les premières mesures en médecine (et les instruments comme la balance, le thermomètre). Malpighi découvre les cellules au microscope. Au <sup>XVIII</sup> siècle se développent l'anatomie pathologique et une anatomie précise orientée sur l'étude des voies d'abord chirurgicales (Morgagni, Scarpa, les frères Hunter, Vicq d'Azyr). La vaccination est inventée par Jenner en 1797 sur des bases d'observations empiriques mais solides de transmission de la vaccine (affection de la vache, ce qui nous vaut l'étymologie du terme provenant de vacca) mettant l'homme à l'abri de la variole. Elle n'a fait que succéder à la variolisation qui consistait à inoculer une variole bénigne, qui était un procédé beaucoup plus dangereux, mais aussi fondé sur l'observation de la réalité.

Il est incontestable que ces avancées, bien que très modestes – surtout si on les compare aux progrès des dernières décennies – ont, toutefois, un point qui les unit et les apparente aux toutes dernières trouvailles de la biologie de pointe : c'est qu'elles sont rendues possibles par un abord rationnel et scientifique des données fournies par l'observation des faits.

À partir de la Renaissance, l'ambiance intellectuelle de rationalité a commencé à féconder la pensée des médecins qui ont de plus en plus utilisé et critiqué les faits d'observation.

## Le <sup>XIX</sup> siècle

Un changement épistémologique majeur est intervenu à partir de la première moitié du <sup>XIX</sup> siècle grâce au perfectionnement de la méthode anatomo-clinique, puis s'est accéléré avec le développement de la physiologie de la médecine expérimentale et de la bactériologie.

Les "grands cliniciens", inspirés du souci de se baser sur l'observation rigoureuse des faits, ont établi la description valide de la plupart des maladies. Bichat et Laennec (l'inventeur de l'auscultation médiate) ont appuyé leurs travaux sur la méthode anatomo-clinique. Bright, Hodgkin, Corrigan, Addison, Charcot sont parmi les plus célèbres de ces descripteurs de maladies. La psychiatrie elle-même, avec Pinel, s'est orientée vers la prise en compte des données observables.

Une sémiologie rigoureuse et surtout l'étude minutieuse et la description sans cesse affinée des maladies et des lésions ont abouti, alors, à la classification méthodique des maladies et à la mise au point de la nosologie.<sup>(1)</sup>

Les travaux de Magendie et de Claude Bernard ont inauguré la *médecine expérimentale* et une nouvelle ère de la médecine basée sur l'utilisation du raisonnement scientifique et sur l'apport de la physiologie. Ceux de Pasteur ont détruit le dogme de la génération spontanée et établi les possibilités de généralisation des vaccinations.<sup>(2)</sup> Koch a édifié les fondements de l'explication des affections bactériennes. Avec Henlé, Koch a établi les "postulats" des rapports de causalité concernant les maladies infectieuses.

Dans la première moitié du <sup>XIX</sup> siècle, Louis a introduit le premier la quantification en médecine sous le nom de méthode numérique. Ses travaux ont démontré l'inutilité de la saignée (dans certaines indications) jusqu'à très largement pratiquée. Sa méthode ne fut guère suivie en France où il reste encore pratiquement inconnu. Par contre elle a été reprise et développée outre-Atlantique et en Angleterre. Ce sont ses élèves américains et anglais qui ont élaboré le raisonnement probabiliste appliqué à la médecine et qui ont mis au point l'essentiel des méthodes de statistique médicale qui y occupent une place majeure de nos jours.

Au <sup>XIX</sup> siècle, les outils épistémologiques se sont mis progressivement en place pour que, dès qu'apparaîtraient des possibilités thérapeutiques qui manquaient encore, les médecins puissent disposer des bases de reconnaissance des objets auxquels ces possibilités pourraient s'appliquer. Mais il manquait encore bien des éclaircissements sur la nature des maladies et surtout les moyens thérapeutiques restaient encore très limités.

<sup>(1)</sup> La nosologie est la discipline qui étudie les caractères distinctifs des maladies en vue de leur classification systématique. C'est la discipline spécifique et véritablement "fondamentale" de la médecine, et bien plus, pour les cliniciens, que les sciences désignées communément sous le vocable de sciences "fondamentales". Elle a, en effet, pour objet la "substance" même sur laquelle va s'édifier toute la structure cohérente ultérieure du raisonnement médical (voir le chapitre qui lui est consacré).

<sup>(2)</sup> Rappelons que la vaccination, précédée de la variolisation, avait été "inventée" de façon toute empirique sans que l'on connaisse la moindre chose sur les virus, en se basant sur l'observation de l'immunité provoquée par la vaccine bovine. Elle s'était révélée être une méthode de prévention d'une remarquable efficacité. Les travaux ultérieurs ont pris leur départ sur cette base et ont abouti, dans leur continuité scientifique, aux remarquables découvertes de l'immunologie actuelle. Ces mesures ont bouleversé des équilibres démographiques centenaires, voire millénaires pour certaines contrées.

## L'ère des progrès biologiques et thérapeutiques

Une étape cruciale a été marquée par les avancées, au XX<sup>e</sup> siècle, des sciences fondamentales qui ont permis le développement rapide des progrès thérapeutiques. Certes, le mouvement se dessinait depuis que, de façon empirique, et grâce au fruit d'une observation critiquée et raisonnée, les médecins et les chirurgiens avaient progressivement dégagé quelques procédés efficaces.

La mise en évidence des causes et des mécanismes des maladies est venue compléter les connaissances apportées par les études descriptives. Les progrès des sciences fondamentales : physique, chimie, biologie, physiologie et pharmacologie, ont permis de disposer de moyens diagnostiques et thérapeutiques très accrus. Ainsi, de plus en plus de causes et de conséquences des phénomènes pathologiques sont devenues accessibles aux traitements.

La médecine s'est retrouvée, à partir de la deuxième moitié du XX<sup>e</sup> siècle, de plus en plus détentrice de moyens d'action très importants et variés. Cette révolution n'a pu s'accomplir que parce que, parallèlement à ses propres avancées, la médecine a bénéficié de l'environnement culturel, scientifique et économique de son époque. Elle a profité des recherches, des méthodes et des résultats mis à sa disposition par les sciences fondamentales.

Ces moyens sont à l'origine de possibilités de modifications de l'évolution naturelle des maladies et pour certaines d'entre elles de guérisons. Mais, même dans les cas où ils ne permettent pas cet objectif idéal, les moyens thérapeutiques de substitution aux fonctions vitales permettent des survies très prolongées pour des affections qui étaient auparavant assez rapidement mortelles.

Les progrès de la biologie moléculaire et de la génétique réalisent l'une des dernières étapes majeures de la biologie et de son application à la médecine. Les concepts qu'elles utilisent représentent une révolution de la pensée et les techniques qu'elles rendent possible posent des problèmes concernant le devenir du vivant. Les avancées se font à une vitesse de plus en plus grande. De véritables exploits ont été réalisés, comme le clonage d'animaux qui laisse entrevoir une possibilité de réalisation chez l'homme de clonage "thérapeutique". Les problèmes d'éthique que ces avancées soulèvent sont à la hauteur des capacités de transformation du monde biologique qu'elles rendent possible.

### La médecine scientifique actuelle

La médecine actuelle est donc l'aboutissement d'une longue évolution. On peut la décrire schématiquement de la façon suivante :

- 1) **L'exercice de la médecine s'inscrit dans le cadre de principes rationnels acceptés implicitement et, le plus souvent explicitement, par les acteurs de la médecine du monde occidental contemporain.**
- 2) **L'exercice de la médecine s'appuie sur des notions établies par la science médicale, même s'il persiste des résistances et des pressions variées de l'environnement culturel, social... vers d'autres directions.**
- 3) **Une médecine efficace ne peut se concevoir sans ces bases scientifiques de l'élaboration des connaissances médicales et des actes médicaux.**

Le raisonnement médical se construit sur un processus intellectuel rationnel qui régit la démarche scientifique des sciences de la nature en général (voir les chapitres traitant de l'épistémologie). Habituellement, ce raisonnement scientifique procède par induction à partir des données observées et progresse par un raisonnement hypothético-déductif aboutissant, in fine, à la validation des hypothèses.

Il faut toutefois faire remarquer les difficultés rencontrées quand on veut respecter strictement ces conditions. En effet, dans les autres sciences inductives, il est usuel de répéter les expérimentations confirmatives ou de réfutation et de n'accepter les hypothèses que lorsqu'on s'est efforcé sans succès de les infirmer. Chez l'homme, pour des raisons éthiques évidentes, on ne peut le faire.

Ces méthodes de plus en plus rigoureuses et contrôlées ont abouti à la constitution d'un corpus de connaissances.

### Le corpus des connaissances médicales

C'est l'état actuel des connaissances cumulées dans les différents domaines de la science médicale (clinique, examens complémentaires, physiopathologie, biologie et toutes sciences fondamentales appliquées à la médecine).

On peut schématiquement diviser ce corpus en deux grandes catégories :

- La science spécifiquement médicale qui aboutit aux procédures de prise en charge des patients.
  - Les sciences biologiques associées qui permettent la compréhension des mécanismes de la biologie normale et pathologique et leur utilisation pour la conception et l'application des méthodes thérapeutiques.
- Ces deux catégories schématiques ne s'opposent pas mais sont complémentaires et intimement unifiées au niveau conceptuel par une conduite logique commune qui est l'application du raisonnement scientifique. Ces notions seront développées plus bas, dans les chapitres consacrés à l'élaboration des connaissances médicales.

### L'exercice médical proprement dit

Il a aussi évolué et s'est adapté plus ou moins bien à ces transformations qui ont été apportées par l'introduction du raisonnement scientifique dans l'élaboration et la mise en application de connaissances rigoureusement établies.

L'élaboration et l'évaluation scientifiques des connaissances ainsi que leur application se sont de plus en plus clairement vu attribuer la reconnaissance qu'elles méritent. Le phénomène est généralisé dans le monde occidental et le rapport Flexner a mis fin en 1910, aux États-Unis, aux pratiques auparavant incontrôlées des multiples autres disciplines médicales non scientifiques.

Malgré cette recherche de connaissances rigoureusement contrôlées, ce qui différencie la médecine humaine scientifique de la médecine expérimentale et de la médecine vétérinaire, par exemple, qui ont cependant le même support biologique, se situe à un niveau totalement différent. Il s'agit de considérations philosophiques et éthiques liées à l'Humain (et qui seront développées en particulier dans le chapitre consacré à l'éthique). Les protocoles expérimentaux et les prises de décision au moment de l'application aux individus ou aux populations concernées des progrès des sciences fondamentales doivent prendre en considération ces notions. Quant aux problèmes soulevés par les applications des connaissances en biologie moléculaire, en génétique et en reproduction humaine, on peut dire qu'ils mettent en cause des notions philosophiques et éthiques bien plus fondamentales que l'application des progrès techniques que la science a rendu possibles.

**L'aboutissement de cette évolution historique est la médecine actuelle qui comporte deux volets : le corpus des connaissances médicales, c'est-à-dire la Science médicale, et l'exercice médical proprement dit qui en est sa mise en pratique.**

### La médecine scientifique et les mentalités ambiantes en ce début de XXI<sup>e</sup> siècle

Dans le contexte actuel, le concept de médecine scientifique est plus ou moins bien accepté. Il persiste, encore, une grande part d'irrationnel et de pensée magique chez de nombreux malades et, aussi, une perception incertaine du concept rationnel chez certains médecins. Nous aurons l'occasion d'y revenir à propos, en particulier, des médecines dites "alternatives" et de la communication médecin-malade.

Bien des perturbations de la logique affectent aussi plus ou moins certains médecins. Cela se manifeste surtout en matière de compréhension des rapports de causalité et, spécialement, pour ce qui concerne les conduites thérapeutiques, mais aussi de dépistage et de prévention. S'il est difficile de faire admettre à de nombreux patients que ce qui suit une manœuvre thérapeutique n'est pas obligatoirement le résultat (bénéfique ou néfaste) de cette manœuvre, il est tentant, par ailleurs, pour un médecin de s'attribuer le mérite des évolutions favorables éventuelles quelle qu'en soit la cause réelle. Mais alors, il faut qu'il craigne, en retour, qu'on ne lui impute aussi les évolutions défavorables et les complications éventuelles.

### Le paradoxe de la médecine actuelle

La médecine est parvenue actuellement à un haut degré de rigueur et d'efficacité. Or il est assez paradoxal de constater que, au fur et à mesure que le raisonnement médical s'est rationalisé et que les moyens de la médecine ont gagné en efficacité, le prestige des médecins a pu diminuer.

L'explication de ce phénomène est certainement très complexe. Il faut faire intervenir de nombreux facteurs. Les plus clairs sont : la banalisation des consultations médicales, le caractère technique de beaucoup d'actes médicaux (qui s'accompagne d'exigence de résultats mesurables quand ce n'est de demande d'obligation de succès), l'irruption dans les rapports entre médecins et malades de nombreux intermédiaires et de notions étrangères à la médecine comme celles de l'économie, la tendance du public à assimiler, sans grand discernement, la médecine à une science banale, voire à une technique comme les autres. Ainsi s'instaure une tendance à considérer la médecine comme une discipline compréhensible, sans la longue éducation en fait nécessaire, par n'importe quel scientifique et même par quiconque assez informé.

C'est négliger la nature de la pratique médicale, qui porte sur des patients par définition fragilisés du fait de leur condition pathologique, et chez lesquels la gravité de l'évolution naturelle peut parfois se montrer au delà de toute ressource thérapeutique.

C'est, surtout, négliger l'abord humain et le savoir-faire, qui sont les points les plus délicats à acquérir dans l'apprentissage de la médecine de soins. Il faut admettre qu'ils sont "praticien-dépendants", et cela peut apparaître en opposition avec le déploiement de la technologie contemporaine. Quelles que soient les raisons de cette évolution des mentalités, il est certain qu'elle peut perturber certaines modalités de fonctionnement du raisonnement médical.

Le rapport de confiance réciproque institué lors du classique "dialogue singulier" entre médecin et malade tendance à se transformer en une exigence de résultats de la part du patient. Ces notions sont relativement nouvelles en France. La tendance à l'imitation des pratiques d'outre-Atlantique et l'uniformisation des modes de vie et de pensée anglo-saxonnes qui se généralisent accentuent cette évolution et ces dispositions d'esprit.

Il est à espérer que, malgré cela, le rapport de confiance ne se transformera pas en un rapport de crainte de procédure ! Les motivations des médecins risqueraient de s'en trouver profondément affectées, sans qu'il soit certain que cela tourne à l'avantage du patient si les médecins étaient amenés, dans leur raisonnement, à privilégier leur protection juridique aux dépens d'un raisonnement intégralement médical et exempt de ce genre d'arrière-pensées.

**Le raisonnement médical est actuellement arrivé au stade où les concepts biologiques qui forment le corpus des connaissances médicales ne peuvent que se conformer de plus en plus aux lois générales des sciences de la nature.**

**Par contre, l'application de ces connaissances scientifiques ne peut que s'adapter à des situations où des considérations humaines interfèrent avec la science médicale, inspirée des lois biologiques, pour en infléchir la mise en pratique.**

#### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Le raisonnement médical a subi des transformations importantes depuis les temps préhistoriques où, dans les sociétés humaines, certains se sont préoccupés de la maladie des autres.
- La science médicale a été élaborée avec un certain retard par rapport aux autres sciences de la nature. Mais, en tant que discipline scientifique, elle occupe désormais sa place parmi elles. Encore faut-il remarquer que l'objet de la science médicale est assez hétérogène et que la rigueur des méthodes d'étude, en est le seul dénominateur commun. La nature des sujets qu'elle étudie fait que, faute de manquement grave à l'éthique, on ne peut appliquer qu'une partie de ces méthodes scientifiques qui seraient, autrement, requises pour compléter le corpus des connaissances.
- Quant à l'exercice proprement dit, son évolution est encore en cours. Il est nécessaire qu'il s'améliore. L'application d'un raisonnement médical rigoureux est la condition d'une médecine de qualité et d'efficacité optimales. Mais cette pratique ne peut négliger le caractère humain de l'objet d'application de cette discipline scientifique. De multiples interférences, dues au fait que la médecine s'applique à l'humain, expliquent que le raisonnement médical, en outre des données biologiques, doit tenir compte de multiples autres facteurs qui seront selon les cas, économiques, éthiques ou moraux, législatifs ou réglementaires, philosophiques ou religieux, environnementaux, etc.

#### POUR EN SAVOIR PLUS

- BARIETY M., COURTY CH. Histoire de la Médecine. Paris, Fayard, 1963.
- BERNARD C. Introduction à l'étude de la Médecine Expérimentale (reprint). Paris, Flammarion, 1994.
- GRMEK MD. (Editeur). Histoire de la pensée médicale en Occident. Adaptation et traduction française. Paris Édition du Seuil 1995 (Tome 1), 1997 (Tome 2), 1999 (Tome 3).
- LICHTENFHAELER Ch. Histoire de la Médecine. Paris, Fayard, 1978.

- LOUIS PCA. Recherches sur les effets de la saignée dans quelques maladies inflammatoires et sur l'action de l'émétique et des vésicatoires dans le pneumonie. Paris, JB. Baillière, 1835.

- OBER KP. The pre-Flexnerian reports : Mark Twain's criticism of medicine in the United States. Ann Intern Med 1997; 126: 157-163.

- POPPER K. La logique de la découverte scientifique (Traduction française). Paris, Bibliothèque Scientifique Payot, 1990.

- TATON R. (Dir.). La science antique et médiévale. Des origines à 1450. Paris, Quadrige/Presses universitaires de France, 1994.

**PARTIE I**  
**Élaboration**  
**des connaissances médicales**

## NOTULE INTRODUCTIVE

Dans la médecine scientifique actuelle, la rationalité régit l'élaboration de tout le corpus des connaissances. Elle régit tous les travaux qui vont de la conception des méthodes diagnostiques et pronostiques, de la reconnaissance des mécanismes physiopathologiques au traitement que, par voie de conséquence, on peut concevoir, tester et, enfin, appliquer. Il en est de même pour les mesures de prévention. La rationalité devrait de même imprégner l'ensemble de la prise en charge des décisions médicales et les problèmes de santé publique. Ceci ne veut pas dire que des considérations philosophiques ou éthiques sont exclues du raisonnement médical. Ce serait un non-sens, car toute la signification de l'acte médical et la dignité de la médecine reposent, en fait, sur des concepts moraux ou éthiques. Mais la démarche du raisonnement scientifique permet, à partir des faits d'observation, de préciser la réalité objective sur laquelle seront basées les connaissances. Celles-ci permettront ultérieurement les prises de décisions individuelles, s'adressant aux malades, ou collectives, et s'adressant aux populations en matière de santé publique. \*

Il ne sera pas question dans la partie qui va suivre de considérations théoriques approfondies d'ordre philosophique mais de l'exposé des éléments de base qui interviennent le plus souvent en médecine dans le processus discursif allant des faits (faits bruts tels qu'ils se présentent à l'observateur et en dehors de toute interprétation) à leur explication et à leur interprétation logique et cohérente par la confirmation des hypothèses pour, in fine, en tirer les conséquences pratiques qui en découlent. Pour maîtriser ces notions il est nécessaire que tous les médecins disposent des outils intellectuels adéquats leur permettant de contrôler la valeur des informations et des publications qui leur sont délivrées. \*\*

*En médecine, l'utilisation et la maîtrise des bases épistémologiques sont donc indispensables pour la recherche et pour la progression des connaissances. Elles sont, en outre, très utiles pour améliorer le raisonnement appliqué à la pratique usuelle.*

\* En effet, l'observation quotidienne des pratiques montre que, au lit du malade, les médecins utilisent souvent des hypothèses, comme font les scientifiques. Cette observation montre aussi combien certaines explications des praticiens peuvent se révéler fallacieuses et erronées. A titre d'exemple, la succession temporelle de deux événements est souvent interprétée, de façon hâtive et simpliste, comme une relation de causalité alors que plusieurs autres possibilités d'explication existent, comme la simple coïncidence ou l'existence d'une cause unique en amont tenant sous sa dépendance les deux phénomènes (voir plus bas). Or, à partir de ce type d'erreur on peut être amené à proposer des traitements de la "cause présumée" alors qu'ils n'ont aucune justification réelle. Il en est de même de certaines attitudes inspirées de raisonnements physiopathologiques d'apparence correcte mais en fait insuffisamment critiqués et faux. On peut même voir certains médecins s'aligner, sans aucun esprit critique, sur les explications ou considérations causales que leur suggèrent leurs patients ou l'entourage, lesquels n'ont le plus souvent ni la compétence ni les qualités critiques affînées indispensables pour inférer dans ce domaine!

\*\* Ces développements pourraient paraître superflus. On pourrait penser qu'il existe, au sein de la communauté médicale et des comités de lecture des journaux médicaux et scientifiques, assez de personnalités garantes de la qualité des travaux scientifiques et assez de chercheurs chevronnés s'évaluant mutuellement et veillant à la qualité des publications, pour que l'on puisse admettre que celles-ci ont la fiabilité requise pour pouvoir être acceptées comme vérité prouvée. L'expérience quotidienne montre, hélas, que ce n'est pas toujours le cas et que des scientifiques peuvent se tromper de bonne foi ou même se comporter frauduleusement.

Un pareil mode de pensée est de toute façon inacceptable. Ce serait demander une sorte de "foi du charbonnier". Ce serait la négation de tout esprit critique et l'acceptation du dogme de l'autorité de certains pour la conception, la réalisation des études et la validation des publications. Or admettre sans comprendre est anti scientifique et désastreux pour l'esprit critique si nécessaire en science et en médecine. Cette démarche intellectuelle ne serait guère meilleure que celle qui invoquerait l'infaillibilité de l'enseignement des aînés, même si cet enseignement par compagnonnage est irremplaçable pour l'indispensable apprentissage de la pratique médicale. Les connaissances actuelles ne sont pas à l'abri d'un examen critique et elles doivent subir un réexamen chaque fois que cela apparaît nécessaire. Il en est particulièrement ainsi toutes les fois que se révèle un sujet de controverse. De plus, il est capital de savoir si les conclusions d'un travail de recherche sont applicables au problème précis que l'on a à résoudre, et cela est impossible à réaliser si on ne dispose pas de l'outil critique nécessaire.

# Chapitre 1

## NOTIONS D'ÉPISTÉMOLOGIE GÉNÉRALE

### POUR LES SCIENCES DU VIVANT

l'épistémologie est l'étude des sciences, c'est-à-dire des principes, des méthodes et des outils intellectuels utilisés dans les sciences, d'une façon générale.

Il n'y a pas de sciences sans méthodes. Deux types de méthodes contribuent à l'élaboration des connaissances dans les sciences de la vie (auxquelles nous nous restreindrons - et à l'exclusion des sciences physiques et surtout des mathématiques) : les méthodes d'observation ou de description du réel, et les méthodes d'interprétation du réel, largement basées sur des raisonnements.

#### LES OUTILS DE LA MÉTHODE SCIENTIFIQUE, L'OBSERVATION ET LA DESCRIPTION DU RÉEL

##### L'observation et la mesure

L'observation est, et sera toujours, le fondement de la démarche scientifique dans le domaine du vivant. Contrairement à la mathématique par exemple, les faits objectifs observés représentent la réalité elle-même. Rigueur et objectivité de l'observation sont donc nécessaires afin de rassembler des données qui seront ensuite soumises à l'analyse.

**Données (nom) :** ce qui est perçu immédiatement par observation et indépendamment de tout raisonnement : il s'agit du fait conscient irrécusable.

**Donné (adjectif) :** ce qui se présente à la conscience. Il s'agit d'un adjectif qui peut désigner aussi bien les faits bruts que d'autres éléments qui parviennent à la conscience.

Il est souhaitable, toutes les fois que cela est réalisable, d'exprimer les données de l'observation sous une forme quantifiée, c'est-à-dire sous la forme de mesures.

**Mesure :** quantification d'un phénomène. La qualité d'une mesure est donc la capacité de cette mesure à bien rendre compte du phénomène. Elle dépend de deux notions : la fiabilité et la validité (qui seront développées au chapitre "Métrologie médicale").

##### La taxinomie

La constatation de régularités et de similarités entre les phénomènes observés a conduit les observateurs à ranger ces phénomènes dans des classes.\*

**Taxinomie (ou Taxonomie) :** science des lois de la classification. Elle sert à créer les objets de la classification, c'est-à-dire les catégories qui serviront ultérieurement pour les reconnaissances ou autres identifications.

\* Le processus classificateur existe dans toutes sociétés humaines, y compris les plus "primitives" ainsi que C. Lévi-Strauss l'a montré. Dans les sciences du vivant, les premières bases des classifications des êtres vivants ont été posées par Aristote, mais c'est au XVIII<sup>e</sup> et au XIX<sup>e</sup> siècle que la taxinomie a connu son véritable essor avec Linné, Buffon et Lamarck. Des classifications de plus en plus précises des êtres vivants (plantes, animaux) ont vu le jour, suivies, dans le domaine de la médecine, ainsi qu'on le verra plus loin (chapitre "Nosologie") par l'élaboration de nombreuses classifications de maladies.

**Classification :** a) action intellectuelle de distribuer par classes ou par catégories (Larousse, Littré) ; b) résultat de cette action. Ce concept comporte la notion de définition rationnelle des classes attribuées et implique la justification de leur création. Il s'agit donc d'une notion préalable et plus abstraite que celle de classement.

**Catégorie** : ensemble de personnes ou de choses de même nature. Variété de classe ou d'espèce ou de genre.

**Classe** : ensemble d'individus (ou d'objets) ayant des caractères communs.

**Classement** : a) action concrète de ranger dans un certain ordre préalablement défini ;  
b) façon dont un ensemble est rangé.

Même si le sort de toute classification est d'être corrigée, remaniée ou affinée par la prise en compte de nouvelles connaissances (notamment, les espèces sont subdivisées en de nouvelles espèces), les systèmes taxinomiques ont souvent un intérêt considérable dans la mise en ordre du savoir scientifique, qu'ils permettent de quelque sorte de récapituler, de totaliser et de stabiliser (avant une nouvelle expansion).<sup>(1)</sup>

## LES OUTILS DE LA MÉTHODE SCIENTIFIQUE, L'INTERPRÉTATION DU RÉEL LES RAISONNEMENTS \*

### Définitions

Quand il est confronté à un problème à résoudre (jugement, prévision...), l'homme doit mettre en œuvre des mécanismes mentaux qui lui permettront d'aboutir à une conclusion, à porter une *inférence*. Il est des cas où ces mécanismes sont effectués intentionnellement, en pleine conscience, sous forme d'enchaînements de propositions ou d'énoncés, ces enchaînements ou concaténations obéissant à des règles : il s'agit du *raisonnement* proprement dit.

Toutefois, l'expérimentation psychologique a également montré qu'il est des situations très fréquentes, où les mécanismes mis en œuvre empruntent des voies plus simples et plus rapides pour aboutir à une inférence : ces mécanismes sont appelés *heuristiques* par Kahneman et Tversky. Ils seront analysés en détail ultérieurement (voir le chapitre "Différentes façons de penser en médecine").

**Inférence** : passage d'un admis initial à un admis qui est accepté à cause de sa connexion avec celui-ci (à différencier de l'induction - dont la définition donnée plus bas).

**Raisonnement** : enchaînement d'énoncés ou de représentations, respectant des contraintes ou règles susceptibles d'être explicitées, et conduit en fonction d'un but.

**Heuristique** : raccourci mental, généralement inconscient, utilisé pour aboutir à une inférence. Elle n'a pas de place dans l'élaboration scientifique.

Le raisonnement conscient peut prendre plusieurs formes qui veulent être rigoureuses ou fautives selon le contexte. On en distingue trois formes principales, par ancienneté de formalisation : le raisonnement par analogie, le raisonnement déductif et le raisonnement inductif.

<sup>(1)</sup> On reverra leur importance fondamentale en médecine dans le chapitre "Nosologie".

### Le raisonnement analogique

Le raisonnement par analogie est extrêmement ancien et répandu; il a connu une fortune considérable en Europe, notamment à l'époque médiévale.

Le principe du **raisonnement analogique** est le suivant : si A donne B selon un certain rapport (B/A), et si C ressemble à A, alors C donnera D selon le même rapport (B/A), c'est-à-dire en langage courant "les mêmes causes produisent les mêmes effets".

Le raisonnement est rigoureux quand il prend la forme d'une proportionnalité :  $A/B = C/D$  (D est bien égal à  $C * B/A$ ). Il ne l'est évidemment plus dans toutes les autres situations.

Le raisonnement par analogie a été peu à peu discrédité dans le monde scientifique à l'époque moderne, sous l'influence de Descartes ("déductiviste") puis de Bacon, Hume et Newton ("inductivistes"). Il reste toutefois encore très largement utilisé dans la vie quotidienne, où il encombre la langue d'idiotismes comme le "virus informatique" ou "la fièvre du samedi soir", en droit, où il est à la base de la notion de jurisprudence, mais encore dans la recherche scientifique, où il est utilisé en tant qu'outil heuristique ou expérimental. Il est, encore au XX<sup>e</sup> siècle, à l'origine de découvertes comme la mécanique ondulatoire. De nombreuses doctrines médicales passées (humorisme, astrologie, paracelsisme) ou encore pratiquées (homéopathie) sont fondées sur une physiopathologie de type analogique.

### Le raisonnement déductif

Les sciences du vivant, qui sont des sciences d'observation, n'utilisent pas le raisonnement déductif dans sa forme pure, mais ont très fréquemment recours à une de ses variantes, le raisonnement "hypothético-déductif". Afin de bien comprendre ce dernier, plusieurs notions sur le raisonnement déductif doivent être d'abord rappelées.

Formalisé par Aristote sous la forme du syllogisme, le *raisonnement déductif* stipule que si certaines propositions sont acquises (vraies ou fausses), d'autres, qui en sont les conséquences, le seront également. Les propositions initiales, au nombre de deux, sont appelées *prémisses*, la troisième est appelée conclusion.

**Raisonnement déductif** : processus qui conduit, sur la base de prémisses fondatrices ou de propositions formulées à partir de données d'observation ou d'expérience, à des conclusions qui en découlent rationnellement par enchaînement et de façon intelligible.

**Syllogisme** : type de raisonnement déductif qui permet, à partir de deux "prémisses", de tirer une conclusion certaine. Ce type de raisonnement ne vaut que par la valeur des prémisses. Si celles-ci sont fausses, la conclusion l'est aussi.

Un exemple très classique de syllogisme est :

- (1) Tous les hommes sont mortels.
- (2) Socrate est un homme.
- (3) Donc Socrate est mortel.

Dans le syllogisme, on distingue une prémisses majeure ou conditionnelle (Tous les hommes sont mortels), une prémisses mineure (Socrate est un homme) et une conclusion (Socrate est mortel). La prémisses majeure contient le grand terme (mortel) qui est une propriété ou *prédicat*, et le moyen terme (homme) qui est un objet; la prémisses mineure contient le moyen terme (homme) qui est ici prédicat et le petit terme (Socrate) qui est l'objet. Ces éléments sont indépendants du contenu : on pourrait remplacer Socrate par n'importe quel nom, "mortel" par "mammifère", la conclusion serait toujours valide : le syllogisme garantit que la conclusion est vraie si les prémisses sont vraies. Le syllogisme Socrate... pris comme exemple a des caractéristiques formelles bien spécifiques : toutes les propositions sont affirmatives, les termes et les prédicats ont une certaine place dans les propositions..., mais d'autres combinaisons sont possibles : en théorie 256, en pratique 19 seulement.

Interprétés en termes d'implication, deux formes de syllogismes peuvent être distinguées :

- le *modus ponens* (MP) :

(1) Si A alors B ;

(2) A ;

(3) donc B.

(le syllogisme Socrate ci-dessus est de ce type),

- et le *modus tollens* (MT) :

(1) Si A alors B ;

(2) non B ;

(3) donc non A.

Par exemple :

(1) Le médicament X guérit tous les cancéreux.

(2) J'ai vu un cancéreux ayant pris le médicament X mourir de sa maladie.

(3) Donc il est faux le médicament X guérit tous les cancéreux.

On voit sur cet exemple l'intérêt mais aussi les limites de l'utilisation pratique des syllogismes : ils font appel à une syntaxe rigoureuse mais appliquée à des termes qui peuvent être équivoques (Socrate peut être immortel par sa renommée...); les relations entre les propositions ne se font que par l'intermédiaire des propriétés (prédicats) des éléments (objets) : les hommes sont mortels, le médicament guérit les cancéreux, Socrate est un homme, le cancéreux n'est pas guéri... C'est la nécessité d'envisager d'autres types de relations entre les objets (implication, conjonction, disjonction, ...) et d'utiliser des formulations univoques et donc symboliques plutôt que langagières qui a donné naissance à la logique formelle, à la fin du XIX<sup>e</sup> siècle. La logique formelle, branche à part entière des mathématiques, a entretenu à son début le rêve de pouvoir réduire le raisonnement au calcul avant d'y renoncer face à l'irréductibilité de certains paradoxes (des variations du célèbre paradoxe d'Epiménide "Je mens"), puis avec Gödel : un raisonnement logique peut bien ne pas donner de conclusion.

Constituée par Aristote, la logique formelle ancienne, encore approuvée par Kant comme une chose achevée et immuable, est, en fait, considérée actuellement comme une logique parmi d'autres.

On désigne actuellement sous la dénomination de "logique" un système particulier partant d'un ensemble d'axiomes et fait de règles de déduction. On peut ainsi constituer une logique non bivalente, alors que la logique bivalente ne reconnaît que deux seules valeurs : vrai ou faux.

**Logique** : partie de la philosophie qui concerne la détermination des opérations intellectuelles et traitant des règles objectives de ces opérations. Elle repose en grande partie sur les syllogismes.

**Logique formelle** : logique "formelle" fait abstraction même de toute expression matérielle du raisonnement de telle façon que les termes peuvent donc en être remplacés par des symboles.

## Le raisonnement hypothético-déductif

En mathématiques, et pour tout raisonnement reposant sur des postulats ou des axiomes, la certitude et la validité des conclusions tirées reposent sur la valeur des postulats ou des axiomes de départ et sur l'application de la logique déductive. L'enchaînement logique et sans faille des processus de la démonstration suffit pour valider celle-ci.

En sciences appliquées et en particulier dans les sciences biologiques, le raisonnement déductif pur, malgré les efforts de Descartes (1596-1650), ne peut être utilisé. Il n'en est pas de même de sa variante, le raisonnement *hypothético-déductif* popularisé par Karl Popper (+1994). Ce raisonnement est particulièrement important car il sous-tend la démarche expérimentale et la théorie des tests statistiques utilisés en sciences.

**Axiome** : principe de base d'un raisonnement (qui est admis du fait de son évidence).

**Postulat** : proposition servant de point de départ à un raisonnement. Le postulat se différencie de l'axiome dans le sens qu'il ne peut pas être démontré et qu'il doit être admis comme base théorique du raisonnement ultérieur.

**Hypothèse** : proposition servant de point de départ à un raisonnement seulement admis à titre provisoire (à la différence du postulat, non remis en cause) et que l'on souhaite mettre à l'épreuve des faits.

**Raisonnement hypothético-déductif** : raisonnement déductif de type *modus tollens* qui tire des conséquences dont la validité est liée à la validité de l'hypothèse.

Le scientifique fait l'hypothèse qu'une théorie est vraie et prédit ce que devraient être les résultats d'une observation du réel selon cette théorie. Dans un second temps, il observe le réel : si les résultats ne sont pas compatibles avec la prédiction (habituellement selon un critère statistique), c'est que l'hypothèse est fautive : on dit qu'elle est réfutée : c'est le *modus tollens* ; en revanche, si les résultats sont compatibles, le scientifique ne pourra rien dire de la véracité de l'hypothèse : il l'admet jusqu'à la preuve du contraire<sup>(2)</sup>.

Le scientifique a le plus souvent recours à l'expérimentation pour tester son hypothèse dans le domaine des sciences de la nature.

**Expérimentation** : méthode ayant recours à la mise en œuvre d'expériences organisées pour mettre à l'épreuve une hypothèse. L'expérimentation implique une méthodologie rigoureuse d'observation adaptée à la situation en cause. Dans le cadre des sciences biologiques et de la médecine elle doit tenir compte, en outre de la précision des mesures, de la variabilité biologique des quantités mesurées et des fluctuations des échantillons sur lesquels porte l'expérience, ce qui implique une approche probabiliste beaucoup plus explicite que dans d'autres sciences de la nature.

## Le raisonnement inductif

Présent sous la forme du syllogisme inductif chez Aristote, mais surtout développé par Francis Bacon (1561-1626), Newton (1642-1727) et surtout Hume (1711-76), le raisonnement inductif va du *particulier au général* : il part de prémisses constituées d'observations et d'expériences pour élaborer des lois ou des théories, qui sont la *généralisation* de *régularités observées*. Cette généralisation ne peut se faire que si le nombre d'observations est suffisamment important et en l'absence de contradiction.

On peut schématiser le raisonnement inductif de la manière suivante : si A a été observé un grand nombre de fois, et si A a toujours eu la propriété B, alors on peut conclure que A possède la propriété B (Hume donnait l'exemple du soleil qui s'est toujours levé, et qui se lèvera demain).

**Raisonnement inductif** : raisonnement qui permet d'élaborer des lois ou des théories générales à partir de prémisses constituées d'observations particulières répétées.

**Théorie** : résultat du raisonnement inductif. La théorie n'est qu'un état provisoire qui peut être remis en cause par la progression des recherches provoquées par l'apparition d'éléments nouveaux dans les faits observés ou dans leur interprétation.

De nombreux exemples historiques de théorie en sont trouvés aussi bien dans le domaine de la physique (mouvements des astres : Kepler, Copernic, Galilée; gravitation : Newton; physique quantique : Planck, relativité : Einstein) que dans le domaine de la biologie (double hélice de l'ADN : Watson, codage des protéines...).

## Le raisonnement probabiliste

Une des limites du raisonnement inductif est évidemment que la certitude des conclusions ne peut jamais être aussi absolue (ou mécanique) que dans la déduction. La régularité des associations observées n'est peut-être que contingente ou coïncidente et non nécessaire ou causale. Dans l'induction, la certitude reste impossible, et d'ailleurs de nombreuses lois induites à la suite d'observations et d'expérimentations pourtant méticuleuses ont ensuite été réfutées. Néanmoins ce raisonnement a certainement contribué à l'essor des sciences physiques et chimiques, mais aussi biologiques et médicales, et reste toujours très utilisé dans ces domaines. Dans

<sup>(2)</sup> Le raisonnement par l'absurde est une forme de raisonnement hypothético-déductif : quand une proposition ne peut être prouvée directement, on prend la proposition contraire comme prémisses et on en déduit des conséquences. Si celles-ci ne sont pas acceptables, cela conduit à dire que la prémisses est fautive (et donc que son contraire est vrai).



la vie quotidienne, les psychologues et les sociologues ont montré l'importance de l'induction, dans une forme dégradée, dite "induction floue", et qui n'est autre que la "connaissance commune". Chaque individu ou groupe collectif accumule au cours de son existence une masse d'observations, qu'il explicite ensuite sous forme de classifications, de dictons, de traditions...

L'incertitude inhérente aux conclusions du raisonnement inductif a pu être, dans ces dernières décennies, sinon résolue, du moins quantifiée par une approche probabiliste. En effet, on ne peut raisonner valablement sur le "possible" en le traitant selon une règle du tout ou rien, comme tendait à le faire l'approche Popperienne. Le "possible" comprend au contraire des degrés, du "facile à réaliser" au "quasi impossible" qui traduit le concept de probabilité. La théorie des probabilités, qui résulte de la formalisation mathématique de ce concept, a été appliquée au problème de l'induction scientifique dans le cadre de "l'induction probabiliste". L'induction probabiliste est une application directe du théorème de Bayes (1702-1761) qui stipule, grâce aux probabilités conditionnelles, que la probabilité d'une hypothèse (ou théorie) est égale au produit de la probabilité a priori de cette hypothèse,  $P(H)^{(3)}$ , par la probabilité conditionnelle de l'événement si l'hypothèse est vraie,  $P(E/H)$ , divisée par la probabilité de l'événement,  $P(E)$ , c'est-à-dire :

$$P(H/E) = P(H) \times \frac{P(E/H)}{P(E)}$$

Le théorème de Bayes permet donc de calculer la probabilité *a posteriori* de l'hypothèse [ $P(H/E)$ ] intégrant les résultats de l'observation ou de l'expérimentation [ $P(E/H)$  et  $P(E)$ ]. Cette approche "Bayésienne" donne un substrat théorique (et mathématique) aux notions de confirmation [ $P(H/E) > P(H)$ ], d'infirmité [ $P(H/E) < P(H)$ ] et de réfutation [ $P(H/E) = 0$ ], de l'hypothèse par l'observation ou par l'expérimentation. Le raisonnement inductif probabiliste a connu des applications nombreuses en sciences, et depuis peu en recherche médicale. Il est vraisemblable que ce raisonnement occupera une part prépondérante en sciences (appliquées) au cours des prochaines décennies.

## LES CARACTÈRES PROFONDS DE LA DÉMARCHE SCIENTIFIQUE DANS LE DOMAINE DU VIVANT

Dans les sciences de la vie, l'induction généralisante et les théories qui en sont issues peuvent toujours être réfutées et ne sont jamais admises qu'à titre provisoire. De même, les hypothèses peuvent être réfutées, mais jamais confirmées ou démontrées (comme le sont les théorèmes en mathématique). Autant dire que la démarche scientifique dans le domaine du vivant est fondamentalement *critique* (au sens où la critique d'une hypothèse qui permet sa mise à l'épreuve est la seule voie de progression) et ne permet aucune certitude, elle s'oppose ainsi autant à la révélation et au dogme qu'à l'intuition.

**Dogme** : en matière de religion, le dogme est une proposition de foi *révélée* aux hommes par Dieu lui-même et donc nécessairement vraie. Dans le langage courant, il s'agit de toute proposition qui s'impose ou que l'on impose et de toute croyance ou opinion qui n'accepte pas la discussion.

**Dogmatique** : cet adjectif qualifie toute proposition ou doctrine que l'on tient à tort ou à raison pour un dogme. Appliqué à un individu, il qualifie quelqu'un qui exprime une opinion de manière catégorique, péremptoire, autoritaire.

**Dogmatisme** : mode de pensée appuyé sur un ou des dogme(s).

**Doctrine** : enseignement (du latin : docere = enseigner) d'un ensemble de propositions formant un corps systématique de vérités. Il est difficile de créer des doctrines dans les sciences de la vie dans la mesure où la démonstration est impossible.

<sup>(3)</sup> H représente l'hypothèse et E l'événement (l'observation). La valeur initiale de P(H) est supposée connue, au moins approximativement.

**Doctrinaire** : L'adjectif doctrinaire, qui a plutôt un sens péjoratif, désigne une personne qui s'attache avec rigueur et intransigeance à une doctrine ou à une opinion. Le soutien d'une doctrine par de tels individus est incompatible avec l'esprit critique qui caractérise la démarche scientifique.

**Intuition** (du latin Intuitio) : vision directe par l'esprit sans l'aide d'un raisonnement. Ce concept est inadéquat en science car il faudrait admettre une inspiration d'origine incontrôlée ou une sorte de révélation se substituant au respect de la prise en considération logique des faits d'observation. Elle ne doit pas être confondue avec la créativité en matière d'hypothèses ou avec "l'eureka" qui gratifie les efforts de concentration et la réflexion plus ou moins prolongée du chercheur et qui est une des façons d'apparition de la conscience d'une hypothèse qui nécessitera sa confirmation ultérieure.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- OLÉRON P. Le raisonnement. " Que sais-je ? ", PUF, Paris, 1996 (5<sup>e</sup> édition).
- DOWEK G. La logique. Flammarion, Paris, 1995.
- TOMASSI P. Logic and medicine. *In* Logic in medicine, Philips CA Editor. London, BMJ Publishing group, 1995.
- TOMASSI P. Logic and scientific methods. *In* Logic in medicine, Philips CA Editor. London, BMJ Publishing group, 1995.
- POINCARÉ H. La science et l'hypothèse. Paris, Champs-Flammarion, 1989.
- POPPER K. La logique de la découverte scientifique. Paris, Payot, 1990.
- GREENLAND S. Probability logic and probabilistic induction. *Epidemiology* 1998 ; 9 : 322-32.
- KAHNEMAN D, Slovic P, Tversky A. Judgment under uncertainty : heuristics and biases. *Science* 1974 ; 198 : 1124-31.
- LÉVI-SRAUSS C. La pensée sauvage. Paris, Plon, 1957.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Deux types de méthodes contribuent à l'élaboration des connaissances dans les sciences de la vie : les méthodes d'observation ou de description du réel, et les méthodes d'interprétation du réel, basées sur des raisonnements.
- L'observation est le fondement de la démarche scientifique dans le domaine du vivant. Rigueur, objectivité et quantification de l'observation par la mesure sont nécessaires.
- Les sciences de la vie n'admettent que deux formes de raisonnement : le raisonnement inductif, et particulièrement son avatar probabiliste, et le raisonnement hypothético-déductif. L'hypothèse qui sert de point de départ à ce raisonnement est seulement admise à titre provisoire et doit être mise à l'épreuve des faits.
- L'expérimentation est la méthode de choix pour mettre à l'épreuve une hypothèse.
- La démarche scientifique dans le domaine du vivant est fondamentalement critique et ne permet aucune certitude absolue, et s'oppose à la révélation, au dogme et à l'intuition.

## Chapitre 2

# ÉPISTÉMOLOGIE MÉDICALE

### INTRODUCTION

La science médicale étudie les phénomènes pathologiques dans l'espèce humaine. En ce début de XXI<sup>e</sup> siècle, elle est devenue une discipline entièrement scientifique. En effet, les phénomènes de biologie pathologique impliqués y sont considérés comme étroitement apparentés ou assimilés à ceux que régissent les lois de la biologie et de la pathologie de toutes les espèces vivantes.

*La science médicale, sur laquelle s'appuie la médecine scientifique, utilise donc les mêmes outils intellectuels que ceux des sciences naturelles et expérimentales pour établir ses connaissances.*

Néanmoins, des problèmes spécifiques ressortent de certains domaines de la pathologie propre à l'espèce humaine. Ils font intervenir trois concepts essentiels :

- celui de physiologie, de physiopathologie ou de biopathologie particulières à chaque espèce et, ici, plus spécifiquement, à l'espèce humaine (ce concept est lié à celui, plus général, de barrière d'espèce);
- celui du fonctionnement intellectuel et de la pathologie mentale qui peut mettre en jeu des conceptions philosophiques ou sociologiques tout aussi spécifiques;
- celui de la finalité même de la médecine qui ne se conçoit que dans un environnement socioculturel humain qui interfère avec le raisonnement d'inspiration biologique et qui doit en outre tenir compte de l'influence de cet environnement socioculturel sur la présentation et l'expression des troubles biologiques. \*

Dans ce chapitre, on s'attachera surtout aux objets et aux outils propres à la démarche de la science médicale. Les considérations épistémologiques s'adresseront essentiellement aux phénomènes sous la dépendance de la biologie normale et surtout *pathologique* et s'inspirant pour l'essentiel des "sciences de la nature" appliquées à la médecine somatique commune. Seuls quelques problèmes d'épistémologie médicale générale seront envisagés pour ce qui concerne la pathologie mentale. Les considérations ayant trait à l'activité mentale, les considérations et les interférences socioculturelles seront envisagées à part (voir les chapitres sur les facteurs interférant avec le raisonnement médical). En revanche, les problèmes spécifiques liés à l'établissement des rapports de causalité, dans le cadre d'études de la cause ou de l'étiologie des maladies, ainsi que dans celui d'études de l'efficacité et des effets secondaires éventuels des interventions thérapeutiques ou préventives seront discutés ici.

\* Les spécificités de la physiologie et de la pathologie biologique des espèces sont assez bien connues. Cependant des incertitudes persistent et les controverses actuelles sur la transmission inter-espèces des prions en sont l'illustration. Mais, en général, la Biologie est un des domaines des sciences qui est parvenue à un haut degré de maturité et de critique. Il faut, donc, simplement avoir ces spécificités présentes à l'esprit et se garder de franchir sans contrôle critique certains pas, qui mènent de l'observation et de l'expérimentation animale à la biologie et à la pathologie humaine. À cette réserve près, les principes épistémologiques des sciences de la nature s'appliquent sans restriction à l'étude de la pathologie humaine somatique.

En revanche, la psychiatrie pose, parmi les autres disciplines médicales, quelques problèmes épistémologiques particuliers. Ils tiennent non pas tant aux composantes neurobiologiques et/ou biopathologiques de base, mais à l'originalité de la pensée humaine et à la composante environnementale avec ses implications sociales et culturelles qui nécessitent un abord et des méthodes adaptées.

Enfin l'environnement socioculturel humain interfère avec le raisonnement d'inspiration biologique et influence aussi certaines présentations et l'expression de troubles d'origine biologique.

### LA MÉDECINE SCIENTIFIQUE

#### La médecine scientifique et la science médicale

Dans la *médecine scientifique* actuelle, la rationalité régit l'élaboration de tout le corpus des connaissances médicales biologiques. Elle est aussi à la base de tous les raisonnements qui vont du diagnostic au pronostic et de la reconnaissance des causes et des mécanismes physiopathologiques au traitement logique que, par voie de conséquence, on peut élaborer et appliquer. Il en est de même pour les mesures de prévention. En revanche, ceci ne veut pas dire que des considérations philosophiques ou éthiques sont exclues du raisonnement médical appliqué. Ce serait un non-sens. Toute la signification de l'acte médical et la dignité de la méde-

ciné reposent, en fait, sur des valeurs morales. Mais le raisonnement scientifique doit *seul* dominer l'activité d'acquisition et de création des connaissances, c'est-à-dire l'élaboration de la *science médicale*.

*L'axiome fondamental de la science médicale est, ainsi qu'explicité plus haut, que celle-ci est une variété de la science de la nature au même titre que la biologie.*<sup>(1)</sup>

*Elle n'est donc pas une science déductive. Elle est, au contraire, basée sur l'observation des faits pathologiques (mais aussi physiologiques qui servent, en même temps, de référence), s'intégrant dans un raisonnement inductif qui permet la construction de théories ou d'hypothèses. Quand cela est possible, ces hypothèses sont soumises à l'expérimentation, dont l'interprétation relève du raisonnement hypothético-déductif.*

La science médicale donne, en effet, lieu, comme toutes les sciences reposant sur l'observation des phénomènes de la nature, à des hypothèses qui doivent être confirmées par les expérimentations capables d'apporter les résultats nécessaires à cette confirmation.

## Les "autres" conceptions de la médecine

Cette médecine scientifique, fondée sur la démarche intellectuelle scientifique et reposant sur des bases communes aux sciences de la nature est différemment reçue. Elle est pour le moins mal perçue, si ce n'est rejetée plus ou moins catégoriquement, dans certains milieux. C'est pourquoi il est bon de rappeler brièvement (avant d'y revenir plus longuement dans le chapitre consacré aux facteurs culturels) quelles sont les autres conceptions de la médecine et retracer à grandes lignes les justifications de la conception scientifique en cours. Ces conceptions "autres" ou "alternatives" s'expliquent par la persistance, à côté des représentations de la médecine occidentale scientifique, de croyances en d'autres systèmes qui ont pu avoir cours dans la médecine pré scientifique et qui font intervenir des spéculations sur la nature du "Mal" et de la "Maladie". Ces spéculations sont fondées sur des concepts *a priori* qui sont fort éloignés de ceux reposant sur l'utilisation de faits d'observation et l'expérimentation. Elles sont bâties sur des principes théoriques sans fondement réel, vérifiable, comme la théorie des "humeurs" ou de la "force vitale", pour ne citer que celles qui avaient encore cours au XIX<sup>e</sup> siècle. C'est le cas, en ce début du XXI<sup>e</sup> siècle, de nombreuses médecines dites "alternatives" ou "douces" qui parfois n'hésitent pas à se démarquer de l'axiome scientifique médical occidental ou qui, au contraire, essayent d'en revêtir les habits en mimant un discours dit scientifique pour la circonstance (voir les chapitres consacrés à la thérapeutique en particulier).

## Justification de la conception scientifique actuelle de la médecine

La justification de la conception scientifique et rationnelle de la médecine ne devrait pas nécessiter de grands développements pour un lecteur familier des modes de pensée scientifiques en cours dans le domaine biologique. Cependant l'observation quotidienne montre que le public n'adhère pas toujours au discours rationnel et il est souvent suivi par un certain nombre de décideurs (y compris au niveau international). Les diverses raisons en seront envisagées plus bas (voir "Obstacles à l'acceptation de la conception scientifique de la médecine" dans le chapitre "L'utilisation des différentes façons de penser en médecine").

Cependant cette justification réside dans la *cohérence* de sa conception en accord avec toutes celles qui président à la démarche intellectuelle des sciences de la nature. La pathologie est une perturbation, par divers mécanismes, des lois biologiques. Cette conception scientifique des lois de la biologie, initialement contestée par les "vitalistes", est de plus en plus solidement acceptée et légitimée depuis les travaux fondateurs de Lavoisier, de Pasteur, de Claude Bernard, de Warburg et de tous les physiologistes et biologistes pharmacologistes, généticiens et biologistes moléculaires... qui leur ont succédé.

En plus de cette cohérence solide, un excellent argument est, en dernier lieu, l'efficacité croissante dont elle fait preuve. Une *médecine efficace* n'a pu se constituer que parce que les médecins du monde occidental ont su intégrer dans le raisonnement médical proprement dit la rigueur scientifique et, dans son application, les apports des sciences fondamentales et biologiques. Cette démarche intellectuelle permet les conclusions physiopathologiques, rigoureusement établies, qui en découlent.

<sup>(1)</sup> Cet axiome est implicite dans la plupart des discours que tiennent les médecins dans le monde occidental. Mais ces notions restent confuses dans une bonne part des esprits du public qui se confie aux médecins. Ce public est relativement ignorant des mécanismes du raisonnement médical, de même que certains médecins qui n'ont pas été suffisamment instruits de ces problèmes. Cela explique probablement la multiplicité des conceptions de la médecine qui persistent encore à l'heure actuelle.

Or les seuls traitements efficaces, mis à part les rares découvertes empiriques (mais confirmées par une évaluation rigoureuse ultérieure), sont ceux, logiques et rationnels, dérivés de l'analyse convenable des causes et des mécanismes eux-mêmes issus de la réflexion sur les données démontrées et sur les jugements qu'elles autorisent.

Ainsi se trouve confortée, a posteriori, le bien fondé de la démarche rigoureuse et scientifique des pionniers de la médecine "exacte" qui jusqu'au milieu du XX<sup>e</sup> siècle ne pouvaient exercer leurs talents que sur la partie diagnostique et pronostique de la science médicale. Or cette partie, faute de déboucher sur des résultats très tangibles - par absence des moyens thérapeutiques nécessaires - ne voyait pas ses mérites suffisamment reconnus.

En un mot, les progrès valides et l'efficacité de la médecine n'ont pu se constituer qu'en s'appuyant sur les bases épistémologiques scientifiques qui président à la génération du savoir biologique ainsi que du savoir médical aboutissant à l'élaboration des actes médicaux.

## LES DÉMARCHES D'ÉTABLISSEMENT DES CONNAISSANCES MÉDICALES

Dans ce paragraphe, nous envisagerons successivement, la démarche qui est conforme aux concepts d'épistémologie scientifique (c'est-à-dire ce qui devrait être fait) : la description des faits puis la construction et l'évaluation des théories ou des hypothèses à partir des faits observés, et ensuite les démarches qui ne sont pas conformes aux concepts d'épistémologie scientifique ou qui sont opposées à ses principes (c'est-à-dire ce qui ne devrait pas être fait).

### La description des faits

La *description* rigoureuse et objective des faits tels qu'ils se présentent à l'observation brute est le préalable indispensable. De même que les sciences dites "naturelles" ont été précédées de la description par Linné, Buffon et les Jussieu... de la flore et de la faune, de même la médecine et la science de l'homme normal et malade ont été précédées de descriptions des maladies par la réalisation d'un inventaire des signes, des lésions macroscopiques et microscopiques et de toutes les caractéristiques morphologiques associées à la narration précise de l'évolution naturelle.

L'esprit scientifique s'y manifeste par la qualité et la rigueur des observations, leur quantification aussi stricte que possible et la reproductibilité des résultats rapportés.

Toutefois, les faits bruts tels qu'ils se présentent ne suffisent pas pour constituer le savoir médical. Il faut les ordonner, les relier, en tirer les lois de la pathologie. La reproductibilité des données, la généralisabilité des résultats et le caractère universel des énoncés qui en découlent caractérisent la connaissance scientifique.

### L'interprétation des faits, la construction et l'évaluation des hypothèses et des théories

L'interprétation des faits se fait, dans un premier temps, par le passage de l'observation des faits à l'hypothèse ou à la théorie. Celles-ci se proposent de rendre compte de la signification des faits observés. L'hypothèse, construite essentiellement par un raisonnement inductif (on a observé un grand nombre de fois une suite de phénomènes et on généralise...) tente d'expliquer et d'expliciter les relations entre les divers éléments recueillis par l'observation, les associations convaincantes, les relations causales, les prédictions qu'on peut en tirer...

La confirmation ou plutôt la corroboration de l'hypothèse est le temps suivant. Elle reste soumise aux processus logiques de cohérence interne et externe. Elle est soumise à la critique de l'auteur lui-même qui doit la mettre à l'épreuve par des procédures de confirmation mais surtout de réfutation (ou, si l'on veut utiliser une terminologie "popperienne" de "falsification"<sup>(2)</sup>).

Dans les sciences biologiques l'outil privilégié de la confirmation ou de la falsification est l'expérimentation, c'est-à-dire la mise en œuvre d'expériences spécialement conçues pour confirmer ou réfuter l'hypothèse formulée.

<sup>(2)</sup> Si le chercheur est, bien sûr, plus enclin à vouloir confirmer l'hypothèse ou la théorie qu'à la réfuter, ses collègues de la communauté scientifique ne manqueront pas de le faire. Pour son prestige ou son amour propre de chercheur, il a tout intérêt à précéder ses collègues...

L'expérimentation fait appel à un raisonnement hypothético-déductif dont les conséquences prévues de l'hypothèse ou de la théorie sont confrontées avec la réalité observée (voir le chapitre "Épistémologie générale").

Depuis Claude Bernard, l'expérimentation est également reconnue comme la méthode idéale pour évaluer les hypothèses en Médecine, et une grande partie des développements de la Médecine au XIX<sup>e</sup> et au XX<sup>e</sup> siècle en est redevable. Néanmoins, il existe des difficultés propres et des limites à l'expérimentation en Médecine :

- il existe une *spécificité* d'espèce du vivant, qui explique notamment que des résultats obtenus chez le rat ou le porc ne sont pas nécessairement transposables à l'homme ;
- l'expérimentation sur les personnes humaines soulève des difficultés éthiques, qui la réservent à des situations bien particulières (essentiellement l'évaluation de médicaments ou de traitements et de manœuvres préventives). Ces problèmes éthiques seront développés plus loin (voir Chapitre "Éthique").

Par ailleurs, des obstacles matériels tiennent à l'organisation de certaines expériences souhaitables mais qui ne peuvent être réalisées faute de moyens ou en raison de délais d'observation nécessaires incompatibles avec la durée de l'existence du chercheur lui-même (par exemple dans certains cas où les processus à observer porteraient sur une existence humaine entière ou sur une très longue partie de celle-ci).

Des substituts à l'expérimentation rigoureuse sont alors nécessaires, mais, on le verra (voir le paragraphe sur la causalité et la démonstration des effets), ils reposent le plus souvent sur des extrapolations et ils n'atteignent jamais le niveau de puissance de conviction des méthodes expérimentales.

Il reste une dernière étape de l'évaluation des hypothèses et des théories qui est la discussion et la critique de la part de la communauté scientifique. Celle-ci discute les concepts, les méthodes et les résultats, puis accepte ou rejette les conclusions des auteurs<sup>(3)</sup>.

## Incertitude des interprétations et raisonnement probabiliste

Aucune science de la nature ne peut prétendre à la même rigueur que celle qui préside au raisonnement déductif mathématique. Sans essayer de développer les notions très ardues qui ont été avancées à ce sujet, on peut dire que même la physique est, dans certaines de ses parties, consacrée à l'étude de phénomènes régis par les probabilités.

La variabilité est beaucoup plus facile à percevoir dans le domaine des phénomènes biologiques et pathologiques. En raison des particularités du vivant dont on a déjà parlé, la plupart des phénomènes observés en biopathologie sont affectés d'une part d'incertitude, et ne sont que plus ou moins probables. Il existe notamment une variabilité *interindividuelle* et *statistique* qui implique que tous les individus ne répondent pas de la même manière aux stimuli ou aux manœuvres expérimentales. Cela requiert l'étude de groupes plus ou moins nombreux, mais surtout implique que la conclusion même des expérimentations ne peut être formulée qu'avec un certain risque d'erreur auquel il faut consentir.

Toutefois, grâce au théorème de Bayes, le raisonnement probabiliste permet, on l'a vu (voir chapitre "Épistémologie générale"), d'estimer ce risque d'erreur ou (c'est la même chose) d'estimer la probabilité *a posteriori* d'une hypothèse, à la suite des résultats de l'observation ou de l'expérimentation.

Le raisonnement probabiliste est actuellement en train d'acquiescer une place de plus en plus importante en recherche médicale. La biostatistique ou la statistique médicale est la discipline qui fournit aux chercheurs les méthodologies adaptées à cette gestion de l'incertitude<sup>(4)</sup>.

## Les démarches non conformes aux concepts d'épistémologie scientifique ou opposées à ses principes

Le "flair" et "l'intuition" sont souvent mis en avant dans le discours sur la médecine. Le "flair" est sensé désigner une faculté particulière pour réussir les actes de diagnostic et de soins, c'est-à-dire de *pratique médicale*.

<sup>(3)</sup> Pendant longtemps, et jusqu'à très récemment, la confirmation de l'interprétation des faits, des hypothèses et des théories en médecine, ne se faisait que par une concordance d'opinions au cours de multiples séances de discussion des observations rapportées (évaluation par "tâtonnement"). On comprend ainsi la multiplicité des thèses soutenues par les différentes écoles dont le "pouvoir" pouvait jouer un rôle parfois déterminant dans leur acceptation.

<sup>(4)</sup> Comme nous l'avons déjà vu (au chapitre " Historique du raisonnement médical "), Louis a introduit le premier la quantification (au sens statistique) en médecine sous le nom de méthode numérique. Ses travaux ont été repris et développés outre-Atlantique et en Grande-Bretagne. Ce sont ses élèves américains et britanniques qui ont développé le raisonnement probabiliste appliqué à la recherche médicale et permis la mise au point l'essentiel des méthodes statistiques adéquates.

On ne sait très bien quelle définition en retenir mais il est possible que certains y voient une performance particulière de médecins doués et capables de meilleures performances que d'autres. Cette conception restrictive n'est pas choquante dans la mesure où il y a de bons mathématiciens, de bons chimistes, de bons peintres et de bons sportifs ...

L'intuition, vision directe par l'esprit sans l'aide d'un raisonnement, est envisagée ici car elle est utilisée par le public voire par certains médecins et chercheurs. Comme on l'a vu précédemment (voir chapitre "Épistémologie générale"), l'intuition<sup>(5)</sup> n'a pas sa place dans l'établissement de la vérité scientifique. Elle en est même antinomique car c'est un phénomène essentiellement subjectif qui peut aboutir à une conviction soit fautive, soit même parfois vraie (par un hasard heureux), mais à laquelle on ne peut accorder aucune vertu de validité ni de généralisabilité, et donc de caractère scientifique.

En médecine, la spéculation et le dogmatisme (voir chapitre "Épistémologie générale") présentent également des dangers majeurs. Ils peuvent, en effet, amener à proposer des explications abstraites ou des conceptions *a priori* de certains phénomènes pathologiques ou de certaines théories thérapeutiques sans support basé sur la réalité des faits observés et des données prouvées.

**Spéculation** : ce terme a plusieurs sens :

- (1) dans le domaine intellectuel il désigne une démarche n'ayant pour but que la connaissance pure sans souci des applications pratiques ni des conséquences morales ;
- (2) par extension : construction abstraite, invérifiable, non rattachée au réel.

De nombreuses conceptions médicales passées n'étaient basées que sur des spéculations au sens de construction abstraite, invérifiable, ou des dogmes. Par exemple la médecine magique, où la maladie était interprétée comme une possession par un esprit malfaisant, et certaines conceptions théurgiques dans lesquelles la maladie est considérée comme punition de fautes commises ou de péché. Ces dogmes et certaines de ces spéculations ont encore cours à l'heure actuelle. Parmi ces dernières, certaines reposent sur des affirmations improuvables et improuvées comme la "remise en place de déplacement vertébral mineur" affirmé, par les ostéopathes, comme étant responsable de troubles variés, mais dont la démonstration n'est pas apportée. Ou bien comme le traitement des maladies basé sur le principe des dilutions infinitésimales (et défiant les lois de la physique) de substances susceptibles de donner à doses plus élevées les mêmes symptômes que les maladies qu'elles sont sensées traiter. Ces exemples ne sont que des échantillons de différentes autres "bases" proclamées de "Médecines alternatives".

Mais les spéculations peuvent aussi "infiltrer" la médecine d'inspiration scientifique. Cela survient quand on admet *trop rapidement* comme démontrées des hypothèses qui ne le sont pas. C'est une pratique qui n'est pas aussi rare qu'on peut le croire. Quelques exemples dans différentes disciplines seront cités. \*

On pourrait citer de très nombreux autres exemples. Les erreurs de ce type ne sont pas toutes détectées et éliminées et, donc, même des traitements, en apparence dotés de toutes les qualités d'une conception scientifique logique et de rationalité, ne peuvent être admis ou conservés sans une critique serrée et sans que soit apportée la démonstration de leur efficacité et de leurs résultats bénéfiques et maléfiques.

<sup>(5)</sup> Il ne faut pas confondre l'intuition (ou révélation) avec la solution "pseudo-intuitive" de certains problèmes quand des personnes ayant une expérience très importante, et confrontées à une situation donnée, font en un temps très bref la synthèse des éléments de la situation et en tirent instantanément la ou les conclusions, ni avec l'"euréka" qui gratifie les efforts de concentration et la réflexion prolongée du chercheur.

### \* En cancérologie

Les traitements passés, mutilants et "héroïques", des cancers du sein sont un exemple de spéculation. L'hypothèse, d'apparence logique, était que plus on étendait l'ablation des tissus environnant le cancer ainsi que les adénopathies et plus on augmentait les chances d'éradication des infiltrations cellulaires et, donc, de guérison des patientes. Les essais contrôlés exécutés avec une méthodologie rigoureuse ont montré qu'il y avait un grand fossé entre ces spéculations apparemment logiques et la réalité, et ceci du fait de la possibilité de récurrences et surtout de métastases que les interventions étendues n'empêchaient pas (réalité des faits) alors que, par ailleurs, elles infligeaient aux patientes des mutilations importantes et une qualité de vie misérable.

### \* En orthopédie

Des interventions souvent lourdes sont proposées pour corriger des anomalies morphologiques comme les spondylolisthésis ou des concepts spéculatifs comme "l'instabilité rachidienne". La pratique d'essais contrôlés randomisés a aussi montré que bien des thérapies appliquées en matière de pathologie rachidienne ne démontraient pas leur bien fondé supposé.

### \* En pathologie cardio-vasculaire

La prévention, longtemps pratiquée, de la rechute des accidents coronariens par les anticoagulants (antivitamines K), pourtant très efficaces sur les paramètres sanguins de la coagulation, a été remise en cause et a fini par céder la place à la thérapeutique par les antiagrégants plaquettaires.

Le dogmatisme et les attitudes doctrinaires doivent être également exclus de la médecine scientifique. Le dogmatisme ne peut résulter que d'une confusion avec un point de vue philosophique injustifié en science et s'apparentant à la vérité révélée. La médecine scientifique, comme toute autre discipline scientifique, ne propose ni ne soutient aucun dogme. Elle ne peut non plus avoir une attitude "doctrinaire". Mais, par contre, elle peut être amenée à prendre en considération des doctrines s'appuyant sur des vérités démontrées et compatibles avec celles-ci<sup>(6)</sup>.

## LE PROBLÈME ÉPISTÉMOLOGIQUE DE LA PSYCHIATRIE ET DES TROUBLES MENTAUX

Deux arguments justifient que l'on aborde le problème épistémologique de la pathologie mentale. Ce sont :

- Le caractère spécifique de la pensée humaine. Cette spécificité étant unique dans la nature, certains peuvent mettre en doute que ses troubles soient assimilables à tous les autres phénomènes biologiques. Néanmoins, rien ne permet d'exclure l'application des méthodes scientifiques au champ des troubles mentaux comme on le fait aussi dans le champ de la psychophysiologie et des sciences cognitives<sup>(7)</sup>.
- Les difficultés auxquelles a donné lieu l'établissement des connaissances, et celles qui persistent comme en témoignent les discussions entre psychiatres et les vives polémiques avec les "antipsychiatres". \*

### Typologie des affections psychiatriques

On classe aujourd'hui les affections psychiatriques en deux grandes catégories :

- celles qui, en accord avec la taxonomie médicale, suivent les normes habituelles des affections organiques caractérisées et partent d'une cause et de lésions individualisables pour aboutir sur une entité caractérisée et bien définie ;
- celles qui, dans la taxonomie médicale, ne se réfèrent qu'à une association de signes et de manifestations dont le regroupement stéréotypé permet l'individualisation, mais laisse libre cours aux tentatives d'explication des mécanismes incluant des hypothèses neurobiologiques<sup>(8)</sup> et des spéculations psychopathogéniques (voir le chapitre "Nosologie").

<sup>(6)</sup> Il peut arriver que, pour construire une explication logique d'un ensemble de phénomènes, on ait recours à des schémas explicatifs qui, tout en se basant en partie sur des données prouvées, combient les données ignorées par des hypothèses d'apparence logique. Cette façon de faire, assez courante dans certaines disciplines où la physiopathologie est répandue, n'a toutefois aucune valeur de preuve scientifique. Elle peut être utile pour construire une doctrine provisoire servant de base pour orienter des recherches. Elle devient inacceptable si elle se transforme en dogme.

<sup>(7)</sup> Rien ne s'oppose non plus à ce que les philosophes, de leur côté, poursuivent leurs réflexions sur la pensée humaine et traitent des concepts théoriques élaborés par les cerveaux humains et plus ou moins partagés par le reste de l'humanité pensante.

<sup>(8)</sup> Certaines affections semblent avoir un support biologique génétique.

\* Pendant très longtemps la pathologie psychiatrique n'a pas été nettement individualisée. Le rôle du cerveau n'était pas pris en considération dans une conception culturelle qui était basée essentiellement sur la dualité entre le corps et l'âme. Les "fous" ou fous avaient, toutefois, fait l'objet d'une certaine individualisation, variable suivant les périodes et les cultures ; mais ils étaient surtout considérés pour leurs comportements sociaux anormaux et étaient enfermés avec les délinquants et autres "déviantes". Progressivement, cependant, le concept de maladies nerveuses se dessinait (au XVII<sup>e</sup> siècle). Et la nosologie médicale inspirée des méthodes des botanistes atteignait aussi les affections nerveuses, mais celles-ci étaient encore mal définies.

La fondation par Pinel de la psychiatrie en tant que discipline médicale fut suivie de différents travaux descriptifs (dont le concept de maladie mentale d'origine organique illustré par Bayle dans sa description de la paralysie générale d'origine syphilitique, date mémorable dans l'histoire de la psychiatrie).

Les conceptions pathogéniques sur le mécanisme des perturbations mentales ont, elles aussi, évolué. Il existe des explications organicistes indiscutables dans le cas des affections dues à des lésions cérébrales patentes (infectieuses, toxiques, tumorales, inflammatoires, dégénératives surtout, comme la maladie d'Alzheimer...). Certains troubles psychiatriques caractérisés par une localisation particulière de lésions de l'encéphale comme l'atteinte du lobe frontal.

D'autres affections font appel à des conceptions biologiques (dont les troubles métaboliques, sources de troubles mentaux) et la psychopharmacologie illustrent les possibilités.

D'un autre point de vue, les conceptions psychogéniques sont pour partie tirées de l'observation des faits et pour partie le fruit de théories dont le bien fondé ne se base assez souvent que sur des spéculations dont la démonstration scientifique est incertaine.

Autant la reconnaissance, d'une part des troubles psychiatriques secondaires à des causes communes à toutes les autres pathologies et en rapport avec les lésions cérébrales citées plus haut, et d'autre part des affections psychopathologiques bien caractérisées comme la psychose bipolaire maniaco-dépressive ou la schizophrénie, ne pose guère de problèmes, autant les controverses les plus vives existent dès que l'on aborde les notions de comportement social anormal et de physiopathologie des perturbations mentales.

Les explications avancées vont des conceptions des neurosciences à des conceptions philosophiques ou théologiques a priori. Outre que certaines théories sont difficilement compatibles entre elles, leur abord spéculatif est en contradiction avec la conception basée sur les faits démontrés qui inspire les neurosciences (voir, plus haut, les principes généraux de l'épistémologie des sciences de la nature).

De plus, la psychiatrie est aussi considérée comme une discipline se répartissant en deux champs, à savoir : d'une part, les maladies et, d'autre part, les "variations anormales" ou divers troubles de la personnalité dont la limite avec la normale est difficile à tracer.

Le DSM (versions DSM-III et DSM-IV) ou "Manuel diagnostique et statistique des désordres mentaux" est le dernier avatar des concepts nosologiques en psychiatrie. Il est le fruit du travail de comités d'études de l'"American Psychiatric Association". Sa caractéristique est qu'il est "athéorique", basé sur les syndromes. Et les "catégories" y sont décrites grâce à des critères basés sur l'analyse statistique et les regroupements de symptômes.

Le DSM est ordonné suivant plusieurs axes. Deux axes sont intéressants sur le plan épistémologique : l'un définit les catégories des désordres mentaux et l'autre les désordres de la personnalité. Ces derniers sont décrits comme des exagérations des traits de personnalité.

Ainsi les limites de la normale et du pathologique sont difficiles à tracer et peuvent être considérées comme sujettes à des variations dont l'étude dépend soit de l'approche que permet l'attitude scientifique, soit de l'approche tenant compte de considérations plus incertaines ou moins neutres, en particulier lorsqu'il s'agit de déterminer les normes des comportements sociaux...

### Conceptions possibles de l'épistémologie de l'étude des troubles mentaux

L'épistémologie de l'étude des troubles mentaux peut, schématiquement, se concevoir de trois façons :

- La *conception neurobiologique*. Elle range les troubles mentaux parmi les données relevant des sciences de la nature au même titre que les autres disciplines biologiques et médicales. L'épistémologie de l'étude des affections mentales caractérisées (et particulièrement des affections organiques du cerveau) ne paraît pas, donc, devoir être différente de celle des autres maladies. Les conceptions basées sur des théories explicatives non démontrées ou des spéculations ne paraissent pas avoir place dans ce cadre.
- La *conception à partir de la définition de la normalité de la personnalité et des comportements*. Dans cette optique, les désordres de la personnalité et des comportements qu'ils peuvent entraîner relèvent, en plus de l'étude descriptive scientifique, d'une démarche spécifique dans laquelle il faut faire une certaine place à des conceptions tenant compte des points de vue de la société et de considérations philosophiques ou socioculturelles ambiantes pour définir les normes des comportements. On peut d'ailleurs considérer que ce dernier problème rejoint le problème général de la délimitation du normal et du pathologique, qui, même dans les sciences biologiques, peut voir son "point de partage" déplacé selon le contexte et le type de problème à traiter.
- Certains enfin, utilisent des *considérations philosophiques et psycho-physiopathologiques* dans l'élaboration de doctrines explicatives qu'il est, naturellement, bien difficile de prouver et qui relèvent plutôt du domaine de la conviction.

On peut prévoir la persistance de débats et de controverses pendant encore longtemps.

### DÉTERMINISME ET CAUSALITÉ EN MÉDECINE

Une des étapes essentielles de la progression de la compréhension et du traitement des maladies passe par la recherche de la cause et de la physiopathologie des affections et du mode d'action des thérapeutiques. Les notions de déterminisme et de causalité tiennent donc une place très importante dans le raisonnement, surtout "étiologique", physiopathologique et thérapeutique.

Ces notions ne sont pas réservées aux chercheurs dont une des tâches essentielles est de les mettre en application. Elles sont aussi utilisées quotidiennement (tout à fait inconsciemment parfois) par le clinicien lorsqu'il utilise les notions nécessaires à l'établissement d'un diagnostic étiologique ou la base d'un traitement curatif ou palliatif de troubles.

La relation de causalité est aussi l'objet d'une préoccupation très répandue des malades. Elle a une justification logique irréfutable car il est tout à fait rationnel et légitime de penser que, si l'on trouve la cause d'une maladie, sa suppression devrait logiquement entraîner la disparition des troubles. Et cela est vérifié dans de très nombreux cas ; mais pas dans tous, car, d'une part, trouver une cause ne veut pas dire qu'on va en trouver ipso facto le remède et, d'autre part, ce qui est lésé de façon irréversible ne peut être restauré.

La relation de causalité est souvent très difficile à prouver en médecine. Il est pourtant fondamental de l'établir pour pouvoir concevoir et retenir l'efficacité d'une quelconque manœuvre de démonstration d'étiologie ou de mécanisme d'un trouble ou d'effet d'un traitement... par exemple.

Après la définition et les principes généraux de l'établissement d'une relation de causalité, nous envisagerons successivement la mise en évidence de l'efficacité d'une thérapeutique et la mise en évidence de la cause des causes d'une maladie ou d'un accident thérapeutique.

## Définitions et principes généraux de l'établissement d'une relation de causalité

**Causalité** : rapport qui unit une cause à un effet.

**Cause** : tout ce qui produit l'effet ; ce qui doit être nécessairement donné pour que se produise l'effet. La cause est l'antécédent constant et nécessaire. Les notions de constance et de nécessité permettent de distinguer l'événement ou la condition causale du simple antécédent non significatif.

**Déterminisme** : Notion introduite par Claude Bernard au sujet du principe de causalité. Elle se base sur les principes énoncés ci-dessous.

**Principe de causalité** : principe selon lequel :

- Toute cause a un effet.
- Tout effet a une cause.
- Les mêmes causes, dans les mêmes conditions, produisent les mêmes effets.

Considérons deux faits que l'on nomme **X** et **Y** et pour lesquels on veut savoir si **X cause Y**.

- Il y a plusieurs situations dans lesquelles **X** et **Y** peuvent être observés :
  - Coïncidence de **X** et de **Y** ou **X coïncide avec Y**. Les fumeurs, par exemple, sont souvent aussi buveurs, et il n'y a pas de lien direct causal entre ces deux toxicomanies.
  - Succession simple dans le temps où **X précède Y** mais sans lien de causalité : **la succession de X et de Y ne suffit pas à établir la relation. "Post hoc, ergo propter hoc"** (Littéralement: à la suite de cela, donc à cause de cela): cette formule latine désignait, dans la scolastique, l'erreur qui consiste à prendre pour cause ce qui n'est qu'un simple antécédent dans le temps. Précession ne veut pas obligatoirement dire cause. En médecine, cette erreur est souvent commise dans l'appréciation de l'étiologie d'une maladie et dans l'appréciation de l'efficacité d'un traitement.

**X** et **Y** peuvent relever tous deux d'une même cause initiale **Z**, **Z ---> X ---> Y**, comme dans l'exemple : consommation excessive de graisses alimentaires (**Z**). ---> élévation du cholestérol (**X**) ---> lésions vasculaires (**Y**) : **X** n'est que le facteur intermédiaire et non la cause ;

**X** et **Y** sont liés à un facteur de confusion **Z** qui explique la relation, comme dans l'exemple : l'association observée entre bronchite chronique et cancer du poumon est expliquée par le tabagisme qui cause à la fois la bronchite chronique et le cancer du poumon. **Z ---> X et Z ---> Y**.

- Il faut aussi noter qu'une relation de causalité peut ne pas être exclusive : **X ---> Y mais aussi Z ---> Y**, comme dans l'exemple où le tabac cause la bronchite chronique mais l'exposition aux poussières le fait aussi.

- La causalité peut ne pas être automatique, et nécessiter une cause associée : **X + Z ---> Y**, comme dans l'exemple où l'infection à Chlamydia ou à salmonelles ne suffit pas à causer le syndrome de Reiter. Il faut aussi un facteur prédisposant : l'appartenance au groupe HLA B27.

On peut schématiquement envisager deux situations suivant que la relation de causalité peut être affirmée (causalité directe) ou que seuls des arguments convergents permettent d'envisager une hypothèse causale (causalité indirecte). Mais ce schéma n'est qu'une approximation grossière utilisée pour faciliter l'exposé des arguments<sup>(9)</sup>.

*Une relation de causalité "la manœuvre X cause l'effet Y" ne peut être affirmée stricto sensu que dans une démarche expérimentale. L'expérimentateur y contrôle l'administration de la manœuvre X aux sujets, et recueille ensuite, au bon moment, les informations sur la survenue de l'effet Y. L'établissement de la causalité peut être direct et, si l'expérience a été correctement menée (sans biais et dans des conditions statistiques satisfaisantes), démonstratif. L'observation d'un groupe témoin non soumis à la manœuvre permet de mieux affirmer l'effet propre obtenu par celle-ci.*

*En biologie humaine et en Médecine, la démarche expérimentale ne concerne que l'évaluation des manœuvres thérapeutiques et de prévention. Depuis le milieu du XX<sup>e</sup> siècle, et à l'exception de certains pays totalitaires, l'expérimentation en matière d'étiologie des maladies n'est plus effectuée chez l'homme. On ne peut que s'en réjouir du point de vue éthique. Mais, dans cette conjoncture, l'établissement de la relation de causalité ne peut être qu'indirect, et bien moins assuré. Il relève alors plus du jugement que de la démonstration.*

## Causalité et expérimentation, preuve de l'efficacité des manœuvres thérapeutiques, de dépistage ou de prévention

Pour évaluer l'efficacité (et la tolérance) d'un traitement, d'une manœuvre de dépistage ou de prévention, l'expérimentation est possible, mais elle est codifiée par un cadre législatif et réglementaire strict (en France, la loi Huriet-Serusclet). On reviendra plus loin sur les modalités de réalisation de ces études (voir chapitre "Élaboration des connaissances pour la thérapeutique") ; nous n'en discuterons ici que les principes essentiels. La méthodologie de référence est celle de l'essai contrôlé, dans lequel on compare la manœuvre testée à une situation de référence (placebo, traitement ou manœuvre de référence).

Idéalement, dans ces essais, on compare les effets d'une manœuvre thérapeutique ou préventive appliquée à un groupe donné aux effets observés dans un groupe dit "témoin". Il est indispensable de s'assurer que les individus qui reçoivent le traitement ou la manœuvre préventive testés et ceux qui reçoivent la manœuvre de référence sont comparables en tout, sauf pour le traitement testé. Il est nécessaire de partir d'un groupe homogène de sujets (voir le chapitre "Nosologie"). La comparabilité initiale des sujets est assurée par tirage au sort (on parle de randomisation) et la comparabilité pendant l'essai par des procédures de contrôle des conditions de l'essai. L'objectivité des observations est notamment assurée par des procédures d'appréciation en insu (voir le chapitre "L'élaboration et la validation des méthodes thérapeutiques").

L'essai contrôlé randomisé en double ou triple insu est actuellement devenu la méthodologie de référence qui permet le plus haut niveau de preuve possible de la relation de causalité en médecine. Elle doit être utilisée dans tous les cas où elle est techniquement et éthiquement réalisable. C'est actuellement le cas de l'évaluation des médicaments.

Dans certaines situations cependant, le type de traitement ou de manœuvre préventive administré ne peut être caché, ni une intervention placebo artificiellement recréée ou administrée. C'est souvent le cas en chirurgie (une intervention placebo n'est pas éthique) ou dans le contexte de manœuvres préventives. Ces situations peuvent être soumises à des biais importants, qui interdisent toute affirmation d'une relation causale (en dehors de très rares cas élémentaires évidents).

Dans certaines situations enfin, un groupe contrôlé ne peut être constitué par tirage au sort, et d'autres méthodes doivent être utilisées pour évaluer la relation : études prospectives avec population contrôlée, appariées ou non, mais non randomisées, prospectives sans population contrôlée et rétrospectives. Ces études ont un niveau de preuve très inférieur et discutable, qui les rapproche des études des relations étiologiques (paragraphe suivant).

## Causalité étiologique

Dans le domaine étiologique, l'expérimentation n'est plus réalisée, même si une partie des connaissances accumulées au cours des siècles (et jusqu'au XIX<sup>e</sup> siècle) a eu pour origine des expériences sur des sujets plus

<sup>(9)</sup> Certaines constatations évidentes ne font pas partie du sujet. Il ne viendrait pas à l'idée de quiconque de sensé de mettre en doute le rapport de causalité entre la blessure artérielle ou la noyade et leur issue fatale. Ne seront donc envisagés ici que les situations qui posent le problème de la légitimité de relation de causalité.

ou moins volontaires (condamnés à mort, prisonniers, etc.). L'expérimentation est, en revanche, possible chez l'animal, mais ses résultats ne sont pas toujours transposables ou extrapolables à l'homme. En particulier, l'expérimentation animale n'est d'aucune aide dans bon nombre de situations pathologiques spécifiquement humaines.

Dans le domaine étiologique, l'établissement de la relation de causalité est donc beaucoup plus difficile. On est amené à n'utiliser que des méthodes et des raisonnements indirects. On s'appuie sur un faisceau d'arguments et c'est toujours un jugement qui clôt le processus intellectuel.

La complexité du processus s'accroît quand on passe des maladies monofactorielles aux maladies multifactorielles, dans lesquelles la présence et la combinaison de plusieurs facteurs sont nécessaires à la survenue d'un phénomène pathologique. Les maladies infectieuses, bien que leur physiopathologie fasse souvent intervenir des interactions entre le germe et l'hôte (ou l'environnement), sont les plus faciles à envisager sous l'angle de la causalité. Ce sont aussi elles qui ont suscité les premières réflexions sur la recherche en matière de causalité étiologique, à la fin du XIX<sup>e</sup> siècle.

## Causalité dans les maladies infectieuses

Le "postulat"<sup>(10)</sup> de Henlé-Koch a longtemps présenté les critères de jugement de la causalité pour les maladies infectieuses.

### Le "postulat" de Henlé-Koch :

1. Le parasite (la bactérie) doit se rencontrer dans chaque cas de la maladie en question et dans les circonstances qui expliquent les lésions et l'évolution clinique de la maladie.
2. Il ne doit se rencontrer dans aucune autre affection en tant que parasite fortuit et non pathogène.
3. Après avoir été bien isolé de l'organisme et cultivé en culture pure, il doit induire la maladie à nouveau.

Toutefois, les critères de Henlé-Koch ne peuvent être absolus, même pour les maladies bactériennes. Il existe parfois des difficultés pour trouver un hôte expérimental, et Koch lui-même a admis que l'on pouvait se contenter des deux premiers critères. Les problèmes de la virulence (dans le cas du choléra par exemple) interviennent de leur côté. Enfin, il y a le problème des porteurs sains.

Les virus ont des caractéristiques propres qui excluent aussi l'utilisation du postulat d'Henlé-Koch. Les conditions de Rivers ont d'abord résumé les critères nécessaires pour établir une relation de causalité entre un virus et une maladie :

1. Un virus spécifique doit être trouvé associé à une maladie avec un certain degré de régularité.
2. Le virus doit être observé chez l'individu malade et non pas trouvé incidemment ou accidentellement comme responsable de la maladie explorée.

Puis l'introduction du sérodiagnostic, de la séro-épidémiologie, de l'étude des facteurs liés à l'hôte, des virus du Système Nerveux Central et des virus oncogènes a remis en question ces conditions simples. Les propositions de Huebner pour résoudre le dilemme de la causalité dans les affections virales sont devenues les suivantes :

1. Le virus doit être bien réel (démonstré par passage au laboratoire chez l'animal ou en culture tissulaire).
2. Le virus doit être isolé de façon répétée à partir d'échantillons humains, et il faut montrer que ce n'est pas un contaminant des animaux ou de cultures du laboratoire.
3. Il y a une réponse d'anticorps.
4. Le virus doit être caractérisé et comparé avec des agents connus.
5. L'association avec une affection spécifique doit être constante.
6. Des études devraient être conduites avec des volontaires humains. Cette proposition pose des problèmes éthiques insolubles.
7. Des études épidémiologiques doivent être conduites pour identifier le modèle d'infection et de maladie.
8. Il y a prévention par un vaccin spécifique (mais cela est loin d'être toujours réalisable).

## Causalité dans les affections chroniques non infectieuses

Dans les affections chroniques non infectieuses, la relation entre les troubles observés et la cause putative n'est établie qu'après un examen critique faisant intervenir différentes considérations et, en particulier, la

<sup>(10)</sup> Ce terme consacré par l'usage n'est peut être pas le plus adéquat car il utilise une terminologie qui est la caractéristique des sciences déductives et non inductives comme c'est le cas des sciences de la nature.

cohérence de la physiopathologie possible avec les données observées. Il s'agit bien d'un jugement et les erreurs d'interprétation sont toujours possibles (elles ont même été assez communes).

La première étape de la démarche d'établissement de la causalité dans les affections chroniques non infectieuses consiste en l'identification du ou des facteurs de risque de la maladie. Ce sont les méthodes épidémiologiques, et notamment de l'épidémiologie analytique, qui permettent cette identification.

**Facteur de risque :** caractéristique du sujet qui augmente le risque de voir apparaître une affection caractérisée.

Un facteur de risque est donc une caractéristique liée statistiquement à un excès de risque de la maladie. Il s'agit d'un facteur qui a été trouvé, dans des enquêtes épidémiologiques, plus fréquemment présent chez les malades que chez les non-malades (voir chapitre "Élaboration des connaissances pour la prévention et le dépistage").

Ces facteurs de risque sont des comportements et/ou des habitudes (fumer, boire de l'alcool), des anomalies biologiques (hypercholestérolémie, appartenance à un groupe tissulaire) ou des anomalies morphologiques (dysplasie de hanche) qui favorisent ou **augmentent le risque** de voir apparaître des maladies (respectivement: cancer du poumon, cirrhose hépatique, artériopathies de surcharge, spondylarthropathies inflammatoires, coxarthrose)<sup>(11)</sup>.

L'épidémiologie analytique permet d'identifier des facteurs de risque, mais d'autres arguments que la liaison statistique sont nécessaires pour affirmer, ou en tout cas suggérer fortement la causalité. Les critères de causalité de Hill (1965) les rappellent. \*

En raison de la sélectivité de ces critères de causalité, assez peu de facteurs sont reconnus pour être causaux dans une maladie donnée. Citons quand même le tabac pour plusieurs cancers (poumon, pharynx, vessie), l'amiante pour le cancer de la plèvre, l'infection génitale à *Chlamydia trachomatis* pour la grossesse extra-utérine, les radiations ionisantes pour le cancer de la thyroïde, l'hypertension artérielle pour la mortalité d'origine cardio-vasculaire, etc.

## Causalité dans les accidents thérapeutiques

La preuve de la responsabilité d'un produit ou d'une manœuvre dans la survenue d'un accident thérapeutique fait partie des préoccupations de la pharmacovigilance (des règles précises en ont été établies). Dans la mesure où l'expérimentation n'est pas envisageable pour des raisons éthiques, les arguments utilisés sont proches de ceux qui servent à établir la notion de causalité dans les maladies chroniques (voir chapitre "Élaboration et validation des connaissances thérapeutiques").

\* **Critères de causalité de Hill**

- 1) La liaison est forte : un facteur de risque causal augmentera fortement le risque de la maladie (au minimum, il y a multiplication du risque par 3 ou 4).
- 2) Les résultats sont cohérents d'un sous-groupe de sujets à l'autre (en effet, que penser d'une relation qui n'affecterait qu'une sous-population donnée?).
- 3) Les résultats sont cohérents d'une étude à l'autre (et plusieurs études conduites dans des populations différentes, avec des méthodologies différentes, retrouvent les mêmes résultats).
- 4) Il existe une relation dose-effet : les sujets les plus exposés ont un risque plus élevé que les sujets les moins exposés.
- 5) Il n'y a pas d'ambiguïté temporelle : l'apparition du facteur de risque a bien précédé celle de la maladie (c'est parfois complexe à affirmer quand on ne dispose que d'études cas-témoins).
- 6) Il y a une plausibilité biologique : des expérimentations animales ont permis de faire développer la maladie à des animaux exposés.
- 7) La relation est spécifique : un seul facteur en cause dans une maladie. En dehors des maladies infectieuses (voir ci-dessus), ce critère est rarement présent. Le tabagisme, qui cause une multitude de maladies est un bon exemple de la relativité de ce critère.

<sup>(11)</sup> Lorsque ces déterminants sont exogènes ou accessibles à une action "diététique", voire médicamenteuse ou à tout autre "manœuvre", le médecin peut être amené à tenter de les identifier ou de les dépister en vue de les supprimer ou de les modifier lorsque cela est possible. Mais, en général, dans ces cas, il intervient alors qu'aucune affection caractérisée n'est encore présente ni décelable. La recherche et la mise en évidence des facteurs de risque n'est pas, à proprement parler, une démarche de diagnostic clinique car le processus intellectuel qui est mis en œuvre est différent (voir les chapitres consacrés au dépistage et à la prévention). Toutefois la notion de facteur de risque fait partie des arguments qui peuvent orienter l'hypothèse diagnostique (voir le chapitre "Raisonnement diagnostique").

## LES ERREURS DANS L'ÉLABORATION DES CONNAISSANCES MÉDICALES

Ce sont essentiellement les erreurs dans le domaine de la recherche clinique, c'est-à-dire la recherche porte sur le développement de méthodes diagnostiques, pronostiques et thérapeutiques, qui seront développées dans cette section. Ces erreurs peuvent être conceptuelles et/ou méthodologiques.

### Erreurs conceptuelles

Ces erreurs sont plus ou moins faciles à détecter et parfois ne peuvent l'être que par des personnes connaissant bien le sujet traité. Les principales proviennent :

- 1) De la négligence des données factuelles au profit de spéculations et/ou d'hypothèses non vérifiées. Vérifier que les notions soumises à publication et proposées à la pratique médicale ont été établies sur des bases rigoureuses devrait être le souci majeur de tout responsable de recherche ou de diffusion des connaissances médicales. *La médecine est arrivée à un degré de maturité qui ne devrait plus laisser aucune place à ce type de négligences dans les travaux. Il faut toutefois reconnaître que ce n'est pas toujours le cas : certaines thérapies d'inspiration spéculative ou acceptant les dogmes fondateurs des médecines "alternatives" continuent à être encore prises en considération même dans certains journaux dits "sérieux". Mais il faut toutefois, reconnaître que leurs analyses (ou méta-analyses ou revues systématiques) concluent en général que les études sont méthodologiquement mauvaises et que des travaux plus rigoureux seraient nécessaires pour pouvoir conclure à la démonstration d'une efficacité. Il faut espérer que ces euphémismes laisseront bientôt place à des conclusions et prises de position plus claires. Ainsi, soit la réalité de certaines concepts sera démontrée, obligeant alors à une révision majeure de certains concepts, soit les spéculations seront infirmées et cela permettra de reléguer ces concepts non démontrés ou injustifiés à ce qui paraît leur juste place.*
- 2) De la vérification défectueuse des hypothèses émises alors même que les chercheurs utilisent des données factuelles. Il s'agit alors :
  - soit d'erreurs dans la façon de poser le problème et elles relèvent plutôt de paralogismes ;
  - soit d'erreurs dans la façon de le résoudre et elles relèvent surtout d'une méthodologie défectueuse (voir plus bas).
- 3) De l'établissement erroné des rapports de causalité (voir section précédente). Ce type d'erreur se confond souvent, mais non toujours, avec le précédent. *Ces erreurs fréquentes jusqu'au XIX<sup>e</sup> siècle sont bien plus rares actuellement. Mais bien des spéculations dans les tentatives d'explication des maladies dites "idiopathiques", comme la prise en considération de modifications morphologiques et l'application d'un raisonnement analogique hâtif, peuvent parfois provoquer une apparence de causalité et des illusions d'entités nosologiques sans réel fondement. C'est aussi le cas dans les affections dégénératives où la responsabilité de certaines constatations (comme des phénomènes subgroupés par exemple) est retenue sur des associations et non sur des arguments suffisamment fondés.*
- 4) D'extrapolations abusives : il s'agit d'extrapolations d'un groupe de patients à un autre qui n'a pas les mêmes caractéristiques. Et ceci s'applique aussi bien aux recherches concernant le diagnostic qu'à celles concernant l'évolution et la thérapeutique.

*Nous donnerons ici un exemple pour illustrer le problème. On peut faire des extrapolations à partir de données établies, soit par la physiopathologie ou par la pharmacologie générale, soit à partir de données établies par des essais thérapeutiques sur un groupe de patients similaire à celui qu'on se propose de traiter :*

- Dans le premier cas, le raisonnement se base sur la croyance en une loi générale dont on pense qu'elle autorise l'extrapolation au cas auquel on est confronté,
- Dans le second cas, le raisonnement se base sur l'acceptation que le sujet auquel on va appliquer les conclusions fait partie des sujets pour lesquels on a admis le risque de x% d'erreur qu'on a consenti dans l'étude.

*On n'a généralement aucune idée de l'ordre de grandeur de l'erreur que l'on commet dans le premier cas. Par contre on connaît celui-ci (on le fixe) dans le second cas, à condition que le sujet appartienne bien au groupe homogène des patients qui ont fait l'objet de l'étude.*

*Parfois on ne peut, faute d'essais contrôlés, disposer de cette dernière précision. On ne pourra alors qu'utiliser le premier type d'extrapolation dont on ne peut quantifier l'ordre de grandeur de l'erreur admise.*

### Erreurs méthodologiques

L'architecture des recherches peut elle-même être responsable d'erreurs qui ont été répertoriées. Ces erreurs seront considérées dans chacun des chapitres consacrés à l'élaboration des connaissances pour le diagnostic, la prédiction et la thérapeutique, mais elles ont des caractéristiques communes qu'il est nécessaire de connaître. \*

Comme on l'a vu plus haut, seules les études expérimentales permettent l'établissement rigoureux des relations de causalité en jeu dans la plupart des recherches médicales et d'éviter la plupart des biais mentionnés ci-dessus. Les études d'observation comportent, à des degrés divers, des risques de biais (on considérera que ces études s'intéressent à une relation  $X \rightarrow Y$ ) :

Les études rétrospectives, qui se déroulent après la survenue de Y, ont des faiblesses majeures et leur valeur est des plus réduites. Les biais de sélection sont souvent très importants. Elles sont cependant incontournables pour les travaux de description et sont les seules possibles dans les pathologies nouvelles et les affections émergentes.

Les études transversales se rapprochent des études rétrospectives car elles se déroulent aussi après la survenue de Y. Elles ne permettent de juger que de certaines associations (où X peut ne pas avoir précédé Y). Elles n'autorisent pas des conclusions sur les rapports de causalité qui nécessitent une relation temporelle entre cause et effet et que seules peuvent réaliser les études prospectives.

Les études prospectives, qui débutent avant la survenue de Y, et mieux encore, avant la survenue de X, sont à préférer. Bien conduites, elles peuvent approcher la rigueur scientifique souhaitable.

La connaissance de ces erreurs, et leur prise en compte, est nécessaire :

- par les chercheurs qui devraient respecter les précautions suggérées par les méthodologistes afin de réaliser des travaux de bonne qualité ;
- par les comités de lecture des publications médicales préoccupées de la qualité des travaux publiés. La rigueur de la critique des manuscrits soumis est un élément fondamental de la qualité des publications et donc du savoir constitué. Elle doit se doubler d'une rigueur éthique et d'une impartialité aussi exigeantes ;
- par les lecteurs des articles médicaux, enfin. Dans les prochaines années, la lecture critique des articles médicaux va certainement connaître un développement important (voir le chapitre consacré à l'"evidence-based medicine").

\* Les erreurs méthodologiques ont été bien analysées et des précautions ont été codifiées pour tenter de les déceler et de les éviter. On en distingue habituellement deux types :

• **Les erreurs aléatoires.** Elles peuvent fausser les résultats dans un sens ou dans un autre. Elles sont d'origine statistique et liées aux fluctuations d'échantillonnage (voir le chapitre "L'élaboration et la validation des connaissances thérapeutiques"). L'étude n'a pas la précision souhaitable car le nombre de sujets étudiés est trop faible ou les instruments de mesure sont médiocres (voir en particulier le chapitre "Métrologie"). Ces erreurs sont évitables par un calcul préalable du nombre de sujets à inclure.

• **Les erreurs systématiques ou biais.** Ce sont les plus contrariantes car elles faussent les résultats dans un seul sens (habituellement le sens souhaité par l'auteur de la recherche !). Elles sont d'origine méthodologique. On en distingue trois grands types :

• **les biais de sélection,** qui distordent l'échantillon étudié qui ne correspond plus avec la population cible. La sélection de sujets volontaires ou à l'inverse l'exclusion de sujets (sortis d'études ou perdus de vue) sont des exemples de méthodologies conduisant à des biais de sélection. Ils peuvent être limités par une adéquation entre l'échantillon étudié et la population cible ;

• **les biais d'information,** qui concernent la manière dont les données et notamment les critères de jugement de l'étude sont recueillis. Un biais d'information peut survenir quand le recueil de données se fait en toute connaissance du statut d'exposition ou de maladie des sujets ; connaissance qui peut induire une recherche plus ou moins approfondie et partielle du critère de jugement. Ils peuvent être limités par la mise en œuvre de procédures d'"aveugle" ou d'"insu"

• **les biais de confusion,** qui sont consécutifs à l'intervention d'un facteur incontrôlé (le facteur de confusion) qui perturbe la relation étudiée. Ce facteur est lié à la fois à l'exposition et à l'effet étudié et peut conduire à conclure à tort à l'existence d'une relation qui n'existe pas réellement (plus rarement à conclure à l'absence de relation alors qu'il existe une ; par exemple, le tabagisme est un facteur de confusion dans l'étude de la liaison entre la consommation d'alcool et le cancer du poumon). Ces biais peuvent être contrôlés par des procédures d'appariement ou d'ajustement.



## POUR EN SAVOIR PLUS

- BERNARD C. Introduction à l'étude de la Médecine Expérimentale (reprint). Paris, Flammarion, 1994.
- D.S.M. IV. Diagnostic and Statistical Manual of Mental Disorders ; Fourth Edition. Washington D.C., American Psychiatric Association, 1994.
- FEINSTEIN AR. Clinical biostatistics. 13. On homogeneity, taxonomy, and nosography. Clin Pharmacol Ther 1972 ; 13 : 114-129.
- FEINSTEIN AR. An analysis of diagnostic reasoning. I. The domains and disorders of clinical microbiology. Yale J Biol Med 1973 ; 46 : 212-232
- FEINSTEIN AR. ICD\*, POR\* and DRG\*. Unsolved scientific problems in the nosology of clinical medicine. Arch Intern Med 1988 ; 148 : 2269-2274 (N.B : ICD = International Classification of Diseases POR=Problem-Oriented Record/ DRG=Diagnosis-Related Group).
- HILL AB. The environment and disease: association or causation? Proc R Soc Med 1965 ; 58 : 295-300.
- PHILIPS CI. Logic in medicine (2<sup>e</sup> édition). London, BMJ Publishing Group, 1995.
- PICHOT P. Nosological models in psychiatry. Br J Psychiatr 1994 ; 164 : 232-240.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- SCHWARTZ D., FLAMANT R., LELLOUCH J. L'essai thérapeutique chez l'homme. Paris. Flammarion Médecine- Sciences. 1981.

## CE QU'IL FAUT RETENIR

- La science médicale, sur laquelle s'appuie la médecine scientifique, est une variété de sciences de la nature au même titre que la biologie. Elle utilise donc les mêmes outils intellectuels que ceux des sciences naturelles et expérimentales pour bâtir ses connaissances. Elle n'est donc pas une science déductive. Elle est, au contraire, basée sur l'observation de faits pathologiques (mais aussi physiologiques, qui servent de même temps de référence), s'intégrant dans un raisonnement inductif qui permet la construction de théories ou d'hypothèses. Quand cela est possible, ces hypothèses sont soumises à l'expérimentation, dont l'interprétation relève du raisonnement hypothético-déductif.
- Certains problèmes épistémologiques sont, toutefois, spécifiques à la pathologie propre à l'espèce humaine. Ils font intervenir trois concepts essentiels :
  - 1) celui de la biopathologie spécifiquement liée à l'espèce humaine ;
  - 2) celui du fonctionnement intellectuel et de la pathologie mentale ;
  - 3) celui de la finalité même de la médecine qui ne se conçoit que dans un environnement socio-culturel humain.
- Le problème épistémologique de la psychiatrie et des troubles mentaux provient du caractère spécifique de la pensée humaine. Les discussions entre psychiatres et les vives polémiques avec les "antipsychiatres" sont la source des difficultés. Rien ne permet d'exclure l'application des méthodes scientifiques au champ des troubles mentaux comme on le fait dans le champ de la psychophysiologie et des sciences cognitives.
- Les notions de déterminisme et de causalité tiennent une place très importante dans le raisonnement pour la mise en évidence des causes des maladies et de l'efficacité des méthodes thérapeutiques. L'établissement de rapport de causalité est néanmoins une opération difficile.
- La relation de causalité n'est établie de façon rigoureuse que par une méthodologie expérimentale. L'expérimentateur contrôle l'administration de la manœuvre aux sujets, recueille, ensuite, au bon moment, les informations sur la survenue de l'effet par comparaison aux sujets contrôles. L'établissement de la causalité peut être direct et, si l'expérience a été correctement menée (sans biais et dans des conditions statistiques satisfaisantes), démonstratif. En biologie humaine et en Médecine, la démarche expérimentale concerne que l'évaluation des thérapeutiques.
- Dans la recherche étiologique, où l'expérimentation humaine est éthiquement inacceptable, l'établissement de la relation de causalité ne peut être qu'indirect, et est bien moins assuré. Il relève alors plus du jugement que de la démonstration. Des systèmes de critères ont été établis pour aider le jugement en matière de causalité étiologique dans les maladies infectieuses, les maladies chroniques, les accidents thérapeutiques.
- De nombreuses erreurs conceptuelles ou méthodologiques peuvent affecter les recherches médicales. La prévention de ces erreurs ou, le cas échéant, une reconnaissance explicite par les chercheurs et/ou par leurs instances évaluatives (comités scientifiques ou comités de lecture) est nécessaire pour assurer une recherche médicale et des connaissances de bonne qualité.

## Chapitre 3

# MÉTROLOGIE MÉDICALE. LA VALIDATION DES INSTRUMENTS DE MESURE ET DES TESTS UTILISÉS EN MÉDECINE

## INTRODUCTION

La *métrologie médicale* est la science des mesures en médecine. Elle a pour objet de mettre au point des mesures et d'en étudier la qualité. Une compréhension des concepts de la métrologie médicale est devenue indispensable aussi bien à la recherche qu'à la pratique médicale quotidienne.

L'élaboration des connaissances médicales nécessite l'application d'une méthodologie la plus rigoureuse possible. Nous avons vu aux chapitres "Épistémologie" que la quantification est devenue un moyen incontournable d'étude des phénomènes en matière scientifique. Ses premières applications systématiques en physiologie et en médecine semblent remonter à Sanctorius (1561-1636). La quantification n'a, depuis lors, fait que s'étendre en rencontrant plus ou moins de difficultés. La mesure de la pression artérielle et de la fréquence du pouls sont, sans conteste, des exemples de l'utilisation quotidienne de la mesure en clinique.

S'il est aisé d'utiliser une balance ou un thermomètre, qui sont d'ailleurs des outils communs à de nombreuses sciences, la médecine pose des problèmes particuliers. Les difficultés sont très importantes dès que l'on passe des données quantitatives, fournies par certaines mesures physiques grâce à certains instruments comme le sphymomanomètre ou certains dosages chimiques (mesures et dosages parfaitement quantifiables) ou des comptages d'éléments bien définis, à des explorations plus complexes et surtout à des données cliniques. Ainsi, l'amaigrissement et la fièvre se mesurent aisément, mais les signes fonctionnels qui relèvent du domaine de la subjectivité posent des problèmes difficiles. On peut toutefois s'efforcer de les explorer soit par une appréciation directe approchée, soit par des méthodes indirectes portant ou sur les conséquences des troubles ou sur des phénomènes subrogés.

Une métrologie rigoureuse est indispensable en recherche où on ne peut, en l'occurrence, ni se passer de quantification ni se contenter d'une quantification approximative. Au-delà des outils de mesure utilisés en recherche, il est souhaitable de disposer d'instruments utiles pour chacune des étapes de la pratique de l'activité médicale quotidienne. La pratique clinique nécessite le recours fréquent à des mesures de phénomènes cliniques, biologiques, mais aussi à des mesures de phénomènes complexes, comme les troubles de l'humeur, l'incapacité fonctionnelle, la qualité de vie, etc. Dans ce contexte, la quantification est certes toujours souhaitable et de nombreux efforts sont faits pour la concevoir et la réaliser, mais ce but ne doit pas entraîner la disparition de la critique argumentée et du jugement basé sur les données factuelles. Quels que soient les phénomènes mesurés, les concepts du principe de la mesure et les garanties méthodologiques doivent être très strictement critiqués.

## QUALITÉ, APPLICABILITÉ, UTILITÉ DES MESURES

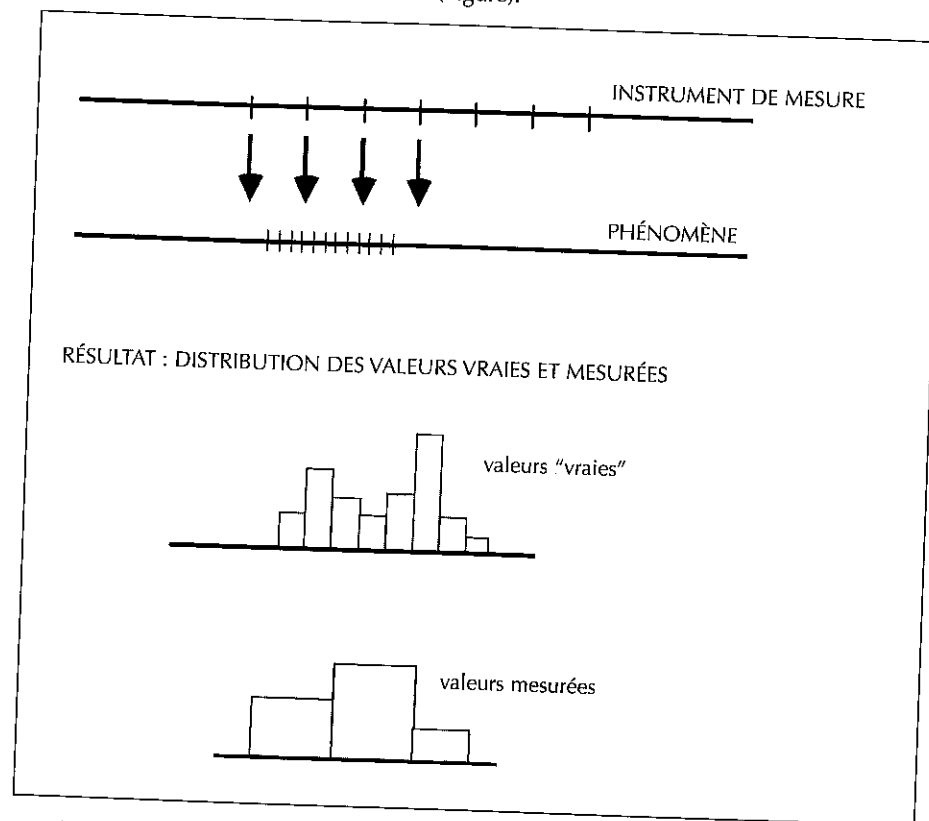
La qualité d'une mesure recouvre deux concepts sous-jacents différents :

- 1) la qualité de la mesure en tant que *valeur* : c'est la fiabilité ;
- 2) la qualité de la mesure en tant que *critère* : c'est la validité.

**Fiabilité** : propriété d'une mesure (et de l'instrument de mesure) dont les résultats peuvent être reproduits aussi longtemps que les conditions de la mesure ne changent pas ; les termes voisins sont reproductibilité, précision, fidélité. La question qui se pose est de savoir quelle foi (fiabilité vient de foi) on peut accorder à la constatation du résultat obtenu.

**Validité** : propriété d'une mesure (et de l'instrument de mesure) qui se définit par la capacité de mesurer ce qu'elle est censée mesurer et de varier avec ce qu'elle mesure ; un terme voisin est la pertinence. L'évaluation de la validité se fait habituellement par rapport à une méthode de référence (sauf exception sur lesquelles on reviendra plus bas).

Un manque de *fiabilité* se traduit par des erreurs *aléatoires* et une augmentation de la variance des paramètres. C'est ce qui se passe, par exemple, si on mesure un phénomène millimétrique par une règle graduée en centimètres : la perte d'information est considérable (Figure).



Comme la variabilité observée d'un phénomène est égale à la somme de la variabilité biologique et de la variabilité instrumentale, on comprend facilement les conséquences d'un manque de fiabilité qui augmente la variabilité instrumentale : les données sont imprécises, "floues" et de ce fait plus difficile à analyser et à interpréter.

Un manque de *validité* se traduit par des *erreurs systématiques* ou des *biais*, ce qui, lors de l'interprétation des résultats, provoque des erreurs en cascade.

**L'évaluation métrologique** d'un instrument de mesure consiste à en étudier la fiabilité et la validité.

La **validation** d'un instrument de mesure consiste à en montrer la fiabilité et la validité. Un **instrument valide** est un instrument qui a une bonne fiabilité et une bonne validité.

Il faut d'emblée distinguer les qualités métrologiques d'un instrument de mesure de :

- 1) *l'applicabilité* qui relève de la conception ou de la nature de l'outil utilisé, c'est la possibilité d'utilisation de l'instrument de mesure, qui dépend du contexte et surtout de la population "cible" (âge, sexe, etc.). Par exemple, la mesure de l'acuité visuelle est facile, applicable pour la surveillance de la rétinopathie diabétique en routine, alors que l'électrorétinogramme est à la fois un examen sophistiqué, long, coûteux, qui ne peut s'appliquer qu'à des groupes restreints de sujets (par exemple, en recherche), ou à des moments bien particuliers de l'évolution de la rétinopathie.

- 2) et *l'utilité* (intérêt général de la méthode de mesure) qui est fonction du but recherché ou de la stratégie employée ; par exemple, la mesure des facteurs rhumatoïdes est utile pour caractériser et classer une polyarthrite, mais inutile pour évaluer l'efficacité d'un traitement anti-inflammatoire.

Le plus souvent les instruments de mesure utilisés en pratique clinique ont été initialement conçus dans un esprit et un contexte de recherche. Leurs qualités métrologiques mais surtout leur applicabilité et leur utilité ont été consacrés pour leur diffusion et leur utilisation quotidienne. Certains ont connu une grande vogue puis ont été délaissés. La mesure du "métabolisme de base" en est un exemple. Nombre d'épreuves ont connu un sort voisin. Toutes les méthodes de mesure imaginables et imaginées n'ont pas une "faisabilité" pratique satisfaisante. En permanence des instruments de mesure sont inventés, testés et introduits dans les activités de recherche et plus ou moins aménagés pour une utilisation en pratique quotidienne et propagés auprès des praticiens.

Les prochains chapitres reviendront en détail sur l'applicabilité et surtout sur l'utilité des instruments de mesure dans les différents contextes de la pratique clinique. Dans ce chapitre, nous nous concentrerons sur l'évaluation métrologique et la validation des instruments de mesure.

## L'ÉVALUATION DE LA FIABILITÉ DES TESTS ET MESURES MÉDICALES

On a vu dans le paragraphe précédent qu'un manque de fiabilité d'un instrument de mesure se traduit par des erreurs aléatoires (dans les deux sens, et au hasard), et donc des mesures imprécises.

En *recherche*, un manque de fiabilité augmente la variabilité instrumentale de l'observation ou de l'expérimentation : les données sont imprécises, "floues" et de ce fait plus difficiles à analyser et à interpréter. On risque aussi de ne pas détecter des phénomènes de faible intensité (ils sont "couverts" par le bruit de l'erreur de mesure).

En *pratique médicale*, l'imprécision des mesures est également source d'erreurs, et ce dans toutes les phases où la prise en charge du patient fait appel à la quantification d'un phénomène puis à une interprétation binaire en fonction de *seuils* ou de *sens d'une variation*. Cela peut être le cas pour la définition d'un facteur de risque ou d'une maladie (par exemple, l'hypertension artérielle, le diabète) ou pour l'évaluation du succès d'un traitement.

Les propriétés métrologiques s'apprécient de différentes façons suivant que le résultat de la mesure est exprimé de façon binaire (oui/non, positif/négatif) ou de façon quantitative.

### Premier cas : l'instrument de mesure donne un résultat binaire

La répétition de la mesure ou du test donne lieu à des résultats binaires (oui/non, positif/négatif) qui peuvent être concordants ou discordants.

#### La concordance et le coefficient Kappa

La méthode permettant de tester la reproductibilité des résultats obtenus est fondée sur la comparaison de ces résultats avec ceux qui seraient observés en la seule présence du hasard. En effet, les résultats du test peuvent être concordants par le seul fait du hasard<sup>(1)</sup>. L'évaluation de la fiabilité doit utiliser une mesure prenant en compte cette concordance en quelque sorte fortuite. Il est facile de comprendre que plus on s'éloigne de la valeur de la concordance due au hasard et plus le test est fiable.

La mesure de concordance la plus utilisée est le coefficient Kappa. Elle prend en compte la concordance entre les résultats du test qui peut être due au seul fait du hasard.

La formule du coefficient Kappa est la suivante :

$$\text{Kappa} = \frac{P_o - P_e}{1 - P_e}$$

<sup>(1)</sup> Si l'on jette une pièce de monnaie deux fois de suite, une concordance du résultat (pile+pile ou face+face) sera observée une fois sur deux. Il en est de même pour tout test binaire.

Où  $P_0$  est le pourcentage de tests concordants observé et  $P_e$  le pourcentage de tests concordants que l'on observerait si le résultat du test était le fruit du hasard seul (si la fréquence de positivité du test est de 50 %, la concordance liée au hasard seul serait aussi égale à 0,50).

La valeur de Kappa est comprise entre +1 (accord parfait) et 0 (accord nul) voire même -1 (désaccord complet). Une valeur de Kappa supérieure à 0,80 est considérée comme satisfaisante (sur les critères d'un examen fiable, voir *infra*). \*

### Second cas : l'instrument de mesure donne un résultat quantitatif

Quand l'instrument fournit une mesure quantitative du phénomène, l'évaluation de la fiabilité s'effectue soit avec l'aide du coefficient de corrélation intraclass, soit avec la méthode graphique de Bland et Altman. Cette dernière est de beaucoup préférable.

#### Le coefficient de corrélation intraclass

Le coefficient de corrélation intraclass (on devrait dire "intrasujet") estime la corrélation entre deux mesures chez un même sujet. Sa formule est relativement simple :

$$\rho = \frac{\sigma_B^2}{\sigma_B^2 + \sigma_M^2}$$

où  $\sigma_B^2$  est la variance vraie "biologique" et  $\sigma_M^2$  la variance liée à l'instrument de mesure : le coefficient de corrélation intraclass est la proportion "biologique" de la variabilité totale : plus cette proportion est importante, plus fiable est la mesure. Son estimation fait appel à l'analyse de variance. Comme pour le coefficient Kappa, sa valeur est comprise entre +1 (reproductibilité parfaite ou variance liée à l'instrument de mesure nulle) et 0 (reproductibilité nulle), et une valeur supérieure à 0,80 est habituellement considérée comme satisfaisante. Nous verrons toutefois (dans l'exemple *infra*) qu'un coefficient de corrélation intraclass à 0,80 peut masquer d'importantes différences individuelles entre les résultats des mesures.

#### La méthode de Bland et Altman

La méthode graphique de Bland et Altman est de plus en plus utilisée pour évaluer la fiabilité d'un instrument de mesure quantitatif.

La méthode de Bland et Altman représente les différences des résultats fournis par les deux évaluations (en ordonnée) en fonction de la moyenne de ces résultats (en abscisse). Elle permet de calculer un intervalle de confiance de la différence des mesures. Cette méthode a deux intérêts :

- 1) visualiser les erreurs de mesure en fonction de la valeur des résultats, et ainsi repérer des zones où ces erreurs sont élevées ;
- 2) donner un ordre de grandeur de l'erreur de mesure facilement interprétable par le clinicien.

Elle est beaucoup plus informative que la seule valeur du coefficient de corrélation intraclass.

L'exemple suivant illustre bien l'intérêt de cette méthode. \*

#### \* Un exemple d'évaluation de fiabilité d'un instrument donnant des résultats binaires

Une arthrose interarticulaire postérieure (AIAP) au niveau L5 sur la radiographie simple du rachis lombaire a été recherchée par deux rhumatologues chez 115 sujets (J. Coste et al. Spine 1991). Le lecteur 1 a trouvé le signe 47 fois alors que le lecteur 2 ne l'a trouvé que 30 fois ; la répartition des lectures est la suivante :

|           |        |           |        |
|-----------|--------|-----------|--------|
|           |        | Lecteur 2 |        |
|           |        | AIAP +    | AIAP - |
| Lecteur 1 | AIAP + | 22        | 25     |
|           | AIAP - | 8         | 60     |

La concordance des lectures est de  $(22 + 60) / 115$  c'est-à-dire 71 %. Mais la concordance attendue du fait du hasard est de 54 %. Le coefficient Kappa est donc de 0,37, révélant une fiabilité très médiocre de ce signe.

#### \* Un exemple d'évaluation de fiabilité d'un instrument donnant des résultats quantitatifs

La reproductibilité interobservateur de la lecture de l'intradermoréaction à la tuberculine par la palpation digitale a été évaluée chez 96 sujets (J. Pouchot et al. Annals of Internal

### Quand dira-t-on qu'un instrument de mesure ou un test est fiable ?

Nous avons dit que des valeurs de Kappa ou de coefficient de corrélation intraclass supérieures à 0,80 sont souvent considérées comme satisfaisantes. Mais ce seuil de 0,80, préconisé par de nombreux auteurs, avait été initialement proposé pour le cadre du diagnostic psychiatrique. Le seuil de 0,80 doit plutôt être considéré comme un *minimum*. On doit exiger beaucoup plus d'un examen utilisé en vue d'une décision importante, par exemple pour décider ou orienter une intervention chirurgicale.

### Quel est l'intérêt pratique de la connaissance de la fiabilité des tests ?

Elle permet de savoir quelle foi on peut accorder aux résultats des tests. \*

Il est souhaitable que les praticiens connaissent la fiabilité des tests qu'ils utilisent pour choisir au mieux ceux qu'ils appliqueront dans une circonstance déterminée pour un patient donné.

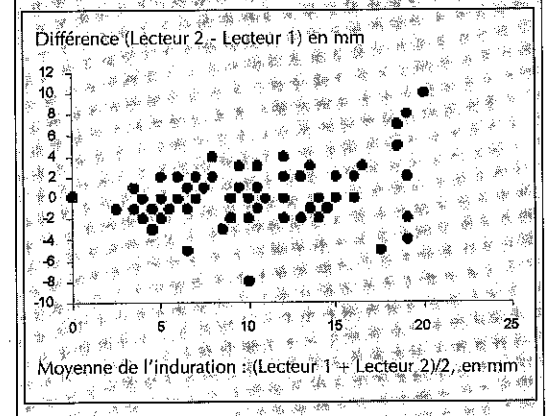
### L'ÉVALUATION DE LA VALIDITÉ. SENSIBILITÉ ET SPÉCIFICITÉ DES TESTS

On a vu précédemment que la validité est la propriété d'une mesure (et de l'instrument de mesure) qui se définit par la capacité de mesurer ce qu'elle est censée mesurer (c'est la cohérence conceptuelle) et de varier avec ce qu'elle mesure (c'est l'adéquation à la quantification recherchée). Un manque de *validité* se traduit par des *erreurs systématiques* ou *biais* : le résultat observé diffère systématiquement de sa vraie valeur. En pratique clinique, une insuffisance de validité conduit au mieux à des errances de la prise en charge des malades, et au pire à des erreurs qui peuvent être tragiques.

L'évaluation de la validité constitue donc une étape fondamentale dans le développement d'une méthode de mesure en médecine, et notamment d'un test diagnostique. On envisagera d'abord le cas simple où il existe une *méthode de référence*, appelée aussi *Gold Standard*, pour l'évaluation de l'instrument de mesure proposé. Le choix du *Gold Standard* ou référence est le fruit d'une étude critique et d'un jugement dans une situation donnée comme un diagnostic par exemple. Ce choix sera d'autant plus justifié qu'il satisfera aux exigences d'adéquation de conception et de construction.

Comme pour l'évaluation de la fiabilité, il faut distinguer les cas où l'instrument de mesure donne un résultat binaire de ceux où l'instrument de mesure donne un résultat quantitatif.

Medicine 1997). Le coefficient de corrélation intraclass, égal à 0,92, suggère une reproductibilité satisfaisante. En fait, la méthode de Bland et Altman permet de constater que les différences de mesure augmentent avec la moyenne (les indurations importantes sont mesurées avec moins de précision que les indurations modérées ou faibles<sup>(2)</sup>) mais aussi que ces différences sont cliniquement importantes (beaucoup de différences excèdent 3 voire 5 millimètres), surtout lorsqu'on les compare à la valeur du seuil habituellement utilisée (5 mm).



\* La fiabilité de différents tests cliniques, biologiques ou radiologiques a été évaluée ces dernières années. Les résultats de ces évaluations sont souvent loin d'être satisfaisants. Il est donc logique et indiqué d'en tirer la leçon : Outre les exemples cités précédemment, nombre d'exams de pratique quotidienne ont une fiabilité moyenne, voire "médiocre". Dans certains cas, comme la lecture des mammographies ou encore celle des lames de biopsies cervicales à la recherche de lésions dysplasiques du col utérin, la constatation d'une fiabilité médiocre a suscité la mise au point de stratégies d'interprétation standardisée bien plus performantes.

(2) Il est possible que les indurations importantes fassent l'objet de moins de soin de mesure précise parce qu'il se produit un glissement conceptuel dans la psychologie de l'observateur qui peut se dire sans d'ailleurs que ce soit explicite : "inutile de perdre son temps à "finasser", la réaction est bien positive".

### Premier cas : l'instrument de mesure donne un résultat binaire

L'instrument de mesure, ou le test étudié, donne lieu, comme la méthode de référence, à des résultats binaires (oui/non, positif/négatif) : le symptôme ou le signe est "présent" ou "absent", la réaction chimique "positive" ou "négative"... Dans le cas d'un test diagnostique, la méthode de référence attestera la présence ou l'absence de maladie. C'est le cas que l'on va développer.

Quatre situations peuvent être observées, résultant de la combinaison des différents résultats possibles du test et de la méthode de référence qui atteste la présence de la maladie (test positif : T+ ou négatif : T-, maladie présente: M+ ou absente: M-). On a l'habitude de les représenter sur un tableau à quatre cases:

|    |    |    |
|----|----|----|
|    | M+ | M- |
| T+ | VP | FP |
| T- | FN | VN |

On appelle "vrais positifs" (VP) les sujets malades qui ont un test positif, "faux positifs" (FP) les sujets sains (non malades) qui ont un test positif, "vrais négatifs" (VN) les sujets sains (non malades) qui ont un test négatif, et "faux négatifs" (FN) les sujets malades qui ont un test négatif.

#### Sensibilité et spécificité

L'évaluation de la validité d'un test s'effectue à l'aide des concepts de sensibilité et de spécificité. Comme son nom l'indique<sup>(3)</sup>, la *sensibilité* exprime l'aptitude du test à "réagir", à détecter la maladie en question.

La *sensibilité* d'un test est estimée par la proportion de sujets malades ayant un test positif.

La formule de la sensibilité (Se) est donc la suivante :

$$Se = \frac{VP}{VP + FN}$$

Idéalement, tous les sujets malades ont un test positif et la sensibilité vaut 1 (ou 100 %).

La *spécificité* exprime l'aptitude du test à ne "réagir", c'est-à-dire à être présent, qu'en présence de la maladie en question<sup>(4)</sup>.

La *spécificité* d'un test est estimée par la proportion de sujets non malades ayant un test négatif.

La formule de la spécificité (Sp) est donc la suivante :

$$Sp = \frac{VN}{VN + FP}$$

Idéalement, tous les sujets sains ont un test négatif, et la spécificité vaut 1 (ou 100 %).

<sup>(3)</sup> Une des définitions de "sensibilité" donnée dans le Robert est "aptitude à détecter et à amplifier de faibles variations d'une grandeur".

<sup>(4)</sup> Une des définitions de "spécifique" donnée dans le Robert est "propre à une espèce et commun à tous les individus de cette espèce".

### Antagonisme de la sensibilité et de la spécificité

Un test diagnostique "valide", c'est-à-dire qui discrimine bien malades et non malades, doit donc être à la fois sensible et spécifique. Mais de tels tests réalisant cette combinaison sont très rares : ils sont soit plutôt sensibles, soit plutôt spécifiques. Par exemple, l'élévation des enzymes PSA a une bonne sensibilité et une médiocre spécificité dans le cancer de prostate, alors que le toucher rectal a plutôt une bonne spécificité et une médiocre sensibilité. *Sensibilité et spécificité sont deux caractéristiques conceptuellement et empiriquement antagonistes.* On reverra plus tard (chapitre : "Raisonnement appliqué au diagnostic"), l'importance de cet antagonisme dans la démarche diagnostique.

L'antagonisme entre sensibilité et spécificité s'appréhende particulièrement bien quand le test donne initialement un résultat quantitatif et qu'il faut choisir un seuil pour considérer le test comme positif ou négatif.

### Second cas : l'instrument de mesure donne un résultat quantitatif

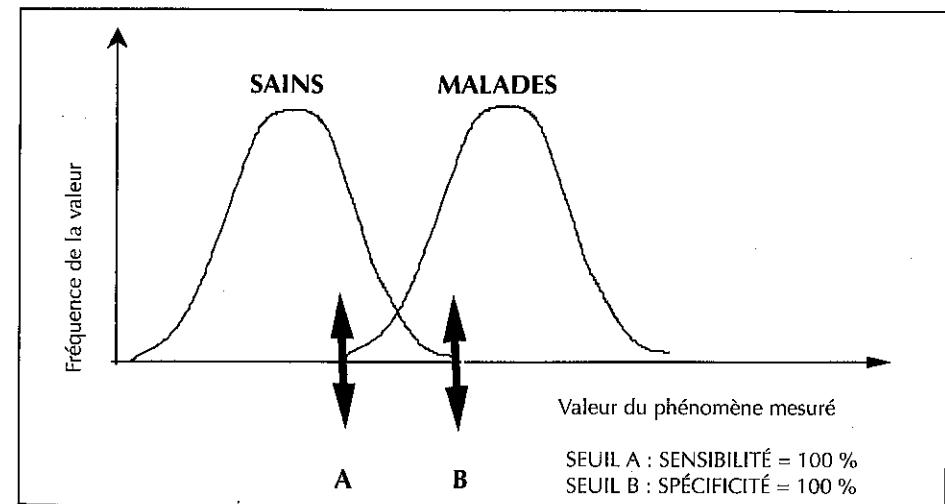
#### Cas général

Quand le test fournit une mesure quantitative du phénomène étudié, l'évaluation de la validité s'effectue avec la méthode graphique de Bland et Altman. Nous l'avons présentée à propos de l'évaluation de la fiabilité (supra). Sa mise en œuvre étant identique dans l'évaluation de la validité, nous n'y reviendrons pas. Nous ne détaillerons que le cas où la mesure quantitative est "dichotomisée" par la comparaison des valeurs obtenues à une valeur "seuil" qui les départage en "positifs" et "négatifs".

#### Test quantitatif et seuils

L'instrument ou le test fournit une mesure quantitative du phénomène, puis la distinction entre "test positif" et "test négatif" se fait après le choix d'un seuil : on considère "positif" (ou négatif) un examen pour lequel la valeur observée excède ce seuil, et inversement on considère "négatif" (ou positif) un examen pour lequel la valeur observée est en dessous de ce seuil. La détermination de la validité se fait par le calcul de la sensibilité et de la spécificité pour le seuil choisi.

Les conséquences du choix du seuil sur ces valeurs de sensibilité et de spécificité sont illustrées sur la figure suivante :



On observe, sur cette figure, que lorsqu'on déplace le seuil de gauche à droite, des valeurs plus faibles aux valeurs plus élevées du phénomène, la sensibilité diminue et la spécificité augmente. Il y a une liaison "fonctionnelle" entre sensibilité et spécificité : on parle de *couple sensibilité - spécificité*. Choisir un seuil qui donne une meilleure sensibilité implique que l'on perd en spécificité<sup>(5)</sup>.

<sup>(5)</sup> On comprend bien cet antagonisme entre sensibilité et spécificité grâce à l'exemple historique de la détection des avions par radar. L'augmentation de la sensibilité des radars entraînait la détection de plus d'avions, certes, mais aussi de multiples parasites, ce qui diminuait donc, d'autant, la spécificité et multipliait les alertes inutiles. Le problème devient ainsi celui de la recherche d'un compromis entre le souci de vouloir ne laisser échapper aucun élément recherché et la gêne provoquée par la détection de faux éléments.

#### Un exemple d'évaluation de sensibilité et de spécificité

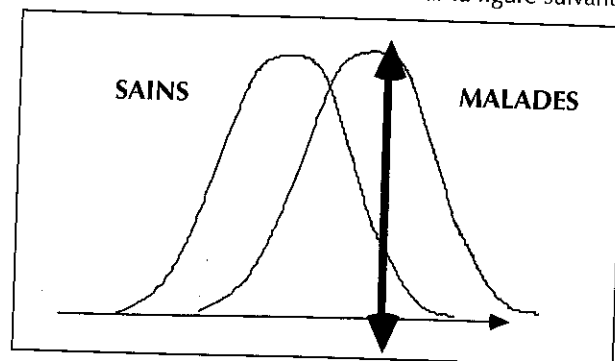
La validité de la tomodensitométrie (TDM) dans le diagnostic de l'ostéopathie par hernie discale a été étudiée par Jackson dans un travail classique (R.P. Jackson, et al., The neuroradiographic diagnosis of lumbar herniated nucleus pulposus: I. A comparison of computed tomography (CT), myelography, CT-myelography, discography, and CT-discography, Spine, 1989 ; 14 : 1356-61).

La méthode de référence pour évaluer le signe "hernie discale" à l'examen TDM a été la confirmation de cette hernie discale à l'intervention chirurgicale. Celle-ci a été réalisée à 231 niveaux chez 124 patients, et a permis de trouver 125 fois une hernie discale. Les résultats observés ont été les suivants :

|             |             |             |     |
|-------------|-------------|-------------|-----|
|             | Chirurgie + | Chirurgie - |     |
| Signe TDM + | 89          | 26          | 115 |
| Signe TDM - | 36          | 80          | 116 |
|             | 125         | 106         | 231 |

La sensibilité du signe "hernie discale" est donc de 89/125 = 71 %, et sa spécificité de 80/106 = 76 %. Ces valeurs signifient que plus d'une hernie sur quatre (36/125) est passée inaperçue à la TDM, et près d'un niveau "sain" sur quatre (26/106) a eu un faux diagnostic de hernie discale.

Le choix d'un seuil est encore plus difficile dans le cas illustré sur la figure suivante :



Ici la discrimination des sujets sains et malades est impossible, et le choix d'un seuil est une opération délicate. Cette situation est pourtant fréquente en médecine où de nombreux examens biologiques, d'histologie ou de radiologie "quantitative" sont de ce type.

## Les courbes ROC

La construction de courbes ROC (pour Receiver Operating Characteristic) permet de représenter l'évolution du couple sensibilité-spécificité.

**Courbe ROC :** représentation graphique de l'évolution de la sensibilité d'un test en fonction du taux de faux positifs (1 - spécificité) pour toutes les valeurs du test (seuils possibles).

Les courbes ROC sont utilisées dans deux objectifs :

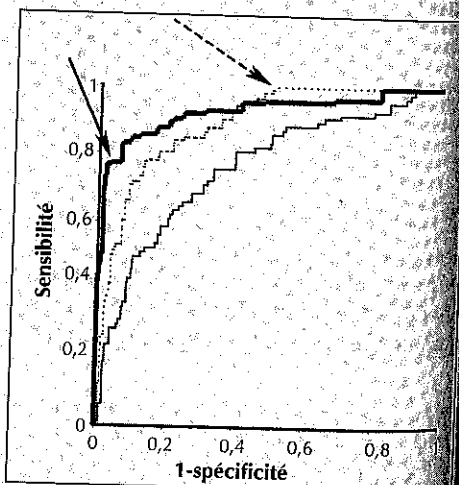
- 1) l'identification d'un seuil intéressant grâce à un point d'inflexion sur la courbe : un point d'inflexion signifie qu'on change de tendance ou d'orientation de la progression des données ;
- 2) calculer et comparer les aires (surfaces) sous la courbe. L'aire sous la courbe ROC est un indice résumé de la capacité discriminante du test. Une aire sous la courbe ROC égale à 0,5 est obtenue quand la capacité discriminante du test n'est pas meilleure que le hasard ; une valeur égale à 1,0 correspond à un test avec une capacité discriminante parfaite. Deux ou plusieurs tests réalisés peuvent être ainsi comparés grâce aux courbes ROC. \*

## LES ÉVALUATIONS MÉTROLOGIQUES DANS LA LITTÉRATURE MÉDICALE

La méthodologie d'évaluation des propriétés métrologiques des instruments de mesure et des tests diagnostiques est maintenant bien codifiée. Le schéma expérimental d'une étude de validation d'un instrument de mesure doit permettre d'assurer l'évaluation correcte de la reproductibilité intra-observateur (stabilité des résultats obtenus lors de la répétition de la mesure ou de la lecture d'un test par le même investigateur), et/ou la reproductibilité interobservateur (stabilité des résultats obtenus par deux ou plusieurs investigateurs), et de la validité, et notamment de la

### \* Un exemple de courbe ROC

Les performances de trois dosages biologiques (CRP, Interleukine-6, et procalcitonine) ont été comparées pour le diagnostic des infections bactériennes chez l'enfant fébrile (Gendre D et al. Comparison of procalcitonin with C-reactive protein, interleukin 6 and interferon- alpha for differentiation of bacterial vs. viral infections. *Pediatr Infect Dis J* 1999; 18: 874-81). La procalcitonine (courbe grasse) a une capacité discriminative (aire sous la courbe ROC = 0.94) plus élevée que la CRP (courbe en pointillés, aire sous la courbe ROC = 0.89) et surpasse que l'Interleukine-6 (courbe fine, aire sous la courbe ROC = 0.78). La flèche pleine identifie une valeur de la procalcitonine (1,5 mg/l) où la spécificité est très proche de 1, et où la sensibilité est assez correcte. La flèche en pointillé identifie une valeur de la CRP (10 mg/l) où la sensibilité est très proche de 1, et où la spécificité n'est pas encore effondrée.



sensibilité et la spécificité. Des recommandations ou "guidelines" pour le développement des tests, à l'usage des concepteurs et chercheurs, ont été établies dès le milieu des années quatre-vingts, mais elles sont malheureusement encore peu utilisées en dehors de travaux publiés dans les grandes revues anglo-saxonnes de médecine et d'épidémiologie. Ces recommandations doivent être suivies pour éviter plusieurs biais majeurs dans l'évaluation des propriétés métrologiques. Ces biais sont essentiellement : le biais de vérification, le biais de sélection sur la gravité de la maladie et les biais de lecture.

**Biais de vérification (en anglais "work-up bias") :** ce biais intervient dans les études où les sujets ayant un test positif sont plus fréquemment évalués par la méthode de référence (et inclus dans l'étude) que les sujets avec test négatif<sup>(6)</sup>.

**Biais de sélection sur la gravité de la maladie (en anglais "spectrum bias") :** ce biais intervient quand l'échantillon servant à évaluer le test est composé de sujets plus sévèrement atteints ou ayant une forme plus évoluée de la maladie. Ce biais est particulièrement crucial pour l'évaluation des examens de dépistage, où par définition les cas de maladie "cibles" sont précisément ceux où la maladie est peu évoluée.

**Biais de lecture (en anglais "context bias") :** ces biais interviennent quand la lecture des tests n'est pas faite à l'insu de la connaissance du contexte clinique, ou pire encore, du statut pour la maladie des sujets.

Quel est l'intérêt pour la pratique quotidienne de ces notions ? Comme il a été dit plus haut, pour la fiabilité des tests il est souhaitable que les praticiens connaissent la validité des tests qu'ils utilisent pour choisir au mieux ceux qu'ils appliqueront dans une circonstance déterminée pour un patient donné.

## LES ÉCHELLES COMPOSITES D'ÉVALUATION

### Principes généraux

Certains phénomènes (désordres psychologiques, capacité fonctionnelle, activités sociales) sont trop complexes pour être mesurés directement. Ces phénomènes complexes ou "constructs" sont généralement composés de plusieurs dimensions ou attributs (par exemple, la qualité de vie est classiquement composée de trois dimensions bien distinctes : l'incapacité fonctionnelle, le fonctionnement psychologique, les activités sociales) mais peuvent parfois être monodimensionnels (par exemple, le tonus musculaire). De ce fait, ils sont difficilement évalués par un seul paramètre (comme le jugement global). La mesure adéquate de ces phénomènes complexes nécessite le recours à des échelles composites.

**Échelle composite :** instrument de mesure intégrant plusieurs mesures élémentaires d'un phénomène complexe (lui-même habituellement composé de plusieurs dimensions différentes).

La mise au point d'une échelle composite nécessite l'identification et la quantification préalable de la ou des dimension(s) du phénomène complexe qui seront évaluée(s), chacune par une ou plusieurs questions ou investigations élémentaires (items). Puis, on construit les scores correspondant à chaque dimension à partir des valeurs obtenues pour chaque item constitutif de cette dimension. La production d'une valeur unique finale à partir d'une collection de réponses à des items suppose toujours qu'il soit licite et pertinent d'agréger ces items, c'est-à-dire que ces items soient reliés à une même dimension du phénomène ("ne pas mélanger des torchons et des serviettes").

### Utilisation des échelles d'évaluation en médecine

En médecine, il est souvent nécessaire de quantifier ou de mesurer un phénomène complexe de morbidité ou un état de santé : dans un but diagnostique (rarement) ou pronostique, dans un but de suivi et de surveillance de sujets atteints d'une affection, mais surtout en recherche dans les études évaluant le retentissement épidémiologique, l'histoire naturelle de l'affection ou les thérapeutiques ou interventions.

<sup>(6)</sup> L'étude de Jackson citée plus haut est caricaturale à cet égard. L'existence d'une hernie visualisée radiologiquement est presque obligatoire pour décider une intervention. La sensibilité de la méthode radiologique est alors considérablement sur-estimée à cause de ce biais.

Les échelles composites trouvent ainsi plusieurs domaines d'applications en médecine. La psychiatrie (psychométrie) et l'incapacité fonctionnelle (domaine plus récemment élargi à la santé perceptuelle ou qualité de vie) sont les plus classiques. Les échelles ont été utilisées avec des objectifs relativement différents selon les domaines.

En psychiatrie, elles ont été utilisées en *pratique clinique* comme outils diagnostiques (parfois), mais surtout comme outils de suivi et d'évaluation des thérapeutiques (très souvent utilisées dans les essais cliniques). Dans le domaine de l'incapacité fonctionnelle et de la qualité de vie, il s'agit surtout d'utilisations en *recherche clinique* avec là aussi une utilisation dans les essais thérapeutiques ou dans l'évaluation épidémiologique de l'état de santé des populations. Plus rarement, ces mesures sont utilisées en pratique clinique dans l'évaluation individuelle et le suivi des patients. Par ailleurs, des échelles de risque et pronostiques ont été développées, pour une application en épidémiologie mais aussi au lit du malade (échelle de gravité en réanimation, échelle de risque cardio-vasculaire de Framingham, échelle de risque des grossesses extra-utérines...).

### La construction et la validation d'une échelle composite

"Le travail que constitue la construction d'une échelle satisfaisante est considérable et ne peut être entrepris par des amateurs"<sup>(7)</sup>. Ce travail implique généralement la collaboration étroite d'experts cliniciens, linguistes, statisticiens familiarisés à cette tâche.

La constitution et l'utilisation d'une échelle d'évaluation d'un "phénomène de santé" suppose l'existence de plusieurs prérequis : *continuité* du phénomène à mesurer, *relation monotone* (sans rupture) entre le phénomène à mesurer et chacun des items de l'échelle, score final lié de *façon linéaire* au phénomène. Il faut sélectionner une collection d'items qui paraissent pertinents par rapport au problème posé, formuler les questions selon le contexte d'administration (auto-questionnaire ou questionnaire administré par un investigateur externe), graduer les items sélectionnés, recueillir des données, réévaluer successivement les résultats de l'échelle à partir des analyses statistiques pour obtenir les qualités métrologiques recherchées.

Comme tout instrument de mesure, une échelle doit, pour être utilisable, fournir des résultats fiables et valides. Une troisième qualité nécessaire dans les échelles d'évaluation est la sensibilité au change-

<sup>(7)</sup> Citation de Spriet A., Fermanian J., Simon P. *L'utilisation des échelles d'évaluation en psycho-pharmacologie. L'encephale* 1978; 4 : 119-129.

<sup>(8)</sup> Il ne s'agit pas de la présentation du questionnaire à utiliser en pratique. Pour se la procurer, contacter le Dr A. Leplège, INSERM U292 ; Le Kremlin-Bicêtre.

### Un exemple d'échelle composite

Nous présentons à titre d'exemple une échelle de qualité de vie : le Nottingham Health Profile (NHP). Cette échelle a beaucoup été utilisée dans les années 1980 et au début des années 1990. Il s'agit d'un questionnaire de 38 questions, réparties sur deux pages (une feuille recto verso). La liste des questions, auxquelles il faut répondre par "oui" ou par "non" précédée de consignes de remplissage (en italique ici).

Les items évaluent six dimensions ou attributs : mobilité physique (8 questions), isolement social (5 questions), douleur (5 questions), réactions émotionnelles (9 questions), tonus (3 questions) et sommeil (5 questions).

#### Le Nottingham Health Profile (version française)

La liste ci-dessous évoque quelques problèmes rencontrés par beaucoup de personnes dans leur vie quotidienne. Lisez attentivement cette liste et cochez la réponse "OUI" ou "NON" selon votre état actuel. Veuillez répondre à toutes les questions même si elles ne vous semblent pas très adaptées à votre état. Si vous hésitez, cochez ce qui correspond le mieux à votre état aujourd'hui.

|  | OUI                      | NON                      |
|--|--------------------------|--------------------------|
| Je me sens tout le temps fatigué   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs dans la nuit   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je suis de plus en plus découragé  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs insupportables   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je prend des médicaments pour dormir   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me rend compte que plus rien ne me fait plaisir   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me sens tendu, nerveux  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs quand je change de position  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me sens seul  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Pour marcher, je suis limité à l'intérieur (de mon domicile du bâtiment...)                  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des difficultés à me pencher en avant (pour lacer mes chaussures, ramasser un objet...) | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Tout me demande un effort  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me réveille très tôt le matin et j'ai du mal à me rendormir                               | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je suis totalement incapable de marcher  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des difficultés à entrer en contact avec les autres                                     | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je trouve que les journées sont interminables  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai du mal à monter ou à descendre les escaliers ou les marches                             | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai du mal à tendre le bras (pour attraper les objets...)                                   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je souffre quand je marche   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me mets facilement en colère ces temps-ci   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai l'impression de n'avoir personne de proche à qui parler                                 | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs dans la nuit   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je reste éveillé une grande partie de la nuit  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai du mal à faire face aux événements  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs quand je suis debout   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des difficultés à m'habiller ou à me déshabiller  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me fatigue vite   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des difficultés à rester longtemps debout   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs en permanence  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je mets beaucoup de temps à m'endormir   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai l'impression d'être une charge pour les autres  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des soucis qui m'empêchent de dormir  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je trouve que la vie ne vaut pas la peine d'être vécue                                       | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

ment (l'échelle doit pouvoir enregistrer une évolution du phénomène mesuré au cours du temps : cette qualité est indispensable pour une utilisation longitudinale de ces échelles (pour le suivi de patients dans le temps). En l'absence de méthode de mesure de référence ou de Gold-Standard (ce qui est souvent le cas dans le contexte des phénomènes complexes concernés par les échelles composites, comme les désordres psychologiques, l'incapacité fonctionnelle ou la qualité de vie), on devra recourir à des procédures parfois complexes pour affirmer la validité de l'échelle.

### Traduction et adaptation d'une échelle

La science médicale étant généralisable et universelle, il est indispensable que tout le monde utilise les mêmes méthodes et les mêmes instruments dès lors qu'ils satisfont aux exigences de leur adéquation au but recherché et de leur validation. Lorsqu'une échelle a été validée et utilisée dans un pays étranger, on peut donc être tenté de la traduire et de l'adapter dans une autre langue. Cette adaptation permet, sous réserve d'un choix judicieux de l'instrument, d'"économiser" la phase la plus difficile et la plus longue de l'élaboration : celle du choix des questions et plus généralement l'établissement de la validité de contenu.

Toutefois, les différences culturelles d'un pays à l'autre mais aussi les subtilités linguistiques des différentes langues (idiomes, syntaxe) nécessitent le recours à des méthodes de traduction et d'adaptation assez lourdes (traduction - évaluation conceptuelle et

|   |                          |                          |
|---|--------------------------|--------------------------|
| Je dors mal la nuit   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des difficultés à m'entendre avec les autres                               | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai besoin d'aide pour marcher dehors (une canne, quel qu'un pour me soutenir) | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| J'ai des douleurs en montant ou en descendant les escaliers ou les marches      | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je me réveille déprimé le matin   | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| Je souffre quand je suis assis  | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

Chaque item est associé à un poids, qui est plus élevé si la question concerne un niveau de l'attribut plus grave (cette gravité a été évaluée grâce à une étude conduite sur un échantillon de sujets auxquels on a demandé de classer les items par ordre de gravité). Ces poids sont standardisés en sorte que le score par dimension varie de 0 (qualité de vie parfaite) à 100 (qualité de vie la plus détériorée). Il y a un score par dimension, et donc un "profil" de six scores par sujet.

Par exemple, pour la dimension sommeil, les poids sont les suivants :

| Dimension "sommeil"  | Pondération |
|--|-------------|
| Je prend des médicaments pour dormir                           | 26,33       |
| Je reste éveillé(e) une grande partie de la nuit               | 22,86       |
| Je dors mal la nuit  | 20,36       |
| Je mets beaucoup de temps à m'endormir                         | 16,50       |
| Je me réveille très tôt le matin et j'ai du mal à me rendormir | 13,95       |

Et un sujet qui aurait coché :

|  | OUI                                 | NON                                 |
|--|-------------------------------------|-------------------------------------|
| Je prend des médicaments pour dormir                           | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Je reste éveillé(e) une grande partie de la nuit               | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |
| Je dors mal la nuit  | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/>            |
| Je mets beaucoup de temps à m'endormir                         | <input checked="" type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/>            |
| Je me réveille très tôt le matin et j'ai du mal à me rendormir | <input type="checkbox"/>            | <input checked="" type="checkbox"/> |

aurait un score pour la dimension "Sommeil" de 20,36 + 16,50 = 36,86/100.

En l'absence de Gold-Standard, la validité d'une échelle comprend deux aspects : la *validité de contenu* (ou conceptuelle), et la *validité de construction* de l'échelle.

La *validité de contenu* explore l'adéquation de l'instrument de mesure au domaine de l'étude, en fonction des concepts et des formulations employées. Ce type de validation nécessite la *définition préalable des concepts que l'on veut explorer et l'accord consensuel des experts*. On vérifiera que les concepts mis en œuvre sont adéquats, que les formulations proposées sont fidèles aux concepts mais aussi compréhensibles par les utilisateurs (enquêteurs et enquêtés). Bien que d'un caractère empirique, le recours aux experts (patients, soignants) est la méthode la plus souvent mise en œuvre. Une formalisation de l'expertise est cependant nécessaire afin de trouver un consensus entre des avis exprimés éventuellement différents.

La *validité de construction* est la propriété de l'instrument d'explorer le concept étudié dans toute sa diversité et sa cohérence. On distingue une *validité de construction interne* ou *validité de structure* et une *validité de construction externe*.

La *validité de structure* ou validité factorielle évalue la *cohérence interne* de l'instrument dans la prise en compte de ou des différentes dimensions de l'objet de la mesure. L'établissement de la validité interne fait appel à des méthodes multivariées descriptives. Ces méthodes permettent de vérifier comment les variables décrivant une même dimension ont des regroupements cohérents. On considère que la validité factorielle est démontrée lorsque les items décrivant l'une de ces dimensions sont mieux corrélés entre eux qu'avec ceux portant sur les autres dimensions. Ces méthodes permettent aussi d'éliminer des *redondances* alourdissant inutilement l'instrument.

L'évaluation de la *validité de construction externe* se fait par la recherche d'associations statistiques (corrélations) entre les résultats donnés par l'instrument et les conclusions tirées de l'application de méthodes d'observation ou d'indicateurs de nature différente. La validité de construction externe se distingue de la validité sur critère parce qu'au lieu de chercher une corrélation stricte, elle ne vise qu'à faire apparaître une *proximité* (validité convergente) entre variables explorant une même dimension : par exemple, incapacité fonctionnelle physique et existence de troubles locomoteurs ; ou une *distance* (validité discriminante) entre variables décrivant des dimensions différentes : par exemple, incapacité fonctionnelle physique et troubles cognitifs. Cette analyse est parfois qualifiée d'analyse multitraits-multiméthodes.

linguistique - contre-translation - étude de faisabilité), puis à une "nouvelle" validation (métrologique) de l'échelle adaptée. Les traductions "sauvages" réalisées par une personne, même parfaitement au fait du sujet étudié et complètement bilingue, sont donc à proscrire.

Enfin, la modification simple, même partielle, d'une échelle en vue d'adaptation à une population donnée (suppression, adjonction d'items) est une procédure dangereuse et peu recommandable. La validation initiale ne concerne en effet que l'échelle complète non modifiée et il est nécessaire de recommencer cette validation pour toute nouvelle version "adaptée".

## POUR EN SAVOIR PLUS

- BLAND JM, ALTMAN DG. Statistical methods for assessing agreement between two methods of clinical measurement. *Lancet* 1986 ; 1 : 307-10.
- COSTE J, FERMANIAN J, VENOT A. Methodological and statistical problems in the construction of composite measurement scales. A survey of six medical and epidemiological journals. *Stat Med* 1995 ; 14 : 331-45.
- JAESCHKE R, GUYATT GH, SACKETT DL. Users' guides to the medical literature. III. How to use an article about a diagnostic test. B. What are the results and will they help me in caring for my patients? The Evidence-Based Medicine Working Group. *JAMA* 1994 ; 271 : 703-7.
- LANDIS JR, KOCH GG. The measurement of observer agreement for categorical data. *Biometrics* 1977 ; 33 : 159-174.
- LIJMER JG et al. Empirical evidence of design-related bias in studies of diagnostic tests. *JAMA* 1999 ; 282 : 1061-1066.
- MACLURE M, WILLETT WC. Misinterpretation and misuse of the Kappa statistic. *Am J Epidemiol* 1987 ; 126 : 161-169.
- MULLER R, BUTTNER P. A critical discussion of intraclass correlation coefficients. *Stat Med* 1994 ; 13 : 2465-76.
- REID MC, et al. Use of methodological standards in diagnostic test research. Getting better but still not good. *JAMA*. 1995 ; 274 : 645-651.
- SHROUT PE, FLEISS JL. Intraclass correlations : uses in assessing rater reliability. *Psychol Bull* 1979 ; 86 : 420-38.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. *Clinical epidemiology. A basic science for clinical medicine*. (Second edition). Boston, Little, Brown, Co, 1991.
- STREINER DL, NORMAN GR. *Health measurement scales. A practical guide to their development and use*. Oxford University Press, 1989.
- THOMPSON WD, WALTER SD. A reappraisal of the Kappa coefficient. *J Clin Epidemiol* 1988 ; 41 : 949-58.
- WRIGHT JG, FEINSTEIN AR. A comparative contrast of clinimetric and psychometric methods for constructing indexes and rating scales. *J Clin Epidemiol* 1992 ; 45 : 1201-1218.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Au moment où la médecine a de plus en plus recours à la quantification il est nécessaire de connaître le principe et les méthodes de la métrologie. Celle-ci a pour objectif d'établir des instruments de mesure fiables et valides. Elle doit évaluer les évaluations a priori, avant l'utilisation en routine de l'instrument, mais aussi a posteriori lorsque cela s'avère nécessaire.
- Une mesure de qualité doit être fiable et valide. Un instrument de mesure doit être validé préalablement à toute utilisation.
- Le processus de validation vise à montrer que l'instrument a une bonne fiabilité et une bonne validité. Il doit être conçu avec une méthodologie rigoureuse. Le schéma expérimental d'une étude de validation d'un instrument de mesure doit permettre d'assurer l'évaluation non biaisée de la reproductibilité intra-observateur et/ou inter-observateur (quantifiée par le coefficient Kappa ou la méthode de Bland et Altman), et de la validité et notamment, en cas d'application au diagnostic, quantifiée par les valeurs de sensibilité et de spécificité.
- La sensibilité d'un test (estimée par la proportion de sujets malades ayant un test positif) et sa spécificité (estimée par la proportion de sujets non-malades ayant un test négatif) sont habituellement deux qualités antagonistes.
- Certains phénomènes (désordres psychologiques, capacités fonctionnelles, activités sociales) ne peuvent pas être mesurés directement par un seul paramètre. La mesure adéquate de ces phénomènes nécessite le recours à des "échelles composites", dont la validation est complexe.
- Les praticiens gagneront beaucoup à connaître la fiabilité et la validité des tests qu'ils utilisent ainsi que les qualités des échelles utilisables afin de choisir au mieux ceux qu'ils utiliseront dans une circonstance déterminée pour un patient donné. Ces connaissances leur permettront aussi de savoir quand il sera utile ou superflu de les utiliser.

## Chapitre 4 L'ÉLABORATION DE LA NOSOLOGIE

### INTRODUCTION

L'acte diagnostique est essentiellement une reconnaissance. Pour pouvoir reconnaître, il faut d'abord connaître et pour cela disposer du corpus des connaissances relatif à la description et à l'individualisation des maladies. Cette exigence amènera à analyser comment est concrétisée l'identité des maladies et comment est réalisé, de nos jours, l'établissement scientifique des connaissances médicales ayant trait aux entités nosologiques.

L'individualisation des maladies est une notion apparemment banale et admise. Mais, en fait, il s'agit d'un processus complexe débouchant sur une construction intellectuelle qui a besoin d'être validée. Le recueil des données de base fournies par l'observation des manifestations cliniques et de toutes les anomalies présentes chez le(s) malade(s) ainsi que la mise en évidence de leurs déterminants permet l'édification d'une entité nosologique de rattachement et la généralisation. On peut, alors, donner un nom ou une définition à cette entité. Les patients concernés appartiennent ainsi à une espèce homogène. Cette entité est une notion abstraite qui peut être rangée dans des classes ou des catégories définies. \*

La nosologie comprend une grande part du corpus des connaissances médicales que le clinicien utilise en permanence. Il ne peut, de ce fait, rester indifférent à la qualité de cette nosologie, car son application l'entraîne à prendre des décisions importantes.

Pour ces mêmes raisons, les moyens de recueil et la méthodologie de constitution et d'organisation de ce corpus de connaissances doivent aussi être rappelés.

### RAPPELS DE CONCEPTS ET DE DÉFINITIONS

La qualité des diagnostics est conditionnée par la qualité des descriptions des maladies qui ont pu en être réalisées et, donc, en dernier ressort sur la solidité de la nosologie qui a pu être établie. Elle repose sur la pertinence, la fiabilité et la valeur de la séméiologie clinique et des examens complémentaires regroupés et proposés à l'utilisation.

Avant de développer les méthodes du raisonnement médical qui permettent la constitution des connaissances nosologiques, il est nécessaire de rappeler quelques notions auxquelles se réfèrent les termes impliqués car elles sont souvent oubliées ou font l'objet de contresens. Ces termes seront assez souvent utilisés par la suite.

\* La description des maladies est le fruit de l'accumulation de données recueillies pendant des siècles, et surtout au cours des deux derniers. Depuis l'Antiquité, des médecins se sont attachés à décrire les troubles pathologiques et à qualifier les maladies. C'est la tâche de la nosographie. Ce lent travail s'est accéléré au cours du XIX<sup>e</sup> siècle. Il s'est amélioré par l'introduction de la connaissance des causes et des mécanismes de beaucoup d'affections, mais non de toutes, et par la quantification.

#### Évolution et état actuel du concept de nosologie

Précédé par la description de phénomènes purement cliniques à la suite d'Hippocrate, le concept de nosologie, déjà assez ancien, a été explicité au XVII<sup>e</sup> siècle par Sydenham. C'est lui qui fut, semble-t-il, le premier à passer de la conception de maladie comme entité propre à chaque individu à celui de concept abstrait et généralisable. Il est à l'origine de la conception des maladies pouvant être décrites comme une espèce particulière, à l'image de ce que les botanistes avaient fait pour les plantes. Ce concept a été suivi au XVIII<sup>e</sup> siècle par une floraison de nosologies qui étaient variables en fonction des "nosologistes" plus ou moins bien inspirés et qui, surtout, ne disposaient pas encore des éléments nécessaires à une bonne caractérisation des affections: il est resté peu de chose de ce qui fut produit à cette époque. Par contre, au XIX<sup>e</sup> et au début du XX<sup>e</sup> siècle une nosologie fiable a pu se développer grâce à la méthode anatomo-clinique et à la bactériologie. Ces disciplines ont permis de confronter les données cliniques avec celle des constatations nécropsiques de l'anatomie pathologique macroscopique et microscopique et à l'isolement des germes. Puis les concepts de maladies ont évolué et certaines sont aussi définies et classées actuellement suivant des bases physiopathologiques ou étiologiques.

Le changement de paradigmes qui s'est produit au XX<sup>e</sup> siècle pour certaines affections, s'est traduit par une modification des termes utilisés. Par exemple, le concept d'angine de poitrine a été remplacé par celui de maladie des artères coronaires. Il y a un peu plus de 50 ans, les hépatites aiguës étaient étudiées sous la forme de deux entités: l'ictère dit "catarrhal" et l'ictère "grave". On connaît maintenant les hépatites virales dont certaines ne se manifestent plus par des ictères et dont les progrès de la virologie ont permis de séparer les virus responsables, les modes de contamination et les évolutions. Et l'ictère grave est devenu "hépatite fulminante". Le syndrome servant de base de départ de leur reconnaissance est plus souvent celui d'une cytolyse décelée biologiquement que l'ictère qui ne permettait auparavant que d'en détecter l'existence. De plus leur reconnaissance permet d'évaluer leurs dangers potentiels.

**Taxinomie<sup>(1)</sup> en médecine :** en médecine il existe trois fonctions de la taxinomie (ou taxonomie) qui sont: la dénomination, la qualification et la prédiction.

La dénomination, qui nous intéresse particulièrement ici, est la fonction qui assigne un nom commun à une entité ou à un groupe d'entités. C'est la décision d'attribution de ce nom qui clôt habituellement le processus diagnostique.

La qualification consiste à créer un groupe de termes pour décrire ou qualifier des faits supplémentaires dans une entité donnée.

La prédiction a trait à l'anticipation concernant les entités.

**Nosologie :** science de l'application des lois de la taxonomie à la science médicale et aboutissant à la classification systématique des maladies par la mise en évidence de leurs caractères distinctifs et à la désignation de leur place dans la classification systématique<sup>(2)</sup>. Le mot est parfois aussi utilisé pour en dénommer le résultat, c'est-à-dire l'entité nosologique.

Le résultat de l'application de ces méthodes est l'individualisation d'un certain nombre de processus morbides qui peuvent être différemment désignés suivant leur nature et leur signification ou suivant leur utilisation.

**Affection :** processus morbide considéré dans ses manifestations actuelles plutôt que dans ses causes.

**Maladie :** tout processus morbide, organique ou fonctionnel, altération organique ou fonctionnelle considérée dans son évolution et comme une entité définissable avec, si possible, sa cause précise.

*Note importante : la langue anglaise qui est de plus en plus utilisée, ne serait-ce que pour faire des recherches bibliographiques automatisées, utilise différents termes: "Disease", "Illness", "Sickness" et "Disorder". De ce fait il n'est pas inutile de préciser quelques nuances utiles pour mener à bien ces recherches. Concernant le terme "Disease": littéralement "Ease" veut dire "bien-être" et Disease est son opposé. Il signifie "maladie" et se rapproche, sans toutefois en réaliser la stricte signification, du terme français "affection" au sens de "maladie caractérisée". Le terme "Illness", qui traduit l'état de celui qui est malade, semble plus proche de la signification française de "manifestation morbide" et traduit un trouble perceptible ou une souffrance manifeste. Les entités "Disease" ou "Maladie" (du fait qu'on peut avoir une maladie - disease qui soit asymptomatique) ont ainsi une signification plus réelle que "illness" qui est seulement ce qui apparaît. "Sickness" est plutôt un terme de la langue commune; c'est ce qui est perçu par le patient. Il existe en outre en anglais le terme "Disorder" qui traduit un désordre ou un "trouble perceptible" et que l'on trouve surtout dans le "Manuel diagnostique et statistique des troubles mentaux" ou "DSM" ou "Diagnostic and Statistical Manual of Mental Disorders" publié par l'American Psychiatric Association.*

<sup>(1)</sup> Se rapporter aux définitions données dans le chapitre "Épistémologie générale".

<sup>(2)</sup> La **Nosographie** est la méthode d'application de la taxinomie à l'objet de la médecine. C'est la description des maladies en vue de leur dénomination dans la classification. Le mot est souvent confondu avec "nosologie" qui est un concept plus vaste.

Autre exemple: les leucémies ont été isolées initialement par couleur blanchâtre du sang qui a fourni l'étymologie du terme. On est arrivé maintenant à des entités "cyto-physio-pathologiques" très différenciées pour lesquelles on a pratiquement perdu la signification de l'entité initiale. Ainsi se trouvent actuellement définies la plupart des entités nosologiques.

En revanche, des entités très anciennes comme la goutte, certains rhumatismes, l'épilepsie idiopathique ont persisté sous leur dénomination et parfois leur tableau descriptif d'origine. Cela n'a pas empêché de reconnaître, par exemple les arthrites microcristallines dont le mécanisme physiopathologique a été élucidé ce qui a permis, à côté de la goutte à cristaux d'acide urique, de reconnaître la pseudo-goutte à cristaux de pyrophosphate de calcium.

#### Permance de l'élaboration nosographique

L'œuvre d'élaboration nosographique est continue pour trois raisons :

- *Premièrement*, tous les troubles et toutes les entités pathologiques n'ont pas été individualisés et décrits. En outre des maladies continuent à apparaître. Le cas du SIDA et de l'encéphalopathie spongiforme d'origine bovine ou iatrogène en sont l'illustration. Il existe de multiples autres pathologies "émergentes".

- *Deuxièmement*, les entités nosologiques existantes évoluent au fur et à mesure des éclaircissements apportés par la recherche. Celle-ci permet, dans certaines maladies mais pas encore dans toutes, la mise en évidence de lésions spécifiques ou la démonstration de causes et/ou de mécanismes. Les entités nosologiques évoluent aussi par enrichissement plus ou moins rapide et substantiel des connaissances sur les symptômes et signes cliniques mais aussi et surtout biologiques et/ou d'imagerie. Ces raisons "secondes" d'évolution font que d'anciennes entités nosologiques peuvent éclaircir, comme pour l'exemple déjà cité des hépatites (virales A, B, C, etc. ou médicamenteuses, etc.), tandis que des regroupements peuvent parfois intervenir (comme par exemple la notion de "spondylarthropathie inflammatoire et enthésitique" groupe de base englobant divers rhumatismes inflammatoires apparentés chez des sujets appartenant au groupe HLA B27).

- *Troisièmement*, la quantification progresse. La description a fourni jusqu'à récemment des données essentiellement qualitatives. P.C.A. Louis avait introduit, dès le siècle dernier, la quantification en médecine mais elle n'avait pas, à l'époque connu un grand succès en France. Elle lui avait pourtant permis, avant la découverte du bacille d'Eberth, d'individualiser la fièvre typhoïde sur l'association de ses symptômes. La méthode qui portait alors la dénomination de "numérique" connaît bien plus de succès à l'étranger: États Unis, Angleterre, Canada d'où elle nous revient enrichie de méthodes sophistiquées. En voie de développement en France aussi, elle connaît depuis les dernières décennies une progression rapide (voir le chapitre métrologie).

La maladie peut être, elle-même, définie de plusieurs points de vue et niveaux de précision sur le plan nosologique comme cela sera développé plus bas.

## CONSTITUTION ET ORGANISATION DES CONNAISSANCES

### Méthodologie de la description et de la classification des maladies

Le raisonnement fondateur de la constitution de ces connaissances nosologiques repose sur un axiome implicite qui suppose que ce qu'on observe sur une série de patients similaires, voire sur un cas "princeps", est généralisable et définit un groupe particulier et assez homogène pour qu'on puisse lui accorder une individualité nosologique. Celle-ci sera confirmée par les observations ultérieures concordantes avec ce qui n'avait été, initialement, qu'une construction établie sur la base de similitudes (comme celles utilisées dans les sciences "morphologiques"). Elle sera complétée, si possible, par la description des lésions et par la démonstration des causes et des mécanismes. \*

Actuellement on distingue deux grandes catégories de méthodes "taxonomiques". Les dénominations de ces deux méthodes ne sont pas encore familières. Nous les présentons, car il est probable que, à l'avenir, du fait de la recherche de plus en plus poussée de la rigueur et de l'évaluation, ces dénominations se répandront.

La première méthode part de la cause et est appelée, de ce fait, "phylogénétique" alors que la seconde est basée uniquement sur la forme de la présentation (groupement de symptômes) et est appelée, de ce fait, "phénotypique".

La méthode *phylogénétique* fait appel au jugement. Elle consiste à essayer de trouver l'enchaînement des phénomènes qui permet, à partir de la cause, de comprendre les lésions, les mécanismes et les symptômes observés chez les patients. On peut aussi dire, en inversant le concept, qu'elle sera à l'origine du processus autorisant, dans la démarche diagnostique proprement dite, de remonter des symptômes aux mécanismes et à la cause de la maladie qu'ils traduisent. Cette méthode nécessite des inférences et des jugements successifs assurant la cohérence du concept ainsi élaboré. Elle est de loin la plus commune et la plus appliquée en pathologie somatique organique. Mais, comme tous les jugements, elle peut aboutir à des conclusions fausses.

La méthode *phénotypique* fait appel uniquement aux seules données observables. Elle est une plutôt une position d'attente.

Elle a été longtemps purement qualitative et a permis de décrire bien des syndromes, voire des maladies. Ainsi, de même que les descripteurs de la flore et de la faune (Linné, Buffon, Jussieu) ont relevé les caractéristiques des plantes et des animaux et ont pu décrire, ainsi, les espèces végétales et animales, les médecins ont utilisé dans un premier temps un processus de recensement des faits d'observation, assez proches et associés, pour décrire les maladies. Ils ont décrit des syndromes, des regroupements de signes traduisant la forme perceptible de la maladie.

Cette méthode est maintenant devenue quantitative. Les premières quantifications ont vu le jour avec P.C.A. Louis qui avait individualisé la fièvre typhoïde avec sa méthode numérique. Actuellement, grâce à la puissance de calcul des ordinateurs qui permet de rassembler les symptômes ou de faire des analyses sophistiquées comme l'analyse factorielle, l'analyse des groupements de signes ou "clusters" (et de ce fait dénommée "cluster analysis"), et diverses autres méthodes, la méthode quantitative a acquis une grande efficacité. Une notion capitale est celle de l'affinité ou de la similarité qu'on peut apprécier par le calcul des "distances", entre les unités de valeur attribuées à des caractéristiques ou des entités nosologiques envisagées.

Cette méthode est uniquement basée sur les faits observés et sur la fréquence avec laquelle ils apparaissent dans différents regroupements. De ce fait elle repose sur des données statistiques et exclut le jugement. Toutefois elle ne délivre comme résultat que ce qu'il est convenu de désigner sous le nom de "taxons" (Feinstein). Ceux-ci

\* Pendant très longtemps il n'y a pas eu de méthodologie "formelle" de description des maladies. Cela se comprend aisément puisque, par sa nature même, la description consiste à rapporter ce qu'on observe ou dont on est témoin. La médecine est d'abord une science d'observation. Les processus intellectuels qui sous-tendent la nosographie sont de même nature que ceux de toutes les "sciences morphologiques et descriptives". Ils ont été mis en œuvre jusque et y compris, à la description des lésions macroscopiques et microscopiques.

Mais depuis le XIX<sup>e</sup> siècle et surtout depuis les dernières décennies du XX<sup>e</sup> siècle une méthodologie plus formelle a été élaborée. Elle a été rendue possible par la mise en évidence des causes des maladies, la mise au point d'explorations et d'examen complémentaires qui ont permis de faire apparaître in vivo des anomalies que ne pouvaient pendant très longtemps qu'objectiver les études nécropsiques. Par ailleurs des possibilités de calculs, inimaginables avant la diffusion des ordinateurs ont rendu possibles des méthodes d'analyse des données qui ont permis une description quantifiée des associations de symptômes et de signes.



sont des regroupements de signes convenablement recensés mais dont la signification est loin de satisfaire la curiosité scientifique et le désir de comprendre les phénomènes. Les concepts et les termes en sont incompréhensibles à un public non médical et même à une partie du public médical qui n'y est pas familiarisé. L'absence de rapport de causalité et de facteurs explicatifs gêne la recherche d'une thérapeutique logique et radicale. Par voie de conséquence la mise en œuvre de soins efficaces. La mise à disposition de ces regroupements n'est toutefois utile toutes les fois qu'elle permet de combler les lacunes du savoir "explicatif".

Cette méthode est surtout utilisée dans le domaine de la psychiatrie où, effectivement, la nosologie repose peu sur les causes organiques qui ne sont responsables que de quelques maladies bien définies, alors que les troubles mentaux communs et les troubles de la personnalité ne peuvent pour l'instant qu'être constatés et décrits (tandis que les hypothèses explicatives proposées par les théories neurobiologiques ou psychopathologiques sont assez incertaines et bien difficiles à démontrer).

Le tableau n° 1 résume ces notions.

| Si l'affection définie par :   | Une approche dite :  | L'approche est dite :   |
|--|--|---|
| Signes et /ou Syndrome   | "par Jugement" est possible  | "phylogénétique"  |
| Évolution + Lésions et/ou Physiopathologie + Cause                       | Car un ou des jugements sont nécessaires pour déterminer mécanismes et causes<br><br>Elle est souhaitable car elle a l'avantage de permettre la compréhension des troubles et une meilleure prise en charge du patient | Car, comme dans l'expression caractéristique d'un organisme, la morphologie est sous la dépendance de la phylogénèse ou du « phylum » |
| Si l'affection définie par : Signes et/ou Syndrome + Évolution + Lésions | Une approche descriptive soit qualitative soit statistique est seule possible  | L'approche est dite "phénotypique"  |

La formulation quantitative des propriétés des signes est le dernier progrès dans le domaine des descriptions. Elle permet un abord plus précis que ne le pouvaient les anciennes expressions qui, par exemple, qualifiaient un symptôme de "fréquent", "rare", "banal", "courant", etc. Ces notions sont développées au chapitre "Métrologie" et au chapitre "Raisonnement diagnostique".

Comment s'effectue le choix entre les méthodes à utiliser ? Il dépend essentiellement de l'état d'avancement de la science dans le domaine des causes et des mécanismes pour chaque entité. Les classifications internationales font appel à l'une ou l'autre, voire le plus souvent aux deux. Mais toutes les fois que la question de la cause est soulevée, il est indispensable de se préoccuper d'en soumettre la démonstration à une critique rigoureuse. En effet, les erreurs de jugement peuvent se glisser dans l'enchaînement des arguments et aboutir à des entités nosologiques fallacieuses. Cela explique des variations de nosologie suivant les pays et même dans un même pays suivant les disciplines ou les "écoles". La recherche de la cause s'inspire de règles scientifiques qui sont développées dans un chapitre particulier ayant trait à la notion de déterminisme et de causalité (voir le chapitre "Épistémologie médicale").

## Caractéristiques du résultat des descriptions des maladies

### Nature du résultat des descriptions des maladies

Une différence majeure existe toutefois entre, d'une part, les descriptions botaniques ou zoologiques dont on s'était initialement inspiré et, d'autre part, les descriptions des affections pathologiques. Alors que la morphologie des plantes et des animaux est suffisamment fixe pour qu'il reste très peu de place pour de l'ambiguïté lorsqu'on veut contrôler la validité de telle ou telle espèce, alors que les descriptions anatomiques et histologiques du normal sont peu sujettes à variations, il n'en est pas de même quand il s'agit de nosologie.

En effet, mis à part les cas où des lésions avec une anatomie pathologique spécifique représentent l'essence même de l'entité nosologique (ce qui a fait le succès de la méthode anatomo-clinique dans ces cas) ou bien quand une mutation génétique représente aussi l'essence de la maladie, la nosologie, dans la plupart des autres cas, fait appel à une construction intellectuelle reposant sur la reproductibilité des associations de signes et d'anomalies concordantes et relativement stéréotypées. C'est la cohérence de ces constatations qui permet de retenir la réalité des constructions intellectuelles que représentent ces entités nosologiques.

### Représentation des entités nosologiques

La représentation de ces entités nosologiques revêt aussi des niveaux variables.

En pathologie externe comme dans les plaies, ou bien en dermatologie<sup>(3)</sup>, une certaine représentation concrète et "visuelle" des phénomènes rend la conception des entités accessible à une perception sensorielle relativement élémentaire. Ce qui ne veut pas dire qu'il faut toujours s'en contenter.

Par contre, en pathologie interne une "entité nosologique" réalise, en dernier ressort, une représentation mentale d'un phénomène le plus souvent abstrait. Il s'agit d'une construction intellectuelle, certes cohérente et le plus souvent démontrée, mais qui a rarement une représentation univoque et se présente plutôt sous diverses variétés, nécessitant donc un effort, plus ou moins conscient, de synthèse et d'abstraction.

Le tableau n° 2 résume les différents niveaux auxquels peut se situer la structure des entités nosologiques acceptées et retenues en fonction des éléments disponibles et utilisés pour les construire.

| Affection définie par : | Affection définie par :      | Affection définie par :                     | Affection définie par :  | Affection définie par :  | Affection due à une :  |
|-------------------------|------------------------------|---|--|--|--|
| Simple trouble          | Plusieurs signes ou Syndrome | Plusieurs signes et/ou Syndrome + Évolution | Signes et/ou Syndrome + Évolution + Lésions et/ou Physiopathologie | Signes et/ou Syndrome + Évolution + Lésions et/ou Physiopathologie + Cause | Anomalie innée du DNA + Permanence + Conséquences cliniques lésionnelles physiopathologiques |

<sup>(3)</sup> L'inspiration "botanique" se retrouve d'ailleurs encore dans cette discipline pour certaines dénominations qui se sont transmises jusqu'à nous comme, par exemple, Molluscum pendulosum, pityriasis versicolor.

## Les procédures de validation des entités nosologiques

Comme la construction nosologique n'a utilisé initialement que la description, il est possible que les similitudes et les analogies qui ont permis de rapprocher certains signes ne soient que des apparences ou des coïncidences et que les constructions ainsi élaborées ne soient pas valables. Il est donc nécessaire et justifié d'étayer cette procédure par d'autres preuves de la validité des descriptions. Une classification basée sur les règles de la taxonomie scientifique nécessite qu'on en contrôle la validité du contenu, la validité de construction et la validité de présentation. Elle doit aussi disposer d'une bonne reproductibilité et sa faisabilité doit être satisfaisante (ces notions ont été présentées dans le chapitre "Métrologie").

Les procédures de validation doivent aussi faire appel, toutes les fois que cela est possible, à la mise en évidence de la cause et à la cohérence de cette cause avec les lésions ou les troubles spécifiques et les symptômes regroupés. C'est là qu'interviennent, d'une part, la cohérence logique et la critique du reste de la communauté scientifique médicale, et, d'autre part, la recherche de la cause et des mécanismes des troubles décrits antérieurement et dont il faut apporter la démonstration. Cela achève de définir les processus pathologiques et d'authentifier leur unicité<sup>(4)</sup>.

Ainsi plusieurs procédures de validation interviennent :

- La description doit être confirmée par la constatation de *cas similaires* observés par d'autres observateurs arrivant à fournir un tableau clinique assez stéréotypé. Progressivement, ainsi, les contours de l'affection se précisent. Des erreurs sont corrigées, des lacunes sont comblées et parfois des entités sont rejetées. Les faits nouveaux font l'objet d'une critique constructive. L'établissement d'un stéréotype est donc la première des constructions sur la voie de la description.
- La validation doit porter sur la cause. Lorsqu'une explication est suggérée, son *rapport de causalité* avec les troubles observés doit être soumis à l'examen critique habituel d'établissement du rapport de causalité. Les procédures de démonstration des rapports de causalité sont particulières<sup>(5)</sup>.
- Le processus de validation doit en outre examiner explorer et classer les différents aspects de l'entité morbide reconnue et confronter ces données avec les parentés morbides établies. Les frontières avec les affections présentant des points communs doivent être tracées afin de parfaire la description en faisant mieux apparaître les limites et faciliter le diagnostic différentiel.
- Enfin, l'*évolution naturelle* finit de définir l'entité nosologique. Cette confirmation a posteriori est difficilement acceptée car elle introduit un contrôle rétroactif des conclusions initiales qui ont pu entraîner une thérapeutique modifiant les données d'observation des phénomènes naturels. Par ailleurs, l'observation est réputée comme susceptible de modifier des phénomènes comme dans les autres branches des sciences naturelles et expérimentales. Mais, en outre, en médecine on ne peut, pour des raisons éthiques, sacrifier ce que l'on croit être bénéfique au patient, c'est-à-dire un traitement, pour la pureté et la rigueur de la méthodologie...

## Les critères de classification

La définition des entités nosologiques doit faire appel à des notions généralisables. Les médecins qui ont à étudier et à traiter les patients doivent être d'accord sur ce que représentent les affections qu'ils sont censés traiter et ils doivent utiliser un vocabulaire commun. Cette exigence a conduit à l'élaboration de critères de classification.

**Critères :** caractères qui permettent de distinguer une classe d'une autre. L'étymologie provient du mot grec *krinein* lequel provient lui-même du verbe *krinein*, qui veut dire "juger". On pourrait donc dire que l'application de critères permet de faire le jugement de conformité.

<sup>(4)</sup> La démonstration de la cause et des mécanismes permet aussi d'envisager les principes du traitement (voir la discussion sur la causalité dans le chapitre "Épistémologie médicale").

<sup>(5)</sup> C'est la méthode inductive qui permet, habituellement, cette démarche. Celle-ci consiste, on l'a vu (chapitre "Épistémologie générale") à passer des cas particuliers regroupés et analysés aux concepts généraux. Or, il est certain que, du fait de l'objet de la science médicale, qui étudie l'humain, les médecins ne disposent pas, pour des raisons éthiques évidentes, des mêmes possibilités expérimentales de vérification et de contrôle de leurs données et de leurs hypothèses que les autres scientifiques. La méthode inductive elle-même peut faire l'objet de critiques théoriques (K. Popper). En outre, son application dans le cadre des activités médicales entraîne les restrictions de contrôle que nous avons évoquées. Cependant, prendre à la lettre les objections théoriques serait totalement paralysant. Le médecin, de par sa fonction qui l'oblige à prendre des décisions, est forcé de faire des choix, au moins temporaires, et d'apprendre à utiliser des procédures de substitution pour pallier les difficultés méthodologiques et pratiques qu'il rencontre. L'essentiel est qu'il en soit conscient pour éviter de prendre hypothèses et spéculations pour des certitudes.

Les critères de classification sont le fruit de l'application de la méthodologie taxonomique. Ils permettent de désigner les classes et les catégories de maladies. Ils sont essentiellement normatifs et ont pour fonction de regrouper des patients qui relèvent tous d'une même variété nosologique.

L'utilisation de critères de classification s'est développée en raison de la nécessité que les études sur des maladies réalisées par les différents chercheurs concernent bien la même entité et que cette entité qualifie un groupe homogène de patients. Ce caractère est absolument indispensable pour pouvoir mener des études reproductibles et permettant la généralisation des conclusions qui ont pu en être tirées.

Les critères de classification doivent être distingués des "critères diagnostiques" qui ont un objectif bien différent d'aide au diagnostic (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"). Dans la pratique, une certaine confusion existe entre les deux types de critères, et cette confusion est encore accentuée parce que certains critères ont été élaborés avec le double objectif d'homogénéiser les groupes de patients pour la recherche, et d'aider au diagnostic (par exemple, les récents critères de diabète).

L'établissement de critères est le fruit du travail de comités ad hoc qui sont chargés de les élaborer, de les tester et d'en rédiger la version officielle. Il nécessite que ceux qui les élaborent se préoccupent de leur pertinence, c'est-à-dire de leur validité de contenu, de structure et de présentation, mais aussi de leur reproductibilité et de la faisabilité de leur emploi.

## Niveau de validité et critique des constructions nosologiques

Une affection est bien définie lorsque tous les éléments envisagés ci-dessus (signes et/ou syndrome, évolution, lésions, physiopathologie, cause) sont parfaitement connus et explicités. Ce n'est toutefois pas toujours le cas.

**On peut distinguer schématiquement trois situations :**

- les constructions nosologiques valides,
- les constructions nosologiques incertaines,
- les constructions nosologiques invalides.

### Les constructions nosologiques valides

Le cas "idéal" est réalisé, par exemple, par une affection monogénique dont on a pu préciser toute la séquence des événements depuis l'ADN jusqu'aux symptômes et à leur conséquences sur l'évolution (la mucoviscidose en est un exemple). Un autre cas idéal est celui de l'infection bactérienne précise (la typhoïde est un exemple) car alors se trouvent réunies les conditions pour l'explication de tous les composants de l'affection. Un mécanisme causal ou physiopathologique précis est alors démontré. *Les rapports de causalité entre la mise en évidence d'un germe et le tableau clinique constaté servent de modèle classique de l'établissement de ces rapports (voir le postulat de Koch-Hénlé, détaillé au chapitre "Épistémologie médicale")*. L'infection virale (par le VIH, par exemple) peut aussi être considérée comme un exemple de nosologie valide<sup>(6)</sup>.

Les affections tumorales où la prolifération cellulaire, lésion anatomique clairement définie, est l'essence même de l'affection en cause sont un autre exemple d'affections nosologiquement valides, bien que la cause de la tumorigenèse ne puisse souvent être explicitée.

Bien des affections mériteraient que des études complémentaires parachèvent les points de description et/ou de cohérence manquants, de manière à satisfaire les conditions optimales - si ce n'est idéales - de leur bonne définition.

### Les constructions nosologiques incertaines

D'autres constructions peuvent avoir une validité plus ou moins assurée. Quelquefois, quand il s'agit de lésions anatomiques qui sont avancées comme définition d'une maladie, la question peut se poser de savoir s'il est légitime de les accepter sans critique.

Une liste exhaustive des affections entrant dans cette conjoncture serait fastidieuse et forcément incomplète, mais aux deux extrêmes il est facile de situer, d'une part les affections tumorales où la prolifération tumorale, lésion anatomiquement définie, est l'essence même de l'affection en cause, et d'autre part les lésions dégénératives non spécifiques qui surviennent du fait du vieillissement et qui, si elles peuvent parfois s'accompa-

<sup>(6)</sup> Cette connaissance du mécanisme physiopathologique n'équivaut pas cependant systématiquement à une efficacité thérapeutique, car il peut arriver que, bien qu'on dispose de tous les éléments de compréhension, on ne dispose pas ou pas encore d'une thérapeutique active.

gner de trouble peuvent aussi bien n'en entraîner aucun. Leur absence de spécificité, c'est à dire leur présence dans diverses autres situations ne s'accompagnant pas des mêmes troubles, ne permet pas de retenir leur simple constatation comme suffisante pour définir une nosologie. Elles doivent donc s'accompagner d'un groupement de troubles stéréotypés et caractéristiques et il faut s'assurer que les lésions constatées lors de l'inventaire des cas envisagés sont spécifiques pour les inclure dans la définition de la maladie candidate.

L'incertitude règne aussi dans le cas de plusieurs maladies dites "de système" où le *primum movens* est inconnu et qui possèdent de nombreuses formes dites "de passage".

Si les conditions de démonstration des rapports de causalité ou de la physiopathologie ne sont pas respectées, il n'est pas possible d'affirmer avec certitude que l'affection est définie par une cause ou un mécanisme déterminant. Dans ces cas, il est alors nécessaire de créer des cadres d'attente qui puissent servir de relais dans la chaîne des indispensables prises de décisions médicales.

Un autre important problème est celui de la limite du normal et du pathologique, sur lequel on reviendra ultérieurement (voir infra le paragraphe "Normal et pathologique").

#### Les constructions nosologiques invalides, analyse des erreurs

S'il est parfois difficile de savoir si une construction est valable, il est par contre aisé de récuser certaines "pseudo-entités".

Des constructions nosologiques invalides sont souvent présentées sous le titre de "syndrome", mais elles peuvent être même qualifiées comme des affections entièrement achevées. Nous n'en citerons que quelques exemples.

- Le "syndrome de Barré-Liéou" est un exemple d'acceptation d'une nosologie insuffisamment évaluée. Bien que correspondant à un groupement de symptômes cervico-céphaliques bien réels, ce syndrome n'est plus accepté comme la traduction d'une "irritation du sympathique cervical" par des lésions de cervicarthrose, alors que c'était la cause invoquée originellement. Il persiste encore un certain nombre d'entités proclamées, mais de validité incertaine.
- Il existe de nombreux cas où des anomalies anatomiques sont acceptées comme responsables de troubles cliniques sans spécificité ou de troubles dus à d'autres mécanismes. Les exemples vont de la diverticulose colique à la côte cervicale (ou au syndrome du "défilé thoraco-brachial") ou à la "sténose du canal lombaire". Ces anomalies anatomiques peuvent certes être responsables de troubles, mais leur simple constatation (en particulier par l'imagerie) ne suffit pas à constituer une entité nosologique définie. Il faut pour cela des signes associés très cohérents, stéréotypés et spécifiques.
- Il existe aussi de nombreux cas où une anomalie biologique (par exemple immunologique : le "syndrome des anticoagulants circulants" ou le "syndrome de Sharp"), une exploration fonctionnelle perturbée ("hypermotilité intestinale" par exemple) sont acceptées comme entités nosologiques alors qu'ils ne sont pas l'essence même de l'affection. Cela mérite un développement. En effet, ce dernier type de définitions, très trompeur car d'apparence scientifique, est affecté d'une faute de logique majeure que l'on peut désigner sous le nom de "raisonnement circulaire" ou, aussi, de "biais d'incorporation". Dans ces cas, les constructions spéculatives n'ont aucune légitimité car elles incluent dans la définition de la maladie ou du syndrome avancé l'anomalie elle-même sans base de référence pour en déterminer la valeur et surtout la *spécificité*<sup>(7)</sup>. La seule référence valable est, non pas la construction théorique et spéculative à partir d'une anomalie isolée, mais la description d'une affection caractérisée et c'est par rapport à cette description que s'établit, au contraire, la valeur d'un test ou d'une exploration quelconque.
- Il existe aussi des cas de "proclamations" où de nouvelles définitions sont données à partir de spéculations et/ou d'hypothèses non démontrées et basées sur des coïncidences, alors que les rapports de causalité ne sont pas prouvés. Le rôle des microtraumatismes est incriminé, par exemple, dans l'apparition de certains troubles fonctionnels des membres supérieurs. S'il existe d'authentiques cas de troubles organiques spécifiques en rapport avec certains traumatismes sportifs, comme ceux des lanceurs de javelot ou de poids, ou professionnels, comme ceux liés à l'usage de marteaux-piqueurs ou d'outils vibrants, il est difficile d'admettre des signes purement fonctionnels, non caractéristiques et non spécifiques, invoqués comme conséquence d'activités simplement répétitives. Le problème devient insoluble lorsque les controverses s'établissent sur des bases idéologiques...
- Il existe enfin des cas faisant référence à des constructions reposant sur des bases philosophiques ou sur des théories a priori et sans réalité scientifique. Il s'agit plus d'un problème d'épistémologie générale que d'élaboration d'entités nosologiques à proprement parler.

<sup>(7)</sup> Ces anomalies sont en effet retrouvées fréquemment ou très fréquemment chez les sujets sains ou dans d'autres affections.

## Organisation des connaissances

### L'expression des descriptions

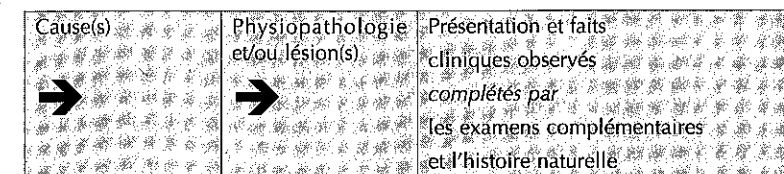
Pendant très longtemps, il a été de règle de se référer à un tableau clinique idéal qu'il était convenu d'appeler un "type de description". Il y était fait référence aux divers symptômes dont on précisait les qualités et la valeur. La fréquence des signes était estimée mais ne faisait pas l'objet d'une quantification précise. Les différentes formes cliniques étaient précisées. La description des évolutions sous l'influence des différentes thérapeutiques existantes complétait la description.

Ce mode de présentation est de plus en plus souvent délaissé à l'heure actuelle au profit d'un abord plus analytique et quantitatif prenant en compte la fréquence et la valeur des symptômes. À partir de séries importantes de patients atteints d'une affection déterminée, et définie par un "gold standard" convenu, on établit la fréquence de chacun des symptômes, ce qui permet un inventaire chiffré et remplace les anciennes expressions qualitatives telles que fréquentes, assez fréquentes, banales, rares, etc. Il en a été question plus longuement au chapitre traitant de l'évaluation des signes (voir le chapitre "Métrologie médicale") de l'appréciation des probabilités déductibles. Comme on l'a vu, cette approche quantitative n'est cependant valable que si les définitions sont bien précisées, que les populations de références sont définies et que tous les biais et, en particulier les biais de recrutement et d'incorporation, ont été éliminés.

L'évolution naturelle, enfin, finit de définir l'affection à laquelle on se trouve confronté. Elle peut aider à retenir dans certains cas des maladies dont les causes et les mécanismes physiopathologiques ne sont pas encore, ou pas encore suffisamment, éclaircis, mais dont l'évolution naturelle et le pronostic peuvent être cependant établis. C'est ainsi que l'on est amené à distinguer des "formes" aiguës et des "formes" chroniques que seuls le mode évolutif et quelques nuances de présentation séparent.

### L'intégration des descriptions dans un schéma général

On peut construire le concept d'entité nosologique idéale lorsque se trouve réalisé au complet le schéma suivant :



#### Entité nosologique idéale

D'une façon générale on s'efforce actuellement de pousser le plus loin possible la recherche de la cause et des mécanismes. Mais il est indispensable de veiller à ce que cette recherche soit validée par des preuves solides et soit soumise à une confrontation critique de la communauté scientifique.

Le tableau n° 2 déjà exposé plus haut permet de constater que le niveau d'achèvement complet des entités nosologiques est loin d'être toujours atteint. Les recherches menées dans le domaine de la clinique et des sciences fondamentales permettront, à l'avenir, de combler les lacunes des connaissances.

## L'ÉTAT ACTUEL DE LA NOSOLOGIE

Des paragraphes qui précèdent, on peut retenir que la nosologie comporte une hétérogénéité dépendant du niveau de démonstration de l'explication des troubles constatés. L'état actuel schématisé permet de distinguer trois grands groupes de nosologies suivant le niveau possible de leurs éléments de définition.

### Les maladies totalement définies

Parfois il est possible d'appréhender les maladies sous une forme parfaitement définie. C'est le cas lorsqu'on dispose de tous les éléments de leur individualisation et de leur compréhension.

Voici quelques exemples d'affections bien caractérisées :

- mutation monogénique ;
- septicémies avec germes bien individualisés ;

- infections spécifiques d'organes ou de parenchymes ;
- tumeurs avec histologie caractéristique ;
- affections hématologiques précisées ;
- nécrose tissulaire ischémique.

## Les maladies définies par leurs symptômes et certaines lésions ou certains mécanismes physiopathologiques

Certaines maladies sont connues par leurs symptômes, leur évolution, par certaines de leurs lésions, mais leur nature profonde et les raisons intimes de leur déclenchement restent inconnues. C'est le cas, par exemple, de maladies comme le lupus érythémateux disséminé ou la pseudo-polyarthrite rhizomélique, et sa "parente" maladie de Horton, dont personne ne mettrait en doute l'existence et la solidité de leur réalité, mais dont la cause première ou la nature intime ne font encore, pour l'instant, que l'objet de supputations ou de démonstrations imparfaites.

La nature exacte de certaines défaillances tissulaires ou viscérales peut être inconnue bien que l'on comprenne parfaitement les troubles qu'elles entraînent et leur physiopathologie.

## Les maladies définies uniquement par leurs symptômes

Enfin, il peut arriver qu'une affection ne puisse se définir que par l'association des symptômes et une évolution particulière. Et parfois même cette dernière est mal connue. C'est le cas des maladies "idiopathiques" pour lesquelles la recherche physiopathologique n'a pas encore permis de mettre en évidence le mécanisme et le primum movens. Ces maladies dites "idiopathiques", dont la réalité est incontestable, ne sont reconnues que par les associations de symptômes et l'évolution naturelle qui les caractérisent (et, naturellement, par l'absence de cause démontrable).

Reste le délicat problème de la *différenciation entre normal et pathologique* qui fait l'objet du paragraphe suivant.

*La nosologie n'est donc pas une science figée. Elle progresse au fur et à mesure des apports de certaines données anatomiques macroscopiques, incluant l'imagerie, et microscopiques de plus en plus précises et sophistiquées, et des apports de données de la génétique et de la biologie moléculaire, des connaissances physiopathologiques et de la démonstration d'explications causales.*

## LE "NORMAL" ET LE PATHOLOGIQUE

Si, dans une majorité de cas, il est facile de reconnaître et de caractériser l'état de maladie *déclarée*, le problème devient plus difficile dès lors qu'on aborde les états frontières entre normal et pathologique ou entre sain et pathologique. Ces états comprennent certaines anomalies biologiques ou cliniques qui ne sont que des facteurs de risque<sup>(9)</sup>, mais que l'on a de plus en plus tendance à traiter alors qu'il n'existe pas de pathologie déclarée. Il faut alors éviter que la définition de la normalité ou de l'anormalité soit décidée de façon artificielle, voire arbitraire. La définition de la "normalité" en Médecine et en Biologie est donc une opération complexe.

## La variabilité du vivant et le "Normal statistique"

Le phénomène de la vie est caractérisé par l'interaction d'un organisme ou d'un sujet vivant avec un environnement ou milieu. De cette interaction résulte une inévitable variabilité de l'état du sujet vivant, obligé de s'adapter continuellement à son milieu. Ainsi que le signalait Claude Bernard dans ses *Principes de médecine expérimentale*, "la vérité [du fonctionnement physiologique] est dans un type, mais la réalité en diffère constamment". Il n'existe donc pas un *type unique* pour chaque élément constitutif du vivant, mais

<sup>(9)</sup> Le terme "normal" lui-même est très ambigu. En effet, cet adjectif peut désigner à la fois un caractère statistique, une "forme fréquente" ou moyenne ; et une "forme parfaite", un positif, un idéal relié d'assez près au concept de Santé. Les notions de normalité et de son contraire, l'anormalité, ne recouvrent pas nécessairement celles du sain et du pathologique.

ensemble de variantes compatibles avec la vie, caractérisables par des distributions statistiques, c'est-à-dire par un ensemble de valeurs plus ou moins dispersées autour de moyennes. La dispersion des valeurs possibles est d'autant plus réduite, et l'écart à la moyenne plus rare, que la vie - ou sa reproduction - est plus sensible à des variations du caractère considéré. Par exemple, la valeur du potassium plasmatique, réglant nombre de processus cellulaires, est beaucoup moins variable que celle de la cholestérolémie<sup>(9)</sup>.

## Le sain et le pathologique

Depuis l'Antiquité grecque, l'état de *Santé* a toujours été considéré comme traduisant une sorte de perfection de l'organisme vivant. La définition de la Santé (humaine) de l'O.M.S. est une nouvelle formulation de cette conception presque trimillénaire, mais qui suppose maintenant la perfection accessible, et non plus comme un Idéal.

Selon la définition de l'Organisation Mondiale de la Santé (1948), le **santé** est un complet bien-être physique, psychologique et social.

Le pathologique s'oppose, en toute rigueur, à la santé.

Est **pathologique**, tout état de l'être vivant qui menace ses potentialités vitales immédiates ou différées, notamment en limitant sa durée de vie, ses possibilités de reproduction et de bonne harmonie avec le milieu qui l'entoure<sup>(10)</sup>.

De très nombreuses situations pathologiques ne posent pas de problèmes d'identification. C'est le cas des blessures et de la traumatologie, des tumeurs évoluées, des infections "florides", des nécroses tissulaires distales des membres, des affections neurologiques motrices ou convulsives, des dysmorphies primitives ou acquises et de la plupart des affections viscérales à symptomatologie constituée et bruyante. La plupart de ces affections ont été décrites depuis plusieurs siècles ou millénaires, et incorporées depuis longtemps dans la nosologie médicale (par exemple, la goutte, le tétanos, le paludisme, etc.).

En revanche, certains états pathologiques peuvent être parfaitement latents et très difficiles à distinguer de l'état de santé. De plus, le même individu a des caractéristiques différentes suivant son âge. C'est ainsi qu'il est bien difficile de savoir où se situe, au cours du vieillissement, la frontière entre atrophie d'involution normale et atrophie pathologique. C'est le cas pour os et ostéoporose<sup>(11)</sup>, et pour dégénérescence tissulaire et pathologie de la plupart des viscères. Il faut donc établir une notion de normale par tranche d'âge. Les variations liées au sexe doivent aussi être prises en considération ainsi que toutes les modifications possiblement induites par diverses circonstances physiologiques (grossesse, lactation, état nutritionnel, activité physique, etc.). L'identification et la qualification de ces situations sont étroitement liées à l'état des connaissances médicales. Il est aussi des cas où intervient le contexte culturel ou social des sociétés : ce sont les "culture-bound syndromes" ou "syndromes liés à la culture". Une partie des maladies mentales et les phénomènes de somatisation au sens large entrent notamment dans ce cadre.

## La tolérance du milieu, la relativité du "Normal idéal"

Il faut insister sur l'importance de la tolérance ou de l'intolérance du milieu et de l'environnement du sujet vivant aux "écarts de fonctionnement" de celui-ci. L'intolérance du milieu peut être d'ordre biologique. Un sujet atteint de phénylcétonurie (déficit en enzyme métabolisant la phénylalanine, responsable d'une accumulation de cet acide aminé) pourra vivre de manière satisfaisante dans un environnement (alimentaire) pauvre en phénylalanine, l'anomalie ne se révélant qu'en présence de phénylalanine. Les maladies de ce type, résultant d'une interaction gène-environnement, sont très nombreuses.

L'intolérance du milieu peut être aussi d'ordre psychologique ou social. Toutes les sociétés humaines élaborent des normes "idéales" de comportement et rejettent les comportements ou les sujets déviants, qui peuvent courir de fait un réel risque biologique. Ces processus de rejet s'appuient d'ailleurs parfois sur les savoirs et

<sup>(9)</sup> D'une manière générale, les variables soumises à homéostasie ont des variations beaucoup plus réduites que celles qui résultent de la mise en œuvre de processus d'équilibres métaboliques moins bien régulés.

<sup>(10)</sup> Pour certains auteurs, l'état pathologique peut être défini par une perte de la vie selon les normes "optimales" de la santé et le fonctionnement avec des normes restreintes (Goldstein).

<sup>(11)</sup> Celle-ci est définie par décision consensuelle d'experts internationaux de l'O.M.S., comme l'existence d'une diminution de la densité osseuse de 2,5, écart types au-dessous de la densité moyenne de l'adulte jeune de même sexe. Cette décision, bien que consensuelle, a néanmoins un caractère abstrait et distinct de la réalité clinique et anatomique.

les pouvoirs médicaux du moment. L'histoire du xx<sup>e</sup> siècle est riche d'exemples de "médicalisations" et de rejets : eugénisme, internement "psychiatrique" d'opposants, etc. À un autre niveau, mais bien plus courant, la "pathologisation" puis la médicalisation de certains comportements sexuels, ou plus récemment de la petite taille ou de l'indiscipline à l'école, relèvent du même mécanisme : une société interfère avec la médecine de son temps pour la définition de son "Normal idéal".

## La séparation du normal et du pathologique

La variabilité statistique des fonctionnements biologiques de l'être vivant et la relativité du "Normal idéal" expliquent la complexité de la construction des "normes" ou des "valeurs de référence" en médecine. Cette construction suppose à la fois la caractérisation d'une distribution statistique (moyenne, valeurs "extrêmes") et le choix d'une population de référence pour cette évaluation statistique. \*

En pratique, des normes fiables n'ont été construites que pour très peu de paramètres (la taille, le poids, les électrolytes, quelques rares autres paramètres biologiques...). En fait, les études réalisées jusqu'à présent ne permettent, pour un certain nombre de paramètres cliniques, biologiques ou radiologiques, que de définir, avec une précision d'ailleurs fort variable, la frontière entre le "normal" et certains états pathologiques. Ces "frontières" dépendent de valeurs seuils fixées pour obtenir un niveau de sensibilité ou de spécificité du paramètre étudié (voir le chapitre "Métrologie médicale"). Ce seuil peut d'ailleurs avoir été déterminé en fonction d'objectifs fort différents :

- 1) Dans une population déterminée, on peut rechercher les sujets dont un paramètre est perturbé au-delà d'une certaine limite ou seuil pour leur appliquer une mesure préventive particulière (diététique ou médicamenteuse, par exemple). Il s'agit souvent d'un facteur de risque et on ne se préoccupe pas forcément de savoir la signification nosologique exacte de l'anomalie. Cette décision s'applique à une population qui est déterminée par des considérations de santé publique (voir le chapitre "Dépistage et prévention"). Le seuil est alors habituellement choisi en fonction de critères statistiques (seuil au-dessus duquel l'élévation du risque de maladie est jugé suffisamment élevé), mais surtout médico-économique (seuil au-dessus duquel il est "rentable" de réaliser une intervention médicale).
- 2) Quand il s'agit de traiter un individu déterminé, comme c'est le cas de figure habituel en médecine de soins, il faut faire un diagnostic pour pouvoir prendre les décisions ultérieures. Or il est rare que le diagnostic et la décision de traiter reposent sur la constatation d'une seule anomalie biologique ou radiologique isolée. La décision finale fait appel à un jugement médical intégrant bien d'autres données sémiologiques et/ou physiopathologiques (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"). Ce raisonnement aboutit à un diagnostic fondé sur une nosologie précise et comporte, par la suite, une stratégie thérapeutique adaptée au cas singulier en question. Dans ce cas, la valeur du seuil, surtout quand il a été défini pour un autre objectif (de santé publique par exemple), a une signification plus incertaine.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- CANGUILHEM G. Le normal et le pathologique. Paris, Presses universitaires de France, 1984.
- Classification statistique internationale des maladies et des problèmes de santé connexes. Dixième révision (CIM 10). Genève, Organisation Mondiale de la Santé, 1993.
- FEINSTEIN AR. Clinical epidemiology. The architecture of clinical research. Philadelphia, Saunders, 1985.
- FEINSTEIN AR. Clinical biostatistics XIII. On homogeneity, taxonomy and nosography. Clin Pharmacol Ther 1972 ; 13:114-129.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- La nosologie est le résultat de l'application des lois de la taxonomie à la science médicale. Ce processus aboutit à la description des maladies par la mise en évidence de leurs caractères distinctifs et à la désignation de leur place dans une classification systématique.
- La description des maladies aboutit à la mise à disposition du corps médical d'un corpus de connaissances relatif aux modèles ou représentations mentales des entités nosologiques.
- Pour en tirer le meilleur usage, ce corpus des connaissances nécessite que soit poussée le plus loin possible l'analyse des phénomènes pathologiques auxquels on est confronté.

- FEINSTEIN AR. Taxonometrics I. Formulation of criteria. Arch. Intern. Med 1970 ; 126 : 679-693.
- FEINSTEIN AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. 1. The Domains and disorders of clinical Microbiology. Yale J Biol Med 1973 ; 46 : 212-232
- MACARTNEY F J. Diagnostic Logic. In Logic in medicine (Second Edition). (Cl Philips Ed), London, BMJ Publishing Group, p 59-99.
- KASSIRER JP, KOPELMAN RI. Learning Clinical Reasoning. Baltimore, Williams & Wilkins, 1991.
- LOUIS PCA. Recherches sur la maladie connue sous les noms de gastro-entérite, fièvre putride, adynamique, ataxique, typhoïde, etc. comparée avec les maladies aiguës les plus ordinaires (2<sup>e</sup> édition). Paris, J.B. Baillière, 1841.
- PICHOT P. Nosological models in psychiatry. Br J Psychiatr 1994 ; 164 : 232-240.
- POPPER K. La logique de la découverte scientifique (traduction française). Paris, Bibliothèque Scientifique Payot, 1990.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- SOLBERG HE. Approved recommendations (1986) on the theory of reference values. Part I. The concept of reference values. J Clin Chem Biochem 1987 ; 25 : 337-42.

- ayant à l'esprit la structure générale des entités nosologiques laquelle comporte la réunion plus ou moins achevée de :
  - description des signes, syndrome et connaissance de l'évolution naturelle ;
  - connaissance des lésions spécifiques, et de leurs mécanismes ;
  - connaissance de la cause
- En conformité avec les concepts scientifiques admis et selon l'état d'avancement de la recherche médicale, la nosologie peut être satisfaisante ou non :
  - Elle est satisfaisante si les maladies ou affections sont bien définies par un ensemble de données cohérentes qui vont, habituellement, de la cause à tous ses effets y compris les manifestations cliniques, l'évolution et les ouvertures thérapeutiques logiques, et que toutes ces données ont été confirmées par une évaluation rigoureuse.
  - Elle n'est pas satisfaisante si les maladies ou affections ne sont pas bien définies parce qu'on ne dispose encore que d'un ensemble de symptômes ou de manifestations morbides mais pas de cause décelable ou reconnue, ou bien parce que les lésions constatées ne sont pas spécifiques ou que les mécanismes des troubles ne sont pas élucidés.
  - Enfin, les affections organiques dites idiopathiques et la plupart des maladies mentales (celles qui ne sont pas secondaires à des lésions organiques du cerveau) posent des problèmes nosologiques dans la mesure où la nosologie ne repose essentiellement que sur un assemblage des symptômes et signes associés à leur évolution naturelle, voire à leur réponse à certain traitement plus ou moins spécifique.
- La description des affections sert de modèle pour la reconnaissance des maladies, c'est-à-dire qu'elle permet le processus diagnostique. C'est donc le fondement sur lequel repose le processus discursif qu'inaugure le clinicien lorsqu'il est confronté à un patient atteint de troubles ou de manifestations cliniques.
- La variabilité statistique des fonctionnements biologiques de l'être vivant et la relativité du "Normal idéal" (d'une société à l'autre, d'une période historique à l'autre) expliquent la complexité de définition de la "normalité" et de la construction des "normes" ou des "valeurs de référence" en médecine.
- Des normes fiables n'ont été construites que pour très peu de paramètres (la taille, le poids, les électrolytes, quelques rares autres paramètres biologiques...). Dans certaines situations, le seuil séparant normal et pathologique a été choisi en fonction de critères statistiques (seuil au-dessus duquel l'élévation de risque de maladie est jugé suffisamment élevé) ou médico-économiques (seuil au-dessus duquel il est "rentable" de réaliser une intervention).

# Chapitre 5

## L'ÉLABORATION DE LA SÉMIOLOGIE MÉDICALE

### INTRODUCTION

La sémiologie, ou étude des signes (cliniques et paracliniques), est la science de base de la pratique médicale.

Pendant longtemps les signes ont été fournis par l'interrogatoire et par la mise en œuvre des organes des sens des médecins (vue, toucher, ouïe, exceptionnellement odorat, voire, dans le passé, goût – c'est même ainsi qu'a été reconnu le diabète dit "sucré"). Les résultats des diverses explorations complémentaires ou "tests" sont venus compléter la sémiologie clinique et réalisent, avec cette dernière, une somme de plus en plus importante de connaissances qu'il faut savoir apprendre mais aussi apprécier, juger, et dont il faut analyser diverses qualités. ❁

Les signes et les tests sont aussi les outils permettant le diagnostic, le pronostic et la surveillance des évolutions.

### LA SÉMIOLOGIE MÉDICALE

Ce paragraphe présente un rappel des données classiques de la sémiologie (définitions et notions de base sur les signes et les examens complémentaires) destiné particulièrement aux plus jeunes médecins.

### La sémiologie clinique

**Sémiologie** : du grec sêmeion (signe) et logos (science) : c'est la partie de la médecine qui s'occupe de l'étude des signes des maladies. Elle permet de pouvoir tirer des conclusions relatives au diagnostic, au pronostic et aux effets des traitements. Elle est la science spécifiquement médicale. Toute l'activité médicale appliquée aux soins des malades repose sur les indications qu'elle est capable de fournir.

**Symptôme** : du grec sum (avec) et ptôma : arriver) c'est-à-dire qui arrive avec, qui coïncide avec (la maladie). C'est un phénomène qui traduit un état morbide et qui est lié aux troubles fonctionnels ou lésionnels qui le déterminent. C'est un phénomène ou un caractère qui est perceptible ou observable par le patient ou par l'entourage qui le rapporte spontanément. C'est, en quelque sorte, un indice de quelque chose de remarquable et différent. Cet état "autre", dans le cas présent, est la maladie.

**Symptôme fonctionnel** : c'est un symptôme rapporté et /ou produit par le patient. Il ressort de l'interrogatoire et est essentiellement perçu par le malade. C'est le cas des douleurs, des perceptions anormales somatiques ou mentales. Mais il peut aussi être perçu par l'entourage et, si les circonstances le veulent, par le médecin qui peut y assister. Il s'agit par exemple de la toux, de l'expectoration, des vomissements, de la diarrhée, etc.

**Symptôme direct** : il est produit par la lésion ou le trouble fonctionnel en cause au lieu même de sa production. Par exemple, la douleur locale au siège d'une contusion, d'un abcès, d'une arthrite...

❁ La description des phénomènes et des événements cliniques est probablement aussi ancienne que l'apparition d'une médecine basée sur l'observation des faits. A la suite d'Hippocrate, il est probable que la description des signes et des maladies ont dû aller de pair dès lors que l'observation des faits était la méthode utilisée. L'association des signes dans un ensemble homogène et stéréotypé a permis la définition et la représentation de nombreuses maladies.

Les progrès des sciences biologiques ont plus récemment participé de façon majeure d'une part à la compréhension des causes et des mécanismes des maladies, et, d'autre part, aux progrès de la nosologie. Ainsi, les regroupements des signes cliniques ont été complétés par les données de l'anatomie pathologique macroscopique, puis microscopique, puis des sciences morphologiques d'imagerie en général. Certaines anomalies mises en évidence par les méthodes physiques et biologiques ont pu devenir d'utiles signes complémentaires quand ils pouvaient s'intégrer dans un processus de reconnaissance des entités nosologiques ou de prise en charge des patients. Quelquefois même, des anomalies biologiques représentent les seuls signes détectables d'un état de santé anormal qu'elles permettent ainsi de détecter.

Progressivement la sémiologie s'est donc enrichie des apports des sciences morphologiques, de la microbiologie et de toutes les autres sciences. Actuellement, elle n'est plus seulement faite des signes cliniques mais, aussi, de tout l'ensemble des signes complémentaires et des explorations qui sont le matériau permettant de bâtir et de définir, par leur association et leur évolution, les entités nosologiques et les états pathologiques.

**Symptôme indirect** : il ne dérive que secondairement de cette lésion ou de ce trouble fonctionnel. Par exemple :

- a) la colique hépatique est une douleur sous-costale, symptôme direct de migration d'un calcul dans la voie biliaire ;
- b) l'ictère est un symptôme indirect d'obstruction de la voie biliaire principale par ce calcul.

**Signe** : du latin : signum. C'est ce qui permet de connaître ou de reconnaître, de deviner ou de prévoir ou d'authentifier quelque chose. En médecine, c'est un élément de reconnaissance que le médecin recherche, trouve ou provoque intentionnellement lors de l'examen d'un malade pour poser le diagnostic ou établir le pronostic ou exercer la surveillance de l'évolution.

*Le signe se distingue du symptôme par le fait que le symptôme révèle une affection ou un trouble alors que le signe s'intègre dans une procédure de recherche et de jugement des éléments contribuant à l'établissement d'un diagnostic, d'un pronostic ou d'une surveillance d'évolution d'une maladie déterminée. En d'autres termes le symptôme révèle la maladie au malade ou à l'entourage et le signe permet au médecin la reconnaissance de la maladie ou contribue à sa prise en charge.*

Il existe différentes variétés de signes cliniques : il faut distinguer les signes fonctionnels, les signes physiques et les signes généraux.

**Signes fonctionnels** : ils sont produits par le patient qui les rapporte lors de l'interrogatoire, et ont, de ce fait, une connotation subjective par rapport aux signes physiques (étudiés plus loin) qui sont, eux, obtenus par le médecin. Ce dernier est considéré comme recueillant des informations plus objectives et fiables.

L'interrogatoire joue un rôle majeur dans leur recueil. Un bon interrogatoire nécessite non seulement leur recherche, mais aussi d'en préciser les caractéristiques temporelles et spatiales de façon très minutieuse. En fait les signes fonctionnels se subdivisent eux-mêmes en signes fonctionnels objectifs et signes fonctionnels subjectifs.

**Signes fonctionnels objectifs** : ils sont perçus à la fois par le malade et par un observateur extérieur s'il y assiste. Cela indique qu'ils sont notés à la fois par le patient et le médecin, encore que certains puissent survenir chez un patient privé de conscience (coma). Il s'agit, par exemple, de : dyspnée, toux, expectoration, palpitation, hémoptysie, épistaxis, rhinorrhée, vomissements, diarrhée, méléna, hématurie, etc.

**Signes fonctionnels subjectifs** : ils ne sont perçus et signalés que par le patient. Il s'agit, par exemple, de : douleurs, dysesthésies, bourdonnements d'oreille, perceptions anormales de telle ou telle partie du corps, sifflements d'oreille, impressions de mouches volantes, vertiges, soif, ténisme vésical ou rectal, faux besoins, etc.

**Signes généraux** : ils traduisent une altération globale de la santé de l'individu et sont liés à une réaction générale de l'organisme. Citons parmi les plus caractéristiques : fièvre, amaigrissement, asthénie, anorexie, tachycardie, etc. Certains sont à la frontière des signes fonctionnels à cause de leur caractère qui peut être subjectif comme la fatigue. Mais on réserve le nom de signe fonctionnel à ceux qui touchent plus spécialement un organe localisé et le terme de signe général à ceux qui traduisent une réaction globale de l'organisme.

Les signes généraux sont, habituellement, objectivables par un instrument de mesure donné : thermomètre, balance, mais il peuvent être purement qualitatifs tels une modification corporelle (pâleur), un aspect (teint), une attitude (abattement), etc. Certains sont difficiles à objectiver directement et n'apparaissent qu'à l'interrogatoire tels que l'asthénie, l'adynamie.

**Signes physiques** : ce sont les signes recueillis par le médecin au cours de l'examen clinique physique exercé sur la personne du patient. Ils traduisent une modification "physique" ou objective des organes du sujet, se traduisant par des signes accessibles aux organes des sens et de perception du médecin. Ils sont reconnus par :

- l'inspection (vue) ;
- la palpation (toucher) ;
- la percussion (ouïe) ;
- l'auscultation (ouïe) ;

- l'odorat (exceptionnellement) ;

- ou par des manœuvres complexes : les signes physiques sont le plus souvent recherchés par des manœuvres complexes qui ont été mises au point et améliorées par les médecins. C'est souvent le cas en neurologie, par exemple.

## Sémiologie des examens complémentaires

Le terme "examens complémentaires" ou "tests" indique qu'ils viennent en complément de l'examen clinique. Certains les dénomment aussi "paracliniques". Ils relèvent d'explorations nécessitant la mise en œuvre de techniques, des connaissances morphologiques et/ou des connaissances biopathologiques, et un savoir-faire technique. Les résultats de ces explorations fournissent, comme les signes cliniques, des informations "brutes". Celles-ci nécessitent une critique et un jugement pour pouvoir être intégrées dans le raisonnement médical (voir les chapitres sur les raisonnements appliqués au diagnostic, au pronostic et à la thérapeutique).

### L'utilisation des données des examens complémentaires

Deux questions se posent quant à l'utilisation des données des examens complémentaires.

La première question est de savoir si les données fournies par les différentes techniques paramédicales sont, ipso facto, utilisables pour l'exercice pratique. Deux points de vue doivent être envisagés : celui du diagnostic et celui de la prise en charge de l'évolution (prévision et soins).

Sur le plan diagnostique, les données des sciences biologiques ne peuvent être utilisées qu'après une critique de leur signification et de leur utilité pour cet objectif. La description d'anomalies morphologiques ou biologiques enrichit les connaissances mais ne fournit pas, ipso facto, des signes permettant la reconnaissance des maladies. Elle ne peut le faire que si ces connaissances sont intégrées dans un processus critique de leur signification et qu'elles sont soumises à l'évaluation de leur validité, de leurs qualités sémiologiques conceptuelles et métrologiques (voir le chapitre "Métrologie médicale").

Sur le plan de la prise en charge de l'évolution, s'il est incontestable que seule la compréhension des phénomènes biopathologiques permet une conduite logique de cette prise en charge, il faut mettre en garde contre les erreurs de jugement qui peuvent intervenir à ce niveau (voir le développement sur la causalité dans le chapitre "Épistémologie médicale").

La deuxième question ne sera que signalée ici car elle ne concerne plus l'élaboration des connaissances sémiologiques mais leur utilisation en pratique (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"). Elle a trait à des considérations à la fois médicales, éthiques et économiques. La mise en œuvre d'examens complémentaires doit, sur le plan médical, poursuivre un objectif précis et ne peut être considérée comme une façon de réaliser une observation exhaustive ou une tentative d'explication physiopathologique. Ce serait illogique et irréaliste. Sur le plan éthique, il serait inconcevable d'infliger des explorations inutiles et/ou pénibles non indispensables. Enfin, sur le plan économique, il faut réserver les efforts aux explorations qui sont justifiées par la logique de leur objectif, et non pour la satisfaction de la curiosité ou pour soulager l'anxiété du prescripteur.

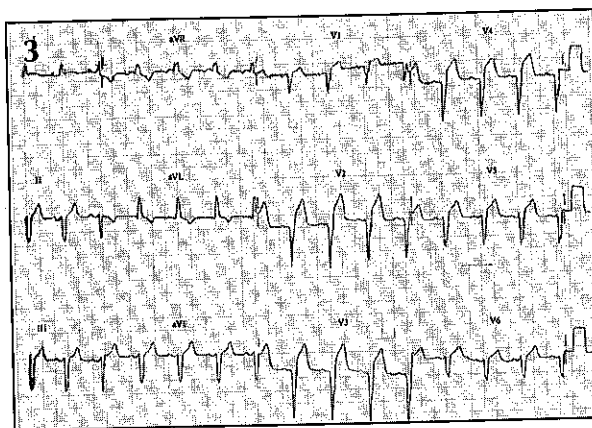
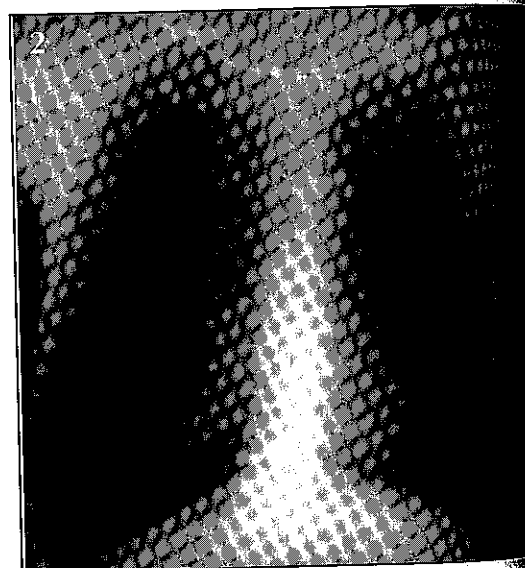
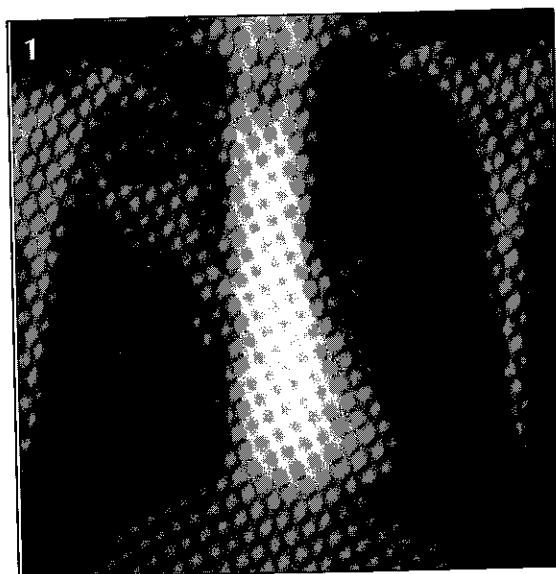
### Les différentes variétés d'examens complémentaires

Il n'est pas question ici de détailler ni même d'énumérer toutes les variétés d'examens complémentaires. Ce serait fastidieux et de peu d'intérêt pour le raisonnement proprement dit. Nous rappellerons simplement leurs principes généraux et les possibilités qui en découlent.

- Ceux issus de la discipline microbiologique sont les plus explicites car ils sont mis en œuvre pour objectiver une étiologie spécifique. Ils s'intègrent donc dans un processus de recherche de causalité de l'affection.
- Ceux issus des sciences morphologiques *macroscopiques* (imagerie sous toutes ses formes, y compris : opacifications, tomographie, imagerie par résonance magnétique, échographie, explorations endoscopiques, etc.) permettent l'identification, le repérage et la description des lésions anatomiques *in vivo*. Ils sont rarement capables de déterminer avec certitude la nature intime des lésions décelées et leur cause mais ils peuvent parfois fortement l'évoquer (voir page suivante, images n°1 et n°2). Ils nécessitent aussi très souvent une mesure stricte de leur sensibilité et de leur spécificité (voir chapitre "Métrologie"). Seuls ceux qui explorent l'essence même du processus pathologique (comme, par exemple, l'étendue d'un processus tumoral ou d'un processus infectieux) ne sont pas soumis au même abord conceptuel. Mais il ne faut pas perdre de vue que, même dans ce domaine, l'exécution des explorations peut entraîner de vrais et faux positifs et négatifs.
- Ceux issus des sciences morphologiques *microscopiques* : histologie, cytologie, etc., permettent d'apporter des renseignements plus approfondis sur la nature de certains processus pathologiques, surtout en cas de lésions tumorales dont elles représentent, alors et en fait, l'essence même. Ils s'intègrent aussi dans un processus de recherche de causalité des lésions.

- Les enregistrements d'activités électriques des organes (cœur, système nerveux et muscles) permettent de mettre en évidence des signes de lésions tissulaires ou plus rarement cellulaires, qui relèvent de différents processus pathologiques : ischémie ou nécrose myocardique (**voir ci-dessous, image n°3**), lésions du cortex cérébral, lésions axonales... Ces anomalies sont plus ou moins spécifiques d'un type de pathologie donnée et peuvent participer, selon les renseignements fournis, soit aux différentes étapes du diagnostic, soit au pronostic, soit aux décisions thérapeutiques, soit à la surveillance du traitement, soit à la résolution d'un problème médico-légal, soit à la combinaison de plusieurs des préoccupations précédentes.
- La biochimie, la biologie moléculaire, les explorations isotopiques scintigraphiques, les explorations fonctionnelles etc. ont des fonctions diverses. Les renseignements que ces disciplines fournissent sont variés et nombreux : perturbations métaboliques et/ou nutritionnelles ou endocriniennes, inflammation plus ou moins spécifique, modifications hématologiques. Les explorations isotopiques scintigraphiques peuvent en outre fournir des données morphologiques. Les explorations fonctionnelles permettent de pratiquer des sollicitations particulières de certains organes ou viscères.

La "normalité" des valeurs des examens biologiques est un problème qui n'a pas reçu dans tous les cas une solution entièrement satisfaisante. En effet ces valeurs sont, schématiquement, régies par deux systèmes. Le premier intervient lorsque la valeur normale est régie par l'homéostasie. Le deuxième est sous la dépendance de l'ensemble des facteurs hétérogènes qui gèrent des cinétiques du produit dans les différents compartiments de l'organisme. Les valeurs de ces examens sont alors essentiellement des valeurs statistiques que l'on désigne sous la dénomination de "valeurs fréquentes". Mais une extension de cette dénomination est aussi en cours pour des valeurs qui relèvent d'une homéostasie : ce qui nous paraît pouvoir entraîner une confusion épistémologique dans la signification des chiffres qui s'écartent des "normes" (voir aussi le développement consacré au normal et au pathologique dans le chapitre "Nosologie").



1. Radiographie du thorax suggestive d'un abcès du poumon.
2. Radiographie du thorax suggestive d'un pneumothorax.
3. Tracé ECG suggestif d'une nécrose myocardique.

## VALEUR SÉMIOLOGIQUE DES SIGNES

Chaque symptôme, ou signe ou test, peut traduire un certain nombre de maladies. C'est ce qu'il est convenu d'appeler sa "valeur sémiologique". Ainsi, chaque signe permet d'envisager un nombre déterminé d'affections. C'est la combinaison des divers signes qui aboutit habituellement à faire évoquer ou confirmer une affection déterminée ou tout au moins un syndrome.

Quelquefois la nature de l'affection en cause imprime une caractéristique particulière à certains signes, soit dans leur qualité, soit dans leur intensité. D'autres fois c'est l'association particulière et stéréotypée de certains symptômes et signes, en combinaison avec une évolution particulière, qui traduit une entité nosologique.

Les signes ont fait l'objet, pendant longtemps, d'une description simple assortie d'un jugement de valeur qualitatif. Les qualités des symptômes et des signes cliniques avaient été longuement explorées pendant le cours du XIX<sup>e</sup> siècle et le début du XX<sup>e</sup> siècle. La valeur des symptômes et des signes était alors exprimée par des qualificatifs. Ceux-ci portaient sur leur fréquence au cours de telle ou telle maladie (fréquence qui n'était exprimée que de façon approximative ou grossière ainsi, on disait qu'un signe était très fréquemment ou assez souvent ou très rarement observé dans telle maladie). On disait aussi qu'un signe pouvait manquer. Les qualificatifs portaient aussi sur leur capacité d'affirmer ou de confirmer avec plus ou moins de certitude une affection déterminée on disait qu'il s'agissait d'un signe caractéristique, très caractéristique ou, au contraire, banal et peu caractéristique, ou même, à l'inverse, pathognomonique. Le terme "pathognomonique" signifie que le signe ne s'observe que dans une affection précise et que sa constatation permet d'affirmer le diagnostic.

La critique et la validation des signes et des tests a fait depuis quelques décennies l'objet d'une étude de plus en plus poussée. L'évaluation d'un certain nombre de qualités ayant recours à des procédures quantitatives s'est progressivement instituée. Actuellement, une métrologie assez sophistiquée a été élaborée. Un chapitre de ce livre est consacré à la métrologie et nous demandons au lecteur de s'y reporter.

Dans tous les cas, les signes n'ont de valeur que s'ils ont été éprouvés et que la recherche et l'analyse sont faites de façon correcte, minutieuse, et en pleine conscience de la signification du renseignement recherché. Ils doivent pouvoir être retrouvés à une autre tentative de recherche par le même observateur ou par un autre observateur intervenant dans les mêmes circonstances. La reproductibilité est certes fonction des qualités des observateurs. Mais elle est aussi pour une bonne part fonction des qualités intrinsèques du signe exploré (voir le chapitre "Métrologie médicale").

Ces qualités nécessaires sont identiques pour les examens complémentaires. C'est d'ailleurs souvent pour ce type de tests qu'ont été le plus souvent pratiquées des études métrologiques.

## LES SIGNES ET LES TESTS OUTILS DU PRONOSTIC ET DE LA SURVEILLANCE DES ÉVOLUTIONS

Outre leur utilité dans le processus diagnostique, les signes apportent une aide à l'établissement du pronostic et à la surveillance du traitement. Il est important de souligner que si certains signes peuvent être utiles à l'ensemble de ces actions, certains ne servent qu'au diagnostic et n'ont pas besoin, de ce fait, d'être répétés par la suite. C'est le cas, par exemple, de certains examens histologiques ou des typages tissulaires ou des tests d'anomalies génétiques ou d'anomalies acquises mais stables (comme, par exemple, une gammapathie monoclonale). D'autres signes n'ont qu'un intérêt diagnostique transitoire, voire réduit ou absent, mais ont un grand intérêt pour suivre l'évolution comme, par exemple, les signes d'inflammation non spécifique, certains marqueurs tumoraux.

Bien classer la fonction des divers signes cliniques et des examens complémentaires est un point très important de leur analyse et de l'utilité de leur connaissance. Cela permettra ainsi de les utiliser en pratique avec tout le discernement nécessaire et d'éviter de poser des indications défectueuses.



## PERMANENCE DE L'ÉLABORATION SÉMIOLOGIQUE

L'œuvre d'élaboration sémiologique est continue pour plusieurs raisons :

- *premièrement*, elle s'adapte à l'apparition d'entités nosologiques nouvelles puisque tous les troubles toutes les entités pathologiques n'ont pas été individualisées et décrites et que des maladies "émergentes" continuent à apparaître ;
- *deuxièmement*, les entités nosologiques évoluent aussi par enrichissement plus ou moins rapide et substantiel des connaissances sur les symptômes et signes cliniques mais aussi et surtout depuis ces dernières décennies sur les signes biologiques et/ou d'imagerie ;
- *troisièmement*, parce que les signes et les tests sont soumis à une évaluation de leurs qualités métrologiques (reproductibilité, validité). De ce fait un réajustement continu s'effectue et il aboutit (ou devrait aboutir) à l'élimination des signes et des explorations complémentaires les moins performants.

Les symptômes et les signes cliniques ont, depuis leur "invention", subi une évolution qui a entraîné la disparition de certains d'entre eux (devenus obsolètes ou inutiles comme le bruit d'airain de Trousseau ou la discussion hippocratique) et la découverte de nouveaux signes plus adaptés à certaines situations (certains faisant appel à des "sensibilisations" comme la pose d'un garrot pour mieux apprécier un signe de Tinel).

## APPRENTISSAGE DE LA SÉMIOLOGIE

La connaissance de la sémiologie s'acquiert par l'étude des descriptions théoriques et surtout par compagnonnage auprès d'ainés. C'est en apprenant les signes tels qu'ils ont fait l'objet des descriptions puis en regardant comment un clinicien expérimenté examine un patient et en s'efforçant de comprendre les différentes raisons de tel ou tel geste que l'étudiant arrive à en acquérir, lui-même, la connaissance et la maîtrise.

Il est à regretter que la multiplication des examens complémentaires ait entraîné une négligence des connaissances de la sémiologie clinique et de leur mise à jour. Des évaluations critiques de la signification du contenu des signes cliniques et de leurs qualités métrologiques devraient être menées parallèlement à leur comparaison avec des explorations complémentaires qui ont tendance à les supplanter. Une étude de leurs qualités respectives, comportant aussi une étude de leur rapport coût-efficacité, serait aussi souhaitable car de telles données factuelles fourniraient les éléments d'un jugement objectif de la hiérarchie des signes pour une aide à la réalisation ultérieure des décisions pratiques.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- FEINSTEIN AR. Clinical epidemiology. The architecture of clinical research. Philadelphia, Saunders, 1985.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- SERGENT E. L'exploration clinique Médicale et Technique et Sémiologie. Paris, Masson, Paris 1950.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- La sémiologie ou étude des signes (cliniques et paracliniques) est spécifique de la médecine dont elle est, avec la nosologie, la science de base.
- Les signes sont, à la fois, partie *constituante* de la maladie telle qu'elle existe et qu'elle évolue chez le patient et, aussi, *manifestation* de la maladie telle qu'elle est perçue par le médecin. L'élaboration de la sémiologie s'est donc faite en conjonction avec celle de la nosologie. Elle résulte d'une description minutieuse des *symptômes* et des *signes* recueillis par l'observation attentive des anomalies présentes dans les états pathologiques auxquels le médecin se trouve confronté. Elle s'est enrichie considérablement du fait de l'apport des explorations complémentaires qui doivent faire l'objet d'une analyse poussée de leurs caractéristiques et de leurs qualités.
- Une grande partie de la médecine humaine a trait, spécialement, à tout ce qui touche aux signes fournis par le *rogatoire*. Cette sémiologie est particulièrement riche et inductive.
- La sémiologie a été longtemps qualitative ou ne s'est contentée que d'une approximation grossière et estimative des fréquences ou de l'absence éventuelle des symptômes chez les patients par rapport à des populations témoins de référence. Un abord quantitatif s'est maintenant instauré et la métrologie des signes s'est développée ces dernières décennies.
- La multiplication des examens complémentaires a entraîné une négligence des connaissances de la sémiologie clinique et de leur mise à jour. Des évaluations critiques de la signification du contenu des signes cliniques et de leurs qualités métrologiques devraient être menées parallèlement à leur comparaison avec celles des explorations complémentaires pour qu'on puisse disposer des éléments de décision les mieux adaptés lors de leur utilisation pratique.

# Chapitre 6

## L'ÉLABORATION DES CONNAISSANCES SUR L'ÉVOLUTION DES MALADIES ET LEUR PRÉDICTION

### INTRODUCTION

L'évaluation et la prédiction de l'évolution des états pathologiques sont des aspects très importants de la pratique et donc du raisonnement médical. La mise en œuvre, en pratique de cette prédiction, chez un malade donné (l'établissement du "pronostic", voir chapitre "Raisonnement appliqué au pronostic") nécessite le recours à des connaissances, préalablement établies et spécifiques, sur l'évolution des maladies et des facteurs qui la déterminent.

L'*évolution d'une maladie* est l'ensemble des phénomènes qui se déroulent à partir du début de la maladie jusqu'à son terme qui peut être la guérison, la rémission, l'amélioration, la chronicité, la rechute, le passage à un stade de séquelles ou le décès, pour ne citer que les plus schématiques des évolutions. Elle est donc formulée en fonction de ce qui est observé et non a priori comme est formulé, par contre, le pronostic (voir chapitre sur le raisonnement appliqué au pronostic).

**Histoire naturelle de la maladie :** l'histoire naturelle est le résultat de l'évolution des maladies en dehors de toute intervention médicale. Elle s'exprime en termes de probabilités ou fréquence d'évolution quand la maladie est livrée à elle-même. Par exemple, une plaie, une fracture, une maladie infectieuse (ou de toute autre nature) sont des phénomènes pathologiques soumis à des lois qui en déterminent l'évolution. Une évolution spontanée vers la guérison est observée dans bon nombre de rhinopharyngites virales communes. Par contre, l'évolution d'autres viroses (rage, fièvre jaune) reste très sévère ou fatale, d'où l'importance de la prévention. D'autres évolutions spontanément fatales ne peuvent être modifiées que par l'intervention thérapeutique comme la méningite tuberculeuse ou la maladie d'Osler.

L'étude de l'évolution naturelle des maladies peut servir aussi bien à parachever la *description des entités nosologiques* (comme nous l'avons vu, voir chapitre "Nosologie"), qu'à *servir de référence pour juger de l'efficacité et de la valeur d'un traitement* en permettant de comparer l'évolution de la maladie traitée avec ce qu'elle serait si elle était abandonnée à elle-même. Seule cette comparaison mettant en évidence pour chaque méthode thérapeutique étudiée le bénéfice réel et les effets secondaires permet de déterminer la validité des traitements disponibles et de juger celui qui apparaît le meilleur. Cette comparaison permet de conclure à l'utilité ou à la "futilité" de certaines propositions thérapeutiques (Voir chapitre "Élaboration des connaissances thérapeutiques").

Mais la fonction la plus importante de l'étude de l'évolution naturelle est de contribuer, avec le concours des connaissances concernant les effets possibles des traitements opposables, à l'établissement du "pronostic" individuel chez un malade donné (voir chapitre "Raisonnement appliqué au pronostic"). *Celui-ci n'est rien d'autre qu'une extrapolation à un nouvel individu de la connaissance des facteurs prédictifs de l'évolution établis dans une population semblable.*

**Facteurs prédictifs :** caractéristiques du sujet qui augmentent statistiquement le risque de voir apparaître une modalité évolutive de la maladie (rémission, guérison, décès, rechute, complication). Ils sont déterminés par l'analyse statistique d'une cohorte de sujets observés et analysés (voir plus bas).

*Le passage des connaissances sur l'évolution naturelle et les facteurs prédictifs de la maladie à la construction du pronostic individuel relève d'un raisonnement inductif. C'est un processus d'inférence qui repose sur l'axiome*

que l'on peut faire une généralisation, à partir des faits observés sur un échantillon de la population étudiée, à l'ensemble des malades atteints de la même affection, et donc au malade particulier que l'on prend en charge. Pour établir un pronostic à propos d'un malade particulier, le clinicien devra s'assurer que celui-ci appartient bien à une population comparable à celle sur laquelle ont été établies les connaissances. Il est donc nécessaire que les échantillons étudiés soient soigneusement constitués et suivis, et par-dessus tout correctement décrits.

## CONSTITUTION DES CONNAISSANCES SUR L'HISTOIRE NATURELLE ET LES FACTEURS PRÉDICTIONNELS

L'histoire naturelle étant la référence permettant de formuler un pronostic fiable mais aussi de juger l'action médicale, il est donc fondamental de bien la connaître et de s'efforcer de la décrire avec le maximum de validité et de précision.

### Méthodologie de référence

L'établissement des connaissances sur l'évolution naturelle et des facteurs prédictifs des états pathologiques nécessite une méthodologie rigoureuse si l'on veut disposer de notions solides qui serviront à établir les bases sérieuses des décisions ultérieures.

Les différentes étapes de la méthodologie et les différentes précautions à prendre ont été développées dans une série de travaux qui sont notamment exprimés de façon didactique dans le livre de Sackett et coll.

Les études descriptives d'évolution doivent être des études prospectives de cohorte. Afin d'éviter un certain nombre de biais, il est nécessaire de prendre des précautions dans l'établissement des protocoles d'étude de l'histoire naturelle des maladies et dans l'analyse des résultats. C'est la condition de la généralisabilité des résultats et des conclusions que l'on peut en tirer. \*

### Constitution d'une cohorte "incipiente"

Ce néologisme inspiré du terme anglais "inception cohort" est fait pour exprimer que la cohorte<sup>(1)</sup> des patients entrant dans l'étude doit inclure des sujets observés au début de leur affection à un point uniforme de l'évolution de leur maladie ("cas incidents"). Cette précaution est nécessaire car l'étude pourra alors déterminer parmi les facteurs recueillis ceux qui permettront d'attribuer une signification pronostique dans les faits observés par la suite. Par exemple, observer une cohorte constituée à un stade tardif de l'évolution de la maladie amène à méconnaître tous les patients atteints de formes bénignes qui auront guéri entre temps (ou à l'inverse les cas gravissimes qui seront déjà décédés). Cette erreur se glisse dans bon nombre d'études menées dans des centres spécialisés où les patients ne sont adressés que parce qu'ils posent, justement, un problème particulier d'évolution (voir aussi plus bas : Mode de recrutement).

Il est déconseillé de réaliser une analyse rétrospective des groupes de patients : il n'est parfois plus possible de dater avec précision les événements, et certains sujets ont disparu.

### Recrutement non spécialisé

Le recrutement joue un rôle capital dans la nature de la population de patients soumis à l'investigation. La manière dont les patients ont été recrutés doit être décrite précisément. Idéalement, les sujets devraient être "tout venant" et recrutés en population de soins de première intention, c'est-à-dire en médecine générale.

(1) Une cohorte est un ensemble de sujets qui vivent les mêmes événements au même moment. En matière de recherche médicale, c'est un ensemble de sujets inclus dans une étude au même moment, et suivis dans des conditions standardisées pendant une durée prédéfinie.

non dans un centre spécialisé<sup>(2)</sup>. Il faut aussi s'assurer que la population où la cohorte a été recrutée est composée de sujets ayant un égal accès aux soins pour éviter d'éliminer certains patients inaptes à consulter. Toutes ces précautions mettent à l'abri de divers biais de sélection (biais de "recrutement", biais de "filtrage", biais de "popularité", biais "d'accès au diagnostic").

Par ailleurs, le biais de recrutement est susceptible de perturber la conception d'une même maladie qu'auront des spécialistes différents. Par exemple, le pronostic du lupus érythémateux disséminé sera perçu de façon différente par les néphrologues et par les internistes ou par les rhumatologues et les dermatologues. Les premiers auront surtout la vision d'une affection viscérale sévère, les deux derniers auront la vision d'une affection moins grave car ils seront confrontés à des patients vus en consultation, ayant, habituellement, moins d'atteintes viscérales menaçantes et où le pronostic vital est, donc, moins souvent directement en cause.

### Surveillance complète de l'évolution

L'analyse prospective doit prendre en compte tous les patients, et limiter au maximum les perdus de vue : on n'a pas d'informations sur ces sujets et ils peuvent avoir disparu de l'étude parce qu'ils sont guéris, décédés, ou seulement parce qu'ils ont refusé de poursuivre la surveillance périodique ou changé de domicile... Certains de ces motifs sont liés à différentes modalités évolutives pathologiques et ainsi être causes de biais. Si la proportion des perdus de vue est importante (par exemple, plus de 20%), les conclusions et la généralisabilité de l'étude sont compromises. Dans tous les cas, il faut pouvoir déterminer les variations maximum et minimum des paramètres étudiés selon que les perdus de vue sont attribués à telle ou telle évolution. \*

\* Pour cela il est nécessaire de déterminer le rapport ayant pour numérateur tous les patients ayant présenté telle évolution et pour dénominateur tous les sujets avec ou sans cette évolution. Puis il faut, dans un premier temps, ajouter au numérateur et au dénominateur le chiffre des perdus de vue cela donne l'estimation la plus élevée de la fréquence du phénomène exploré. Dans un deuxième temps il faut ajouter le nombre des perdus de vue uniquement au dénominateur et recalculer le nouveau pourcentage qui est l'estimation la plus basse. L'étude ne peut donner lieu à une conclusion valable si les résultats de ces estimations sont assez proches.

Il est important de savoir que plus le risque d'une modalité évolutive est bas, plus l'impact des perdus de vue est important.

### Utilisation de critères objectifs pour évaluer les modalités d'évolution

Il faut s'assurer que des critères objectifs sont appliqués avec constance pour évaluer les modalités d'évolution. Les résultats doivent être exprimés en termes explicites pour limiter les incertitudes ou les erreurs d'interprétation. Ces critères ou indicateurs de l'évolution sont souvent appelés "outcomes" dans la littérature anglo-saxonne.

### Évaluation en insu des modalités d'évolution

L'évaluation des modalités d'évolution doit être effectuée à l'insu des autres données concernant le patient pour échapper à deux autres causes de biais :

- le biais de suspicion de diagnostic : la connaissance d'un élément de pronostic important peut entraîner une surveillance plus étroite de la modalité en cours d'étude du ou des sujets qui en sont atteints.
- le biais d'expectative : une connaissance préalable des caractéristiques du cas peut influencer le jugement du cas examiné (par exemple, connaissance du tableau clinique pour un anatomopathologiste).

### Ajustement sur les facteurs de confusion pouvant interférer

Il faut s'assurer qu'il n'y a pas d'interférence entre les facteurs que l'on se propose d'étudier avec d'autres facteurs (facteurs de confusion), qui pourraient modifier l'évolution. L'existence, fréquente, de facteurs de confusion non contrôlés limite considérablement la généralisabilité des conclusions des études pronostiques.

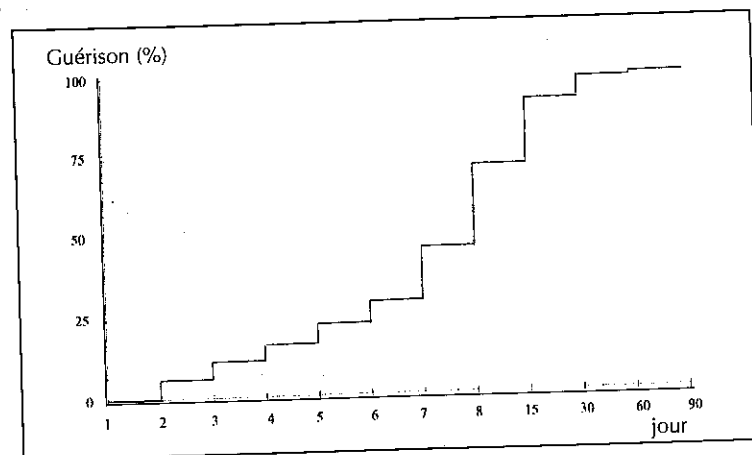
(2) Il est toujours possible de faire une étude sur une population de centre spécialisé, mais elle n'aura pas le caractère de généralisabilité et donc la valeur scientifique qu'assure une cohorte non sélectionnée. Elle ne vaudra que pour la population recrutée dans ce centre avec toutes les incertitudes dues aux modalités de recrutement de ce centre et à ses fluctuations possibles.

## Analyse statistique

Le traitement statistique des études d'histoire naturelle et des facteurs prédictifs fait appel à la méthodologie de l'analyse de survie. Celle-ci permet l'établissement de "courbes de survie" (ou de guérison par exemple) où la proportion (estimation de la probabilité) de survivants (ou de guéris) est représentée pour différents temps de l'observation. Les points sont reliés par des "marches d'escalier". Des modèles statistiques pronostiques peuvent aussi être construits. Ceux-ci permettent d'estimer un risque relatif de décès (de guérison) associé à la présence du facteur étudié (versus l'absence de ce facteur) pendant l'étude. Ces modèles permettent notamment l'estimation de risques "ajustés" où l'effet de chaque facteur prend en compte les autres facteurs du modèle. Il faut enfin noter qu'il faut disposer d'un effectif assez nombreux de patients (au moins une centaine) pour que l'établissement des probabilités et des risques relatifs de survie ou de guérison soit assez précis.

### Exemple : l'évolution et le pronostic des lombalgies aiguës

Une variété fréquente de lombalgie est la forme aiguë. L'histoire naturelle des manifestations morbides (douleur, incapacité fonctionnelle) et les facteurs pronostiques de la lombalgie aiguë ont été analysés dans une étude de cohorte incipiente (comportant 103 sujets débutant une lombalgie aiguë) réalisée en médecine générale de ville (Coste J et al. Clinical course and prognostic factors of acute low-back pain. An inception cohort study in primary care practice. BMJ 1994 ; 308 : 577-580). Les sujets n'ont été traités que par le paracétamol. L'analyse de cette cohorte a mis en évidence une guérison rapide en moins de 15 jours chez 90% des sujets (figure).



Cette étude a aussi mis en évidence le rôle prédictif péjoratif sur l'évolution de l'antécédent de lombalgie chronique, du niveau d'incapacité physique initial, et de facteurs liés au travail (absence d'emploi, accident de travail). Par exemple, le risque de guérison est multiplié par 0,2 (c'est-à-dire divisé par 5) chez les sujets ayant un antécédent de lombalgies de plus de 3 mois.

#### Modèle pronostique de la guérison des lombalgies aiguës

| Variable                                 | Risque relatif de guérison<br>(Intervalle de confiance à 95%) |
|--|---|
| Antécédents de lombalgies > 3 mois       | 0,21 (0,07-0,60)  |
| Douleur aggravée par la station debout   | 0,49 (0,30-0,77)  |
| Douleur aggravée par la station couchée  | 0,62 (0,38-1,02)  |
| Score d'incapacité initiale en 3 classes | 0,59 (0,31-1,12)  |
| Absence d'emploi                         | 0,63 (0,38-1,05)  |
| Accident de travail                      | 0,49 (0,23-1,05)  |

## Limites de l'utilisation de la méthodologie de référence

La méthodologie décrite ci-dessus est la démarche idéale qu'il faudrait toujours pouvoir observer pour respecter les règles méthodologiques les plus satisfaisantes. Mais ces conditions sont parfois très difficiles ou impossibles à respecter pour plusieurs raisons.

La première est d'ordre *éthique*. Il est impensable de laisser évoluer une maladie sans intervenir s'il existe déjà un traitement efficace. Ce n'est qu'en cas de doute sur la réalité de cette efficacité qu'une démarche purement "descriptive" peut, à la rigueur, se justifier. Elle ne saurait de toute façon exclure un traitement symptomatique pour pallier les désagréments de l'affection étudiée. Ce serait une faute éthique et même un délit de laisser se poursuivre une affection dans un but de pur intérêt scientifique comme cela a été le cas dans l'affaire Tuskegee sur l'évolution naturelle de la syphilis non traitée de 1932 à 1972 aux États-Unis. Dans cette affaire des chercheurs ont laissé évoluer des syphilis sans traitement bien après l'apparition de thérapeutiques actives.

La seconde vient en corollaire de la précédente : il ne sera possible, dans la grande majorité des cas, de connaître l'évolution que sous un certain type de traitement. Il faudra alors dans la mesure du possible choisir un traitement de référence. L'évolution établie dans ces conditions ne sera bien sûr applicable qu'aux patients traités de la même manière.

## ORGANISATION DES CONNAISSANCES SUR L'HISTOIRE NATURELLE ET LES FACTEURS PRÉDICTIONNELS

### L'expression classique ou littéraire des données évolutives

Pendant très longtemps, il a été habituel d'adjoindre des développements sur les "formes évolutives" des maladies et sur leur pronostic dans les "types de description" des maladies (voir chapitre "Nosologie"). Il y était notamment fait référence aux divers symptômes ou signes de "bon" ou de "mauvais" pronostic, et les "moments critiques" des maladies (souvent sous l'influence rémanente de l'ancienne médecine hippocratique). Cette présentation a aujourd'hui pratiquement disparu.

L'apparition de thérapeutiques efficaces, dans de nombreux domaines de la médecine, a en effet eu tendance à donner moins d'importance à l'élaboration du pronostic et donc à ses outils, et les données évolutives et pronostiques ont parfois totalement disparu pour bon nombre de présentations de maladies dans les livres et "textbooks" de référence pour les étudiants. Dans certains de ces domaines, la relégation ou même l'abandon de tout le savoir pronostique, dont on verra l'utilité, est dommageable pour la pratique et la communication avec les patients et leurs familles. Elle prive le praticien des connaissances nécessaires à la formulation satisfaisante de l'information à fournir au patient.

### L'expression quantitative des données évolutives

Dans d'autres situations, en particulier quand se posent des problèmes d'urgence et de réanimation, les informations prédictives sont restées très importantes. Ici, l'ancienne présentation a fait place à une expression quantitative, où chaque déterminant évolutif est associé à un ou des risques relatifs (parfois des risques absolus) de décès ou de complication estimés dans des études. C'est dans ces situations que se posent avec le plus d'acuité les problèmes de généralisation des résultats évoqués plus haut pour établir un pronostic individuel. C'est pour ces situations aussi qu'on a développé des échelles prédictives, des "index" de sévérité ou de gravité.

### Échelles prédictives et scores de gravité

Le risque de survenue de décès ou d'une complication est souvent un phénomène complexe, multifactoriel et *multidimensionnel* quand les facteurs qui les prédisent se rapportent à des mécanismes physiopathologiques différents. Ces différents facteurs doivent figurer dans l'échelle prédictive.

D'autre part, pour que l'échelle prédictive puisse être utilisable en pratique, il faut que ses résultats expriment le risque absolu ou la probabilité de décès ou de complication.

**Méthodologie générale de développement**

La mise au point puis la validation d'une échelle prédictive est une entreprise longue et complexe. Elle est similaire à la construction d'une échelle de risque d'une maladie (dont on verra l'intérêt plus loin, dans le chapitre "Élaboration des connaissances en matière de dépistage et de prévention") et se rapproche de la mise au point des instruments de mesure composites d'évaluation (voir chapitre "Métrologie médicale"). \*

Les échelles de ce type ont surtout été développées pour la réanimation, où l'échelle APACHE, puis SAPS-2, est très utilisée.

**Exemple d'une échelle de gravité des brûlures**

Les brûlures nécessitent souvent une prise en charge lourde et coûteuse qui ne prévient pas toujours le décès (mortalité de l'ordre de 15 %). De ce fait, des instruments de mesure de gravité des brûlures, et notamment du risque de décès, ont un intérêt pratique considérable, tant pour l'équipe médicale soignante qui doit formuler tôt un pronostic, que pour les équipes d'urgences qui doivent orienter le sujet vers un centre de traitement adapté à la gravité, ou pour les gestionnaires qui doivent évaluer les structures très coûteuses de prise en charge.

Un instrument d'évaluation du risque de décès chez les brûlés a été construit pour être utilisé dans ce contexte clinique (Coste J et al. Predicting mortality in adult burned patients : methodological aspects of the construction and validation of a composite ratio scale. J. Clin. Epidemiol. 1996 ; 49 : 1125-31).

|        |     |       |                         |
|--------|-----|-------|-------------------------|
|        | 200 | 1.000 |                         |
|        | 190 | 1.000 |                         |
|        | 180 | 0.999 |                         |
|        | 170 | 0.999 |                         |
|        | 160 | 0.997 |                         |
|        | 150 | 0.994 |                         |
|        | 140 | 0.988 |                         |
|        | 130 | 0.975 |                         |
|        | 120 | 0.947 |                         |
|        | 110 | 0.892 |                         |
|        | 100 | 0.792 |                         |
| Score* | 90  | 0.639 | Probabilité<br>de décès |
|        | 80  | 0.450 |                         |
|        | 70  | 0.275 |                         |
|        | 60  | 0.149 |                         |
|        | 50  | 0.036 |                         |
|        | 40  | 0.017 |                         |
|        | 30  | 0.008 |                         |
|        | 20  | 0.004 |                         |
|        | 10  | 0.002 |                         |
|        | 0   | 0.000 |                         |

\* Score = 2 (Âge - 50) + SBT si Âge > 50 ans,  
sinon, Score = SBT

Cet instrument permet la quantification du risque de décès en fonction de l'âge du sujet (le rôle de l'âge est important au-delà de 50 ans) et de la surface brûlée totale (SBT).

La construction d'une échelle de risque nécessite notamment la vérification des propriétés de mesure suivantes: la validité de contenu (qui signifie que tous les facteurs prédictifs de la maladie ont été identifiés), la validité de construction (qui signifie que des "dimensions" cohérentes du pronostic ont été recherchées) et la fiabilité (qui signifie que les erreurs de mesure sont acceptables). De même, il faut vérifier si l'échelle donne une valeur quantitative ou si elle permet seulement d'ordonner les sujets (c'est que l'on appelle le niveau de mesure), car cela conditionne les méthodes statistiques à utiliser et l'interprétation des résultats.

L'aspect le plus important du développement d'une échelle de sévérité consiste, toutefois, à confirmer sa validité prédictive, c'est à dire à vérifier la concordance entre le résultat donné par l'échelle et celui observé (proportion de décès ou complication pour une combinaison de facteurs). Les modèles statistiques multivariés qui sont employés à cette fin doivent être utilisés avec rigueur. La vérification des hypothèses des modèles, ainsi que l'étude de leur adéquation et de leur performance sur un ou plusieurs échantillons indépendants (validation croisée) sont indispensables. En effet, un modèle statistique peut bien "représenter" les données d'un échantillon de "construction", et beaucoup moins bien les données obtenues sur d'autres échantillons. Un tel modèle, trop spécifique de l'échantillon de "construction" n'est pas généralisable.

Enfin, une attention particulière doit être portée à la présentation de l'échelle: la simplicité de la présentation (coefficients arrondis, graphiques ou nomogrammes, etc.) détermine la facilité d'emploi et l'utilisation de l'échelle en pratique, sans en altérer les qualités métrologiques.

**POUR EN SAVOIR PLUS**

- BRAWLEY OW. The study of untreated syphilis in the negro male. Int J Radiat Oncol Biol Phys 1998 ; 40 : 5-8
- CHARLSON ME, ALES KL, SIMON R, MAC KENZIE CR. Why predictive indexes perform less well in validation studies. Is it magic or methods? Arch Int Med 1987 ; 147 : 2155-61.
- COSTE J, FERMANIAN J, VENOT A. Methodological and statistical problems in the construction of composite measurement scales. A survey of six medical and epidemiological journals. Stat Med 1995 ; 14 : 331-45.
- COSTE J, WASSERMANN D, VENOT A. Predicting mortality in adult burned patients : methodological aspects of the construction and validation of a composite ratio scale. J. Clin. Epidemiol. 1996 ; 49 : 1125.
- FEINSTEIN AR. Clinimetrics. New Haven : Yale University Press ; 1987.
- GULLIFORD MC. Evaluating prognostic factors: implications for measurement of health care outcome. J Epidemiol Comm Health 1992 ; 46 : 323-6.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- SACKETT, D. L. Biases in analytic research. J. Chron Dis. 1979 ; 32 : 51
- WASSON JH, SOX HC, NEFF RK, GOLDMAN L. Clinical prediction rules. Applications and methodological standards. N Engl J Med 1985 ; 313 : 793-9.
- WRIGHT JG, FEINSTEIN AR. A comparative contrast of clinimetric and psychometric methods for constructing indexes and rating scales. J Clin Epidemiol 1992 ; 45 : 1201-18.

**CE QU'IL FAUT RETENIR**

- L'évolution d'une maladie est l'ensemble des phénomènes qui se déroulent à partir du début de la maladie jusqu'à son terme : guérison, rémission, amélioration, chronicité, rechute, passage à un stade de séquelles ou décès, etc.
- L'histoire naturelle est l'évolution des maladies en dehors de toute intervention médicale.
- L'étude de l'évolution naturelle des maladies peut servir à parachever la description des entités nosologiques. Elle sert de référence pour juger de l'efficacité et de la valeur d'un traitement et surtout, avec le concours des connaissances des effets possibles des traitements opposables, à l'établissement du pronostic.
- L'établissement des connaissances sur l'évolution des états pathologiques nécessite une méthodologie rigoureuse pour éliminer ou limiter les biais et pouvoir ainsi mettre à la disposition des cliniciens des informations fiables. En particulier, les études doivent être prospectives et initiées à partir de cohortes "incipientes". Elles doivent maîtriser le mode de recrutement, envisager une évolution complète, des critères objectifs pour juger, si possible, en insu, les résultats, et prendre en compte les facteurs de confusion.
- Quand il n'est pas possible, pour des raisons éthiques, de conduire une étude d'évolution naturelle, c'est l'évolution sous un traitement de référence qui devra être considérée.
- Les échelles prédictives ou "scores de gravité" sont des instruments permettant d'exprimer de manière quantifiée, les risques de complication ou de décès dans une maladie donnée ou un contexte médical donné (par exemple, en réanimation). Leur développement est délicat.

# Chapitre 7

## L'ÉLABORATION ET LA VALIDATION DES MÉTHODES THÉRAPEUTIQUES

### INTRODUCTION

L'élaboration des méthodes thérapeutiques, puis l'évaluation de leur efficacité, de leur éventuelle nocivité et des bénéfices qu'on peut en espérer relèvent de la recherche médicale scientifique<sup>(1)</sup>. La mise en œuvre, en pratique, de la thérapeutique nécessite le recours à des connaissances spécifiques produites par cette recherche. Le rôle des cliniciens sera ensuite de les appliquer de la meilleure façon. Ce sera l'objet d'un autre chapitre (voir le chapitre "Raisonnement appliqué à la thérapeutique").

### Évolution et état actuel de la thérapeutique

Pendant très longtemps, le médecin n'a disposé que de moyens thérapeutiques très réduits qui se résument à quelques interventions chirurgicales, quelques drogues et à des manœuvres médicales plus ou moins judicieuses (régimes, évacuations, etc.). Parmi ces manœuvres, celles qui se sont pérennisées en raison de leur efficacité réelle étaient dues à des observateurs attentifs et curieux qui avaient su bien interpréter les phénomènes. La simple succession chronologique des événements a souvent tenu lieu de raisonnement causal, bien qu'on ait su de longue date que cela était insuffisant et source d'erreurs (voir le développement sur la causalité dans le chapitre "Épistémologie médicale"). Dans de nombreuses situations pathologiques, l'absence de connaissance de la cause première et de la physiopathologie ne permettait guère de faire des progrès thérapeutiques.

La mise au point d'une sémiologie plus précise au début du XIX<sup>e</sup> siècle a rendu possible la précision des entités nosologiques en s'efforçant de remonter jusqu'à la cause prouvée (voir le chapitre "Nosologie"). Ensuite, les développements des sciences biologiques ont mis à la disposition des médecins les outils et les matériaux nécessaires aux progrès thérapeutiques qui se sont accélérés depuis 1945, qui posent des problèmes éthiques majeurs et qui débordent maintenant les capacités financières des systèmes de couverture de soins. ●

Si les vaccinations et surtout les progrès de l'asepsie qui ont accompagné l'essor de la chirurgie au XIX<sup>e</sup> siècle ont permis de résoudre quelques problèmes, la thérapeutique n'a vraiment connu un essor que depuis la fin des années 1930. La découverte des vitamines, de l'insuline, des sulfamides puis de la pénicilline et des antibiotiques qui lui ont fait suite ont marqué le point de départ de progrès de plus en plus rapides.

La thérapeutique comprend actuellement un ensemble très vaste et en pleine expansion de méthodes testées et validées par des procédures que l'expérimentation rigoureuse rend de plus en plus efficaces au dépend, parfois, d'effets indésirables majeurs et de coûts élevés. Toutefois il persiste encore, à côté de ces méthodes de traitements innovants, des méthodes plus anciennes de qualité variable et de conceptions disparates, reliquats des habitudes antérieures. Certains praticiens en sont gênés et ne savent plus sur quelles bases faire la différence entre le "bon grain et l'ivraie", d'autres continuent d'appliquer des recettes glanées ici ou là en rajoutant les derniers progrès. Une remise en ordre des connaissances et des concepts devient de plus en plus indispensable. Les éléments du raisonnement pour les utiliser n'en sont que de plus en plus un besoin pressant.

Quant au public non médical, il est ballotté entre des informations les plus variées, où se mêlent souvent des "nouvelles de dernière heure" sur l'ultime traitement découvert ou même sur les avancées thérapeutiques qu'on peut entrevoir et qui ne sont que des spéculations n'ayant pas reçu la moindre ébauche de vérification. Il est aussi soumis à des déclarations d'individus à la compétence auto-proclamée. Ces derniers élucubrent des théories et des méthodes qui, vigoureusement affirmées, finissent par convaincre une proportion non négligeable de la population.

<sup>(1)</sup> La thérapeutique a toujours été un domaine où s'observent des comportements marqués d'une forte irrationalité non seulement chez les malades et leur entourage, ce qui est assez compréhensible, mais aussi chez certains médecins, où elle pose évidemment beaucoup de problèmes. Or l'efficacité médicale, et notamment thérapeutique, passe par l'utilisation de méthodes scientifiques et de raisonnements rigoureux : seul l'enchaînement logique des rapports démontrés entre les phénomènes permet leur compréhension et le progrès thérapeutique qui en découle. La justification de ces démarches intellectuelles a été longuement développée au chapitre de l'épistémologie. Nous ne l'avons rappelée ici que parce que la persistance de la pensée irrationnelle ou magique et de croyances fausses est très tenace et que la thérapeutique en reste paralysée.

## Du "primum non nocere" aux traitements actifs et "redoutables"

Le souci de ne pas nuire a probablement été, pendant les siècles passés, l'attitude médicale la plus profitable à la santé des populations. Cette attitude sceptique d'une proportion notable de médecins face aux nombreuses tentatives utilisant des produits ou des méthodes dangereuses (vite oubliées...) s'est révélée heureuse. Qu'en est-il aujourd'hui ?

La période actuelle voit surgir des problèmes d'une nature nouvelle. La nécessité de fournir la preuve des qualités thérapeutiques des méthodes proposées a entraîné une recherche clinique faisant appel à une expérimentation sur l'humain. Celle-ci pose des problèmes éthiques et impose des précautions déontologiques ou légales autant que scientifiques (certains de ces aspects seront développés dans le chapitre consacré à l'éthique).

## L'établissement des connaissances en matière de thérapeutique

L'établissement des connaissances en matière de thérapeutique comprend schématiquement deux phases, que nous envisagerons successivement dans ce chapitre :

- la conception des méthodes thérapeutiques proprement dite ;
- le développement et l'évaluation de ces méthodes, c'est-à-dire leur validation scientifique.

Il est toutefois impossible de comprendre la méthodologie des recherches dans le domaine thérapeutique si on ne tient pas compte de deux notions fondamentales : l'évolution naturelle des maladies (discutée dans le chapitre "Élaboration des connaissances sur l'évolution des maladies et leur prédiction") et l'effet placebo.

Pour cette dernière raison nous présenterons au préalable les notions ayant trait au placebo dans l'optique de son utilisation dans les essais thérapeutiques. La possible utilisation en thérapeutique elle-même de l'effet placebo sera traitée dans la partie de cet ouvrage qui traite de l'application des connaissances aux soins proprement dits.

## LE PLACEBO

Le terme "placebo" est ambigu car il est utilisé dans la littérature médicale pour désigner deux notions bien différentes dans leur principe :

- D'une part l'exploitation de l'effet placebo en administrant une substance ou une manœuvre qu'on sait dénuées d'effet thérapeutique (voir plus bas). Cette utilisation, plus ou moins consciente, est très ancienne.
- D'autre part l'utilisation d'une substance ou d'une manœuvre volontairement dénuées d'effet thérapeutique et servant de référence pour l'évaluation d'une substance ou d'une manœuvre supposée active dans un essai comparatif contrôlé. Dans ce cas, le placebo n'est pas utilisé comme traitement mais pour pouvoir tenir compte de ce qui revient à l'effet placebo (voir plus bas) dans l'efficacité du produit testé. Cette utilisation est récente et contemporaine de la mise en place de la méthodologie des essais thérapeutiques. Dans ce chapitre ne sera traité que l'utilisation du placebo pour l'élaboration des connaissances. Mais du fait que l'effet placebo fait appel à un certain nombre de notions communes à ces deux utilisations, ces notions seront adjointes pour faciliter la compréhension du phénomène.

## Notions générales sur le placebo

Le placebo peut sembler une énigme. Le produit et/ou la manœuvre utilisées, dont nous donnerons plus bas les définitions, ne contiennent aucun principe actif et cependant ils produisent un effet : l'effet placebo. Cet effet, bien que le plus souvent bénéfique, n'est pas toujours souhaité, ni souhaitable d'ailleurs, car il "parasite" l'effet des traitements administrés et gêne, ainsi, le jugement des effets réels du traitement. Il introduit de ce fait une ambiguïté et peut donner lieu à controverses de la part des médecins, des malades, et une apparente contradiction lorsqu'on veut lui attribuer un effet donné. Du fait de ces ambiguïtés sur les manœuvres et leurs effets, il est très important de bien préciser les définitions.

**Placebo** : l'étymologie du terme "placebo" provient du futur du verbe latin placere : placebo signifie littéralement "je plairai" indiquant ainsi à la fois sa destination première et l'effet souhaité et, parfois, obtenu par un mécanisme qui sera ultérieurement discuté.

On peut aussi en donner des définitions "pharmacologique" ou "physiopathologique générale" :

- a) *Substance inerte et dénuée de tout effet pharmacologique*, présentée volontairement comme traitement pour plaire aux patients.
- b) Par extension, toute manœuvre volontairement dénuée de propriété curative ou sans effet plausible, mais présentée comme traitement.
- c) *Produit ou manœuvre administrés, lors d'un essai comparatif*, dans une des branches d'un essai thérapeutique pour pouvoir apprécier l'efficacité réelle de la substance ou de la manœuvre thérapeutique testée.

Il peut s'agir :

- d'un **placebo pur** : préparation ou manœuvre n'incluant que des substances inertes pharmacologiquement, comme de l'eau pure ou teintée ou des comprimés d'excipient seul sans introduction d'aucune substance ou principe actif particulier.
- d'un **placebo impur** : substance n'ayant aucune action démontrée ou pouvant même avoir une certaine action mais dans un domaine pharmacologique ou thérapeutique différent de celui recherché chez le patient en question. Un effet placebo vient donc ainsi "parasiter" les résultats de l'administration d'une substance active et peut être difficile à distinguer de ceux-ci, alors que seuls ces derniers sont l'objectif recherché.
- d'une **manœuvre placebo** : on utilise aussi le terme "placebo" pour désigner toute manœuvre, par exemple physique ou chirurgicale, dénuée d'effet thérapeutique et n'agissant que par l'intermédiaire de l'effet placebo (voir plus bas)

L'existence d'un **effet placebo** résulte de l'observation des faits : une substance volontairement inerte pharmacologiquement et volontairement (ou non) administrée à des patients est suivie, dans une proportion variable de cas, d'effets favorables qu'on ne peut rattacher à une quelconque propriété pharmacologique puisqu'on a volontairement exclu d'introduire un produit actif dans la préparation administrée.

**Nocebo** : l'étymologie du terme "nocebo" vient du futur du verbe latin nocere. Nocebo veut donc dire "je nuirai" et le terme désigne des effets secondaires indésirables observés lors de l'administration d'une substance inerte ou de toute manœuvre thérapeutique "fantôme", qu'elle soit inactive ou efficace dans un certain domaine.

## Problèmes conceptuels et épistémologiques posés par le placebo

Si on veut intégrer le placebo dans un schéma conceptuel cohérent il faut accepter de poser le problème à deux niveaux :

- le niveau des faits d'observation ;
  - le niveau de biopathologie qui les sous-tend ;
- et il faut que les mécanismes passant de l'un des niveaux à l'autre soient compatibles avec les schémas invoqués de la biopathologie et de la psychophysiologie humaine. Dans ces conditions aucune contradiction n'apparaît plus.

### Le niveau des faits d'observation

Si la substance ou la manœuvre "placebo" sont relativement faciles à définir et à concevoir, l'effet placebo est un phénomène assez difficile à appréhender bien que cet effet placebo ait été, pendant des millénaires, l'un des seuls moyens thérapeutiques du médecin, compte tenu de la modicité et de l'efficacité réduite des moyens disponibles.

L'effet placebo est un fait d'observation. Après administration d'une substance totalement inactive, on peut observer un effet placebo favorable sur des signes fonctionnels (ressentis) dans environ 1/3 des cas. Il peut même, bien que plus rarement, s'appliquer à des manifestations morbides caractérisées comme l'asthme, ou à des paramètres mesurables comme le rythme cardiaque ou la pression artérielle...

L'effet placebo porte essentiellement sur des signes fonctionnels ou sur des manifestations où intervient le système nerveux végétatif et les médiateurs chimiques qu'il active comme la vasoconstriction, la motilité digestive, le bronchospasme, etc. L'observation quotidienne montre suffisamment le rôle des émotions dans ces domaines pour qu'il n'y ait pas besoin de preuves quantifiées pour en admettre la réalité et le rôle du système nerveux.

L'observation a même permis de décrire une cinétique de l'effet placebo qui est d'apparition rapide, plus rapide même, que le produit actif. Mais son effet est aussi plus éphémère. Cette cinétique est censée pouvoir permettre de faire la distinction entre placebo et le produit actif.

L'effet **nocebo** est tout aussi incontestable. L'observation permet de noter que des sujets à qui on administre une substance inerte peuvent présenter un certain nombre d'effets indésirables comme malaises, vertiges, nausées, céphalées, etc. L'administration d'une substance inactive peut, ainsi, être suivie d'effets qui ne s'ex-

pliquent que par un effet "nocebo". La fréquence avec laquelle on observe ces phénomènes est moins importante que pour l'effet placebo. Elle est de l'ordre d'environ 10 %.

### Le niveau de la biopathologie qui les sous-tend

Il n'est, en revanche, pas prouvé que l'effet placebo ait un effet favorable sur l'évolution naturelle des maladies. Il est bien évident qu'une substance inerte ne peut prétendre agir directement sur une bactérie, un virus ou une prolifération tumorale maligne, par exemple. Mais une certaine amélioration des signes fonctionnels peut survenir et agir indirectement sur les conditions générales du patient, augmentant la probabilité d'une évolution naturelle favorable et/ou participant à entraîner une attitude d'adhésion aux thérapeutiques actives. La question se pose aussi pour les affections où le système neurovégétatif est impliqué et/ou lorsqu'un mécanisme dit "psychosomatique" pourrait intervenir. Dans ces cas, des hypothèses pathogéniques font intervenir la possibilité que des perturbations somatiques puissent être induites par des états psychologiques particuliers (de tension, ou de détente nerveuse, par exemple).

*Ce n'est pas la substance inerte ou toute manœuvre dénuée d'efficacité qui sont responsables de la modification des signes fonctionnels ou des signes sous la dépendance du système nerveux au sens le plus large du terme. Mais c'est le conditionnement que met en route, de façon volontaire ou involontaire, le médecin et l'environnement médicalisé. Cela n'est rendu possible que parce que le système nerveux de l'humain est accessible à certaines influences qui en modifient la réactivité. L'effet placebo est bien réel, mais il n'est rendu possible que par une manœuvre intermédiaire qui passe par un conditionnement lié à des phénomènes culturels et individuels réunis dans la relation "médecin-malade".*

Une conceptualisation cohérente de l'effet placebo devient dès lors possible :

- Sur le devant de la scène sont exposés des phénomènes apparemment illogiques et irrationnels, puisqu'une manœuvre dénuée de toute signification pharmacologique ou thérapeutique entraîne des effets favorables sur les manifestations de la maladie.
- Derrière le rideau se déroule, par contre, un scénario limpide. La biopathologie organique et tout ce qui ressort de son traitement causal sont inchangés car insensibles et non concernés par l'administration du placebo. Cela peut être représenté dans le schéma suivant :

#### Sur le devant de la scène

Administration du placebo → Mise en route (± consciente) du conditionnement

→ Effet placebo  
sur les manifestations  
"conditionnables"

#### Derrière le rideau

Administration du placebo → Conditionnement inefficace sur la biopathologie organique

→ Effet nul  
sur l'histoire naturelle

*Le placebo est et reste une manœuvre inerte sur la cause de la biopathologie. Il ne modifie que son expression et, peut-être, certaines manifestations sous la dépendance directe ou indirecte du système neurovégétatif.*

Bien sûr, l'effet placebo, comme l'effet nocebo, peut être associé à une thérapeutique par ailleurs active.

### Mécanismes de l'effet placebo

L'effet placebo pose un certain nombre de questions conceptuelles concernant son mécanisme de production et la nature des mécanismes physiologiques mis en œuvre, et en premier lieu soulève la question de la causalité. La succession temporelle d'un effet à la suite de l'administration d'une manœuvre placebo signifie-t-elle un rapport de causalité directe ? Comme nous l'avons déjà vu (chapitre "Épistémologie"), l'établissement d'un rapport de causalité ne repose qu'en partie sur la succession chronologique qui est une condition nécessaire mais non suffisante. En particulier, l'effet observé peut être dû à un phénomène que le placebo induit (facteur intermédiaire) ou qui l'accompagne (facteur associé). \*

\* Une explication neurobiologique de l'effet placebo est actuellement recherchée. On invoque particulièrement les endorphines, tout au moins lorsqu'il s'agit d'expliquer l'antalgie "placebo induite". Les premières expériences en ce domaine ont porté sur l'obtention d'une neutralisation de l'effet placebo par de la naloxone (qui est un inhibiteur des endorphines). Elles n'apportent qu'une preuve indirecte du rôle possible des endorphines. En dehors de l'action des endorphines et des opiacés endogènes, il semblerait exister un ou d'autres mécanismes. Il semblerait que le placebo agit de deux façons : une façon non spécifique passant par une réponse du type opioïde et une façon spécifique provoquée par le conditionnement psychologique singulier et modelé sur une situation donnée. Cela permet de comprendre que d'autres symptômes que la douleur, et donc son contrôle par les endorphines, soient accessibles à l'effet placebo. Une hypothèse, assez attrayante, est que des phénomènes complexes recourant, par l'intermédiaire d'un langage, à un conditionnement et à une suggestion spécifique soient impliqués. Le placebo deviendrait alors, en quelque sorte, un vecteur ou un soutien de psychothérapie.

En fait, le phénomène de l'effet placebo ne devient intelligible et cohérent que si on fait intervenir un facteur supplémentaire, intermédiaire entre l'administration du placebo et l'effet observé. On admet généralement que ce phénomène intermédiaire est d'origine psychologique et qu'il relève de la suggestion<sup>(2)</sup>, c'est-à-dire d'un conditionnement ou de la satisfaction d'une attente que le placebo entraîne ou réalise lors de son administration. Et c'est ce phénomène psychologique induit qui serait le vrai responsable de ce qui se déroule par la suite.

L'explication de l'effet placebo ne doit donc être cherchée ni dans la théorie ni dans la philosophie. Les explications doivent, par contre, aborder le problème sous l'angle de la neurophysiologie ou de la psychophysiology. On observe que l'effet placebo (basé essentiellement sur la suggestion et sur l'attente d'un effet thérapeutique) est fonction de plusieurs facteurs : suggestibilité, état psychologique du sujet au moment de l'administration du placebo, puissance de suggestion des dispensateurs du produit et du discours associé ou de la présentation de méthodes déclarées "curatrices", influence du milieu culturel ambiant, etc. Ces facteurs jouent tout aussi bien pour le placebo (ou le nocebo) authentique et "pur" que pour toute administration de méthode thérapeutique qui, rappelons-le, peut induire un effet placebo plus ou moins spécifique. \*

### Sur qui s'exerce l'effet placebo ?

L'observation montre qu'il existe une différence d'action selon les sujets à qui le placebo est administré. Cela entraîne la question : y a-t-il des sujets "placebo-sensibles" et d'autres "placebo-résistants" ?

Il est clair, en tenant compte de l'observation quotidienne et surtout en analysant les résultats des essais contrôlés, qu'une proportion de sujets, de l'ordre de 30 à 40 % suivant les cas, réagissent positivement à l'administration d'une substance pharmacologiquement inerte. L'existence de réponses différentes dans une population implique-t-elle une "placebo-sensibilité" spécifique des individus qui répondent au placebo ? (et une "placebo-résistance des autres ?"). On pourrait être tenté de faire cette conclusion qui paraît assez logique. Toutefois les études qui ont tenté d'identifier les facteurs associés à cette "placebo-sensibilité" supposée n'ont pas conclu. Il ne semble d'ailleurs pas certain que l'obtention de l'effet placebo serait reproductible de façon régulière ni identique chez le même individu au gré du temps et des tentatives successives. Ainsi se pose la question de la permanence de ces dispositions, qui pourraient être aussi circonstancielles.

## Principes de l'utilisation du placebo dans les essais thérapeutiques contrôlés

Dans la conjoncture qui nous intéresse, c'est-à-dire l'utilisation du placebo pour l'élaboration de connaissances médicales, on administre à un groupe de sujets dit "témoin" un produit volontairement dénué d'action thérapeutique afin de :

• pouvoir apprécier le rapport de causalité entre la manœuvre testée et le résultat obtenu. Il est en effet nécessaire de pouvoir différencier ce qui revient à l'activité authentique et spécifique du produit testé

\* Les effets de la suggestion sont connus et répertoriés. D'autres phénomènes psychologiques entrent-ils en jeu ? La démonstration des hypothèses est certainement délicate dans ce domaine, d'autant plus que des prises de positionnelles ont eu lieu.

### \* Facteurs associés à l'effet placebo

- **Le conditionnement général** : l'environnement, l'hôpital, la clinique, le cabinet médical sont des lieux où on dispense des traitements. Une prescription est donc facilement admise et perçue comme un médicament. Le conditionnement physique du produit semble jouer aussi un rôle important.
- **La réceptivité du patient** : sa personnalité, son attente, sa suggestibilité éventuelle et sa crédulité sont autant de facteurs favorisants, plus ou moins intriqués. L'état psychologique (anxiété, état affectif...) au moment de l'administration joue, probablement aussi, un rôle.
- **La puissance de conviction dans la présentation du produit** : cette donnée est la plus difficile à contrôler car il est certain que, si le prescripteur croit lui-même à l'efficacité thérapeutique de ce qu'il prescrit, il augmente alors les chances d'être persuasif...
- **Les conditions d'administration** : un produit réputé nouveau ou présenté dans un contexte "scientifique" ou au contraire "ésotérique" n'a pas le même impact psychologique qu'un produit apparemment banal et de prescription routinière.
- **Rôle du milieu culturel et de l'éducation ambiante** : un milieu développant la foi dans la science ou une ambiance sceptique n'auront pas la même influence sur la façon dont le produit est perçu.
- **Les maladies dont l'évolution naturelle et le pronostic sont mal connus ou difficiles à formuler** dans certains cas. En revanche, l'évolution de la maladie peut très bien être favorable sans aucune intervention ou, même, en dépit d'intervention médicale. Le placebo peut alors, indépendamment de l'effet placebo, se trouver crédité de cette évolution favorable sans, cette fois, qu'il y ait la moindre relation entre son administration et l'évolution constatée. Dans ce cas il n'est pas possible d'invoquer un effet placebo.

et ce qui revient à l'évolution naturelle ou à une action non spécifique sous la dépendance de l'effet placebo<sup>(3)</sup> ;  
 - et d'obtenir l'"annulation" de l'effet placebo du produit actif ; car un produit "actif" est aussi susceptible d'induire un effet placebo qu'il faut pouvoir différencier de l'efficacité thérapeutique spécifique du produit testé (figure suivante).

|                        |   |
|------------------------|---|
| <b>Groupe traité :</b> | <b>Produit actif → effet thérapeutique propre<br/>+ effet placebo (non directement mesurable)</b> |
| <b>Groupe témoin :</b> | <b>Placebo → effet placebo seul<br/>(ainsi directement appréciable)</b>                           |

C'est alors la *différence entre les résultats des deux groupes* qui pourra être retenue comme étant l'effet thérapeutique proprement dit. Elle permettra de juger de l'efficacité propre du produit testé.

Dans cette utilisation, le placebo n'a plus aucune prétention de plaire. Il ne peut d'ailleurs, dans l'information donnée au patient pour obtenir son consentement, être présenté comme un médicament ou une manœuvre active.

La mise en œuvre d'essais thérapeutiques contre placebo pose de difficiles problèmes de faisabilité pour certains traitements chirurgicaux ou traitements physiques, ainsi que pour les psychothérapies et/ou toutes les situations où un conditionnement des patients intervient (voir plus bas).

## Problèmes éthiques posés par l'utilisation du placebo dans les essais thérapeutiques

Le recours à une comparaison de l'effet d'une manœuvre thérapeutique avec l'effet d'un placebo ne devrait pas avoir lieu si on ne juge qu'une biopathologie organique (plaie hémorragique, fracture déplacée, obstruction de voie naturelle...). Et d'ailleurs cet effet est le plus souvent mesurable par des éléments de jugement "durs" comme la mort ou la guérison complète avec ou sans séquelles. En revanche, *dès que des signes fonctionnels interviennent dans le jugement de l'évolution*, il est nécessaire de se mettre à l'abri des conséquences de l'effet placebo.

Le groupe placebo ne servant qu'à neutraliser, dans l'analyse des résultats, ce qui est attribuable à l'effet placebo (conjugué à celui de l'évolution naturelle), le problème éthique qui se pose alors est de savoir si on a le droit de soumettre un groupe témoin à ce que l'on peut considérer comme une absence de traitement. Deux remarques s'imposent alors :

- La loi rend obligatoire d'informer le patient qu'un des groupes de l'essai recevra le placebo. Cette information détruit un bonne part du conditionnement et modifie donc les données de l'expérimentation. Cela n'est qu'un effet placebo "réduit" qui est alors apprécié. Si l'essai se propose bien de juger l'efficacité réelle du produit testé sur les signes fonctionnels, cela n'entraîne pas d'erreur puisque la différence enregistrée est sous la dépendance de cette efficacité et non de l'effet placebo parasite, dont il n'y a aucune raison de penser qu'il sera différent d'un groupe à l'autre (à condition que l'essai soit conduit en double insu, voir ci-dessous).
- Le problème éthique est de savoir si on porte tort aux sujets qui pourraient bénéficier d'un traitement supérieur à l'effet placebo. Si un tel traitement existe, l'essai contre placebo serait une **perte de chances** de guérison ou d'amélioration. Il faut dans ce cas préférer un essai contre le médicament ou le traitement le plus efficace connu afin de savoir si un avantage réel se dégage de la comparaison avec le nouveau produit. Dans les autres cas, l'essai a justement pour but de déterminer l'éventuelle supériorité d'efficacité par rapport au placebo. De plus, l'essai teste d'autres qualités comme les effets secondaires et les accidents évolutifs. Il est possible qu'ils se révèlent plus fréquents dans le groupe traité et que cela inverse le bénéfice attendu pour le groupe. Une autre situation où l'utilisation du placebo est nécessaire concerne l'évaluation de thérapeutiques anciennes dont l'efficacité est controversée. Étant donné que dans cette situation, il existe

<sup>(3)</sup> Le groupe traité par placebo ne permet pas d'étudier l'évolution naturelle à proprement parler mais permet d'apprécier les effets combinés de l'évolution naturelle et de l'effet placebo dans les conditions expérimentales de l'essai. L'étude de l'évolution naturelle relève d'un concept et d'une méthodologie propres (voir le chapitre "Étude de l'évolution des maladies..."). De plus, l'essai thérapeutique est en général limité dans le temps, contrairement à l'évolution naturelle qui se poursuit jusqu'à son terme naturel ou modifié par un traitement efficace.

te une incertitude sur la réalité de l'effet thérapeutique, il ne paraît pas contraire aux principes de l'éthique de faire un essai contre placebo.

*L'attitude éthique concernant les essais contre placebo semble, à l'heure actuelle, être assez bien définie : son principe est de ne pas diminuer les chances de bénéfice thérapeutique pour les patients. Donc l'essai devrait avoir lieu **seulement** s'il n'existe pas de traitement actif.*

Un certain nombre de problèmes particuliers, liés notamment aux interventions chirurgicales placebo, restent irrésolus. Il n'est pas éthiquement acceptable de faire subir à un patient les souffrances et les risques parfois vitaux d'une intervention "fantôme" qui ne comporte par ailleurs qu'un effet symptomatique possible mais non assuré. Cependant certains, peut-être instruits par des précédents célèbres<sup>(4)</sup>, plaident en faveur de l'utilisation de la méthode dans certains cas précis comme, par exemple, les greffes de cellules nerveuses chez les Parkinsoniens.

## LA CONCEPTION DES MÉTHODES THÉRAPEUTIQUES

Les méthodes thérapeutiques ne devraient s'adresser qu'à des entités nosologiques caractérisées et leur utilisation devrait être réservée à des états pathologiques définis, et non à des états physiologiques abusivement "médicalisés". À ce propos, de nombreuses confusions et utilisations inadéquates de termes et de méthodes ou de produits peuvent être constatées tous les jours, à tel point qu'on finit par ne plus les remarquer. Des thérapeutiques font l'objet d'utilisations inadaptées comme, par exemple, l'administration d'hormone de croissance à des enfants ayant simplement une petite taille, ou même d'une tentative d'usage frauduleux comme le révèlent les récurrentes "affaires" sportives d'utilisation d'anabolisants, d'hormone de croissance ou d'érythropoïétine.

### Principes généraux de la conception

Les traitements doivent répondre au double objectif d'efficacité maximale et de toxicité minimale. La conception des traitements s'appuie aujourd'hui sur des bases biologiques et/ou physiopathologiques éprouvées. Mais il a été longtemps le simple fruit de constatations empiriques heureuses.

La conception des traitements sera différente selon qu'on se propose de traiter les causes ou les symptômes des maladies bien que les frontières soient parfois difficiles à cerner dans certaines entités nosologiques. \*

\* La conception des méthodes thérapeutiques est schématisable de la manière suivante :  
 - La cause "première" fait l'objet des **traitements curatifs**. Ce devrait être l'objectif principal des thérapeutiques. L'exemple le plus clair est le traitement antibiotique des infections bactériennes.  
 - Les symptômes et les effets de la maladie sont aussi l'objet de **traitements adéquats**. Ces traitements dits, de ce fait, **symptomatiques** ou **palliatifs** ont pendant longtemps été presque les seuls dont disposait la médecine avant les avancées majeures de la deuxième moitié du xx<sup>e</sup> siècle.

### Les traitements conçus comme méthodes thérapeutiques curatrices ou radicales

La conception des thérapeutiques *curatrices* fait appel :

- à la mise en évidence et à la démonstration de la cause et des mécanismes biologiques de la maladie, de manière à pouvoir lui opposer le traitement radical curatif lorsqu'il peut en exister un. Malheureusement la cause n'est pas toujours connue ;
- à la recherche des moyens d'action découlant logiquement de ces causes et/ou de ces mécanismes pour s'y opposer ou les neutraliser, et pour faciliter les processus naturels de guérison ou de cicatrisation.

Cependant, même si causes et mécanismes sont connus, on peut ne pas avoir encore découvert et disposer de méthode efficace à lui opposer (cas de certains virus par exemple).

<sup>(4)</sup> Un célèbre essai publié en 1959 par Cobb et al. a été à l'origine de l'abandon brutal d'une thérapeutique alors très répandue de l'angine de poitrine : la ligature de l'artère mammaire interne. Ces auteurs ont randomisé 17 patients avec une angine de poitrine très sévère en deux groupes qui ont eu l'intervention sous anesthésie générale similaire jusqu'à la dénudation des artères mammaires. À ce moment, l'ouverture d'une lettre cachetée était suivie soit de la ligature, soit de la fermeture immédiate de la plaie chirurgicale. 34% des patients avec ligature ont rapporté une diminution de la consommation de médicaments antiangineux nitrés contre 42% des patients sans ligature. Un des patients de ce dernier groupe a même rapporté une amélioration telle qu'il a repris son travail !!



Les lésions constituées et les troubles physiopathologiques, qui sont la conséquence du processus pathogène causal et qui surviennent au fait de son existence, peuvent faire l'objet d'une correction distincte qui se rapproche d'un traitement curatif authentique mais qui, conceptuellement, ne fait que supprimer ou pallier des effets néfastes de la "cause première". Il en est ainsi des traitements de suppléance de défaillances d'organes ou de viscères même si, en raison de leur grande efficacité, ils permettent des survies prolongées.

Le problème du traitement du cancer est assez difficile à définir car la prolifération tumorale est à la fois la conséquence d'une cause première (la tumorigénèse) qui échappe le plus souvent à la connaissance (et sur la quelle il serait de toute façon trop tard pour agir), et l'essence de la maladie. On peut ainsi parler de traitement curatif bien qu'il ne soit que "suppressif". On peut en dire autant de bon nombre de thérapeutiques majeures comme la chirurgie ou les autres techniques de rétablissement de la lumière intestinale ou artérielle, etc. Le terme de *thérapie radical* semble mieux correspondre à ce type de situations.

Les méthodes thérapeutiques curatrices varient considérablement suivant l'état pathologique en cause. Il n'est pas question ici d'aborder toutes les situations possibles, d'autant qu'elles sont variables au sein même d'un groupe d'affections, comme les affections tumorales, infectieuses, dégénératives, traumatiques, etc. Il existe néanmoins des principes du raisonnement communs dans certaines disciplines médicales.

C'est ainsi que :

- **En matière de traumatologie**, toutes les méthodes de traitement se basent sur la tendance à la cicatrisation spontanée et un certain degré de réparation naturelle des conséquences des traumatismes. La thérapeutique consiste à produire les conditions les plus favorables à la cicatrisation (sutures, immobilisation par des procédés externes ou internes, etc.)
- **Le traitement des carences** est probablement l'un des plus facile à concevoir et à mener. Le traitement des carences vitaminiques est en principe, de compenser le déficit et de veiller à ce qu'il ne se reproduise pas. Certaines suppléments sont par contre illogiques, voire même dangereuses (risque d'hypercalcémie et de ses complications par apport exagéré de vitamine D, par exemple). Les surdosages ou les surcharges sont donc un danger potentiel. De plus, certaines contaminations par des impuretés ont pu entraîner des troubles allergiques ou toxiques imprévisibles.
- **Le traitement des maladies infectieuses** s'appuie pour une bonne part sur les capacités de l'organisme à lutter contre l'invasion microbienne, virale ou parasitaire. Mais lorsque ces processus naturels sont défaillants (qu'il s'agisse d'une défaillance constitutionnelle ou acquise, qu'il s'agisse d'une défaillance globale ou spécifique vis-à-vis de tel ou tel agent infectieux, de telle ou telle localisation anatomique), le traitement consistera en l'administration d'antibiotique, d'antiviral ou tout autre agent susceptible de tuer les germes ou d'aider l'organisme à le faire. Il peut être complété par l'évacuation de collections purulentes.
- **Le traitement des affections vasculaires** peut aller de la thérapeutique médicamenteuse des processus inflammatoires ou dégénératifs responsables des modifications de calibre des vaisseaux à leur correction par différents traitements physiques ou chirurgicaux, aux traitements des complications thrombotiques ou au traitement des ischémies aiguës et des lésions consécutives.
- **Le traitement des affections tumorales** aura surtout pour but de détruire la tumeur de façon la plus complète possible. Cela peut être relativement facile dans le cas des tumeurs bénignes. Par contre, dans le cas de cancers, le principe de l'éradication des cellules malignes va, la plupart du temps, bien au-delà du traitement local de la lésion tumorale primitive. Différentes méthodes physiques ou chimiques sont utilisables. Les situations sont très diverses, mais il est des cas où l'acharnement thérapeutique arrive à être pire que la maladie elle-même.
- **Le traitement des maladies dégénératives** ne peut se concevoir que de façon logique par l'analyse des processus entraînant les troubles et des possibilités de les faire régresser. Dans le cas où la régression paraît difficile à obtenir, il sera plus logique de s'adresser à une possible prévention. Par exemple la régression de l'athérome artériel apparaît actuellement assez aléatoire, alors que la régression des topus oculaires est tout à fait réalisable par un traitement hypo-uricémiant prolongé.
- **La correction de déséquilibres ioniques majeurs.** Ces déséquilibres (hyper- ou hypocalcémie, hypoglycémie, acidocétose, perturbation de la kaliémie ou de la natrémie, etc.) peuvent provoquer des dysfonctionnements majeurs des fonctions végétatives cardio-vasculaires, rénales ou de tout autre viscère ou du système nerveux, et mettre en cause le pronostic vital. Leur reconnaissance et leur correction peuvent rétablir l'équilibre des fonctions altérées, permettant ainsi le renversement de situations de détresse.
- **Les suppléances des fonctions vitales défaillantes.** Les premiers succès ont été les traitements substitutifs de carences endocriniennes létales (le diabète insulino-dépendant, l'insuffisance surrénale, etc.). Puis dans les dernières décennies, la thérapeutique a fait des progrès révolutionnaires dans les domaines entièrement nouveaux que sont les suppléances des fonctions vitales défaillantes comme l'assistance respiratoire ou cardiaque, le rein artificiel et, enfin, les greffes d'organes. Il s'agit là de prise en charge totale qui nécessite une véritable ingénierie physiologique.
- **Le traitement des affections héréditaires monogéniques.** La *thérapie génique* est la dernière venue des possibilités d'action des médecins sur certaines maladies génétiques. Sa mise en œuvre est encore au stade expérimental.
- **Le traitement des facteurs de risque** relève plutôt de la prévention. Il se confond par certains aspects avec celui du traitement des maladies dites dégénératives où un facteur de risque peut être accessible à la thérapeutique.

**Mais dans tous les cas**, ce n'est que par l'analyse fine et la démonstration des mécanismes responsables de l'état pathologique que le principe rationnel du traitement peut être conçu.

L'étape suivante consiste à mettre en œuvre les expérimentations animales et les essais thérapeutiques qui vont apporter la démonstration de l'efficacité et de la validité des traitements envisagés et l'appréciation des effets secondaires et nocifs éventuels.

## Traitements conçus comme méthodes symptomatiques ou palliatives

Les symptômes font l'objet de traitements palliatifs (à ne pas confondre avec les "soins palliatifs", terme qui a subi ces dernières années une orientation très spéciale puisqu'il ne signifie plus que soins aux malades cancéreux en fin de vie) et de traitements dits "symptomatiques". Ils ne s'adressent ni aux causes ni aux lésions qui en découlent. Leur frontière avec la correction de certains troubles physiopathologiques est parfois difficile à tracer.

Dans le cas de traitements symptomatiques, l'importance de l'effet placebo explique que les essais thérapeutiques sont indispensables pour établir et quantifier l'action du traitement étudié. Par contre, il paraît que, une fois celle-ci établie, une extrapolation raisonnable des effets est possible. Il paraîtrait puéril et même ridicule d'exiger une scrupuleuse démonstration de la reproduction de l'effet dans des situations quasiment identiques, comme de demander la démonstration de l'effet antalgique d'une molécule pour chacun des numéros de dents à extraire ou pour chacune des articulations atteintes du même processus pathologique douloureux.

## Les intrications de problèmes

Ces schémas laissent place à des incertitudes si la séquence des événements n'est pas aussi simple à définir que dans les constructions "logiques" qu'on peut imaginer. Il est parfois difficile de savoir si l'on a affaire à la cause première authentique, c'est-à-dire le "primum movens" de la cascade des événements pathologiques, ou à une cause seconde mais qui est la seule qu'on arrive à identifier. Il est aussi difficile de dire, en présence de lésions anatomiques, s'il s'agit de l'essence même de l'affection, comme on peut le dire pour les cancers et les affections malignes, ou si la cause est un facteur qui nous échappe encore. Cette incertitude concerne aussi la place qu'il faut attribuer aux facteurs de risque qui occupent une large place comme cible des mesures de prévention, alors que la prévention d'une cause vraie est plus accessible à des mesures thérapeutiques, ce qui n'exclut pas la possibilité de mettre aussi en place des mesures de prévention à son égard.

## LA VALIDATION SCIENTIFIQUE DES MÉTHODES THÉRAPEUTIQUES

Une validation des méthodes thérapeutiques est-elle toujours nécessaire ? Le traitement d'une asphyxie par l'ablation d'un corps étranger des voies aériennes est l'exemple parfait d'une efficacité indiscutable que toute personne sensée ne saurait mettre en doute. Il en est ainsi de toutes les circonstances où une physiopathologie démontrée et certaine est accessible au traitement logique et rationnel adéquat. Il en est ainsi devant toute autre situation d'asphyxie aiguë, pendaison, noyade, etc. Un certain nombre de situations moins dramatiques, mais souvent source de possibles troubles graves, peuvent parfaitement ressortir d'un mécanisme physiopathologique simple, accessible à un raisonnement causal ou physiopathologique sur les mesures adéquates à opposer à ces troubles. Il serait dérisoire d'exiger des procédures de validation préalables à l'utilisation de ces traitements alors que la logique élémentaire et un contrôle efficace synchrone ou rétroactif des effets obtenus démontre le bien fondé de la manœuvre utilisée<sup>(5)</sup>.

Dans tous les autres cas, l'étape suivant la conception d'un traitement consiste à en prouver l'efficacité (supérieure à celle du placebo et de l'évolution naturelle) et la tolérance. Cette évaluation se conduit habituellement en deux phases, une phase conduite *in vitro* chez l'animal (éventuellement le cadavre pour une technique chirurgicale) et une phase conduite chez l'homme vivant.

<sup>(5)</sup> Encore faut-il que la démarche rationnelle invoquée ne soit pas une erreur d'interprétation des faits ou des résultats des traitements entrepris et qu'elle soit basée sur la démonstration rationnelle et cohérente du trouble diagnostiqué en cause. Il est ainsi nécessaire de se méfier de certaines fausses thérapeutiques apparemment logiques qui n'ont que les apparences de l'efficacité. L'histoire de la médecine est encombrée de ces prétendues thérapeutiques "évidentes". En cancérologie, par exemple, des mutilations importantes ont longtemps été infligées à des patient(e)s avec la meilleure conscience et la certitude d'une action rationnelle d'augmentation des chances de guérison, alors que les essais contrôlés ultérieurs ont montré la vanité de ces mutilations.

## La phase préhumaine de la mise au point

On sera assez bref sur cette phase du développement des thérapeutiques, car elle échappe souvent au médecin, et apparaît peu ou pas dans les publications médicales. En ce qui concerne les traitements médicamenteux, les substances potentiellement intéressantes font d'abord l'objet de manipulations chimiques, de "screening" de leurs propriétés chimiques *in vitro*. Ensuite, ces substances sont testées chez l'animal (d'une ou plusieurs espèces selon la substance) où leur activité pharmacologique (pharmacodynamie), leur toxicité générale (dose létale) ou systémique (hépatique, rénale, etc.) mais aussi leur pharmacocinétique (distribution, élimination, accumulation, etc.) sont évaluées. Parfois leur efficacité thérapeutique potentielle peut être évaluée, en particulier quand il existe des "modèles" animaux de la maladie humaine considérée (modèles naturels comme pour certaines affections microbiennes, tumorales, ou modèles artificiels où des souches animales ont été sélectionnées, voire créées à cet effet, comme les animaux transgéniques).

Dans le cas des traitements non médicamenteux, chirurgicaux ou physiques, une phase animale est également souvent utile. En chirurgie, la conception, ou la technique, est habituellement mise au point sur l'animal ou le cadavre. Mais elles ne peuvent pas toujours l'être, et il est difficile de schématiser les méthodes employées car elles sont essentiellement fonction de la conception thérapeutique de l'auteur, des conditions anatomiques et physiologiques, des difficultés prévisibles et de celles réellement rencontrées. Elles sont le fruit du caractère inventif du concepteur, puis elles sont souvent perfectionnées par la suite, soit par le concepteur lui-même, soit par les différents utilisateurs qui peuvent lui faire subir des modifications parfois importantes. Toute technique innovante fait ainsi l'objet de mises au point successives de l'auteur ou des opérateurs qui en appliquent la conception.

Le déroulement des étapes qui permettent la mise au point et l'évaluation d'un traitement chez l'homme diffère selon que l'on a affaire à des traitements médicamenteux ou à d'autres méthodes comme la chirurgie ou des traitements physiques. Nous envisagerons d'abord les premiers.

## La validation des méthodes thérapeutiques médicamenteuses chez l'homme

Le développement d'un médicament est une combinaison de preuves scientifiques et d'ajustements pragmatiques. Il se déroule en plusieurs phases.

### Les différentes phases du développement et de la validation d'un médicament

Une fois que les chercheurs ont inventé une substance originale et innovante dont les effets pharmacologiques et la tolérance ont été testés chez l'animal, il faut contrôler chez l'homme un certain nombre de propriétés de la substance et s'assurer d'un maximum d'innocuité au regard de l'efficacité. L'expérimentation animale préalable a déjà fourni des informations sur la tolérance, la pharmacocinétique, la toxicité, l'efficacité éventuelle, et peut permettre de prévoir un modèle d'application à l'homme. Mais seule l'application réelle à l'homme, dans des conditions rigoureuses, permet de savoir vraiment quelle posologie, quelles méthodes d'administration et de surveillance se montreront les plus performantes.

### L'expérimentation chez l'homme se déroule suivant des procédures bien codifiées se succédant en 4 phases :

- **La phase 1** est réalisée sur des **volontaires sains**. Elle a pour objet de déterminer, sur un nombre réduit de sujets, la posologie où un effet pharmacodynamique est obtenu chez l'homme et de rechercher la dose maximale tolérée (dose à laquelle on observe les premières preuves de toxicité). La ou les doses de départ sont habituellement choisies à partir des études de toxicologie animale. Elle est ajustée en se basant sur la surface corporelle et en se référant à la dose létale ou aux doses maximales tolérées chez plusieurs espèces animales (il existe plusieurs méthodes de choix). La phase 1 comprend bien sûr la documentation des paramètres de pharmacocinétique : concentrations plasmatiques, demi-vie, diffusion, excrétions, métabolites... Elle permet enfin de préciser la voie d'administration et l'intervalle des doses à utiliser en phase 2.
- **La phase 2** consiste à mettre en évidence une certaine probabilité d'efficacité du produit et à en déterminer la dose optimale. Elle s'exécute sur des patients volontaires car il s'agit de faire une estimation des résultats possibles en termes d'efficacité thérapeutique. On distingue des phases 2 précoces (ou 2A) portant sur un seul schéma thérapeutique et des phases 2 tardives (ou 2B) qui sont déjà des essais comparatifs où plusieurs doses, schémas sont comparés, entre eux/elles et/ou contre placebo ou produit de référence. À ce stade, le risque que les investigateurs essaient de minimiser est le risque  $\beta$  (voir infra).

- **La phase 3** est celle des essais thérapeutiques contrôlés. Les essais contrôlés apportent la preuve de l'efficacité en permettant d'établir un rapport de causalité entre la manœuvre thérapeutique soumise à l'épreuve et ses résultats. Ils sont contrôlés car comparatifs, en ce sens que le nouveau produit est comparé à un placebo ou à une méthode de référence. Ces essais précisent, en outre, les effets secondaires les plus fréquents. Les règles qui président à l'élaboration des protocoles et à la mise en œuvre de ces essais sont maintenant parfaitement codifiées (voir infra).

- **La phase 4** permet de mettre en évidence les effets secondaires plus rares, non détectés par les essais initiaux. Indépendamment des essais contrôlés, il est nécessaire de pratiquer une surveillance à long terme des effets "indésirables" ou "secondaires" car la pratique montre que des accidents graves peuvent survenir longtemps après que le produit a été utilisé et souvent par des milliers de patients. Ces accidents posent de difficiles problèmes. Observés et rapportés de façon incontrôlable, ils peuvent donner lieu à une sous-estimation ou bien, à l'opposé, il se peut que la relation de causalité n'ait pu être établie. Ce dernier problème est assez délicat à régler car, leur mécanisme étant difficile à prouver, il faut se baser sur un faisceau d'arguments. La méthodologie de cette démonstration est encore en voie d'amélioration. *Il ne faut pas confondre les études sérieuses de phase 4 et des études promotionnelles qui ont parfois ce nom et qui ne sont rien d'autre que des achats de prescription.*

### Les essais thérapeutiques de phase 3

Les essais thérapeutiques constituent les moments fondamentaux du développement des médicaments.

Les essais thérapeutiques ont pour objet :

- d'apporter la *démonstration* de l'efficacité du traitement envisagé ;
- d'apprécier la tolérance et/ou les effets secondaires éventuels ;
- et, en fin de compte donc, d'apprécier la validité du traitement.

### • Démontrer la causalité en assurant la comparabilité

L'un des objectifs essentiels des essais est de démontrer le *rapport de causalité* entre l'application d'une thérapeutique et le résultat obtenu. \*

Pour prouver qu'un médicament est doué d'une efficacité, il est nécessaire de mettre en œuvre une *expérimentation* dont le principe général est relativement simple. On compare les évolutions de deux groupes de sujets, strictement comparables par ailleurs, où l'un des groupes est soumis au traitement à tester, et l'autre sert de témoin.

Le principe cette expérimentation est que les groupes sont strictement comparables au départ ("baseline") et que la parfaite comparabilité est maintenue, ultérieurement, tout au long de l'essai. Ainsi les *différences observées seront imputables au seul traitement qui diffère entre les groupes*. Bien sûr, on doit préciser *a priori*, avant le début de l'expérimentation, quel sera le critère utilisé pour rendre compte de l'évolution des sujets ou de l'efficacité du traitement, que l'on appelle "le critère de jugement". Il peut s'agir de phénomènes variés, allant du décès, la survenue d'une complication, la disparition de la douleur, à la normalisation d'un paramètre biologique...

Pour que ces exigences de comparabilité soient respectées, il est d'abord nécessaire de répartir de façon rigoureusement identique les sujets qui composent les groupes comparés. C'est pourquoi il est indispensable de *tirer les sujets au sort*, procédé qui seul garantit (en probabilité) l'homogénéité et la comparabilité des groupes. On appelle cette procédure "randomisation" (terme d'origine anglaise qui signifie tirage au sort). Toute autre méthode risquerait d'introduire une erreur systématique ou biais (ici biais dit "de sélection") en faveur d'un groupe ou d'un autre. La randomisation a aussi pour intérêt de répartir de manière équilibrée les sujets présentant des facteurs pronostiques de la maladie : ces facteurs "de confusion" sont ainsi neutralisés.

Il est ensuite nécessaire que les sujets restent comparables au cours de l'essai et d'assurer un jugement parfaitement objectif des effets. Il faut recourir à la méthode d'administration du traitement dite en double insu

\* Nous avons vu, au chapitre "Épistémologie médicale" que plusieurs conditions sont nécessaires pour pouvoir retenir un lien de causalité entre telle situation ou manœuvre et tel effet supposé relié à cette situation ou manœuvre. Il est extrêmement fréquent de voir attribuer sans la moindre preuve démonstrative, par les malades ou même par des médecins, une vertu thérapeutique à une manœuvre supposée, alors que l'effet observé n'est que le résultat de l'histoire naturelle ou est en rapport avec un autre facteur incontrôlé. Il est encore fréquent de lire dans des observations ou des lettres de médecins des phrases comme "le patient a bénéficié de..." ou "a été traité avec succès par un traitement de..." suivi du nom d'un médicament dont l'indication, dans le cas particulier, est totalement inadéquate et qu'il s'agit simplement d'un placebo "impur". Ces situations se retrouvent aussi dans le cas de très nombreux médicaments qui n'ont jamais été évalués expérimentalement et qui sont encore tolérés par certaines agences nationales de régulation.

(ou "double aveugle" qui est la traduction littérale mais malheureuse du terme anglais "double blind"). Cette manœuvre a pour but de mettre à l'abri le médecin et le malade de la tentation, plus ou moins consciente, de faire prévaloir une opinion "a priori" en donnant des réponses orientées (habituellement en faveur du nouveau traitement)<sup>(6)</sup>. Elle permet donc d'éviter les biais dits "d'information".

Il est enfin nécessaire que tous les sujets inclus dans l'étude et tirés au sort soient suivis complètement et leurs résultats analysés, quelle que soit leur compliance ou "obéissance" effective au traitement donné. On peut imaginer un traitement efficace mais avec des effets secondaires importants qui oblige une proportion des sujets à arrêter le traitement avant la fin : il serait partial d'exclure ces sujets du bilan final et de ne considérer que les sujets ayant suivi complètement le traitement. On dirait la même chose de sujets qui abandonneraient d'eux-mêmes le traitement au bout de quelque temps en raison d'une totale inefficacité. Tous les sujets inclus et leurs résultats doivent être analysés, qu'ils aient eu ou non un traitement complet : on parle d'un *essai analysé en intention de traiter*.

#### • Tester statistiquement les différences observées

L'analyse statistique des résultats permet de tester si la différence observée entre les traitements est due ou non au hasard.

La mise en œuvre du test statistique relève du raisonnement hypothético-déductif et en particulier de la déduction logique du Modus Tollens (voir chapitre "Épistémologie"). On essaie d'y réfuter ou rejeter une hypothèse (appelée "hypothèse nulle") par l'observation d'une réalité empirique (les données recueillies) qui contredit cette hypothèse ou plutôt ses conséquences. Habituellement, on fait l'hypothèse que les traitements comparés ont la même efficacité, c'est-à-dire qu'il n'y a pas de différence entre les groupes traités pour le critère de jugement retenu. Selon le principe du Modus Tollens, l'observation d'une différence entre les groupes traités entraînerait le rejet de l'hypothèse nulle et donc la conclusion que les traitements ne sont pas identiques.

Toutefois, la conclusion dans une expérimentation thérapeutique est compliquée par le fait que seule une fraction, un "échantillon", et non toute la population cible est étudiée. Et de fait, selon l'échantillon qui sera étudié, les résultats obtenus différeront : ce sont les fluctuations "statistiques" d'échantillonnage. \*

En raison des fluctuations d'échantillonnage, il est nécessaire d'adopter une stratégie appropriée pour évaluer si les différences d'effets observées peuvent être expliquées par ces fluctuations, c'est-à-dire par le "hasard" seul ou s'il intervient un effet véritable des traitements. Cette stratégie s'appelle "un test statistique" :

La théorie des tests d'hypothèses, développée dans les années 1930 par Neyman et Pearson, régit depuis toute la statistique. Elle repose sur la confrontation de deux hypothèses antagonistes et complémentaires : une hypothèse dite "nulle" et notée  $H_0$ , et une hypothèse dite "alternative" et notée  $H_1$ . Celles-ci ont des rôles dissymétriques :  $H_0$  est précise, alors que  $H_1$ , l'hypothèse alternative, se déduit de  $H_0$  ("c'est tout" sauf  $H_0$ ).

Le premier temps du test est de traduire la question médicale en hypothèses mathématiques. Par exemple, on se demande si un nouvel antibiotique "B" est efficace et intéressant dans l'angine streptococcique. C'est une maladie dans laquelle il existe déjà des antibiotiques actifs, et il n'est pas question, pour des raisons éthiques évidentes, de proposer une comparaison contre un placebo. On comparera donc "B" avec l'antibiotique "A" de référence, ou plus exactement, on comparera la fréquence de guérison avec B avec celle obtenue avec A. On souhaiterait donc montrer que la fréquence de guérison avec B est plus élevée que celle obtenue avec A (fréquence que l'on ne connaît d'ailleurs pas précisément à l'avance car elle peut varier selon l'âge du malade, la pertinence du diagnostic...). Cette question se traduit par :  $H_0$  : le taux de guérison de l'angine avec l'antibiotique A est égal au taux de guérison de l'angine avec l'antibiotique B, et par  $H_1$  : les taux de guérison de l'angine avec l'antibiotique A et avec l'antibiotique B diffèrent (en particulier, plus élevé avec B).

Une fois ces hypothèses définies, on met en œuvre le Modus Tollens. On suppose que  $H_0$ , l'hypothèse la plus précise, est vraie, et on déduit ce que l'on doit observer. En admettant l'hypothèse nulle dans la population cible, on peut déduire, grâce aux lois statistiques, ce qu'on observera dans un échantillon issu de cette population. En particulier, on peut construire des "intervalles de pari" dans lesquels se trouveront la moyenne ou la fréquence calculée dans l'échantillon avec un niveau de probabilité connu et fixé. Ces intervalles de pari sont d'autant plus larges que la variabilité du phénomène mesuré est importante, que la taille de l'échantillon est faible et que le niveau de probabilité est élevé. Dans notre exemple, on pourra construire facilement un intervalle de pari pour la différence entre les deux fréquences de guérison, qui, si l'hypothèse nulle est vraie, vaudra 0 en moyenne (l'intervalle de pari sera symétrique autour de 0).

<sup>(6)</sup> On parle de "simple insu" quand seul le malade ignore quelle est la nature du traitement. On parle aussi de plus en plus de "triple insu", quand le statisticien qui analyse l'étude (ou le groupe pharmaceutique qui l'emploie) ne connaît pas la nature des traitements attribués (il ne connaît que "traitement A" ou "traitement B").

Le dernier temps du test est de comparer la moyenne ou la fréquence observée avec l'intervalle de pari : on rejettera l'hypothèse nulle si la moyenne ou la fréquence observée n'appartient pas à cet intervalle. Comme l'intervalle de pari a été construit avec un certain niveau de probabilité, il y aura nécessairement un risque d'erreur à rejeter à tort l'hypothèse nulle (dans notre exemple conclure que B diffère de A alors que ce n'est pas le cas) : ce risque s'appelle le risque de "première espèce" et se note conventionnellement  $\alpha$  (le niveau de probabilité de l'intervalle de pari est donc de  $1 - \alpha$ ).

Il faut noter que l'aptitude d'un test à rejeter l'hypothèse nulle alors qu'elle est fautive est limitée. Précisément, on appelle *puissance d'un test* la probabilité de rejeter l'hypothèse nulle alors qu'elle est fautive. La valeur complémentaire à 1 de cette puissance, c'est-à-dire la probabilité de ne pas rejeter l'hypothèse nulle alors que l'hypothèse alternative est vraie (dans notre exemple conclure que A et B ne sont pas différents alors qu'ils le sont), s'appelle le "risque de deuxième espèce" et se note conventionnellement  $\beta$ . Le calcul de la puissance d'un test est une opération complexe. Indiquons seulement que la puissance augmente avec la taille des échantillons sur lesquels a été mis en œuvre le test. Ceci implique que le nombre de sujets à étudier, le "nombre de sujets nécessaire" doit toujours être déterminé avec soin, pour assurer une puissance au test au moins supérieure à 80 %. Elle dépend aussi de  $H_1$ , c'est-à-dire de l'ordre de grandeur de la différence attendue entre les groupes comparés : plus les groupes sont proches, plus il faudra de sujets pour les différencier. Dans notre exemple, si on veut montrer que le taux de guérison de l'angine avec l'antibiotique B est supérieur de 20 % à celui de l'antibiotique A, connu pour être entre 60 et 70 %, il faudra 62 sujets par groupe ; si la différence attendue n'est que de 10 %, il faudra 231 sujets (pour une puissance identique de 80 % et un risque  $\alpha$  de 5 %).

Il est à aussi noter que les risques  $\alpha$  et  $\beta$  sont antagonistes : diminuer le risque  $\alpha$  conduit à augmenter la largeur de l'intervalle de pari, et donc les chances de ne pas rejeter  $H_0$ , même quand elle est fautive. L'option de Neyman et Pearson a été assez logiquement privilégiée : un faible risque  $\alpha$  (quand on a fait une hypothèse, on ne veut pas la rejeter facilement) ; la valeur de 5 % toujours retenue pour ce risque résulte d'un compromis entre le risque de rejeter à tort une hypothèse privilégiée et la possibilité de la rejeter si elle est doit l'être, compromis adopté par l'ensemble de la communauté scientifique. Elle est déterminée a priori, indépendamment des données recueillies. Mais on peut déterminer, a posteriori dans l'échantillon étudié, la valeur de la probabilité de rejeter l'hypothèse nulle si celle-ci est vraie : c'est le degré de signification ou "p". Bien sûr, plus p est faible, plus confortable est le rejet de l'hypothèse nulle.

De nombreux raffinements ont été apportés aux méthodes d'évaluation des thérapeutiques avec des plans expérimentaux complexes ou sophistiqués, susceptibles de mettre en évidence des différences souvent minimes<sup>(7)</sup>. Ils sont intéressants pour départager ou non des thérapeutiques d'efficacité voisine. Mais ils traduisent aussi une certaine carence créative en matière de conception et de mise au point de traitements performants, qui rendraient superflus de tels raffinements.

#### • Choix de la population étudiée et généralisabilité de l'essai

Un aspect très important de l'essai, préliminaire dans sa réalisation mais qui assurera ultérieurement la généralisabilité des résultats, est le choix des sujets étudiés. Il faut d'abord que la maladie dont sont atteints les sujets soit correctement diagnostiquée et corresponde à une entité nosologique précise. Il faut ensuite que les sujets soient aussi "représentatifs" que possible de la population "cible" des malades auxquels le traitement est destiné. On observe souvent des essais réalisés avec des sujets indemnes de toute pathologie associée, sans insuffisance rénale, hépatique, etc. Les vieillards sont habituellement exclus, et souvent aussi les femmes en âge de procréer, les enfants... pour des raisons qu'on peut bien sûr comprendre, mais qui pénalisent finalement l'utilisation ultérieure du médicament. Car bien-sûr, les résultats de l'essai ne seront applicables avec une extrapolation acceptable qu'aux sujets similaires à ceux étudiés (l'extrapolation sera beaucoup plus incertaine pour les autres).

#### • Les effets secondaires des thérapeutiques

Ce que nous avons dit plus haut sur l'effet nocebo explique que l'essai randomisé réalisé en double ou triple aveugle est la meilleure source d'information concernant les effets secondaires des traitements, et l'imputabilité causale de l'effet secondaire. Celle-ci se fait sur les mêmes principes que l'efficacité : comparabilité parfaite et test statistique.

Pour donner l'autorisation de commercialisation, les agences de régulation des médicaments se contentent souvent des données de tolérance issues des études de phases 2 et 3 qui portent, sauf exception, au maximum sur quelques centaines de sujets. Il arrive donc que les effectifs utilisés dans les essais puissent être insuffisants pour la mise en évidence d'effets secondaires de fréquence faible (de 1/1000 à 1/1 000 000). Ce sont alors les systèmes de "pharmacovigilance", plus ou moins efficaces selon les pays, qui détectent ces effets secondaires. Des enquêtes épidémiologiques doivent souvent être conduites pour apporter des éléments de preuve

<sup>(7)</sup> Dans certains cas, on est d'ailleurs amené à rechercher l'équivalence d'un nouveau produit avec un traitement existant, par exemple : une chimiothérapie moins lourde, mais aussi efficace, une nouvelle formulation galénique... Dans ce cas, une méthodologie statistique spécifique, l'essai d'équivalence, doit être mise en œuvre.

sur la responsabilité du médicament dans l'effet secondaire ou l'anomalie suspectée. Mais, chez un sujet donné, l'imputabilité au médicament de l'effet secondaire (c'est-à-dire l'attribution causale) se fera toujours par un jugement basé sur un "faisceau d'arguments" (voir le chapitre "Épistémologie médicale").

• *Problèmes éthiques posés par les essais thérapeutiques*

L'expérimentation sur l'homme est devenue incontournable pour faire progresser les connaissances thérapeutiques. Mais elle pose des problèmes d'éthique très délicats puisqu'il faut, à la fois, d'une part se préoccuper de démontrer et quantifier la réalité des effets positifs (et permettre ainsi la réalisation des progrès thérapeutiques pour offrir aux patients les soins de la meilleure qualité possible) et, d'autre part assurer aux personnes qu'on se propose de soumettre à l'essai les protections éthiques à savoir : le respect de leur dignité et de leur volonté ou non de participation. Cela est réalisé en les informant sur l'expérimentation à laquelle elles seront soumises et en obtenant leur consentement. En France, tous les essais nécessitent le consentement éclairé des patients qui s'y soumettent (Loi dite "Huriet-Serusclet"). Cela fera l'objet d'un développement particulier au chapitre "Éthique".

• *Existe-t-il d'autres méthodes de validation que l'essai comparatif ?*

Est-il toujours nécessaire de recourir à la méthodologie très lourde de l'essai comparatif pour affirmer l'efficacité d'un médicament ? La réponse est positive dans tous les cas sauf dans le cas d'affections dont la probabilité de guérison spontanée est nulle (l'évolution naturelle est constamment défavorable et l'effet placebo inopérant). Ou si l'on veut s'exprimer dans le langage des probabilités, on dira que le risque  $\alpha$  (risque de conclure à une différence qui n'existerait pas) est nul. Dans ces cas, dès lors qu'une seule guérison est dûment constatée, elle démontre l'efficacité du traitement appliqué. Mais cette situation est devenue rarissime aujourd'hui, alors qu'il a suffi d'un patient atteint de méningite tuberculeuse guéri par streptomycine et d'un patient atteint de maladie d'Osler guéri par pénicilline pour affirmer l'efficacité de ces produits.

De même une affection bénéficiant d'une connaissance parfaite de sa physiopathologie se passe assez facilement de confirmation par essais contrôlés randomisés de l'efficacité d'un traitement. Les exemples les plus flagrants sont les maladies de carence vitaminique ou de troubles nutritionnels ou endocriniens élémentaires. Leur thérapeutique, substitutive la plupart du temps, avait d'ailleurs été mise au point bien avant que la conception des essais contrôlés ait été réalisée. L'huile de foie de morue, l'exposition solaire, et enfin la vitaminothérapie D ont eu raison du rachitisme et de l'ostéomalacie carentielle sans que l'on ait eu à démontrer leur efficacité par le moindre essai contrôlé. Dans des affections de ce genre, comme dans certains déficits de sécrétion endocrinienne (après destruction ou excrèse de la glande sécrétante, par exemple), le problème n'est pas de démontrer l'efficacité du traitement logique proposé mais de savoir comment l'adapter au mieux à la condition du malade.

Un essai contrôlé randomisé ne se justifie que si l'on doute de l'efficacité d'une thérapeutique ou si l'évaluation d'un traitement déjà adopté mais insuffisamment validé paraît devoir être menée. Si on est certain<sup>(8)</sup> de la supériorité d'un traitement, il serait contraire à l'éthique de soumettre le groupe alternatif à un placebo ou à un traitement moins efficace.

## Les traitements non médicamenteux

Le principe des essais dans les traitements non médicamenteux est identique à celui des autres essais, mais leur réalisation peut poser des problèmes particuliers. Comme nous l'avons dit plus haut, il est nécessaire, pour assurer un jugement parfaitement objectif, de recourir à la méthode d'administration du traitement dite en double insu. Cette manœuvre a pour but de mettre à l'abri le médecin et le malade de la tentation, plus ou moins consciente, de faire prévaloir une opinion "a priori" en donnant des réponses orientées. Certaines thérapeutiques comme la chirurgie ou l'utilisation de procédés physiques sont difficiles à simuler, surtout s'ils s'accompagnent de perceptions somatiques lors de leur application.

*Les méthodes chirurgicales*

La méthodologie utilisable pour effectuer un jugement de la valeur des méthodes chirurgicales proposées relève en théorie des mêmes principes que pour les autres chapitres de la biopathologie. Les objectifs des essais

<sup>(8)</sup> Il faut bien entendu que cette certitude soit scientifiquement construite et partagée par toute la communauté médicale. L'histoire de la médecine apprend que nombre de traitements aujourd'hui bien oubliés ont eu une efficacité déclarée "certaine" par leurs promoteurs...

en chirurgie sont donc identiques à ceux des essais thérapeutiques médicamenteux. Cependant, ils posent des problèmes spécifiques.

Tout d'abord, il peut sembler impossible de proposer une intervention "placebo" pour démontrer l'efficacité d'une méthode chirurgicale. Cependant des articles récents envisagent encore cette possibilité et l'existence d'une controverse indique bien que la preuve scientifique de l'utilité et/ou du bien-fondé des méthodes chirurgicales est nécessaire (voir plus haut).

Mais des problèmes particuliers tiennent aussi à ce que l'intervention n'est pas un "produit strictement reproductible" et qu'elle est "opérateur-dépendante". Les courbes d'apprentissage montrent qu'il faut un certain nombre d'interventions avant que l'opérateur arrive à atteindre son optimum d'habileté. Donc, chez le même opérateur, il existe des variations de qualité de la manœuvre thérapeutique à tester. Que dire ensuite des différences entre les chirurgiens ? Ceci pose le problème de savoir ce que l'on compare véritablement : des méthodes ou des opérateurs ?

Actuellement, les méthodes opératoires nouvelles sont de plus en plus soumises à une évaluation scientifique de leur efficacité par comparaison aux anciennes méthodes. Mais il est à déplorer que beaucoup de recherches chirurgicales restent encore basées sur des travaux sans comparaison avec une méthode de référence, voire sur des travaux rétrospectifs. Certaines méthodes chirurgicales anciennes mériteraient probablement aussi une réévaluation. L'existence d'une controverse, pour certaines d'entre elles, montre bien que leur évaluation en a été insuffisante. D'autres sont parfois inspirées d'hypothèses causales ou physiopathologiques n'ayant pas reçu une confirmation satisfaisante.

*Les traitements physiques*

Comme les méthodes chirurgicales, les traitements physiques sont difficiles à évaluer en double insu, mais la même exigence est nécessaire pour la conception et la conduite des essais. Il faut rejeter les expérimentations menées avec une rigueur insuffisante de manière à éviter de se retrouver devant des réponses contradictoires et entretenant la controverse. Il est aussi recommandable de définir le seuil d'utilité de certains problèmes pour ne pas se disperser dans des expérimentations futiles.

*Le cas des traitements en psychiatrie*

Les principes généraux de biopathologie habituellement admis sont mal appropriés à la situation conceptuelle particulière de la pathologie psychiatrique qui est spécifiquement humaine (voir aussi les chapitres "Épistémologie" et "Nosologie"). On peut cependant admettre, sans contradictions conceptuelles et logiques majeures, que les problèmes se posent, en pratique, de façon différente suivant qu'il s'agit de médicaments, de psychothérapies ou d'autres méthodes.

Dans le cas de médicaments psychotropes, la conception des traitements peut résulter de l'utilisation fructueuse d'observations empiriques ou être le fruit de recherches systématiques. Les modificateurs du comportement humain sont connus de très longue date : les effets des boissons fermentées et du pavot ont été parmi les plus claires démonstrations de l'effet de substances chimiques sur le fonctionnement mental. Les médicaments psychotropes sont maintenant très nombreux et leur mise au point fait appel à la psycho-pharmacologie. Leur méthodologie d'évaluation diffère peu de celle mise en œuvre dans les autres essais médicamenteux.

La sismothérapie ou différentes autres méthodes "de choc" ont pu être évaluées par des essais contrôlés. Dans le cas de psychothérapies, qu'il s'agisse de psychothérapies communes, de psychanalyses ou de thérapies comportementales, les évaluations scientifiques manquent souvent et, de ce fait, les opinions et les prises de position revêtent un caractère passionnel.

## Le contexte de la validation scientifique des thérapeutiques

*Les traitements innovants*

Il paraîtrait normal, compte tenu de ce qui est développé ci-dessus et qui a l'accord de la communauté scientifique internationale, que tout traitement innovant devrait faire l'objet d'une évaluation rigoureuse de ses qualités avant d'être accepté par cette même communauté et être mis à la disposition des praticiens et des patients. Il faut reconnaître que ce n'est pas toujours le cas. Les comités de lecture des revues qui publient ces travaux n'ont pas tous les mêmes standards d'appréciation. Des pressions peuvent s'exercer de la part de certains groupes. Il faut espérer que l'avenir apportera une amélioration de l'état courant et que les erreurs ainsi que les fraudes seront éradiquées.

Une course au sensationnel fait que bien trop souvent des traitements, et même des espoirs de traitement, sont annoncés prématurément par l'entremise des médias. Il est certes légitime d'informer le public, c'est-à-dire les patients potentiels ou réels, des possibilités thérapeutiques innovantes, ce qui peut leur permettre de prendre ainsi contact avec les professionnels à même de les en faire bénéficier. Les associations de malades devraient veiller à cela en prenant toutes les précautions pour ne diffuser que des nouvelles sérieuses.

Les traitements innovants ne devraient être proposés qu'après que la preuve convenable de leurs qualités a été apportée. Le contrôle a priori devrait ne plus supporter d'exception et la preuve de validité avant leur mise à la disposition du public médical et leur utilisation devrait donc devenir la règle. Il est alors entendu que la contrepartie doit être la mise en place de moyens de recherche satisfaisants et d'un système de jugement irréprochable en ce qui concerne la valeur scientifique des publications.

#### L'évaluation des traitements existants

Beaucoup de traitements actuellement pratiqués ont été élaborés avant que n'aient été mises en place les procédures scientifiques rigoureuses d'évaluation qui ont cours actuellement. Que faut-il en penser et que faut-il en faire ?

Il est certain que certains d'entre eux avaient pu démontrer leur efficacité sans qu'on ait eu recours à des essais contrôlés. La prévention et le traitement du scorbut par l'alimentation comportant des fruits avait été un succès et bien des marins de la marine à voile sont redevables de cette thérapeutique préventive et curative. De même bien des infirmités et même des vies (car à l'époque le rachitisme était répandu et pouvait mettre en danger les vies) ont été améliorées par l'administration d'huile de foie de morue. Il s'est ensuite révélé que les principes actifs étaient respectivement les vitamines C et D. Il n'en reste pas moins que la thérapeutique a parfois précédé l'explication physiopathologique, comme d'ailleurs pour le béribéri et la vitamine B1.

Mais il faut être prudent dans les jugements sur les "anciens" traitements qui peuvent tout aussi bien être des thérapeutiques valables que des leurres. On comprend donc que leur évaluation a posteriori soit devenue indispensable si on veut assurer une cohérence de la pensée scientifique médicale actuelle.

## ORGANISATION DES CONNAISSANCES SUR LES MÉTHODES THÉRAPEUTIQUES

### Analyse critique des évaluations de traitements et niveau de validité des preuves

Nous avons longuement insisté sur la nécessité des essais thérapeutiques comparatifs pour démontrer le rapport de causalité entre l'application d'une thérapeutique et le résultat obtenu. Seul un essai comparatif bien conduit permet une évaluation de la validité du traitement<sup>(9)</sup>. Pour cela, il doit respecter un certain nombre de critères méthodologiques que l'on rappelle :

- une population étudiée bien caractérisée sur le plan pathologique mais peu sélectionnée sur le plan démographique ;
- une randomisation correcte ;
- le jugement de l'efficacité en double ou triple insu ;
- un faible nombre des perdus de vue et les moyens pour pallier cette possibilité ;
- un calcul préalable du nombre de sujets nécessaires pour assurer une puissance statistique suffisante ;
- ...et bien d'autres précautions qui sont détaillées dans les ouvrages de méthodologie des essais thérapeutiques qu'il est recommandé de consulter.

Le respect des critères méthodologiques est un élément fondamental de jugement de la qualité des procédures d'évaluation des thérapeutiques employées. Mais il se peut que ces procédures n'aient été appliquées qu'à des problèmes mal posés. Il n'est pas exceptionnel de voir des essais utiliser des indicateurs ou des critères subrogés, dont la pertinence n'a pas été démontrée dans l'affection étudiée. Ces erreurs conceptuelles peuvent amener des errements aussi redoutables que ceux auxquels donnaient lieu les affirmations sans preuves qui avaient cours avant l'introduction des essais contrôlés. Ils ne sont détectables que par une étude minutieuse aussi bien des concepts que des méthodes alors qu'on a tendance à privilégier ces dernières. En d'autres termes, il faut que les essais soient satisfaisants aussi bien sur le plan conceptuel que sur le plan de la méthodologie.

<sup>(9)</sup> Les "niveaux de preuve" ou plus exactement les niveaux de fiabilité et de généralisabilité des études de recherche clinique pour l'application de leurs résultats en pratique seront rediscutés dans le chapitre consacré à l'"Evidence-based medicine".

Un traitement est scientifiquement validé lorsque les critères méthodologiques et conceptuels envisagés ci-dessus sont remplis. On peut distinguer schématiquement trois situations :

- **Les traitements valides** utilisent une ou des méthodes de traitement caractérisée(s) par une base physiopathologique rationnelle ; ils ont, en outre, fait l'objet d'essais thérapeutiques faisant apparaître leur validité et un bilan satisfaisant entre leur efficacité thérapeutique (congruente avec la situation pathologique) et leurs effets secondaires. Ils sont ainsi efficaces au prix d'inconvénients mineurs et tolérables.
- **Les traitements invalides** ne remplissent pas ou très mal les conditions qui caractérisent les traitements valides et qui, en outre, n'ont pas fait l'objet d'essais conceptuellement et méthodologiquement satisfaisants ou qui ont fait l'objet de résultats infirmant toute efficacité thérapeutique adaptée aux affections qu'ils sont censés traiter.
- **Les traitements incertains** reposent sur des méthodes qui n'ont pas une base physiopathologique rationnelle et logique ou qui n'en ont aucune (base empirique) et qui, en outre, n'ont pas fait l'objet d'essais (ou ceux-ci ont apporté des résultats contradictoires).

### La signification clinique de l'efficacité d'une méthode thérapeutique, le "nombre nécessaire à traiter"

Quelle est la signification clinique de l'effet produit par un traitement ? Quand un traitement a été scientifiquement validé, il est important d'avoir une quantification de son efficacité, absolue, en termes de pourcentages de guérison (ou de rémission, d'amélioration...) obtenue, ou relative, par rapport à d'autres traitements du même type ou même d'un autre type. Divers index ont été proposés à cette fin, dont le plus connu est probablement le "nombre nécessaire à traiter" (traduction de "Number needed to treat"). Cet index NNT est simplement calculé comme  $1/(P_c - P_t)$  où  $P_t$  et  $P_c$  sont les fréquences des événements à prévenir (la mort, une complication, la poursuite de la maladie...) chez les sujets traités et contrôles, respectivement. Il exprime le nombre de sujets qu'il faudra traiter pour éviter un événement ou guérir un sujet avec le traitement. Idéalement la valeur est 1 (quand le placebo n'est suivi d'aucun effet, et le traitement entraîne 100% de guérisons). Cet index a été surtout utilisé pour caractériser l'effet de traitements sur des facteurs de risque (hypercholestérolémie, hypertension, voir chapitre "Élaboration et validation des connaissances en matière de dépistage et prévention") mais il est également utilisable pour des pathologies avérées dans lesquels le traitement veut prévenir une aggravation, une progression...

### Les tentatives pour pallier les défauts des études insuffisamment probantes

Malgré les multiples travaux qui ont eu lieu ces dernières décennies, les lacunes des connaissances en matière de thérapeutique restent grandes. Bien des traitements restent à découvrir. Enfin, beaucoup de procédures thérapeutiques ne sont pas scientifiquement validées et sont controversées. Pour pallier, provisoirement, cette carence d'information, deux solutions ont été proposées : les *méta-analyses* et les revues systématiques, d'une part, et les conférences dites de *consensus*, d'autre part.

Les *méta-analyses* et les *revues systématiques* s'intègrent dans une démarche qui consiste à rechercher dans la littérature médicale les données parcellaires sur un sujet et à les regrouper pour tenter d'en faire naître une amélioration des connaissances (voir le chapitre consacré à l'"Evidence-based medicine"). Comme il est rare que les études colligées soient homogènes en termes de méthodologie et comme, d'autre part, le niveau scientifique des publications rassemblées est en général disparate, beaucoup de ces méta-analyses n'apportent guère que des conclusions sur la nécessité de reprendre les démonstrations.

Les *conférences de consensus* s'adressent en théorie à tous les problèmes où il existe une controverse (et des divergences de pratique) afin de tenter de la résoudre. Le principe des conférences de consensus est de faire appel à un certain nombre d'experts, en principe présumés représentatifs, et de personnalités "juges", en principe impartiaux, pour tenter de faire apparaître une conclusion raisonnable à partir des données de la littérature médicale et des opinions exprimées pendant sa tenue. Elle procède donc très différemment de la méthode scientifique qui a pour objectif la démonstration d'une hypothèse par le recueil et l'analyse de faits avec une méthode soumise à la critique et à l'accord de la communauté scientifique, de manière à être généralisable. La présence dans ces conférences de membres n'appartenant pas à la communauté scientifique, si elle assure un certain respect de considérations éthiques, n'est pas faite pour renforcer la validité des conclusions scientifiques.

## L'expression des connaissances thérapeutiques

De ce qui précède, on pressent que l'expression des connaissances thérapeutiques pose d'importants problèmes, d'autant que les risques de confusion sont très nombreux.

L'information thérapeutique relève de plusieurs sources plus ou moins cohérentes et validées. Il est certain que l'information idéale devrait provenir d'un organisme inventoriant les données valides de la science médicale et les mettant, en outre, continuellement à jour. Cela permettrait ainsi de disposer à chaque instant de la base de connaissances qui serait enseignée au cours des études médicales initiales et de la formation continue. Cependant, cette situation idéale est loin d'être réalisée. Seule l'interrogation par les moyens électroniques des bases de données internationales permet, pour l'instant, à ceux qui sont familiers avec ces méthodes, de pouvoir prendre connaissance des informations stockées dans une base de données relativement aisément accessible (la consultation de Medline est une possibilité actuelle commode depuis la généralisation d'Internet). Mais outre que les résultats sont parcellaires, que l'obtention des articles complets n'est pas toujours facile (et bon marché !) et qu'il faut ensuite en faire la critique et la synthèse (voir le chapitre consacré à l'"Evidence-based medicine"), cette interrogation ne remplace pas une mise au point structurée comme on peut en trouver dans un bon ouvrage récent de thérapeutique et des articles de mise à jour de bonne qualité.

D'autres procédés de diffusion et de mise à jour des connaissances sont utilisés. Leur variété empêche toute tentative d'inventaire. Parmi tous ces procédés, il est difficile de ne pas évoquer toutefois deux variétés importantes : celle des sociétés savantes et celle organisée par les firmes pharmaceutiques. Chaque spécialité médicale ou discipline a ses réunions de sociétés savantes, ses besoins spécifiques et ses préférences. La "formation" que délivrent les visiteurs médicaux et les "enseignements" organisés par les firmes pharmaceutiques représentent une part importante de l'information thérapeutique que reçoit le praticien. Son principe et ses motivations font l'objet de critiques et même d'une certaine polémique. Elle pose un problème qui devra être résolu dans les années à venir. En attendant, les articles originaux ayant la garantie d'une revue à bon comité de lecture, et parfois les revues systématiques et les méta-analyses peuvent servir de référence pour le processus de contrôle de la qualité des connaissances thérapeutiques qu'on a recherchées ou dont on vient d'être informé.

### POUR EN SAVOIR PLUS

- BEECHER HK. The powerful placebo. JAMA 1955 ; 159 : 1602-1606
- BENEDETTI F, ARDUINO C, AMANZIO M. Somatotopic activation of opioid systems by target-directed expectations of analgesia. J Neurosci 1999 ; 19 : 3639-48.

#### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Les méthodes thérapeutiques ont fait de grands progrès grâce à de meilleures connaissances des causes et de la physiopathologie des maladies.
- La méthodologie des recherches dans le domaine thérapeutique est dominée par deux notions fondamentales : l'évolution naturelle des maladies et l'effet placebo que tout le processus de développement et d'évaluation des traitements doit neutraliser.
- L'administration d'une substance "placebo" (en latin "je pleurerai") est suivie d'une amélioration des signes fonctionnels dans 1/3 des cas environ. C'est le résultat de ce qu'on situe, corde à désigner sous le nom d'effet placebo.
- L'effet placebo est à première vue irrationnel et incompréhensible, mais s'éclaire quand on admet que son résultat est obtenu par l'intermédiaire d'un conditionnement de l'administration de la manœuvre "placebo". Ce conditionnement est composé de plusieurs facteurs, dont les principaux sont : les facteurs socioculturels ambiants, la puissance de suggestion des conditions d'administration du produit et/ou du prescripteur, la suggestibilité et l'état de réceptivité du patient, l'environnement plus ou moins "facilitateur".
- L'effet placebo "parasite" aussi l'effet des médicaments actifs, il est nécessaire de l'éliminer dans les essais comparatifs en allouant à un groupe un traitement ne comportant qu'un placebo.
- La validité des méthodes thérapeutiques est appréciée soit grâce aux essais thérapeutiques, soit par un jugement unanime et non controversé de la communauté médicale. Il s'agit dans ce dernier cas (très rare) de situations très simples où les risques de conclure à une différence qui n'existe pas ou de ne pas percevoir une différence alors qu'il en existe une sont nuls.
- Seuls les essais thérapeutiques réalisés avec une méthodologie rigoureuse : randomisés, en double ou triple aveugle, aux effectifs suffisants calculés préalablement, et analysés en intention de traiter, peuvent démontrer le rapport de causalité entre l'application d'une thérapeutique et le résultat obtenu. Tous ces essais nécessitent le consentement éclairé des patients qui s'y soumettent.
- Les essais thérapeutiques sur les médicaments ont atteint un niveau d'exécution assez satisfaisant. L'évaluation de l'efficacité de méthodes non médicamenteuses (traitements chirurgicaux, physiques, psychothérapeutiques etc.) est en revanche rudimentaire.
- Les traitements anciens méritent aussi une évaluation de leur utilité et des précisions sur leur innocuité. Leur réévaluation est nécessaire quand ils s'avèrent, et c'est assez souvent le cas, être discutables.

- COBB LA, THOMAS GI, DILLARD DH, MERENDINO KA, BRUCE RA. An evaluation of internal mammary-artery ligation by a double-blind technique. N Engl J Med 1959 ; 260 : 1115-18.
- CHATELLIER G, ZAPLETAL E, LEMAITRE D, MENARD J, DEGOULET P. The number needed to treat: a clinically useful nomogram in its proper context. BMJ. 1996 ; 312 : 426-9.
- ERNST E, HERXHEIMER A. The power of placebo. BMJ 1996 ; 313 : 1569-70.
- FREEMAN TB, VAWTER DE, LAEVERTON PE, GODBOLD JH, HAUSER RA, GOETZ CG, OLANOW CW. Use of placebo surgery in controlled trials of a cellular-based therapy for Parkinson's disease. N Engl J Med. 1999 ; 341 : 988-992.
- GRACELY RH, DUBNER R, WOLSKEE PJ, DEETER WR. Placebo and naloxone can alter post-surgical pain by separate mechanisms. Nature 1983 ; 306 : 264-5.
- HERVÉ C, MOUTEL G, MENINGAUD JP, WOLF M, LOPES M. Controverses à propos de la chirurgie placebo de l'intérêt de lois et d'instances de débat éthique. Presse Med. 2000 ; 29 : 1180-3.
- KASSIRER JP, KOPELMAN RI. Learning Clinical Reasoning. Baltimore, Williams & Wilkins, 1991.
- LAPLANCHE A, COM-NOUGUÉ C, FLAMANT R. Méthodes statistiques appliquées à la recherche clinique. Paris, Flammarion Médecine Sciences, 1987.
- MACKLIN R. The ethical problem with sham surgery in clinical research. N Engl J Med 1999 ; 341 : 992-5.
- MATILLON NY, DURIEUX P. L'évaluation Médicale. Du Concept à la Pratique. Paris, Flammarion, 1994.
- PRICE DD, MILLING LS, KIRSCH I, DUFF A, MONTGOMERY GH, NICHOLLS SS. An analysis of factors that contribute to the magnitude of placebo analgesia in an experimental paradigm. Pain 1999 ; 83 : 147-156
- TER RIET G, DE CRAEN AJ, DE BOER A, KESSELS AG. Is placebo analgesia mediated by endogenous opioids ? A systematic review. Pain 1998 ; 76 : 273-275
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2ème édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- SCHWARTZ D, FLAMANT R, LELLOUCH J. L'essai thérapeutique chez l'homme. Paris, Flammarion Médecine Sciences, 1984.
- TURNER JA, DEYO RA, LOESER JD, VON KORFF M, FORDYCE WE. The importance of placebo effects in pain treatment and research. JAMA 1994 ; 271 : 1609-14.

# Chapitre 8

## L'ÉLABORATION ET LA VALIDATION DES MESURES DE PRÉVENTION ET DE DÉPISTAGE

### INTRODUCTION

La médecine préventive a pour objet de conserver la santé des sujets bien portants. Elle est de pratique très ancienne, et a connu des développements conceptuels majeurs dès la Grèce classique. Les nombreux traités hippocratiques sur l'"hygiène" ("hygiène" est un terme dérivé du grec *hugieion* qui signifie "santé") et le "régime de vie" ont été suivis et enrichis au cours des siècles de l'Antiquité, du Moyen Âge et de l'Époque moderne. Ils concernaient des notions très diverses comme l'alimentation, les exercices, le sommeil, la sexualité, les "passions" de l'esprit... Cette conception de l'hygiène a été rejetée au cours du XIX<sup>e</sup> siècle, à la suite de l'abandon de l'ancienne physiologie des humeurs, pour devenir plus ou moins synonyme de "propreté" quand la médecine a engagé la lutte contre les "miasmes", puis contre les microbes quand leur rôle a été découvert. C'est cette dernière signification que le mot "hygiène" garde souvent aujourd'hui encore : prévenir les maladies infectieuses.

La "prévention" a progressivement repris ses anciennes attributions (et aussi une partie de ses "lettres de noblesse") dans la médecine du XX<sup>e</sup> siècle à la suite de la découverte des déterminants étiologiques alimentaires et comportementaux de certaines maladies non infectieuses (tabagisme et cancer, nutrition, sédentarité et maladies cardio-vasculaires, etc.).

Ces découvertes ont encouragé le développement d'une discipline scientifique : l'épidémiologie, et d'un champ d'activité médicale : la santé publique où une approche globale, "communautaire", de la santé des populations et de la prévention des maladies a été privilégiée. L'action préventive *individuelle* du médecin praticien avec ses patients n'en a pas moins disparu, et au contraire tend à devenir plus importante et surtout moins routinière (comme peuvent l'être les actes de vaccination, la prise de la pression artérielle...). Les réflexions prospectives en cours sur la médecine des prochaines décennies insistent sur le rôle préventif du praticien, notamment du médecin généraliste (voir chapitre "Raisonnement appliqué à la prévention et au dépistage").

Parallèlement, l'intérêt d'une prise en charge précoce de certaines maladies, comme les cancers, a amené la médecine à vouloir reconnaître ces maladies avant même qu'elles ne soient remarquées par le sujet, c'est-à-dire avant qu'elles soient symptomatiques. Ici encore, le rôle du praticien est central dans la mise en œuvre des procédures qui sont actuellement développées (et le seront plus encore dans les décennies à venir) pour dépister tôt les maladies.

En raison de cette évolution prévisible de la médecine au début du XXI<sup>e</sup> siècle, il est nécessaire de maîtriser parfaitement les notions en rapport avec ces concepts de prévention et de dépistage des maladies.

La terminologie actuelle considère trois types de prévention :

- 1) **la prévention primaire**, qui vise à éviter la survenue de la maladie ;
- 2) **la prévention secondaire**, ou **dépistage**, qui vise à reconnaître une maladie plus tôt dans l'histoire naturelle, avant que cette maladie soit symptomatique ;
- 3) **la prévention tertiaire**, qui vise à réduire les conséquences d'une maladie déjà déclarée : il regroupe la rééducation, la réadaptation, la prise en charge du handicap...

Seuls les deux premiers types de prévention (prévention primaire et dépistage) seront envisagés dans ce chapitre (le troisième est envisagé dans le chapitre "Raisonnement appliqué à la thérapeutique").

Il existe beaucoup de similitudes dans la conception et la validation des méthodes de prévention primaire et de dépistage. Il faut aussi remarquer que la frontière entre les deux peut parfois être floue, dans des affections à physiopathologie imprécise ou mal connue (c'est le cas de certaines maladies cardio-vasculaires où des facteurs comme l'hypertension ou l'hypercholestérolémie sont considérés tour à tour comme des facteurs de risque d'accidents coronariens ou comme des signes précoces d'une maladie "athéromateuse" qui s'exprimera plus tard par des complications ischémiques...)

Nous développerons d'abord la conception et la validation des mesures préventives puis nous envisagerons, plus rapidement, les aspects plus spécifiques au dépistage, en particulier les critères de choix des maladies à dépister, et les propriétés nécessaires des examens de dépistage.

## ÉLABORATION DES CONNAISSANCES POUR LA PRÉVENTION PRIMAIRE DES MALADIES

L'idée de la prévention primaire est simple et ancienne : faire disparaître la possibilité d'une maladie en en supprimant la ou les causes. Certaines mesures très anciennes d'isolement des malades dans les maladies contagieuses reposaient sur les constatations empiriques assez fondées du non-développement de l'épidémie dans une population qui a été préservée du contact des sujets malades.

Au XVIII<sup>e</sup> siècle, l'intérêt de la "variolisation", c'est-à-dire de l'inoculation, aux enfants, de la variole, puis de la vaccination mise au point par Jenner après la découverte de la vaccine (maladie de la vache se transmettant à l'homme et protégeant contre la variole), a été également mise en évidence à la suite d'observations perspicaces, et ce bien avant que l'isolement des microbes et la mise en évidence du rôle pathogène de certains d'entre eux n'aient ouvert la voie des programmes de "vaccination" à grande échelle.

La conceptualisation a été moins simple pour les maladies ne relevant pas d'une origine infectieuse évidente : les cancers, les maladies dégénératives et du vieillissement... qui sont habituellement multifactorielles. Un champ de recherche a été développé qui a élaboré un ensemble de méthodologies pour identifier les déterminants des maladies, et ensuite démontrer l'utilité de leur élimination, c'est-à-dire valider les mesures préventives : c'est l'épidémiologie.

L'épidémiologie est l'étude de la distribution des maladies et de ses déterminants chez l'homme. Elle comprend schématiquement quatre parties : l'épidémiologie descriptive, qui traite de la distribution des maladies (fréquence, évolutions dans le temps et dans l'espace), l'épidémiologie analytique, qui traite des déterminants étiologiques des maladies, l'épidémiologie évaluative, qui traite de la validation des mesures de prévention des maladies, et enfin, l'épidémiologie clinique, qui s'intéresse à la dimension clinique et médicale des maladies (diagnostic, pronostic, thérapeutique).

## Élaboration des connaissances sur les déterminants étiologiques des maladies

### L'établissement des facteurs de risque et la discussion de la causalité

L'épidémiologie analytique a pour objectif de mettre en évidence les déterminants étiologiques des maladies. Elle cherche d'abord à établir l'existence d'une relation statistique entre le déterminant suspecté et la maladie, puis à apporter des arguments en faveur de la causalité.

La première étape est d'établir une liaison statistique entre le facteur ("facteur de risque") étudié et la maladie. Un facteur de risque est une caractéristique du sujet, qui est liée statistiquement à un excès de risque (ou probabilité accrue) de la maladie (voir le chapitre "Épistémologie"). Il peut être mis en évidence dans deux types d'étude :

- les études "cas-témoins" dans lesquelles on recherche la présence du facteur chez les malades, que l'on compare ensuite avec celle trouvée chez des sujets "témoins" indemnes de maladies : le facteur de risque doit être plus fréquent chez les malades que chez les témoins ;
- les études de cohorte et, parmi elles, les enquêtes "exposés, non-exposés" : la maladie doit survenir plus fréquemment chez les exposés au facteur de risque, que chez les non-exposés.

La liaison entre le facteur de risque et la maladie est évaluée par un test statistique (voir chapitre "Élaboration des connaissances thérapeutiques") mais surtout quantifiée par le risque relatif (dans les études de cohorte) ou par l'odds ratio (dans les études cas-témoins), qui représentent le nombre par lequel il faut multiplier la

probabilité de développer la maladie en cas d'exposition au facteur. \*

Les études épidémiologiques peuvent aussi apporter des arguments pour ou contre la causalité. Les critères 1 à 5 de Bradford Hill (voir chapitre "Épistémologie") sont en effet de nature épidémiologique : force de la liaison (critère 1), résultats cohérents d'un sous-groupe de sujets à l'autre (critère 2), résultats cohérents d'une étude à l'autre (critère 3), relation dose-effet (critère 4), absence d'ambiguïté temporelle (critère 5).

L'épidémiologie analytique a essentiellement recours à des études d'observation. En effet, l'expérimentation est impossible ou rarissime en matière de facteurs de risque : l'éthique de nos sociétés occidentales contemporaines ne permet pas (heureusement) de faire exposer volontairement des sujets, dans certains cas pendant des années. De ce fait, les investigations épidémiologiques, comme toutes les études d'observation, comportent une susceptibilité particulière aux erreurs systématiques ou *biais*<sup>(2)</sup> qui peuvent en altérer plus ou moins profondément les résultats.

En raison de la sévérité des critères de causalité de Hill, relativement peu de facteurs sont reconnus pour être causaux dans une maladie donnée. Citons néanmoins, par exemple, le tabac pour plusieurs cancers (poumon, pharynx, vessie), l'amiante pour le cancer de la plèvre, la salpingite pour la grossesse extra-utérine, les radiations ionisantes pour le cancer de la thyroïde, l'hypertension artérielle pour la mortalité d'origine cardio-vasculaire...

Bien que n'étant pas des causes de maladie, certains facteurs de risque peuvent toutefois être si fortement liés à la vraie cause (inconnue) de la maladie que leur éviction ou leur diminution s'accompagnera d'une action *indirecte* sur la cause. On connaît plusieurs exemples d'actions sur de tels facteurs, qui ont été suivies d'une diminution de l'incidence de la maladie alors que les causes restaient inconnues. Signalons l'exemple, en France, d'une action sur certains facteurs de risque de prématurité (travail de la femme, isolement, conditions de vie difficiles) qui à l'évidence ne pouvaient être les causes de l'accouchement prématuré, mais qui, limités par un programme d'intervention de nature surtout sociale, ont entraîné une baisse de fréquence de celui-ci. L'efficacité de régimes alimentaires ou de l'exercice physique dans certaines maladies cardio-vasculaires relève semble-t-il de la même explication.

### Le risque absolu de maladie

Les études épidémiologiques permettent généralement d'avoir une bonne estimation du risque relatif (RR), c'est-à-dire du coefficient multiplicatif de la fréquence de la maladie entraînée par la présence du facteur de risque. Mais pour être directement interprétables, notamment par les praticiens (voir chapitre "Raisonnement appliqué à la prévention et au dépistage"), les résultats de ces études devraient aussi donner le "risque absolu" (RA), la probabilité de développer la maladie en présence du facteur de risque ; celui-ci est égal :

$$RA = RR \times \text{incidence de la maladie en l'absence du facteur.}$$

Un facteur de risque dont le RR est égal à 5 (une valeur élevée) aura une signification toute différente pour une maladie dont la fréquence est de 5/100 par an (comme le cancer du sein) ou de 3/100 000 par an (comme la maladie de Kahler) : dans le premier cas, le risque absolu sera de 25/100 par an, dans le second de 15/100 000 par an.

Une des difficultés de la détermination du risque absolu de maladie est la variabilité de l'incidence de base selon le contexte (pays, groupe d'âge, etc.) alors que le risque relatif qui traduit un phénomène physiopathologique a une valeur relativement universelle (et peut donc être assez facilement estimé avec un nombre limité d'études).

<sup>(1)</sup> "Odds" veut dire "cote". La cote d'un événement est la probabilité de cet événement divisée par la complémentaire à 1 de cette probabilité. Par exemple, la cote d'un événement dont la probabilité est de 1/6 est de 1/5 ("5 contre 1" en langage hippique).

<sup>(2)</sup> On a vu (chapitre "Épistémologie médicale") que trois types de biais peuvent survenir : les biais de sélection qui interviennent sur la constitution de la population réellement étudiée, les biais d'information qui interviennent sur le recueil de l'exposition et/ou de la maladie et les biais de confusion qui font intervenir un ou des "tiers facteurs" perturbant la liaison exposition-maladie. De façon générale, les études cas-témoins, qui comparent rétrospectivement l'exposition chez les malades et non malades (méthodologie particulièrement indiquée quand la maladie est rare) sont plus exposées aux biais que les études de cohorte, qui comparent de manière prospective la survenue de maladie chez les sujets exposés ou non. Mais c'est surtout l'importance des précautions prises par les investigateurs pour contrôler ou éviter les multiples sources de biais qui détermine la qualité et l'interprétabilité des travaux épidémiologiques.

\* Le risque relatif.

$$RR = \frac{P_1}{P_0}$$

où  $P_1$  est la probabilité de maladie chez les exposés et  $P_0$  la probabilité de maladie chez les non-exposés.

L'odds-ratio ou "rapport des cotes"<sup>(1)</sup> est calculé par

$$OR = \frac{E_1 / A_1 - E_1}{E_0 / A_0 - E_0}$$

où  $A_1$  est la probabilité de l'exposition chez les malades et  $A_0$  la probabilité de l'exposition chez les témoins. Quand la maladie est rare (moins de 5%), on montre que  $RR \cong OR$ .



Récemment, des systèmes simples de calcul ont été mis au point, qui permettent au clinicien d'évaluer le risque absolu qu'un individu donné a de développer une maladie dans un contexte (pays) donné. Par exemple, l'"équation de Framingham" donnant le risque cardio-vasculaire dans les pays industrialisés ou l'échelle de risque de grossesse extra-utérine, présentée ici :

**Echelle de risque de la grossesse extra-utérine**

1: Calculer le score (nombre de points) pour chaque facteur de risque:

| Age (ans) | Points | Tabac (cig/j) | Points | Autres facteurs   |     | Points |
|-----------|--------|---------------|--------|-------------------|-----|--------|
| < 35      | 0      | 0             | 0      | OUI               | NON | 0      |
| 35-39     | 3      | 1-20          | 2      | ATCD de GEU       |     | 10     |
| ≥ 40      | 6      | > 20          | 4      | Endométriose      |     | 9      |
|           |        |               |        | ATCD d'infection* |     | 8      |
|           |        |               |        | Clomiphène        |     | 7      |
|           |        |               |        | Chirurgie tubaire |     | 4      |

2: Additionner les points:

Age + Tabac + ATCD GEU + Endométriose + ATCD infection + Clomiphène + Ch. tubaire = Total

3: Lire le risque absolu de GEU selon le nombre de points sur le nomogramme:

\*Antécédent de salpingite (confirmée ou non), et/ou sérologie à *Chlamydia trachomatis* positive (≥ 1/64)

Par exemple, une femme de 36 ans, fumant 25 cigarettes/jour, avec un ATCD de GEU et une grossesse induite par le Clomiphène aura un score = 3 + 4 + 10 + 7 = 24 soit un risque de GEU = 57 %

\*Adapté de Coste J et al. Construction of composite scales for risk assessment in epidemiology. An application to ectopic pregnancy. Am. J. Epidemiol. 1997; 145: 278-89.

**L'impact des facteurs de risque en proportion de cas attribuable, "le nombre nécessaire à prévenir pour éviter un cas"**

Outre la connaissance du risque absolu de la maladie considérée, une autre notion permet d'évaluer l'importance d'un facteur de risque : c'est l'impact du facteur en termes de nombre de cas produits dans une population, ou plus exactement en proportion de cas attribuable à ce facteur (PCA).

Cette mesure doit (ou devrait) aider les décideurs des politiques de santé à déterminer des priorités d'intervention sur des facteurs de risque en fonction de leur impact (PCA élevée). Quelques exemples de valeur de PCA sont donnés dans le tableau suivant :

\* La PCA, proportion de nouveaux cas attribuable, à un facteur de risque donné pendant une période déterminée dans une population est égale à :

$$PCA = \frac{P_e \times (RR - 1)}{P_e \times (RR - 1) + 1}$$

où RR est la valeur du risque relatif, et  $P_e$  la prévalence du facteur de risque dans la population considérée. La PCA est donc élevée, si le risque relatif (ou l'odds ratio) ou (mais surtout) si la prévalence du facteur de risque est élevée.

| Maladie  | Facteur de risque               | Pays/Population       | PCA |
|--|---------------------------------|-----------------------|-----|
| Cancer du poumon                                 | Tabagisme                       | Suède                 | 80% |
| Cancer du sein                                   | ATCD familial de cancer du sein | États-Unis            | 9%  |
| Accident vasculaire cérébral                     | Tabagisme                       | Japon/Homme 40-64 ans | 15% |
| Accident vasculaire cérébral                     | HTA non traitée                 | Japon/Homme 40-64 ans | 14% |
| Accident vasculaire cérébral                     | Fibrillation auriculaire        | Japon/Homme 40-64 ans | 13% |
| Artériopathie oblitérante des membres inférieurs | Tabagisme                       | Canada                | 76% |

Un index symétrique de la PCA est le "nombre nécessaire à prévenir", variante du "nombre nécessaire à traiter" (NNT) présenté dans le chapitre "Élaboration des connaissances thérapeutiques" et peut être utilisé comme un indicateur de l'efficacité potentielle d'une méthode préventive. Il est particulièrement utilisable dans le contexte de l'évaluation de l'impact potentiel d'un médicament donné à titre préventif où il exprime-

ra le nombre de sujets qui devront ne plus être exposés pour éviter un cas de maladie. Par exemple, le NNT a été utilisé pour évaluer l'impact de différents médicaments pour la prévention des maladies coronariennes (JAMA, juillet 2000).

| Événement à prévenir                           | Facteur de risque    | Médicament                 | NNT*    |
|--|----------------------|----------------------------|---------|
| Infarctus du myocarde                          | Diabète de type 2    | Metformine                 | 150     |
| Mort subite cardiaque ou infarctus du myocarde | HTA                  | Bêta-bloquant + diurétique | 715     |
| Mort subite cardiaque ou infarctus du myocarde | Hypercholestérolémie | Statine                    | 217-256 |

\* Nombre de sujets à traiter un an pour éviter un événement.

**La validation des mesures préventives et des programmes de prévention**

**Nécessité d'une validation des mesures préventives**

La démonstration qu'une exposition donnée est un facteur de risque de maladie ne signifie pas que son éviction (ou la diminution significative de celle-ci) entraînera une diminution de la probabilité de la maladie. Pour que cette diminution puisse être effective, deux conditions doivent être réunies : la causalité et l'évitabilité. Nous avons déjà longuement envisagé le problème de la causalité dans le chapitre "Épistémologie". L'éviction d'un facteur causal aura certainement plus d'impact sur le risque de maladie que l'éviction d'un facteur non causal dont la relation avec la maladie est indirecte, passant par un facteur intermédiaire inconnu.

Il faut aussi s'interroger sur les conséquences possibles de l'éviction du facteur de risque et se demander si elle ne s'accompagnera pas d'une modification de l'exposition à d'autres facteurs de risque, peut-être plus dangereux. Un exemple classique de ce problème de l'évitabilité est un programme américain de lutte contre le tabagisme dans le cadre de la prévention des maladies cardio-vasculaires. La mise en œuvre de ce programme dans une cohorte de sujets s'est bien traduite par une baisse du tabagisme, mais aussi par une augmentation de l'obésité, de l'hypertension artérielle et de l'hyperlipidémie : les sujets arrêtant de fumer étaient devenus obèses ! Des études testant l'efficacité de mesures préventives sur le terrain sont donc nécessaires.

**Le cadre méthodologique de la validation de l'efficacité**

Tout ce qui a été dit sur la méthodologie de validation scientifique des méthodes thérapeutiques (dans le chapitre "Élaboration et validation des méthodes thérapeutiques") s'applique aussi aux mesures préventives et aux programmes de prévention. Seuls des essais randomisés contre placebo peuvent assurer la validation des ces mesures de manière satisfaisante. Malheureusement, cette méthodologie n'est applicable que dans la situation où la méthode préventive est un médicament ou une vaccination.

Dans le cas classique de facteurs de risque comportementaux (nutrition, sédentarité...), il ne peut être question de manœuvre placebo : il est alors nécessaire de randomiser les sujets, soit dans un groupe avec l'intervention préventive, soit dans un groupe contrôle sans cette intervention. Dans d'autres cas, la randomisation n'est pas éthique, et seul un groupe contrôle étudié "ailleurs" (où la mesure préventive n'est pas mise en œuvre) est disponible (ce sont les études dites "ici-ailleurs"<sup>(3)</sup>). Parfois même, un groupe contrôle peut être impossible à réunir, et il faut se contenter d'une étude "avant-après" : la même population est étudiée, avant et après la mise en place des mesures ou du programme de prévention. Les risques de biais et donc de conclusions erronées augmentent quand on passe d'une étude randomisée à une étude non randomisée, et d'une étude comparative à une étude "avant-après".

**L'évaluation économique**

Dans la mesure où les programmes de prévention et les mesures préventives peuvent avoir un coût élevé, supporté selon les pays par les organismes payeurs ou les sujets eux-même, des études médico-économiques doivent être réalisées pour les évaluer (voir le paragraphe consacré à l'économie de la santé dans le chapitre "Protection sociale et économie de la santé"). À côté de leur efficacité, en termes d'amélioration de la santé,

<sup>(3)</sup> Par exemple, on compare deux pays, deux régions, deux hôpitaux dont un met en œuvre la méthode de prévention, et l'autre pas.

il est souvent souhaité que ces programmes et mesures préventives soient économiquement "rentables", c'est-à-dire que le coût de leur mise en œuvre n'excède pas (trop) celui de la maladie qu'elles sont censées éviter. Des études coût-efficacité sont ainsi été conduites pour évaluer l'intérêt d'une prévention médicamenteuse de différentes affections ou complications (traitement de l'infection à *Helicobacter pylori* pour prévenir l'ulcère induit par les anti-inflammatoires non stéroïdiens, statines pour la prévention des maladies coronariennes, anticoagulants dans la prévention de l'accident cérébral embolique dans la fibrillation auriculaire, héparine de bas poids moléculaire dans la prévention d'accidents thromboemboliques après certaines chirurgies) ou pour évaluer des programmes de prévention plus élaborés et multifactoriels (pour l'infection HIV, les maladies cardio-vasculaires, les chutes des personnes âgées...).

## ÉLABORATION DES CONNAISSANCES POUR LA PRÉVENTION SECONDAIRE (DÉPISTAGE) DES MALADIES

Il existe de nombreux points communs dans la conception et surtout dans les méthodes de validation des mesures préventives et de dépistage. Nous ne développerons dans cette partie que les aspects plus spécifiques au dépistage, en particulier les critères de choix des maladies à dépister, et les propriétés nécessaires des examens de dépistage. Le schéma de validation des méthodes de dépistage est tout à fait similaire à celui d'une méthode de prévention primaire (que cela soit pour évaluer l'efficacité et/ou le coût) et ne sera pas détaillé à nouveau.

Le **dépistage** est une procédure visant à reconnaître une maladie avant que celle-ci soit symptomatique, c'est-à-dire plus tôt dans l'histoire naturelle de cette maladie. Cette procédure fait appel à des examens ou tests (cliniques, biologiques, d'imagerie...), qui sont appliqués chez des  *sujets en bonne santé*  apparente. De ce fait, le dépistage a donc une problématique très différente du diagnostic, notamment du **diagnostic précoce**, mis en œuvre dès les premiers symptômes.

### Les maladies candidates au dépistage

Alors qu'il peut sembler bon, en théorie, de vouloir dépister toute maladie avant que le sujet n'en ressente les manifestations, l'invasivité nécessaire du dépistage et son coût limitent en pratique le dépistage aux maladies qu'il est vraiment utile de reconnaître plus tôt. Deux critères principaux fondent cette utilité :

- il doit exister un traitement plus efficace au stade où la maladie est dépistée qu'au moment où elle devient symptomatique ;
- le gain de survie (et si possible de qualité de vie) doit être suffisant en regard de l'allongement de durée de la maladie consécutive au dépistage.

#### Il existe un traitement plus efficace au stade où la maladie est dépistée

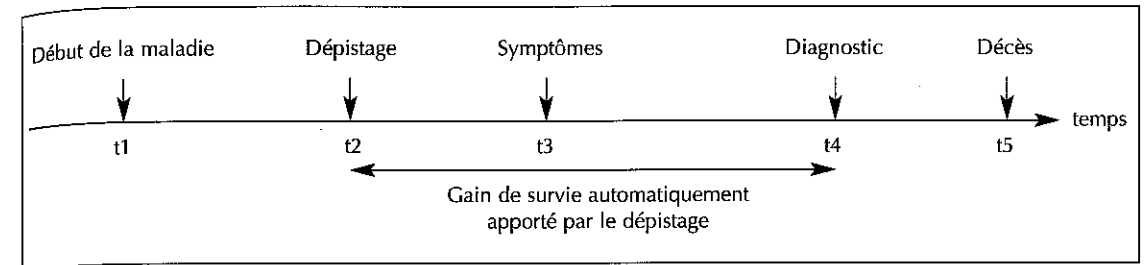
Il est particulièrement important que le malade dépisté avant toute symptomatologie bénéficie d'un avantage net en termes de santé ultérieure. Révéler l'existence d'une maladie à un sujet qui ne le demande pas, surtout si elle est grave, a des conséquences psychologiques et sociales souvent importantes (le "labelling effect") : Quand il n'y pas de traitement qui puisse efficacement enrayer la maladie, cette attitude de "labellisation" est même actuellement considérée comme contraire à l'éthique médicale.

Les maladies à évolution lente et à gravité progressive, notamment les cancers, sont les meilleures indications théoriques du dépistage. Reconnus à un stade précoce, localisé ou *in situ*, et donc avant dissémination, plusieurs tumeurs peuvent être guéries, alors qu'elles ne le seront plus, avec la même probabilité, une fois arrivées au stade symptomatique (habituellement une complication). Il s'agit notamment du cancer du col de l'utérus, du cancer du sein, de certains cancers de la peau, du cancer de la prostate, des cancers colo-rectaux.

En revanche, des cancers à dissémination initiale (leucémies, lymphomes) ou précoce (cancer du poumon) ne sont actuellement pas de bons candidats au dépistage. Il en est de même de certaines maladies non cancéreuses, infectieuses (hépatites virales, VIH) ou non (athérome cervical) en l'absence de thérapeutiques nettement supérieures à un stade précoce et/ou dénuées de risque iatrogène.

### Le gain de temps dans l'histoire naturelle doit être suffisant

Pour comprendre ce critère fondamental de l'intérêt du dépistage, inscrivons sur l'échelle du temps l'histoire naturelle d'une maladie, avant sa prise en charge (figure suivante). La maladie débute à t1, devient symptomatique à t3, est diagnostiquée à t4 et le malade décède à t5.



Si on réalise un dépistage au moment t2, le dépistage rallonge la durée de la maladie de t3-t2 et la durée de survie de la maladie reconnue de t4-t2. Si le critère utilisé pour évaluer l'impact du dépistage sur une maladie est la survie à partir du diagnostic, il faut que le gain en survie dans le groupe dépisté soit nettement supérieur au temps t4-t2. Sinon, l'augmentation de la survie ne sera qu'artificielle et imputable à une connaissance plus précoce de la maladie : c'est le biais de "reconnaissance précoce" qui a parfois faussé les interprétations des études concernant le dépistage. À moins de connaître précisément cet intervalle de temps (ce qui est rarement le cas en pratique), il est nécessaire que les études évaluant l'impact du dépistage incluent un groupe contrôle, et si possible soient randomisées<sup>(4)</sup>.

Non seulement la survie doit être significativement augmentée avec la procédure de dépistage, mais aussi la qualité de vie globale. Des méthodes ont été mises au point pour pondérer les survies par la qualité de vie.

### Le nombre de sujets à dépister

De la même manière que l'on a défini et utilisé un "nombre nécessaire à traiter" et un "nombre nécessaire à prévenir", il est possible d'utiliser un "nombre de sujets à dépister" : nombre de sujets qui devront être dépistés pour éviter un cas fatal ou compliqué de la maladie. Par exemple, le NND a été utilisé pour évaluer l'impact de différentes manœuvres de dépistage des cancers et comparées avec le traitement de l'hypertension artérielle non compliquée (BMJ, août 1998) :

| Maladie  | Événement à prévenir | Manœuvre de dépistage                            | NND*  |
|--|----------------------|--|-------|
| Hypertension artérielle                        | Décès toutes causes  | Diurétiques-baisse de 10 mm de la pA diastolique | 274   |
| Cancer du colon                                | Décès lié au cancer  | Hémocult®  | 1 374 |
| Cancer du sein-femmes âgées entre 40 et 69 ans | Décès lié au cancer  | Mammographie                                     | 1 251 |
| Cancer du sein-femmes âgées entre 50 et 59 ans | Décès lié au cancer  | Mammographie                                     | 2 451 |
| Cancer du sein-femmes âgées entre 40 et 49 ans | Décès lié au cancer  | Mammographie                                     | 8 054 |

\* Nombre de sujets à dépister pour éviter un événement dans les cinq ans suivant le dépistage.

### Quels examens de dépistage ?

La possibilité d'un dépistage dépend aussi de la disponibilité d'examens aux propriétés métrologiques satisfaisantes, mais aussi acceptables et pas trop onéreux.

<sup>(4)</sup> Cette dernière condition qui est la seule capable de donner une réponse valide peut toutefois être impossible à réaliser pour des raisons éthiques.

**Propriétés métrologiques indispensables**

Le dépistage ayant pour objectif principal d'éviter de laisser des maladies évoluer vers un stade plus sévère, un examen de dépistage doit donc avoir une valeur prédictive négative élevée (si le test est négatif, la probabilité qu'il n'y ait pas de maladie doit être élevée), c'est-à-dire en raison du théorème de Bayes (voir chapitres "Épistémologie" et "Métrologie médicale"), une *bonne sensibilité*, à savoir peu ou très peu de faux négatifs.

Toutefois, cette qualité n'est pas suffisante. Quand les procédures mises en œuvre pour confirmer la maladie à la suite d'un examen positif sont invasives ou dangereuses, la spécificité est presque aussi importante que la sensibilité : il faudra éviter trop de faux positifs qui devront avoir ensuite un autre examen de confirmation. De plus, quand la maladie est rare dans la population dépistée (c'est habituellement le cas), un examen peu spécifique entraînera un nombre considérablement plus important de faux positifs que de vrais positifs, réellement malades. Un bon exemple de cette situation est le dépistage du cancer colo-rectal par recherche de sang dans les selles (Hemoccult®). Malgré de constantes améliorations, la spécificité de cet examen reste imparfaite et conduit à ce que seulement 5 à 10% des sujets détectés positifs aient réellement une lésion justifiable d'un traitement en coloscopie : 90 à 95 % des sujets auront eu une coloscopie "pour rien", ce qui peut paraître discutable voire inacceptable en raison de la morbidité et de la mortalité (hémorragie ou perforation dans environ un cas sur 2000) et aussi du coût de cet examen.

**Autres propriétés des examens de dépistage : acceptabilité, simplicité, coût**

Pour être utile, le dépistage doit être réalisé et donc accepté par le sujet dépisté, par le médecin, et par la société et les organismes de remboursement (voir chapitre "Raisonnement appliqué à la prévention et au dépistage"). Ces considérations d'acceptabilité orientent très précocement le développement et la validation des méthodes de dépistage.

Pour être acceptés, les examens de dépistage doivent être aussi peu "invasifs" ou "effrayants" que possible. Les sujets refusent souvent un examen qu'ils pensent douloureux ou trop intrusif. C'est en partie pour des raisons de mauvaise acceptabilité que la coloscopie reste un examen difficile à mettre en œuvre pour le dépistage du cancer colorectal (alors qu'il est scientifiquement et même économiquement justifié "en théorie"). Le toucher rectal reste également encore mal accepté dans de nombreuses populations, et sa mise en œuvre systématique, dans le dépistage du cancer de la prostate, semble difficile. Il est à noter que, dans ces situations, le médecin anticipe parfois sur les résistances de ses patients et renonce à un dépistage clinique, par ailleurs souvent peu valorisé. De même, un dépistage positif entraînant une intervention mutilante ou, à un autre niveau, la perte d'un emploi ou d'une assurance peut être refusée par le sujet.

Les examens de dépistage doivent également être peu coûteux, pour permettre une large prescription. D'une manière générale, le dépistage est un des domaines de la médecine se prêtant le plus à des analyses de type coût-efficacité, ou coût-utilité (voir le paragraphe consacré à l'économie de la santé dans le chapitre "Protection sociale et économie de la santé"). Avant d'être mis en œuvre, le dépistage est évalué "sur le papier" et, grâce aux données d'études pilotes ou localisées, le coût par cas dépisté (qui inclut non seulement le coût du dépistage lui-même mais aussi des examens induits, ainsi que le coût total des faux positifs) est mis en balance avec le résultat espéré (gain de survie, de qualité de vie, etc.). Seules les procédures offrant la perspective d'être "coût-efficaces" sont testées dans des études contrôlées, étape indispensable avant une généralisation en pratique.

En effet :

$$VPN = \frac{Sp \times (1 - p)}{Sp \times (1 - p) + (1 - Se) \times p}$$

où VPN : valeur prédictive négative, Se : sensibilité du test, Sp : spécificité du test, p : probabilité a priori de la maladie, ici prévalence dans la population "ciblée" par le dépistage.

**POUR EN SAVOIR PLUS**

- ANDERSON KM, WILSON PWF, ODELL PM, et al. An update coronary risk profile : a statement for health professionals. *Circulation* 1991 ; 83 : 356-62.
- BOUYER J, HÉMON D, Cordier S et coll. *Epidémiologie : principes et méthodes quantitatives*. Paris, Editions INSERM, 1994.
- COSTE J, SPIRA A. La proportion de cas attribuable en Santé Publique : définition, estimation et interprétation. *Rev. Épidémiol. Santé Publ.* 1991 ; 39 : 399-411.
- COSTE J, BOUYER J, JOB-SPIRA N. Construction of composite scales for risk assessment in epidemiology. An application to ectopic pregnancy. *Am. J. Epidemiol.* 1997 ; 145 : 278-89.
- FROMM J, FROMM P. "Prudence" in disease prevention. *J Clin Epidemiol.* 1991 ; 44 : 1127-30.
- GERACE TA, HOLLIS J, OCKENE JK, SVENDSEN K. Smoking cessation and change in diastolic blood pressure, body weight, and plasma lipids. MRFIT Research Group. *Prev. Med* 1991 ; 20 : 602-20.
- HILL AB. *Principles of medical statistics*. New York, Oxford University Press, 1971.
- MCBRIDE PE, STEIN JH. Assessing prevention interventions by "number needed to treat". *JAMA* 2000 ; 284 : 304.
- REMBOLD CM. Number needed to screen: development of a statistic for disease screening. *BMJ* 1998 ; 317 : 307-12.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. *Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine* (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- WEISS NS. *Clinical epidemiology. The study of the outcome of illness*. New York, Oxford University Press, 1988.

**CE QU'IL FAUT RETENIR**

- La prévention primaire vise à éviter la survenue de la maladie en supprimant sa ou ses causes.
- L'épidémiologie a développé un ensemble de méthodologies pour identifier les déterminants des maladies, et ensuite démontrer l'utilité de leur éviction, c'est-à-dire valider les mesures préventives.
- Un facteur de risque est une caractéristique du sujet, qui est liée statistiquement à un excès de risque de la maladie considérée. Le facteur de risque n'est pas nécessairement une cause de maladie (il ne le sera que si les critères de causalité de Hill sont réunis).
- La suppression d'un facteur de risque n'entraîne pas nécessairement une diminution de la probabilité de la maladie. Des essais doivent être conduits pour évaluer l'efficacité des mesures préventives. Parmi ceux-ci, les essais randomisés contre placebo procurent les meilleures informations sur cette efficacité. Des analyses médico-économiques de type "coût-efficacité" ou "coût-utilité" sont également réalisées. Le "nombre de sujets à prévenir" est un indicateur de l'efficacité potentielle d'une méthode préventive.
- Le dépistage vise à reconnaître une maladie chez des sujets en bonne santé apparente. Le dépistage doit donc être différencié du diagnostic, et notamment du diagnostic précoce, mis en œuvre dès les premiers symptômes.
- Deux critères sont nécessaires pour qu'une maladie donnée puisse faire l'objet d'un dépistage : 1) il doit exister un traitement plus efficace au stade où la maladie est dépistée qu'ultérieurement ; 2) le gain de survie ou de qualité de vie doit être suffisant en regard de l'allongement de durée de la maladie consécutive au dépistage.
- Les examens de dépistage doivent avoir une très bonne sensibilité, mais aussi une spécificité correcte quand un examen positif est suivi de la mise en œuvre d'une méthode confirmatoire invasive ou coûteuse. Les examens doivent aussi être acceptables et pas trop onéreux.
- Le schéma de validation des méthodes de dépistage est tout à fait similaire à celui d'une méthode de prévention primaire. L'essai randomisé est la méthode la plus appropriée pour établir l'efficacité.

## **PARTIE II**

# **Passage de la théorie à la pratique**

Dans les quatre chapitres qui vont suivre, il sera question des méthodes permettant de rendre le raisonnement plus performant dans l'application des connaissances médicales. Acquisition, mise au point et utilisation des connaissances s'intriquent de façon très étroite tout au long de l'activité des médecins.

## Chapitre 9

# SAVOIR ET SAVOIR-FAIRE

La médecine, en tant que discipline scientifique étudiant la biopathologie, n'est, rappelons-le, qu'une branche des sciences de la vie dont elle partage les concepts épistémologiques, la logique et les méthodes scientifiques d'étude. Les médecins, de leur côté, doivent faire preuve de rigueur, tant dans l'élaboration de la sémiologie et de la nosologie que dans l'évaluation des procédures diagnostiques, pronostiques et thérapeutiques. C'est la rigueur du raisonnement et la fourniture des preuves qui font la qualité de la médecine, et non les spéculations.

L'exercice médical est, pour une bonne part, l'application des connaissances et des techniques élaborées grâce aux méthodes scientifiques. Mais, même si savoir et exercice s'intriquent de façon très étroite tout au long de l'activité des médecins, l'exercice médical est bien autre chose qu'une simple application de savoir car il fait appel à une gamme d'activités intellectuelles bien plus étendue.

Le raisonnement médical, ainsi conçu, prend en compte, en fait, plusieurs notions qui sont :

- les connaissances nécessaires à l'exercice médical, c'est-à-dire le *savoir*. Il faut y adjoindre les moyens du recueil et de la validation scientifique de ces connaissances, ainsi que les moyens de les lire, de les critiquer et de les mettre à jour ;
- l'application des connaissances à chaque cas particulier de prise en charge du malade, c'est-à-dire le *savoir-faire*. Cette application des connaissances s'accompagne de toute une série de décisions qui impliquent une suite de raisonnements plus ou moins explicites (voir le chapitre suivant : "L'utilisation des différents modes de pensée en pratique médicale quotidienne") mais qui n'en existent pas moins tout le long de l'activité médicale clinique ;
- et, éventuellement, l'application à des populations pour ce qui concerne les mesures de dépistage et de prévention.

### LE SAVOIR

Le savoir individuel du médecin comporte, lui-même, plusieurs éléments qui sont :

- le corpus des connaissances médicales constituées et régulièrement mis à jour, et
- les connaissances tirées de l'expérience personnelle du praticien.

### Le corpus des connaissances médicales constituées

Toute démarche de raisonnement médical s'appuie sur la collection de toutes les connaissances valides concernant les phénomènes pathologiques. Cette base est le "corpus" des connaissances médicales partagées par la communauté médicale.

Le "corpus" des connaissances médicales est l'état actuel des connaissances cumulées dans les différents domaines de la science médicale (clinique, examens complémentaires, physiopathologie, méthodes thérapeutiques, etc.). L'élaboration de ce corpus de connaissances est le fruit de plusieurs démarches qui font appel à des disciplines de plus en plus variées et de plus en plus complexes. Elles relèvent des sciences d'observation et sont purement descriptives dans certains cas. Ces sciences descriptives ont joué un rôle très important jusqu'à ces dernières années, qu'il s'agisse des descriptions des entités cliniques ou des sciences morphologiques macroscopiques ou microscopiques. Le domaine du corpus des connaissances médicales ou utiles au médecin comprend, en outre, des notions de plus en plus nombreuses, issues des disciplines scientifiques, essentiellement biologiques, qui peuvent aider à la compréhension ou à la résolution des problèmes médicaux.

L'acquisition de ces connaissances par les futurs médecins fait l'objet des enseignements théoriques de formation initiale délivrés par les Facultés de Médecine, mais le corpus des connaissances est en continuel remaniement.

### Les connaissances tirées de l'expérience personnelle

Cette connaissance est mal définie, difficile à évaluer. Elle débute pendant les stages de formation hospitalière et elle s'y parfait par l'apprentissage et tout au long de la vie professionnelle du praticien. Elle est très sub-

jective et les sciences cognitives nous apprennent combien le médecin peut se tromper tout en étant persuadé d'avoir raison. Mais cela n'est pas spécifiquement lié à la démarche médicale et le problème se pose pour tous les individus dans toutes les disciplines.

Cette connaissance personnelle peut, de ce fait, ne pas paraître digne d'être retenue dans les évaluations des compétences et des qualités professionnelles. Elle peut même faire l'objet, par certains, d'un dénigrement systématique dans un discours "scientiste" visant à lui substituer des méthodes automatisées, ou dans un discours "uniformisant" selon lequel tous les médecins devraient appliquer exclusivement les mêmes règles.

Ce serait une erreur majeure de se laisser aller à cette tendance. Car ce savoir personnalisé représente le fruit de multiples mises au point et rectifications d'erreurs qu'il serait très préjudiciable pour tous de ne pas les prendre en compte. Cela détruirait la motivation du praticien pour une amélioration de sa pratique et aurait, de ce fait, un effet délétère à long terme.

Mais ce serait aussi une erreur de la considérer comme suffisante, car elle est incapable, de même que la seule connaissance livresque, de permettre un exercice complet de la pratique.

Elle doit, par contre, être en permanence critiquée par ses détenteurs à la lumière des apports extérieurs que sont les observations et les expériences des autres, telles qu'elles sont rapportées dans la littérature médicale de niveau scientifique et professionnel convenable.

## La mise à jour des connaissances

La recherche médicale contribue à l'élaboration continue de connaissances nouvelles qu'il faut appliquer aux problèmes concrets de la pratique médicale. On regroupe sous le vocable de "formation continue" ce qui permet aux individus de réactualiser leur savoir médical.

Ce problème devient l'un des plus importants à l'heure actuelle. Le progrès des découvertes et les innovations techniques qu'elles entraînent représentent un sujet majeur d'attention pour les médecins praticiens, comme pour ceux chargés de gérer ce besoin d'éducation en croissance constante. Les praticiens doivent, en effet, lire et critiquer les articles originaux ou les mises au point dans les domaines qui les intéressent, afin de pouvoir les intégrer dans les différents processus de prise en charge des patients (voir aussi le chapitre consacré à l'evidence-based medicine). Les praticiens doivent se tenir au courant des innovations dans les principaux autres domaines de la médecine afin d'être conscients de ce qu'il est indispensable d'apprendre pour ne pas méconnaître une innovation majeure, parce qu'elle peut avoir une interférence avec leurs prescriptions et leur pratique, et, ainsi, ne pas s'exposer au reproche d'avoir omis de se conformer aux prescriptions du code de déontologie.

*La possession du corpus des connaissances médicales théoriques convenablement mises à jour et des connaissances tirées de l'expérience personnelle, mais passées au crible de la critique, réalise la combinaison optimale pour servir de base au meilleur fonctionnement de l'exercice médical.*

## LE SAVOIR-FAIRE

Le savoir-faire concerne l'application des connaissances théoriques aux cas particuliers. Il est essentiellement individuel. Il est le fruit à la fois :

- de l'acquisition des bonnes méthodes transmises au cours des différents stages et au contact de praticiens compétents et expérimentés et
- d'un effort personnel d'apprentissage de méthodes performantes d'examen et de soins appliqués aux patients.

Il faut faire remarquer qu'il est difficile de tracer une frontière nette entre ces domaines et les domaines de la psychologie, des sciences sociales, de l'éthique, etc.

## L'acquisition du savoir-faire

Il ne paraît pas possible de vouloir schématiser ni même tenter d'explorer les chemins suivis pour l'acquisition du savoir-faire. De nombreuses voies d'acquisition de l'expérience existent. Les sources de l'apprentissage sont si nombreuses qu'il serait illusoire de vouloir même en faire un inventaire exhaustif. On peut cependant citer la principale d'entre elles et qui est leur est commune : le *compagnonnage*. Ce dernier ne se présente pas de façon standardisée et varie selon les "maîtres" et les "élèves", ainsi que selon les rapports qui s'établissent entre eux.

Comme pour les connaissances tirées de l'expérience personnelle accumulée du praticien, ce savoir personnalisé représente le fruit de très nombreuses expériences et rectifications d'erreurs. Il peut faire l'objet de critiques portant sur le caractère subjectif et non standardisé de ces acquisitions, voire de dénigrement. Pour ces raisons, il est, en fait, de moins en moins pris en considération, ce qui est regrettable. Se retrancher derrière une impossibilité de le quantifier ou de le juger objectivement, pour ne pas en accepter la reconnaissance ne peut que décourager et démotiver les praticiens. Cela ne peut d'ailleurs aboutir qu'à une médecine de mauvaise qualité car dispensée sans discernement et sans tenir compte de l'expérience accumulée. C'est tout le contraire que favorise un authentique "raisonnement médical" en promouvant seulement les décisions prises à la fois sur une connaissance raisonnée du corpus des connaissances et un savoir-faire performant.

## La pratique de la médecine basée sur "les faits prouvés"

Il faut enfin évoquer un abord récent et nouveau au problème du savoir-faire. Il s'agit de la combinaison de la mise à jour des connaissances et de leur application. Elle a donné lieu à la mise au point de méthodes combinant la quête de ces connaissances, leur critique et leur application consécutive (plus ou moins différée) au patient. Cette démarche est exprimée dans le paradigme qui se veut nouveau de l'*Evidence Based Medicine* ou pratique de la médecine basée sur des "faits prouvés" (voir le chapitre consacré à l'"evidence-based medicine").

La recherche du savoir prouvé, ou atteignant le plus haut niveau de démonstration et de rigueur scientifique, exige elle-même un savoir-faire particulier combinant l'exploration informatisée des bases de données, la lecture critique des articles originaux, des méta-analyses et des revues systématiques, afin de disposer des meilleures bases théoriques pour prendre des décisions médicales. Cette façon de procéder est un effort pour que les médecins disposent instantanément des meilleures informations et puissent en faire bénéficier au mieux leurs patients. Si elle semble prometteuse, il faut faire remarquer qu'elle n'a pas encore été, elle-même, évaluée. Elle ne peut de toute façon au mieux qu'apporter les meilleures informations possibles. Mais leur mode d'emploi, comme celui apporté par les autres moyens de dispensation du savoir, relève du jugement individuel du médecin confronté souvent à la complexité des pathologies plus ou moins intriquées, des situations individuelles et aux nombreuses considérations extra-médicales interférentes (voir plus bas).

## Les éléments constitutifs du savoir-faire en matière de raisonnement

Ces éléments font l'objet de chapitres individualisés et ne sont qu'énumérés ici. Ils incluent : la performance du raisonnement purement discursif dans son application aux situations pathologiques, la performance d'adaptation du raisonnement du médecin dans son application aux situations humaines et sa capacité d'autocritique.

### La performance du raisonnement purement discursif dans son application aux situations pathologiques

La conduite de la séquence des activités intellectuelles ayant trait au patient concerné touche toutes les étapes du raisonnement médical :

- Diagnostic :** Faculté de génération des meilleures hypothèses  
Faculté de confirmation des hypothèses  
Sobriété des explorations en privilégiant les plus performantes et les mieux adaptées
- Pronostic :** Faculté de recherche des bons éléments prédictifs d'évolution  
Formulation correcte du pronostic
- Thérapeutique :** Jugement des bénéfices et des dangers de chaque méthode  
Mise au point de la stratégie thérapeutique  
Décision d'application
- Soins :** Ils constituent la prise en charge des patients. De ce fait, ils accompagnent les thérapeutiques curatives ou les traitements des symptômes, mais ils s'étendent bien au-delà de ce rôle.

### La performance d'adaptation du raisonnement du médecin dans son application aux situations humaines

Elle comprend :

- La prise en compte des problèmes éthiques.
- L'adaptation aux conditions psychologiques.
- L'adaptation aux conditions sociales et culturelles.
- L'adaptation aux conditions professionnelles, matérielles et financières d'exercice.
- La capacité d'attitude compassionnelle.

**La capacité d'autocritique**

C'est un point très délicat. Entre, d'une part, l'utilisation standardisée et rigide de recettes préfabriquées, d'algorithmes ou de "guides de conduite" assortie du respect de "recommandations médicales opposables" et, d'autre part, les déviations possibles d'un savoir et d'un raisonnement individuel faillible, la marge est assez étroite. Seule une éducation à l'autocritique peut permettre une harmonisation de ces concepts et leur application satisfaisante pour la pratique médicale.

**La conduite de l'examen clinique**

Le savoir-faire clinique réunit trois activités intriquées, l'interrogatoire, l'examen physique et un raisonnement qui, à partir des renseignements fournis par les deux premières activités, dans des allers et retours répétés de recueils de données en nœuds décisionnels, fait avancer la compréhension du cas pathologique et la résolution du problème clinique posé.

Les techniques d'interrogation et d'examen physique sont codifiées. Elles ont une base théorique mais s'acquièrent, en pratique, par compagnonnage et le déroulement des différentes activités cliniques requiert une adaptation continue en fonction de la complexité de chaque cas.

**L'autre facette (non discursive) du savoir-faire : la facette technique et instrumentale**

Dans le savoir-faire du médecin interviennent aussi d'autres éléments qui tiennent à une performance purement technique.

Elle caractérise l'exécution de tâches instrumentales qui peuvent aller d'une exploration technique à visée diagnostique à la conduite d'une intervention chirurgicale. Les courbes d'apprentissage permettent de quantifier les performances dans la réalisation de ces actes. On sait que le taux de succès des interventions croît régulièrement dans le temps au fur et à mesure que l'expérience du praticien augmente et au fur et à mesure que le nombre des interventions pratiquées s'accroît. Elle ne se maintient à un bon niveau que si le praticien entretient son habileté par la poursuite régulière de sa pratique.

Mais même dans l'exécution de ces tâches techniques, le raisonnement médical a matière à intervenir dans la mesure où il peut exister des situations où une adaptation à des circonstances particulières est nécessaire. La compréhension et la prise en compte de la base théorique (physiopathologique particulièrement) de la technique (mise en œuvre et de l'état du patient sont alors indispensables pour réaliser l'adaptation à la gestion de toute situation particulière inédite.

**CE QU'IL FAUT RETENIR**

• Si l'on considère les différentes composantes de la qualité de l'activité médicale, il apparaît qu'elle dépend d'un grand nombre de paramètres qui sont plus ou moins liés, mais qui relèvent des notions de "savoir" et de "savoir-faire".

• **Le savoir** ou ensemble des connaissances présente deux faces :

- Une face objective collective, "externe" au praticien, et que l'on trouve dans les livres ou ouvrages divers. Ces connaissances sont, elles-mêmes, de qualité inégale et certaines sont encore controversées alors que d'autres ont atteint un niveau de preuve quasi parfait.
- Une face subjective ou plutôt individuelle, "interne" ou propre au praticien, qui est le fruit de l'acquisition plus ou moins complète de ces connaissances externes et d'une expérience personnelle.

• **Le savoir-faire** : l'application des connaissances caractéristiques de l'activité propre du praticien et elle présente de nombreuses facettes. Elle dépend certes de son savoir mais, aussi et surtout, de la manière de l'utiliser. De plus, le praticien se trouve confronté au patient, à son entourage, à des influences de natures diverses. Il doit prendre en compte des situations éthiques, psychologiques, sociales, professionnelles, matérielles, économiques... Il lui est difficile, enfin, de se débarrasser de certains sentiments de compassion.

**Chapitre 10****L'UTILISATION DES DIFFÉRENTES FAÇONS DE PENSER EN PRATIQUE MÉDICALE QUOTIDIENNE****INTRODUCTION**

Le passage des connaissances biopathologiques, ou corpus des connaissances scientifiques médicales, à leur application est dans une phase de transformation. Cette transition n'a pas encore été complètement analysée et n'est probablement pas encore achevée (voir aussi le chapitre "Savoir et savoir-faire"). Un certain nombre de questions sont actuellement encore en suspens. Peut-on s'inspirer des méthodes qui contribuent à l'élaboration scientifique des connaissances médicales pour l'application de ces connaissances dans la pratique quotidienne ? S'inspirent-elles des mêmes principes ? Et surtout, la pratique médicale a-t-elle recours aux mêmes modes de pensée que ceux utilisés dans la création des connaissances de la science médicale ou en utilise-t-elle d'autres ?

La science médicale, c'est-à-dire l'étude des lois de la pathologie humaine, a connu et continue de connaître un grand développement. Mais elle comporte encore des lacunes et des incertitudes qui font l'objet de travaux et qui seront ainsi, peut-être, limitées dans l'avenir. À la différence de la science médicale qui s'inscrit dans un temps long et peut se satisfaire de l'incertitude, la pratique médicale doit déboucher sur des décisions pratiques souvent immédiates et qui engagent le médecin et le malade dans une action déterminée.

L'existence de certaines pratiques ou médecines dites "alternatives" soulève enfin la question de la prise en compte de modes d'utilisation de connaissances autres que celles établies par la méthodologie scientifique.

Une observation critique des pratiques quotidiennes permet d'ébaucher la réponse à ces diverses questions, qui ne sont pas seulement spéculatives dans le contexte actuel de promotion d'une pratique médicale fondée sur le niveau de preuve (voir chapitre consacré à l'"evidence based medicine") aux dépens des autres modes de raisonnement médical.

Dans ce chapitre, nous envisagerons les différents modes de pensée utilisés en pratique médicale. On considérera les modes de pensée mis en œuvre suivant le niveau de conscience impliqué, et on séparera schématiquement les modes de pensée :

- d'utilisation explicite, qui font appel à une construction intellectuelle formelle (ce sont les raisonnements proprement dits) ;
- d'utilisation implicite, qui ne font pas appel à un raisonnement formalisé mais à un mode de pensée que les spécialistes des sciences cognitives dénomment "heuristique".

Cette distinction schématique comporte, comme tous les schémas, une part de simplification qui, dans ce cas particulier, ne se justifie que par son utilité à bien faire apparaître des différences d'abord des problèmes.

Enfin, nous mentionnerons rapidement les modes de pensée non rationnels ou relevant de disciplines intellectuelles non médicales (économie, éthique, religion...), mais interférant au quotidien dans la pratique de la médecine.

**LES RAISONNEMENTS SCIENTIFIQUES**

Nous envisagerons dans cette section les modalités des actes intellectuels conscients qui sont pratiqués par le médecin à tous les stades de la prise en charge du patient. Une distinction majeure doit d'emblée être faite entre les modes de pensée, ou de raisonnement, scientifiques et les autres (le lecteur peut se reporter aussi aux chapitres "Épistémologie générale" et "Épistémologie médicale"). Ce sont les premiers que nous envisagerons dans cette section.

Ces modes de raisonnement peuvent être classés en six grandes catégories rapprochées en deux groupes suivant le mode de constitution des connaissances et les mécanismes intellectuels qu'ils impliquent :

Un premier groupe de raisonnements est admis par l'ensemble de la communauté scientifique :

- Le raisonnement descriptif.
- Le raisonnement causal.
- Le raisonnement physiopathologique.
- Le raisonnement probabiliste.

Le deuxième groupe de raisonnements risque de faire l'objet de controverses :

- Le raisonnement analogique.
- Le raisonnement basé sur, ou aidé par, des algorithmes.

Il s'agit là aussi d'une schématisation qui ne rend que très incomplètement compte de la complexité du problème, et de la possible combinaison des diverses formes de raisonnement. Cette schématisation nous paraît devoir, cependant, être formulée car les raisonnements sous-jacents sont de nature assez spécifique dans chacune de ces grandes catégories.

## Le raisonnement descriptif

L'observation et la collection minutieuse des symptômes et des signes, qui a permis le développement de la sémiologie (science fondamentale de la médecine) et de l'étude des lésions et des évolutions restent la base de la description des maladies et de l'établissement des connaissances médicales. Ce raisonnement descriptif ou "botanique" est toutefois insuffisant pour la caractérisation nosologique complète (*les maladies sont le plus souvent, en outre, définies par la mise en évidence des causes et des mécanismes*), ce qui nécessite l'apport des sciences biologiques et un jugement critique (voir le chapitre "Nosologie"). En pratique médicale, ce raisonnement a un intérêt mais des limites semblables.

### Capacités

- Le raisonnement descriptif permet le recueil des données cliniques et paracliniques, qui permettront un certain nombre d'activités utiles à la prise en charge du patient. Il peut d'abord être utile pour le diagnostic. En effet, c'est bien souvent d'un processus apparenté à la "reconnaissance botanique" ou à la "reconnaissance des formés" que se rapproche le processus du diagnostic (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"). Cette reconnaissance est issue, en partie au moins, et parfois en totalité, de la mise en œuvre d'un raisonnement descriptif.
- Il peut ensuite être utile pour le pronostic et la surveillance de l'évolution. Il peut donner une indication approximative de la sévérité d'une situation. Il permet de suivre les variations de l'évolution car la méthode descriptive se trouve à la base de cette démarche. Elle permet le recueil des données et elle seule permet seule d'établir les caractéristiques individuelles du patient concerné.

### Limites

- Le raisonnement descriptif ne peut être fructueux pour la thérapeutique. En effet, la description ne peut que reconnaître les symptômes et les lésions mais non les causes et les mécanismes des maladies et donc les moyens possibles d'action sur elles. Aucune démarche thérapeutique structurée ne peut donc en sortir.
- D'autre part, il faut, pour juger l'efficacité des mesures thérapeutiques, une comparaison avec le résultat de l'évolution naturelle et d'un possible effet placebo, qui ne peuvent être appréhendés sans un jugement critique que l'observation simple des faits n'autorise aucunement à que, à de rares exceptions près, seuls permettent les essais contrôlés.

## Le raisonnement causal et le raisonnement physiopathologique

Ces raisonnements sont souvent intriqués et c'est par commodité qu'ils seront traités séparément ci-dessous.

Le raisonnement causal fait intervenir le principe déterministe. Dans une perspective purement déterministe, on peut, en effet, dire que puisque toute cause a un effet, la mise en évidence de la cause permet d'expliquer l'effet, et que l'on peut agir sur l'effet en agissant sur la cause.

Le raisonnement causal ne prend pas en compte le mécanisme intime des troubles et reste en amont des connaissances physiopathologiques, et cela peut être gênant. Par exemple, un microbe peut être la cause d'une infection bien que les troubles entraînés par la pénétration et le développement du germe dans l'organisme varient considérablement d'un sujet à l'autre, d'un viscère à l'autre, d'un état immunologique à un autre, et ne pas prendre ici en compte ces mécanismes physiopathologiques serait fâcheux. De plus, le raisonnement causal est inopérant pour les affections incontestables par leur tableau clinique, caractérisées par des lésions très bien définies et dont les événements physiopathologiques sont en partie au moins éclaircis, mais dont la cause exacte n'est pas élucidée (leur "primum movens" restant mystérieux). C'est le cas, par exemple, de nombreuses affections dites "systémiques" (les périartérites noueuses secondaires à l'hépatite B mises à part, mais même dans ce cas on ne peut dire pourquoi seules certaines hépatites B se compliquent de manifestations artéritiques et d'autres non).

### Capacités

- Le raisonnement causal est indispensable dans deux cas :
  - pour faire un diagnostic étiologique. C'est l'étape de la mise en évidence de la cause ou des causes d'une affection. Il est parfois difficile de percevoir la cause d'un syndrome observé. Une façon possible, et bien classique, est de rechercher systématiquement les étiologies suivantes : infectieuse, tumorale, vasculaire, traumatique, dégénérative, inflammatoire ou immuno-pathologique, génétique, ou... inconnue (on parle alors de trouble ou d'affection idiopathique ("Idion" en grec signifiant "propre", le terme idiopathique veut ainsi dire que l'affection a sa "propre" individualité, ce qui, en réalité, ne fait que traduire notre ignorance).
  - pour décider des traitements à visée curative. Cette étape n'est d'ailleurs que la suite logique de la démarche précédente. L'action sur la cause est la façon logique de supprimer ou de réduire l'effet.

### Limites

Des erreurs conceptuelles importantes peuvent se glisser dans un raisonnement causal. L'erreur la plus commune est la déduction, à partir de phénomènes constatés, d'une causalité qui n'existe pas. Dans cette méprise, le patient joue parfois inconsciemment un rôle favorisant par ses déclarations de ce qu'il croit pouvoir conclure de son auto-observation. Mais cette situation ne devrait abuser que des débutants qui n'ont pas encore eu le temps de développer une attitude critique vis-à-vis de ce genre de piège.

D'autre part, l'établissement d'une relation causale repose sur un jugement, lui-même basé, certes, sur des données factuelles, mais nécessitant une critique de ces données et leur interprétation. Cela entraîne un risque d'erreur comme pour tout jugement humain. Cette erreur arrive quand, à partir de constatations bien réelles, on suppose des relations causales qui n'existent pas. Des modifications dégénératives d'organes ou de viscères liées à l'âge, par exemple, sont incriminées à tort et on peut alors être tenté de leur opposer un traitement "radical", parfois agressif, mais sans succès, voire avec déboires. Dans d'autres cas, des spéculations débouchent sur des conclusions amenant à des traitements apparemment très logiques dans leur conception mais qui ne s'accompagnent d'aucun bénéfice réel quand des études comparatives randomisées sont mises en œuvre pour en contrôler la validité. D'une manière générale, l'établissement du diagnostic étiologique et du traitement causal devrait se référer à ce qui est solidement établi par les études apportant la preuve de la causalité de tel ou tel agent ou de tel ou tel facteur au regard de l'entité nosologique à laquelle on est confronté. Une observation sommaire des pratiques montre que cette précaution est peu respectée.

Nous entendons par *raisonnement physiopathologique* la mise en œuvre de l'ensemble des apports des disciplines cliniques ("macro-biopathologie") et biologiques fondamentales (allant de la "micro-biopathologie" aux disciplines physico-chimiques de base) combinées pour la compréhension des mécanismes des troubles pathologiques.

Historiquement, c'est à partir d'une analyse critique des troubles cliniques que la médecine expérimentale, la bactériologie, la physiologie des fonctions, la physiologie cellulaire, la biologie moléculaire, la génétique, etc. et la combinaison de ces sciences fondamentales ont permis des progrès dans le domaine de la compréhension des maladies (voir le chapitre "Histoire").

Le raisonnement physiopathologique comporte plusieurs niveaux :

- Physiopathologie des signes
- Physiopathologie des lésions
- Physiopathologie des facteurs déclenchants
- Physiopathologie des réponses et comportements de l'organisme

et plusieurs composantes :

- Physiopathologie des fonctions viscérales ou autres
- Physiopathologie biochimique
- Physiopathologie moléculaire
- Physiopathologie physique

qui peuvent tous être utilisés en pratique quotidienne. Toutefois, la multiplicité des anomalies et des troubles impliqués dans la recherche de l'explication des manifestations morbides et leur évolution ne permet pas de rentrer dans le détail de tous les mécanismes possibles ou envisageables.

Le raisonnement physiopathologique est intellectuellement séduisant. Il peut s'appliquer à chaque cas individuel moyennant une extrapolation qui a l'avantage d'être facilement accessible à la logique ou, éventuellement, au raisonnement analogique.

Cette façon de penser peut être productive et permet de tester, en outre, de façon directe et souvent rapide certaines hypothèses émises dans une circonstance donnée. Mais cela n'est vrai qu'à la condition qu'aucun facteur inconnu ou de confusion ne vienne perturber le schéma intellectuel théorique qui a été élaboré sur la base des connaissances établies au moment où la spéculation physiopathologique est établie. Or, on sait que les connaissances physiopathologiques varient beaucoup et de plus en plus rapidement sous l'effet des progrès de la recherche en particulier, mais aussi des modes...



Le raisonnement physiopathologique ne fonctionne, donc, correctement qu'à condition qu'on ne prenne pas une hypothèse pour la réalité démontrée (ce qui est malheureusement parfois le cas). Et de nombreux biais et pièges se dissimulent derrière cette apparente rationalité.

L'extension du modèle physiopathologique à l'individu malade nécessite une extrapolation. Il est certes rationnel de faire l'hypothèse que la situation à laquelle on est confronté est la même que celle résolue par tel argument de physiologie ou de médecine expérimentale. Mais cette extrapolation mérite d'être consciemment explicitée, ce qui n'est pas toujours le cas, bien qu'elle soit très souvent pratiquée.

Le raisonnement physiopathologique intervient, donc, dans l'exercice de la médecine et pas seulement pour trouver des explications aux symptômes. Il peut aider à émettre ou renforcer des hypothèses diagnostiques (voir chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"), voire thérapeutiques. Certaines disciplines médicales y ont recours avec succès. D'autres l'utilisent avec plus ou moins de discernement.

#### Capacités

- *Dans le domaine du diagnostic*, le raisonnement physiopathologique peut aider dans de nombreuses circonstances. Quelques exemples peuvent en démontrer l'efficacité. C'est ainsi que :
  - le siège de lésions du système nerveux peut être déduit de l'observation des troubles et en tenant compte des fonctions des aires ou des noyaux nerveux atteints ;
  - les signes de spoliation sanguine ont une traduction symptomatique très compréhensible ;
  - le diagnostic d'une anémie peut être conduit, une fois celle-ci reconnue, par un raisonnement physiopathologique prenant logiquement en compte la taille des globules rouges, le taux de ferritine, ainsi que des signes associés d'une éventuelle hémolyse par exemple... ;
  - un signe comme une dyspnée, un œdème, peut être le point de départ d'un raisonnement qui passera par des étapes de compréhension des troubles, à partir des constatations initiales puis ultérieures et des explications que peuvent fournir la physiopathologie, par exemple des perturbations ioniques, ou des gaz du sang, etc. ;
  - et de façon générale, les déséquilibres sanguins ioniques ont une cohérence qui facilite l'explication de beaucoup d'anomalies constatées.

L'abord physiopathologique peut aussi aider à retrouver par une argumentation serrée les failles dans l'exploration d'une hypothèse diagnostique et donner la clé pour une orientation du diagnostic de variété ou du diagnostic étiologique. Par exemple, les rachitismes ou les ostéomalacies vitamino-résistants ont été décrits et compris par l'exploration de la physiopathologie de leurs troubles. La physiopathologie a non seulement expliqué les troubles constatés mais permis, devant un patient présentant un tableau de rachitisme ou d'ostéomalacie vitamino-résistant, un raisonnement physiopathologique permettant de remonter au trouble causal. Il y a en effet une cohérence remarquable entre les constatations cliniques et biologiques, et les mécanismes qui les engendrent eux-mêmes sous la dépendance de perturbations parfaitement en accord avec les conséquences observées.

- *Dans le domaine de la thérapeutique*, le raisonnement physiopathologique peut apporter une aide majeure au traitement de la plupart des troubles. À condition que le mécanisme des troubles qu'il a réussi à éclaircir soit parfaitement démontré et que l'on dispose d'une possibilité de traitement adapté, le raisonnement physiopathologique peut être ainsi la source d'une efficacité incontestable pour corriger les troubles qu'il a aidés à reconnaître et dont il explique les mécanismes.

De plus, toutes les thérapeutiques n'ont pu être l'objet d'essais contrôlés randomisés et certaines thérapeutiques anciennes n'ont pas encore été évaluées. En l'attente de la confirmation de leur bien fondé, un raisonnement physiopathologique très critique peut aider à prendre la décision pragmatique nécessaire : par exemple, la correction des troubles métaboliques, la correction de la défaillance des fonctions vitales par des dispositifs de suppléance comme la correction de l'insuffisance rénale par l'hémodialyse, la correction de troubles nutritionnels (le traitement si efficace du rachitisme n'a fait, par exemple, l'objet d'aucun essai contrôlé), la correction de troubles endocriniens comme l'opothérapie des carences thyroïdiennes. Il en est de même des affections qui, du fait de leur rareté, ne se prêtent pas aux essais contrôlés faute d'effectifs suffisants.

Une problématique particulière se rencontre pour les affections qui, par leur essence, nécessitent une thérapeutique spécifique dont la nature ne peut être déduite que par un raisonnement physiopathologique. Par exemple, on voit mal comment on pourrait traiter certaines affections héréditaires métaboliques (ou autres) autrement que par les mesures logiques découlant du mécanisme des troubles et corrigeant les conséquences (comme on le fait par exemple dans la phénylcétonurie) dans l'attente d'une éventuelle thérapie génique.

#### Limites

- *Dans le cadre de la démarche diagnostique*, un abord physiopathologique ne peut se passer des étapes cliniques pratiquement toujours indispensables à la reconnaissance des syndromes et à l'orientation consécutive des diagnostics différentiels, voire étiologiques. Il est rare que des considérations physiopathologiques soient déterminantes pour le diagnostic, sauf dans les cas particuliers de prise en charge de situations relativement simples. C'est une situation qui se retrouve assez fréquemment en urgence parce qu'il s'agit de situations stéréotypées élémentaires et entraînant des gestes aisés à concevoir, comme la libération des voies aériennes ou une assistance respiratoire élémentaire en cas d'asphyxie.

*Le raisonnement physiopathologique peut aussi être facilement trahi par la confusion entre, d'une part, hypothèses et spéculations et, d'autre part, vérités démontrées. Il est parfois difficile, dans le cadre de la recherche médicale proprement dite, d'établir de façon rigoureuse la preuve expérimentale d'une hypothèse. À plus forte raison les difficultés seront encore plus grandes devant un cas clinique isolé pour lequel le médecin est sollicité, voire pressé de prendre une décision pratique.*

Dans le cadre de la démarche thérapeutique, une apparence de mécanisme physiopathologique peut entraîner une explication inadéquate et une action consécutive erronée. Un exemple historique en est fourni par la tentative d'éradication des cellules tumorales du cancer du sein par des interventions élargies et très mutilantes, interventions qui n'ont pas résisté à l'épreuve des essais contrôlés. L'évaluation de nombreux traitements existants, comme les infiltrations épidurales de corticoïdes dans la sciatique, a souvent réservé des surprises à ceux qui les utilisaient depuis des décennies. Dans de nombreux cas, en effet, les "inventeurs de méthodes", si ingénieuses qu'elles soient, oublient ou négligent les effets éventuels de l'évolution naturelle ou de l'effet placebo parfois seuls responsables des améliorations constatées.

*L'erreur peut être lourde de conséquences si la sanction thérapeutique est non seulement inadaptée mais dangereuse. C'est pourquoi, mis à part le cas où une physiopathologie parfaitement démontrée et éclairante est disponible, les décisions thérapeutiques doivent s'appuyer le plus possible sur des traitements correctement évalués.*

## Le raisonnement probabiliste

Le raisonnement probabiliste, à l'origine de la méthode statistique, est indispensable pour toute étude de populations en épidémiologie, prévention et dépistage. La méthode statistique fonde aussi l'épidémiologie clinique par les études des populations de patients. Il fournit l'incontournable instrument des études (statistiques), précisant ce qui revient au hasard lors de la mise en œuvre d'une étude ou d'une expérimentation. Son application la plus remarquable a trait aux essais thérapeutiques. Par cette application qui sert à l'évaluation des traitements, il fournit les éléments pour connaître la méthode la plus performante parmi celles susceptibles d'être appliquées (voir le chapitre "élaboration des connaissances thérapeutiques"). Il devient alors un argument de décision de la meilleure efficacité thérapeutique et du moindre danger.

L'utilisation du raisonnement probabiliste, dans le domaine du diagnostic aussi, a connu un développement théorique important ces dernières décennies. Le calcul des probabilités des maladies s'est ainsi considérablement développé. La probabilité post-test (après la réalisation d'un test diagnostique) de la maladie peut être déterminée à partir de la probabilité prétest ou initiale (avant le test) en se servant du théorème de Bayes et des données métrologiques des tests (sensibilité, spécificité). Les notions de sensibilité et la spécificité des signes et des tests sont en voie d'être intégrées dans le raisonnement clinique. Dans un avenir proche, elles devraient faire partie des apprentissages de base à acquérir et des connaissances à utiliser pour décider des indications des examens complémentaires, ainsi que lors de la mise en évidence d'éventuelles anomalies et de la discussion de leur intérêt.

En pratique médicale, le raisonnement probabiliste est surtout utilisé *indirectement* pour la prise en charge des individus. Il est légitime de conseiller de se référer aux résultats "validés" par des méthodes statistiques toutes les fois que c'est possible. Toutefois il faut aussi savoir que toutes les situations cliniques et même toutes les méthodes diagnostiques ou thérapeutiques n'ont pas été contrôlées et soumises à évaluation statistique. On se trouve alors dans une variété d'incertitude, celle qui correspond à l'absence de données prouvées par défaut de connaissances validées dans un domaine particulier.

Quelle doit être l'attitude à adopter alors ? Le médecin ne peut surseoir à une prise de décision (voir chapitre "Décision médicale"). Il est alors amené à utiliser un mode de pensée différent et plus incertain, par exemple basé sur des hypothèses soit physiopathologiques soit causales. Dans d'autres cas, même, il ne lui reste que la possibilité d'utiliser le seul raisonnement analogique. Les décisions prises dans ces circonstances n'ont pas des bases aussi solides que celles qui s'appuient sur le niveau de preuve le plus élevé et validé par l'analyse statistique. Il est nécessaire que le praticien en soit conscient, ce qui ne doit pas l'empêcher d'agir mais peut l'inciter, si les circonstances et le degré d'urgence le permettent, de tâcher de trouver et d'utiliser le mode de pensée le plus rigoureux possible.

#### Capacités

- Dans de nombreux cas, le clinicien se fonde sur la connaissance des fréquences des signes, des caractéristiques métrologiques des tests de diagnostic ou, enfin, des chances de succès et/ou d'effets secondaires des traitements pour prendre des décisions. Ces connaissances ont l'avantage de s'appuyer sur des faits, et fournissent ainsi des données chiffrées sur lesquelles seront élaborés les calculs des probabilités des phénomènes attendus ou des hypothèses envisagées. (Ces utilisations ne sont qu'abordées ici. Elles sont développées selon les besoins au cours des prochains chapitres. Voir, en particulier, le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic").

#### Limites

- L'utilisation du théorème de Bayes nécessite de connaître les prévalences précises des maladies pour établir la probabilité initiale (probabilité prétest) et les qualités métrologiques (sensibilité et spécificité) du test utilisé. Or la connaissance exacte des valeurs de prévalences est parfois insuffisante voire nulle. On ne peut alors les utiliser que sur des estimations grossières et le calcul des probabilités peut être très imprécis.

• La mise en œuvre formelle du raisonnement probabiliste nécessite des moyens de calcul assez lourds (ou des programmes informatiques). Les ordinateurs et les programmes nécessaires à cette mise en œuvre sont encore peu nombreux au lit du malade ou au cabinet du médecin, ou leur utilisation balbutiante. Le développement d'ordinateurs "de poche" permettra probablement un recours plus facile à ces calculs dans les années à venir<sup>(1)</sup>.

• Il est aussi fait le reproche au raisonnement probabiliste de ne pouvoir rivaliser avec les qualités requises dont se sert le cerveau humain pour exercer des jugements cliniques. Le raisonnement probabiliste agit sans discriminer ni tenter de rechercher les arguments utiles au diagnostic et, en particulier, les conclusions logiques des situations et les possibles aides du raisonnement causal ou physiopathologique convenablement critiqués.

• Enfin il satisfait mal la question que se pose le patient vis-à-vis de son propre problème. A savoir : qu'en est-il de "mon cas particulier" ? Fais-je partie des 95% qui ont probablement le diagnostic de telle maladie X ou des 5% restants qui ont probablement le diagnostic de telle autre maladie Y, Z... ou de diverses autres possibilités.

### Le raisonnement analogique

Le raisonnement par analogie est le plus ancien des modes de raisonnement scientifique et, même au XIX<sup>e</sup> siècle, son utilisation (prudente) a permis des avancées considérables dans le domaine de la physique (voir les chapitres "Épistémologie").

Dans l'élaboration de la science médicale, nous l'avons vu, il semble d'un intérêt extrêmement limité, et parfois il peut être source d'erreurs dangereuses.

Son utilité pour la pratique médicale est tout aussi discutable. Il apparaît surtout relié au problème de reconnaissance de forme sur lequel on reviendra plus bas.

### Le raisonnement aidé par des algorithmes pragmatiques

Le raisonnement aidé par algorithme n'est pas à proprement parler un raisonnement médical. Il s'agit plutôt de l'application mécanique de procédés facilitant les opérations intellectuelles de résolution de problèmes de pratique médicale.

Les cheminement de la pensée y sont prédéfinis et élaborés par un ou plusieurs experts du domaine. À partir d'un symptôme ou d'une situation donnée, le chemin suit un certain nombre de branches possibles (on parle d'un "arbre décisionnel"). Telle ou telle branche est retenue suivant que se trouvent présentes une ou plusieurs conditions.

Le tableau ci-contre donne l'exemple concret d'un algorithme d'expert pour le diagnostic d'une mono-arthropathie.

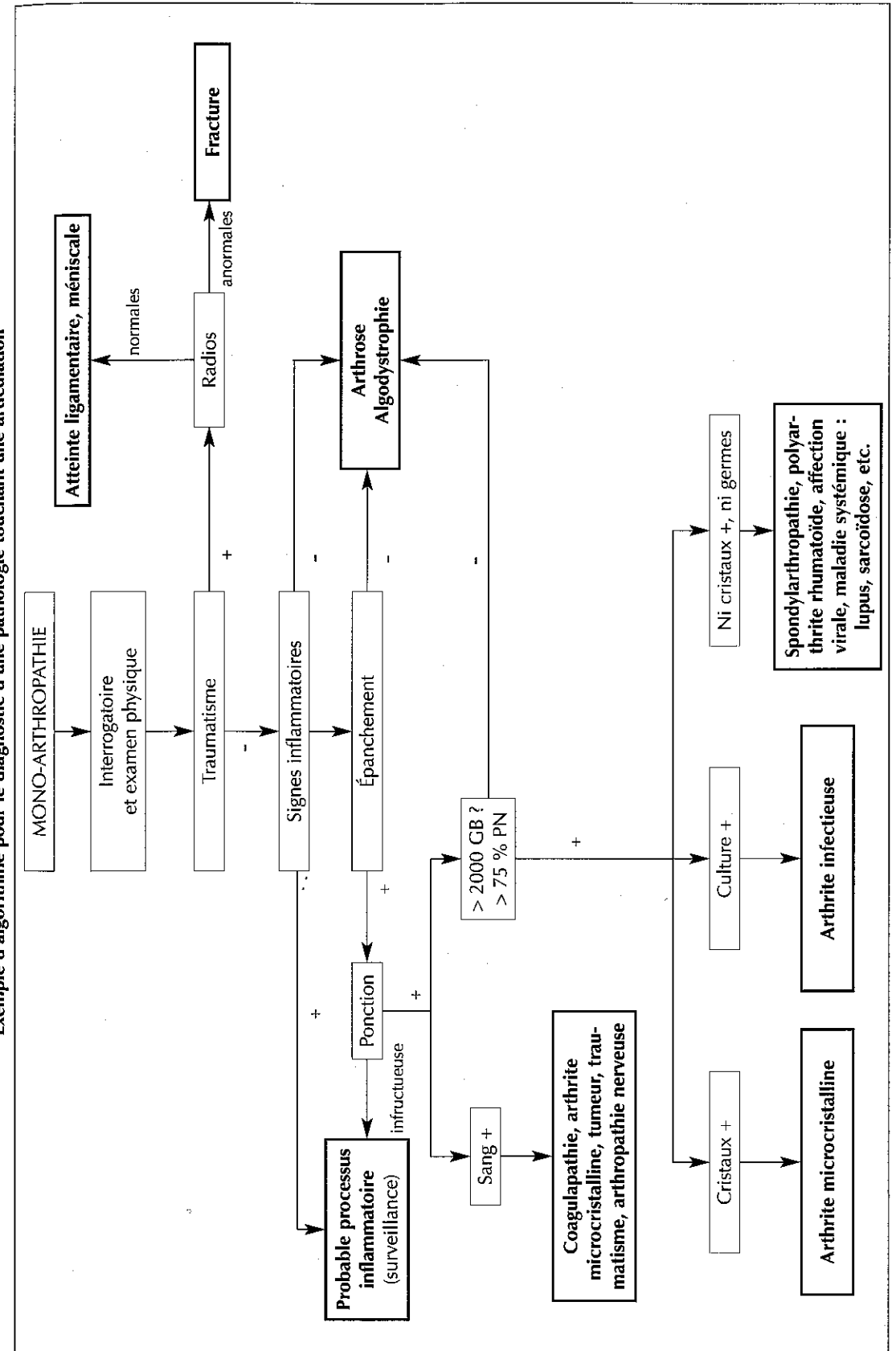
Des variantes de ce mode de raisonnement existent. Il est hautement probable que des praticiens de grande expérience élaborent pour leur pratique quotidienne des algorithmes pragmatiques, plus ou moins explicités et non formalisés, mais qui leur permettent des performances optimales par les raccourcis qu'ils permettent. Concernant l'utilisation possible de l'informatique, des programmes d'intelligence artificielle mettant en œuvre ces algorithmes ont été conçus.

Il est probablement trop tôt pour faire un bilan de l'intérêt de ces algorithmes pour la pratique courante. Leurs tenants publient des articles tendant à montrer l'efficacité de certaines expériences comme, par exemple, pour les urgences abdominales. Mais d'autres études semblent montrer le contraire. Une attitude critique paraît donc nécessaire :

- Il est nécessaire de rappeler, en exergue, que les algorithmes et les programmes n'ont pu être établis que sur les données conçues et fournies par des experts cliniciens qui, par conséquent, feront toujours mieux que les programmes, forcément réducteurs, qu'ils ont contribué à élaborer.
- Alors que des réflexions très fournies et de nombreuses expériences ont été menées à ce sujet, les applications pratiques ont tendance à "piétiner". Et certaines expériences malheureuses ne sont, en outre, probablement pas publiées.

<sup>(1)</sup> Il est à noter que, dans la pratique quotidienne, l'application d'un raisonnement probabiliste subjectif est parfois utilisée de façon implicite et non quantifiée pour aider à orienter le diagnostic. Il est certain que certaines situations font émerger, et même de façon quasi naturelle, des hypothèses diagnostiques. C'est ainsi qu'au cours d'une épidémie déclarée de grippe ou de rougeole les premiers symptômes de la maladie chez un nouveau patient évoquent irrésistiblement le diagnostic. On verra plus bas, dans le paragraphe "heuristiques", les problèmes qui sont associés à la gestion de ces probabilités subjectives.

Exemple d'algorithme pour le diagnostic d'une pathologie touchant une articulation



– Il est possible toutefois que certains problèmes puissent tirer profit d'une assistance par ordinateur. Ces possibilités seront probablement mieux précisées dans les années à venir.

#### Capacités

- Le raisonnement aidé par algorithme permet un cheminement assisté dans la démarche diagnostique ou les conduites thérapeutiques. Il permet de retrouver des connaissances (affections ou traitements) dont le praticien peut ne pas avoir connaissance ou en avoir perdu la mémoire.
- C'est un bon moyen pragmatique de résoudre les cas en pratique quotidienne pour les débutants.
- Il permet de pouvoir se remémorer et de ne pas négliger certains diagnostics rares ou qui peuvent échapper à l'évocation, ou certaines solutions et/ou conduites à tenir.

#### Limites

- Il ne s'agit pas d'un raisonnement à proprement parler pour l'utilisateur et ne vaut que par la qualité et le sérieux de son (ou de ses) auteur(s).
- Ses capacités et ses performances sont restreintes.
- Il favorise une certaine forme de passivité intellectuelle qui accentuent l'application des recommandations médicales opposables, et probablement dans un proche avenir, la diffusion d'équivalents des "recommandations de pratique" (voir chapitre "La protection sociale et l'économie de la santé"). Il ne réalise, comme ces dernières d'ailleurs, que des recettes dont on peut se demander quels seront, à long terme, les effets sur les capacités de discernement des médecins. Leur utilisation développée et trop étendue, favorisant la passivité, pourrait diminuer les efforts personnels de compréhension et d'activité intellectuelle dynamique qui permettent mieux l'adaptation à toutes les situations.

## La combinaison de divers modes de raisonnement

La combinaison de divers modes de raisonnement se réalise aussi bien pour la constitution du corpus des connaissances que pour son application qui sera seule abordée ici. Elle nous paraît très souvent utilisée en pratique, d'autant que les modes de raisonnement explicités ci-dessus sont le plus souvent intriqués. Par exemple, le praticien :

- a) commence par une impression forte de probabilité (raisonnement probabiliste) en période d'épidémie éventuelle puis recherche des signes spécifiques de l'affection invoquée ;
- b) ou bien se fait une première idée en appliquant une démarche de type descriptif, puis la complète par un enrichissement des données en recherchant les autres composantes du "tableau clinique", ou bien par un mode probabiliste élaboré ou par un mode physiopathologique ;
- c) ou bien teste une ou plusieurs hypothèses par l'une des méthodes précédentes puis, restant bredouille, se résout à tout reprendre en s'aidant d'un algorithme ;
- d) ou bien il utilise d'entrée un algorithme et il perfectionne les premières conclusions...

(Voir les différents chapitres sur le diagnostic, le pronostic et le traitement).

## LES HEURISTIQUES

Ce paragraphe présente une approche nouvelle due, essentiellement, aux développements des sciences cognitives<sup>(2)</sup>. L'application aux modes de pensée des médecins n'est qu'une application particulière des connaissances que ces sciences ont permis d'établir. Elle permet surtout une analyse des modes de pensées non explicites que les praticiens peuvent avoir sans en être conscients. Les erreurs que ces modes de pensée peuvent entraîner sont particulièrement intéressantes à connaître. De ce fait, un certain développement de cette approche paraît nécessaire.

L'ethnologie, la psychologie expérimentale et les sciences cognitives ont permis de mettre en évidence plusieurs mécanismes avec lesquels l'homme traite l'information pour faire des inférences, bien différents des raisonnements logiques que nous avons vu précédemment. Ces mécanismes, appelés *heuristiques*, mis en œuvre de manière *inconsciente*, sont issus des expériences quotidiennes. Ils ont une efficacité certaine, mais aboutissent fréquemment à des résultats biaisés. Kahneman et Tversky ont distingué trois heuristiques principales : l'heuristique de représentativité, l'heuristique de disponibilité et l'heuristique d'ajustement. La fréquence avec laquelle ces heuristiques sont utilisées dans la vie quotidienne, comme dans la pratique médicale, nécessite une bonne compréhension de leurs intérêts et, surtout, de leurs inconvénients.

<sup>(2)</sup> Les sciences cognitives considèrent le cerveau humain comme un système traitant les informations et étudient la façon dont le cerveau reçoit, emmagasine, transforme et transmet l'information.

## L'heuristique de représentativité

L'heuristique de représentativité permet d'attribuer, de classer un sujet ou une observation dans une catégorie, parce que ce sujet ou cette observation ressemble à la représentation que l'on a de la catégorie en question. Cette heuristique est similaire au processus de reconnaissance de forme des objets, et semble être à la base des systèmes classificatoires (et de représentation du monde) de nombreuses ethnies. Elle est aussi peu éloignée du raisonnement par analogie.

#### Capacités

Dans la pratique médicale, l'heuristique de représentativité peut être extrêmement efficace pour catégoriser immédiatement un malade présentant une maladie dans une forme classique (ou livresque), comme, par exemple, une fièvre typhoïde devant une fièvre avec dissociation du pouls et de la température, tymphos et taches rosées.

#### Limites

L'heuristique de représentativité est en revanche tributaire de la "base de données" du praticien, c'est-à-dire de l'expérience individuelle et de la qualité de celle-ci (par exemple, celui qui n'a jamais eu affaire à un simulateur ne pourra le reconnaître).

Cette heuristique est également insensible à la probabilité a priori (toutes les hypothèses ne sont pas aussi probables), au hasard (par exemple, la séquence de naissance de 3 garçons puis 3 filles : GGGFFF a autant de chances d'être observée que la séquence FGFGFG) et de ce fait amène à prédire fort mal (par exemple : après FGFGFG combien prédit-on G ?) et donne souvent une illusion de validité alors que trop d'attention a été portée à des données redondantes et corrélées.

Cette heuristique est enfin facilement abusée par une ressemblance marginale (les ressemblances l'emportent sur les dissemblances), et aussi prise en défaut par des variations d'origine statistique et notamment la régression vers la moyenne.

## L'heuristique de disponibilité

L'heuristique de disponibilité fait appel à la *mémoire* du passé pour évaluer la *probabilité subjective* d'un événement. Le sujet évalue la probabilité d'un événement en se remémorant tous les événements identiques qu'il a déjà vus ou vécus. Si cette mémoire est ample, représentative et intégralement accessible, cette heuristique peut être efficace. Toutefois, en pratique, la mémoire est souvent effaçable, sélective, paresseuse, partielle... Surtout, les événements les plus récents ou marquants (éventuellement par leur rareté) sont utilisés en priorité : ce sont les biais dits de *récence* et de *primauté*, faciles à comprendre. Cette heuristique est aussi particulièrement sensible aux idées préconçues : on retrouvera mieux dans sa mémoire les événements qui confirmeront nos attentes. Le résultat en sera évidemment fortement biaisé.

#### Capacités

L'heuristique de disponibilité est efficace pour le praticien expérimenté et critique. Elle peut lui fournir, notamment pendant la démarche diagnostique, une probabilité subjective "de départ" (à l'issue de l'anamnèse par exemple) pour chacune de ses hypothèses, probabilités qui seront ensuite reconsidérées en fonction des résultats de l'examen clinique ou des tests diagnostiques.

#### Limites

L'heuristique de disponibilité a surtout des inconvénients contre lequel le praticien devrait lutter en permanence. Cette heuristique le ramène en effet toujours vers les expériences récentes, les derniers diagnostics marquants, les dernières publications qu'il a lues, les discours des derniers visiteurs médicaux... Il est notamment classique de voir un médecin qui a fait un diagnostic brillant ou rare avoir tendance à vouloir le refaire avec une fréquence injustifiée dans la suite rapprochée de cet épisode.

## L'heuristique d'ajustement et l'effet d'ancrage

L'heuristique d'ajustement a encore rapport avec la gestion des probabilités subjectives. Après l'acquisition de connaissances ou d'informations nouvelles, la probabilité subjective qu'un sujet se fait d'un événement varie : elle s'"ajuste" à la nouvelle situation. Malheureusement ce mécanisme d'ajustement est assez vite saturé par l'effet d'ancrage.

L'effet d'ancrage se manifeste par l'insuffisance d'ajustement des probabilités subjectives aux résultats des observations : il s'agit d'une mauvaise gestion des probabilités conditionnelles (telles qu'elles pourraient être déterminées par l'utilisation du théorème de Bayes). Malgré les observations successives qui informent sur la probabilité d'un événement, les sujets restent le plus souvent trop prêts de la probabilité initiale, comme s'ils y étaient "ancrés"<sup>(3)</sup>.

<sup>(3)</sup> Ce "conservatisme" mental a été remarquablement mis en évidence par des expériences telles que celle de faire calculer à des sujets, d'une part  $8 \times 7 \times 6 \times 5 \times 4 \times 3 \times 2 \times 1$  et d'autre part  $1 \times 2 \times 3 \times 4 \times 5 \times 6 \times 7 \times 8$ . Les résultats (le résultat du premier produit est au moins deux ou trois fois plus élevé que le résultat du second) témoignent de la saturation rapide de l'heuristique d'ajustement.

Cette heuristique est apparue encore peu performante pour l'évaluation de la probabilité de deux événements co-occurents, et en particulier de la probabilité de la disjonction (l'un ou l'autre des événements) : certaines expériences ont même montré que des sujets jugeaient plus probables que deux événements se produisent simultanément qu'isolément ou même qu'un seul des deux se produise. C'est probablement ce même mécanisme qui est en cause dans l'interprétation causale de la *connexité* (deux événements A et B sont liés s'ils se produisent en même temps).

#### Limites

En pratique médicale, et en particulier dans la démarche diagnostique, la faillite fréquente de la gestion heuristique des probabilités par les praticiens doit être soulignée (D.M. Eddy en a publié de beaux exemples pour le diagnostic du cancer du sein).

## Modes de pensées entre heuristiques et raisonnements

Comme nous l'avons signalé à plusieurs reprises, la distinction entre les modes de pensée conscients et inconscients n'est toujours très facile et il y a un continuum qui reste assez flou entre les raisonnements et les heuristiques (ainsi qu'entre le conscient et l'inconscient...). Il y a une parenté évidente entre l'heuristique de représentativité, le raisonnement descriptif et le raisonnement analogique. Il y aussi fréquemment un raisonnement probabiliste "à minima" en continuité avec les heuristiques de disponibilité et d'ajustement. De plus, les deux modes de pensée peuvent être utilisés successivement, voire simultanément.

En pratique médicale, heuristiques et raisonnements sont fréquemment associés. Leur association revêt même deux formes typologiques de fonctionnement intellectuel dont il faut parler : le mode de pensée individuel "rigoureux" et le mode de pensée par "jugement éclairé".

### Le mode de pensée individuel "rigoureux"

Il s'agit d'un mode de pensée utilisant l'expérience professionnelle personnelle du praticien dans l'acquisition des connaissances et leur utilisation. Ce raisonnement du clinicien expérimenté a fait l'objet de peu de références bibliographiques. Le développement qui suit est le fruit de l'observation des pratiques médicales et d'une réflexion suscitée par les remises en cause d'habitudes qui avaient ou qui ont encore cours dans la pratique médicale quotidienne. La discussion de ce raisonnement pourrait sembler artificielle si un débat n'avait pas lieu, actuellement, sur la validité des connaissances et des expériences acquises "sur le tas". Quelle est donc la valeur du savoir personnel dans le raisonnement médical et quelle place faut-il lui assigner ?

Une analyse critique nous paraît devoir envisager les points suivants :

- Il est certain que l'expérience acquise est précieuse et qu'elle aide grandement à résoudre les problèmes. Il ne s'agit, en disant cela que de l'énoncé d'un truisme. Il en est des raisonnements comme des autres activités : les courbes d'apprentissage sont plus ou moins difficiles à établir mais l'amélioration par l'apprentissage est incontestable quelle que soit l'activité à laquelle il s'adresse.
- Il est non moins certain, toutefois, que certaines erreurs de jugement se produisent lors de l'élaboration et de l'utilisation de cette sorte de connaissances. Ces erreurs sont dues à une trop grande confiance en ce qui a été observé à titre personnel et qui risque de ne pas avoir été convenablement critiqué et perd ainsi sa faculté de généralisabilité. Les notions retenues ne sont pas toujours aussi contrôlées que lorsqu'elles sont passées au crible de l'opinion de la communauté scientifique (bien que certains médecins aient une très grande finesse d'analyse et que la communauté scientifique ne fasse pas toujours preuve du discernement qu'on pourrait attendre et exiger d'elle).

Faut-il pour autant en faire une doctrine et tenir en suspicion tout le savoir acquis individuellement par les praticiens lors de leur exercice ? Cela semble à la fois injustifié et irréaliste :

- Injustifié car l'expérience acquise est précieuse et irremplaçable, qu'elle est étroitement intriquée avec l'apprentissage des gestes de sémiologie et de pratique quotidienne et que l'observation des comportements montre l'utilité du recours aux avis des "seniors" pourvus d'expérience.
- Irréaliste car comment empêcher un esprit qui a plusieurs modes de fonctionnement - et pas toujours explicites en outre - de les utiliser ; surtout quand il font appel à ce que l'individu a vécu et qui risque de l'avoir le plus marqué.

Il semble cependant nécessaire d'attirer l'attention sur la possibilité que certaines des notions ainsi acquises ne sont valables que si elles font, elles aussi, l'objet d'une prise de conscience de leur fragilité et d'une critique serrée de la part de celui qui les acquiert (comme, d'ailleurs, pour beaucoup d'autres connaissances) et les applique. Il serait bon aussi que le praticien confronte par principe le fruit de son expérience personnelle

aux connaissances scientifiques publiées qui font, elles, l'objet de la critique de la communauté et/ou des autres confrères. Les moyens modernes de communication le permettent de mieux en mieux. Cette pratique, fortement recommandable, diminuerait ainsi beaucoup les chances de prendre en compte des impressions ou des conclusions hâtives ou erronées. La discussion des cas, lors des prises de décisions collégiales, pourrait jouer un rôle dans l'amélioration de la prise en compte des divers arguments en développant la critique constructive. Mais c'est une procédure qui peut être, elle-même, pervertie.

#### Capacités

- Certains praticiens expérimentés utilisent souvent leur expérience personnelle pour réaliser, très rapidement, et de façon "pseudo-intuitive"<sup>(4)</sup>, mais en réalité très élaborée, un diagnostic, un pronostic ou un plan de traitement en se basant soit sur des cas analogues et déjà résolus, soit sur un mélange de données théoriques et d'expérience personnelle.
- Ces praticiens font appel à une sorte de base de données individuelle qui leur permet de parcourir très vite, et avec une grande efficacité, les différents temps de leurs démarches intellectuelles. Les termes, souvent trouvés dans les expressions populaires ou littéraires, de "flair clinique" et "d'art" nous paraissent correspondre en partie à cette faculté. Celle-ci ne relève pas d'un don particulier, sauf si on admet que celui-ci désigne les capacités intellectuelles de discernement et de jugement individuelles.

Quoi qu'il en soit, il en résulte un gain de temps et une économie de moyens incontestables. Ces qualités ne peuvent donc être rejetées et devraient même être exploitées de façon rationnelle en encourageant de diverses façons ceux qui s'en montrent pourvus et qui en font une utilisation correcte et digne.

#### Limites

- Comme pour toutes les activités "praticien-dépendantes", une incertitude règne sur la valeur de ce type de raisonnement. Elle s'ajoute aux incertitudes sur la qualité de l'exécution des actes techniques et à celles inhérentes à la science médicale elle-même. Elle ne dispense en aucune façon de connaître les connaissances bien établies et acceptées par la communauté scientifique et sans controverses de sa part.
- Il est aussi certain que chaque praticien a, dans le domaine du raisonnement, des prédispositions qui lui sont propres. Et ces qualités n'ont rien à voir avec les capacités mnésiques de notions théoriques utilisables (capacités sur lesquelles les médecins sont actuellement sélectionnés) qui peuvent, par contre, être plus ou moins bien utilisées.

### Le mode de pensée par "jugement éclairé"

Ce mode de pensée n'est pas, à notre connaissance, répertorié dans la littérature sur le raisonnement médical. Ce développement est aussi inspiré par l'observation de comportements de médecins qui y ont recours sans que le phénomène ait été jusqu'ici clairement explicité et analysé.

*Il existe ainsi un mode de pensée non explicité et cependant fréquemment pratiqué : la recherche de la preuve par un processus assimilable à la recherche de la preuve en justice.*

Ce mode de pensée se différencie des heuristiques et des raisonnements précédemment envisagés par son essence même qui est, comme dans les jugements de justice, basée sur "l'intime conviction".

L'intime conviction des juges se fonde sur les données apportées par l'enquête policière préalable. On entend souvent dans le langage médical prononcer, justement, ce terme "d'enquête policière" lors de la recherche d'une cause. La recherche d'un allergène, d'un toxique d'un trouble métabolique est monnaie courante dans la quête de l'étiologie d'un syndrome dermatologique ou polynévritique, etc., et des exemples en sont quotidiens.

Bien souvent la décision médicale se fonde sur un processus intellectuel dont les composantes sont nombreuses et plus ou moins conscientes. C'est à ce moment que nous paraît intervenir cette sorte de raisonnement qui fait que le praticien se dit de façon plus ou moins explicite, mais avec assurance, qu'il est arrivé à l'intime conviction que "c'est ça".

Ce mode de pensée ne vaut évidemment que pour un cas particulier à la fois et exclut la possibilité de généralisation car (par sa nature même) il comporte une part subjective. De plus, il est difficile de savoir s'il peut fonctionner, chez tous, de façon rigoureuse ou, au contraire, s'il peut aboutir à des conclusions douteuses, voire erronées. Les sciences cognitives nous ont appris en effet que de nombreux biais s'introduisent dans les jugements portés dans l'incertitude. Or c'est cette situation qui se trouve réalisée le plus souvent quand on a recours à ce dernier mode de pensée.

<sup>(4)</sup> Le terme pseudo-intuitif est utilisé pour indiquer qu'il ne s'agit pas d'une intuition authentique puisque le processus intellectuel qui intervient, en fait, n'est que le fruit d'une procédure accélérée de raisonnement maintes fois répétée et de ce fait apparaissant de façon quasi instantanée à la conscience.

Se pose alors la question suivante : le praticien peut-il rester "paralysé" par l'absence de certitude ? La pratique médicale est incompatible avec ce type de comportement. Il paraît donc que cette ultime voie pour tenter de résoudre le problème se trouve justifiée et se légitime à la condition qu'elle s'accompagne d'une grande prudence et d'une démarche éthique renforcée, dont les termes sont :

1. s'efforcer de faire plus de bien que de mal et
2. informer le malade et lui demander de participer à la décision.

Ce développement rejoint les considérations sur le rôle et la part joués par l'hypothèse en médecine.

## CONSIDÉRATIONS SUR L'INCERTITUDE ET LE RÔLE ET LA PART JOUÉS PAR L'HYPOTHÈSE EN PRATIQUE MÉDICALE

En pratique quotidienne, certains nœuds décisionnels ne peuvent être résolus qu'en faisant un choix entre deux ou plusieurs hypothèses, car le médecin se doit de prendre une décision quand il est confronté à une situation humaine. Il est possible que ce qui caractérise le bon praticien consiste dans sa capacité à faire le plus souvent les bonnes hypothèses... Si on se livre à une analyse critique de l'utilisation des différents modes de pensée en médecine et de la solidité de leur support, on peut constater deux notions principales.

*La première a trait à l'élaboration des connaissances.* Dans ce domaine le praticien ne devrait utiliser que des connaissances prouvées et généralisables. Et seules des connaissances qui ont été validées par la méthode expérimentale ont un niveau de validité satisfaisant. Il serait logique de n'utiliser qu'elles. Or les seuls domaines où l'expérimentation peut apporter ce type de preuve sont cantonnés presque exclusivement aux essais thérapeutiques et à quelques autres manœuvres comme les mesures de prévention. De plus, les considérations éthiques restreignent les possibilités de recours à la procédure expérimentale.

Pour tout le reste, la validation scientifique a recours à des procédures de comparaison moins satisfaisantes ou à l'usage de preuves indirectes (dont le niveau est moins satisfaisant), ou à un jugement. C'est ainsi que c'est un jugement du praticien-chercheur qui intervient dans la construction des entités nosologiques et dans l'établissement de relations causales. On peut faire remarquer aussi que tous les progrès authentiques qui ont pu être faits avant la mise en œuvre des essais contrôlés l'ont été grâce à ce type de démarche, ce qui permet de constater qu'on peut agir efficacement même en l'absence de certitudes démontrées.

*Il est toutefois souhaitable de réduire au maximum ces démarches incertaines. C'est ce que prônent les tenants de l'Evidence Based Medicine (voir le chapitre consacré à ce sujet).*

Néanmoins, même en matière de science "dure", les théories sont falsifiables, selon la terminologie de Popper, les événements suivent des lois de probabilités et les chercheurs ne concluent que sur des données hautement probables, ce qui n'exclut pas des risques, bien que minimes, d'erreur (en matière de bio-pathologie et dans le cadre des essais, ces risques sont fixés et portent même le nom de risques alpha et bêta : voir le chapitre "Élaboration des connaissances thérapeutiques").

Il est donc clair que les décisions médicales ne peuvent, en l'état actuel de la science médicale, toujours être prises sur des connaissances certaines et prouvées.

*La seconde a trait à la pratique quotidienne.* Dans ce domaine ce n'est pas la généralisabilité du résultat qu'on recherche, mais, au contraire, le processus inverse et il faut juger si la conjoncture permet de passer du général au particulier. Lorsqu'on parle d'hypothèse diagnostique, on utilise un terme qui n'a pas la même signification que l'hypothèse de recherche. On ne peut prétendre dans ce cas à faire plus que recueillir suffisamment d'arguments pour pouvoir prendre la décision d'accepter tel diagnostic. Il s'agit d'une acceptation d'hypothèse et non de preuve au sens épistémologique du terme.

C'est ainsi que le jugement du praticien intervient pour l'établissement de l'étiologie (le jugement de causalité). Un jugement intervient aussi pour la clôture du processus diagnostique (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic").

Faute de disposer pour chaque situation d'un essai contrôlé montrant le bien fondé d'une méthode ou d'une démarche, les décisions doivent être prises par extrapolation sur les résultats d'essais qui ne portent pas sur une population strictement comparable à celle qu'on assignerait au patient, ou sur la base de faits observés, ou à partir de connaissances causales ou physiopathologiques générales. Ces éléments permettent de générer une hypothèse - d'assez à très - vraisemblable mais, naturellement, improuvable scientifiquement. Cette hypo-

thèse fait l'objet d'une confirmation par jugement. Et c'est pourtant sur la base de pareilles hypothèses "acceptées" ou "retenues par jugement" que se prennent beaucoup de décisions<sup>(5)</sup>.

Ces notions devraient faire l'objet de recherches et subir un développement dans les années à venir. Il serait peut être bon de trouver un terme adéquat pour désigner, dans l'exercice pratique de la médecine, d'une part, l'hypothèse soumise à examen critique et en attente d'acceptation et, d'autre part, l'hypothèse acceptée après jugement "confirmatif".

## LES MODES DE PENSÉE NON SCIENTIFIQUES

Ces modes de pensée ne devraient pas avoir leur place dans la pratique médicale. Ils ne sont mentionnés ici que parce qu'on ne peut que constater qu'ils existent encore et qu'il est nécessaire de mettre en garde les praticiens mais aussi les patients et le public au sens large du terme afin qu'ils ne tombent pas dans leurs pièges (d'autant que quelques-uns de leurs avatars nous paraissent, encore, très répandus).

Certains, parmi ces modes de pensée, sont surtout le fait des patients ou de groupes de pression, d'autres sont plutôt le fait de membres du corps médical, mais l'absence de rigueur est parfois contagieuse et "détéint des uns sur les autres"<sup>(6)</sup>.

Nous en faisons ici un inventaire avec les critiques essentielles afférentes. Par commodité ils seront schématiquement classés en : "modes de pensée irrationnels" et "modes de pensée non rigoureux".

### Modes de pensée "irrationnels"

Ces modes de pensée reposent sur des systèmes de représentations ne s'inspirant pas de principes scientifiques ou rationnels au sens large.

L'histoire de la médecine nous apprend qu'ils ont été longtemps prédominants. Ils restent présents chez une partie des malades et même chez certains médecins. Leur acceptation est facilitée par l'angoisse que provoque la maladie et par la crainte, réelle ou non de la mort. Ces systèmes de représentations seront discutés dans le chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels". On ne fera que les mentionner ici :

- les modèles interprétatifs de la maladie (destin, punition divine, magie et sorcellerie)
- le modèle consumériste.

### Modes de pensée "non rigoureux"

Ces modes de pensée relèvent également de différents concepts.

#### Mode de pensée s'inspirant de dogmes

La maladie est, dans ce cas, conçue comme le résultat de conflits entre des principes contradictoires (comme le bien et le mal, par exemple) ; ces notions étaient assez fréquentes dans les médecines de l'Antiquité et le restent dans les médecines dites "traditionnelles" ou des communautés immigrées (voir chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels").

#### Mode de pensée s'inspirant de théories non démontrées

Ce mode de pensée s'apparente parfois au précédent : la maladie est, là, conçue comme due à une lésion ou à un mécanisme qui ne sont que le fruit d'une spéculation, mais érigée en principe fondateur. Il en est de

<sup>(5)</sup> Comme nous l'avons déjà dit et comme nous le verrons au chapitre consacré à la décision médicale, le praticien ne peut pas, dans son activité professionnelle, se retrancher derrière une absence de connaissances parfaitement établies pour ne pas prendre une décision. Il est dans l'obligation de décider. Mais il doit être conscient de cette situation. Il agit pour le mieux certes, mais il le fait finalement sur la base d'un jugement intime qui l'amène à la conviction qu'il détient la plus grande probabilité d'avoir fait l'hypothèse exacte. Le dernier argument repose sur "le bien possible à faire à son patient après avoir pesé les avantages et les inconvénients ou les dangers de chacun des choix possibles".

<sup>(6)</sup> C'est ainsi, par exemple, que des essais thérapeutiques, voire des méta-analyses, ont pour objet des méthodes se réclamant des médecines dites "alternatives". Cette attitude assez paradoxale des comités scientifiques de lecture de revues "sérieuses" s'explique probablement par le souci de ne pas adopter une attitude dogmatique en refusant de prendre en considération des essais sur ces sujets. Cependant la rationalité et la cohérence intellectuelle sont mises à rude épreuve car il ne suffit pas de se conformer à l'application d'une méthodologie rigoureuse pour justifier des concepts fondés sur des théories non scientifiques et basées sur des dogmes a priori.

même des traitements conçus et appliqués sur ce type de bases. Quelques exemples seront simplement cités comme : la responsabilité du "déplacement intervertébral" et son corollaire ostéopathique, le traitement des maladies par les "semblables" et son corollaire homéopathique, le diagnostic par une méthode d'analyse du poulx ou de l'iris, les possibilités curatives des points d'acupuncture, etc. Il est à noter que, malgré leurs bases très précaires et récusables, les traitements qui en sont inspirés font l'objet d'essais répétés dont certains, comme cela est prévisible, peuvent, par le simple hasard et bien que rarement (environ une fois sur 20, c'est le risque "alpha" : voir le chapitre "Élaboration et validation des connaissances thérapeutiques") atteindre le seuil de la signification admis pour des essais de thérapeutiques rationnelles.

## Mode de pensée non rigoureuse car s'inspirant de (ou fondées sur) des hypothèses non démontrées

Nous ne traitons ici que des conséquences des hypothèses non démontrées dans l'utilisation des connaissances. Nous avons vu au chapitre "Épistémologie générale" que les hypothèses non démontrées restent du domaine de la spéculation et non de la connaissance scientifique prouvée. Au niveau conceptuel et épistémologique il est bon de rappeler que certaines hypothèses scientifiques peuvent être insuffisamment validées et que les théories scientifiques, elles-mêmes, sont "falsifiables".

Des erreurs peuvent être commises même par des tenants de la médecine scientifique. Elles sont probablement fréquentes mais peuvent passer inaperçues car elles sont commises par insuffisance d'examen critique et par indigence du niveau de preuve.

Les théories physiopathologiques et les thérapeutiques qu'elles inspirent et qui durent habituellement le temps d'une mode (mais qui peuvent, parfois, être très tenaces) ne se comptent plus. Leur apparente cohérence avec certains faits d'observation expliquent qu'elles puissent naître et acquérir une certaine crédibilité, voire même être très séduisantes. Mais elles ne peuvent être admises, à tort, que par manque d'analyse critique, acceptation prématurée de conclusions et insuffisance de procédures de réfutation.

Ces théories intéressent surtout les mécanismes de certaines affections ou de troubles coexistants avec des lésions dégénératives ou non spécifiques auxquelles on les rattache à tort alors qu'il ne s'agit que d'une simple coïncidence sans aucun rapport de causalité. Il en est de même de la simple succession temporelle de deux événements (voir le chapitre "Épistémologie médicale").

## Modes de pensée relevant de disciplines intellectuelles non médicales mais interférant avec les modes de pensée spécifiques des connaissances médicales et de l'exercice de la médecine

Ces modes de pensée ne seront que brièvement présentés ici. Ils font l'objet de développements particuliers par la suite (voir les chapitres 17, 18, 19 et 20).

De tous temps, et bien avant que la médecine ait pu réaliser des progrès thérapeutiques que l'utilisation d'une science médicale performante avancée a rendu possibles, l'exercice proprement dit de la médecine a posé des problèmes humains. Ces considérations ne touchent pas les mécanismes internes du raisonnement médical mais la façon dont il s'applique, en pratique, dans l'exercice de la profession. Nous ne ferons ici que les évoquer rapidement car elles seront l'objet de développements dans les chapitres qui leur sont consacrés.

### Morale et éthique - Philosophie - Religion

Ces disciplines ont des liens de parenté majeurs avec la médecine. Le serment d'Hippocrate, même s'il a subi des modifications, a traversé les millénaires et il faut souhaiter que son esprit continue d'inspirer les médecins malgré certaines pressions qui se font de plus en plus vives de la part de la société (voir le chapitre "Éthique").

### Psychologie

Parmi les facteurs humains impliqués dans l'exercice médical, le plus évident et le plus indiscuté est l'abord psychologique du patient. Les limites de la psychologie et de la psychiatrie sont discutées dans le chapitre "Cas complexes".

### Législation - Déontologie

Ces disciplines règlent l'activité pratique. Leurs prescriptions s'inspirent des principes et des fondements qui inspirent les législateurs. Les lois, ainsi que les articles du code de déontologie, s'imposent au praticien dans son activité professionnelle de tous les jours. Elles ont une valeur contraignante, voire punitive.

### Société et culture

Les croyances, l'idéologie d'une société dominante varient dans l'espace et le temps. Le raisonnement médical proprement dit ne devrait pas être affecté par ces variations puisque son inspiration scientifique le rend neutre et insensible à ces considérations. Cela est vrai au niveau conceptuel. Mais les pressions de la société sont importantes et elles peuvent participer à entraîner des modifications de l'exercice par les changements des conditions de travail mises à disposition du corps médical (voir le chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels").

### Économie et financement de la médecine

C'est dans le domaine économique que les facteurs sociaux évoqués ci-dessus s'expriment avec le plus de vigueur. La pratique médicale est de plus en plus dépendante de décisions économiques, mais le raisonnement médical en lui-même ne devrait pas être affecté par ces considérations (voir chapitre "La protection sociale et l'économie de la santé").

## POUR EN SAVOIR PLUS

- ADAMS ID, CHAN M, CLIFFORD PC, COOKE WM, DALLOS V, DE DOMBAL FT, EDWARDS MH, HANCOCK DM, HEWETT DJ, MCINTYRE N, et al. Computer aided diagnosis of acute abdominal pain: a multicentre study. *Br Med J* 1986 ; 293 : 800-4.
- BERNARD C. Introduction à l'étude de la Médecine expérimentale (reprint). Paris, Flammarion, 1994.
- BERWICK DM et al. When doctors meet numbers. *Am J Med* 1981 ; 71 : 991-8.
- DE DOMBAL FT, DALLOS V, McADAM WA. Can computer aided teaching packages improve clinical care in patients with acute abdominal pain? *BMJ* 1991 ; 302 : 1495-7.
- EDDY DM. Probabilistic reasoning in clinical medicine : problems and opportunities. In *Judgment under uncertainty*. Kahneman D, Slovic P, Tversky A., Editors. Heuristics and biases. Cambridge University Press, Cambridge, 1982.
- FEINSTEIN AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. The Domains and disorders of clinical macrobiology. *Yale J Biol Med* 1973 ; 46 : 212-232.
- FEINSTEIN AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. The Construction of Clinical Algorithms. *Yale J Biol Med* 1974 ; 1 : 5-32.
- GOUGH IR. Computer assisted diagnosis of the acute abdomen. *Aust N Z J Surg* 1993 ; 63 : 699-702.
- KASSIRER JP, GORRY GA. Clinical problem solving: a behavioral analysis. *Ann Intern Med* 1978 ; 89 : 245-255.
- KAHNEMAN D, SLOVIC P, TVERSKY A. Judgment under uncertainty : heuristics and biases. *Science* 1974 ; 198 : 1124-31.
- KASSIRER JP. Teaching problem-solving--how are we doing? *N Engl J Med* 1995 ; 332 : 1507-9
- KIHILSTROM JF. The cognitive unconscious. *Science* 1987 ; 237 : 1445-52.
- LEVI-SRAUSS C. La pensée sauvage. Paris, Plon, 1957.
- PATERSON-BROWN S, VIPOND MN, SIMMS K, GATZEN C, THOMPSON JN, DUDLEY HA. Clinical decision making and laparoscopy versus computer prediction in the management of the acute abdomen. *Br J Surg* 1989 Oct ; 76(10) : 1011-3.
- POPPER K. La Logique de la découverte scientifique (Traduction française). Paris, Bibliothèque Scientifique Payot, 1990.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Différents modes de pensée sont utilisés en pratique médicale. Suivant le niveau de conscience impliqué, on peut, schématiquement, distinguer :
  - les modes de pensée qui font appel à une construction intellectuelle formelle ou utilisation explicite, ce sont les raisonnements proprement dits ;
  - les modes de pensée qui ne font pas appel à un raisonnement formalisé ou utilisation implicite, et que les spécialistes des sciences cognitives dénomment "heuristiques". Des formes intermédiaires entre les raisonnements et les heuristiques existent également.
- Une autre distinction doit être faite entre les modes de pensée, ou les raisonnements, scientifiques et les autres. Parmi les raisonnements scientifiques, le mode de raisonnement descriptif, le mode de raisonnement causal, le mode de raisonnement physiopathologique et le mode de raisonnement probabiliste sont utilisables, et utilisés, en pratique médicale. Chacun d'entre eux a des capacités et des limites propres à bien connaître. Le raisonnement analogique et le raisonnement basé sur, ou aidé par, des algorithmes sont plus controversés.
- Les heuristiques, sorte de court-circuits mentaux permettant de faire des inférences (ou des jugements), ont une efficacité certaine, mais aboutissent souvent à des résultats biaisés. Kahneman et Tversky ont distingué trois heuristiques principales : l'heuristique de représentativité, l'heuristique de disponibilité et l'heuristique d'ajustement. Elles sont très fréquemment utilisées dans la vie quotidienne comme dans la pratique médicale.
- Enfin, des modes de pensée non rationnels ou relevant de disciplines intellectuelles non médicales (économie, éthique, religion...), mais interférant au quotidien dans la pratique de la médecine, sont également fréquents.

- REISMAN Y. Computer-based clinical decision aids. A review of methods and assessment of systems. Med Inform (London) 1996 ; 21 : 179-197.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown, 1991.
- SOX HC Jr. Probability theory in the use of diagnostic tests. An introduction to critical study of the literature. Ann Intern Med 1986 ; 104 : 60-66.
- WARTOFSKY MW. Clinical judgment, expert programs, and cognitive style : a counter-essay in the logic of diagnosis. J Med Philos 1986 ; 11 : 81-92.

## Chapitre 11

# L' "EVIDENCE-BASED MEDICINE" OU LA MÉDECINE BASÉE SUR LES FAITS PROUVÉS

La croissance et le renouvellement rapide du corpus des connaissances médicales ont dépassé dans les années quatre-vingts les capacités de diffusion des voies traditionnelles de l'acquisition et la transmission des savoirs médicaux, notamment cliniques. De nouvelles formes de pratique médicale, comme l' "Evidence-based medicine", sont apparues. Cette dernière, qui a pris naissance en Amérique du Nord au début des années quatre-vingt-dix, connaît une vogue certaine depuis quelques années en Europe, et atteint actuellement la France.

## LE RENOUVELLEMENT DES CONNAISSANCES MÉDICALES ET DE LEUR DIFFUSION EN PRATIQUE CLINIQUE

En France, comme dans la plupart des pays occidentaux, la transmission des savoirs médicaux utiles à la pratique clinique empruntait, de façon traditionnelle et jusqu'au début de la décennie 1980, une double voie, théorique et pratique.

### Les voies traditionnelles de la transmission du savoir médical et leur remise en cause

Les connaissances théoriques étaient transmises par l'enseignement universitaire, les livres de compilation et la presse médicale, le plus souvent émanation de sociétés savantes nationales ou locales. Ce savoir scientifique à renouvellement lent, avait des répercussions amorties sur la pratique clinique, et arrivait en quelque sorte déjà "digéré" chez les utilisateurs.

Les connaissances pratiques et le "savoir-faire" clinique étaient acquis au lit du malade au cours de séjours plus ou moins prolongés en milieu hospitalier. L'externat supprimé (et remplacé par des stages obligatoires), et, pour une faible proportion des médecins "spécialistes", l'internat et le clinicat permettaient l'acquisition, dans un compagnonnage hospitalier plus prolongé, des *savoirs pratiques*<sup>(1)</sup>.

Ce modèle dualiste de la transmission, a été remis en cause dans les années quatre-vingts par la conjonction de plusieurs phénomènes.

Le facteur le plus déterminant dans la remise en cause de ce modèle de formation et de transmission a été l'accélération du renouvellement des connaissances médicales. L'investissement massif des sociétés occidentales dans la recherche biologique et médicale, soutenue par la croissance économique de l'après-1945, a commencé à porter ses fruits dès les années soixante. Les découvertes fondamentales et le passage rapide dans la pratique de certaines d'entre elles, via les "nouvelles technologies" biologiques ou d'imagerie, a enrichi les moyens mis à la disposition des médecins dans la prise en charge des malades. *On estime que la demi-vie des connaissances médicales produites aujourd'hui est inférieure à 10 ans* (dans 10 ans, plus de 50 % de ces connaissances seront obsolètes). Mais cet apport en nouvelles connaissances et technologies, diffusées de manière rapide et souvent anarchique, a déstabilisé le système d'enseignement et de diffusion des connaissances médicales, qui n'a pas toujours su s'y adapter et suivre l'accélération du mouvement dès les années quatre-vingts. Pour une part aussi, cette diffusion incontrôlée a contribué à un gaspillage certain des ressources du système de santé, motivant ainsi une intervention accrue des financeurs publics et privés qui exigent de plus en plus fermement une justification d'efficacité pour ces dépenses.

En France, d'autres phénomènes déstabilisant ce modèle sont intervenus. D'abord, la prise de conscience de l'insuffisance de la formation pratique à la clinique de la grande majorité des médecins qui restaient à l'écart de l'internat a incité le législateur à instaurer un internat "pour tous" en 1985. Les bénéfices à long terme de ce nouvel internat n'ont pas encore été précisément évalués. L'afflux de jeunes internes en milieu hospitalier, qui a suivi la réforme de 1985, a souvent dépassé les capacités d'accueil et d'encadrement existant, et par-

<sup>(1)</sup> En fait, il s'agissait souvent d'un enseignement "mixte". L'enseignement théorique était aussi transmis par compagnonnage au lit du malade par les "Maîtres" (notamment en chirurgie).

fois démobilisé les seniors qui assuraient la formation clinique des étudiants hospitaliers et des internes. Ensuite, le prestige exceptionnel des disciplines biologiques (immunologie puis biologie moléculaire) dès le début des années soixante a contribué à l'affaiblissement du recours au modèle de formation clinique par compagnonnage hospitalier. L'attrait des jeunes pour ces disciplines, relayé par le législateur qui, encouragé la filière des Maîtrises et DEA biologiques et de sciences fondamentales, a entraîné les meilleurs jeunes médecins dans les laboratoires de biologie, au détriment de la recherche clinique hospitalière et de la recherche en évaluation des soins, et finalement de la qualité de la pratique clinique elle-même.

## Les nouvelles voies de la diffusion et la révolution des réseaux informatiques : une information médicale immédiate et partagée, les réseaux informatiques

L'afflux rapide de nouvelles connaissances scientifiques et l'apparition de nouvelles techniques informatiques de diffusion, les réseaux ou "autoroutes de l'information" : internet et intranets contribuent aussi à raccourcir la "demi-vie" des savoirs utiles pour la pratique médicale.

Un **réseau informatique** met en relation plusieurs ordinateurs. Il est habituellement géré par un " serveur ". Les réseaux peuvent être reliés par des réseaux de réseaux. Internet en est un ; il permet de relier les réseaux à l'échelon de la planète. Par analogie avec Internet, on appelle " intranet " un réseau de réseaux à l'échelon d'une entreprise, d'un hôpital, etc.

Au milieu des années 1990, la possibilité d'accéder simplement et presque gratuitement, par Internet, aux bases de données médicales informatisées a profondément modifié le statut de l'information médicale scientifique qui y était stockée. Autrefois réservée à un public restreint de chercheurs et d'institutions universitaires, l'interrogation de ces bases est maintenant accessible à un grand nombre de médecins et d'étudiants.

En dehors des sites permettant la consultation de banques de données ou systèmes documentaires médicaux scientifiques (comme MEDLINE), il existe de nombreux sites permettant une lecture immédiate de la presse médicale internationale (la publication électronique se répand) ou de recommandations officielles (par exemple le serveur de la Food and Drug Administration aux Etats-Unis, le serveur de l'ANAES en France (<http://www.anaes.fr>), etc.).

Les **systèmes documentaires informatiques** et les banques de données médicales sont stockés sur des serveurs de données accessibles, par des réseaux, à partir d'un ordinateur. Il en existe deux grands types : les bases de données bibliographiques et les banques d'information et de connaissance.

La **base de données bibliographiques** comprend les références (titre auteur, revue, résumé, mots clés) des articles publiés dans les revues médicales. La base la plus utilisée est MEDLINE (<http://www.ncbi.nlm.nih.gov/entrez>), développée par la National Library of Medicine (U.S.A.). Chaque année, près de 500 000 articles sont indexés dans cette base.

Les **banques d'informations** sont plus spécialisées. Elles fournissent des informations sur des thèmes particuliers, par exemple sur le médicament (BIAM, Thériaque,...), les séquences génétiques (GenBank, EMBL ...), la toxicologie (TOXLINE...)

Il faut aussi remarquer que la large ouverture des sites WEB contenant des informations scientifiques et médicales contribue également à rendre ces informations accessibles à un public non spécialisé ou simplement de malades curieux. Par ailleurs, il existe des sites diffusant une information non scientifiquement contrôlée, voire systématiquement tendancieuse.

La possibilité d'interroger en temps réel des bases de données et l'obtention immédiate de certaines publications ou plus fréquemment de leur résumés (devenus beaucoup plus informatifs que dans le passé) concernant la question posée ont ouvert des perspectives nouvelles pour la pratique d'une médecine scientifique, sinon "basée sur la preuve", comme des formulations inadaptées le suggèrent, du moins sur des résultats de travaux publiés et scientifiquement valides. Pour certains partisans de l'"Evidence-based medicine", l'ordinateur, permettant l'interrogation immédiate de bases de données médicales, devra prendre la place de l'expert référent, ou du senior, que l'on consulterait sur des questions "pointues".

## L'"EVIDENCE-BASED MEDICINE"

### Le programme

L'"Evidence-based medicine" (EBM) est née en Amérique du Nord en 1992 dans la mouvance de l'équipe de David Sackett. Elle repose sur la croyance que l'expérience ou l'expertise clinique individuelle n'est plus suffisante pour répondre à toutes les questions posées par la pratique médicale, et propose que les praticiens recourent à l'étude systématique de la littérature publiée pour rechercher les meilleurs travaux consacrés à la question posée<sup>(2)</sup>.

Elle cherche ainsi à "minimiser" l'importance de l'intuition, de l'expérience clinique non organisée, et du raisonnement physiopathologique comme bases suffisantes de la décision clinique, et à privilégier l'examen des résultats issus de la recherche clinique. L'"evidence-based medicine" requiert de nouvelles compétences pour le médecin, en particulier celles d'effectuer une revue de littérature correcte, et d'appliquer des règles précises pour l'analyse de celle-ci<sup>(3)</sup>. On peut ajouter que *les médecins doivent aussi bien maîtriser l'anglais*, pour avoir accès aux banques de données qui sont presque toutes anglo-saxonnes.

L'EBM utilise :

- 1) une base de références pour la prise de décision : les résultats de l'analyse de la littérature publiée ;
- 2) des **grilles de lecture standardisées** (règles d'analyse) pour l'évaluation des publications. Des grilles de lecture ont été élaborées pour l'analyse des tests diagnostiques, des études pronostiques, des traitements et de leurs effets secondaires, des études de qualité de vie, des études médico-économiques, des algorithmes de décision, etc.

Munis de ces outils, divers groupes de travail se sont constitués et ont réalisé un grand nombre de revues systématiques et des méta-analyses (*synthèses quantitatives de la littérature*) sur différents sujets de la pratique médicale.

Une revue systématique de la littérature explore de manière standardisée une base de données bibliographique (notamment MEDLINE) en utilisant des mots clés, en précisant la période, le type de journal, etc. Elle s'oppose à une revue manuelle "empirique", de proche en proche, et souvent très incomplète et biaisée, bien que les auteurs d'EBM ne négligent pas la recherche empirique en *complément* de la recherche systématique.

Une méta-analyse est une revue systématique suivie d'un traitement statistique des données quantitatives présentes dans les articles sélectionnés. Un indicateur quantitatif et synthétique est calculé : "différence globale entre deux traitements", "odds ratio global", etc. Elle a pour principal avantage d'augmenter la puissance des tests statistiques et la précision des estimations. Toutefois, la réalisation de ces méta-analyses pose de nombreux problèmes statistiques et méthodologiques, et doit être essentiellement réservée aux essais thérapeutiques qui ont une méthodologie comparable.

Le groupe le plus actif, la "Cochrane Collaboration", est une organisation internationale regroupant une trentaine de centres (<http://hiru.mcmaster.ca/cochrane/default.htm>). Plusieurs pays (en particulier les Pays-Bas) ont également financé des programmes ambitieux d'EBM. Ces revues et méta-analyses ont été souvent publiées dans des revues médicales internationales (BMJ, JAMA, Annals of Internal Medicine...), des revues spécialisées d'EBM (EBM Journal : <http://www.ebm-journal.presse.fr> en France, ACP Journal Club : <http://www.acponline.org>) et sont accessibles sur les serveurs WEB de ces groupes ou organisations.

### Premiers résultats de l'"Evidence-based medicine"

Malgré le large éventail de sujets et d'études concernés, l'examen des premiers travaux issus de l'EBM montre que le domaine de la thérapeutique et la synthèse quantitative des essais thérapeutiques publiés dans les méta-analyses ont été nettement privilégiés. Cette prédilection pour l'essai thérapeutique et la méta-analyse est d'abord liée au prestige de la thérapeutique, mais aussi dû au fait que l'essai thérapeutique, en théorie du moins, est le type de recherche clinique qui assure le niveau de fiabilité et de généralisabilité scientifique le plus élevé (tableau). Les synthèses sur les méthodes diagnostiques et pronostiques ou sur des stratégies de prise en charge, se prêtant moins à une synthèse quantitative standardisée, ont été beaucoup moins nombreuses.

<sup>(2)</sup> "Evidence based medicine is the conscientious, explicit, and judicious use of current best evidence in making decisions about the care of individual patients. The practice of evidence based medicine means integrating individual clinical expertise with the best available external clinical evidence from systematic research." (Sackett DL, Rosenberg WMC, Gray JAM, Haynes RB, and Richardson WS. Evidence based medicine: what it is and what it isn't. BMJ 1996 ; 312 : 71-72.)

<sup>(3)</sup> Evidence-based medicine de-emphasizes intuition, unsystematic clinical experience, and pathophysiologic rational as sufficient grounds for clinical decision-making, and stresses the examination of evidence from clinical research. Evidence-based medicine requires new skills of the physician, including efficient literature searching, and the application of formal rules of evidence in evaluating the clinical literature. Evidence-based medicine working group. Evidence-based medicine : a new approach to teaching the practice of medicine. JAMA 1992 ; 268 : 2420-5.



| Les niveaux de fiabilité et de généralisabilité pour la pratique des études de recherche clinique |   |                                   |  |
|---|---|-----------------------------------|--|
| Niveau  | Description   | Domaine d'application privilégiée | Commentaire  |
| 1   | Cas clinique (isolé)  |                                   |  |
| 2   | Observation non contrôlée d'un échantillon de cas constitué de manière rétrospective (retour aux dossiers)  |                                   |  |
| 3   | Observation non contrôlée d'un échantillon de cas constitué de manière prospective (étude standardisée) ; il y en a 3 types selon que le critère d'intérêt est recueilli de manière :   |                                   |  |
| 3a  | - rétrospective (caractéristique mémorisée ou retrouvée dans le passé)  | Diagnostique                      |  |
| 3b  | - transversalement (caractéristique observée à un point donné)  | Diagnostique                      |  |
| 3c  | - prospective (caractéristique survenant après l'inclusion) : "étude de cohorte"  | Diagnostique et Pronostic         | Type de référence pour les applications dans le diagnostic et le pronostic                 |
| 4   | Observation contrôlée d'un échantillon de cas constitué et suivi de manière prospective, avec recrutement de "témoins" : "étude exposés-non exposés"  | Epidémiologie                     | Type de référence pour les applications en épidémiologie (recherche de facteurs de risque) |
| 5   | Observation contrôlée d'un échantillon de cas constitué de manière prospective, avec recrutement de "témoins" et allocation aléatoire de la procédure étudiée ("randomisation") et suivi "ouvert" avec la connaissance de quels sujets ont quelle procédure | Thérapeutique, Prévention         | Type de référence pour les applications en thérapeutique et prévention                     |

Les niveaux sont croissants, mais le meilleur n'est pas accessible dans tous les domaines d'application.

### Critiques de l' "Evidence-based medicine"

C'est sur ces premiers résultats de l'EBM, et notamment sur le recours habituel aux techniques de méta-analyse que se sont concentrées les critiques. Il est vrai que l'ambition affichée du programme, ainsi que la condamnation un peu polémique par les partisans de l'EBM des pratiques traditionnelles ne pouvaient manquer de susciter des réactions, y compris d'auteurs favorables au concept.

Le recours trop systématique à la méta-analyse a fait l'objet de critiques sévères. La méta-analyse est d'une mise en œuvre délicate, tant sur le plan de la sélection des études à retenir (faut-il ne retenir que les meilleures, intégrer celles qui n'ont pas été publiées, "littérature grise", etc.) que statistique (que faire quand les résultats sont hétérogènes ? comment construire un résultat global ?). Cette mise en œuvre délicate doit être réservée à des méthodologistes expérimentés, ce qui n'a pas été toujours le cas. Mais s'il est certain que beaucoup de mauvaises méta-analyses ont été faites et publiées, faut-il la condamner de principe ? La réponse à cette question ne pourra être donnée que lorsque cette technique et leurs utilisateurs auront atteint la maturité nécessaire.

La grande confiance des auteurs de l'EBM dans les résultats des essais thérapeutiques a conduit plusieurs critiques à rappeler les limites, notamment le manque de généralisabilité de nombreux essais. Les essais sont souvent réalisés dans des populations très sélectionnées (voir le chapitre sur l'élaboration des connaissances thérapeutiques) : peu d'enfants et de vieillards, rarement de pathologie associée. Les sujets étudiés dans les essais sont également souvent sélectionnés par leur potentialité à répondre au traitement, ce qui exclut souvent les patients aux stades précoces ou peu graves des maladies, ou au contraire tardifs ou trop sévères.

Plus généralement, c'est la difficulté de transposition des résultats obtenus dans des situations optimales à l'expérimentation (une maladie, un traitement, un malade coopératif, un médecin spécialisé et attentif), au monde réel de la pratique clinique (plusieurs maladies, divers traitements associés, malades méfiants et non coopérants, contexte psychologique et social complexe, médecin inexpérimenté ou débordé), que les auteurs critiques de l'EBM ont soulignée.

Enfin, les difficultés pratiques de mise en œuvre de l'EBM ont été rappelées : temps d'interrogation des bases rarement compatible avec une utilisation au cabinet, nécessité d'une bonne maîtrise de l'anglais, défaut d'in-

dexation des publications les faisant échapper aux mots clés usuels, et aussi rareté des situations où survient un questionnement passible d'une démarche basée sur l'EBM, notamment en médecine générale. Une formation du médecin praticien à cette nouvelle forme de pratique est aussi nécessaire, notamment pour l'évaluation critique de la littérature publiée. Toutefois, les modalités de cette formation, de même que les critères d'évaluation de l'efficacité de cette formation restent encore à préciser.

### Perspectives pour l' "Evidence-based medicine"

Malgré ces critiques, il est probable que le développement de l' "Evidence-based medicine" marque une étape majeure de la médecine, nécessaire à son entrée dans l'ère de l'information. L'obsolescence rapide des connaissances médicales nécessaires pour la pratique requerront des procédures de mise à jour, si possible efficaces et souples. D'autre part, le médecin praticien devra faire face à une énorme quantité d'informations nouvelles qui lui seront communiquées en temps réel par les réseaux informatiques. Faute de méthodologies d'évaluation de l'information, voire de systèmes de contrôle, le risque est réel de voir se développer des pratiques anarchiques, voire dangereuses pour la santé de malades.

### POUR EN SAVOIR PLUS

- Barrie AR, Ward AM. Questioning behaviour in general practice : a pragmatic study. *BMJ* 1997 ; 315 : 1512-15.
- Evidence-based medicine working group. Evidence-based medicine: a new approach to teaching the practice of medicine. *JAMA* 1992 ; 268 : 2420-5. (Les travaux du groupe de l' "Evidence-based medicine" ont été largement diffusés dans la presse médicale, notamment dans le *JAMA*, et sont disponibles sur plusieurs sites Web canadiens, en particulier à l'adresse : <http://www.cche.net>.)
- Feinstein AR, Horwitz RI. Problems in the "evidence" of "evidence-based medicine". *Am J Med* 1997 ; 103 : 529-35.
- Knottnerus JA, Dinant GJ. Medicine based evidence, a prerequisite for evidence based medicine. *BMJ* 1997 ; 315 : 1109-10.
- Sackett D L, Rosenberg WMC, Gray JAM, Haynes RB, and Richardson WS. Evidence based medicine: what it is and what it isn't *BMJ* 1996 ; 312 : 71-72.

**CE QU'IL FAUT RETENIR**

- Les rythmes de croissance et de renouvellement des connaissances médicales ont dépassé les capacités de diffusion des voies traditionnelles d'acquisition et de transmission des savoirs médicaux (études médicales, compagnonnage hospitalier, livres de référence). La demi-vie des connaissances médicales produites est aujourd'hui inférieure à 10 ans.
- La révolution des réseaux informatiques et des "autoroutes de l'information" permet l'accès immédiat à des banques de données médicales et de vastes bases bibliographiques.
- L' "Evidence-based medicine" (EBM) propose que les praticiens recourent à l'étude de la littérature publiée pour rechercher les meilleurs travaux consacrés à la question posée.
- Les modalités de la mise en œuvre de l'EBM en pratique restent toutefois à optimiser. Des méthodes adaptées restent à développer qui permettent d'effectuer le tri des connaissances et de les rendre compatibles avec une pratique nécessairement complexe qui n'oublie pas le malade et ses besoins.

# Chapitre 12

## DÉMARCHE GÉNÉRALE DE PRISE EN CHARGE DU PATIENT

### INTRODUCTION

Sous diverses influences, l'activité médicale a tendance à s'orienter vers une parcellisation des tâches et certains médecins n'ont plus de la médecine qu'une vision assez fragmentaire, pour ne pas dire déstructurée. Or l'activité essentiellement humaine qui préside aux soins nécessite une synthèse prenant en compte diverses notions médicales et extra-médicales déterminantes pour la qualité des soins. C'est ce que réalise la prise en charge du patient.

Il pourra paraître superflu de développer un chapitre sur l'analyse du raisonnement appliqué à la démarche générale de prise en charge du patient. N'est-ce pas ce que nous apprennent tous les enseignements théoriques que délivrent les manuels de médecine, les revues générales, les cours et les conférences diverses de formation médicale et, surtout, l'enseignement pratique quotidien au lit du malade lors des stages hospitaliers ? En réalité, il existe de multiples manquements à un bon raisonnement, et les causes en sont nombreuses. Il peut s'agir soit de confiance naïve dans les nouveautés considérées comme le "Progrès" et entraînant la mise en œuvre exhaustive des dernières innovations en matière d'examen complémentaires (mais les examens anciens n'étant pas pour autant abandonnés), soit de facilité (demande automatique et non réfléchie d'explorations biologiques ou d'imagerie dites "systématiques"), soit d'une tendance obsessionnelle à l'accumulation des preuves, soit de motifs moins convenables comme la rentabilisation de machines. Ainsi on observe parfois une débauche ou une utilisation brouillonne, voire pervertie, d'examen complémentaires. Quelques fois même, il est enseigné des recettes d'utilisation d'explorations avec des codifications de conduites diagnostiques. Des explorations sont proclamées de "première", de "deuxième", voire de "énième" "intention", sans qu'il soit possible de déceler les études validées qui devraient sous-tendre ces qualifications. Quelles que soient les raisons de ces conduites, de regrettables "erreurs" seraient limitées ou évitées si le praticien s'efforçait de mettre en œuvre un raisonnement logique et rigoureux.

Avant d'envisager la manière dont le médecin résout en pratique les problèmes que lui posent les patients, il faut tenter de les définir. Cette remarque peut paraître étonnante tant on admet, de façon spontanée pour ne pas dire irréfléchie, qu'en présence d'un malade, s'applique le schéma classique qui est :

- 1) faire un diagnostic ;
- 2) établir si possible un pronostic clair ;
- 3) établir le plan du traitement et des soins et les appliquer ;
- 4) assurer le "suivi".

Ce schéma s'applique dans beaucoup de cas. C'est d'ailleurs celui qui est le plus souvent opérationnel dans les cas d'affections aiguës et/ou lorsque le patient a une affection organique un tant soit peu importante. Il n'en reste pas moins que certains patients peuvent avoir des motivations différentes de recours aux systèmes de délivrance de soins, et qu'il est nécessaire de faire apparaître ces motifs de recours à la médecine de façon claire et explicite.

### MOTIVATIONS DES PATIENTS ET TYPE DE PRISE EN CHARGE SOUHAITÉE

Les motivations des patients doivent faire l'objet d'une analyse qui ressemble parfois à un décryptage si elles ne sont pas explicitées d'emblée. Nous verrons dans plusieurs chapitres ("Raisonnement appliqué au diagnostic", "Raisonnement appliqué à la thérapeutique") comment elles peuvent influencer le raisonnement médical et quelles précautions elles nécessitent lors de la prise en charge du patient. Nous donnons ici quelques exemples de situations auxquelles le praticien peut se trouver confronté et qui influencent la prise en charge générale :

- La situation "classique". Le sujet ressent un symptôme fonctionnel ou est incommodé par des signes généraux comme une fatigue ou une perception d'état fébrile, etc. Il demande des directives ou des indications

sur la thérapeutique à suivre. Il ne souhaite véritablement recevoir du médecin, en qui il a confiance, qu'une explication simple de son état. Cette situation, bien classique, ne mérite guère de commentaire. Toutes les urgences en rapport avec des affections organiques rentrent probablement dans cette situation<sup>(1)</sup>.

- *La situation simple de confirmation d'un diagnostic soupçonné.* Les symptômes présentés sont évocateurs d'une affection dont le patient a entendu parler ou dont l'entourage soupçonne l'existence. Le médecin est sollicité pour apporter essentiellement une confirmation ou une infirmation et informer sur les possibilités thérapeutiques. Cette situation est rare mais la demande d'informations tend à se produire plus souvent depuis ces dernières années.
- *La situation de demande de pronostic.* Le patient exprime un besoin d'information sur le pronostic et/ou sur l'existence de possibilités thérapeutiques. Certains patients assez critiques, ou insuffisamment informés sur les possibilités de la médecine demandent essentiellement un avis ou un constat concernant leur état. Cette démarche bien que rare est le fait de personnes assez éduquées, douées d'esprit critique et soucieuses surtout de gérer leur destinée et celle de ceux dont ils se sentent responsables. Ils redoutent une affection fatale ou une invalidité ou la perte d'autonomie etc. Ils sont préoccupés des mesures à prendre pour gérer la situation. Le motif de consultation ou de recours à la médecine n'est d'ailleurs, dans leur esprit, pas tant le diagnostic que ses corollaires pronostique et éventuellement thérapeutique.
- *La situation de demande "impérative" de traitement.* Dans cette situation, assez fréquente, le patient n'envisage ni de dialoguer avec le médecin ni de s'informer sur son cas et sur les éventuelles possibilités thérapeutiques. Il lui faut un traitement et le médecin "n'a qu'à se débrouiller" pour remplacer la "pièce défectueuse", c'est "son affaire"...
- *Le "vagabondage médical".* Après avoir reçu un premier avis, le patient insatisfait ou soupçonneux, ou peu soucieux de la cohérence de ses démarches, éprouve le besoin de consulter un nouveau médecin sans toujours l'informer de l'existence de consultations antérieures et même d'examen complémentaires pratiqués. Le dialogue dit "singulier" auquel on croit participer est remplacé par une démarche intellectuelle qu'il est difficile de qualifier de "confiante" ou "dénudée d'arrière-pensées".
- *La situation du patient qui a besoin d'être rassuré.* La reconnaissance de cette situation est habituellement aisée, mais une attitude ambiguë peut être adoptée par le patient qui est réellement anxieux mais, redoutant de ne pas être pris au sérieux, tente d'influer le jugement du médecin. Si celui-ci est insuffisamment sûr de lui, il sera enclin à prendre des précautions supplémentaires pour éliminer une affection organique sévère. Il entretiendra ainsi un cercle vicieux fait d'angoisse et de démarches inadaptées, telles que le redoublement d'investigations complémentaires qui finissent par persuader le malade qu'il a une affection authentique sévère "sinon on ne lui ferait pas subir tous ces examens". D'emblée, donc, le problème ne peut donc être dissocié de la prise en charge globale car il s'agit en même temps de la thérapeutique de l'angoisse. La solution passe par une meilleure éducation des étudiants et une formation continue adaptée (voir le chapitre "Cas complexes"). Il est souhaitable aussi qu'une action d'information convenable du public soit menée par des formations sérieuses alors qu'elle n'est, malheureusement parfois, que le fait de gens moins soucieux d'informer que de faire un "scoop" ou de... se faire valoir.
- *La situation de la "plainte à finalité".* Cette situation, où le patient recherche des avantages matériels ou financiers et même purement psychologiques, est difficile à détecter et à gérer, et constitue un piège qu'il faut savoir reconnaître. L'attente d'un bénéfice peut être claire et "annoncée d'emblée", mais il est possible, aussi, et assez fréquemment que la demande ne soit pas formulée directement. Ce n'est que lorsque le médecin n'a pas compris ou fait la sourde oreille que, "in extremis" et quand on le raccompagne, le "patient" se décide à formuler sa demande : arrêt de travail, bénéfice social ou financier, demande d'intervention sur l'entourage, certificat médical d'exemption de tâche ou pour obtenir tout autre avantage, etc. Parfois il s'agit de lui faire reconnaître le statut de malade avec les avantages psychologiques et sociaux dont il peut bénéficier. La liste est longue de ces plaintes "à finalité" qui, si elles ne sont pas "décryptées", risquent d'entraîner une pléthore d'examen et de traitements totalement injustifiés. L'imagination fertile des requérants est telle qu'il est impossible de donner une liste exhaustive de toutes ces demandes non congruentes avec le but et les préoccupations normales de tout système cohérent de soins. Le danger de réponses orientées lors de l'interrogatoire, la possibilité de tentatives de modifications des données de l'examen physique sont le corollaire de ces préoccupations sous-jacentes et peuvent induire le praticien en erreur. Il faut faire remarquer aussi que certaines motivations soit inavouables, et inavouées, soit cyniquement explicitées, ne rentrent pas dans le cadre des objectifs auxquels le système de soins est destiné. Elles en constituent même un détournement et leur satisfaction est contraire à l'éthique médicale et à la déontologie, voire même à la loi. Elles sont contraires aussi à l'intérêt à long terme et bien compris du patient ainsi que de la société.

<sup>(1)</sup> La tentative de suicide pose des problèmes spécifiques mais il devient de plus en plus la règle que ces sujets fassent, par la suite, l'objet d'un examen psychiatrique.

- *Les "somatisations".* Cette situation de motivation en rapport avec une affection psychiatrique ne se révélant que par des plaintes somatiques est un danger majeur d'induction de faux jugements en pratique courante. Plusieurs facteurs y concourent. Ils impliquent d'ailleurs non seulement le patient mais aussi le médecin. Dans ce domaine, le patient joue, quand même, le rôle principal lorsqu'il est incapable d'exercer une activité critique sur son état. Si on arrive à soupçonner puis à détecter la "somatisation" et à obtenir son adhésion au diagnostic de trouble "anorganique", il est possible que le reste de l'examen se déroule dans une atmosphère de compréhension et de coopération. Il est alors possible de démêler les plaintes et d'éviter une série d'hypothèses inadaptées. Ces dernières deviennent sources d'investigations inutiles et sont même susceptibles de provoquer des erreurs majeures de diagnostic. Par contre, l'incompréhension et l'absence de critique entraînent un redoublement des plaintes. Le médecin risque alors de se laisser prendre dans la spirale inflationniste des explorations inutiles (et coûteuses) et de la poursuite inadaptée d'un diagnostic de pathologie organique alors que le problème est fondamentalement différent. Une telle attitude inflationniste est malheureusement suivie par certains médecins, soit par crainte pusillanime de "passer à côté d'une authentique pathologie organique", soit par leur propre difficulté à admettre l'existence de ce type de troubles. Il est important d'insister sur ces problèmes car l'une des causes majeure d'inflation du nombre des explorations est ce type d'erreurs. La solution passe, là aussi, par une meilleure éducation des étudiants et une formation continue adaptée. Il est certain que des phénomènes culturels jouent un rôle non négligeable. Le stéréotype du "malade imaginaire" de Molière est certainement un facteur de non acceptation de ce diagnostic par les malades et, parfois, par leur entourage (voir aussi le chapitre "Cas complexes").

Ces quelques exemples, loin d'être exhaustifs, n'ont eu pour objet que de montrer la complexité des situations de départ auxquelles le praticien peut se trouver confronté et de mettre en garde les débutants, ainsi que ceux qui sont éloignés de la pratique commune, contre les pièges des motivations atypiques, incertaines ou aberrantes.

## LA PRISE EN CHARGE COMMUNE

Les circonstances ou situations dans lesquelles le praticien est amené à donner des soins sont en nombre infini. Il est donc hors de question de tenter de les exposer toutes. On ne peut que schématiser une situation "commune" mettant en jeu les grands principes directeurs du raisonnement médical. Elle est au mieux représentée par le cas de la prise en charge *qui enchaîne diagnostic, pronostic et traitement chez un adulte conscient*<sup>(2)</sup>.

Les considérations développées dans le chapitre "L'utilisation des différentes façons de penser en pratique médicale quotidienne" amènent à une prise en compte nuancée des différents processus de raisonnement possibles pour la gestion des cas individuels. Il est même fort probable que, dans la majorité des cas, le praticien ait recours à une diversité dans l'abord des problèmes.

Mais, en matière de médecine de soins individuels, la séquence des démarches du raisonnement médical se fait selon une séquence logique dans la très grande majorité des cas. Elle peut schématiquement être ainsi résumée :

- **La première étape** est l'étape diagnostique. Elle est elle-même parfois compliquée par une difficulté initiale de bien poser le problème (voir plus bas). Puis, une fois le problème posé, il s'agit de le résoudre, c'est-à-dire pouvoir faire un diagnostic ou établir une première base décisionnelle.
- **La deuxième étape**, corollaire de la précédente, est, sur cette base, d'établir une prévision de l'évolution de la maladie ou "pronostic". Celui-ci s'entend sous ses deux aspects : évolution naturelle et possibilités de modifier dans un sens favorable cette évolution. C'est ce deuxième aspect surtout qu'attendent les patients.
- **La troisième étape** est celle des décisions d'actions thérapeutiques se basant sur les éléments réunis au cours des deux étapes précédentes. C'est l'étape du traitement et des soins. C'est une décision à la fois intellectuelle et d'action pratique. \*

<sup>(2)</sup> Les situations, d'urgence, ou concernant l'adulte inconscient, se ramènent à la situation commune après la mise en œuvre d'une assistance appropriée aux fonctions vitales défaillantes (voir plus bas). Le nourrisson ou le jeune enfant, l'adulte "incapable" et toutes les personnes "inaptes" mentalement, etc. relèvent d'une prise en charge particulière qui n'est généralisable qu'aux sujets de ces catégories particulières. Elles seront seulement mentionnées ici.

\* Il est important toutefois de faire remarquer que cette séquence est un schéma et, comme tous les schémas, elle doit être adaptée aux circonstances. En particulier, une étape décisionnelle peut, et quelquefois doit être établie si la situation le nécessite, par exemple, une détérioration inquiétante de l'état du patient peut justifier un traitement d'essai sur la base de données incomplètes. De même, à chacune de ces étapes, différents processus de raisonnement peuvent être mis en œuvre isolément ou en association. Enfin, intervient la prise en compte de considérations humaines, psychologiques, éthiques et sociales.

## L'étape diagnostique

L'étape diagnostique est le préalable obligatoire à toute la séquence des actes intellectuels du raisonnement qui conditionnent la prise en charge. En effet, peut-on envisager que l'on puisse agir sur l'évolution d'une affection et apprécier les effets de son intervention si on ne sait pas exactement ce que l'on traite, c'est-à-dire le problème qui se pose ?

La démarche diagnostique n'est cependant pas toujours linéaire. Elle nécessite souvent des tâtonnements et des "itérations" successives. Schématiquement on peut dire qu'elle se subdivise en deux parties.

La première partie de l'étape diagnostique consiste à bien poser le problème. C'est la reconnaissance exacte de la situation pathologique à prendre en charge. Cela signifie qu'il est indispensable de définir exactement le problème qui se pose et d'adopter la démarche nécessaire à sa résolution.

Le problème principal doit être bien identifié et délimité. C'est, en général, celui qui a provoqué le recours direct à l'intervention du médecin et du système de soins. Mais au cours de l'examen d'autres constatations pathologiques peuvent être faites : il est possible qu'on découvre des signes traduisant une pathologie plus ou moins latente associée. Mais il est difficile parfois de savoir d'emblée si l'on a à faire à une pathologie unique ou s'il s'agit de plusieurs affections (conjoncture de plus en plus fréquente avec l'allongement de l'espérance de vie).

Il faut, donc, juger si on est en présence d'une pathologie unique ou, dans le cas contraire, distinguer lequel de ces problèmes est le principal et lequel est le secondaire. Cela peut quelquefois être difficile à atteindre d'emblée car pour cela il faut souvent avoir progressé dans le "débrouillage" du diagnostic pour pouvoir décider (voir aussi le chapitre consacré aux "Cas de résolution complexe").

La pathologie associée et plus ou moins "silencieuse" peut être soit légère soit grave. Dans l'un comme l'autre cas il est indispensable, pour le médecin, de juger de la hiérarchie des pathologies à prendre en charge, d'en informer le patient (ou son représentant) de manière à harmoniser au mieux la conduite à tenir devant ces cas complexes.

La deuxième partie de l'étape est celle du diagnostic proprement dit. Elle fait appel à une démarche intellectuelle complexe qui sera détaillée dans le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic". Nous ne ferons ici qu'une mention au fait que cet objectif peut être atteint d'emblée ou nécessiter la résolution de problèmes intermédiaires que nous appellerons "nœuds décisionnels".

Il existe des exceptions apparentes à cette conduite. Le diagnostic "idéal" et complet naturellement souhaitable peut ne pas être immédiatement possible, et il faut parfois se contenter d'avoir atteint une base décisionnelle qui permette une prise de décision pratique utile pour l'évolution.

C'est notamment le cas des situations d'urgence. Par exemple, un sujet amené en urgence dans le coma et présentant des signes de défaillance respiratoire. Il est évident que dans ce cas, on va traiter la détresse respiratoire par une assistance appropriée avant d'avoir achevé le diagnostic étiologique de l'affection responsable. Le diagnostic précis sera porté ultérieurement quand les mesures de sauvegarde auront permis d'écarteler le danger mortel immédiat.

Mais des situations d'arrêt sur conclusion provisoire permettant une décision de sauvegarde ou même d'attente sous surveillance sont fréquentes en pratique quotidienne. C'est le cas des affections se manifestant initialement par des signes généraux trop vagues sans aucun signe d'appel de localisation viscérale précise et où les premières investigations cliniques et complémentaires n'ont pas réussi à permettre le diagnostic, mais ont pu faire avancer suffisamment les choses pour que l'on ne décèle aucun signe de danger ni vital, ni inquiétant d'autre nature ; il est alors possible de se contenter d'une "expectative armée". C'est-à-dire que le praticien sursoit provisoirement à la poursuite des investigations faute d'hypothèse nouvelle à tester et qu'il se contente de pratiquer une surveillance attentive et vigilante du patient (auquel il donne toutefois un traitement symptomatique), en lui demandant de signaler tout fait nouveau, dans l'attente que des symptômes plus explicites se manifestent ou, alors, qu'une évolution naturelle favorable s'accomplisse.

## L'étape d'établissement d'une prévision de l'évolution de la maladie ou pronostic

La précision du diagnostic entraîne la séquence logique d'établissement du pronostic en se référant à ce qui est connu de l'évolution naturelle de la maladie diagnostiquée et des possibilités de modifier cette évolution naturelle dans un sens favorable par les manœuvres thérapeutiques. Il est évident que si le praticien ne sait

pas quelle est l'évolution de la maladie sur laquelle il se propose d'agir, et dans quelle mesure elle est accessible à un traitement, il est tout juste en mesure d'appliquer une recette. Seule une heureuse coïncidence peut faire que cette recette soit la bonne.

Le pronostic implique aussi l'information du patient. De plus en plus exigée pour ce qui concerne la thérapeutique, cette information est aussi demandée par le patient ou par l'entourage. Et il n'est pas toujours aisé de révéler un pronostic sévère qui risque d'avoir un effet désastreux sur l'état psychologique du malade et de la famille (voir les chapitres : "Raisonnement appliqué au pronostic" et "L'éthique dans le raisonnement médical").

## L'étape thérapeutique

L'étape thérapeutique s'inscrit dans cette séquence logique. Schématiquement :

- Soit il existe une possibilité de modifier dans un sens favorable l'évolution naturelle. C'est le cas d'un traitement authentiquement curatif. Un tel traitement est habituellement issu de l'application de conclusions tirées de la démonstration des mécanismes physiopathologiques de la maladie en question et validées par des essais satisfaisants.
- Soit il n'existe pas de possibilités de modifier dans un sens favorable l'évolution naturelle et le praticien est obligé de se contenter d'un traitement dit "palliatif".
- Dans tous les cas, un traitement dit "symptomatique" vise à atténuer les symptômes et les inconvénients divers de l'affection en cause.

Le problème de la surveillance du traitement ou "suivi" des patients sera développé dans le chapitre "Raisonnement appliqué à la thérapeutique". Cette surveillance est à la fois une exigence sur le plan du raisonnement appliqué à la gestion des soins et un devoir éthique.

## La prise en compte des considérations d'ordre "extra-scientifique"

Des considérations psychologiques, culturelles, éthiques, légales et déontologiques ou économiques ont été de tout temps largement prises en compte par les médecins sans qu'il y ait eu de problèmes importants. Mais il faut signaler dès maintenant que de nouvelles situations risquent d'imposer de fortes révisions, non pas des bases scientifiques du raisonnement médical, mais de ses possibilités d'expression et de développement aussi satisfaisants qu'il serait souhaitable si on n'avait à se préoccuper que de l'application des connaissances médicales. Ces aspects seront développés dans la quatrième partie de l'ouvrage.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- La situation habituelle de prise en charge concerne un patient qui ressent un symptôme fonctionnel ou une atteinte de son état général. Il ne souhaite véritablement et simplement que recevoir du médecin une information sur son état et, surtout, des directives ou des indications sur la thérapeutique à suivre. Mais des patients ont, parfois, des motivations différentes de recours aux systèmes de délivrance de soins, dont certains ne rentrent pas dans le cadre des objectifs auxquels le système de soins est destiné. Il est bon de reconnaître ces autres motifs de recours à la médecine pour leur apporter la réponse appropriée.
- La prise en charge individuelle du patient passe par un certain nombre d'étapes logiques.
- La première étape est la reconnaissance de la situation pathologique à prendre en charge. Elle implique de faire, si possible, un diagnostic ou, à défaut, d'établir une base décisionnelle, c'est-à-dire une conclusion qui permette de prendre une décision pratique de poursuivre ou non les investigations, de prendre des dispositions pragmatiques (traitement ou soins). C'est une décision à la fois intellectuelle et d'action pratique.
- La deuxième étape, corollaire de la précédente, est, sur cette base, d'établir une prévision de l'évolution de la maladie ou "pronostic". Celui-ci s'entend sous ses deux aspects : évolution naturelle et possibilités de modifier dans un sens favorable cette évolution.
- La troisième étape est celle des décisions d'actions thérapeutiques se basant sur les éléments réunis au cours des deux étapes précédentes.
- Il y a une exception apparente à ce schéma qui se base sur la nécessité d'un diagnostic satisfaisant au départ : la nécessité d'agir d'urgence et l'impossibilité de mener la démarche diagnostique à son terme avec certaines affections présentant, à leur phase initiale, des signes généraux trop vagues et aucun signe d'appel de localisation viscérale précise.
- La prise en charge doit, naturellement, intégrer aussi de nombreuses considérations éthiques, culturelles, psychologiques, légales et déontologiques et, de plus en plus, économiques.

## **PARTIE III**

# **La mise en œuvre des raisonnements en pratique**

## Chapitre 13

# LE RAISONNEMENT APPLIQUÉ AU DIAGNOSTIC

### INTRODUCTION

Selon Littré, le diagnostic est "l'art de reconnaître les maladies par leurs symptômes et de les distinguer les unes des autres". Bien que datant du siècle dernier, cette définition reste très valable à quelques nuances près.

La reconnaissance nécessite, d'une façon générale, un modèle auquel on se réfère, que ce modèle soit concret ou qu'il s'agisse d'une "représentation mentale" abstraite. La reconnaissance des maladies a pour base la comparaison des signes observés chez un patient donné à un assemblage de signes servant de référence et réalisant la *représentation conceptuelle* de l'entité pathologique à laquelle le médecin pense être confronté. Cette représentation théorique peut être : soit une entité nosologique parfaite, soit une entité moins achevée du fait de l'insuffisance de l'état de la science médicale, soit un simple syndrome, voire un syndrome incomplet ou un simple trouble (voir le chapitre "Nosologie")<sup>(1)</sup>.

Pour pouvoir reconnaître, il faut donc d'abord connaître. Et, par conséquent, avoir à disposition dans sa mémoire les connaissances relatives à la nosologie des affections dans l'état actuel de leurs descriptions (se reporter aux chapitres "Nosologie" et "Sémiologie").

Le diagnostic se construit en partant des données recueillies lors de l'observation structurée du patient. Puis, à partir de ces données un certain nombre d'opérations mentales, qu'on qualifie parfois "d'hypothético-déductives", et qui relèvent soit des "heuristicques" (voir le chapitre "L'utilisation des différentes façons de pensée en pratique médicale quotidienne"), soit d'autres processus intellectuels, sont mises en œuvre. Ces opérations mentales permettent d'aller jusqu'à un certain stade de la démarche où le praticien pense pouvoir déceler un accord satisfaisant entre les signes observés et ceux d'une entité pathologique décrite et définie.

Un diagnostic satisfaisant peut parfois ne pas être d'emblée réalisable du fait de la pauvreté des symptômes présents à un certain stade de l'évolution de la maladie et/ou parce qu'il est nécessaire de disposer d'autres informations. Mais l'exercice médical étant une pratique, il faut alors savoir se satisfaire d'une simple "étape décisionnelle" intermédiaire et prendre les mesures permettant de sauvegarder la vie ou la fonction, en attendant de pouvoir progresser de façon plus satisfaisante. On se contente, alors, de choix conservatoires. Il sera possible, ensuite, aussi bien de mieux reconnaître la maladie responsable que de disposer des éléments pour la prendre en charge.

Jusqu'au début du xx<sup>e</sup> siècle, la pauvreté des possibilités thérapeutiques et la relative modicité des explorations complémentaires faisaient que les conséquences d'un diagnostic inachevé ou approximatif, bien que déplorables sur le plan intellectuel, restaient limitées quant à leurs conséquences sur les traitements et sur les modifications souhaitables des évolutions naturelles. Mais depuis que la médecine est devenue plus efficace, le médecin ne peut plus se contenter de cette approximation car la mise en œuvre de thérapeutiques, éventuellement lourdes ou coûteuses, ne peut être réalisée que sur des bases solides.

\* La reconnaissance des maladies a débuté avec les premières descriptions qui ont pu en être faites et qui sont parfois très anciennes. Initialement, les constatations étaient purement cliniques et dépendaient des organes des sens. Puis, les progrès se sont accélérés, surtout aux xix<sup>e</sup> et xx<sup>e</sup> siècles. Les moyens se sont beaucoup enrichis avec l'accroissement incessant des explorations complémentaires.

\* \* Le diagnostic s'est enrichi de possibilités et de méthodes nouvelles d'exploration. Mais les progrès permis par les explorations complémentaires n'ont pas toujours été bien assimilés. Des examens redondants ou inadéquats viennent ajouter leur pesanteur à celle d'examen anciens qu'on continue cependant de prescrire par routine. On a pu confondre innovation et progrès et cela a provoqué souvent une pléthore d'explorations entraînant un important fardeau économique et de possibles désagréments pour les patients. Comme une précision accrue du diagnostic est demandée, à la fois par les médecins et par les patients de mieux en mieux informés, le choix des examens les plus adéquats devient ainsi une nécessité.

<sup>(1)</sup> Bien que cette représentation de l'entité nosologique réalise surtout un concept abstrait, elle peut revêtir, aussi, la forme de représentations visuelles plus concrètes, comme en dermatologie où les troubles constatés coïncident avec les éléments visuels de la description de référence. Cette coïncidence peut se retrouver en traumatologie ainsi que dans un certain nombre d'autres disciplines où une modification physique caractéristique est la manifestation essentielle de l'état pathologique. Ces pathologies étaient, il y a quelques décennies encore, désignées sous le terme de "Pathologie externe" ; le terme de "Pathologie interne" désignait les affections systémiques et des viscères.

D'autre part, des conceptions nouvelles issues des sciences cognitives et de la métrologie appuyée sur l'usage de méthodes probabilistes ont vu le jour, puis se sont développées et perfectionnées. Elles méritent d'être prises en considération, même si leur place exacte ne peut encore être fermement attribuée pour l'instant.

*La question qui se pose maintenant est : comment rendre la démarche diagnostique la plus efficace et la plus sûre possible ?*

C'est la question à laquelle on s'efforcera de répondre dans ce chapitre en analysant le processus du diagnostic et en essayant d'y incorporer les apports les plus récents des recherches menées sur ce sujet dans diverses disciplines.

## RAPPEL DES PRINCIPES, ÉLÉMENTS ET PROCÉDURES DIAGNOSTIQUES GÉNÉRAUX "CLASSIQUES"

La procédure diagnostique proprement dite comporte un certain nombre d'étapes classiques menant du symptôme à la reconnaissance de la maladie.

*Dans cette présentation des étapes "classiques" du diagnostic, il ne sera décrit qu'un processus discursif schématique et simplifié, avec des étapes bien individualisées et définies. Mais la réalité se révèle bien plus complexe. De nombreuses remises en question avec des retours en arrière sont parfois nécessaires (voir plus bas)*

### La conduite de l'examen clinique

Le processus diagnostique débute par la collecte des symptômes et des signes cliniques<sup>(2)</sup>.

*La collecte des symptômes et des signes cliniques par l'interrogatoire et par l'examen physique, c'est à dire par l'examen clinique est l'étape initiale et primordiale dans la progression vers le diagnostic. Il en résulte habituellement au moins la reconnaissance d'un syndrome clinique déterminé.*

**Syndrome** : du grec sundromê (sun = ensemble et dromê = courir) : lieu où les routes se rencontrent, carrefour, réunion et, par extension, réunion de signes. C'est l'ensemble des signes en rapport avec un état pathologique donné et constituant une entité reconnaissable, soit par l'uniformité de l'association stéréotypée des manifestations morbides, soit par le fait qu'elle traduit l'atteinte d'un organe ou d'un système bien défini. En médecine ce groupement permet d'orienter le diagnostic ; par exemple : syndrome méningé, syndrome de diarrhée fébrile, syndrome de polyarthrite aiguë, syndrome pyramidal, syndrome cérébelleux... Il peut correspondre à un certain nombre d'entités cliniques. Leur nombre est plus limité que le nombre des diagnostics possibles ouverts par un seul symptôme, ce qui représente un gain et une diminution de l'incertitude dans la démarche diagnostique. Mais le terme peut s'appliquer à toute variété d'association de signes ou symptômes (par exemple "syndrome malin").

De la rigueur avec laquelle sont recherchés, analysés et regroupés les signes (et les résultats des examens complémentaires, voir plus bas) dépend la validité de l'usage qu'on va en faire. La sémiologie, qui est la science traitant de ces données, est la discipline de base de la pratique médicale (voir ce chapitre). Sa connaissance est indispensable. Elle s'acquiert par l'étude des descriptions théoriques et surtout par compagnonnage prolongé auprès d'aînés. Les aides techniques (films, enregistrements divers) sont plus éthiques mais ne peuvent remplacer l'apprentissage au contact direct du patient - qu'il est nécessaire de mener avec tact et en respectant sa dignité - pour pouvoir s'imprégner des conditions réelles de l'examen.

Les hypothèses générées au stade de l'examen clinique entraînent, au besoin, la mise en œuvre des examens complémentaires. Le syndrome s'enrichit alors de signes biologiques, d'imagerie, etc. et aboutit à un tableau d'atteinte uni- ou pluriviscérale.

Il est habituel que des symptômes ou des signes cliniques soient la raison de la consultation médicale ou du recours à un système de soins. Mais il peut aussi arriver qu'un processus diagnostique soit initié par la découverte d'un syndrome biologique ou d'une image radiologique anormale. Cela se produit d'autant plus souvent que sont mis en œuvre des examens dits systématiques, pratiqués à l'occasion d'examens médicaux périodiques, soit dans le cadre des entreprises, soit lors d'hospitalisations ou de préparation à une autre intervention médicale.

<sup>(2)</sup> Il s'agit d'un simple rappel de définitions et de conduites bien connues des praticiens exercés.

## La mise en œuvre et l'usage des examens complémentaires<sup>(3)</sup>

*Une remarque préliminaire, mais fondamentale, s'impose : dans l'établissement d'un diagnostic, un examen complémentaire ne se conçoit qu'intégré dans une stratégie qui suit des règles d'efficacité et de rationalité satisfaisant la logique et se révélant performante.*

*Une exploration complémentaire doit être justifiée par le résultat qu'on en attend, à savoir : confirmation ou réfutation d'une hypothèse diagnostique.*

*Demander un examen complémentaire sans orientation préalable, comme on jetterait une ligne dans la mer, est une conception pour le moins naïve de la médecine. L'expérience montre que bien souvent les résultats obtenus posent encore plus de problèmes qu'ils n'en résolvent.*

### Contextes des demandes d'examens complémentaires

Les examens complémentaires doivent se justifier par leur utilité à faire avancer le processus du diagnostic et/ou en assurer la sécurité : un examen complémentaire ne se conçoit, et donc ne se prescrit, que s'il est susceptible d'améliorer la progression de l'hypothèse diagnostique en accroissant de façon nette les informations sur le cas qui se présente, et/ou s'il permet d'apporter la preuve nécessaire de la cause de l'affection ou bien, au contraire, de l'éliminer.

En accroissant les informations sur le cas qui se présente, on rend ainsi plus aisée la reconnaissance de l'affection en cause, dont on compare le tableau théorique élaboré par les méthodes descriptives et taxonomiques (voir chapitre "Nosologie") avec celui dont le patient est porteur et qui vient d'être enrichi du résultat positif du test exécuté. Par contre, un examen complémentaire négatif diminue la ressemblance et la vraisemblance, pouvant faire remettre en question l'hypothèse qui avait été ébauchée. Il faut savoir toutefois adopter une attitude de bon sens concernant la suspicion d'affections bénignes : la confirmation par des explorations d'un diagnostic clinique bénin et très répandu ne se justifie que s'il existe quelque atypie.

Des examens complémentaires sont également indispensables dans le cas d'affections sévères et/ou malignes, afin de disposer de la preuve irréfutable du diagnostic alors qu'il est si lourd de conséquences. Il sert d'ailleurs bien souvent dans ces cas à fournir, en même temps, les éléments nécessaires aux décisions thérapeutiques les plus appropriées (par exemple, confirmation histologique de la nature cancéreuse d'une tumeur et détermination de son type exact, mise en évidence du germe et antibiogramme).

Les examens comportant des manœuvres invasives (endoscopies, biopsies...) doivent être encore plus sérieusement discutés en ce qui concerne leurs indications. Ils doivent apparaître absolument indispensables et ne pas pouvoir être remplacés par des explorations non invasives. Il faut également donner la préférence aux examens les plus performants, c'est-à-dire recourir à ceux ayant les plus grandes sensibilité et spécificité. Nous y reviendrons plus loin.

### Objectifs des examens complémentaires dans le diagnostic

Dans l'établissement d'un diagnostic, la mise en œuvre d'examens complémentaires relève schématiquement de trois objectifs possibles :

- 1) Compléter un syndrome clinique insuffisamment explicite. Cela peut se faire par la mise en évidence de signes non spécifiques comme une anémie, une augmentation de la vitesse de sédimentation ou des protéines de l'inflammation ou une perturbation d'une exploration fonctionnelle, la mise en évidence d'une fixation isotopique anormale, etc. Cette démarche permet de rajouter des éléments très utiles au syndrome clinique et réalise ainsi une progression possible vers l'objectif final de reconnaissance ou diagnostic. Les examens redondants méritent d'être évités et il est indiqué de ne recourir qu'aux examens nécessaires à départager une incertitude, par exemple, pour la mise en évidence de signes d'inflammation et/ou de perturbations de la formule sanguine chez un sujet se plaignant de signes systémiques comme une fatigue, alors que l'organicité de certains éléments est douteuse ou que l'interrogatoire et l'examen clinique ne fournissent aucun élément d'orientation.
- 2) Confirmer, par des explorations morphologiques, l'existence, le type ainsi que l'étendue des lésions soupçonnées.
- 3) Rechercher et mettre en évidence une étiologie. Cette recherche se confond avec le diagnostic étiologique (paragraphe suivant).

<sup>(3)</sup> Les examens complémentaires peuvent, suivant leur fonction, être divisés schématiquement en examens adaptés soit aux différentes étapes du diagnostic, soit au pronostic, soit aux décisions thérapeutiques, soit à la surveillance du traitement, soit dans une préoccupation de preuve médico-légale, soit à la combinaison de plusieurs de ces fonctions. Les examens complémentaires doivent être adaptés à l'activité médicale pour laquelle ils sont nécessaires et appropriés.

## La recherche et la mise en évidence de la cause : le diagnostic étiologique

Une fois reconnu, le syndrome doit être confronté à ses différentes causes possibles et il faut tester celle qui paraît la plus vraisemblable, la confirmer ou l'infirmar (et ainsi de suite, au besoin) jusqu'à obtenir une concordance satisfaisante des données observées et de l'entité nosologique définie par sa cause et, si possible, de ses lésions et de son mécanisme (qui sont les caractéristiques des affections nosologiquement bien définies).

L'administration de la preuve de la cause permet de porter le diagnostic dit "étiologique". Cela nécessite le plus souvent d'utiliser les examens complémentaires adéquats.

**Étiologie** provient du grec : aitia (qui signifie cause, motif) et logos (discours). C'est la science qui étudie les causes. Par extension un peu abusive, on utilise le terme "étiologie" pour désigner la cause même de la maladie particulière dont on traite.

Un procédé général pour retrouver les causes possibles consiste en l'évocation, de principe, des grandes variétés de causes, à savoir :

- Traumatiques.
- Toxiques.
- Nutritionnelles.
- Infectieuses au sens large, c'est-à-dire bactériennes, parasitaires, virales, à prion, etc.
- Vasculaires : thromboses, ischémies ou nécroses tissulaires, migrations de caillots.
- Tumoraux.
- Dysimmunitaires.
- Dégénératives.
- Génétiques ou congénitales.
- Idiopathiques (cause encore inconnue ou non encore démontrée).

Bien sûr, une association de phénomènes peut aussi être responsable de l'état pathologique. Une bactérie peut agir par sa toxine, un traumatisme peut induire une lésion d'ordre vasculaire (entraînant une ischémie), etc. Causes premières et causes secondes ou déclenchantes sont, alors, plus ou moins aisées à distinguer. \*

## L'élimination des affections "ressemblantes" : le diagnostic différentiel

Une fois recueillis tous les éléments qui ont permis de suggérer fortement une affection déterminée, il est nécessaire de procéder à l'élimination des affections ressemblantes. Cette étape est ce qu'il est convenu d'appeler le diagnostic différentiel.

Le processus est plus ou moins bien explicité dans les ouvrages de médecine actuels où le développement de ce chapitre est bien souvent réduit ou négligé. Il est remplacé, dans les algorithmes d'aide au diagnostic, par le passage obligatoire par un certain nombre de nœuds décisionnels qui, en fait, réalisent l'équivalent de l'élimination des autres possibilités diagnostiques (voir plus bas).

## La nécessaire attitude pragmatique

Les articles didactiques s'arrêtent habituellement à ce point qui a, en principe, fait apparaître tous les éléments nécessaires à la reconnaissance des affections.

\* **Les traumatismes** posent en général peu de problèmes, sauf s'ils sont méconnus, ou mal explorés, ou qu'on veut leur attribuer une responsabilité incertaine (ce qui est fréquent en matière de réparation de préjudice corporel).

\* **Les causes toxiques ou nutritionnelles** posent des problèmes de difficulté variable. Parfois elles sont évidentes, atteinte d'une communauté, familiale ou autre, après consommation de champignons, ou après une exposition à une intoxication aiguë par l'oxyde de carbone. D'autres nécessitent une enquête très poussée (voire policière...) et le concours de différentes méthodes chimiques ou toxicologiques spécifiques. La recherche de carences ou de malabsorption nécessite parfois une enquête diététique poussée.

\* **Les causes tumorales.** Des examens complémentaires spécifiques sont là, indiqués. Ce sont les examens relevant des lésions histopathologiques spécifiques du type de tumeur en cause qui permettent d'affirmer l'essence même de la maladie.

\* **Les causes infectieuses.** Ici, ce sont les examens relevant de la bactériologie ou de la microbiologie ou, parfois, de l'immunologie qui sont les plus productifs car, à quelques réserves près, ils permettent de démontrer l'essence même du processus en cause.

\* **Les causes vasculaires.** Les thromboses artérielles entraînent en général des ischémies ou une nécrose tissulaire, les thromboses veineuses entraînent troubles locaux et migrations de caillots, etc. Des examens d'imagerie sont habituellement nécessaires (angiographie, écho-dopplers...) pour mettre en évidence la cause (le caillot) ou la lésion.

\* **Les processus dysimmunitaires** n'ont bien souvent qu'une base assez restreinte pour l'établissement formel d'un rapport de causalité et il faut souvent se contenter d'arguments indirects.

Mais il est indispensable d'examiner aussi une situation qui ne fait que rarement l'objet de développement dans les ouvrages classiques de médecine. Il s'agit de celle où le processus diagnostique ne progresse plus à partir d'un certain stade, habituellement un syndrome. Ceci peut survenir, soit en raison de l'insuffisance d'éléments de jugement disponibles, soit parce que la maladie n'a pas assez évolué pour donner le temps à certains signes de se manifester, soit pour toute autre raison circonstancielle non schématisable.

Il est alors nécessaire de toute façon de prendre une décision et celle-ci doit être basée sur les mesures les plus efficaces et protégeant au mieux le sujet dans l'avenir. Il est très important de réfléchir, non seulement à ce qu'il est préférable de faire, mais aussi à l'information psychologiquement et éthiquement la plus appropriée à donner au patient dans cette situation.

Quelquefois un problème difficile se pose du fait d'une polypathologie, par exemple quand on se trouve face à une hémorragie digestive basse chez un sujet porteur d'hémorroïdes et de diverticulose colique, et chez qui on découvre en outre un polype sigmoïdien suspect. Il est certain, dès lors, que l'attitude ne peut être que pragmatique : il faut déterminer non seulement ce qu'il faut faire pour maîtriser l'hémorragie ou en éviter la récurrence (décision immédiate), ce qui nécessite de diagnostiquer son étiologie et son mécanisme, et, d'autre part, décider ce qu'il faut faire pour le polype, suivant qu'il est ou non dégénéré et suivant l'extension du cancer éventuellement mis ainsi en évidence (décision différée).

## INVENTAIRE DES DIFFÉRENTES CONDUITES INTELLECTUELLES CLASSIQUES DANS LE PROCESSUS DIAGNOSTIQUE

Il est certain qu'il n'existe pas une somme exhaustive des "procédures diagnostiques" à utiliser et, encore moins, un mode de raisonnement univoque à appliquer en toute situation. Il existe au contraire plusieurs procédures utilisées de façon plus ou moins consciente, dont il faut faire l'inventaire.

Il est souvent difficile de suivre la trace d'un protocole défini dans les démarches de médecins en train de faire un diagnostic. Ils donnent parfois l'impression de changer de raisonnement, passant de la constatation d'un signe ou d'un ensemble de signes à une hypothèse, puis à la recherche d'un indice à celui d'une preuve. Celle-ci peut être apportée soit par un examen complémentaire, soit même par la critique de la cohérence du raisonnement, soit, au contraire, par la mise en évidence de l'incohérence d'une hypothèse antérieure avec les données nouvelles, soit par la recherche d'un facteur causal. Dans d'autres cas, après avoir abouti à une impasse, le processus du diagnostic repart dans une autre direction et ainsi de suite, sans que l'on détecte un fil directeur structuré utilisant des règles précises.

Les schémas didactiques "linéaires" sont donc inadaptes et trop réducteurs devant la complexité de la réalité médicale. Certains trajets de la conduite intellectuelle du médecin peuvent évoquer un algorithme, mais celui-ci est construit au fur et à mesure et ne sert que dans cette situation singulière. Tant qu'il y aura des situations diagnostiques difficiles, il ne sera pas possible de faire autrement. Cela n'empêche pas de faire des efforts, au contraire, pour maîtriser la situation de manière rigoureuse afin d'éviter, si possible, une multiplication brouillonne des démarches.

Par ailleurs, la pratique médicale serait impossible sans l'acceptation d'un certain nombre de résolutions pragmatiques qui permettent de prendre les décisions au bon moment. C'est ainsi qu'il faut admettre des conduites intellectuelles qui peuvent paraître désordonnées mais sont particulièrement performantes. Faute de quoi on condamnerait le médecin à l'apragmatisme et à la paralysie. Mais cela ne justifie, naturellement, aucune concession à la négligence ou à l'omission.

\* **Les dégénérescences tissulaires** sont très variées et donnent des manifestations diverses suivant l'organe ou le viscère atteint. La dégénérescence des vaisseaux peut être un facteur d'ischémie ou se compliquer de thromboses, et celles-ci sont à leur tour sources de lésions de nécrose tissulaire.

\* **Affections génétiques, congénitales et malformatives.** Ces affections nécessitent des explorations qui rentrent peu dans le cadre de la pratique courante. Elles relèvent à la fois de la confirmation de la nature de l'affection et de l'expression des anomalies "primaires" comme, par exemple, une mutation du patrimoine génétique.

\* **Affections dites idiopathiques.** Il est habituel de dire que la recherche infructueuse d'une cause permet de parler d'affection idiopathique. Cela est vrai mais ce n'est qu'une vision très partielle des choses. Certaines de ces affections dites idiopathiques sont reconnues par leurs caractères propres. Dans ce dernier cas, le corollaire est qu'il est inutile de démontrer l'absence de cause "objectivable" par la recherche infructueuse de l'étiologie. Cela évite de mettre en œuvre une pléthore d'examens complémentaires qui se révéleront négatifs et inutiles. Toute la difficulté est de savoir reconnaître cette situation. Le plus souvent, le qualificatif "idiopathique" sert à cacher pudiquement le manque de connaissances sur la cause, mais aussi sur les mécanismes de la maladie. La solution est donc, d'une part en amont, dans la recherche médicale explicative et, d'autre part, pour aider à la résolution des situations concrètes, sur un enseignement destiné à familiariser les cliniciens avec ce type de situation, de manière qu'ils soient prêts à affronter sans souci obsessionnel de poursuivre les enquêtes étiologiques et sans, non plus, de culpabilisation exagérée devant l'échec de ces tentatives. Une éducation du public paraît aussi indispensable et des précautions médico-légales devraient être élaborées si une jurisprudence "excessive" avait tendance à s'établir dans ce domaine.



## Les différentes conduites répertoriées possibles

Les conduites *classiques* sont assez bien connues, mais il est nécessaire d'analyser le processus discursif utilisé dans ces différentes circonstances pour pouvoir le comparer à celui des nouvelles procédures possibles.

### Les conduites simples : les diagnostics "instantanés"

Beaucoup de diagnostics sont évidents. Cela provient soit de la nature de l'affection en cause qui est simple, soit du fait de l'expérience du médecin qui est grande.

Il peut s'agir de diagnostics d'une *extrême facilité*. Certains peuvent même être faits par des profanes. Les "tableaux cliniques" présentés sont tellement simples et banals que bien souvent un premier coup d'œil suffit, par exemple, un furoncle ou une fracture diaphysaire ouverte. Ces types de diagnostic ne seront pas développés dans cet ouvrage en raison de la futilité d'un tel développement.

Ailleurs le diagnostic est très facile, mais seulement pour un médecin exercé. Il s'agit d'un praticien qui maîtrise parfaitement le sujet. Ces diagnostics sont en fait, *moins évidents*, mais ils sont très rapidement exécutés par certains. La reconnaissance peut paraître immédiate, voire "intuitive". Mais cela ne correspond, en fait, qu'à la mise en œuvre d'un processus mental tellement de fois répété qu'il se présente, pratiquement, à l'esprit du médecin de façon instantanée. C'est ainsi que l'on reconnaît, au premier coup d'œil, une fracture déplacée, un psoriasis des coudes, un zona intercostal (**voir ci-contre**), une polyarthrite évoluée, une maladie de Basedow ou même une maladie de Parkinson caractérisée.

Quel est le mécanisme de cette reconnaissance ? Elle est le résultat d'un apprentissage prolongé qui aboutit, par le franchissement très rapide des différentes étapes normales, à une reconnaissance accélérée du type "reconnaissance de formes". C'est le même processus intellectuel, la même *heuristique*, qui nous permet du premier coup d'œil de reconnaître et pouvoir nommer nos voisins d'immeuble, nos familiers, des tableaux de peintres fameux, une grande variété de fleurs, d'animaux, de lieux, d'objets, de chansons, etc. (voir chapitre "L'utilisation des différentes façons de penser en pratique médicale quotidienne").

Il faut faire remarquer que les notions de diagnostics "évidents", de "grande confiance en soi", de "confirmation raisonnable" sont difficiles à définir. Elles ne peuvent, en particulier, donner lieu à une appréciation objective ou chiffrable. Que l'apprentissage améliore les qualités professionnelles des praticiens, qu'il existe des sujets plus performants que d'autres dans leurs activités intellectuelles et professionnelles sont des truismes<sup>(4)</sup>.

### Les conduites complexes : les diagnostics "élaborés" ou difficiles

Pour les diagnostics qui sont faits très rapidement, notamment par les cliniciens expérimentés comme cela a été rapporté plus haut, une sophistication ne ferait qu'alourdir inutilement la pratique quotidienne. En revanche, dès lors que le problème diagnostique devient difficile, il est nécessaire de réfléchir à la façon de le résoudre avec le maximum d'efficacité et de fournir aux praticiens une aide dans ce sens à la lumière des méthodes passées, mais aussi des progrès actuels qui sont plus formalisés et se veulent plus objectifs.

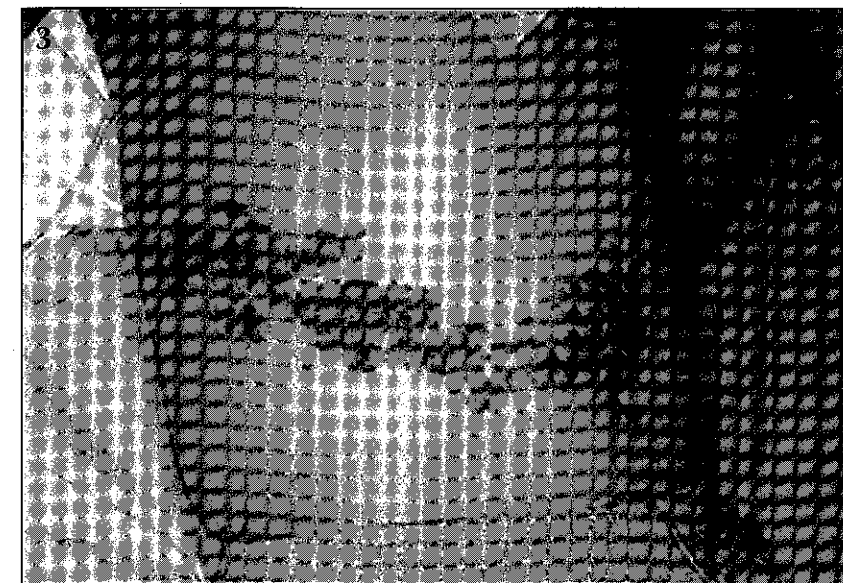
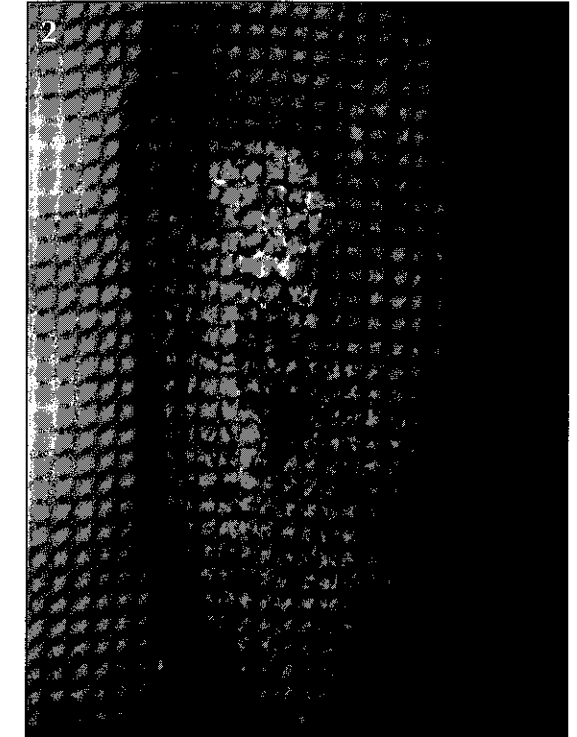
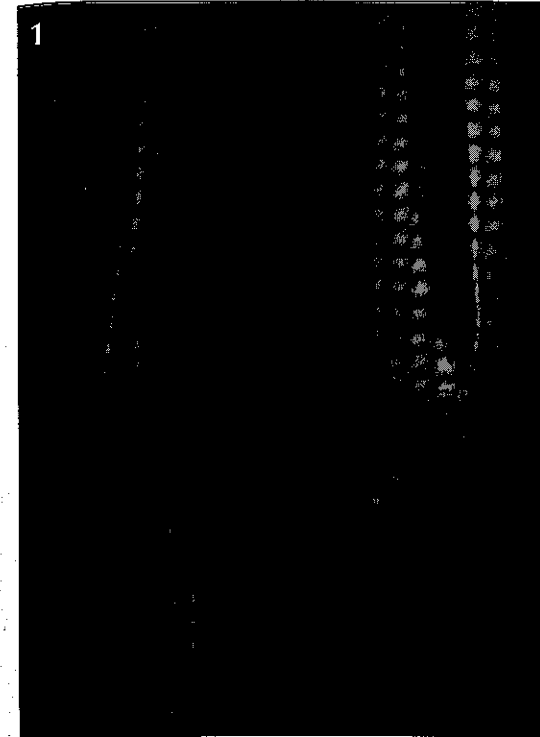
## Les procédures actuellement disponibles pour les diagnostics complexes

Il est fait mention dans cette partie de la méthode habituelle qui était surtout enseignée par les ouvrages classiques et par compagnonnage au lit du malade. Dans cet abord, il est communément admis que la démarche diagnostique passe par un certain nombre d'étapes classiques linéaires répétitives qui seront rappelées en premier. Elle repose sur une série plus ou moins prolongée d'élaborations et de vérifications de ce que l'on appelle "hypothèses diagnostiques".

### Élaboration de la première hypothèse diagnostique

Une première "suggestion-hypothèse" diagnostique est générée par le recueil des symptômes au cours de l'interrogatoire et de l'examen physique. Il faut faire remarquer que, par une sorte de raisonnement ou de démarche tautologiques, c'est le même processus qui est très probablement à l'origine de la confirmation de l'hypothèse. En effet, par la suite, cette "suggestion-hypothèse" est confrontée avec la représentation (ou "tableau") de la maladie que le médecin a dans sa mémoire. Elle nécessite quelquefois la mise en œuvre d'explorations complémentaires. Ce "tableau" est constitué d'un mélange de connaissances théoriques

<sup>(4)</sup> Il existe même des variations intra-individuelles.



1. Fracture de Pouteau-Colles déplacée.
2. Psoriasis du coude.
3. Zona intercostal.

apprenues lors de la formation initiale ou ultérieure et de souvenirs d'expérience(s) personnelle(s). Cette procédure assez élémentaire convient à un grand nombre de diagnostics communs et il est inutile de recourir à des examens complémentaires<sup>(5)</sup>.

Dans les autres cas la procédure continue.

#### Arrêt ou poursuite de la démarche : nœuds décisionnels

Si la confrontation ne paraît pas satisfaisante et que la concordance avec les résultats attendus est mauvaise, le diagnostic n'est pas retenu. Une autre hypothèse est explorée. On peut procéder alors à une reprise éventuelle de l'examen clinique et avoir recours à des examens complémentaires.

Cette procédure peut se renouveler un certain nombre de fois avec génération d'hypothèses successives et des procédures de réexamens jusqu'à ce que la confrontation soit satisfaisante.

Dans cette procédure de remise en cause suivie de nouvelles hypothèses, les modes d'abord des problèmes sont variables. Le praticien peut :

- être amené à raisonner sur telle ou telle caractéristique du tableau, partir d'un fait qui évoque un mécanisme physiopathologique (par exemple, œdème par compression veineuse qui évoquera une tumeur compressive) ;
- ou bien se livrer à un effort de mémoire pour en extraire un cas similaire avec sa résolution ;
- ou bien être amené à se poser la question, non pas d'une cause locale, mais d'une cause neurologique à l'origine de troubles constatés (par exemple, signes urinaires dus à un trouble de la commande sphinctérienne), etc.

Il est manifeste que cette façon de procéder ne peut obéir à aucun schéma préconçu. Elle amène à envisager le processus du diagnostic non point comme un processus linéaire mais comme un processus souvent complexe, et qui de façon implicite ou explicite passe par un certain nombre de jugements et de nœuds décisionnels.

#### Clôture du diagnostic

Un diagnostic est enfin retenu. C'est le résultat d'un jugement suivi de la décision de retenir une entité nosologique particulière ou de reconnaître qu'il est momentanément impossible de progresser vers un diagnostic satisfaisant. Par exemple, on est arrivé à trouver un groupe de signes associés réalisant un syndrome plus ou moins riche, mais la recherche d'une cause est improductive. On est confronté à un choix : faut-il pousser la recherche étiologique et demander encore des examens complémentaires ? ou bien faut-il se contenter d'un diagnostic d'attente et prescrire un traitement dit d'essai ?

*Le processus de la clôture diagnostique sera développé plus bas.*

#### Diversité des approches en pratique

Un grand nombre de conduites sont observées en pratique. Elles dépendent de plusieurs facteurs, certains dus à la maladie en cause, d'autres au praticien.

Comme nous l'avons dit plus haut, le diagnostic peut poser de très grandes difficultés et nécessite, alors, une procédure complexe qui se traduit par la mise en œuvre d'un va-et-vient de manœuvres cliniques nombreuses, explorant divers organes ou systèmes, d'examens complémentaires et parfois une mise en observation plus ou moins prolongée du patient. C'est dans ces cas qu'intervient surtout le jugement (qui fera l'objet d'un développement particulier, voir plus bas).

On assiste alors une sorte de progression par "tâtonnement" qui a longtemps prévalu et qui est encore très communément employée.

<sup>(5)</sup> La génération des hypothèses diagnostiques n'est pas toujours simple et aisée. Lorsque le tableau clinique réalisé n'évoque pas une des maladies décrites dans les ouvrages de médecine, ni un souvenir personnel de cas identique, ni une situation familière au praticien concerné, le processus intellectuel mis en œuvre suit très probablement un cours propre à chaque individu et résultant de la collecte d'indices et d'une ruminatio n intellectuelle. Les techniques modernes d'étude des raisonnements, par l'analyse du "penser à voix haute", apporteront peut être une ébauche de réponse à ces problèmes qui ont une fonction déterminante dans l'orientation de toute la conduite diagnostique ultérieure. (Voir le paragraphe consacré aux apports des études récentes sur le diagnostic). L'utilisation d'algorithmes est une façon de pallier une éventuelle absence d'hypothèse (voir le paragraphe consacré aux algorithmes).

D'autre part, toutes les procédures employées ne font pas appel à des méthodes formalisées<sup>(6)</sup>. Les signes cliniques et les explorations complémentaires peuvent souvent, encore, être accumulés de façon additive et non recherchés de façon sélective. C'est vers une recherche et une utilisation bien orientées des signes et des explorations que tendent les études nouvelles menées pendant les dernières décennies.

## APPORTS ET ANALYSE DES ÉTUDES THÉORIQUES ET COGNITIVES DES DERNIÈRES DÉCENNIES

Pendant les dernières décennies, des procédures de diagnostic inspirées des probabilités, des méthodes informatiques et des sciences cognitives ont été élaborées. Elles doivent être envisagées pour la pratique de la médecine actuelle. Avant d'entreprendre leur description, il paraît nécessaire de rappeler que beaucoup des nouvelles procédures élaborées ont eu pour objectif de diminuer le caractère incertain des procédures usuelles précédentes considérées comme trop peu rigoureuses.

### Données nouvelles

Il semble possible et utile de répertorier les différentes méthodes nouvelles, d'en faire la critique et d'analyser leur utilisation. Depuis trois à quatre décennies, sous l'influence de l'extension du raisonnement probabiliste et des sciences psychologiques "cognitives" (voir le chapitre "L'utilisation des différentes façons de pensée en pratique médicale quotidienne"), on assiste à un réexamen des procédures intellectuelles couramment utilisées et à une remise en cause de certains modes de pensée antérieurs qui seraient inconsciemment biaisés. Il en est aussi résulté l'apparition de nouveaux concepts ayant trait au raisonnement diagnostique. Ces disciplines forment non seulement la base d'exploration des mécanismes de fonctionnement du raisonnement médical, mais aussi de l'identification des erreurs dans la conception des soins médicaux, et elles ambitionnent de pouvoir obtenir leur amélioration. Elles s'efforcent, par leurs propositions, d'enrichir les méthodes plus anciennes de génération et de confirmation des hypothèses grâce à des outils qui sont présentés comme plus performants.

Du fait de ces nouveaux apports, les divers mécanismes "revisités" concernant la génération, l'examen critique et la confirmation des hypothèses diagnostiques et les différentes méthodes proposées, vont être exposés ci-dessous. Cette section, sans prétendre à être exhaustive, est consacrée à un aperçu des ouvrages et des articles fondamentaux qui leur sont consacrés.

### Analyse des différentes procédures diagnostiques proposées

Plusieurs ouvrages et articles reconsidèrent, à la lumière de nouveaux concepts, comment les hypothèses diagnostiques sont initiées et raffinées afin de les améliorer et d'aider la prescription d'explorations complémentaires. Ce sont principalement trois auteurs (ou équipes) qui ont, particulièrement, mené une analyse approfondie de ces concepts et de leur application. Il s'agit, aux États-Unis, de Feinstein et de Kassirer (et collaborateurs) et, au Canada, de Sackett (et collaborateurs). C'est à partir de leurs publications et ouvrages que sera développé cette partie. Pour faciliter l'accès à ces documents, nous fournirons une référence pour chacun des principaux ouvrages cités dans cette section.

#### Les apports de Feinstein

Dans une série d'articles, Feinstein<sup>(7)</sup>, après avoir souligné la difficulté de schématiser les processus mentaux suivis par les cliniciens pour la résolution du diagnostic, traite de la stratégie des décisions diagnostiques, de l'utilisation du raisonnement probabiliste et de la construction des algorithmes cliniques.

<sup>(6)</sup> Jusqu'à récemment, à côté du disparate et inégal enseignement pratique au lit du malade et des schémas didactiques des ouvrages de médecine, peu de méthodes élaborées avaient été développées en vue d'acquies et d'accroître les qualités et les compétences requises pour la résolution des problèmes cliniques et augmenter leur fiabilité. Nous avons vu plus haut le schéma général classique habituellement admis. Il fait largement appel à l'expérience acquise par compagnonnage mais aussi aux qualités intrinsèques du praticien.

<sup>(7)</sup> Feinstein AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. 1. The Domains and disorders of clinical Macrobiology. Yale J Biol Med 1973 ; 46 : 212-232, Feinstein AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. II. The strategy of intermediate decisions. Yale J Biol Med 1973 ; 46 : 264-283, Feinstein AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. 3. The Construction of Clinical Algorithms. Yale J Biol Med 1974 ; 1 : 5-32.

Il fait une analyse et un exposé très détaillés des principales procédures utilisées, qui incluent :

- 1) un processus informel utilisant diverses procédures jusqu'à la mise en évidence de la cause de la maladie rendue le plus souvent possible par l'usage de tests spécifiques. Ce mécanisme est utilisé de façon "intuitive" par les médecins et paraît difficile, sinon impossible, à schématiser. Il dépend en effet des capacités du clinicien à suspecter, dès le début du processus diagnostique, la bonne hypothèse ou, si l'on veut s'exprimer autrement, à faire une reconnaissance de forme la plus adéquate. Il est clair que cette première partie est praticien-dépendante<sup>(8)</sup> ;
- 2) la procédure probabiliste qui se base sur les fréquences de certaines situations, leurs combinaisons, et les probabilités pré- et post-test (voir plus bas). Il nécessite une connaissance du raisonnement probabiliste, une base de données importante et l'aide de moyens de calculs adéquats. Elle suppose que les études préliminaires de prévalence des maladies aient été pratiquées et qu'on ne soit pas en présence d'une affection rare qui rend la procédure défailante ;
- 3) et enfin la procédure inspirée des "flow charts", des programmes informatiques et qui se résout par le parcours d'algorithmes divers à partir d'une entrée dans le système qui est le plus souvent un signe ou un syndrome.

#### Les apports de Kassirer et ses collaborateurs

Kassirer, dans un ouvrage rédigé avec Kopelman et intitulé "Learning clinical reasoning"<sup>(9)</sup> (ainsi que dans plusieurs autres publications), traite de l'analyse des procédures et des démarches habituellement observées et, surtout, des travaux de recherche menés sur ce thème.

Les recherches en sciences cognitives, en sciences de la décision et en sciences informatiques (en particulier l'intelligence artificielle) paraissent à Kassirer et Kopelman fournir la base de l'enseignement en vue de l'acquisition des principes sous-tendant le diagnostic et le traitement. Elles forment aussi la base de l'identification des erreurs (à laquelle ils consacrent divers autres articles).

Leur analyse est très poussée et considère divers aspects du diagnostic :

- 1) Génération des hypothèses à partir de ce qu'ils dénomment des "indices" (ce qu'on peut traduire par éléments d'orientation).
- 2) Raffinement des hypothèses diagnostiques passant par la "réduction de l'entropie du diagnostic", c'est-à-dire la diminution de l'incertitude et la réalisation du diagnostic différentiel.
- 3) Usage et interprétation des tests diagnostiques où l'approche probabiliste est très développée, en particulier la révision bayésienne (il s'agit de situations complexes où les calculs portent sur plusieurs hypothèses de maladies en combinaison avec des données cliniques et para-cliniques multiples).

Des considérations pragmatiques dans l'approche probabiliste portent sur divers points : qui tester ? ; le concept de seuil, le seuil thérapeutique, les seuils d'utilisation des tests. Kassirer et Kopelman ont, aussi, développé les points suivants : où, dans une procédure diagnostique, le raisonnement causal convient-il ? Quel est le résultat qu'on peut appeler opérationnel (c'est-à-dire qui permet d'avancer dans le diagnostic) ? Quelle(s) procédure(s) permet(tent) la vérification du diagnostic (critères de validité, détection d'une fermeture prématurée de la procédure diagnostique en cours) ?

Enfin, Kassirer et Kopelman<sup>(10)</sup> se sont aussi préoccupés de savoir si des erreurs, comme ont pu les définir et les déceler les spécialistes de sciences cognitives, se retrouvaient réellement dans le raisonnement clinique. L'analyse de 40 enregistrements consécutifs d'exercices de résolution de problèmes cliniques leur a permis de faire apparaître de multiples erreurs de cognition qui ont été identifiées à toutes les étapes du diagnostic. Ainsi, des erreurs pouvant produire de sérieuses conséquences ont bien été confirmées. Leur classification réalise une étape vers leur détection et leur prévention.

<sup>(8)</sup> L'expérience et la familiarité avec les situations rencontrées font qu'il serait illusoire d'essayer de schématiser ces situations, par définition, personnelles. Le plus "grand" clinicien ne pourrait émettre aucune hypothèse convenable devant une maladie exotique qu'il n'a jamais eu l'occasion de rencontrer et d'observer et dont il ignore même l'existence. Il ne pourrait, non plus, pallier cette situation par un savoir encyclopédique, ce qui est devenu irréalisable. Il peut tout au plus s'étonner et faire une étude bibliographique qui lui permettra seulement d'avancer. L'embarras devient très difficile à surmonter s'il s'agit de premiers cas d'une maladie émergente.

<sup>(9)</sup> Kassirer JP, Kopelman RI. *Learning Clinical Reasoning*. Williams & Wilkins. Baltimore, 1991.

<sup>(10)</sup> Kassirer JP ; Kopelman RI. *Cognitive errors in diagnosis : instantiation, classification, and consequences*. *Am J Med* 1989 ; 86 : 433-441.

Par ailleurs, Pauker et Kassirer<sup>(11)</sup> ont développé la notion de "seuil" et, en particulier, de "seuil de décision thérapeutique". En utilisant le concept d'analyse décisionnelle et après avoir calculé les probabilités pour que le patient ait une affection déterminée, on peut prendre la décision soit de traiter soit de recourir à d'autres explorations. Si on décide de faire d'autres explorations ou un traitement, on le fait après avoir évalué les avantages et les risques de chacune des manœuvres. En résumé, au-dessus d'un certain seuil, on décide de traiter, au-dessous d'un autre, on ne traite pas. Si la probabilité est située entre les deux seuils, une exploration complémentaire est envisagée et c'est la condition où elle devrait seulement être mise en œuvre.

Cette méthode est applicable dans un certain nombre de domaines médicaux ou chirurgicaux où existe une incertitude diagnostique après que toutes les études appropriées ont été conduites. Elle propose une analyse rationnelle de la décision d'utiliser des tests et de traiter.

Kassirer<sup>(12)</sup> a fait aussi, avec différents autres collaborateurs, une analyse du comportement de cliniciens expérimentés et montré que les hypothèses diagnostiques sont souvent générées avec juste un petit peu plus d'informations que celles fournies par les signes dont se plaint le patient, que la mise à l'épreuve des hypothèses était exécutée en suivant différentes stratégies et que le processus de récolte des informations incluait des techniques de contrôle de la validité des données. Cela fait ressortir la complexité des procédures utilisées.

#### Les apports de Sackett et ses collaborateurs

Sackett et ses collaborateurs forment le troisième groupe principal d'auteurs qui ont étudié le processus diagnostique. Leur ouvrage, consacré à l'épidémiologie clinique, décrit les processus du diagnostic avec un important développement sur la métrologie et les qualités des examens et des tests de diagnostic<sup>(13)</sup>.

Les stratégies du diagnostic clinique sont, d'après eux, au nombre de quatre :

- Stratégie 1: Diagnostic de reconnaissance instantanée (ou par reconnaissance de modèle, ou par analogie).
- Stratégie 2: Diagnostic par application d'algorithmes avec arborisations. À partir d'un syndrome, on fait une recherche systématique des éléments de "branchement" de l'arbre de décision. Par éliminations successives, on aboutit à retenir le diagnostic.
- Stratégie 3: Diagnostic en 2 temps :
  - a) Dans un premier temps, on fait une observation exhaustive.
  - b) Dans un deuxième temps, on se livre, sur cette récolte d'informations accumulées, à la recherche des données significatives qu'elle permettent d'extraire et d'en tirer les conclusions.
 L'analyse de cette stratégie a montré que, en fait, les cliniciens expérimentés sortent très vite de cette procédure car ils font rapidement des hypothèses et se mettent à fonctionner ensuite sur le mode "hypothético-déductif" (voir stratégie 4). Et cela intervient non seulement pour les praticiens chevronnés mais aussi pour les étudiants débutants. Les cliniciens expérimentés le font plus vite et mieux<sup>(14)</sup>.
- Stratégie 4 : Diagnostic par émission d'hypothèses testées au fur et à mesure. Cette stratégie est dénommée "hypothético-déductive". Cette méthode semble la plus communément pratiquée.

D'autre part, l'examen clinique est envisagé sous deux angles : son efficacité, qui est grande, et sa reproductibilité qui est envisagée sous l'angle probabiliste. La discussion du problème de la reproductibilité "inter-observateur" et "intra-observateur" (voir chapitre "Métrologie") les amène à considérer les causes des désaccords et la façon d'y remédier.

Les causes de désaccords sont de nature différente et peuvent provenir de :

- 1) l'examineur, qui peut en être le responsable pour plusieurs raisons :
  - . ses possibilités d'erreurs sensorielles ;
  - . sa tendance à penser en "hypothèses" plutôt qu'en preuves de certitude ;
  - . son penchant à accorder trop d'importance aux schémas de classification ;
  - . sa tendance à trouver ce qu'il espère trouver (piège des souhaits "a priori") ;
  - . et enfin son incompetence... (ce qui met en cause la formation des médecins et le contrôle de leurs connaissances).

<sup>(11)</sup> Pauker SG ; Kassirer JP. *The threshold approach to clinical decision making*. *N Engl J Med* 1980 ; 302 : 1109-1117.

<sup>(12)</sup> Kassirer JP, Gorry GA. *Clinical problem solving : a behavioral analysis*. *Ann Intern Med* 1978 ; 89 : 245-255.

<sup>(13)</sup> Sackett DL, Haynes RB, Guyatt GH, Tugwell P. *Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine*, 2<sup>e</sup> Édition. Boston, Toronto, Londres. Little, Brown, 1991. L'ouvrage traite aussi divers autres sujets tels que : l'appréciation des évolutions, les jugements de la thérapeutique et les moyens de se tenir au courant en médecine.

<sup>(14)</sup> Cette démarche ressemble à la prise d'observation classique. La récolte exhaustive, telle que la réalise la "prise d'observation complète", est ce que beaucoup recommandent de faire aux "étudiants hospitaliers". Peut-être serait-il judicieux de reconsidérer les consignes qui leur sont données pour les orienter vers des tâches plus utiles (pour eux) ?

- 2) l'examiné, dont les réponses peuvent être affectées de divers pièges qui sont :
  - . les incontournables variations biologiques ;
  - . les effets de la maladie et des médicaments (qui peuvent masquer des symptômes) ;
  - . l'effet de remémoration et de ruminantion (qui peuvent faire varier les déclarations).
- 3) des conditions de l'examen comme :
  - . les conditions d'urgence et toute autre condition défavorable ;
  - . les interactions entre examinateur et examiné ;
  - . le mauvais fonctionnement des appareils et des outils d'examen.

#### Apports de sciences cognitives

Il est nécessaire aussi d'envisager les apports des sciences cognitives. Ils ont d'ailleurs, on l'a vu, inspiré une bonne partie de l'œuvre de Kassirer.

*Nous ne ferons ici qu'un très bref rappel des principales notions, en demandant au lecteur de se reporter au développement sur les heuristiques dans le chapitre "L'utilisation des différentes façons de penser en pratique médicale quotidienne".*

Rappelons que les spécialistes des sciences cognitives ont identifié un certain nombre d'"heuristiques" de résolution des problèmes quotidiens ; heuristiques qu'on pourrait appeler les jugements "à première vue". Ils classent ces jugements en trois catégories principales : heuristiques de représentativité, heuristiques de disponibilité et heuristiques d'ancrage auxquels sont attribués des biais correspondants. Ils définissent aussi des erreurs non cognitives (comme celles dues à une information manquante ou erronée) et des erreurs cognitives. Les erreurs cognitives sont dues à un *fonctionnement défectueux du processus de traitement des informations*<sup>(15)</sup>.

Dans le cadre du diagnostic, elles peuvent rendre défectueuses : la génération d'hypothèses, la formulation du "contexte", le recueil et le traitement de l'information (mauvaise estimation de la prévalence de l'affection, la mauvaise interprétation du résultat d'un examen complémentaire, mauvais modèle causal, confiance exagérée en un axiome clinique) et, enfin, la vérification et la clôture du diagnostic.

**Aux heuristiques de représentativité** correspondent des biais tels que ceux qu'on commet en se trompant avec un événement proche et ressemblant (par exemple, devant des palpitations chez une personne neurotonique, attribuer ces symptômes à la neurotonie sans s'être assuré qu'il ne s'agit que de cela et méconnaître une cardiopathie authentique).

**Aux heuristiques de disponibilité** correspondent des biais tels que ceux qu'on fait en se référant à un événement qui revient facilement en mémoire parce qu'il vous a frappé (par exemple, un cas particulier survenu dans les jours précédents et qui vous a marqué affectivement).

**Aux heuristiques d'encrage** correspondent des biais tels que l'attribution d'une importance injustifiée à un point de départ ou à une valeur initiale qui induit un jugement faussé.

### Analyse, discussion et critique de ces données nouvelles

À la suite de cette analyse succincte des travaux de réflexion sur le processus du diagnostic et sur les erreurs "cognitives" qu'on peut y relever, on voit qu'une étude très poussée a été menée. Elle a été essentiellement formalisée aux États-Unis et au Canada. Les modèles qui ont été développés ont tendance à s'étendre et se généraliser dans le monde médical occidental.

Une tendance assez "dure" critique les raisonnements individuels qui seraient tous suspects de subjectivité et elle donne l'impression qu'il faudrait s'en remettre exclusivement à des procédures parfaitement évaluées. Il est certain que l'évaluation scientifique de la valeur des tests est, sur le plan méthodologique, un progrès et une excellente façon de connaître et juger les qualités métrologiques et l'utilité attachées à toute exploration ou test diagnostique. Ces éléments se traduisent par la notion d'"efficacité" de ces explorations diagnostiques. Mais elle ne permet pas, par contre, de connaître et juger la qualité conceptuelle du test étudié si la nosologie, qu'il est censé explorer, est, elle-même, mal définie.

L'évaluation scientifique de la valeur des tests diagnostiques est indépendante de toute considération humaine, psychologique ou éthique. Elle est, par contre, de plus en plus souvent doublée d'une appréciation économique avec le calcul de rapports coût/efficacité, qui traduisent la notion d'"efficience".

<sup>(15)</sup> Ces notions sont largement développées dans l'ouvrage de Kahneman et collaborateurs : Kahneman D, Slovic P, Tversky A: *Judgement under uncertainty. Heuristics and Biases*. Cambridge University Press, 1985.

Il existe donc bien une tendance à substituer la démarche quantitative à la démarche qualitative et aux jugements individuels utilisés antérieurement. Que peut-on en retenir actuellement ?

Le raisonnement probabiliste est incontournable et très utile dans l'élaboration des connaissances scientifiques et plus particulièrement dans les sciences biologiques et médicales. Il est tout à fait adapté et performant pour l'évaluation des manœuvres réalisables sur des populations (dépistage), cas dans lesquels on connaît exactement la cible recherchée.

Son application à des problèmes *individuels* et pratiques quotidiens est plus problématique. Dans la démarche diagnostique, les hypothèses sont nombreuses et la façon de les traiter paraît ne pas pouvoir se plier à une démarche univoque. De plus, les outils probabilistes sophistiqués nécessitent, outre un apprentissage intellectuel, des données numériques nombreuses et sont de ce fait difficiles à utiliser en pratique<sup>(16)</sup>. Ils ont besoin du support permanent de banques de données informatisées et surtout de programmes informatiques capables de les traiter.

Ce raisonnement aura la possibilité de se développer si les utilisateurs disposent de tous ces éléments valides ainsi que de l'éducation nécessaire. Il faut aussi qu'ils soient conscients de ses capacités et de ses limites.

## LES OUTILS DE RÉOLUTION DES PROBLÈMES DIAGNOSTIQUES

### ACTUELLEMENT DISPONIBLES

Ce rappel nous a paru nécessaire en raison de la difficulté, pour les plus jeunes médecins notamment, de faire la différence entre les diverses procédures diagnostiques actuellement disponibles.

Ces procédures s'adressent essentiellement à toutes les opérations intellectuelles pouvant bénéficier d'une aide à la décision. Mais elles ne peuvent se substituer au jugement (voir plus bas) qui intervient lors de la génération des hypothèses diagnostiques, lors des nœuds décisionnels ou lors de la clôture du processus diagnostique.

### La procédure utilisant la reconnaissance de formes, abusivement qualifiée d'"hypothético-déductive"

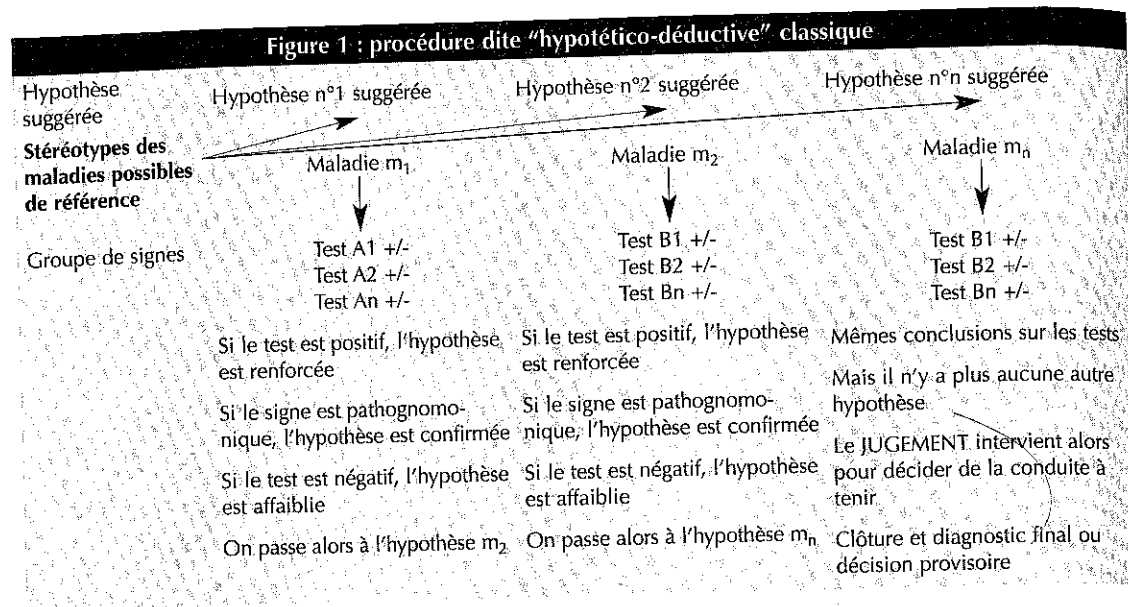
Cette procédure peut relever de la mise en fonctionnement d'une *heuristique* (voir plus haut) ou être consciente.

C'est un processus de reconnaissance basé sur la mise en évidence d'une similitude<sup>(17)</sup>.

Il peut être représenté sur la figure 1. Il s'agit de comparer le tableau clinique observé avec les modèles mentaux, ou "stéréotypes" que le médecin possède, de(s) maladie(s) qui a (ou ont) fait l'objet du choix entre les hypothèses diagnostiques.

<sup>(16)</sup> Une enquête assez récente a montré que, même chez des médecins instruits des possibilités de ces démarches quantitatives et probabilistes et capables de les pratiquer, leur utilisation était réduite à un faible pourcentage de participants : Sur un échantillon de 300 médecins : 8 sur 300 utilisaient les calculs bayésiens, 3 sur 300 utilisaient les courbes ROC et 2/300 utilisaient les likelihood ratios. Ceci est dû à plusieurs facteurs et, en particulier, à la lourdeur de la procédure du calcul bayésien et de la mauvaise assimilation des méthodes (Reid MC ; Lane DA ; Feinstein AR. *Academic calculations versus clinical judgments : practicing physicians' use of quantitative measures of test accuracy*. *Am J Med* 1998 ; 104 : 3 74-80).

<sup>(17)</sup> Ce processus est parfois abusivement qualifié d'"hypothético-déductif", ce qui prête trop à confusion avec le raisonnement utilisé en matière de démonstration scientifique (Mc Cormick J.S. *Diagnosis : The need for Demystification*. *The Lancet* 1986 ; II : 1434-1435). Cette dernière appellation est due au fait que dans la démarche diagnostique, des hypothèses sont émises et qu'ensuite il est procédé à leur vérification soit par la recherche d'autres éléments venant compléter le tableau clinique, soit par la mise en évidence d'éléments concourant à permettre un jugement plus étayé d'un rapport de causalité ou du mécanisme des troubles. En revanche, le raisonnement hypothético-déductif scientifique demanderait de tester toutes les hypothèses concurrentes. On voit le caractère irréaliste de ce type de démarche dans la situation de pratique quotidienne qui exige rapidité, efficacité et parcimonie de moyens.



Lorsque la comparaison est difficile parce que le tableau observé n'est pas suffisant ou complet, le praticien complète sa démarche par la recherche d'autres signes d'examen clinique d'abord puis, au besoin, par la mise en œuvre d'examen complémentaires qui permettent de trouver les "éléments manquants du puzzle".

La gestion des examens complémentaires est alors source de difficultés. En effet, si toutes les hypothèses sont placées sur le même pied, cela risque de conduire à une débauche d'examen. Chacun d'entre eux aurait pour fonction de compléter le tableau pour chacune des maladies soupçonnées sans discrimination. Il faut discuter ici une pratique fréquente : on demande souvent encore aux étudiants de "faire une observation complète" et d'y accumuler ainsi signes et constatations aussi bien normales qu'anormales. En poussant cette démarche à l'extrême et en l'appliquant aux examens complémentaires, on est à peu près certain de ne rien négliger, ni dans la confirmation de la bonne hypothèse, ni dans l'élimination des mauvaises. Mais le danger, en appliquant un "principe de précaution" mal compris, est, alors, d'être submergé par l'abondance d'informations impossibles à gérer. Cette démarche est malheureusement encore pratiquée assez souvent si on en juge par le nombre de dossiers obèses qui encombrer les archives hospitalières<sup>(18)</sup>.

Il est nécessaire de réduire le champ d'application de l'examen et des explorations à ce qui est le plus "prometteur", c'est-à-dire privilégier une hypothèse et dans le cadre même de cette hypothèse aller au "plus efficace".

Privilégier une hypothèse peut résulter d'un jugement de ressemblance (ce qui paraît le plus ressemblant est privilégié), d'une réflexion basée sur raisonnement causal ou physiopathologique (voir plus bas), de la mise en œuvre des règles établies par l'expérience accumulée ou d'un algorithme ou encore d'une évaluation probabiliste, etc.

Aller à l'examen "le plus efficace" se fait en choisissant celui qui, dans l'état d'avancement du diagnostic accroîtra le plus la vraisemblance d'une hypothèse (ou si on veut utiliser le raisonnement probabiliste, sa probabilité). C'est ici que prend tout son intérêt la connaissance des qualités métrologiques des tests et de leur utilisation pour réaliser une révision bayésienne (voir plus bas).

### La procédure utilisant le raisonnement physiopathologique ou causal

Dans ce type de raisonnement, les constatations et les faits s'accordant avec une cause ou un mécanisme physiopathologique cohérent initient et renforcent l'hypothèse.

Les signes d'appel sont ici aussi le plus souvent cliniques (simples symptômes ou syndromes) mais ils peuvent être identifiés lors d'explorations complémentaires comme une anomalie biologique (une hyponatrémie ou une hypercalcémie par exemple, ou bien une imagerie anormale comme une opacité pulmonaire...).

(18) Il y a ainsi une incohérence entre ce qu'on demande de faire au clinicien débutant à qui il est imposé de faire une recherche exhaustive des signes cliniques (y compris ceux qui n'ont rien à voir avec la situation en cause), et la parcimonie conseillée ensuite dès qu'il s'agit d'examen complémentaires. Il faudrait homogénéiser ces points de vue et savoir réduire les exigences d'examen clinique à ce qu'il est raisonnable et sensé de faire pour le progrès du processus diagnostique et non pour "avoir une observation complète", ce qui relève du rituel plus que de la rationalité. Les principes de sobriété devraient être homogènes.

On peut avoir à faire, par exemple, aux quelques situations suivantes :

- Des troubles digestifs qui ne trouvent pas rapidement une explication en rapport avec une origine viscérale abdominale peuvent amener à se poser la question de troubles en rapport avec une affection neurologique (hypertension intracrânienne) ou psychiatrique, ou bien avec des perturbations métaboliques (hypercalcémie).
- Une fièvre peut amener, si on ne trouve pas une cause infectieuse patente, à se poser le problème d'une affection systémique, d'une néoplasie, d'une fièvre d'origine centrale, d'une hyperthermie en rapport avec des conditions climatiques inhabituelles (particulièrement chez le nourrisson ou le vieillard), etc.

D'autres nombreux exemples pourraient être cités, surtout dans le domaine nutritionnel, métabolique ou endocrinien, où le raisonnement physiopathologique est très fréquemment utilisé.

Dans ces divers cas, le recours à une hypothèse causale ou physiopathologique permet de sortir de la situation d'absence de "forme reconnaissable". Cette hypothèse permet parfois de faire progresser la démarche vers une prise de décision.

L'exploration d'hypothèses physiopathologiques ou causales peut, ainsi, permettre la reconnaissance d'une nosologie cohérente à laquelle on n'avait pas pensé initialement.

Les limites du raisonnement physiopathologique ou du raisonnement causal en matière de diagnostic doivent néanmoins être rappelées :

- Il ne fonctionne correctement qu'à condition de ne pas prendre une hypothèse physiopathologique ou causale et/ou une spéculation pour une réalité démontrée (ce qui est malheureusement parfois le cas).
- Dans ce cadre de la démarche diagnostique, il ne peut remplacer les étapes factuelles cliniques pratiquement toujours indispensables à la reconnaissance des syndromes et à l'orientation consécutive des diagnostics.
- L'utilisation exclusive ou prédominante de raisonnement physiopathologique peut amener à négliger de se référer à la nosologie solidement établie grâce aux bases de la science taxonomique et qui a l'avantage d'avoir été critiquée par la communauté scientifique.

### La procédure utilisant le raisonnement probabiliste

Ce type de procédure intervient de façon inconsciente (et sous une forme non quantifiée) quotidiennement, avec les heuristiques de disponibilité et d'ajustement. C'est le diagnostic que l'on évoque d'emblée en période d'épidémie dans une collectivité, par exemple. Dans ce cas, le médecin a déjà vu de nombreux malades identiques et, dès qu'il constate les premiers symptômes de la maladie chez un patient, il sera enclin à porter le diagnostic.

Mais, à côté de ces heuristiques, un raisonnement probabiliste plus formalisé a été proposé pour le diagnostic. Ce raisonnement (voir chapitre "Épistémologie") s'appuie sur :

- d'une part les fréquences de certaines maladies dans des groupes déterminés de patients, ce qui permet de déterminer une probabilité "prétest",
- d'autre part, sur une "révision bayésienne", c'est-à-dire l'application du théorème de Bayes pour calculer les probabilités dites "post-test" à partir d'une probabilité initiale et des probabilités conditionnelles (par exemple: suivre que le test qu'on se propose d'utiliser, et dont on connaît la sensibilité et la spécificité, est positif ou négatif).

\* Si on note p(M) ou p la probabilité prétest ou probabilité a priori de la maladie, p(S/M) la probabilité d'avoir le signe S quand le sujet a la maladie M : c'est la sensibilité du signe [Se], et p(S/M) la probabilité de ce signe dans les autres maladies possibles ou chez les sujets sains (c'est le complémentaire à 1 de la spécificité du signe [Sp]), la probabilité post-test ou probabilité a posteriori de la maladie peut être calculée, grâce à un théorème très important de la mathématique probabiliste : le théorème de Bayes. Si le signe est présent, la probabilité a posteriori est :

$$p(M/S) = \frac{p(S/M) \times p(M)}{p(S/M) \times p(M) + p(S/\bar{M}) \times p(\bar{M})}$$

ou encore

$$\frac{Se \times p}{(Se \times p) + (1 - Sp) \times (1 - p)}$$

Si le signe est absent, la probabilité a posteriori est :

$$p(\bar{M}/\bar{S}) = \frac{p(\bar{S}/M) \times p(M)}{p(\bar{S}/M) \times p(M) + p(\bar{S}/\bar{M}) \times p(\bar{M})}$$

ou encore

$$\frac{(1 - Se) \times p}{(1 - Se) \times p + Sp \times (1 - p)}$$

• Ces formules permettent de comprendre que les probabilités *a posteriori* ou valeurs prédictives d'un test (symptôme ou signe) dépendent à la fois de la probabilité *a priori* de la maladie et des caractéristiques métrologiques intrinsèques du test (son pouvoir de discriminer les malades des non-malades évalué par la sensibilité et la spécificité).

• La relation organique qui existe entre probabilité *a posteriori*, probabilité *a priori* et les caractéristiques discriminantes du test est bien mise en évidence par des formules faisant intervenir les cotes ("odds") de la maladie (la cote d'une maladie M est le rapport de la probabilité de la maladie (p) sur la probabilité complémentaire (1-p)).

• En effet, on montre que la cote *a posteriori* de la maladie,

$$\frac{P(M/S)}{1 - P(M/S)}$$

est le produit de la cote *a priori*,

$$\frac{P}{1 - P}$$

et d'une quantité ne dépendant que des propriétés intrinsèques du test, le "likelihood ratio":

$$\frac{P(M/S)}{1 - P(M/S)} = LR^+ \times \frac{P}{1 - P}$$

ou

$$LR^+ = \frac{Se}{1 - Sp}$$

et

$$\frac{P(M/S)}{1 - P(M/S)} = LR^- \times \frac{P}{1 - P}$$

ou

$$LR^- = \frac{1 - Se}{Sp}$$

• Ces formules relativement complexes et difficilement utilisables manuellement ont incité à développer des nomogrammes (aides graphiques) qui permettent de relier probabilité *a posteriori* et probabilité *a priori* selon les valeurs des likelihood ratios. Plus encore peut-être que la sensibilité et la spécificité, les likelihood ratios sont les quantités décrivant l'intérêt diagnostique des tests.

• Si l'on recherche des signes ou examens immédiatement contributifs pour la prise de décision, la valeur des probabilités *a posteriori* associées doit être soit proche de 1 ou de 0 (disons supérieur à 0,95 ou inférieur à 0,05). Ces niveaux ne peuvent, en pratique, être atteints que si le likelihood ratio positif est supérieur à 20 ou le likelihood ratio négatif, inférieur à 0,05, ce qui en pratique ne s'observe que si la spécificité ou la sensibilité sont respectivement supérieures à 0,975. Ce sont des signes ou examens qui permettent la mise en application de la célèbre règle "Spin et SnOut" de Sackett:

• **Spin**: "Quand un test diagnostique a une spécificité suffisamment élevée, un résultat positif au test confirme l'hypothèse diagnostique (ce qui correspond aux signes ou tests "pathognomoniques" déjà pressentis par Hippocrate).

• **SnOut**: "Quand un test diagnostique a une sensibilité suffisamment élevée, un résultat négatif au test élimine l'hypothèse diagnostique".

Le raisonnement probabiliste sert au renforcement ou à la réfutation des hypothèses. Mais elles peuvent aussi aider au choix de l'examen complémentaire ou de toute exploration à utiliser en prenant en compte les gains de probabilité dans la démarche diagnostique qu'autorisent le calcul des probabilités conditionnelles et l'inclusion des propriétés métrologiques du test candidat.

Pour que le raisonnement probabiliste puisse être mis en œuvre, des conditions strictes doivent être respectées :

- La méthode ne peut s'appliquer que si l'on connaît parfaitement les populations dont sont tirées les prévalences et les probabilités initiales des malades. Ce peuvent être des populations générales ou celles d'une consultation de spécialistes ou de généralistes qui fourniront ces prévalences (et elles seront différentes). En France, la connaissance exacte des chiffres et des prévalences est le plus souvent absente ou insuffisante. On ne peut utiliser, alors, que des estimations grossières ou celles fournies par l'épidémiologie hospitalière qui sont loin d'être généralisables.

- Il faut disposer aussi des mesures précises de sensibilité et de spécificité (ou des likelihood ratios) des explorations complémentaires que l'on se propose d'utiliser. Or ces données ne sont que rarement établies et accessibles, ce qui rend le calcul des probabilités impossible ou affecté d'une grande incertitude.

Ce type de raisonnement est également lourd à mettre en œuvre et nécessite l'aide de moyens de calcul adéquats (nomogrammes, ordinateurs). Enfin il satisfait mal la question que se pose le patient vis-à-vis de son propre problème, à savoir : qu'en est-il de "mon cas particulier".

Ces exigences font que les conditions de l'application du raisonnement probabiliste sont rarement réalisées ou même approximativement satisfaites en pratique clinique quotidienne. Les évaluations récentes de son utilisation semblent confirmer ses difficultés d'application.

## Les procédures d'application de règles accumulées ou d'algorithmes

Ces procédures font appel à des règles établies empiriquement grâce au savoir d'experts, et ensuite mises en œuvre (après validation ou non) dans un programme informatisé (on parle alors de "système expert") ou non (simple représentation graphique).

Les cheminements de la pensée y sont élaborés à partir d'un symptôme ou d'une situation donnée ; le chemin peut suivre un certain nombre de branches sur un "arbre" (voir exemple donné dans le chapitre "L'utilisation des différentes façons de pensée en pratique médicale quotidienne"). Telle ou telle branche est retenue suivant que se trouvent présentes ou absentes une ou plusieurs conditions.

Les algorithmes sont inspirés des programmes informatiques. Ils sont logiques et complets. Ils sont la garantie (en principe) que l'utilisateur n'omettra pratiquement aucune affection possible à partir des symptômes de présentation. Les branchements logiques se succèdent pour aboutir, en principe, au bon diagnostic.

Ces algorithmes sont, aussi, une bonne aide pour amener à recueillir des informations et pour faire faire des progrès aux débutants dans l'acquisition des connaissances et dans la génération systématique d'un certain nombre d'hypothèses, et notamment les possibilités de diagnostics inusuels.

Il existe des variantes de ce mode de raisonnement :

- Il est probable que des praticiens de grande expérience élaborent pour leur pratique quotidienne des algorithmes pragmatiques, plus ou moins explicités, qui leur permettent des performances optimales par les raccourcis qu'ils permettent.

- Des propositions d'utilisation de l'informatique ont été mises en avant. Leurs tenants sont enthousiastes et publient des articles tendant à montrer l'efficacité de certaines expériences, et suggèrent que l'ordinateur peut faire mieux que les praticiens<sup>(19)</sup>. Toutefois, les applications en pratique de ces systèmes ont tendance à "piétiner". Et les expériences malheureuses ne sont, en outre, probablement pas publiées. De plus, les distorsions et les interférences que provoqueront les considérations éthiques, législatives et surtout économiques risquent de modifier profondément les facteurs de décision. Il est possible toutefois que certains problèmes puissent tirer profit d'une assistance par ordinateur. Ces possibilités seront probablement mieux précisées dans les années à venir.

La démonstration de l'utilité d'un algorithme en pratique, c'est-à-dire sa validation, est actuellement très rare.

En revanche, les dangers de ce type de procédures assez contraignantes ne doivent pas être sous-estimés :

- Le risque de production d'un système figé d'approches pour inventorier les problèmes et d'algorithmes pour leur résolution est réel. Car aucune de ces méthodes ne privilégie la procédure essentielle qui est le raisonnement éclairé et critique en vue d'une performance optimale.

- Elles favorisent une certaine forme de démission intellectuelle qu'accroissent l'application des recommandations de pratiques cliniques, voire de recommandations médicales opposables (voir le chapitre "La pro-

<sup>(19)</sup> Mais, il est nécessaire de rappeler, que les programmes n'ont pu être établis que sur les données fournies par des experts cliniciens qui feront, probablement, toujours mieux que les programmes forcément réducteurs qu'ils ont contribué à élaborer. Ces algorithmes ont été critiqués sur le plan théorique par Wartofsky (Wartofsky MW. *Clinical judgment, expert programs, and cognitive style : a counter-essay in the logic of diagnosis.* J Med Philos 1986, 11 : 81-92.)

tection sociale et l'économie de la santé") et, probablement dans un proche avenir, la diffusion de guides de conduite équivalents des "guidelines" anglo-saxons.

– Il ne réalise, comme ces derniers d'ailleurs, que des recettes dont on peut se demander quelles seront, à long terme, les effets sur les capacités de discernement de médecins. Car leur utilisation développée et trop étendue, favorisant la passivité, ne peut que diminuer inversement les efforts personnels de compréhension et le dynamisme intellectuel qui permettent une meilleure adaptation aux situations. L'absence de raisonnement basé sur le jugement, le discernement et la critique (fécond à la fois sur le plan intellectuel et sur le plan pragmatique de l'efficacité) risque de laisser place à des procédures perverses. Du fait des nécessités financières, les décideurs en matière de santé publique pourraient substituer au raisonnement critique, intellectuellement satisfaisant et gratifiant, un système de références imposées par des considérations économiques avantageuses, système "sclérosant" sur le plan conceptuel et démotivant sur le plan humain et professionnel.

## La procédure d'utilisation des "raisonnements individuels"

Comme on l'a vu dans le chapitre "L'utilisation des différentes façons de penser en pratique médicale quotidienne", novices et cliniciens expérimentés ont très probablement des façons différentes de mener leur raisonnement. Une différence plus subtile existe certainement aussi pour les individus entre eux. Il serait utopique de s'imaginer que l'on peut proposer une méthode infaillible pour progresser vers le diagnostic parfait. Il existe certainement, dans la génération des hypothèses, une recherche des indices qui relève d'un mécanisme non schématisable et qu'on peut comparer à une "pseudo-intuition", une sorte d'"*eurêka*", qui survient après un certain temps de collecte d'indices et de ruminations intellectuelles.

D'autres mécanismes individuels de progression vers des étapes ultérieures peuvent donner lieu à des méthodes judicieuses d'aide au raisonnement, à la condition qu'ils soient convenablement critiqués et fassent l'objet d'une auto-évaluation.

## PROPOSITIONS D'UTILISATION DES RAISONNEMENTS DIAGNOSTIQUES EN SITUATION CONCRÈTE

À la suite de la présentation des études théoriques et cognitives et des différentes procédures diagnostiques telles qu'elles apparaissent utilisables actuellement, quelles utilisations peut-on proposer en pratique ?

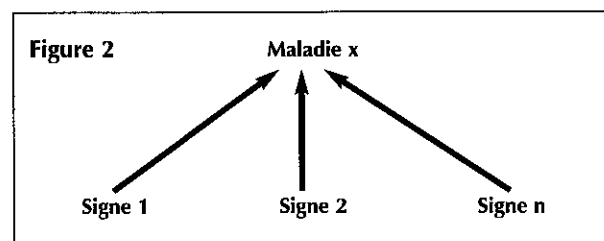
Il nous semble réaliste de garder ce qui, sans discussion, a fait ses preuves et qu'on utilise :

- dans les apports des sciences cognitives, la conceptualisation des erreurs qu'elles ont pu mettre en évidence ;
- dans les méthodes probabilistes, les progrès qu'elles ont permis grâce à la combinaison des prévalences en diverses populations et aux calculs basés sur la valeur prédictive des tests, ainsi que l'étude possible, par la révision bayésienne, des gains en probabilité dans le choix des tests à utiliser ;
- dans les algorithmes, les moyens d'avoir à sa disposition une liste exhaustive des diagnostics envisageables dans l'état actuel de la science médicale et les moyens d'y parvenir.

On envisagera la situation commune du patient consultant ou venant au-devant du médecin en dehors de situations d'urgence ou d'incapacité du patient. Ce qui suit est un ensemble de propositions pragmatiques destinées à éclairer quelques solutions à des problèmes qui se posent en pratique.

Le point de départ du processus est l'apparition d'un certain nombre de troubles cliniques justifiant le recours au médecin. L'interrogatoire et l'examen physique de routine, mais surtout orienté vers le champ ou le type de pathologie suggérée, peuvent aboutir à quelques *situations schématiques*.

La *première situation* est celle où il n'y a qu'une seule hypothèse qui paraît soutenable (Figure 2). Cette situation est assimilable à celle déjà détaillée du "diagnostic facile".



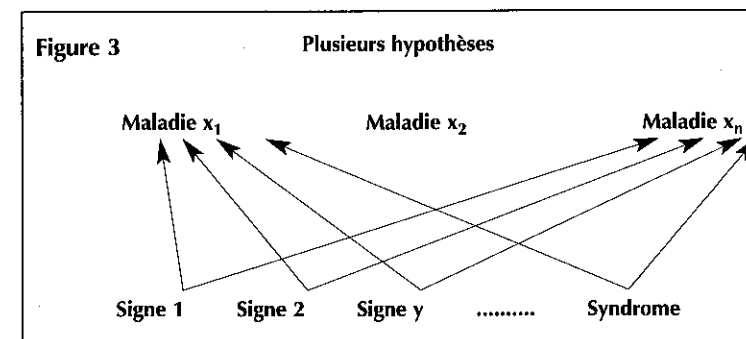
Ici le diagnostic est évoqué dès la simple prise de l'observation ou même de la simple inspection. Le processus de raisonnement impliqué est du type reconnaissance de forme. Les signes sont suffisamment probants pour que le clinicien conclue rapidement que l'hypothèse qu'il a faite est la bonne et il la retient. Il doit pouvoir répondre à qui la mettrait en doute (y compris lui-même) : Qu'est ce que ce pourrait être d'autre? et ne pas trouver de réponse.

À côté du processus positif de reconnaissance instantanée, un autre processus, "réfutatif" cette fois, de remise en cause intervient assez souvent dans la démarche diagnostique. C'est la mise en éveil du médecin par une constatation inhabituelle pour le tableau évoqué. Cette anomalie peut paraître minime, et négligeable, à un praticien novice. En fait, chez un praticien expérimenté elle revêt immédiatement une valeur particulière et significative qui lui fait remettre en cause l'hypothèse initiale qui ne "colle pas" avec cette ou ces constatation(s) discordante(s) ou supplémentaire(s).

Cette faculté d'étonnement et de remise en cause est, sans aucun doute, dépendante de la personnalité du praticien et de son degré d'expérience professionnelle. Mais elle doit être développée chez tous de manière à prévenir les erreurs dues à une confiance excessive en soi. Elle ne doit pas, pour autant, se transformer en vérification obsessionnelle qui est par contre nuisible et injustifiée<sup>(20)</sup>.

De plus, cette démarche, qui n'est parfois qu'une heuristique, comporte des possibilités d'erreurs (entraînant une clôture prématurée de la démarche) et de biais (et notamment du *biais de représentativité* et du *biais de disponibilité*, voir ci-dessus).

La *deuxième situation* est celle où on fait deux ou plusieurs hypothèses qui paraissent assez soutenables (Figure 3)



L'ensemble de ces différents signes suggèrent *n* hypothèses et il s'agit d'un diagnostic difficile (voir conduite classique). Le choix entre les diverses hypothèses peut se faire en suivant différentes procédures. On peut en individualiser cinq principales. Elles interviennent d'ailleurs souvent en conjonction plus ou moins consciente ou, au contraire, être utilisées de façon très sophistiquée tout en pouvant faire intervenir ou non les apports des sciences cognitives. Ce sont, à nouveau :

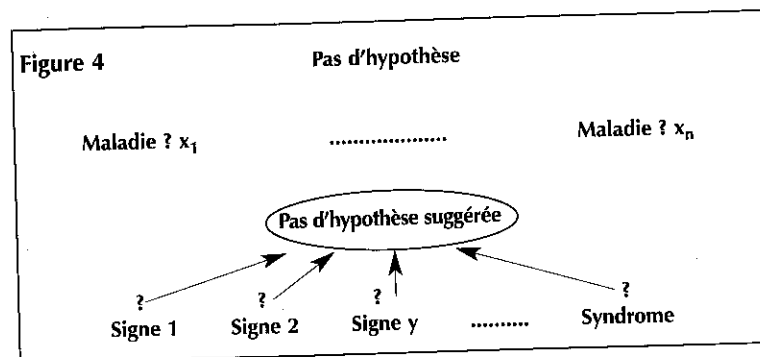
- 1) La reprise du raisonnement du type reconnaissance de formes ou "hypothético-déductif".
- 2) Le raisonnement causal et le raisonnement physiopathologique (souvent intriqués).
- 3) Le raisonnement probabiliste en s'aidant des prévalences pour base de départ.
- 4) La résolution ayant recours à des règles accumulées par des experts ou à des algorithmes.
- 5) Le raisonnement basé sur l'expérience individuelle (qui est souvent proche de la reconnaissance de formes).

La *troisième situation* est celle où, initialement, on n'arrive à faire aucune hypothèse. On ne sait pas, mais on ne renonce pas à chercher. Il faut rechercher des "indices" supplémentaires, ce qui permet, habituellement, de se retrouver dans une situation proche de la précédente.

La *quatrième situation* est celle où on n'arrive à faire aucune hypothèse, même après avoir vigoureusement cherché (Figure 4).

L'ensemble des différents signes accumulés ne suggère aucune hypothèse précise. La poursuite du processus peut se faire en utilisant les diverses procédures déjà signalées au paragraphe précédent.

<sup>(20)</sup> Quelles que soient les méthodes d'amélioration des procédures diagnostiques, ces éléments restent incontrôlables et dépendent de la personnalité du praticien (ou de sa peur de l'échec, voire d'un procès?). Il est nécessaire de mettre en garde contre un penchant à faire preuve d'une trop grande assurance, ce qui peut survenir après un certain temps de pratique. Cette trop grande confiance en soi peut amener à une conclusion hâtive et insuffisamment étayée. Une confirmation, raisonnable sans être tatillonne, est le préalable indispensable à toute prise de décision.



## LA CLÔTURE DE LA DÉMARCHE DIAGNOSTIQUE : CONFIRMATION OU ADOPTION DE LA DERNIÈRE HYPOTHÈSE DIAGNOSTIQUE À RETENIR

Une question théorique préalable mérite d'être évoquée : faut-il se poser la question de savoir s'il existe une méthode permettant d'affirmer que le diagnostic posé est le bon ou, en d'autres termes, de valider son exactitude ?

La méthode devrait alors faire appel à différents moyens de validation et, aussi, recourir à des arbitres externes. On voit immédiatement le caractère irréaliste de cette dernière démarche<sup>(21)</sup>.

En revanche, les éléments qui permettent de se fier à la conclusion diagnostique qu'on a atteinte relèvent d'une critique de ses propres déductions et d'un jugement de clôture du processus. Il est nécessaire de s'assurer que le diagnostic qu'on a fini par retenir est bien celui qui semble le plus en cohérence avec les signes et caractéristiques de l'affection présentée par le patient, et vice versa.

Comme nous l'avons vu plus haut, le processus diagnostique est essentiellement pragmatique et aboutit, non à un édifice intellectuel parfait, mais à une prise de décision<sup>(22)</sup>.

Nous verrons plus loin que le jugement humain a des qualités et des faiblesses incontestables. Son application à la clôture de la démarche diagnostique est certainement un point très critique et majeur de son intervention.

En pratique, la situation est la suivante : il existe un "faisceau" d'arguments en faveur d'un diagnostic et il faut décider si on le retient ou non. Or ces arguments ont plus ou moins de valeur. De plus, ils s'appliquent à des situations différentes suivant le niveau structurel taxonomique de l'entité nosologique à laquelle on est confronté et suivant le stade évolutif auquel est parvenue l'affection. Plus l'entité nosologique responsable est conceptuellement achevée (affection dont on a pu démontrer la cause, les lésions, les mécanismes physiopathologiques et dont on connaît les symptômes et l'évolution naturelle) et plus le raisonnement par jugement devra être mis en œuvre. Par contre, si la nosologie de l'affection se résume à un syndrome, c'est la démarche de reconnaissance morphologique qui est sollicitée et il reste peu de place pour l'exercice d'un jugement élaboré puisqu'on ne peut guère discuter les éléments responsables et les causes qui ne sont pas encore découverts. Il ne reste alors que la comparaison avec un stéréotype.

Dans tous les cas il paraît indispensable de s'assurer de la cohérence des éléments "clés" observés et de la concordance de l'ensemble des signes trouvés avec ceux de la représentation (mentale) de la maladie dont on dispose.

(21) Le décompte de critères diagnostiques est une pratique qui tend à s'étendre. Il faut, à ce sujet, faire les remarques et mises en garde fondamentales suivantes : les critères diagnostiques ont été élaborés pour pouvoir définir les sujets homogènes entrant dans des groupes définis et destinés à diverses enquêtes ou dans des travaux de recherche. Ce sont leurs qualités de définition des groupes homogènes en recherche clinique et non leurs qualités de reconnaissance de l'affection en cause qui ont représenté l'objectif poursuivi. Il est donc assez hasardeux de les utiliser en pratique courante car ils laissent de côté un nombre important de patients qui ne rentrent pas dans le cadre artificiellement défini pour un autre usage.

(22) Certains partisans du raisonnement probabiliste, dont Kassirer, ont préconisé (voir plus haut) des seuils de probabilités au-delà (en deçà) desquels on admettrait (on rejetterait) une hypothèse diagnostique (à l'exemple des tests statistiques, les limites arbitraires de 95% et de 5% ont été suggérées). En réalité, il semble que la sévérité du pronostic et les possibilités thérapeutiques sont également déterminantes pour la poursuite ou non d'explorations complémentaires ainsi que pour la décision de traiter. Il y a peu de situations standardisées "chiffrables" en termes de probabilités.

## L'INTERVENTION DU JUGEMENT

Le jugement n'intervient pas seulement dans la clôture, mais aussi à de nombreuses autres temps de la progression de la démarche diagnostique. Il mérite, de ce fait, qu'on y consacre un développement spécifique.

### Moments d'intervention du jugement

La génération des hypothèses diagnostiques est le premier moment d'intervention du jugement. Beaucoup des processus mentaux qui interviennent à ce stade semblent relever des heuristiques. Nous avons vu que, lorsque le tableau clinique réalisé n'évoque aucun des schémas classiques, ni aucun souvenir personnel de cas identique, ni aucune situation familière, le processus intellectuel mis en œuvre suit très probablement un cheminement propre à chaque praticien et faisant alterner la collecte d'indices et la confrontation de la synthèse qu'on peut en faire avec le tableau vraisemblable évoqué. Cette confrontation amène à juger la vraisemblance acceptable ou non.

Les autres moments d'application du jugement sont la réflexion sur les choix des conduites à tenir lors des prises de décisions intermédiaires (les "nœuds décisionnels") et surtout lors de la clôture du processus diagnostique (voir ci-dessus).

### Jugement et type de raisonnement utilisé

Les démarches diagnostiques qui recourent à la démonstration d'une cause ou qui s'appuient sur le raisonnement physiopathologique nécessitent la mise en œuvre d'un jugement.

Le problème est le même dans sa nature profonde que celui qui a déjà été évoqué au chapitre "Épistémologie" pour l'établissement des liens de causalité et/ou lors de l'établissement des entités nosologiques (voir ces chapitres). Il faut juger de la cohérence de l'hypothèse émise avec le reste des données dont on dispose. Souvent c'est un faisceau d'arguments qui va emporter la décision. Mais il faut rappeler qu'en clinique cela implique une démarche au coup par coup qui n'est pas de même nature que dans l'élaboration scientifique des connaissances. Ce n'est d'ailleurs pas l'objectif de la démarche diagnostique pratique qui est, par essence, individuelle.

### Performance du jugement

Le problème de l'intervention du jugement se pose d'autant plus qu'il existe une tendance voulant substituer, à cette démarche estimée trop subjective et incertaine, les ressources de solutions logiques et contrôlées, inspirées des études exposées précédemment, voire des systèmes informatisés.

Il faut donc essayer de déterminer dans quelles conditions le jugement humain est utile ou délétère à la progression satisfaisante de la démarche diagnostique et tenter de voir quelles améliorations on peut lui apporter. On peut l'envisager à partir de quelques situations schématiques qui dépendent, essentiellement, des qualités des praticiens. Celles-ci sont probablement aussi diversement réparties dans la population des médecins que dans le reste de la population ou, en tout cas, dans une population de même niveau socioculturel<sup>(23)</sup>.

Le cas le plus favorable est celui où on a à faire à un clinicien observateur, convenablement éduqué et expérimenté. Il est incontestable que pour un tel praticien le processus discursif du diagnostic quitte souvent les chemins balisés pour explorer, très vite et de façon performante, des hypothèses successives et exercer des jugements itératifs sur leurs qualités respectives et leur validité. Le diagnostic neurologique est l'occasion d'en fournir un exemple assez caractéristique. Dans cette conjoncture, on peut être amené à faire une hypothèse donnée sur la constatation d'un symptôme. Par exemple, une paralysie ou un trouble sensitif localisés peuvent suggérer une lésion médullaire ou du système nerveux périphérique. Mais la recherche ou la découverte d'autres troubles associés, comme l'atteinte d'une fonction supérieure ou de signes cérébelleux, provoque une remise en cause de l'hypothèse initiale. Il s'agit là d'un jugement basé sur la logique ou, plutôt, porté sur l'absence de congruence intellectuelle de l'association de ces deux types de manifestations avec l'hypothèse initiale. Le clinicien rejette alors celle-ci et va essayer d'en bâtir une autre qui soit en accord logique avec la nouvelle donnée et qui fournisse ainsi une explication pertinente.

(23) Il est très délicat de discourir sur la diversité des qualités intellectuelles des individus dans la population. Cela est facilement source de polémiques et de prises de positions passionnelles. Nous laisserons de côté ce problème pour considérer essentiellement les compétences et pour laisser le problème des capacités à l'appréciation de chacun.



Mais, à l'opposé, il se peut qu'on soit en présence d'un clinicien faiblement éduqué et/ou expérimenté. Dans ce cas également, il a été observé que le processus diagnostique quitte assez vite les chemins des procédures enseignées pour explorer différentes hypothèses. Certaines sont plausibles, mais il est très vraisemblable, et même confirmé dans certaines études, que le résultat est de moins bonne qualité que dans le cas précédent et on n'a guère de mal à l'admettre.

Il est donc certain que toute démarche basée sur le jugement est exposée à sa faillibilité. Celle-ci est d'autant plus grande que le praticien est peu doué d'esprit critique, novice, mal instruit et dénué d'expérience. Cette dernière condition permet d'ailleurs de noter, en outre, que même les qualités intrinsèques idéales ne peuvent, le plus souvent, s'exercer que dans des domaines restreints aux connaissances du praticien.

Les efforts actuels pour tenter de recourir à d'autres méthodes moins faillibles que le jugement humain ne font que traduire cette méfiance dans le caractère incertain de la procédure.

*Une question désagréable à l'amour propre des médecins a même été posée. Cette question est : une bonne machine ne serait-elle pas supérieure à un mauvais médecin ? C'est en fait un faux problème dans lequel il ne faut surtout pas entrer car il ne correspond pas à une réalité. Pour faire fonctionner les machines, il faut de bons programmes et, pour les alimenter, il faut recueillir et saisir des données. Or ces fonctions essentielles et les corrections qu'elles exigent relèvent aussi du jugement humain... Le développement des algorithmes et des programmes informatiques se heurte aussi à une difficulté majeure : il est impossible de prédire la diversité des situations concrètes qui résultent des modes de présentation de chaque cas individuel. Les algorithmes les plus sophistiqués ne peuvent dépasser les capacités de renouvellement des démarches décisionnelles pour des situations originales qui ne sont pas incluses dans leurs instructions. Il s'y ajoute l'impossibilité de prévoir quelle sera la donnée inhabituelle ou la conjoncture spéciale qui va faire "gripper" la construction intellectuelle censée avoir prévu les différentes éventualités possibles.*

De plus, comme déjà dit, la démarche diagnostique n'est pas linéaire. Elle subit tout au long de son application un constant processus de retours en arrière, d'ajustements successifs avec critique des données et surtout de leur synthèse possible, examen et jugement de la cohérence de l'assemblage des données et éventuel nouveau départ sur des nouvelles hypothèses.

## LES CONDITIONS À RÉUNIR POUR DÉTENIR LA POSSIBILITÉ D'UN RAISONNEMENT DIAGNOSTIQUE SATISFAISANT

Plusieurs conditions paraissent devoir être réunies pour pouvoir faire un diagnostic satisfaisant.

### Connaissance des maladies

Cela peut paraître un truisme d'insister sur la connaissance des maladies car on voit mal comment reconnaître ce qu'on ne connaît pas déjà. Nous avons vu que le jugement de terminaison du processus diagnostique se fait par confrontation avec une représentation mentale faite d'un ensemble stéréotypé de signes et de considérations causales, physiopathologiques, etc. regroupés dans une entité nosologique définie.

Si le praticien ne possède pas la connaissance de ce schéma nosologique, il lui sera impossible de l'évoquer. Il peut cependant s'aider de différentes méthodes pour pallier cette ignorance. Ces méthodes sont celles de l'acquisition et de la mise à jour des connaissances. Elles sont dépendantes toutefois des moyens dont il peut disposer pour accéder aux documents utiles. Il est indispensable, en particulier, de faire une bibliographie et de tenter d'avoir le maximum d'informations sur les lacunes de son propre savoir. Le développement de bases de données facilement accessibles avec des modes de recherche informatisée conviviale serait à confronter avec certaines formes d'enseignements de formation continue dont l'efficacité est incertaine (voir le chapitre sur l'"evidence-based medicine").

### Nécessité d'avoir bénéficié d'un bon apprentissage de sémiologie clinique et de sémiologie des examens complémentaires

Il n'est pas concevable qu'une personne ignorante des modalités de recherche des symptômes, des signes et des anomalies dans les examens complémentaires puisse disposer des bases satisfaisantes pour mener à bien le cheminement du raisonnement diagnostique. Il s'agit là d'ailleurs d'un problème qui rejoint celui de l'étroite intrication entre les différents modes de raisonnements diagnostiques.

## Prise de conscience et connaissance des qualités métrologiques des explorations

Les qualités métrologiques des explorations complémentaires peuvent être utiles pour juger, grâce à la révision bayésienne et lorsque les données numériques sont accessibles, du meilleur examen proposable dans une conjoncture donnée. Elles peuvent aussi faire justice d'un certain nombre de signes ou de tests diagnostiques qui ne devaient leur existence et leur persistance d'utilisation qu'à l'absence de preuve de leur inutilité.

On peut toutefois se poser le problème de la meilleure utilisation et de la faisabilité de son application au lit du malade. Tout d'abord il est impossible à une mémoire humaine de se souvenir des chiffres de sensibilité et de spécificité de chacune des innombrables explorations complémentaires. Quant aux signes cliniques, leurs qualités métrologiques sont encore en voie d'élaboration pour la plupart d'entre eux. Il n'est pas certain d'ailleurs que, pour certains d'entre eux, ces qualités métrologiques soient généralisables d'une population de médecins à une autre (comme, par exemple, les manœuvres neurologiques qui sont très "opérateur-dépendantes").

## Prise de conscience et connaissance des erreurs

Le problème des erreurs a déjà été traité pour ce qui est de l'élaboration scientifique des connaissances (voir chapitre "Épistémologie"). C'est un problème assez délicat dès lors qu'on aborde le problème de leur prise en considération en pratique quotidienne. La culpabilisation et la crainte d'une imputation de faute sont certainement un frein majeur à cette démarche. La publication des erreurs utiles à exploiter serait cependant bien fructueuse pour tous ; surtout si elle savait s'accompagner d'une analyse des causes de leur survenue et de propositions pour les éviter.

L'identification et la recherche des erreurs qui ont été reconnues dans les études des sciences cognitives peuvent se révéler fructueuses pour le raisonnement diagnostique (voir plus bas). De même que l'analyse des erreurs et des biais a rendu possible l'amélioration des méthodologies de recherche, l'analyse des erreurs et des biais devrait pouvoir améliorer aussi la pratique quotidienne (mais il reste à inventer une méthode de jugement pour les raisonnements individuels qui serait l'équivalent du contrôle des biais dans la recherche scientifique).

Les difficultés bien connues que l'on rencontre à faire changer les pratiques sont, toutefois, une raison de penser que de grands efforts seront indispensables.

## Capacité de gestion des informations obtenues

Même lorsqu'ils sont en possession des informations et des outils adéquats, les cliniciens peuvent avoir encore d'autres difficultés pour les gérer de façon satisfaisante. Cela peut être dû soit à un excès d'informations, soit à une incapacité constitutionnelle ou émotionnelle.

L'excès d'informations est de plus en plus fréquent du fait de la multiplication des techniques et des explorations complémentaires. Cela se produirait moins si, au lieu de tenter à tout prix de "faire complet", les cliniciens suivaient les règles de bon sens qui veulent qu'on explore l'hypothèse la plus vraisemblable en premier et qu'on ne passe aux autres qu'en cas de rejet justifié.

Les incapacités "constitutionnelles" ne devraient pas pouvoir survenir si la sélection des étudiants portait sur ces capacités autant que sur leurs capacités mnésiques explorées par les examens classiques. Il reste, cependant, pour ceux qui se sont fourvoyés, la possibilité de se cantonner dans des activités bien codifiées qui leur permettront de rendre des services probablement aussi satisfaisants que voulu, voire même très performants, puisque ne faisant pas appel à leurs capacités manquantes de gestion des informations mais utilisant leurs autres potentialités.

## Capacité de synthèse

C'est la qualité majeure du praticien : elle commence avec la précédente capacité de gestion des informations qui permet de hiérarchiser la valeur des informations à retenir. Encore faut-il, par la suite, savoir les rassembler et les organiser pour permettre la conclusion la plus cohérente et tenant compte de toutes les données. Le clinicien choisit alors, dans les possibilités d'accord, de cohérence intellectuelle et de contradiction, la configuration qui lui paraît satisfaisante et conforme à la logique car ne comportant, en particulier, aucune contradiction. Il s'agit là d'un problème de jugement qu'il est certainement très difficile d'évaluer mais qui est déterminant dans les cas difficiles.

## Reconnaissance et gestion des nœuds décisionnels

Il est nécessaire que les praticiens prennent conscience du stade décisionnel où ils sont arrivés et réfléchissent au meilleur choix d'outils diagnostiques à ce moment. Sinon une accumulation de documents en résultera, entraînant perte de temps, inconfort pour le patient qui les subit, coûts disproportionnés avec le but à atteindre et embarras dans l'interprétation des résultats.

Les nœuds décisionnels (voir plus haut) correspondent aux décisions de recourir à la recherche préférentielle de tel ou tel signe, ou à la mise en œuvre de tel ou tel test diagnostique ou, éventuellement, de telle ou telle manœuvre thérapeutique. Les nœuds décisionnels ne sont pas toujours faciles à gérer, même en s'aidant des meilleurs outils diagnostiques disponibles. Car outre les difficultés inhérentes au problème à résoudre, il faut obtenir l'adhésion du patient et de l'entourage alors que l'on est incapable, parfois, de prédire le résultat de ce qu'on prescrit et, donc, de donner l'information adéquate ou telle qu'elle est voulue ou demandée par le patient.

## Capacité d'atteindre le niveau maximum de reconnaissance nosologique (jusqu'à la cause déterminante ou même première)

Ce souci est parfois perdu de vue. Le médecin se contente alors d'une étiquette qui correspond le plus souvent à un syndrome et néglige de pratiquer l'investigation étiologique qui permettrait de reconnaître et donc de pouvoir traiter radicalement la cause : éventuelle (par exemple, se contenter du diagnostic de troubles confusionnels et méconnaître une hypercalcémie et sa cause curable éventuelle, ou se contenter du diagnostic d'insomnie et méconnaître une dépression majeure).

## Capacité d'étonnement devant une discordance

Ce problème a déjà été développé lors de la critique des "Diagnostics faciles". Il rejoint celui de la cohérence des éléments observés avec la représentation mentale que l'on a de la maladie.

## Capacité de vérification et de remise en cause

C'est le point crucial de la démarche qui devrait clore toute démarche (voir, plus haut, clôture de la démarche diagnostique). C'est sa négligence qui est soulignée ici.

## ERREURS ET CONDUITES INADÉQUATES DANS LA DÉMARCHE DIAGNOSTIQUE

L'optimisation des conduites diagnostiques nécessite l'élimination ou tout au moins la minimisation du risque d'erreur. La recherche des erreurs concernant le raisonnement diagnostique est un point très important, qui ne constitue pas un exercice masochiste. Elle peut, au contraire, servir à élaborer un processus constructif de sonnettes d'alarme et de mesures correctives. Il est donc nécessaire que les étudiants et les praticiens soient sensibilisés à l'évaluation de leurs activités et à la recherche des erreurs commises afin, non pas de se culpabiliser inutilement, mais, au contraire, de mettre en œuvre un processus de "récupération" de l'expérience acquise à cette occasion en vue d'améliorer les performances futures.

L'identification et l'analyse des erreurs facilitent alors leur correction et leur prévision ultérieure<sup>(24)</sup>.

## Les erreurs de comportement individuel de médecins sur les concepts nosologiques

Fondamentalement, ces erreurs correspondent à des attitudes mal fondées, négligeant les données élaborées par le reste de la communauté scientifique médicale au profit de méthodes "improvisées" et personnelles d'approche des manifestations pathologiques. Ces déviations sont :

- d'une part, la création "de novo" et l'utilisation individuelle de nosologies échafaudées sans référence à celles démontrées et admises par la communauté scientifique, et
- d'autre part, l'utilisation abusive de raisonnement physiopathologique.

<sup>(24)</sup> Pour l'inventaire des principales erreurs, il nous a paru plus aisé de suivre un plan basé sur les différents concepts qui interviennent lors du raisonnement diagnostique en nous efforçant, chaque fois, de proposer une solution apte à faire éviter les défauts repérables. Cette démarche pragmatique est plutôt basée sur l'observation des pratiques médicales et leur tentative d'analyse que sur des déductions à partir des connaissances générales tirées des sciences cognitives. C'est une situation en évolution qui pourra être sujette à remaniements dans les prochaines années.

## Utilisation de nosologies sans références aux nosologies démontrées

Il faut reconnaître que, tout n'ayant pas encore été décrit, le praticien peut être amené, faute d'avoir à sa disposition des connaissances solidement établies, à utiliser des hypothèses temporaires et à prendre des décisions provisoires ou même définitives sans pouvoir se référer avec certitude à une nosologie précise et référencée. Cette attitude pragmatique souvent imposée par un terrain particulier, ou une présentation aberrante, ou toute autre circonstance aboutissant à une présentation clinique non répertoriée, est indispensable pour assurer les soins immédiats nécessaires. Elle devient alors légitime.

En revanche, il existe une tentation plus critiquable de fabrication "personnelle" et circonstancielle d'une pseudo-nosologie "spéculative", sur la base de constatations suggestives (voir le chapitre "Nosologie"). Si le fruit de cette procédure n'est pas confirmé par une vérification sur des bases scientifiques ou par une démarche personnelle très rigoureuse, elle ne peut être regardée que comme relevant de la pure spéculation. Or il est indispensable d'être conscient de la fragilité de cette procédure. Il est prudent de soumettre le plus tôt possible ces spéculations aux processus habituels d'apport de la preuve et de l'examen critique par comparaison avec ce qui est proposé par le reste de la communauté médicale.

## Utilisation systématique du raisonnement physiopathologique en négligeant la nosologie classique exprimée

L'utilisation du raisonnement physiopathologique<sup>(25)</sup> se trouve, certes, souvent réalisée lorsqu'il faut prendre une décision rapidement, voire en urgence, et que la situation se juge sur des données que peut expliquer un mécanisme physiopathologique cohérent et totalement éclairant. Il est alors licite d'agir ainsi. C'est le cas, par exemple, de certains désordres électrolytiques, métaboliques ou nutritionnels clairs, ou de certaines anémies, etc., dont on peut imaginer la correction sans que l'on ait pu mener à son ultime fin l'ensemble du processus diagnostique. Celui-ci devrait de toute façon être complété par la suite.

En revanche, l'utilisation exclusive de ce type de raisonnement pour toutes les circonstances d'exercice médical ne peut se justifier car cela exposerait à trop d'erreurs de jugements individuels.

## Les conséquences de ces conduites

Les *inconvenients* sont essentiellement ceux entraînés par l'utilisation de spéculations au lieu de notions solidement établies. Si ce type de processus discursif incertain est appliqué au lit du malade, il faut être conscient de sa fragilité, et il est nécessaire d'être prudent dans les conclusions qu'on peut en tirer ainsi que dans les informations qu'on peut donner au patient.

L'*avantage* d'une nosologie "à la carte" est qu'elle peut servir d'instrument *pragmatique* de progression dans la démarche de génération des hypothèses diagnostiques. Mais il faut être conscient que cela ne dépasse pas le rôle d'hypothèses de travail. Des conclusions basées sur des arguments solides seront ultérieurement requises.

## Erreurs dans la réalisation de la procédure diagnostique

Les erreurs dans la réalisation de la procédure diagnostique paraissent pouvoir être schématiquement classées en 1) erreurs par carences, 2) erreurs de conduite d'examen et 3) erreurs dans la clôture du processus diagnostique.

<sup>(25)</sup> La physiopathologie est le résultat d'une élaboration intellectuelle qui est destinée à comprendre la nature des phénomènes pathologiques et ses conclusions sont en principe généralisables. Or il est douteux que l'extrapolation à partir de l'observation d'un cas soit toujours possible et, aussi, que l'on dispose de tous les éléments permettant de le faire. La part de pari devient alors trop importante par comparaison à la conduite plus solide reposant sur les procédures validées par l'expérience. Il est aussi démontré quotidiennement que les belles constructions théoriques peuvent être démenties par les faits d'observation. La solution à ces erreurs conceptuelles réside dans un renforcement de l'éducation épistémologique des médecins. Il est indispensable que la notion de différence entre hypothèse et vérité prouvée (avec les réserves que nous avons faites plus haut) soit bien inculquée pour qu'elle soit, en permanence, présente à l'esprit et soit dès lors activée lors de la préparation à la prise de décision.

**Erreurs par carences**

**Ignorance.** La bonne hypothèse diagnostique peut ne pas être émise dans l'ignorance que la maladie responsable existe (voir plus haut). Ceci est un problème de prise de conscience par les médecins des lacunes éventuelles de leur savoir. On ne peut tout connaître en matière de médecine mais il est indispensable, par contre, de savoir déceler ses lacunes pour le mode d'exercice qu'on pratique.

La solution à une telle carence se trouve dans la possibilité de disposer d'instruments d'accès aux informations et à la mise à jour des connaissances. Les revues générales récentes ou les recherches bibliographiques informatisées permettent d'accéder en général de plus en plus facilement à ces connaissances. L'aide apportée par les algorithmes (mis à jour) peut être très appréciable pour cela.

**Insuffisance de formation.** Il est évident que l'insuffisance de formation et la méconnaissance des manœuvres de recherche de certains signes (qui ne peut s'acquérir que par un compagnonnage convenable auprès de "seniors" compétents) condamnent toute démarche diagnostique à des fautes ou à des erreurs grossières<sup>(26)</sup>.

**Mauvaises conditions d'examen.** Elles sont certainement un élément important. Il est indispensable de s'aménager un bon environnement, d'adapter son interrogatoire et son examen physique à la situation concrète et de se réserver de pouvoir revenir sur le problème si on n'est pas satisfait des conditions de l'examen initial ou si l'on n'a pas pu obtenir d'emblée l'adhésion du patient.

La carence de mise à disposition d'examens complémentaires, ou la mauvaise utilisation des outils et des techniques convenables, aussi nocive que la surabondance d'utilisation, paraît la plus manifeste des causes d'erreurs et de dysfonctionnement<sup>(27)</sup>.

**Erreurs de conduite d'examen**

**Précipitation.** La bonne hypothèse diagnostique peut ne pas être émise dans la précipitation. Le praticien admet trop rapidement la première qui lui vient à l'esprit ou bien se contente de comparer le cas du patient à un cas déjà vu, sans approfondir la ressemblance (heuristique de représentativité). Cela peut s'apparenter à une faute d'attribution d'importance à un vécu marquant (heuristique de disponibilité). Ces erreurs entraînent une clôture prématurée de la démarche de raisonnement diagnostique (voir plus bas).

La solution est l'analyse critique des conclusions pour savoir si elles satisfont les exigences de cohérence et de solidité qui ont été rapportées plus haut.

**Insuffisance de contrôle du diagnostic.** On peut lui assimiler l'utilisation d'une nosologie insuffisamment prouvée (voir plus haut et le chapitre "Nosologie")<sup>(28)</sup>.

**Erreurs d'appréciation initiale et ultérieure.** Deux grandes causes nous paraissent responsables de ces erreurs : La précipitation dans l'appréhension du problème ou, au contraire, une inhibition du processus de décision entraînant l'accumulation obsessionnelle de recherches de preuves. Ces erreurs et leurs solutions, rejoignent celles envisagées au paragraphe suivant.

**Mauvaise utilisation des outils et des techniques convenables et appropriées.** C'est un problème majeur. Les erreurs peuvent, ici, être de deux ordres : erreurs conceptuelles, erreurs d'application.

Les erreurs d'adéquation de la conduite à l'objectif qu'il faut atteindre recouvrent le recours à une investigation inadaptée à la situation et/ou le recours à une investigation qui n'a pas la pertinence optimale. Ce peut être aussi l'utilisation pour une démarche diagnostique de tests inadaptés. Par exemple, utiliser des tests non spécifiques d'inflammation en essayant d'en déduire une conclusion nosologique ou de causalité. Ou bien, utiliser pour le diagnostic des investigations qui ne sont exclusivement utiles, qu'à la surveillance de l'évolution.

La solution passe par une meilleure éducation des étudiants (voir "Utilisation des tests et des explorations complémentaires").

<sup>(26)</sup> Il serait important de disposer de données chiffrées sur ces lacunes d'éducation car la formation théorique seule, jugée par des examens formels, voire automatisés, peut en laisser échapper d'importantes.

<sup>(27)</sup> La résolution d'un tel problème se prête peu à des solutions générales, lesquelles relèvent plus d'une organisation des systèmes de soins que de la décision médicale individuelle. La seule possibilité du praticien est de bien prendre conscience de cette carence et de ne faire que les conclusions que permet la pratique dans cet environnement, tout en essayant de s'efforcer de résoudre le problème par toute initiative cohérente et ultérieurement accessible.

<sup>(28)</sup> Ces erreurs devraient disparaître au fur et à mesure de l'amélioration des procédures de reconnaissance des entités nosologiques et de leur enseignement. Toutefois la recrudescence des pratiques de médecines irrationnelles laisse présager que ce type de raisonnement est encore bien vigoureux et parasitera encore longtemps les pratiques.

Les erreurs d'application sont liées à une utilisation déficiente des outils et des techniques. Il s'agit d'erreurs moins de raisonnement que de contrôle des conditions de sa réalisation (voir le chapitre "Métrologie").

**Erreur dans le processus de clôture du raisonnement diagnostique**

On rappelle ici la nécessité, avant de clore le processus diagnostique, de s'assurer de la cohérence des éléments clés par la recherche de concordance des signes, ainsi que par la corroboration avec les examens complémentaires qui ont été mis en œuvre.

**Proposition**

Cette longue énumération des possibilités d'erreurs n'a pour but que de les faire connaître dans l'espoir que leur prise en compte soit permanente et que, de même que la connaissance des biais permet d'éviter des fautes dans l'élaboration des protocoles d'études ou d'expérimentation, la connaissance des erreurs permette d'éviter les fautes dans le processus du diagnostic.

Il semble donc hautement souhaitable que, de même qu'on enseigne les biais dans l'élaboration des protocoles de recherche et dans la lecture critique d'articles médicaux, on soit en mesure d'enseigner aussi ces sources d'erreurs de raisonnement appliqué au diagnostic dans l'espoir d'en voir diminuer la fréquence.

*Peut-on, actuellement, dire que l'on possède des solutions à ces erreurs détectables ?* Savoir reconnaître des erreurs ne veut pas dire qu'on dispose, de ce fait, d'une solution à leur opposer. Même si les travaux de recherche menés dans ce champ sont très peu nombreux, il paraît possible de dire que la prise de conscience de ces problèmes représente une base de travail pour de possibles actions d'éducation.

Et on peut encourager les étudiants et les praticiens à faire une auto-évaluation de leur pratique, un repérage de leurs erreurs, et à mettre en place un système de prévention. Mais seules des expériences confirmatives menées sur le terrain permettraient de savoir si cette éducation serait ou non utile.

**LES FACTEURS INTERFÉRANT AVEC LE DÉROULEMENT DU RAISONNEMENT DANS LA DÉMARCHÉ DIAGNOSTIQUE**

La démarche diagnostique, en dehors de cas relativement simples et ne posant guère de problèmes, apparaît donc comme une suite de jugements individuels et de "micro-décisions" qui interviennent à tous les niveaux de sa progression. La prise de décision en médecine fera l'objet d'un chapitre particulier auquel nous renvoyons le lecteur. Ne sont brièvement évoqués ici que les facteurs interférant avec le diagnostic. Ces facteurs peuvent être séparés en deux groupes :

*Les facteurs de "logique discursive interne"* à prendre en compte lors de la démarche diagnostique. Ils concernent essentiellement la prescription d'examens complémentaires.

On ne rappellera pas ici la notion évidente, et déjà développée, qu'il faut favoriser l'examen complémentaire qui permet d'atteindre le seuil le plus élevé de certitude (voir plus haut). Mais, par ailleurs, bien que cela tombe sous le coup du bon sens élémentaire et d'un souci de pragmatisme, il est peut être bon de souligner qu'il est préférable de :

- Favoriser d'abord l'examen qui privilégiera, entre deux ou plusieurs hypothèses, celle qui fait espérer reconnaître une affection pour laquelle un traitement efficace serait possible, plutôt que l'hypothèse où les possibilités thérapeutiques sont très réduites ou nulles. Ceci ne veut pas dire que l'on négligera les autres hypothèses par la suite, mais l'attitude pragmatique la meilleure est de se soucier en premier de l'attitude ayant les possibilités maximales d'action favorable. C'est là une des différences fondamentales entre l'attitude pragmatique du médecin et celle plus systématique et "théorisante" du chercheur scientifique.
- Favoriser l'examen qui permet en même temps le bilan nécessaire à l'indication thérapeutique. C'est là aussi par un souci pragmatique d'efficacité maximum que ce choix est préférable.

Bien que cela paraisse un truisme, mais parce que cela est trop souvent méconnu ou négligé, il est utile de souligner qu'il est bon de :

- Favoriser l'examen le plus simple à utilité égale ;
- Favoriser l'examen le moins invasif ;
- Favoriser l'examen le moins coûteux à efficacité comparable.

*Les facteurs d'influence externe ou environnementaux* à prendre en compte lors de la démarche diagnostique. Ce sont les considérations légales, déontologiques, éthiques, économiques, socioculturelles et religieuses (voir les chapitres "Facteurs interférant avec le raisonnement médical").

On peut mentionner, à titre d'exemple, des situations où des considérations psychologiques ou éthiques interviennent lors de l'examen clinique. Dès l'interrogatoire, la courtoisie paraît l'un des éléments à exercer si l'on veut obtenir la coopération du patient. Or celle-ci est essentielle pour avoir son adhésion, non seulement afin d'obtenir des réponses satisfaisantes et complètes, mais aussi pour tout le reste de la relation ultérieure. Certaines situations affectives doivent être explorées. Il est certain que le tact des questions est un élément indispensable pour déceler un conflit familial ou conjugal, ou la sollicitation d'une aide psychologique inavouée, qui peuvent même se révéler être le vrai motif de la consultation. Le symptôme allégué n'est alors que le prétexte à la consultation.

Il est indiqué, aussi, de se préoccuper de ne pas choquer la sensibilité ou la pudeur des patients en leur infligeant sans préparation ni information un palper ou un toucher pelvien, si indispensables soient-ils.

De très nombreuses considérations de cet ordre interviennent quotidiennement. Elles sont prises en compte plus ou moins consciemment et à des degrés divers par les cliniciens, selon leur personnalité. Il serait souhaitable que ces nécessaires modifications de comportement pouvant influencer sur le raisonnement soient bien consciemment perçues et même largement enseignées.

## LA NÉCESSITÉ DE L'EFFICACITÉ MAXIMALE

La progression du raisonnement diagnostique pose, enfin, le problème de l'efficacité maximale et de la rapidité de la démarche. Les économistes rajoutent "et au moindre frais". Une plus grande rapidité est, en effet, souhaitable à tous points de vue : elle raccourcit les délais entre premiers contacts et mise en œuvre du traitement, elle épargne des nuisances dues aux explorations inutiles, elle diminue l'angoisse du patient et de la famille, et, enfin, elle diminue les coûts. Une efficacité maximale dans la confirmation des hypothèses doit être recherchée, ce qui distingue la démarche diagnostique de la démarche scientifique<sup>(29)</sup>.

La confirmation d'une hypothèse diagnostique médicale a pour objet de reconnaître la nature de l'affection dont est atteint un patient déterminé et qui explique les symptômes observés. Là aussi, l'hypothèse s'élabore à partir de faits observés, c'est-à-dire d'un symptôme ou plus souvent d'une série de symptômes parfois regroupés en un syndrome plus ou moins consciemment explicite. Toutefois elle doit, non pas établir une vérité universelle, mais déterminer si, dans ce cas singulier, il est possible de reconnaître une affection avec la plus raisonnable certitude. La conséquence en est une prise de décision unique avec un souci pragmatique d'efficacité immédiate pour le patient qu'on a pris en charge.

Dans le diagnostic, il ne s'agit pas d'explorer toutes les hypothèses imaginables et toutes les réfutations possibles, mais d'aboutir dans les conditions optimales à une conviction qui permette au médecin de juger intimement qu'il peut prendre la décision de s'arrêter sur un diagnostic déterminé. Celui-ci pouvant être d'ailleurs un diagnostic d'attente qui n'a pour fonction que de prendre la décision la plus adaptée à la situation présente.

Enfin, il ne faut pas perdre de vue que le diagnostic est atteint par étapes successives, et l'une des bonnes façons de gérer le raisonnement diagnostique est de savoir discerner ces étapes ou nœuds décisionnels et les traiter à leur nécessité présente, en sachant remettre à plus tard, au besoin, la poursuite des explorations et des mesures thérapeutiques.

<sup>(29)</sup> La confirmation d'une hypothèse en recherche scientifique a pour objet d'établir une vérité universelle et généralisable à partir de faits d'observation. Le processus intellectuel utilisé doit donc s'assurer que les faits observés et les données de l'expérimentation sont en concordance logique. Mais il doit aussi s'efforcer de mettre en défaut les conclusions par des contre-expériences de réfutation. La conséquence est l'établissement d'une loi générale applicable aux phénomènes relevant de ce domaine de faits.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Le diagnostic est le processus de reconnaissance des maladies par leurs symptômes et leurs signes. C'est l'élément fondamental de toute la démarche médicale car il tient sous sa dépendance toute la séquence des procédures ultérieures de pronostic et de décisions thérapeutiques.
- Le processus diagnostique débute par la collecte des symptômes et des signes par l'examen clinique, puis se poursuit éventuellement avec des explorations complémentaires.
- La démarche diagnostique comprend plusieurs étapes :
  - la génération des hypothèses diagnostiques
  - le processus de confirmation de ces hypothèses
  - la gestion des nœuds décisionnels (*définition, reconnaissance et prises de décision intermédiaires*)
  - la clôture de la procédure du diagnostic.
- La génération des hypothèses diagnostiques est sous la dépendance d'une activité mentale certainement fort variable d'un médecin à l'autre, et d'un type d'affection à l'autre. Ce processus fait appel le plus souvent à une reconnaissance des formes ou à un raisonnement probabiliste grossier et non quantifié, comme c'est le cas en période d'épidémie. Il a été critiqué par les spécialistes des sciences cognitives qui lui imputent des erreurs.
- Le terme d'"hypothèse diagnostique" est consacré par l'usage mais il serait préférable d'utiliser un terme plus adéquat pour désigner la supputation diagnostique. Bien que ce terme puisse prêter à confusion, la confirmation de l'hypothèse diagnostique est une procédure pragmatique individuelle. Elle n'a pas la même signification que la fourniture de la preuve dans une démarche scientifique "hypothético-déductive" de recherche qui a pour objet la création de connaissances et qui vise à la généralisabilité des résultats à l'ensemble des malades.
- L'apport de la preuve, ou plutôt l'acceptation de l'hypothèse, fait appel à des processus de reconnaissance de formes et de raisonnements plus élaborés, comportant plusieurs autres processus discursifs logiques comme la cohérence interne du raisonnement utilisé, l'accord avec des relations causales, la conformité avec des mécanismes physiopathologiques.
- Pendant les dernières décennies, des procédures de diagnostic inspirées des probabilités, des méthodes informatiques et des sciences cognitives ont été élaborées afin de diminuer le caractère incertain des procédures usuelles précédentes, considérées comme trop peu rigoureuses.
- L'intervention du raisonnement inspiré des probabilités se fait à deux niveaux principaux :
  - Pour la génération des hypothèses, il se fait de façon pragmatique et non quantifiée.
  - Pour la confirmation des hypothèses, la quantification des propriétés métrologiques peut aider à discerner les signes et les tests les plus performants. C'est dans le domaine de la gestion des examens complémentaires que les progrès sont les plus nets. La connaissance des qualités métrologiques de ces examens devrait aider dans les choix de leur utilisation.
 En effet, lorsqu'on dispose de tous les éléments quantitatifs nécessaires et des moyens de calcul adéquats, on peut évaluer la probabilité *a priori* et, en utilisant la révision bayésienne, la probabilité *post-test* grâce à la prise en compte des propriétés métrologiques (sensibilité et spécificité) des tests disponibles.
- L'utilisation d'algorithmes édités par des experts en tenant compte de l'état actuel de la science a été proposée pour améliorer, à la fois la génération et l'exploration des hypothèses. Ces algorithmes ont l'avantage de rappeler certaines affections qui peuvent avoir été oubliées ou qui ne sont pas remontées à la conscience du praticien dans sa démarche présente, et donnent une marche à suivre pour les résoudre. Mais ils ne valent que par la capacité et la compétence des auteurs, qui peuvent être faillibles, et des données utilisées, qui peuvent être incomplètes. D'autre part, les algorithmes sont limités et contraignants.
- L'apport des sciences cognitives est encore en cours d'évaluation. L'analyse des *erreurs* devrait permettre de les repérer et de pallier les plus fréquentes d'entre elles, celles que produisent des heuristiques de prises de décision en incertitude, en amenant à les critiquer.
- Les progrès que peuvent apporter aux procédures classiques des innovations proposées récemment, sont également en cours d'évaluation. La génération des hypothèses peut être, comme déjà mentionné, aidée par l'utilisation d'algorithmes, avec les réserves qui ont été faites. Il est possible que, dans certains cas, la révision bayésienne soit réalisable et puisse alors permettre une progression du diagnostic aidé par des concepts probabilistes.
- Mise à part l'aide que pourrait amener l'utilisation de certains algorithmes bien construits (et validés, qui sont très rares), remplaçant les aphorismes d'antan, et valables pour une certaine période, il paraît peu probable que l'on voit émerger une solution miracle permettant de "souffler" la bonne hypothèse de départ à un praticien en panne d'idées. Quant à la décision finale de clôture du diagnostic, elle engage tellement le médecin qu'il est peu probable qu'une formule universelle puisse la remplacer.
- La démarche diagnostique n'est pas une procédure linéaire. Elle relève de plusieurs étapes successives qui passent par autant de *nœuds décisionnels*. Ces nœuds décisionnels correspondent aux décisions de recourir à la recherche préférentielle de tel ou tel signe, ou à la mise en œuvre de tel ou tel test diagnostique, ou, éventuellement, de telle ou telle manœuvre de thérapeutique.
- Quant à la clôture du processus diagnostique, le diagnostic à retenir doit avoir la plus grande précision souhaitable. Mais les impératifs de décision *pragmatique* ne peuvent être perdus de vue. Et il est vital (pour le malade !) que certaines décisions soient prises même si la preuve du diagnostic parfait n'a pas encore pu être apportée. Il est à noter que, dans les décisions à prendre, des considérations économiques, éthiques, déontologiques, légales, etc., et en un mot non strictement scientifiques, doivent être prises en considération. Cette décision finale relève donc d'un jugement et d'une décision qui engagent le médecin.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- CAMPBELL EJ. The diagnosing mind. Lancet, 1987 ; 1 : 849-51
- FEINSTEIN AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. 1. The Domains and disorders of clinical macrobiology. Yale J Biol Med 1973 ; 46 : 212-232
- FEINSTEIN AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. II. The strategy of intermediate decisions. Yale J Biol Med 1973 ; 46 : 264-283
- FEINSTEIN AR. An Analysis of Diagnostic Reasoning. 1. The Construction of Clinical Algorithms. Yale J Biol Med 1974 ; 1 : 5-32
- GRENIER B. Évaluation de la décision médicale. Paris, Masson, 1999.
- KAHNEMAN D, SLOVIC P, TVERSKY A. Judgement under uncertainty. Heuristics and biases. Cambridge, Cambridge University Press, 1985
- KASSIRER JP, Gorry GA. Clinical problem solving: a behavioral analysis. Ann Intern Med 1978 ; 89 : 245-55.
- KASSIRER JP, Kopelman RI Cognitive errors in diagnosis: instantiation, classification, and consequences. Am J Med 1989 ; 86 : 433-41.
- KASSIRER JP, Kopelman RI Learning Clinical Reasoning. Baltimore, Williams & Wilkins, 1991.
- KASSIRER JP. Teaching problem-solving - how are we doing ? N Engl J Med 1995 ; 332 : 1507-9.
- LEAPPE LL. Error in medicine. JAMA 1994 ; 272 : 1851-57.
- MC CORMICK JS. Diagnosis : The need for Demystification. Lancet 1986 ; 2 : 1434-5.
- MC CARTNEY FJ. Diagnostic Logic. In Logic in medicine. CI Philips Ed, London, BMJ Publishing Group, 1987.
- MC DONALD CJ. Medical heuristics: The silent adjudicators of clinical practice. Ann Intern Med 1996 ; 124 pt 1 : 56-62.
- PAUKER SG, KASSIRER JP. The threshold approach to clinical decision making. N Engl J Med 1980 ; 302 : 1109-17.
- REID MC, LANE DA, FEINSTEIN AR. Academic calculations versus clinical judgments: practicing physicians' use of quantitative measures of test accuracy. Am J Med 1998 ; 104 : 374-380.
- ROUSSET H. Le Diagnostic clinique en médecine. Ann. Med. Interne 1999 ; 150 : 17-23.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown. 1991.
- SERGENT E. Apologie de la clinique. Doin, Paris, 1933.
- SERGENT E. L'exploration clinique médicale et technique et séméiologie. Paris, Masson, 1950.
- WARTOFSKY MW. Clinical judgment, expert programs, and cognitive style: a counter-essay in the logic of diagnosis J Med Philos 1986 ; 11 : 81-92.

## Chapitre 14

# LE RAISONNEMENT APPLIQUÉ AU PRONOSTIC

### INTRODUCTION

Le diagnostic, une fois fait, ne serait guère utile si l'on ne pouvait prévoir l'évolution de la maladie et les possibilités de la modifier, éventuellement, par des manœuvres thérapeutiques adéquates. Les patients, l'entourage, les organismes de santé, attendent du médecin qu'il puisse répondre à un certain nombre de questions sur l'évolution prévisible de la maladie. Le jugement du médecin interviendra pour mettre schématiquement en balance les avantages tirés du traitement, qui devront être rigoureusement étudiés, et les inconvénients de laisser la maladie abandonnée à son mécanisme possible de guérison spontanée éventuelle ou d'encourir des effets secondaires de la thérapeutique parfois plus fâcheux que la maladie elle-même. Il devra aussi décider des informations à délivrer sur l'évolution prévisible et de la forme sous laquelle il faudra le faire.

L'établissement du *pronostic* a toujours été une préoccupation des médecins. Les médecins égyptiens puis grecs s'efforçaient de reconnaître les sujets pour lesquels il était inutile ou même néfaste (pour l'image et la réputation de la médecine et/ou du praticien) d'entreprendre un traitement. Le terme de "faciès hippocratique", parfois encore utilisé, et contemporain de la naissance de la médecine grecque "rationnelle", traduisait bien le souci des anciens médecins de reconnaître un pronostic fatal à brève échéance.

**Pronostic** : terme formé de pro : avant et de gnosis : connaissance. C'est la conjecture de ce qui doit arriver. En termes communs, le pronostic exprime la possibilité de prédire (dire à l'avance) ce qui est susceptible de survenir. En termes médicaux, le pronostic désigne le processus qui permet de prévoir l'évolution d'une maladie, ses complications possibles et son issue, dans les différentes circonstances de son observation, en fonction de certains facteurs qui la déterminent et, enfin, des possibilités thérapeutiques. Il se base sur la connaissance des probabilités des différentes évolutions possibles (naturelle et sous traitement), et des facteurs pronostiques qui influencent ces probabilités.

**Facteur pronostique** : caractéristique individuelle du sujet qui augmente le risque de voir apparaître une modalité évolutive de la maladie. Un facteur de bon (mauvais) pronostic est associé à une probabilité de rémission ou de guérison (de décès, de rechute, de complication) plus élevée.

Aujourd'hui, l'intérêt de la connaissance du pronostic intervient en ce que l'on est amené :

- 1) d'une part, à choisir une attitude thérapeutique ; dans certains cas, il ne sera pas utile de faire plus que de laisser se dérouler une évolution naturelle bénigne en se contentant d'un traitement symptomatique ;
- 2) et d'autre part, à informer le patient et, éventuellement la famille. Cette information est de plus en plus sollicitée mais elle pose des problèmes psychologiques, déontologiques, éthiques et légaux souvent contradictoires, comme nous aurons l'occasion de le développer plus loin. \*

La connaissance du pronostic est d'une grande importance car il concerne les capacités essentielles du patient et son avenir. Sa connaissance peut modifier des décisions majeures de l'intéressé et de l'entourage qui peut, lui-même, être plus ou moins bien intentionné. C'est donc une obligation psychologique et surtout légale de protéger le secret professionnel qui a pour fonction de protéger le patient, à la fois dans ses intérêts, dans sa dignité et dans sa psychologie.

\* Au sujet de "ce que l'on doit dire", une divergence d'appréciation peut intervenir entre les médecins et les patients ou entre les médecins eux-mêmes.

- Dans le premier cas (médecin-patient), elle peut traduire :
  - soit une différence de conception du problème par références culturelles différentes,
  - soit l'intervention de l'affectivité aussi bien du patient que du médecin.

Des considérations philosophiques, religieuses ou éthiques peuvent intervenir mais, aussi, aider parfois à les résoudre.

L'information du patient, ou de ses représentants, ne peut pas toujours réduire ces différences.

- Dans le deuxième cas (médecin-médecin), elle ne devrait faire que traduire soit une méconnaissance ou une connaissance incomplète des phénomènes solidement établis, soit une différence, selon les médecins, dans les processus de décision en situation d'incertitude. Il est, naturellement, souhaitable de la réduire, mais il est bien probable qu'elle restera une des grandes difficultés de la pratique médicale, quel que soit son degré d'avancement théorique.

- Mais il est possible aussi que, dans les deux cas, il s'agisse de conceptions philosophiques ou éthiques différentes. Cette dernière situation risque de voir sa fréquence augmenter dans les décennies à venir.

## LA DÉMARCHE GÉNÉRALE D'ÉTABLISSEMENT DU PRONOSTIC

Le diagnostic ayant été accepté (ou, plutôt, la variété nosologique de la maladie concernée tenant sous sa dépendance l'évolution naturelle ayant été identifiée), l'existence d'un traitement actif, la réponse à ce traitement et un certain nombre de facteurs environnementaux sont les éléments déterminants du pronostic.

L'établissement du pronostic n'est pas une divination ni une intuition mais l'application, à un patient déterminé, des connaissances basées sur les faits d'observation et acquises lors de l'étude des évolutions des maladies, des facteurs prédictifs et des effets des traitements.

Cette démarche est cependant actuellement loin d'être aussi précisée et formalisée que les démarches concernant l'établissement du diagnostic ou du traitement. Souvent, elle ne peut se faire qu'en acceptant un certain nombre de "compromis" avec les données – souvent insuffisantes – tirées des études de populations. Il est probable que ces données s'amélioreront dans les années à venir par progrès des connaissances, mais aussi sous la pression de demandes de plus en plus insistantes de la part des patients et encore plus des associations de malades ou "d'usagers".

## LE SUPPORT DES CONNAISSANCES CONCERNANT LE PRONOSTIC

Ce sont les connaissances établies sur l'évolution et les facteurs prédictifs de la maladie qui servent de base à l'élaboration du pronostic.

L'évolution naturelle donne la notion de gravité et/ou de prévision de l'évolution de l'affection livrée à elle-même. Mais elle est corrigée par les possibilités thérapeutiques ainsi que par le moment et les circonstances d'application des traitements. \*

Ces connaissances de base sur l'évolution des maladies sont difficiles à établir. Nous avons vu les difficultés méthodologiques et éthiques auxquelles on se heurte pour l'établissement rigoureux de l'évolution naturelle. Quant aux effets des thérapeutiques, les essais contrôlés ne peuvent pas toujours (et même assez rarement en fait !) servir de base à l'établissement des évolutions, car ils concernent des populations sélectionnées et répondant à des conditions expérimentales qui s'écartent des conditions de la pratique quotidienne. On doit donc, le plus souvent, faire des extrapolations.

Des études particulières prenant mieux en compte la réalité quotidienne devraient être conduites pour fournir les connaissances nécessaires à l'établissement du pronostic. Pour des raisons conceptuelles et pratiques évidentes, toutes ces études ne pourront être facilement conduites et les connaissances risquent de reposer encore longtemps sur des études rétrospectives ou sur des études prospectives encore restreintes à quelques domaines qui s'y prêtent. Ces dernières sont encore souvent assez descriptives et l'évaluation de la signification des résultats et des connaissances ainsi établies se heurte à des difficultés majeures si on ne dispose pas d'une étude convenable des facteurs prédictifs. Quant aux études rétrospectives, elles ne donnent que des renseignements assez rudimentaires.

## L'ÉTABLISSEMENT PROPREMENT DIT DU PRONOSTIC

Comment passer des études de populations à l'établissement du pronostic individuel ? Le caractère spéculatif de cet acte intellectuel doit être présent à l'esprit. Le processus intellectuel par lequel le praticien établit le pronostic relève de l'induction prévisionnelle ou, le plus souvent, de l'extrapolation.

\* L'établissement du pronostic a été longtemps empirique et obtenu par un mécanisme de raisonnement assez proche de la méthode analogique ou de la reconnaissance des formes. Les médecins ou se basaient sur leur expérience personnelle et comparaient le cas présent avec l'un de ceux qu'ils avaient déjà rencontrés, ou savaient, d'après les descriptions disponibles que telle maladie avait telle évolution, et que tel traitement serait susceptible d'influencer de façon favorable l'évolution. Mais beaucoup de ces connaissances avaient été établies à partir d'études rétrospectives qui ne donnent qu'une évaluation très approximative des phénomènes.

\* En revanche, des études prospectives convenablement menées, (voir le chapitre "Élaboration des connaissances sur l'évolution des maladies et leur prédiction") permettent de disposer d'informations satisfaisantes sur la base d'études de l'évolution naturelle et d'extrapolations à partir de résultats d'essais thérapeutiques contrôlés. Ces connaissances autorisent l'appréciation des chances de telle ou telle évolution dans le cadre de la population de référence qui a servi à réaliser l'étude en question. En outre, il est alors possible de se référer aux évolutions ayant fait l'objet d'analyses univariées ou multivariées qui permettent d'attribuer à tel facteur, ou à telle association de facteurs, une valeur prédictive. Cela permet d'approcher de manière plus fine et plus sûre l'appréciation du pronostic pour telle ou telle catégorie de patients dans le cadre de l'affection dont on a décrit les diverses modalités d'évolution.

Sauf cas exceptionnel de connaissance de patients antérieurs et ayant déjà présenté la situation présente, ce qui permettrait de faire une prévision basée sur des faits identiques, le raisonnement que peut tenir un médecin doit être assimilé à une "projection mentale" d'un "patient virtuel", qui est imaginé en se basant sur les connaissances discutées au paragraphe précédent.

Pour conclure à propos d'un malade particulier, il faut s'assurer que ce dernier est similaire en tous points à ceux d'une des populations sur lesquelles ont été réalisées les études (étant bien entendu que celles-ci sont conceptuellement et méthodologiquement satisfaisantes). C'est seulement cette condition de comparabilité qui autorise la prévision de telle ou telle évolution. Le pronostic peut alors (voir le chapitre "Élaboration des connaissances sur l'évolution des maladies et leur prédiction") avoir une forme quantitative où chaque déterminant évolutif est associé à un ou des risques relatifs (parfois des risques absolus) de décès ou de complication. Dans quelques situations (unités de soins intensifs), une échelle de gravité ou de sévérité peut être utilisée pour exprimer quantitativement le pronostic pour une combinaison donnée de facteurs prédictifs. \*

Dans les autres cas, les plus nombreux, la prévision à partir d'études d'évolution et de traitements imparfaites ou incomplètes est une extrapolation assez approximative. Seuls les cas où une évolution assez monomorphe, soit bénigne, soit fatale, peuvent donner lieu à des prévisions assez fermes. Dans tous les autres cas l'incertitude est importante.

L'établissement du pronostic tient compte des différentes situations auxquelles on se trouve confronté.

Le pronostic évolue donc avec les progrès des possibilités thérapeutiques, de la qualité et de la bonne observation des soins prodigués ainsi que de la réponse du patient au traitement, ce qui implique un ajustement à ces notions.

\* Certaines conclusions de l'utilisation de ces scores peuvent néanmoins choquer les conceptions éthiques de certains médecins et la psychologie de la plupart des membres de l'entourage familial des patients. C'est notamment le cas des recommandations "de ne pas ressusciter" qui pourraient être la conséquence de l'application "aveugle" des index et des scores de gravité dans les unités de soins intensifs (mais ils sont peu ou pas utilisés en France dans cette optique).

## L'ÉVALUATION DES PRONOSTICS ÉTABLIS PAR LES PRATICIENS

Il est intéressant de savoir si les pronostics réellement portés par les praticiens sont confirmés par la confrontation avec les données de l'évolution ultérieure des cas observés. Il est à remarquer à ce sujet que la justesse d'un pronostic est un élément assez commode à juger puisqu'il suffit de la comparer avec l'évolution ultérieure. Cela paraît même plus facile que le jugement de la justesse du diagnostic qui est soumise à la difficulté de trouver les éléments indiscutables de la preuve de son exactitude lors de la clôture du processus décisionnel de diagnostic. Des études déjà assez nombreuses ont été menées sur ce sujet qui commence seulement à être exploré de façon rigoureuse.

Ce sont surtout les pronostics établis par les médecins sur des patients à la période terminale de maladies fatales – cancers, défaillance cardiaque – qui ont été étudiés. Les études montrent que ces pronostics ne sont exacts que dans moins du tiers des cas. Ils se révèlent, donc, habituellement faux et beaucoup plus souvent *optimistes que pessimistes*. De ces études il ressort aussi que plus le praticien est expérimenté et plus le pronostic émis est satisfaisant, mais qu'une forte relation médecin-malade diminue l'exactitude du pronostic. Il semble donc exister un biais ("ego bias") des praticiens dans l'estimation du pronostic pour ses propres patients par rapport au pronostic réel de patients appartenant à des populations similaires. Il est intéressant de noter que l'optimisme exagéré peut être une source de retard à certaines décisions importantes, comme l'hospitalisation.

D'une façon générale il semble que les praticiens, bien que rencontrant couramment des situations où il est nécessaire de faire un pronostic, s'y sentent mal à l'aise, mal préparés, et trouvent que les patients tolèrent mal les erreurs dans ce domaine<sup>(1)</sup>.

Un autre enseignement de ces études est que les patients y semblaient bien plus intéressés par l'information sur le pronostic que sur le diagnostic ou les options thérapeutiques. Une information fiable sur le pronostic apparaît donc un déterminant majeur des prises de décision du patient.

<sup>(1)</sup> Ces notions sont tirées de la littérature anglo-saxonne car il n'existe malheureusement pas d'études françaises dans ce domaine. Il est difficile d'extrapoler ces données au praticien français compte tenu des différences de culture des médecins et des patients.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- CHRISTAKIS NA. Death foretold : prophecy and prognosis in medical care. Chicago, Il University of Chicago Press, 1999.
- CHRISTAKIS N, LAMONT EB. Extent and determinants of error in doctors' prognoses in terminally ill patients: prospective cohort study. BMJ 2000 ; 320 : 469-473.
- CHRISTAKIS NA, Iwashyna TJ. Attitude and self-reported practice regarding prognostication in a national sample of internists. Arch Intern Med 1998 ; 158 : 2389-2395.
- HEYSE-MOORE LH, JOHNSON-BELL VE. Can doctors accurately predict the life expectancy of patients with terminal cancer? Palliat Med 1987 ; 1 : 165-166.
- PEARLMAN RA. Inaccurate predictions of life expectancy, dilemmas and opportunities. Arch Intern Med 1988 ; 148 : 2537-2538.
- POSES RM, McCLISH DK, BEKES C, SCOTT WE, MORLEY JN. Ego bias, reverse ego bias, and physicians' prognostic. Crit Care Med 1991 ; 19 : 1533-9.
- POSES RM, BEKES C, COPARE FJ, SCOTT WE. The answer to "What are my chances, doctor?" depends on whom is asked: prognostic disagreement and inaccuracy for critically ill patients. Crit Care Med 1989 ; 17 : 827-33.
- POSES RM, SMITH WR, McCLISH DK, HUBER EC, CLEMO FL, SCHMITT BP, ALEXANDER-FORTI D, RACHT EM, COLEND A CC 3rd, Centor RM. Physicians' survival predictions for patients with acute congestive heart failure. Arch Intern Med 1997 ; 157 : 1001-7.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Le pronostic est le processus qui permet de prévoir l'évolution d'une maladie, ses complications possibles et son issue, dans les différentes circonstances de son observation, en fonction de certains facteurs qui la déterminent.
- Il se base sur la connaissance des probabilités absolues ou relatives des différentes évolutions possibles de la maladie (naturelle et sous traitement) et des facteurs pronostiques qui influencent ces probabilités.
- Le pronostic intéresse non seulement le praticien mais aussi le patient et l'entourage. Il nécessite une grande prudence et un parfait respect du secret professionnel.
- Pour établir un pronostic à propos d'un malade particulier, le clinicien devra s'assurer que celui-ci appartient bien à une population comparable à celle sur laquelle ont été établies les connaissances.
- Les connaissances sur le pronostic aboutissent à une estimation qui s'exprime soit sous la forme d'un jugement global, souvent approximatif, sur l'avenir d'un patient, soit sous la forme de l'expression quantitative de l'influence qu'exerce tel ou tel facteur prédictif(s) mis en évidence dans des études préalables de l'évolution de la maladie, soit sous formes de scores sur un index ou une échelle de sévérité ou de gravité. Certaines utilisations de ces scores peuvent choquer les conceptions éthiques de certains médecins et probablement de la plupart des membres de l'entourage familial des patients.
- La qualité des pronostics exprimés est en voie d'évaluation. Elle semble assez médiocre si l'on en juge par les résultats des études publiées dans ce domaine.

# Chapitre 15

## RAISONNEMENT APPLIQUÉ A LA THÉRAPEUTIQUE

### INTRODUCTION

Les méthodes thérapeutiques mises au point par la recherche médicale telles qu'elles ont été envisagées au chapitre "Élaboration et validation des méthodes thérapeutiques" ne sont qu'un savoir mis à la disposition des praticiens. Ceux-ci doivent utiliser ces connaissances à bon escient avec l'objectif d'en tirer l'amélioration optimale de l'état de santé du patient. Elles doivent être choisies dans l'objectif de satisfaire au mieux l'adéquation de leurs capacités à la situation clinique individuelle tout en remplissant au mieux les besoins d'efficacité maximale et de nocivité minimale.

La thérapeutique a fait de grands progrès ces dernières décennies. Le médecin se doit de les utiliser au mieux. Il existe aussi une attente majeure du public dans ce domaine. Or les concepts de thérapeutique curative, de thérapeutique palliative et de prise en charge des patients ne sont pas toujours bien distingués dans l'esprit des étudiants débutants, de quelques médecins, de certains biologistes "fondamentalistes" et, d'une façon générale, par une proportion considérable, bien que difficile à évaluer, des acteurs du système de santé au sens large du terme. Le patient est parfois très désireux de savoir s'il existe un traitement radical pour la maladie dont il est atteint en demandant si le traitement qu'on va lui appliquer va entraîner la guérison ou est destiné simplement à le soulager.

À défaut de possibilités de méthodes radicales ou curatrices, la thérapeutique doit s'efforcer de pallier les fonctions défaillantes et les symptômes, minimiser les troubles pathologiques et soulager au mieux les malades. La thérapeutique dépend donc de l'état d'avancement de la science dans le domaine de la maladie concernée et des possibilités de mise à disposition et d'accès aux moyens nécessaires pour obtenir les résultats escomptés.

Une notion paraît devoir être mise en exergue : la thérapeutique ne peut plus se concevoir comme l'application de recettes ou comme l'application automatique de propriétés pharmacologiques. Il existe en effet plusieurs étapes dans la conduite thérapeutique :

- la décision concernant les indications thérapeutiques ;
- l'application de la thérapeutique proprement dite ;
- la surveillance des effets du traitement (*qu'il s'agisse des effets bénéfiques ou des effets secondaires indésirables ou nuisibles*) ;
- la décision concernant la fin de la thérapeutique.

Ce chapitre sera consacré aux raisonnements utilisés dans les différentes étapes de la thérapeutique des affections caractérisées<sup>(1)</sup>. Les possibilités d'utilisation de l'effet placebo seront également envisagées. Un rappel des concepts et des définitions, ainsi que des attentes et motivations des patients et des médecins concernant la thérapeutique, est d'abord nécessaire.

### RAPPELS DE CONCEPTS ET DE DÉFINITIONS

**Traitement** : 1) ensemble des méthodes (produits, mesures ou interventions diverses, etc.) dont dispose le clinicien pour tenter de modifier favorablement l'évolution naturelle et les manifestations pathologiques, et rétablir l'état de santé de personnes malades ou en sauvegarder ce qui peut l'être ; 2) application de ces méthodes en fonction de l'entité pathologique présentée par le patient.

<sup>(1)</sup> La dénomination de traitement à été étendue récemment à des états qui ne sont pas des affections caractérisées, soit qu'il s'agisse de facteurs de risque comme une élévation modérée de la tension artérielle, une élévation des lipides sanguins, soit qu'il s'agisse même d'un état physiologique comme la ménopause ou la petite taille. Ces aspects relèvent en fait beaucoup plus d'un mécanisme intellectuel de prévention dans le cas de facteurs de risque ou de retardement de phénomènes inéluctables, voire d'amélioration de confort dans les autres cas. On réservera ici le terme de traitement aux manœuvres rentrant dans la prise en charge de manifestations pathologiques caractérisées, en renvoyant le lecteur au chapitre "Raisonnement appliqué à la prévention et au dépistage" pour les interventions sur les facteurs de risque.

**Thérapeutique** : mise en œuvre raisonnée et coordonnée de traitement(s) susceptible(s) de modifier favorablement l'évolution naturelle des maladies. À défaut, elle se doit de réduire ou minimiser les troubles en traitant les symptômes. On peut aussi dire qu'il faut s'efforcer de guérir et, si on ne peut pas le faire, il faut savoir soulager.

**Soins** : ensemble des mesures contribuant à l'amélioration de l'état du malade. La thérapeutique n'est qu'un des aspects des soins. **Les soins comportent plusieurs variétés de prise en charge du patient**, schématiquement :

- 1) **Les traitements curatifs** (ou radicaux) qui s'attaquent aux causes des affections ou qui corrigent les anomalies physiopathologiques établies sur des bases scientifiques grâce à des méthodes de traitements scientifiquement validées.
- 2) **Les traitements palliatifs** au sens étymologique du terme traitement (et non "soins palliatifs" label que la tendance actuelle donne aux soins destinés aux périodes terminales des maladies incurables). On leur donne aussi le nom de traitements "symptomatiques" car ils s'adressent surtout au traitement des symptômes et non de la cause des maladies.
- 3) **Les traitements de suppléance des fonctions vitales ou des fonctions de la vie de relation défaillantes** : les traitements majeurs se substituant aux fonctions vitales de l'organisme ne peuvent être classés comme curatifs, au sens vrai du terme. Ces traitements de suppléance des fonctions vitales défaillantes (réanimation cardio-respiratoire, rééquilibrage hydro-électrolytique, hémodialyse, greffes d'organes, etc.) visent à pallier une défaillance majeure de l'organisme mais ne s'attaquent pas à la cause des maladies et ne restituent pas l'intégrité de celui-ci. Les traitements de suppléance de certaines fonctions défaillantes de la vie de relation (prothèses articulaires par exemple) peuvent leur être assimilés.
- 4) **La prise en charge et organisation de l'assistance aux patients** : il s'agit là de l'ensemble de tout ce que les systèmes de soins peuvent offrir dans le cadre général de l'environnement familial, social, économique et pratique au sens large du terme.

**Méthode thérapeutique** : moyen thérapeutique répondant à l'objectif du traitement. Les méthodes thérapeutiques sont nombreuses : médicaments, chirurgie, traitements physiques (irradiations et toutes sortes de procédés physiques), mais aussi diététique, etc.

**Indication thérapeutique** : choix ou désignation de la méthode jugée la plus adaptée pour traiter le type de pathologie à laquelle le médecin est confronté.

**Stratégie thérapeutique** : planification des séquences et des surveillances d'applications successives et/ou combinées des méthodes utilisables. Elle nécessite une gestion des différentes phases de la conduite des traitements appliqués et donc des points de repère et des jugements successifs.

**Efficacité thérapeutique** : effet bénéfique démontré d'une méthode ou d'un traitement (proportion de sujets qui en bénéficient, intensité du bénéfice obtenu) et, de ce fait, attendu lors de son application. L'efficacité doit être appréciée et **quantifiée** par divers indicateurs de résultats définis en fonction de l'objectif du traitement (amélioration ou guérison).

**Effets secondaires** : effets indésirables entraînés par la mise en œuvre d'une thérapeutique et ne répondant pas au but thérapeutique poursuivi. Ils peuvent être nocifs (toxicité, complications diverses du traitement). Au moment de la mise en œuvre d'une nouvelle méthode thérapeutique, on devrait connaître la nature et la fréquence de ses effets secondaires afin d'en informer le patient ou son entourage pour aider à la prise de décision.

**Aléa thérapeutique** : effet secondaire imprévisible de la mise en œuvre d'un traitement. *Les accidents de cette nature échappant à la notion de prévisibilité ne peuvent être imputés à une faute thérapeutique.*

**Utilité** : caractère adéquat bénéfique d'une mesure thérapeutique : un traitement peut être efficace mais non adapté au problème à traiter. Un traitement doit être indiqué en fonction des éléments de la situation présente.

**Futilité** : caractère inadéquat et non bénéfique d'une mesure thérapeutique. Il ne servirait à rien de traiter une anomalie dont la pathogénie est incertaine ou d'appliquer une mesure autre que palliative à une situation sûrement désespérée.

## LES PRÉALABLES À LA MISE EN ŒUVRE DE LA THÉRAPEUTIQUE, LES ATTENTES ET LES MOTIVATIONS DES PATIENTS ET DES MÉDECINS

Avant de développer les différentes étapes de la conduite thérapeutique, il est important de rappeler quelques notions fondamentales sur les attentes et les motivations des patients et des médecins vis-à-vis de la thérapeutique et du thérapeute.

Les pathologies aiguës, mettant en cause le pronostic vital à court terme, ne posent guère de problèmes quant à la signification du rôle attendu du thérapeute. Cependant, il existe des situations où la volonté des patients ou de leur entourage est en contradiction avec le principe d'action curative du médecin. C'est le cas de certains malades mentaux, de suicidants, de sujets refusant tout ou partie des moyens thérapeutiques pour des raisons de conviction personnelle ou d'appartenance à une secte religieuse ou à une tendance philosophique...

Dans les cas apparemment les plus banals, une analyse détaillée des motivations des patients fait apparaître une complexité des motivations du recours à la médecine. Par ailleurs, les différents partenaires ne parlent pas toujours le même langage et n'ont pas la même attente ni la même attitude vis-à-vis des conditions d'administration des traitements et de l'environnement qui les caractérise<sup>(2)</sup>.

### Désirs, souhaits et motivations des patients

Contrairement à ce que peut laisser supposer une représentation naïve, tous les malades n'ont pas une approche identique de la "maladie", de la santé et des traitements (voir le chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants socio-culturels").

Certes la grande majorité des sujets psychologiquement normaux, lorsqu'ils sont blessés ou atteints d'une maladie, ont le souhait légitime de guérir dans les meilleurs délais et les meilleures conditions. Cela est particulièrement observé chez des adultes frappés d'un traumatisme ou d'une affection aiguë (quelle qu'en soit la nature), jusque-là en bonne santé et en pleine activité. Mais il faut aussi qu'ils aient une connaissance éclairée de ce que peut faire la médecine, en l'état actuel de son avancement (ce qui n'est pas toujours le cas et souligne la nécessité d'une information appropriée).

Mais il est également fréquent de constater une attitude différente dans des circonstances où l'une ou plusieurs des précédentes conditions viennent à faire défaut. C'est ainsi que dans certaines affections chroniques, dans les circonstances où une indemnisation ou une réparation d'un préjudice est envisagée, ou même pour des motifs purement affectifs, les souhaits intimes des patients sont éloignés du souci habituel de guérison complète, rapide et si possible définitive. Le statut de "malade" ou de victime, avec ses avantages psychosociaux ou bénéfices divers, peut tenter certains.

Enfin, il faut mettre à part des situations particulières qui sont propres aux âges extrêmes de la vie, ou qui se développent dans les situations de dépendance, les psychoses, et de façon générale dans les cas où le sujet n'est pas en état de concevoir ou d'exprimer ses pensées ou n'est pas conscient.

### Désirs, souhaits et motivations des médecins

L'image d'Épinal du "bon médecin se dévouant corps et âme pour la guérison de ses patients", quand elle a pu se construire dans l'imaginaire d'une partie du public et des jeunes étudiants en médecine ou de ceux qui souhaitent s'engager dans ces études, ne résiste pas longtemps à l'épreuve des faits. Non pas que les médecins deviennent plus ou moins rapidement des cyniques désabusés. Mais, en acquérant de l'expérience, ils prennent conscience que l'évolution naturelle des maladies est soumise à des lois de la biologie pathologique et que c'est seulement en tenant compte de ces lois qu'ils peuvent être utiles. Les meilleures bonnes volontés

<sup>(2)</sup> Le désir intime du médecin est une affaire personnelle. Mais il a, ou doit avoir, comme objectif de satisfaire les souhaits éventuels de guérison de ses patients. Ce serait une incohérence majeure de choisir la profession médicale si on ne possède pas cette aptitude et on pourrait même dire cette vocation. L'exercice médical ne saurait se concevoir sans consacrer l'attention nécessaire à la satisfaction de ces souhaits légitimes.



ne peuvent remplacer l'absence de traitement curatif et aller contre un pronostic très mauvais. Les faits montrent ainsi que la bonne volonté est une condition nécessaire mais non suffisante.

C'est alors qu'intervient la qualité humaine dans les soins dispensés.

Quant aux motivations des médecins elles sont diverses. Elles relèvent des personnalités pour une bonne part et sont probablement peu différentes de celles de la population générale. Toutefois la vie professionnelle entraîne certaines façons de penser qui peuvent se dissocier des dispositions caractérielles intrinsèques ou se laisser envahir par elles.

Le mode d'exercice, enfin, peut intervenir. Ceci d'autant plus que de nombreux médecins s'éloignent, dans la pratique actuelle, du classique "colloque singulier", basé sur la confiance réciproque, qui permettait à leurs aînés d'avoir un rapport humain étroit avec leurs patients. Une médecine plus technique et en même temps plus théorique et désincarnée a tendance à gagner du terrain. Il est possible qu'elle puisse créer une incompréhension dramatique entre médecins et malades (voir les développements sur la relation médecin-malade aux chapitres "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels" et "Cas de résolution complexe, psychologie et psychiatrie").

## LA CONDUITE DE LA THÉRAPEUTIQUE

Les principes fondamentaux de la démarche thérapeutique se définissent en fonction de 4 éléments majeurs qui sont :

- la connaissance de la cause ;
- la connaissance des lésions ;
- la compréhension des mécanismes physiopathologiques de l'affection ;
- les possibilités existantes de traitement causal ou physiopathologique à leur opposer.

Dans cette conception déterministe de la thérapeutique, le médecin considère qu'il existe une cause à la maladie, et que cette cause entraîne et détermine, comme effet, les manifestations morbides constatées. Le traitement de la cause doit alors entraîner la disparition des troubles morbides, à condition qu'ils soient encore réversibles, ou alors, dans le cas où ils ne le seraient plus, l'interruption de leur évolution. Lorsque la cause est inconnue ou s'il n'existe pas encore de traitement efficace, ce schéma ne peut être appliqué ; mais ce n'est que faute de disposer, dans l'état d'avancement de la science, de ces possibilités que l'on se résoudra à ne faire que des traitements "symptomatiques" ou, au besoin, des traitements substitutifs de fonctions vitales ou de la vie de relation de manière à pallier les fonctions défaillantes ou les symptômes gênants.

Il est, de toute façon, nécessaire de toujours s'efforcer de soulager au mieux les patients en toutes circonstances.

Rappelons que la conduite de la thérapeutique comporte quatre étapes principales :

- la décision concernant les indications thérapeutiques,
- la mise en œuvre du traitement,
- la surveillance des effets du traitement (*effets bénéfiques ou effets secondaires*),
- la décision concernant la fin de la thérapeutique.

## La décision concernant les indications thérapeutiques

### Type de traitement possible

Le praticien doit d'abord, comme on l'a dit plus haut, se demander s'il existe une cause et quels sont les phénomènes déterminants majeurs (lésions et mécanismes) de l'affection. S'il peut répondre positivement à ces questions, un traitement curatif ou radical est indiqué à condition qu'il en existe un.

Il peut encore avoir des possibilités de traitement curatif ou radical si, même en ne disposant pas de la cause, il connaît les lésions et/ou l'explication physiopathologique des troubles. C'est le cas, on l'a vu, dans le cancer (voir chapitre "Élaboration et validation des méthodes thérapeutiques") où la thérapeutique porte sur les lésions : ablation de la tumeur, radiothérapie, chimiothérapie, etc. pour réduire, en principe, l'extension locale et la dissémination<sup>(3)</sup>.

<sup>(3)</sup> Il est certain qu'il serait plus satisfaisant de pouvoir agir sur le *primum movens* de la maladie, dans ce cas la *tumorogénèse*, et disposer d'un traitement renversant l'évolution naturelle au lieu de supprimer les résultats de ce qui a déjà été accompli. On comprend d'ailleurs, dans ces conditions, que, malgré l'efficacité habituelle escomptée des méthodes, l'évolution puisse se faire vers le développement de métastases ou de récidives malgré un traitement local et général apparemment très satisfaisant.

De même, le traitement d'un déséquilibre hydroélectrolytique menaçant, dont la cause n'est pas encore reconnue, peut permettre une survie qui donnera la possibilité de découvrir, éventuellement, par la suite, la cause ou le mécanisme des troubles et de mettre en œuvre alors un traitement curatif ou radical.

Dans les cas où toutes ces possibilités d'action curative sont inexistantes, on est obligé alors de se contenter d'un traitement dit "palliatif". Par ailleurs et de toute façon, un traitement dit "symptomatique", visant à atténuer les symptômes et les inconvénients divers de l'affection en cause, doit être entrepris.

Le choix du type de traitement dépend donc du type de l'affection considérée et de la validité de la construction nosologique qui la caractérise (voir chapitre "Nosologie"). Il dépend aussi du stade auquel le clinicien est parvenu dans la progression du diagnostic chez le patient.

Comme on l'a vu dans le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic", la progression de la démarche diagnostique, qui remonte des symptômes et des signes vers les mécanismes et ou les lésions et en fin de compte vers la cause, peut se trouver arrêtée à différentes étapes. Elle peut ne plus progresser parce que le praticien ne dispose pas des éléments nécessaires à l'affirmation d'une entité nosologique ou bien parce que la connaissance de la nature de celle-ci suggère que la cause, voire les lésions sont inaccessibles. Dans le premier cas, pendant que les investigations complémentaires à visée diagnostique sont réalisées, la mise en œuvre d'un traitement provisoire pour sauvegarder les chances de guérison ou d'évolution la plus favorable devra être discutée. Dans le second cas, comme dans les situations où le processus diagnostique est clôturé plus heureusement sur la décision de retenir une entité nosologique parfaitement définie, le moment sera venu de la mise en œuvre du traitement définitif. Les attitudes possibles sont limitées à des choix entre quelques méthodes thérapeutiques dont l'efficacité aura, de préférence, été clairement démontrée.

### Les méthodes thérapeutiques

Elles ont été étudiées au chapitre "Élaboration et validation des thérapeutiques". Elles ne sont que rapidement rappelées ici.

- a) Elles peuvent être très simples et relever du seul "bon sens". Ces méthodes élémentaires sont illustrées par les gestes de sauvegarde qui sont enseignés comme tels au public non médical (comme les secouristes, les ambulanciers...) mais dont le principe et l'application ne posent guère de problèmes de conception ou d'application à un médecin, de quelque spécialité qu'il relève, pour peu qu'il ait eu la possibilité d'approcher des situations concrètes au cours de ses études et de son exercice et qu'il ait pu faire un apprentissage de certains gestes comme l'intubation ou l'usage d'un défibrillateur.
- b) Elles sont, bien sûr, plus souvent des thérapeutiques "élaborées" qui seront le fruit d'une réflexion et de recherches causales et de l'utilisation de connaissances biologiques, physiopathologiques, pharmacologiques, et/ou de médecine et de chirurgie, etc. De plus, la réalité de leur efficacité doit avoir été démontrée par l'application de la méthodologie d'essais adéquate ; la meilleure étant l'*essai contrôlé randomisé*.

### Les choix ou "indications thérapeutiques"

Les choix sont aidés par l'élaboration de recommandations d'application des méthodes qui sont désignées dans les traités classiques de médecine sous la dénomination d'"indications thérapeutiques".

Ces indications sont soit issues d'*essais contrôlés* ayant évalué des procédures et/ou des stratégies thérapeutiques, soit préparées par des experts qui utilisent leur expérience et les conclusions des sociétés savantes pour "dire" ce qui convient le mieux dans telle ou telle situation. Ce dernier procédé a été le seul utilisé jusqu'à il y a quelques années. Cette procédure rend des services mais elle implique une attitude assez passive du praticien. L'augmentation des possibilités d'accès aux connaissances sur les méthodes thérapeutiques, notamment grâce à l'Internet, dans le cadre ou non de l'"Evidence-based medicine", peut lui permettre de faire un choix personnel plus actif. L'appréciation qu'il peut porter et le choix qu'il peut faire dépendent de plus en plus de son discernement et de ses facultés de jugement lors de la lecture de publications traitant des ces sujets ou lors de la mise en balance des avantages et des inconvénients de ce (ou ces) traitement(s), au regard de l'évolution naturelle, ou d'un autre type de traitement. Ensuite, entrent en compte, et quelquefois de façon majeure, divers autres éléments qui sont :

- la variété de l'affection en cause, le terrain sur lequel elle évolue,
- l'existence d'une ou plusieurs pathologies associées,
- les possibilités matérielles et psychologiques d'application de ce(s) traitement(s),
- les considérations éthiques.

Ce dernier point mérite un développement qui sera repris au chapitre traitant de l'éthique. La décision finale ne peut être que celle qu'accepte le patient. Pour cela il est nécessaire qu'il soit informé des caractéristiques

de la situation pathologique et du traitement ou des traitements qu'on peut lui proposer. C'est un point très délicat car il faut savoir juger ce qu'il est opportun de dire. Quelle est l'information la plus appropriée ? Faut-il, pour ne pas mentir au patient, lui dire toute la vérité au risque de lui infliger, dans certains cas, un grave traumatisme psychologique consécutif à cette révélation ? ou bien ne lui délivrer qu'une information partielle, retarder la révélation et préparer psychologiquement le patient ? Tout cela est du domaine des rapports privilégiés qui s'établissent entre médecin et patient et il est probable que chaque situation comporte une solution adaptée à chaque patient. De toute façon, il est indispensable d'obtenir le consentement et la coopération du patient. Il va sans dire que ce raisonnement s'applique aux cas où un tel consentement est possible. Si les motivations du patient sont différentes, il faut les reconnaître, les apprécier et agir en conséquence (voir le paragraphe sur les motivations des patients).

C'est la prise en compte de tous ces éléments qui permet de porter un jugement sur la conduite à tenir mise ensuite en œuvre.

### Les aides à la décision

Des "aides" à la décision thérapeutique ont été élaborées. Les "guidelines" anglo-saxons sont le plus souvent établis par des conférences d'experts ou de consensus. En France, des recommandations pour la pratique clinique (RPC) sont élaborées par l'ANAES ou les sociétés savantes selon la même méthodologie. Certaines d'entre elles (les plus triviales) sont "opposables" quand elles ont été choisies par l'Assurance Maladie et les syndicats médicaux pour, en cas de non-respect, déboucher (éventuellement) sur des sanctions financières pour les praticiens en cause (voir chapitre "La protection sociale et l'économie de la santé").

L'intérêt et "l'efficacité" en pratique de ces instruments d'aide à la décision thérapeutique ont cependant été rarement évalués (comme d'ailleurs ceux des instruments d'aide au diagnostic, voir chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"). En l'absence d'évaluation, leur applicabilité est évidemment difficile à prévoir. Ces "aides" peuvent être utilisables dans un certain nombre de contextes, mais, cependant, la complexité de certaines situations, la multiplicité des problèmes à régler dans la pratique médicale, la polyopathie, l'interférence de considérations religieuses ou philosophiques et autres chez les patients et chez les médecins eux-mêmes, font qu'il est impossible de prévoir "scientifiquement" toutes les situations possibles et les conduites afférentes.

### La mise en œuvre et l'application pratique des traitements

L'application pratique des traitements fait intervenir le savoir et le savoir-faire du praticien. Cela est surtout vrai pour le chirurgien dont l'habileté et la maîtrise sont des facteurs personnels qui en font la valeur. D'autres utilisateurs de techniques partagent ces problèmes. Mais le savoir-faire intervient, en réalité, dans toutes les disciplines. Car la pratique médicale est une succession de décisions et d'applications d'actes intellectuels ou concrets où la technique, l'expérience, le jugement, le bon sens et tout un ensemble de qualités humaines personnelles interviennent en permanence.

Les soins aux patients consistent en l'application de connaissances médicales générales à chaque cas particulier. Il est évident que cette application fait appel à des processus qui ne relèvent pas seulement de la connaissance théorique. En outre, les praticiens sont formés au cours d'un apprentissage par compagnonnage. Ils utilisent toutes les connaissances ainsi acquises, mais ils y ajoutent, comme nous l'avons déjà vu, leur expérience, leurs qualités de décision, leur savoir-faire intellectuel et leur habileté propre qui sont très variables d'un praticien à un autre (voir chapitre "Savoir et savoir-faire"). Les courbes des performances (d'apprentissage) sont d'ailleurs là pour montrer cette réalité de l'expérience acquise. Les qualités psychologiques jouent aussi un rôle fondamental.

On comprend donc qu'il est particulièrement délicat d'accorder ce label de "bon clinicien", de "bon médecin" ou de bon "opérateur", à une personne ou à un groupe d'individus qui ont ces capacités particulièrement développées. Cependant il n'est pas exclu qu'on ne puisse, à l'avenir, mettre au point des méthodes

\* Les cas individuels peuvent, certes, parfois s'inclure parfaitement dans le cadre d'une population de référence qui a servi à établir les caractéristiques et les possibilités thérapeutiques. On peut alors connaître avec une précision chiffrable la possibilité de telle ou telle évolution à la suite de telle ou telle manœuvre. Mais ce passage des connaissances de données recueillies sur une population à un cas individuel est un exercice délicat. En effet, le caractère individuel de l'exercice de la médecine pratique, par contraste avec l'élaboration scientifique collective et généralisable de la création du corpus scientifique des connaissances est un des problèmes majeurs de l'exercice médical. Cependant, s'il est impossible, et même inconcevable scientifiquement, de codifier les démarches applicables à chaque individu, ces démarches doivent toujours se référer à ce qui a été démontré grâce à des méthodes scientifiques, pour des populations de malades similaires. La solution de ce problème est certainement un des défis majeurs pour l'avenir de la profession médicale.

reproductibles et valides d'appréciation de ces capacités<sup>(4)</sup>. Elles pourraient, même, servir de base à une sélection des étudiants qui serait plus rationnelle et bien plus adaptée que le bachotage sur des connaissances, dont certaines deviendront, probablement en outre, rapidement obsolètes...

### La surveillance du traitement et les décisions consécutives

La surveillance du traitement est nécessaire et permet un contrôle persistant sur le déroulement des phases évolutives de la maladie en adaptant ou rectifiant au besoin les prescriptions et les modalités d'application de la thérapeutique. Ce contrôle est un élément majeur de la bonne conduite des mesures thérapeutiques nécessaires.

Les critères de jugement de l'évolution ont été évoqués dans le chapitre "Élaboration et validation des connaissances sur l'évolution des maladies et leur prédiction". Certains sont des mesures physiques ou biologiques objectives dont la reproductibilité est habituellement satisfaisante. Il faut par contre veiller à ce qu'ils soient pertinents et qu'ils mesurent authentiquement et de façon adéquate l'évolutivité qu'on se propose de déterminer. D'autres sont purement cliniques et posent de ce fait le problème de la subjectivité aussi bien du malade que du praticien. Ces mesures doivent être, conceptuellement, parfaitement adaptées, non seulement à l'affection dont est atteint le sujet, mais au sujet lui-même car tous les individus n'ont pas les mêmes potentialités biologiques ni les mêmes capacités de compréhension et d'expression orale. Dans cette optique il est certain que l'existence de critères évolutifs objectifs est hautement souhaitable mais pas toujours réalisable<sup>(5)</sup>.

Certaines situations ne peuvent être résolues que par l'application de jugements individuels. C'est le cas de patients qui, dans le cadre même d'une nosologie bien définie, ont une présentation particulière rendant difficile l'utilisation d'instruments métrologiques standardisés. C'est là un problème de jugement individuel. Ceci, joint au fait que l'usage des critères et des tests d'évolution n'est pas encore très répandu, rend indispensable d'insister sur l'attention qu'il faut attacher à la connaissance et au jugement des éléments de surveillance des évolutions. Et ceci est d'autant plus important que l'on dispose de traitements dont l'utilisation sera d'autant plus efficace que les éléments de jugement de leurs effets seront mieux maîtrisés.

### L'arrêt de la thérapeutique

L'évolution de la maladie peut se faire vers la guérison totale avec retour à l'intégrité complète de l'organisme. Cela est vrai dans les affections bénignes virales comme les rhino-pharyngites et beaucoup de maladies virales infantiles non compliquées. Par contre, d'autres maladies infectieuses, même parfaitement traitées, peuvent avoir une évolution moins satisfaisante car le traitement n'a pu être institué qu'à une phase tardive. Il peut en résulter une évolution fatale ou des séquelles graves, voire un passage à la chronicité avec réveils infectieux intermittents. Les lésions traumatiques et apparentées ont une cicatrisation assez stéréotypée, mais divers facteurs, en particulier infectieux ou liés au terrain peuvent modifier l'évolution naturelle et sous traitement. Les autres affections, dues à des tumeurs ou à des ischémies et/ou nécroses tissulaires, ont des évolutions différentes suivant les possibilités d'éradication, le siège des tissus atteints, l'étendue des lésions, leur dissémination, l'âge du patient, le terrain, etc. qu'il est difficile de schématiser. Il en est de même des affections inflammatoires ou dégénératives et/ou idiopathiques.

Le jugement de guérison est un point important dans la conduite du traitement car il va se traduire par un arrêt des mesures à visée curative. En revanche, même en cas de guérison confirmée de certaines affections

<sup>(4)</sup> Une étude récente de la qualité de la prescription médicamenteuse des médecins généralistes en France (Coste et Venot, Medical Care 1999) a montré que la définition et la mise en œuvre pratique d'indicateurs de cette qualité ne sont pas simples. Seuls un petit nombre d'indicateurs objectifs relatifs à l'aspect technique de la prescription sont utilisables (existence et fréquence des contre-indications, du type de médicament prescrit, des interactions médicamenteuses, des erreurs de posologies...). L'étude en question a montré qu'en 1992, 6 à 40% des ordonnances comprenaient des interactions et des surdosages, et qu'un médicament totalement inefficace était prescrit dans 32 à 88% des ordonnances, selon la maladie traitée. Plusieurs déterminants des indicateurs ont aussi été identifiés, certains permettant d'isoler des "patients à risque" (femmes, vieillards, comorbidités), des "médecins à risque" (médecins âgés ou isolés) et des "contextes à risque" (visite, maladie fréquemment vue, mauvaise qualité technique de la prescription).

<sup>(5)</sup> Nous avons vu (dans le chapitre "Métrologie") les qualités métrologiques qui sont nécessaires aux critères d'évolution. Il est impossible dans le cadre de cet ouvrage de donner ne serait-ce qu'une énumération de tous les critères et/ou éléments de surveillance d'évolutions qui ont été développés. Beaucoup de ces critères l'ont été pour des études de recherche, puis ont été utilisés en pratique courante par un "glissement pragmatique". D'autres ont été élaborés pour la pratique. Le grand nombre de ces tests et de leurs modes de construction font de ce sujet un vaste chapitre de la métrologie qui ne pourrait être développé ici. Notons aussi que le passage de l'étude de populations à l'application à des individus pose toujours un problème délicat.

curables dans leur nature, il se peut que, du fait de circonstances particulières, on ne puisse avoir empêché la constitution de troubles irréversibles qu'il faudra pallier. Cette éventualité est presque la règle dans le cas d'affections importantes qui ne peuvent encore bénéficier de traitement définitivement curatif.

## LES POSSIBILITÉS D'UTILISATION THÉRAPEUTIQUE DE L'EFFET PLACEBO

Il nous a paru indispensable, dans cet ouvrage sur le raisonnement médical, de faire apparaître une mention spéciale sur l'utilisation possible de l'effet placebo en thérapeutique et les problèmes éthiques qu'il pose. Comme cela a été précisé dans le chapitre "Élaboration et validation des méthodes thérapeutiques", le placebo est une substance (ou une manœuvre) inerte n'agissant pas sur la cause de la biopathologie. Son administration ne peut modifier que l'expression symptomatique de celle-ci et certaines manifestations sous la dépendance directe ou indirecte du système neurovégétatif.

De tout temps les médecins ont, consciemment ou inconsciemment, utilisé des placebos et l'effet placebo. On peut même dire que beaucoup des thérapeutiques en usage avant les découvertes biologiques des deux derniers siècles relevaient, soit d'heureuses découvertes empiriques, soit de l'utilisation plus ou moins consciente de l'effet placebo, dont elles tiraient parti et qui "parasite" l'effet thérapeutique des traitements actifs. C'est pourquoi le placebo mérite une attention particulière quelle que soit l'orientation ou la spécialisation éventuelle des praticiens.

*L'utilisation du placebo dans une optique de thérapeutique consiste dans l'administration délibérée d'un produit qu'on sait inactif ou de l'application d'une manœuvre inactive à un sujet en vue de l'utilisation de l'effet placebo. Elle peut être envisagée dans certaines circonstances particulières, mais pose préalablement un problème de légitimité puisque, en principe, on doit une information claire au patient, même dans le cadre de soins routiniers.*

## Problèmes éthiques posés par l'utilisation de l'effet placebo en pratique thérapeutique proprement dite<sup>(6)</sup>

Le problème éthique posé par l'utilisation du placebo est particulièrement difficile à résoudre. Le dilemme est le suivant : a-t-on le droit de se passer de l'effet placebo alors qu'il est certain qu'il peut avoir un effet bénéfique et alors que son utilisation ne peut se passer d'un mensonge fait au malade ? Ces notions donnent lieu à des controverses parfois animées, voire passionnées. Nous nous efforcerons de présenter ci-dessous les arguments qu'on peut avancer et les propositions qui semblent devoir obtenir un consensus, tout en laissant aux praticiens le soin de décider en leur âme et conscience quelle attitude ils pensent être autorisés à adopter.

### Ce qui est inacceptable

Il est certainement inacceptable de diminuer les chances de bénéfice thérapeutique pour les patients et donc il semble impératif de :

- ne pas prescrire de placebo sans avoir fait un examen médical sérieux.
- ne pas prescrire de placebo sans avoir fait un diagnostic précis et avoir établi un pronostic prenant en compte la gravité éventuelle de l'évolution naturelle et les risques de la thérapeutique active ;
- ne pas prescrire de placebo s'il existe un traitement spécifique connu et efficace qu'il est alors impératif de mettre en œuvre. Il ne viendrait à l'idée d'aucun praticien responsable de traiter des affections constamment mortelles, si elles sont abandonnées à elles-mêmes (comme une endocardite bactérienne, une méningite tuberculeuse, une leucémie aiguë de l'enfant), par autre chose qu'une thérapeutique radicale s'appuyant sur les antibiotiques adéquats dans les deux premiers exemples et par les méthodes éprouvées des traitements hématologiques dans le dernier exemple.

### Le problème du mensonge

Les problèmes éthiques sont posés par l'irrationnel de la situation où l'essentiel repose sur la "foi" du patient, voire du médecin prescripteur. Or cette foi et le conditionnement nécessaires à la pleine efficacité de l'effet placebo nécessitent de présenter le traitement proposé comme efficace. Ce qui pose la question de l'usage du mensonge.

<sup>(6)</sup> Nous n'envisagerons pas ici les problèmes éthiques posés par l'utilisation du placebo dans les essais thérapeutiques (ils ont été traités au chapitre "Élaboration et validation des méthodes thérapeutiques")

En effet, le problème de l'utilisation du placebo est souvent posé en termes d'utilisation de déclarations mensongères. Ceci est basé sur le fait qu'on dit au patient qu'on lui administre un traitement alors qu'on sait parfaitement qu'il n'y a aucun produit actif dans la préparation administrée. Mais, en fait, le mensonge n'existe que si l'on considère le *produit placebo et non l'effet placebo qui, lui, est réel.*

Est-il, donc, contraire à l'éthique d'utiliser l'effet placebo ? Deux réponses sont à mettre en balance. On peut en effet répondre :

- soit **non** puisque cet effet est observable et bien réel et qu'il n'y a aucune raison d'en priver le patient d'autant que c'est aussi le mettre à l'abri d'accidents iatrogènes ;
- soit **oui** car c'est un mensonge si on considère qu'il n'y a rien d'actif et qu'on dit le contraire. On peut être considéré comme ne fournissant pas une information honnête ce qu'exigent le code de déontologie et la jurisprudence. On s'expose aussi à être découvert et considéré comme usant d'une supercherie ce qui ruine toute confiance et entraîne une perte de qualité de la relation médecin-malade ;
- On peut aussi dire à la fois : mentir **non** ; mais pour le bien **oui**.

## Conditions à observer pour une utilisation en pratique de l'effet placebo

En schématisant, les arguments pour l'utilisation de l'effet placebo sont :

- un effet symptomatique non négligeable ;
- l'innocuité et l'absence d'effets secondaires ou effet nocebo mineur ;
- le coût réduit.

Les arguments contre l'utilisation du placebo sont :

- la nécessité de ne dire au patient qu'une partie de vérité ;
- la nécessité de tenir un double langage.

Par ailleurs,

- Les conséquences fâcheuses de l'utilisation du placebo sur le malade sont :
  - . la découverte possible de ce qu'il considérera comme une supercherie,
  - . une perte consécutive de confiance dans son médecin, les médecins, la médecine,
  - . et plus généralement le développement de comportements de suspicion et de revendication.
- Et sur le médecin, les conséquences fâcheuses de l'utilisation du placebo sont : une culpabilisation ou un cynisme excessif.

Le praticien peut donc balancer entre les deux attitudes : une attitude pragmatique qui lui empêche de **négliger** un effet thérapeutique, même douteux dans son principe, et une attitude morale qui le prévient de **faire un mensonge efficace** sur un produit sans base thérapeutique reconnue et rationnelle.

La solution semble individuelle et relever des circonstances. Ne pas donner de traitement à un patient incapable d'accepter que son cas soit dénué de toute ressource thérapeutique est inutilement "malfaisant". Il semble au contraire qu'une "bienfaisance" raisonnable soit de lui offrir un produit présenté comme ayant quelques chances de l'améliorer (ce qui est d'ailleurs vrai si on obtient, effectivement, un effet placebo). Dans tous les cas, l'utilisation éventuelle d'un placebo paraît devoir résulter d'une décision réfléchie s'intégrant dans une stratégie thérapeutique raisonnée :

- après un diagnostic précis, la formulation d'une prévision d'évolution naturelle et après avoir envisagé toutes les possibilités de thérapeutiques efficaces ;
- moyennant une information appropriée au but qu'on s'assigne ;
- sans prolonger ce type de traitement au-delà de ce qui apparaît éthique ;
- en n'utilisant pas l'épreuve thérapeutique comme test d'anorganicité, car l'effet placebo s'exerce aussi sur les signes fonctionnels des maladies les plus authentiquement organiques ;
- en intégrant le placebo dans une conduite cohérente et éthique pouvant être jugée comme pouvant faire plus de bien que de mal ;
- en n'abusant jamais de la crédulité du patient.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- BEECHER HK. The powerful placebo. JAMA 1955; 159 : 1602-1606
- BEECHER HK. Surgery as placebo. JAMA 1961 ; 176 : 1102-1107.
- BRUXELLE J. Effet placebo dans le traitement de la douleur. Rev Prat 1994 ; 44 : 1919-1923
- COSTE J, VENOT A. An epidemiological approach to drug prescribing quality assessment. A study in primary care practice in France. Med Care 1999 ; 37 : 1294-1307.
- ERNST E, HERXHEIMER A. The power of placebo. BMJ 1996 ; 313 : 1569-1570
- HAYWARD RS, WILSON MC, TUNIS SR, BASS EB, GUYATT G. Users' guides to the medical literature. VIII. How to use clinical practice guidelines. A. Are the recommendations valid? The Evidence-Based Medicine Working Group. JAMA 1995 ; 274 : 570-4.
- HOERNI B. L'autonomie en médecine. Nouvelles relations entre les personnes malades et les personnes soignantes. Payot, Paris, 1991
- JOHNSON AG. Surgery as a placebo. Lancet 1994 ; 344 : 1140-1142
- KASSIRER JP, KOPELMAN RI. Learning Clinical Reasoning. Baltimore, Williams & Wilkins, 1991.
- KASSIRER JP, GORRY GA. Clinical problem solving: a behavioral analysis. Ann Intern Med 1978 ; 89 : 245-55.
- LACHAUX B, LEMOINE P. Placebo Un médicament qui cherche la vérité. Tome 1. Paris, Medsi- McGraw-Hill, 1988.
- PAUKER SG, KASSIRER JP. Therapeutic decision making: a cost-benefit analysis. N Engl J Med 1975 ; 293 : 229-234.
- MATILLON Y, DURIEUX P (Dir). L'évaluation Médicale. Du Concept à la Pratique. Paris, Flammarion Médecine-Sciences, 1994.
- TER RIET G, DE CRAEN AJ, DE BOER A, KESSELS AG. Is placebo analgesia mediated by endogenous opioids? A systematic review. Pain 1998 ; 76 : 273-275
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown. 1991.
- TURNER JA, DEYO RA, LOESER JD, VON KORFF M, FORDYCE WE. The importance of placebo effects in pain treatment and research. JAMA 1994 ; 271 : 1609-1614
- WILSON MC, HAYWARD RS, TUNIS SR, BASS EB, GUYATT G. Users' guides to the Medical Literature. VIII. How to use clinical practice guidelines. B. What are the recommendations and will they help you in caring for your patients? The Evidence-Based Medicine Working Group. JAMA 1995 ; 274 : 1630-2.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- La thérapeutique consiste en la mise en œuvre de moyens susceptibles de modifier de façon favorable l'évolution naturelle des maladies (ou de tout processus pathologique). Les soins consistent, eux, en toutes les mesures (y compris, naturellement, les mesures curatives) de prise en charge du patient.
- Les concepts de thérapeutique curative, de thérapeutique palliative et de prise en charge des patients doivent être bien différenciés. À défaut de possibilités de soins radicaux ou curatifs, le praticien doit s'efforcer de pallier les fonctions défaillantes et les symptômes, minimiser les troubles pathologiques et soulager au mieux les malades.
- La conduite thérapeutique comporte schématiquement plusieurs étapes : 1) la décision concernant les indications thérapeutiques, 2) l'application de la thérapeutique proprement dite, 3) la surveillance des effets du traitement, 4) la décision concernant la fin de la thérapeutique.
- Le praticien doit choisir parmi les méthodes disponibles celle qui lui paraît la mieux adaptée à la situation du patient particulier qu'il a à traiter. À l'ancien paradigme "primum non nocere" se substitue de plus en plus une notion issue de l'efficacité croissante des investigations et des possibilités thérapeutiques. On ne peut plus se contenter de "ne pas nuire" ou "ne pas faire de mal", mais il devient de plus en plus nécessaire d'avoir comme modèle de "faire plus de bien que de mal". Le consentement éclairé du patient ou de son représentant sur la thérapeutique administrée doit être obtenu.
- La thérapeutique comporte aussi la nécessité d'exercer une surveillance rigoureuse des effets des traitements et un ajustement du traitement en se basant sur l'évolution constatée.
- Les décisions prennent en compte, non seulement les éléments tirés de la biopathologie, mais aussi des considérations diverses, particulièrement éthiques, psychologiques et environnementales (familiales, sociales, etc.). Les motivations des patients doivent notamment être soigneusement analysées.
- Le placebo ne contenant aucun principe curatif est sans effet sur la biopathologie organique et son effet ne se fait sentir que sur les manifestations fonctionnelles et/ou sur les signes sous la dépendance du système nerveux (y compris du système neurovégétatif).
- L'utilisation délibérée d'un placebo pose de sérieux problèmes éthiques. Elle ne peut résulter que d'une décision réfléchie s'intégrant dans une stratégie diagnostique et thérapeutique raisonnée en intégrant le placebo dans une conduite cohérente et éthique pouvant être jugée comme susceptible de faire plus de bien que de mal. Une réponse au placebo ne peut certainement pas être interprétée comme une preuve d'anorganicité.

## Chapitre 16 LE RAISONNEMENT APPLIQUÉ À LA PRÉVENTION ET AU DÉPISTAGE

### INTRODUCTION

La prévention et le dépistage sont des activités médicales caractérisées par deux cadres de mise en œuvre : un cadre institutionnel, et même très réglementé pour la médecine du travail, la médecine scolaire, la protection maternelle et infantile, et un cadre individuel, souvent mal distingué de la pratique de soins, dans lequel le praticien agit de sa propre initiative ou à la demande du patient qui le consulte. *C'est exclusivement ce second cadre d'activité que nous envisagerons ici.*

Bien qu'il existe encore des incertitudes sur le rôle précis qui sera réservé à l'avenir aux praticiens, et notamment aux médecins généralistes, dans les politiques de prévention et de dépistage décidées et/ou organisées, en France, par le Ministère de la Santé et l'Assurance Maladie, il est néanmoins probable que ce rôle sera important, voire central. Il est aussi probable que le patient demandera de plus en plus fréquemment des informations ou des actions de prévention et ou de dépistage à la suite de la lecture d'articles ou de la vision d'émissions de vulgarisation.

La mise en œuvre de manœuvres de prévention ou de dépistage ne devrait concerner que des procédures scientifiquement validées (voir chapitre "Élaboration des connaissances pour la prévention et le dépistage").

### MISE EN ŒUVRE DE LA PRÉVENTION PRIMAIRE DES MALADIES

Dans un cadre individualisé de prévention, le praticien est confronté à la situation d'un patient en bonne santé, mais chez qui il reconnaît ou met en évidence des caractéristiques connues pour prédisposer la survenue d'une maladie : une exposition à des "causes" ou des "facteurs de risque". Ses possibilités d'éviter ou de réduire la probabilité de survenue de la maladie dépendent surtout du type de maladie qu'il veut prévenir. En dehors des maladies infectieuses, les procédures scientifiquement validées restent, en effet, encore peu nombreuses.

### La prévention des maladies infectieuses : isolement, vaccination, chimioprophylaxie, hygiène

Dans les maladies infectieuses, la prévention primaire a longtemps été la seule activité médicale efficace. Pendant des siècles, les mesures d'isolement des sujets malades, puis de quarantaine ont permis de limiter la contagion et donc l'ampleur des épidémies, notamment de lèpre et de peste. Ces mesures d'isolement ou d'éviction restent d'actualité dans certaines maladies. L'isolement des cas infectés et un contrôle strict des migrants restent en effet les seules possibilités de limiter les épidémies de fièvres hémorragiques à virus Ebola ou autres. Certaines mesures d'isolement sont d'ailleurs obligatoires. Par exemple, certaines maladies infantiles (méningococcie, scarlatine, varicelle, etc.) requièrent, une éviction scolaire.

La vaccination est aussi une manœuvre de prévention primaire. Elle reste aussi la seule efficace pour lutter contre de nombreuses infections virales (poliomyélite) ou même bactériennes (tétanos). Elle consiste à activer les défenses immunitaires du sujet qui détruiront le microbe (bactérie ou virus, bientôt peut-être parasite) dès son entrée dans l'organisme, avant qu'il ait eu le temps de déclencher la maladie. La vaccination est réalisée selon des modalités fixées dans le "calendrier vaccinal" pour les affections comme le tétanos, la poliomyélite, etc. ou réalisée au "coup par coup" avant un voyage dans un pays "exotique" pour la fièvre jaune, le choléra...

La chimioprophylaxie repose sur un principe similaire à la vaccination. Il s'agit de mettre en place dans l'organisme une "barrière chimique" où un antimicrobien circulant détruira le micro-organisme avant que celui-ci devienne pathogène. La chimioprophylaxie peut être utilisée chez les "sujets contacts" en cas d'urgence,

quand la vaccination n'a pas le temps d'être efficace. Ce procédé est actuellement couramment utilisé pour les sujets ayant été en contact de cas de méningite à méningocoques. C'est aussi le moyen utilisé pour la prévention du paludisme<sup>(1)</sup>.

La dernière méthode de prévention des maladies infectieuses est l'hygiène. Bien qu'ayant plus d'un siècle et étant parfois regardée aujourd'hui avec commisération, la recrudescence des infections nosocomiales (infections engendrées par l'activité médicale) en a récemment montré toute l'actualité et la valeur. Outre les mesures prises à l'échelon collectif, notamment par les structures en charge de l'hygiène hospitalière, les mesures individuelles d'antiseptie et d'asepsie (lavage des mains, désinfection des matériels médicaux et chirurgicaux) sont d'une importance primordiale pour prévenir les infections nosocomiales.

## La prévention des maladies multifactorielles

La prévention primaire est relativement simple, en principe, quand la cause de la maladie est unique, et nous avons vu son intérêt, souvent considérable, pour les maladies infectieuses et, à un degré moindre, pour les intoxications. Malheureusement, dans la plupart des autres maladies, la cause n'est pas unique mais multiple, ou bien le mécanisme physiopathologique est très complexe (impliquant facteurs de susceptibilité et facteurs déclenchants) ou n'est pas précisément connu. Dans ces situations, qui concernent toutes les maladies dégénératives, les cancers, les maladies psychiatriques, etc., c'est-à-dire la grande majorité de la pathologie courante, le praticien ne dispose que de la connaissance des *facteurs de risque* (voir le chapitre "Élaboration des connaissances pour la prévention et le dépistage").

Devant un sujet chez qui il découvre à l'issue de l'interrogatoire ou de l'examen clinique un facteur de risque ou, qui, de plus ou plus souvent, consulte pour cela, que doit faire le praticien ? Avant d'agir, il doit d'abord se poser plusieurs questions : 1) Quelle probabilité a le sujet de développer la maladie ? 2) Quand développera-t-il la maladie ? et 3) Supprimera-t-on le risque de maladie en supprimant le facteur de risque ?

- Comme nous l'avons vu dans le chapitre "Élaboration des connaissances pour la prévention et le dépistage", les études épidémiologiques ne fournissent souvent que des estimations du risque relatif et non de la probabilité, ou risque absolu, de développer la maladie. Des aides visuelles simples (nomogrammes) permettant au clinicien d'évaluer le risque absolu qu'un individu donné a de développer une maladie existante, mais ne concernent actuellement que quelques maladies (maladies cardio-vasculaires, cancer du sein, grossesse extra-utérine). Dans les autres cas, une évaluation approximative doit néanmoins être établie en utilisant la valeur du risque relatif et un ordre de grandeur de la fréquence de la maladie dans la population.
- La réponse à la seconde question (quand la maladie se développera-t-elle ?) se trouve grâce à la connaissance de la physiopathologie de la maladie et surtout de celle de l'histoire naturelle. L'exposition à un facteur de risque peut se traduire par une augmentation du risque de maladie immédiatement, à court terme ou à très long terme. De ce fait, l'intérêt d'une éviction du facteur de risque peut varier au cours du temps. Par exemple, une cholestérolémie deux fois plus élevée que la normale à 80 ans n'a pas la même signification et les mêmes implications qu'à 30 ans.
- Enfin, si le risque de développer la maladie est trouvé suffisamment important (dans un délai n'excédant pas largement l'espérance de vie du sujet), le praticien doit s'interroger sur la possibilité de supprimer le risque de maladie (ou de diminuer significativement celui-ci) en cas d'éviction (ou de réduction) du facteur de risque en question. Comme nous l'avons vu dans le chapitre "Élaboration des connaissances pour la prévention et le dépistage", les meilleures chances de réduction du risque sont réunies quand le facteur de risque est causal et que sa disparition ou diminution n'entraîne pas une augmentation compensatrice de l'exposition à d'autres facteurs de risque de la maladie. C'est habituellement le cas dans les maladies infectieuses. Dans les autres cas, seule l'existence d'études réalisées selon une méthodologie satisfaisante (en particulier des études contrôlées) ayant montré l'intérêt de l'éviction du facteur du risque apportera la justification d'une action préventive<sup>(2)</sup>.

Comme nous l'avons vu dans le chapitre "Élaboration des connaissances pour la prévention et le dépistage", rares sont les manœuvres préventives, qui en dehors du champ des maladies infectieuses, ont fait preuve de leur efficacité ou de leur utilité.

<sup>(1)</sup> La chimioprophylaxie peut également être utilisée pour prévenir certains accidents toxiques, médicamenteux (acide folique en cas de chimiothérapie anticancéreuse, par exemple) ou physiques (iode en cas d'exposition à des radiations ionisantes).

<sup>(2)</sup> Rappelons néanmoins que la mise en œuvre d'une manœuvre préventive d'une efficacité scientifiquement prouvée, chez un sujet donné, ne permettra pas obligatoirement d'éviter la survenue de la maladie. Dans le domaine de la prévention, le "risque 0" n'existe pas, contrairement aux suppositions des tenants du "principe de précaution".

## Le cas des facteurs de risque actuellement inaccessibles à la prévention

L'intérêt de la recherche de facteurs de risque actuellement inaccessibles à toute mesure corrective est très discuté. Le problème éthique soulevé par ces pratiques se pose tout particulièrement pour les maladies génétiques ou à composante génétique. La connaissance de la présence d'un gène prédisposant à la survenue d'une maladie peut être utile, pour certains sujets, dans une optique pronostique et pour organiser la prise en charge précoce des troubles. Elle peut, chez d'autres sujets, conduire à des désordres psychologiques rentrant dans le cadre de la "labellisation" (le "labelling effect" décrit par exemple dans l'hypertension artérielle). En l'absence d'évaluation de ces effets, la prudence, voire la réserve, s'impose.

## Le praticien agissant pour la protection collective

À côté de la prévention individuelle chez un patient particulier, il existe des situations où le praticien agit en tant qu'acteur de santé publique, pour la protection de la collectivité. Bien que ces situations soient de plus en plus fréquentes, les attitudes à adopter sont souvent mal codifiées ou mal réglementées, notamment en France.

La situation la mieux réglementée de protection collective est sans doute l'internement d'office, où les médecins (psychiatres) peuvent décider l'internement d'un sujet dangereux pour son entourage ou pour lui-même, contre la volonté de celui-ci.

En revanche, le comportement adopté en face de maladies contagieuses, en particulier de maladies sexuellement transmissibles est plus variable. En France, la déclaration dite "obligatoire" n'est effectuée que dans une proportion infime de cas ; de même, le traçage des sujets contacts dans les maladies sexuellement transmissibles pourtant réglementaire est rarement fait en pratique.

En l'absence de toute réglementation, les attitudes à adopter vis-à-vis du tabagisme passif, ou encore dans le conseil prénatal pour les maladies génétiques, sont largement laissées au choix et à la responsabilité du praticien. Avec le développement des connaissances sur le génome et la perspective de thérapies géniques, cette responsabilité deviendra vraisemblablement critique dans les années à venir.

Le problème a revêtu un caractère dramatique depuis l'épidémie de SIDA car l'observation du secret professionnel, qui est absolue, n'autorise pas le médecin à obliger un sujet atteint par l'infection VIH à en déclarer l'existence à sa ou son partenaire.

## MISE EN ŒUVRE DE LA PRÉVENTION SECONDAIRE (DÉPISTAGE) DES MALADIES

Comme la prévention, le dépistage s'exerce principalement dans deux grands cadres : le dépistage collectif organisé (parfois dit "de masse"), qui peut prendre la forme de grandes campagnes menées en population avec l'aide de nombreux médias, et le dépistage individuel (quelquefois dit "opportuniste") effectué par le clinicien, avec l'accord de son patient et éventuellement à sa demande. Dans ce dernier cas, le médecin engage sa responsabilité de la même manière que pour un acte diagnostique ou thérapeutique ; il peut être aussi contrôlé par les organismes de remboursement. Il ne s'agit donc en aucun cas d'une procédure devant être engagée sans de sérieuses justifications scientifiques, éthiques, voire économiques.

Le praticien doit aussi toujours prendre en compte (et mieux encore, prévenir) le retentissement psychologique de l'action du dépistage lui-même. L'angoisse provoquée par la mise en œuvre du test est à prendre en considération car, tant qu'il ne sait pas qu'il n'a pas un cancer (par exemple), le sujet va redouter l'annonce du résultat. Quelquefois même son angoisse va persister après malgré un résultat rassurant. S'il apprend qu'il est porteur d'une maladie potentiellement grave, une angoisse va se manifester ou s'accroître du fait de la "labellisation" de la maladie.

## Dépistage et diagnostic précoce

Le dépistage qui est appliqué chez des sujets en bonne santé (au moins apparente) et ne se plaignant de rien ne doit pas être confondu avec le diagnostic précoce qui peut être mis en œuvre aux premiers symptômes d'une maladie. Dans le dépistage, il ne s'agit pas d'aller à la reconnaissance d'une affection de nature initialement inconnue et hypothétique parmi plusieurs affections candidates (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic"), mais au contraire il s'agit de rechercher délibérément une *cible unique*.

## Le dépistage des cancers

Les cancers, pour lesquels le dépistage repose sur des justifications scientifiques et qui ont fait l'objet d'une mise en œuvre, ou de tentatives de mise en œuvre, soit systématique ou "de masse", soit individuelle, sont le cancer du col utérin, le cancer du sein, les cancers colo-rectaux et le cancer de la prostate (actuellement non recommandé en France).

Le dépistage du cancer du col utérin grâce au frottis du col utérin est le plus ancien de tous. Son intérêt a été démontré malgré l'absence de tout essai comparatif. En France, le frottis du col utérin est actuellement réalisé par les praticiens (gynécologues, anatomopathologistes) avec la méthode de Papanicolaou (et remboursé par la Sécurité Sociale).

Le dépistage du cancer du sein par la mammographie a été validé dans plusieurs contextes expérimentaux mais souffre, dans de nombreux pays, et notamment en France, de problèmes organisationnels qui peuvent remettre en cause l'opportunité de sa généralisation. Ce dépistage peut être réalisé à la fois de manière spontanée par les praticiens et de manière systématique, lors de campagnes de dépistage "de masse" (en France, le dépistage systématique a concerné une vingtaine de départements). Mais, d'une part, les recommandations<sup>(3)</sup> basées sur la littérature scientifique sont peu respectées et, d'autre part, les campagnes en population sont souvent décevantes.

Les modalités de dépistage du cancer du côlon et du cancer de la prostate sont encore plus controversées et ces dépistages ne paraissent pas être susceptibles de généralisation dans l'immédiat, malgré des études préliminaires encourageantes.

## Le dépistage des maladies non cancéreuses

Les possibilités de dépistage des maladies non cancéreuses sont moins nombreuses encore. Presque seul, le dépistage (et le traitement) de l'hypertension artérielle (avant ses complications cardiaques et cérébro-vasculaires notamment) a été validé scientifiquement. En revanche, les résultats sont encore contradictoires et le débat se poursuit pour le diabète de type II (et pour le diabète gestationnel), certaines infections virales (VIH, hépatites B et C), l'alcoolisme...<sup>(4)</sup>

## DES "SOUHAIITS AUX RÉALISATIONS", ÉVALUATION DES PRATIQUES DE PRÉVENTION ET DE DÉPISTAGE

Peu d'évaluations ont été réalisées sur les conditions et l'efficacité des manœuvres de prévention et de dépistage en pratique. Leurs résultats, variables selon les pays, sont néanmoins en général peu encourageants.

<sup>(3)</sup> Elles sont de réaliser une mammographie tous les deux ans chez les femmes de 50 à 69 ans (sauf chez les femmes ayant un antécédent familial de cancer du sein qui ont des modalités de dépistage spécifiques). Les femmes aux antécédents de cancers du sein familial forment un groupe particulier. Certaines sont porteuses des mutations BRCA 1 ou BRCA 2, d'autres non. Ces femmes posent des problèmes spécifiques de dépistage, voire de chimioprévention dont les modalités ne sont pas encore complètement fixées.

<sup>(4)</sup> Le terme de dépistage est souvent utilisé en matière de malformation congénitale. Dans la plupart des malformations, l'interruption médicale de grossesse (IMG) qui en résulte correspond mieux au concept de prévention qu'à celui de dépistage. Les problèmes éthiques et juridiques soulevés sont d'ailleurs très importants.

Le frottis du col utérin (FCU) mis au point par Papanicolaou (1941) puis Ayre (1947) collecte des cellules du col et permet d'identifier des lésions cancéreuses ou précancéreuses non encore invasives. Le FCU est rapidement devenu la méthode de choix pour le dépistage des cancers et des lésions précancéreuses du col utérin. Bien qu'aucun essai randomisé n'ait montré l'efficacité de ce dépistage en population, plusieurs études réalisées au cours des vingt dernières années ont montré l'association entre la pratique du FCU et la diminution de l'incidence des cancers du col utérin. Dans les pays où dans les régions où des programmes de dépistage de masse organisé ont été mis en place, une diminution du cancer du col utérin de 15 à 30% tous les cinq ans a été observée. C'est le cas, en particulier, de la Finlande, de la Suède et de la Colombie britannique. Toutefois, même dans des pays où le dépistage organisé n'existe pas, comme en France, on note une diminution de l'incidence des cancers invasifs et une augmentation de l'incidence des lésions in situ. En France, l'incidence du cancer du col a diminué de 50% entre 1975 et 1995.

Le FCU est peut-être à ce jour le seul test de dépistage d'un cancer vraiment efficace. Toutefois, dans les pays mêmes où le dépistage a été massif et soutenu pendant de nombreuses années, le cancer du col n'a pu être éradiqué. Il y a deux raisons à cet échec. L'une d'elle est l'accès limité au dépistage. Plusieurs études publiées ont montré que la moitié des femmes qui ont développé un cancer du col n'ont jamais été dépistées ou n'ont pas été dépistées au cours des 5 dernières années précédant la découverte de leur cancer. Par ailleurs, les femmes de niveau socio-économique plus faible, les plus à risque de cancer du col, ont moins accès au dépistage que les autres. L'autre raison de l'échec résulte des insuffisances de la technique elle-même, c'est à dire à la fréquence des faux négatifs. De nouvelles techniques de frottis, utilisant la technique dite "monocouche" ou la recherche de papillomavirus ont été proposées pour limiter ces faux négatifs. Elles sont en cours d'évaluation.

Les travaux ayant évalué les pratiques de prévention et de dépistage ont révélé une réalité assez éloignée de la théorie des "décideurs" ou même des études "pilotes" de validation des manœuvres. Les résistances des sujets en bonne santé apparente à accepter des examens de dépistage et à plus encore à changer de comportement, notamment quand celui-ci est de nature toxicomaniaque (tabagisme, alcoolisme), ont toujours été très importantes, d'autant qu'ils étaient en général mal préparés à recevoir l'information sur les procédures utilisées. De même, comme on l'a vu dans le cancer du col utérin, les populations les plus à risque de développer la maladie ont souvent eu moins accès aux manœuvres de dépistage ou de prévention.

Fréquemment aussi, les connaissances des praticiens sur les possibilités de prévention et de dépistage étaient très insuffisantes et les recommandations, ou "guidelines", mal connues et donc mal appliquées. Dans certains cas même, des résistances manifestes des praticiens ont été observées, notamment quand eux-mêmes étaient concernés par l'exposition à prévenir (tabagisme, sexualité, armes à feu...). Mais c'est surtout la faible formation initiale (et surtout permanente) des praticiens pour ces activités et la mauvaise organisation des systèmes de santé qui ont aussi été incriminés pour expliquer le "demi-échec" des manœuvres de prévention et de dépistage.

## POUR EN SAVOIR PLUS

- ANAES. Rapports sur le frottis cervico-utérin, le dépistage du cancer du sein, des cancers colo-rectaux, du cancer de la prostate. Documents consultables sur le site de l'ANAES : <http://www.anaes.fr>
- ARMSTRONG K, EISEN A, WEBER B. Assessing the risk of breast cancer. N Engl J Med. 2000 ; 342 : 564-71.
- BRODIN M. Rapport 2000 de Conférence nationale de santé. Document consultable sur le site du Ministère de la santé : <http://www.sante.gouv.fr/html/minister>
- GOTZSCHE PC, OLSEN O. Is screening for breast cancer with mammography justifiable? Lancet. 2000 ; 355 : 129-34.
- MULCAHY HE, FARTHING MJ, O'DONOGHUE DP. Screening for asymptomatic colorectal cancer. BMJ. 1997 ; 314 : 285-91.
- OSBORNE M, BOYLE P, LIPKIN M. Cancer prevention. Lancet. 1997 ; 349 Suppl 2 : S1127-30.
- SCHAFFER P, SANCHO-GARNIER H, FENDER M, DELLENBACH P, CARBILLET JP, MONNET E, Gauthier GP, Garnier A. Cervical cancer screening in France. Eur J Cancer. 2000 ; 36 : 2215-20.
- WOLF PA. Prevention of stroke. Lancet. 1998 ; 352 Suppl 3 : S1115-8.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- La prévention et le dépistage sont des activités médicales pouvant être réalisées dans deux cadres : un cadre institutionnel, et très réglementé pour la médecine du travail, la médecine scolaire, la protection maternelle et infantile, et un cadre individuel, souvent mal distingué de la pratique de soins, dans lequel le praticien agit à sa propre initiative ou la demande du patient qui le consulte.
- Le praticien est, et sera probablement plus encore, amené à jouer un rôle important dans la mise en œuvre des politiques de prévention et de dépistage.
- En raison des conséquences psychologiques de la "labellisation" et des coûts engendrés, la mise en œuvre de manœuvres de prévention ou de dépistage ne devrait concerner que des procédures scientifiquement validées.
- Les mesures de prévention validées restent peu nombreuses en dehors des maladies infectieuses où isolement, vaccination, chimioprophylaxie et hygiène sont des armes fondamentales de lutte contre ces maladies.
- Les cancers pour lesquels le dépistage repose sur des justifications scientifiques et qui ont fait l'objet de mise en œuvre, soit systématique ou "de masse", soit individuelle, sont le cancer du col utérin, le cancer du sein, le cancer de la prostate et les cancers colo-rectaux. En dehors des maladies cancéreuses, seul le dépistage de l'hypertension artérielle est actuellement validé.
- Les travaux ayant évalué les pratiques de prévention et de dépistage ont révélé une réalité assez éloignée de la théorie des "décideurs" ou même des études "pilotes" de validation des manœuvres. Les résistances des sujets, mal préparés, le manque de formation des praticiens et la mauvaise organisation des systèmes de santé ont été incriminés pour expliquer le "demi-échec" des manœuvres de prévention et de dépistage.

## **PARTIE IV**

# **Les facteurs interférant avec le raisonnement médical en pratique**

## NOTULE INTRODUCTIVE

Si la recherche médicale et l'élaboration des connaissances relèvent de l'application des principes de rationalité et de la méthodologie scientifique (voir les chapitres "Épistémologie générale" et "Épistémologie médicale"), divers facteurs perturbent l'application de cette conception scientifique de la biopathologie en pratique quotidienne. Les définitions du normal et du pathologique, du sain et du malade font intervenir des jugements et des décisions qui relèvent de consensus. Il est à noter aussi que les relations de causalité ne peuvent pas toujours être démontrés car elles nécessiteraient des expérimentations sur l'humain que l'éthique ne saurait tolérer. De plus, les problèmes qui sont posés aux médecins ne sont pas tous d'ordre strictement biopathologique. La frontière entre ce qui relève du biologique, du psychologique et du social (au sens très large du terme) n'est pas toujours commode à distinguer. Les prises de positions philosophiques, religieuses, politiques et les contraintes économiques peuvent orienter la façon d'envisager les problèmes et surtout de les résoudre.

De ce fait, la conception de la médecine comme une branche des sciences naturelles qui ne nécessiterait qu'une simple application des connaissances scientifiques aux patients est remise en cause à de nombreuses occasions lors de ce passage à l'exercice même de la médecine.

Elle est d'abord remise en cause par certains médecins ou groupes de médecins développant ou appliquant des dogmes en contradiction avec les conceptions scientifiques de la médecine et ses concepts épistémologiques. Divers groupes de pression agissent pour faire admettre des pratiques médicales inspirées de moyens diagnostiques et surtout thérapeutiques qui ne relèvent pas des concepts scientifiques évoqués ci-dessus.

La non-acceptation de la médecine scientifique par certains patients est de constatation quotidienne. Il est facile d'observer que la conception d'une médecine trouvant ses explications dans des spéculations théoriques, et non sur l'étude rationnelle de données factuelles, est toujours fortement ancrée dans beaucoup d'esprits. Comme la pratique médicale ne peut s'exercer que sur des patients consentants, une contradiction des concepts entre soignants et soignés peut poser de difficiles problèmes.

Les controverses sur l'explication des troubles mentaux sont de bons exemples de ces tensions contradictoires. Les discussions théoriques y sont encore vives et la vogue de l'antipsychiatrie en est le témoin le plus évident (voir le chapitre "Cas complexes"). La proclamation d'hypothèses ou de spéculations est d'autant plus écoutée qu'elles sont séduisantes et qu'elles s'opposent au caractère mesuré de l'exposé des données validées. L'affirmation pure et simple a d'autant plus de chances d'être écoutée qu'elle est véhémement.

C'est une éducation appropriée des médecins et du public qui réduira progressivement, il faut l'espérer, ces perturbations et dérives du raisonnement médical en pratique.

Diverses considérations interviennent ainsi dans l'application du raisonnement utilisé par la médecine scientifique lors du passage à l'exercice pratique :

- *Les considérations liées au concept de santé.* La définition de la santé par l'O.M.S. : "état de bien être physique, mental et social", ne concerne que de façon partielle seulement la médecine. Le raisonnement médical, dans la mesure où il a pour objet d'atteindre l'excellence des performances de la médecine dans le domaine du biologique, peut participer au meilleur état de bien être physique et parfois mental mais il est, par lui-même, et quels que puissent en être les souhaits des médecins, dépourvu de toute prise sur le bien être social qui relève d'autres institutions.
- *Les considérations d'ordre philosophique et religieux.* L'une des caractéristiques de l'espèce humaine est la réflexion qu'elle a menée sur la signification du monde et sur sa propre signification. Cette réflexion a abouti à des conceptions métaphysiques philosophiques et religieuses. Les brassages de populations font qu'une diversité de croyances a été apportée, à l'heure actuelle, dans la plupart des pays dotés d'une médecine scientifique (voir aussi le chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels"). Ces croyances peuvent s'opposer à la conception scientifique de la médecine et entraîner des attitudes d'opposition à certaines investigations ou propositions thérapeutiques. Cela entraîne la nécessité d'une réflexion sur les limites de la modification nécessaire du raisonnement médical idéal pour s'adapter à ces situations, ne serait-ce que pour éviter des risques de conflits. Pour cela, sans renoncer à la nécessaire rigueur de conception des conduites idéales du bon raisonnement médical, il est parfois nécessaire de savoir adapter son attitude en fonction des opinions avancées par les patients. Il est assez souvent possible de finir par obtenir par la persuasion une adhésion à la conduite la plus souhaitable.
- *Les considérations d'ordre éthique.* La réflexion sur les fondements du comportement souhaitable de la communauté médicale fait l'objet d'un chapitre particulier (voir le chapitre "L'éthique du raisonnement médi-



cal"). Si les lois de bioéthique s'imposent, certaines recommandations peuvent entraîner des discussions. Les clauses de conscience doivent de toute façon être accordées à ceux qui ne veulent pas participer à certaines actions.

- *Les considérations d'ordre familial et socioculturel.* C'est un vaste sujet qui ne peut être que très rapidement évoqué (voir aussi le chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels"). La famille représente le groupe où se débattent habituellement en premier les préoccupations de santé. Les décisions médicales majeures peuvent en être sérieusement affectées. Viennent ensuite les divers groupes sociaux : amis, relations, groupes professionnels, etc. où les avis et conseils prodigués déterminent parfois des comportements qui n'étaient pas ceux initialement prévisibles.
- *Les considérations d'ordre légal, déontologique, réglementaire ou en rapport avec les décisions de la jurisprudence.* Depuis très longtemps l'exercice médical est confronté à des contraintes d'ordre légal, et des certificats, déclarations de maladies, vaccinations obligatoires, participations à des expertises, etc. sont fréquemment réalisés en pratique quotidienne. Actuellement ces contraintes s'alourdissent. Aux obligations déontologiques et légales habituelles se sont ajoutées, depuis les dernières décennies, les données de la jurisprudence qui s'oriente de plus en plus vers des exigences strictes et, en particulier, l'obligation faite aux médecins de fournir, y compris en pratique de soins, en vue du consentement éclairé, des informations complètes sur les explorations et les traitements envisagés et la preuve que cette information est donnée. Cette obligation tout à fait conforme aux exigences de l'éthique risque cependant d'entraîner une perversion des raisonnements médicaux. Si le praticien perçoit cette obligation comme un danger trop pesant de poursuites possibles, il risque d'en être inhibé et de ne plus faire bénéficier ses patients des soins qu'il aurait jugés, en son for intérieur, plus adaptés à la situation. En effet, il aura tendance à vouloir se mettre à l'abri de poursuites et risquera alors de ne plus avoir la même sérénité dans les conseils qu'il peut être amené à donner<sup>(1)</sup>.
- *Les considérations d'ordre social et/ou politique.* Le médecin peut être amené à participer, à titre personnel ou institutionnel, à une action dans le domaine social. Il lui est demandé de définir des états où les personnes qu'il est appelé à examiner présentent des conditions pathologiques relevant des rapports avec le travail ou la précarité, ou statuer sur des sujets qui sont porteurs de handicaps ou de déficiences qui les diminuent et/ou les rendent vulnérables. Il est certain que, dans ce domaine, la frontière entre l'engagement personnel et l'action médicale est assez difficile à tracer. Certains s'engagent personnellement profondément dans les actions de type "humanitaire", tandis que d'autres voient dans l'exécution d'une médecine de qualité uniformément distribuée l'égalité de traitement appliqué et l'équité requises. Il est difficile de se prononcer sur ces attitudes qui ne relèvent plus de la qualité du raisonnement médical mais de l'usage qui en est fait. Le médecin peut aussi, en tant qu'individu, participer à une action dans le domaine politique. Les aspects précédemment évoqués permettent de comprendre combien le médecin est confronté aux influences diverses d'ordre socioculturel, familial, religieux et éthique. La politique n'échappe pas à cette confrontation. Les médecins ont le droit et le devoir de participer à la vie de la cité et de l'état. Mais la neutralité s'impose dès lors qu'il s'agit de donner des soins à des patients. Le raisonnement médical ne peut souffrir d'entorse à cette obligation éthique.
- *Les considérations d'ordre économique ou financier.* L'exercice de la profession médicale implique une confrontation permanente avec des contraintes économiques. Le chapitre "Protection sociale et économie de la santé" sera consacré à ces contraintes. La mise en œuvre d'un bon raisonnement médical doit jouer dans ce cadre un rôle fondamental. Si les examens complémentaires ou traitements prescrits sont parfaitement adaptés à la situation, s'ils ont été prescrits en tenant compte de toutes les considérations scientifiques et du meilleur rapport coût-efficacité (c'est à dire avec la meilleure efficacité), les conflits avec les "financiers" de la santé ne devraient pas exister.
- *Les considérations d'ordre psychologique et psychiatrique.* Les problèmes épistémologiques de la psychiatrie ne sont pas encore tout à fait réglés. Les dissonances persistantes entre les théories avancées, soutenues par des "écoles de pensée" différentes, l'intervention de psychologues et/ou de psychothérapeutes non-médecins rendent le problème particulièrement délicat. La prise en charge psychologique est un élément très important dans la démarche de soins (voir le chapitre "Cas complexes, psychologie et psychiatrie").

<sup>(1)</sup> Le "principe de précaution", qui veut que l'on ne prenne aucun risque dès lors qu'il peut se produire un événement défavorable, est totalement paralysant en médecine car les cas où on peut affirmer que l'on dispose d'une certitude absolue sont rarissimes. Au contraire, un certain degré d'incertitude est pratiquement toujours présent. La situation est en train d'évoluer et il est trop tôt pour savoir si l'on pourra établir sans déraison la définition de l'information "appropriée" qui est l'idéal à obtenir. Cela amène à revenir sur la notion du rôle du jugement en médecine et aux difficultés que les progrès de la recherche peuvent ainsi susciter lorsqu'il s'agit de les mettre en pratique (voir le rôle du jugement aux chapitres "Raisonnement appliqué au diagnostic" et "Décision médicale").

- *Les émotions et les états affectifs.* C'est un truisme de noter que les émotions et les états affectifs troublent le jugement des individus. Les médecins n'échappent pas toujours aux modifications de leur comportement que peuvent entraîner des situations impliquant leurs émotions. Soigner un personnage important peut provoquer des excès de précautions. Soigner un proche ou un parent peut devenir impossible pour certains. Il existe, dans ce domaine, une grande diversité de situations. La maîtrise des émotions et de l'affectivité est une qualité qui s'acquiert par un long et parfois douloureux apprentissage. Certains n'y arrivent pas, du moins complètement, et cela explique une partie du refuge dans la technicité considérée comme plus sécurisante...

#### CE QU'IL FAUT RETENIR

- L'application du raisonnement médical ne se résume pas seulement à l'application de connaissances scientifiques à des patients et de nombreux facteurs viennent interférer avec ce schéma élémentaire.
- Les considérations d'ordre philosophique et religieux sont à prendre en compte pour ne pas choquer ceux qui font état, de façon plus ou moins explicite, de leurs convictions.
- Les considérations d'ordre éthique sont les plus anciennement connues dans la médecine des pays occidentaux. Elles ont fait l'objet d'amples développements ces dernières années.
- Les considérations d'ordre familial et socioculturel représentent un facteur perturbateur des relations avec les patients car elles peuvent, parfois, modifier l'acceptation des soins proposés.
- Les considérations d'ordre légal, déontologique, réglementaire s'imposent au médecin et peuvent l'amener à suivre une conduite contrainte. Les considérations en rapport avec les décisions de la jurisprudence ont marqué les dernières décennies et sont en évolution constante. Certaines peuvent encourager une attitude frileuse vis-à-vis de certaines techniques utilisées dès lors qu'elles présentent un risque, même minime.
- Les considérations d'ordre économique ne doivent pas pénaliser les soins aux patients, mais il devient nécessaire que le médecin considère les manœuvres diagnostiques ou thérapeutiques qui se sont révélées avoir la meilleure efficacité au moindre coût.
- Les considérations d'ordre psychologique sont incontournables dans la relation médecin-malade. Elles permettent d'établir une relation optimale pour la prise en charge des patients.
- Le médecin a parfois du mal à échapper, lui-même, aux perturbations de son jugement et de son raisonnement que peuvent entraîner ses émotions et son affectivité.

# Chapitre 17

## L'ÉTHIQUE DANS LE RAISONNEMENT MÉDICAL

### INTRODUCTION

L'éthique fait partie intrinsèque du raisonnement médical du fait même de l'objet de la médecine. En raison du bien que le médecin peut faire à ses patients, la médecine ne saurait se concevoir, dans son essence même, sans une base éthique. Le mot "éthique", qui vient d'Aristote (Éthique à Nicomaque), est le terme désignant la partie de la philosophie qui traite du bien et du mal, et de ce que l'homme doit faire et éviter pour vivre en individu qui se préoccupe de bien faire<sup>(1)</sup>.

L'éthique médicale est la partie de l'éthique qui s'applique à la médecine. \*

Les avancées thérapeutiques des dernières décennies ont créé de nombreuses situations inédites qui ont fait revenir avec insistance les questions suivantes : Est-ce que les nouvelles possibilités "biologiques" offertes par la médecine sont "humainement" valables ? Et/ou quelle est, alors, la bonne attitude à adopter ?

Ces questions ont stimulé des réflexions philosophiques et éthiques qui se situent à un niveau conceptuellement entièrement distinct des thèmes scientifiques de la médecine. Ce concept est celui de *Bien* dont la définition est essentiellement philosophique.

### LES RAISONS D'UNE PRISE EN CONSIDÉRATION ACCRUE DE L'ÉTHIQUE DANS LA MÉDECINE ACTUELLE

#### Raisons historiques

Au xx<sup>e</sup> siècle, les dérives de certains médecins et/ou de certains régimes ont donné lieu à des aberrations monstrueuses. Des expérimentations cruelles, inutiles et létales sur des êtres humains, ou des traitements incompatibles avec la dignité due à la personne humaine, ont notamment été effectuées dans les camps de concentration nazis pendant la dernière guerre mondiale. Elles ont été sanctionnées au procès de Nuremberg en 1947 par un tribunal américain qui a posé les principes et fondements de l'éthique médicale. Par la suite, après la création de l'O.N.U., la déclaration universelle des droits de l'homme du 10 décembre 1948 a affirmé "le droit à la vie de tout individu" et condamné "la torture, les traitements cruels, inhumains ou dégradants".

La déclaration ou Code de Nuremberg, des 19 et 20 août 1947, sur les conditions de l'expérimentation médicale, a été la première des grandes étapes de formalisation d'une éthique médicale de la recherche.

Parmi les nombreuses étapes suivantes, on peut retenir surtout la **déclaration d'Helsinki** de 1964, révisée à Tokyo en 1975 et à Venise en 1983. La **déclaration de Manille** en 1981 traite particulièrement des sujets vulnérables.

<sup>(1)</sup> L'utilisation du terme "Éthique" et non du terme "Morale" ne repose que sur des subtilités. Leur différence vient surtout de l'étymologie : grecque pour "éthique" (de *éthos*), latine pour la "morale" (de *mores*), les deux mots signifiant mœurs. Il existe des discussions sur la différence de signification des deux termes. L'éthique serait d'inspiration plus philosophique alors que la morale serait plutôt normative, considérée comme un ensemble de règles de conduite. Mais d'autres différences ont été mises en avant.

\* L'éthique fait partie du raisonnement médical depuis la naissance "historique" de la médecine européenne dans la Grèce antique. En même temps qu'il posait les fondements d'une médecine rationnelle et dégagée de l'influence magique, au V<sup>e</sup> siècle avant J.C. Hippocrate s'est préoccupé des principes moraux de l'exercice de la médecine (le serment qui porte son nom en est le témoin encore bien vivant). Dans l'antiquité, des philosophes comme Platon et Aristote ont conforté et perpétué l'esprit d'Hippocrate et de son école.

\* Par la suite, la réflexion sur l'éthique de la pratique médicale a suivi une évolution plus lente jusqu'à ces dernières décennies. Avec le développement rapide des progrès thérapeutiques, la médecine s'est retrouvée, alors, détentrice de moyens d'action très importants et variés. D'autre part, la génétique et ses applications sont arrivées à un niveau de performance qui permet des réalisations bénéfiques majeures mais qui permettrait aussi des manipulations d'espèce.

Ces déclarations précisent les grands principes de la réflexion éthique dans le domaine de la recherche biomédicale portant sur l'être humain.

À part les exceptions monstrueuses observées dans certaines circonstances historiques et mentionnées ci-dessus, les acteurs de la santé n'ont eu, ni n'ont, en effet, rien à voir avec ces perversions lors de la pratique courante de la médecine, qui s'inspire depuis 2500 ans des principes de l'éthique hippocratique. La résolution des problèmes usuels et la très grande majorité des actions des médecins sont inspirées d'une conception bien opposée et s'inscrivent dans un tout autre ordre d'idées.

Actuellement, le souci des protagonistes de la recherche médicale est surtout de savoir quelle est la meilleure conduite à adopter pour faire une recherche de qualité, tout en respectant les principes d'humanité et en résolvant au mieux les situations humaines en rapport avec la maladie. Les problèmes débattus aujourd'hui posent plutôt la question de la reconnaissance du "meilleur bien".

## Les avancées de la technologie biologique

Les avancées de la technologie biologique des dernières décennies ont eu des retombées pratiques extraordinaires sur les possibilités d'actions médicales. Mais certaines ont posé des problèmes éthiques majeurs. \*

Certains de ces débats ont été portés devant l'opinion publique. Cela a donné lieu à une réflexion très large, à laquelle ont participé, outre les médecins et les autres acteurs des professions de santé (confrontés aux demandes et aux interrogations des patients potentiels ou des personnes concernées par les possibilités offertes), les philosophes, les hommes politiques, les personnalités religieuses, les juristes, les économistes, les journalistes...

## Réflexions venant de la société

Les médecins ont longtemps été les seuls à se préoccuper d'éthique médicale, avant qu'il leur soit reproché, dans les années 1960, d'être paternalistes et d'exercer un pouvoir excessif.

Quoi qu'il en soit, l'intérêt des philosophes, religieux, scientifiques, juristes, etc. pour le sujet a, ensuite, été déterminant dans la modifications des usages et probablement des conceptions de l'éthique médicale.

Le mouvement a pris une grande ampleur en Amérique du Nord (États-Unis et Canada) où on a vu apparaître une structure nouvelle, le comité d'éthique.

Progressivement, des comités d'éthique ont été mis en place et ont atteint un haut degré de développement et de réflexion dans la plupart des pays concernés par les recherches biologiques et les avancées qu'elles ont rendues possibles. Enfin, la législation a codifié et imposé un certain nombre de précautions éthiques à observer (voir plus bas "Lois de bioéthique").

## PRINCIPES, PROBLÈMES FONDAMENTAUX ET CHAMPS DE L'ÉTHIQUE

### Principes de l'éthique

La notion de "BIEN", si elle est perçue implicitement ou intuitivement par les humains, n'a pas la même signification suivant les individus, les groupes sociaux ou religieux, les philosophes ou les intellectuels qui en débattent. Ses origines peuvent, à la rigueur, être esquissées à partir d'une revue des périodes historiques de l'humanité, mais son évolution jusqu'à l'époque actuelle a subi tellement d'influences qu'il serait impossible de tenter une ébauche de rappel dans le cadre de cet ouvrage (où seules quelques notions très élémentaires pourront être évoquées).

\* À l'occasion des problèmes soulevés par les manipulations génétiques, la réflexion éthique a été sollicitée sur ce qu'il est licite de faire, quelles limites assigner aux modifications des espèces et aux dangers de créer des organismes échappant au contrôle de leurs créateurs. La conférence qui s'est tenue dans l'état du New Hampshire en Juin 1973 a abouti à la publication d'une lettre appelant à un moratoire partiel sur ces recherches. Puis la conférence qui s'est tenue en Californie à Asilomar en Février 1975 a essayé de préciser la nature de ces risques mais a conclu que les travaux pouvaient reprendre moyennant des mesures de confinement physiques et biologiques. Des règles précises furent édictées pour les États-Unis et adoptées dans d'autres pays, dont la Grande Bretagne et la France.

\* Les controverses à propos des "clonages" d'animaux et les prises de position sur l'évocation des possibilités de clonage humain, techniquement envisageable, sont des illustrations récentes des problèmes éthiques que posent les avancées fulgurantes des recherches biologiques. L'utilisation d'embryons humains dans un but de recherche est également très débattue. Les problèmes soulevés sont de diverses natures. Ils vont de la tentative de maîtrise de l'organogénèse à partir de cellules totipotentes à l'utilisation d'embryons congelés et ne servant plus l'objet d'un projet parental dans les centres de procréation médicalement assistée, pour pratiquer des cultures voire une expérimentation sur les tissus obtenus. L'interruption des grossesses et ces utilisations d'embryons humains dans un but de recherche amènent à poser la question de la définition de la personne humaine potentielle.

## Les fondements de l'éthique : l'origine des théories éthiques

L'éthique se situe dans une réflexion philosophique qui prend son inspiration dans plusieurs sources.

### Diversité des points de vue

La multiplicité des écoles philosophiques et des auteurs qui ont donné leur point de vue sur le sujet, la diversité des religions qui ont toutes des codes moraux sont autant de sources de la définition de la notion du bien. Il est aussi clair que, outre la prise en compte des coutumes, les lois de la plupart des nations civilisées ont, en arrière plan, la base morale du bien qu'elles sont censées avantager et gratifier et du mal qu'elles sont censées condamner et punir.

Les mœurs traduisent une conception des valeurs morales qu'adopte un groupe social dont la taille peut aller de la famille ou de celle d'un isolat à celle d'une nation et même de continents. Les concepts mis en jeu sont parfois source de conflits, comme le prouvent de nombreux exemples historiques.

### Les variations au cours du temps et des civilisations

S'il existe une parenté de préoccupations communes sur la conduite humaine, il faut bien constater que les conclusions des réflexions menées et les convictions qu'elles ont induites ont grandement varié au cours des temps. Dans le monde occidental, il existe une certaine homogénéité des réflexions philosophiques, mais la plupart des réflexions philosophiques et religieuses intriquées ont donné naissance à controverses. Leurs défenses ont même donné lieu à des guerres entre groupes ou entre nations.

On peut faire la même constatation concernant les pays et les zones d'influence où elles se sont développées au cours de l'histoire. Bien que l'étude de l'évolution de l'humanité ait permis de noter l'apparition quasi simultanément de diverses civilisations porteuses de leurs valeurs, ces dernières se sont définies de façon fort différente d'une région à l'autre, voire au sein d'une même zone géographique.

### L'évolution dans le monde occidental

La tolérance n'est pas la caractéristique principale de beaucoup des conceptions philosophiques dont sont issues les notions de "BIEN". Faut-il, pour cela, renoncer à tenter de définir quelle est la conduite juste et s'abandonner à une attitude de démission devant la définition des valeurs qui doivent inspirer les conduites humaines ? Toute l'histoire de l'humanité est marquée, au contraire, par la réflexion sur ces valeurs et sur la façon de se mettre à l'abri de l'arbitraire psychologique des individus et social des dirigeants.

La réflexion philosophique et éthique a connu dans le monde occidental, depuis son instauration par les penseurs grecs, un grand développement. Platon et Aristote, qui restent les figures emblématiques de cette réflexion, soulignaient déjà les difficultés de l'entreprise quand ils déclaraient que "la vertu ne peut s'enseigner" et que "c'est par l'accomplissement des actions justes qu'on devient juste".

Les philosophes grecs et latins qui leur ont succédé, épicuriens et stoïciens notamment, ont contribué à la réflexion éthique. Les théoriciens chrétiens comme saint Augustin dans l'Antiquité, saint Thomas au Moyen Âge y ont largement participé, bien que l'on puisse faire remarquer que le christianisme est une religion et non une philosophie. Le XVIII<sup>e</sup> siècle a vu se développer les réflexions des philosophes des Lumières. La contrepartie politique et historique de cette évolution s'est manifestée par la révolution de 1789 et par un mouvement généralisé qui a mis en place la démocratie et des valeurs laïques, en France et dans de nombreux pays d'Europe et dans le monde.

Au XX<sup>e</sup> siècle, le recul de la religion, qui avait pendant des siècles inspiré la réflexion sur les valeurs morales, a eu un effet de mise en place de systèmes philosophiques ou idéologiques qui ont, à leur tour, connu un déclin. Mais on peut retenir qu'une réflexion éthique s'est poursuivie et évoquer particulièrement les travaux et réflexions de Jonas, Lévinas, Rawls, Ricoeur. Parallèlement, des mouvements d'opinion de grande ampleur motivés par les conflits du siècle, ont abouti à l'adoption de déclaration des droits de l'homme par l'O.N.U., déclaration dont les principes ont été acceptés par la grande majorité de la communauté internationale.

### Principes généraux d'éthique : les conceptions dans le monde occidental

L'éthique médicale n'étant qu'une facette de l'éthique en général, il est nécessaire de faire un rappel des concepts fondamentaux de celle-ci. Il est évident que, dans le cadre de cet ouvrage, seules quelques notions très élémentaires peuvent être schématiquement présentées. Et, comme dans tout ce qui est schématique, des distorsions, pour ne pas dire des erreurs, sont presque obligatoires.

L'objectif de l'éthique peut être atteint par diverses voies qui réalisent des façons différentes d'aborder le problème. En effet, la notion de bien est éminemment subjective et chaque individu peut avoir sa sensibilité et l'exprimer. Cependant, si on veut tenter de s'accorder sur une base commune, il faut envisager les données existantes et essayer d'en tirer les fondements de la réflexion pour une conduite éthique sur laquelle le plus grand nombre s'accordera pour tenter d'y puiser sa conduite.

Les premières questions qui ont été posées sont : Comment concevoir la norme de l'existence humaine ? et : Devons-nous tirer cette norme d'un principe transcendant ou d'une autre source ?

**L'hétéronomie** se définit comme un mode de pensée où la norme morale est extérieure à l'homme. Très schématiquement, dans cette conception qui a été développée par les philosophes grecs de l'Antiquité, l'homme n'est considéré que comme partie de la nature et il en suit les lois en les harmonisant pour que le système politique soit juste.

**L'autonomie** se définit comme un mode de pensée où la norme morale est établie par l'homme lui-même. Tout aussi schématiquement, cette conception amène à admettre, selon l'analyse qu'en a faite Kant, que l'homme, pour être l'auteur de la loi à laquelle il obéit, doit trouver la causalité de sa loi dans la liberté.

Ces deux conceptions ont été critiquées et remises en cause par la suite.

Les problèmes ont aussi été considérés sous l'angle de la *conception* des principes par lesquels sont définies les conduites et qui s'appliquent plutôt au droit (et aux règles).

**La déontologie** se définit par ce qu'oblige à faire le droit. Le droit détermine ce que l'on doit faire et ne pas faire. Deontos en grec signifie : ce qui doit être, ce qu'impose le devoir. Ce que l'on doit faire est ce qui est conforme à ce qui a été décidé comme étant le bien.

**La téléologie** se définit par le but : le juste qui est le fondement du légal. Telos en grec signifie la finalité, le but. La finalité détermine la conduite et est ce qu'on doit faire parce que cela est juste.

Si les distinctions dans les termes sont relativement accessibles, il est parfois difficile de voir comment concilier ces points de vue. On peut, par exemple, être amené à faire quelque chose d'injuste bien que le droit vous y oblige. Il est aussi possible de penser que ce qui est le juste et ce qui est le bien devraient coïncider.

En définitive, les questions fondamentales paraissent être : Existe-t-il une morale commune ? Comment elle définie ? Il est bien malaisé de tenter de répondre à ces questions car les concepts directeurs sont parfois très délicats à définir. Et il est possible que la solution passe par la casuistique, amenant, alors, à juger les situations individuellement.

## LES FONDEMENTS DE L'ÉTHIQUE MÉDICALE

### Éthique médicale et société

Le développement de l'éthique médicale s'inscrit dans le mouvement général des représentations et des valeurs de la société. De même que la science médicale vit en osmose avec les sciences fondamentales et les sciences biologiques, de même l'éthique médicale se trouve en interaction avec les représentations, les valeurs et les comportements de la société qui l'entourne.

De ce fait, l'éthique médicale trouve ses fondements dans la réflexion qui concerne l'éthique générale. Mais elle doit aussi tenir compte des réalités biologiques (connaissances et applications éventuelles) que la science médicale génère et qu'elle est la seule à pouvoir appréhender dans toutes ses dimensions et toutes ses conséquences.

Un exemple de cette interaction est celui de l'interruption volontaire de grossesse où s'intriquent étroitement des données philosophiques et religieuses, confrontées à une demande sociologique des mouvements féministes, mais aussi à une demande individuelle de femmes en état de détresse psychologique ou matérielle, et

qui font l'objet de la sollicitation des médecins. Des décisions politiques et législatives ont conclu le débat. La recherche sur l'embryon pose des problèmes proches, car la définition de la "personne humaine" est sous-jacente à ces deux situations et met en jeu les mêmes réflexions philosophiques, et religieuses. La révision annoncée des prochaines lois de bioéthiques va traiter, au moins en partie, de ces sujets.

## Une réflexion plus spécifiquement médicale

La réflexion éthique propre à la médecine et aux médecins s'est développée plus lentement que les progrès des connaissances médicales qui l'ont un peu "pris de court" pendant les dernières décennies du xx<sup>e</sup> siècle.

L'efficacité des méthodes de réanimation a fait poser les premiers problèmes. Les survies artificielles obtenues par les assistances respiratoires et la réanimation ont permis des survies malgré la destruction irréversible du cerveau posant, dès lors, le redoutable problème de la définition de la mort et de la cessation de la réanimation. De nombreuses autres questions se sont posées au fur et à mesure que les possibilités techniques et toutes les sortes d'avancées de la recherche médicale ont vu le jour, nécessitant, chacune, une solution spécifique.

À titre d'exemple et sans avoir la prétention d'être complets, nous donnons ci-dessous une liste de quelques problèmes majeurs tels qu'ils se sont posés et continuent d'ailleurs à se poser.

### Exemples de problèmes posés à l'éthique médicale

#### La recherche sur l'humain

- La recherche sur l'embryon et sur les tissus embryonnaires et les possibilités évoquées de clonage thérapeutique\*
- La procréation médicalement assistée et ses modalités
- Les prélèvements à visée scientifique et en vue des greffes d'organes et de tissus
- Les conditions des greffes d'organes et de tissus

#### La réanimation et sa poursuite ; le problème de son interruption

- Les phases terminales des maladies mortelles et leur accompagnement ; les soins palliatifs
- Le problème de l'euthanasie

#### La relation médecin-malade

- L'information et le consentement
- La décision médicale confrontée à l'autonomie du patient
- Le refus de soins
- Les soins aux malades mentaux
- Les soins aux mineurs

#### Les choix en santé publique

\* Le clonage humain est interdit, mais on peut prévoir que les débats ne sont qu'à leurs débuts.

L'augmentation très rapide de l'efficacité de techniques biologiques et médicales a modifié les concepts de la vie et de la mort ainsi que les rapports des médecins avec les individus et la société (voir plus bas) et entraîné une réflexion des médecins sur les résultats de leur action, sur les situations créées, et sur les problèmes que ces états posent.

Le rôle des médecins et des biologistes s'est manifesté par l'intermédiaire de groupes de réflexion parfois multidisciplinaires et de sociétés savantes. Le conseil de l'ordre des médecins a été amené à redéfinir la déontologie, et un nouveau code a vu le jour en 1995. Les organismes de recherche et de publications médicales, par l'intermédiaire de leurs comités scientifiques ou de lecture, ont participé à ces réflexions.

## LES PRINCIPES DE L'ÉTHIQUE MÉDICALE

L'historique de l'éthique médicale a permis de voir quelles circonstances et quelles conditions d'environnement ont amené l'émergence et l'adaptation des concepts sur ce sujet : les événements de la dernière guerre mondiale, certaines perversions de la psychiatrie, puis, par la suite, les progrès de la biologie, ont nécessité

la réflexion éthique qui continue et se développe de nos jours. Il est donc difficile de définir précisément les principes d'une discipline qui s'est constituée, et continue à progresser, sous la contrainte des événements et au gré des circonstances.

Les principes de l'éthique générale sont-ils applicables à l'éthique médicale ? La part de conviction est variable suivant qu'on s'inspire de la religion, de convictions philosophiques, ou que l'on s'efforce simplement de respecter la loi. L'éthique médicale s'est développée en Amérique du Nord dans les années 60 et a été menée essentiellement par des théologiens. Étant en avance, les États-Unis et le Canada ont, de ce fait, mis au point des principes qui sont devenus les plus notoires.

### Les principes "nord-américains"

Les principes venus d'Amérique du Nord sont donc les mieux connus. Ils sont au nombre de quatre. Leur esprit imprègne les réflexions, non seulement des médecins, mais aussi des autres acteurs de la santé, et les patients ainsi que le reste de la population, et ils influencent particulièrement les législateurs et les juristes.

**Bienfaisance et non-malfaisance** sont deux notions complémentaires. On doit faire, à ses patients, le plus de bien possible en leur donnant les meilleurs soins et éviter de leur nuire. Aucun médecin ne paraît avoir un vocation différente. C'est ce qu'on enseigne en même temps que la science médicale, c'est ce que les médecins apprennent au cours de leurs études et c'est la préoccupation essentielle de tout médecin digne de ce nom.

**Autonomie du patient** : en Amérique du nord, elle met le patient sur un pied d'égalité avec le médecin dans une sorte de discussion de contrat de soins. Il est certain que cette position est à l'opposé de ce qu'il est convenu d'appeler le paternalisme médical. En fait, celui-ci ne s'est exercé, si tant est qu'il ait existé à l'état pur, que vis-à-vis de sujets diminués que les médecins estimaient devoir conseiller et orienter. Et il est non moins vrai que les médecins se préoccupaient à un niveau variable des souhaits de leurs patients. La notion d'autonomie entraîne la notion de consentement. Pour cela, l'information sur l'état pathologique, sur les examens à pratiquer et sur les traitements proposés en est le corollaire obligé. À l'autonomie du patient doit correspondre l'équivalent du côté du médecin : c'est-à-dire qu'il doit pouvoir être libre de donner ou non ses soins, sauf cas d'urgence, et à condition d'assurer la continuité des soins. La loi lui fait alors, comme à tout citoyen, le devoir de porter secours à toute personne en danger.

**Équité** : cette expression, qui traduit le terme américain "Justice", correspond à la dimension sociale de l'exercice de la médecine et de la dispensation des soins. Il s'agit de l'accès à des soins de qualité pour tous.

**Fidélité** : cette notion correspond à un engagement réciproque du patient pour observer son traitement, du médecin pour assurer le suivi de l'état.

Ces conceptions nord-américaines se traduisent par une application de la dispensation de l'information qui risque de déshumaniser les rapports médecin-malade. Il n'est pas certain que le bilan soit aussi bénéfique que le voudrait les bonnes intentions déclarées.

### La situation française et européenne

La situation est difficile à apprécier et la "traversée de l'Atlantique" des principes nord-américains pose sûrement des problèmes. La France est un état laïque et républicain imprégné de concepts probablement plus nuancés par rapport aux motivations des théologiens nord-américains. Les autres nations d'Europe ont des cultures et des constitutions différentes malgré leur appartenance à la communauté européenne. Bien que les différences aient tendance à s'atténuer, elles sont très sensibles. L'exemple de la Hollande, qui a une attitude vis-à-vis de l'euthanasie bien plus souple que le reste de ses voisins, témoigne de sensibilités différentes.

## LES DOMAINES D'INTERVENTION DE L'ÉTHIQUE MÉDICALE

Du fait notamment de l'évolution constante de la recherche médicale et de ses applications, les domaines d'intervention de l'éthique médicale sont de plus en plus vastes.

## Les sciences dites "fondamentales" et la recherche afférente sur l'animal

Les sciences biologiques "fondamentales" posent des problèmes éthiques, écologiques et humains (modification des patrimoines génétiques, manipulations du vivant, action sur l'environnement) que nous avons en partie évoqués plus haut et sur lesquels nous ne reviendrons, à l'occasion, que dans la mesure où ils impliquent les activités professionnelles médicales proprement dites.

Le biologiste ne peut se désintéresser des conséquences de ses créations sauf à jouer les apprentis sorciers. Les recherches entièrement innovantes dans le domaine de la biologie moléculaire, de la génétique et de la procréation sont menées d'abord sur l'animal. Déjà à ce niveau des restrictions morales se sont manifestées.

La médecine expérimentale (entendue au sens originel d'expérimentation animale) pose, elle-même, des problèmes éthiques. Les conditions d'expérimentation sur l'animal, la création de modèles d'affections permettant l'étude expérimentale des équivalents humains, les études sur l'animal de différentes procédures à transférer à l'homme (chirurgie expérimentale et thérapeutiques expérimentales diverses, etc.) en sont les principaux exemples. Toutes ces méthodes peuvent entraîner des douleurs, des troubles très pénibles et la mort des animaux. Il est indispensable d'en éviter les souffrances et il faut se préoccuper de savoir s'il existe des méthodes alternatives permettant d'obtenir des enseignements aussi utiles ou d'en inventer si cela est réalisable.

### La recherche médicale sur les humains

La recherche sur les être humains fait intervenir des considérations éthiques en rapport avec l'établissement scientifique du savoir médical. Il existe une interaction entre la recherche et l'éthique car ce sont l'observation et l'expérimentation qui ont permis et permettent l'établissement scientifique du corpus des connaissances médicales. La critique de ces deux grandes approches de l'acquisition des connaissances montre des situations éthiques différentes.

#### L'observation simple

L'observation ne pose guère de problèmes éthiques dès lors qu'elle est menée en respectant la dignité des sujets sur lesquels elle porte et qu'on leur fournit l'information qu'il est nécessaire de leur donner. Elle est à l'origine de l'établissement de la classification des maladies et de la nosologie. Elle suscite la réflexion sur les concepts des maladies et la façon de les aborder. En revanche, dans certains cas, le niveau de la preuve scientifique obtenue par l'observation ne peut pas toujours être aussi satisfaisant qu'il serait souhaitable et cela pose le problème éthique inverse de l'application de procédures insuffisamment valides et de l'acceptation d'un niveau plus grand d'incertitude.

#### L'expérimentation et la recherche sur les humains

L'expérimentation sur les humains pose beaucoup de problèmes éthiques bien, qu'en dernier ressort elle soit souvent la seule à pouvoir fournir aux futurs patients les fruits d'une meilleure science médicale et donc de meilleurs soins. L'expérimentation est, ainsi, devenue indispensable - sauf conditions particulières<sup>(2)</sup> - pour se plier aux règles strictes de la démonstration scientifique des hypothèses.

La loi dite "Loi Huriot-Serusclet" (voir plus bas) a strictement déterminé les conditions de mise en œuvre des expérimentations cliniques, et notamment des essais thérapeutiques. Ces recherches sont soumises à l'accord préalable des Comités Consultatifs de Protection des Personnes dans les Recherches Biomédicales (CCPPRB). Elles comportent en outre l'obligation d'information des patients et le recueil, signé, de leur consentement "éclairé". \*

\* L'obligation de l'obtention d'un consentement signé pose parfois des problèmes embarrassants car elle oblige à révéler de façon uniforme à tous les participants de l'essai des informations qui nécessiteraient des révélations plus nuancées et appropriées à l'état psychologique de certains sujets. De plus elle est assez difficilement applicable dans les situations d'urgence et surtout chez les enfants et les incapables majeurs ainsi que certains patients diminués dont on est obligé d'apprécier la capacité de consentement. Si celle-ci est insuffisante cela oblige à accepter, comme pour les mineurs et les sujets incapables, le consentement des représentants.

<sup>(2)</sup> Il est nécessaire de savoir que certaines disciplines posent de difficiles problèmes méthodologiques. Par exemple, il est difficile de concevoir, bien que cela ait pu être pratiqué, un protocole comportant une intervention chirurgicale "placebo" pour démontrer la validité (voir le chapitre "Élaboration des thérapeutiques") d'une manœuvre chirurgicale !

Il est certain que l'application précoce de l'expérimentation à toutes les procédures en cours d'étude permettrait une appréciation beaucoup plus satisfaisante et fiable des résultats à en attendre que celle obtenue par la façon assez brouillonne dont étaient, ou sont même actuellement encore, conduits certains essais thérapeutiques et certaines mises en œuvre de procédures diagnostiques.

Le problème de la qualité des recherches et de leur publication est très important. Sans envisager la fraude, qui existe malheureusement, le fait de conduire une mauvaise recherche a pour conséquence la publication et la dissémination d'informations et de nouvelles connaissances fausses, et elle peut avoir des répercussions fâcheuses sur la santé des patients auxquels ces dernières pourraient être appliquées. Ces publications sont éthiquement inadmissibles. C'est la responsabilité des comités de lecture des revues et ouvrages scientifiques de veiller à ce que cela ne se produise pas. Ces comités de lecture ne doivent pas plus, c'est évident, être des organismes de censure ni, à l'opposé, des distributeurs de faveurs de publication. La réflexion dans ce domaine, ainsi que dans le domaine de l'information du public, mérite d'amples développements.

#### La dualité "observation-expérimentation" : un problème éthique à deux facettes

Il est certainement plus confortable, sur le plan moral, de ne pas avoir recours à l'expérimentation humaine. Il est tentant de dire : puisque l'observation sévèrement critiquée est capable de faire faire des progrès pourquoi recourir à l'expérimentation ? Il est possible de penser qu'il est, même, plus éthique d'agir ainsi. Toutefois il y a des arguments contraires :

- D'abord, il faut faire remarquer que l'observation, étant incertaine et reposant sur un consensus obtenu après des discussions, voire des polémiques, peut être faussée par la personnalité des intervenants. L'argument d'autorité peut imposer des notions fausses (il en existe de nombreux exemples). En matière thérapeutique, la tentation serait grande de proclamer haut et fort que sa propre méthode est la meilleure !!! La mauvaise foi est possible aussi.
- Ensuite, la valeur des conclusions finales est beaucoup moins rigoureuse. En effet, l'expérimentation est plus performante du point de vue de la rigueur des conclusions qu'on peut en tirer et elle fait avancer plus rapidement les connaissances.

*D'où l'argument opposé : on ne peut se fier à des convictions non étayées et seule l'utilisation de ce qui est démontré scientifiquement est éthique. Mis à part certaines conditions particulières où l'apport de preuves se heurte à des obstacles insurmontables, il devient donc inacceptable, sur le plan éthique, de se contenter de preuves insuffisantes.*

La méthode scientifique la plus rigoureuse possible, et en particulier l'expérimentation, devant être appliquée toutes les fois qu'elle est réalisable, on pourra considérer que tout ce qui n'a pas été établi de façon scientifique doit être mis en cause, et s'interroger sur la légitimité de son application aux patients : est-il éthique d'appliquer à des patients des manœuvres dont la validité est incertaine ? Il a d'ailleurs pu être dit : "Tout ce qui n'est pas scientifique n'est pas éthique."

Mais le problème n'est pas aussi simple. Le caractère de démonstration irréfutable des études scientifiques, même expérimentales, est remis en cause par les insuffisances méthodologiques de certaines études, et par le fait que bien des travaux négatifs ne sont pas publiés, "biaisant" ainsi l'analyse des résultats et l'opinion globale que peuvent se faire les lecteurs. Ces restrictions peuvent rendre fragiles les conclusions de certaines expérimentations en principe "indiscutables".

D'autre part, des pratiques scientifiquement prouvées peuvent ne pas être éthiquement satisfaisantes ou même répréhensibles, comme l'utilisation délictueuse des données de certaines connaissances scientifiques médicales pour des pratiques comme le dopage, des interventions superflues, la non-prise en compte des possibles effets iatrogènes des manœuvres thérapeutiques. Et donc certains ont pu dire alors : "Tout ce qui est scientifiquement réalisable peut ne pas être éthique".

Enfin, l'expérimentation humaine provoquant des réticences chez les médecins eux-mêmes<sup>(3)</sup>, il est compréhensible qu'elle en provoque, à plus forte raison, chez les patients. Il est certain que le recrutement des volontaires pour des essais serait lourdement réduit si, utilisant une terminologie "grand public", on posait la question du consentement sous la forme brutale : "Voulez-vous servir de "cobaye" pour une expérience médicale ?"

<sup>(3)</sup> Certains médecins peuvent considérer avec une certaine irritation le caractère futile de certaines recherches. Quant aux "retardataires", il est probable que l'explication insuffisante et une pédagogie de mauvaise qualité sont responsables de leur incompréhension pouvant les mener à une éventuelle opposition.

## Les soins "au quotidien"

La prise en compte de l'éthique au quotidien nécessite un changement de paradigme. Le "colloque singulier" qui était le modèle de la relation médecin-malade, basé sur une confiance réciproque, a été remis en cause sous la pression combinée de plusieurs facteurs :

- L'accroissement des possibilités thérapeutiques a fait naître des situations nouvelles, où les décisions sont lourdes de conséquences, et demandent une participation de l'entourage professionnel, familial et social.
- L'allongement de la durée de vie a fait apparaître des besoins nouveaux de santé et des situations de dépendance qui impliquent une participation médicale et sociale accrue.
- Les problèmes économiques ont atteint un niveau critique et ils entraînent des choix politiques importants.
- L'environnement culturel s'est modifié. Une critique du comportement des médecins a mis en cause ce qu'on désigne sous le nom de "paternalisme médical" et exige une autre démarche. Une certaine suspicion a pu même se développer et elle entraîne une augmentation des procès intentés aux médecins et aux hôpitaux.
- Le mouvement "éthique" ne pouvait que se manifester et se développer. Comme déjà mentionné, il l'a fait initialement aux États-Unis et au Canada, puis s'est étendu aux autres pays occidentaux.

L'exercice quotidien se trouve donc de plus en plus profondément marqué par l'apparition de nouvelles contraintes éthiques. Pour le médecin, cela se traduit par le respect de principes éthiques d'exercice se basant essentiellement sur la bonne qualité de la médecine appliquée, qui doit utiliser des connaissances entretenues et mises à jour, et sur le respect de la dignité humaine. Sur ce dernier aspect, le code de Déontologie (qui s'impose à tous les médecins) précise d'ailleurs un certain nombre de règles :

- dans son article 2, "le médecin, au service de l'individu et de la santé publique, exerce sa mission dans le respect de la vie humaine, de la personne et de sa dignité" ;
- dans son article 7, "le médecin doit écouter, examiner, conseiller ou soigner avec la même conscience toutes les personnes, quels que soient leur origine, leurs mœurs et leur situation de famille, leur appartenance ou leur non-appartenance à une ethnie, une nation ou une religion déterminée, leur handicap ou leur état de santé, leur réputation ou les sentiments qu'il peut éprouver à leur égard. Il doit leur apporter son concours en toutes circonstances. Il ne doit jamais se départir d'une attitude correcte et attentive envers la personne examinée."

## Les dilemmes de l'application : la résolution de conflits entre points de vue visant également le bien

On peut résumer la difficulté des problèmes en disant que l'éthique médicale est confrontée au dilemme de savoir où se trouve la solution la plus satisfaisante quand il s'agit de définir le bien. Car il est relativement facile de savoir ce que serait le mal. Par contre il est difficile de dire quelle sera l'attitude qui assurera le meilleur effet sur le patient.

L'exemple de l'information à délivrer aux patients en est une illustration. Dans le cas d'une affection mettant en jeu le pronostic vital, doit-on asséner ce pronostic au patient et/ou à la famille dans toute son intégralité ou doit-on ménager une zone de réserve, voire dissimuler la vérité à un sujet estimé trop fragile sur le plan psychologique ? *Mentir n'est pas bien. Mais semer le désespoir et l'angoisse ne vaut guère mieux.* Si l'on veut envisager cette situation en toute bonne foi, on pourra dire qu'il faut délivrer au patient l'information "appropriée", en sachant ménager les réponses en fonction des demandes du patient, en sachant réserver un sursis pour délivrer les informations de la façon la moins brutale possible. Mais cela nécessite une maîtrise des connaissances afférentes à la maladie et du pronostic de celle-ci, ainsi que de la psychologie du sujet, qui sont toutes assez difficiles à déterminer avec certitude. On ne peut prévoir quelles seront les réactions ultérieures d'un entourage qui peut estimer que l'information était inadaptée.

Les précautions à observer pour faire des prélèvements d'organes, les soins de fin de vie sont d'autres exemples des résultats de la réflexion éthique au quotidien.

## LOIS DE BIOÉTHIQUE ET ORGANISMES OFFICIELS

Les mouvements de pensée qui ont promu la philosophie de l'éthique et de l'éthique médicale ont débouché sur un certain nombre de décisions législatives, de décrets et de mesures réglementaires :

## Lois et décrets fondateurs

De nombreux textes de loi et décrets sont parus depuis la loi du 7 juillet 1949 autorisant la pratique de la greffe de cornée grâce aux prélèvements sur des donneurs volontaires.

Nous ne ferons ici que citer les principales lois et décrets fondateurs régissant l'éthique médicale :

- Loi n° 76-1181 du 22 décembre 1978 (dite "Loi Caillavet") relative au prélèvements d'organes.
- Loi n° 88-1138 du 20 décembre 1988 (dite "Loi Huriet") relative à la protection des personnes qui se prêtent à des recherches biomédicales.
- Loi n° 94-654 du 29 juillet 1994, relative au don et à l'utilisation des éléments et produits du corps humain, à l'assistance médicale à la procréation et au diagnostic prénatal.
- Décret n° 97-555 du 29 mai 1997 relatif à la création du CCNE ou Comité Consultatif National d'Éthique pour les sciences de la vie et de la santé.
- Décret n° 95-1000 du 6 septembre 1995 relatif au code de déontologie médicale.

On attend, actuellement, la révision de la loi de 1994 qui aurait du intervenir au terme du délai de cinq ans après sa première parution

## Le Comité consultatif national d'éthique pour les sciences de la vie et de la santé ou CCNE

Un certain nombre de décrets ont créé puis modifié le comité consultatif national d'éthique pour les sciences de la vie et de la santé. Le décret n° 83-132 du 23 février 1983 a été à la base de la création du premier Comité Consultatif National d'Éthique pour les sciences de la vie et de la santé. Ce décret a été modifié par la suite. La dernière modification est celle que le Président de la République a faite par Décret n° 97-555 du 29 mai 1997.

Le Comité consultatif national d'éthique pour les sciences de la vie et de la santé a pour mission de donner des avis sur les problèmes éthiques soulevés par les progrès de la connaissance dans les domaines de la biologie, de la médecine et de la santé, et de publier des recommandations sur ces sujets.

L'adresse, la composition, la présentation, les publications, la contribution et les textes fondateurs du CCNE sont disponibles sur Internet à l'adresse : <http://www.ccne-ethique.org>.

Cet organisme ne conseille donc pas directement les chercheurs et encore moins les praticiens, mais il indique les orientations éthiques qu'il juge bonnes dans le développement des sciences biologiques en vue de leur application médicale essentiellement.

## Quelle aide peut attendre le médecin des organismes de réflexion éthique pour ses décisions ?

Le médecin est souvent confronté à des problèmes d'éthique pour lesquels il doit prendre des décisions aussi importantes parfois que celles que pose l'exercice de la discipline médicale proprement dite. D'autre part, une réflexion éthique est menée dans divers milieux et dans divers groupes. Cette réflexion éthique, telle qu'elle est actuellement élaborée, peut-elle être utilisée par le praticien et comment ? De quelle aide dispose-t-il ?

Les organismes officiels n'ont pas pour vocation de donner des avis sur des cas particuliers. Le CCNE se prononce sur les problèmes majeurs des "révolutions" que la biologie permet d'introduire en médecine.

Les CCPRB n'ont à se prononcer que sur les problèmes de recherche et les essais thérapeutiques.

- Par contre, diverses formations de recherche et/ou d'enseignement en éthique ont été créées :
- soit dans les groupes hospitaliers comme l'espace éthique de l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris ou d'autres formations en province ;
  - soit dans des universités comme à Paris V (DEA du Laboratoire d'Éthique Médicale et DIU d'éthique avec formations doctorales) ou DU's répartis dans diverses villes de facultés ;
  - soit à l'INSERM.

Il existe de nombreux autres centres de réflexion et d'enseignement d'éthique médicale. Toutes ces formations produisent des publications et délivrent des enseignements. Certaines sont consultables sur Internet.

Il persiste aussi des comités d'éthique locaux qui sont dus à des initiatives régionales mais qui n'ont pas de reconnaissance officielle

## POUR EN SAVOIR PLUS

Seuls les ouvrages ou articles ayant trait à l'éthique médicale sont cités. Les ouvrages de philosophie et d'éthique générale seront facilement retrouvés dans les ouvrages cités

- AMBROSELLI C. L'éthique médicale. Paris, PUF, 1988.
- CASTIEL D. Ethical reflections on the tools of economic analysis in medicine: age, justice and equality. Cah Sociol Demogr Med 1993 ; 33 : 321-43.
- Code de Déontologie. Édition 1995.
- Groupe d'auteurs sous la direction d'E. Hirsch. Espace éthique. Éléments pour un débat, années 1995-1996. Paris, Doin-Assistance Publique-Hôpitaux de Paris.
- Groupe d'auteurs sous la direction d'E. Hirsch. Espace éthique. Éléments pour un débat, Travaux 1997. Paris, Doin-Assistance Publique-Hôpitaux de Paris.
- Groupe d'auteurs sous la direction d'E. Hirsch. Espace éthique. Éléments pour un débat, Droits de l'homme et pratiques soignantes. Paris, Doin-Assistance Publique-Hôpitaux de Paris.
- FAGOT-LARCEAULT A. L'homme bioéthique. Pour une déontologie de la recherche sur le vivant. Paris, Maloine ; 1985.
- Académie Nationale de Médecine. La médecine saisie par le principe de précaution (Extraits du Bulletin de l'Académie nationale de médecine). Paris, Académie Nationale de Médecine, 2000.
- Groupe d'auteurs sous la direction de Gold F., Choutet P, Burfin E. Repères et situations éthiques en médecine. Paris, Ellipses, 1996.
- GRUNDSTEIN-AMADO R. An integrative model of clinical-ethical decision making. Theor Med 1991 ; 12 : 157-170.
- HERVÉ C. Éthique médicale ou bioéthique. Paris, L'Harmattan 1997.
- HERVÉ C. Éthique de la recherche et éthique clinique. Paris, L'Harmattan, 1998.
- HERVÉ C, WOLF M. Relation médecin-malade : soigner ou se protéger ? La traversée de l'Atlantique par la responsabilité médicale. Presse Méd 1998 ; 27 : 1387-1389.
- HIRSCH E. Médecine et éthique. Le devoir de l'humanité. Paris, Cerf, 1980.
- HOERNI B L'autonomie en médecine Nouvelles relations entre les personnes malades et les personnes soignantes. Paris, Payot, 1991
- MATTEI JF, RAUCH C. Génétique et société: implications éthiques et légales. Rev Prat 1997 ; 47 : 182-186.
- RAMEIX S. Fondements philosophiques de l'éthique médicale. Paris, Ellipses, 1996.

## CE QU'IL FAUT RETENIR

- Le mot "éthique" qui vient d'Aristote désigne la partie de la philosophie qui traite du bien et du mal, et de ce que l'homme doit faire pour vivre en individu qui se préoccupe de bien faire. L'éthique se situe dans une réflexion philosophique. La notion du "BIEN", si elle est perçue implicitement, n'a pas la même signification suivant les individus, les groupes sociaux ou religieux, les philosophes ou les intellectuels qui en débattent. Mais c'est un phénomène qui intéresse de plus en plus de personnes dans le monde occidental.
- La démarche médicale s'inscrit dans une conduite volontariste et s'oppose à bon nombre de phénomènes biologiques naturels. Elle vise au bien des patients et, à ce titre, l'éthique fait partie intrinsèque du raisonnement médical.
- L'éthique médicale subit les influences de la société et de ses mœurs du fait qu'elle est confrontée à des patients qui en font partie et qu'elle est appliquée par des médecins qui en font aussi partie. Elle est largement débattue, non seulement par les penseurs et les médecins, mais aussi par diverses autres personnes qui s'intéressent à la santé soit à titre personnel soit pour des raisons professionnelles ou sociales.
- L'éthique médicale intervient à tous les niveaux et dans tous les champs de l'activité médicale. L'application éventuelle à l'homme des progrès importants des dernières décennies dans le domaine de la réanimation, de la biologie moléculaire, de la manipulation génétique et dans les possibilités de procréation ou d'utilisation d'embryons a fait surgir des problèmes touchant le caractère licite de ces utilisations en médecine et le problème de la définition de la personne humaine. L'expérimentation humaine, réalisée surtout dans les essais thérapeutiques, pose aussi des graves problèmes. Les rapports avec les lois, la déontologie professionnelle et la jurisprudence ont subi des changements majeurs.
- Dans la recherche elle-même, on doit exiger une rigueur accrue car les conséquences de publications défectueuses peuvent être graves.
- L'exercice quotidien se trouve profondément marqué par l'apparition de nouvelles contraintes. Pour le médecin, cela se traduit par le respect de principes éthiques d'exercice se basant essentiellement sur la bonne qualité de la médecine appliquée, qui doit utiliser des connaissances entretenues et mises à jour, et sur le respect de la dignité humaine.
- Le raisonnement médical qui était, auparavant, déterminé presque exclusivement par le corps médical doit tenir compte de cette évolution qui inclut la participation d'autres partenaires intervenants. Le raisonnement doit ainsi tenir encore plus compte que par le passé des principes de *bienfaisance* et son corollaire de *non-malfaisance*, d'*autonomie* du patient dont le consentement, éclairé par une information appropriée, doit être obtenue, d'*équité* dans la distribution des soins et de *fidélité* dans le contrat moral soignant-soigné qui a tendance à remplacer le classique "dialogue singulier". Mais il ne faut pas que l'intervention des tiers, plus ou moins compétents et diversement intentionnés, paralyse l'activité et les initiatives médicales, ce qui, in fine, se retournerait contre la qualité de la médecine délivrée et la dynamique du progrès médical.
- Des lois adaptées et des instances de réflexion sont la traduction institutionnelle de cette importance prise par l'éthique médicale.

## Chapitre 18

# LA COMMUNICATION MÉDECIN-MALADE ET SES DÉTERMINANTS CULTURELS

### INTRODUCTION

À côté des facteurs psychologiques et sociaux qui influent sur la genèse, sur le ressenti des troubles et sur leur expression dans certaines maladies (voir chapitre "Cas complexes, psychologie et psychiatrie"), il existe une influence profonde de facteurs proprement culturels sur la morbidité exprimée et sur la relation médecin-malade. Le patient, en raison de son éducation ou de son appartenance à un groupe culturel ou ethnique, ressent, exprime et surtout interprète ses troubles organiques ou psychologiques de manière très différente. Pour que sa maladie soit reconnue et éventuellement prise en charge par son entourage ou la communauté, le malade utilise un vocabulaire, une symptomatologie qui est spécifique de la culture de sa communauté. Selon son appartenance culturelle ou communautaire, le patient attendra également une prestation bien différente de ses soignants.

Cette dimension culturelle dans la relation avec le malade est importante pour le praticien. Une communication appropriée, une compréhension réciproque sont en effet nécessaires à la qualité de la prise en charge qu'il sera amené à proposer, qu'elle soit diagnostique, pronostique, thérapeutique, ou de prévention... Une communication convenable permettra notamment au médecin de comprendre les motivations profondes du patient (voir chapitre "Démarche générale de prise en charge" et chapitre "Raisonnement appliqué à la thérapeutique"). En permettant aussi l'adhésion, la "compliance" du patient aux actions proposées par le médecin, une bonne communication augmentera les chances de succès de la prise en charge, des soins dispensés et par là-même la satisfaction finale du patient vis-à-vis de celle-ci. Elle réduira aussi la possibilité de recours à des médecines "alternatives" ou "parallèles".

La communication médecin-malade peut être difficile dans plusieurs situations. Dans certains cas, le malade ou le médecin ne "jouent pas le jeu" de la relation et de l'échange, par défiance ou manœuvre pour le premier, par désintérêt ou manque de temps principalement pour le second. Le plus souvent, cette communication est difficile parce que les conceptions (et les interprétations) du médecin et du malade concernant la symptomatologie présentée divergent profondément. Nous ne discuterons dans ce chapitre que ces dernières situations en renvoyant le lecteur aux chapitres "Démarche générale de prise en charge", et "Éthique" pour les premières.

### REPRÉSENTATIONS ET COMPORTEMENTS EN MATIÈRE DE SANTÉ ET DE MALADIE DANS LE MONDE OCCIDENTAL

Les "représentations" de la maladie concernent tout aussi bien sa causalité, sa signification, ses facteurs déclenchants, son mécanisme, son évolution et ses traitements possibles. S'agissant du médecin, ces représentations sont ou devraient être celles de la médecine scientifique validée (il y a néanmoins de nombreuses exceptions, voir le chapitre "Différentes façons de penser en médecine").

S'agissant du malade, la diversité est beaucoup plus grande. Dans de nombreuses enquêtes, les sociologues et les anthropologues ont montré qu'il existe aujourd'hui, dans les sociétés occidentales, des représentations de la santé et de la maladie bien différentes de celles de la médecine, et qui sont partagées par des groupes culturels ou ethniques plus ou moins larges. *Leur connaissance est importante car c'est souvent l'interprétation que les patients font de leur troubles qui détermine leur façon de les exprimer.*

### Les représentations "communes" en matière de santé et de maladie

Les représentations "communes", c'est-à-dire celles du patient "tout-venant", en matière de maladie sont très diverses. Ces représentations et les comportements en dérivant peuvent être séparés en catégories ou "modèles culturels" dont beaucoup peuvent être éclairés par l'histoire médicale et sociale.



**Représentation** : idée, conception plus ou moins structurée et consciente que se fait un individu ou un groupe d'individus sur un fait, un événement, ou un sujet donné.

**Culture** : ensemble des représentations, valeurs, croyances et comportements partagés par un groupe d'individus de caractéristiques données (âge, sexe, origine géographique, appartenance ethnique, etc.) qui sont modelés par la vie commune, l'éducation, les médias de communication, etc. Il existe une culture bretonne, une culture estudiantine, une "culture d'entreprise", etc.

**Modèle ou catégorie culturelle** : association fréquente et cohérente de représentations et de comportements dans un groupe d'individus.

### Prééminence des représentations d'origine médicale

À toutes les époques, le savoir médical a été diffusé dans la population au contact de la médecine, et a influencé les conceptions que les patients, les "profanes" se faisaient de la santé et de la maladie. Aujourd'hui, les représentations communes sont donc influencées par celles de la médecine scientifique. Toutefois, cette influence est plus ou moins marquée selon la fréquence des contacts que les sujets auront eus avec la médecine scientifique, soit à l'occasion de précédentes maladies et de précédents soins (vécus personnellement ou dans l'entourage), soit par les médias dont certains vulgarisent largement des thèmes médicaux, soit en raison de leur intérêt personnel.

En Europe, et en France en particulier, une longue et forte implantation d'une médecine savante (l'ancienne médecine, qui est devenue progressivement scientifique à partir du XVII<sup>e</sup> et surtout au XIX<sup>e</sup> siècle) explique que le "savoir commun" soit encore marqué par des représentations et conceptions que la médecine scientifique a rejetées au cours de son évolution.

On pourrait multiplier les exemples de ces théories médicales abandonnées qui sont conservées ou "recyclées" dans le savoir commun. Citons seulement certaines représentations de la *médecine humorale* : les "mauvaises humeurs", les tempéraments bilieux, flegmatiques..., le "rhume de cerveau" et le rhumatisme qui ont la même étymologie ("écoulement d'humeurs"), qui restent très présentes dans la société, et ce plus de deux siècles après leur abandon définitif par la médecine scientifique.

La conception d'une *hérédité pathologique*, et d'une transmission familiale des maladies, a précédé de très loin - elle existe depuis les temps bibliques - la compréhension des lois de l'hérédité au XIX<sup>e</sup> et des maladies génétiques au XX<sup>e</sup> siècle. L'explication de nombreuses maladies par une hérédité familiale - et en dehors de toute imputabilité génétique -, voire la mise en avant d'une "dégénérescence de la race" est encore fréquemment invoquée. Cette conception très ancienne est en effet renforcée aujourd'hui par la découverte des facteurs de susceptibilité génétique pour de nombreuses maladies.

Les explications faisant intervenir un "surmenage" ou un "stress" *psychologique* sont aussi fréquemment invoquées aujourd'hui. Les origines de cette conception sont très anciennes : dès l'antiquité, les "passions de l'âme" ont été regardées avec beaucoup de méfiance par la médecine, de même que le travail intellectuel censé exciter puis affaiblir les "esprits".

Enfin, l'explication des maladies par l'*environnement* et la pollution, les conditions climatiques et météorologiques, la nourriture, les conditions de travail, souvent retenue par l'ancienne médecine hippocratique, est encore fréquemment invoquée par les patients, en dehors de tout contexte où leur rôle est scientifiquement prouvé. Le rôle pathogène de l'environnement et, de manière générale, de la vie moderne, est un lieu commun très ancien et très vivace. Des peurs collectives de grande ampleur et médiatisées, concernant par exemple des aliments empoisonnés ou des appareils électriques "émetteurs d'ondes", sans aucune mesure avec le risque réel encouru, agitent régulièrement notre société.

### Les principaux modèles culturels occidentaux non médicaux de la maladie

Pendant longtemps, et aujourd'hui encore, le savoir médical n'a pas pesé d'un poids identique sur toute la population, expliquant que des représentations de la santé et de la maladie venues d'autres pôles d'inspiration culturelle, notamment de la religion et de la magie, ont été, et restent encore, largement répandues. Elles concernent souvent le *sens de la maladie*.

Les psychologues et sociologues de la santé ont montré que, confronté à une maladie le touchant, le patient se pose presque toujours deux questions : pourquoi ? et pourquoi moi ? Si la réponse médicale, naturaliste et causale, à la première question est généralement acceptée par le malade (elle ne souffre que de contestations minoritaires), la réponse médicale à la seconde, finalement la plus importante à ses yeux, le laisse souvent insatisfait. C'est un sens et pas seulement une cause de la maladie que le malade, - et parfois la société, cherche à obtenir.

Dans cette recherche de signification, allant au-delà des causes auxquelles s'est toujours limitée la médecine les fameuses "causes secondes", le patient a recours à des *modèles interprétatifs différents*. De ce fait, plusieurs modèles interprétatifs ont été utilisés, parfois simultanément et de manière complémentaire à l'explication médicale, pour rendre compte du sens de la maladie. Le destin, la divinité, les forces magiques ont longtemps fait figure de *causes premières* des maladies.

Le *destin*, le *fatum* auquel il faut se soumettre, est parfois invoqué pour expliquer la maladie, en particulier si celle-ci est mortelle. Cette soumission au destin peut entraîner deux comportements parfois associés : le malade peut accepter sa maladie sans se plaindre ou refuser tout soin ou assistance. Ce fatalisme, d'origine très ancienne (les parques tirant le fil de la destinée existent dans toutes les cultures indo-européennes) est toujours présent, bien que très minoritaire.

Pendant les siècles où l'influence chrétienne a été prédominante, la notion de maladie-fatum était incluse dans la conception religieuse : la maladie était envoyée par Dieu aux hommes, en raison de leur nature pécheresse consécutive au péché originel. Dans l'Église chrétienne primitive, la punition des péchés n'était pas individuelle et les fléaux pouvaient s'abattre indistinctement sur le bon ou le méchant. La *culpabilité* et la *punition* individuelle ne s'est imposée qu'après la Réforme catholique (et peut-être aussi à la suite de la rarefaction des grandes épidémies). À partir de cette époque, la vision chrétienne, surtout catholique, attribuée à la maladie une fonction d'avertissement ou de rédemption.

Cette conception de la maladie semble aujourd'hui plus rare que la version "laïcisée" de la culpabilité, où la maladie apparaît comme la conséquence de fautes répétées de l'hygiène de vie : excès sexuels, de table, etc. La notion de *punition collective*, frappant une communauté "souillée" par des boucs émissaires, n'a pas non plus complètement disparu, comme les premières années de l'épidémie de SIDA en ont été le témoin (avec des boucs émissaires différents).

La maladie causée par la *sorcellerie* (un sort jeté par un sorcier), caractéristique d'une représentation du monde où des "forces invisibles" sont partout à l'œuvre et agissent par sympathie, et où ces forces sont potentiellement manipulables par des magiciens et des sorciers, voire par le diable, semble en revanche être devenu un modèle interprétatif plus-rare à la fin du XX<sup>e</sup> siècle où il paraît être limité à certains groupes ethniques.

### Automédication, "médecines parallèles" et modèle consumériste

La gestion par le malade de sa maladie ou l'automédication ne sont pas des phénomènes nouveaux, et on en trouve de multiples exemples célèbres (et mortels...) dans l'Histoire. Elle est actuellement moins sévèrement condamnée, voire même encouragée par les médecins dans certaines maladies chroniques quand une attitude active des malades paraît bénéfique (administration régulée de l'insuline par le diabétique, trinitrine, antalgiques ou antidépresseurs à la demande...). Mais elle aussi souvent pratiquée en dehors de ces contextes par la mère de famille, le constipé ou l'anxieux qui obtiennent de plus en plus fréquemment des médicaments sans prescription. La vente de ces médicaments, dits OTC (pour "Over the Counter") est d'ailleurs encouragée sous la pression des organismes de protection sociale (ces médicaments ne leur coûtent rien) et sont d'ailleurs disponibles en supermarchés dans de nombreux pays.

La fréquence accrue des maladies chroniques et dégénératives et l'incapacité de la médecine scientifique à assurer la *guérison* de ces maladies ont certainement favorisé le développement chez certains malades d'un comportement de "consommateur", qui se traduit soit par l'agrégation à un groupe de malades, soit par l'"essai" de thérapeutiques alternatives offertes par les "médecines parallèles"<sup>(1)</sup>.

Dans les dernières décennies, des groupes ou associations de malades, très semblables aux associations de consommateurs ou "d'usagers", ou aux "lobbies" industriels, ont vu le jour. Ces groupes ont pour objectif d'informer et de défendre les malades, mais parfois aussi d'agir en groupe de pression, pour la commercialisation

<sup>(1)</sup> Ce consumérisme a aussi vraisemblablement été encouragé par les attitudes de refus de l'autorité en général, et de l'autorité de la médecine et du médecin en particulier, qui ont été les cibles de nombreux courants contestataires dans les années 1960 et 1970 (Y. Illich, M. Foucault...).

accélérée d'un médicament ou l'obtention de fonds pour la recherche, par exemple. Des exemples récents (SIDA, migraine, myopathies) témoignent de l'importance croissante du phénomène.

L'ouverture du marché de la Santé aux médecines "parallèles" non scientifiquement validées, dont certaines ont une reconnaissance semi-officielle comme l'acupuncture, l'homéopathie ou l'ostéopathie (voir le chapitre "Différents modes de penser en médecine") encourage probablement ce comportement consumériste des patients. Une "liberté" totale du marché de la santé est d'ailleurs actuellement près d'être obtenue dans plusieurs pays d'Europe. La confiance, très forte dans le monde anglo-saxon, dans la capacité du "marché" et des consommateurs à faire le bon choix parmi les alternatives possibles, n'est certainement pas sans risques dans le domaine de la santé.

À toutes les époques, des charlatans se sont nourris des espoirs et de la crédulité des malades, qui se détournaient de la médecine, soit que celle-ci manquât d'efficacité, soit qu'elle ne satisfît pas leurs attentes. Les nombreuses médecines parallèles actuelles, parfois dotées d'un corpus de doctrines pseudo- ou parascientifiques, mais toujours de stratégies commerciales efficaces, s'adaptent remarquablement aux modes culturels (écologie, folklore...) ou aux courants philosophiques ou religieux antirationalistes, mais exploitent aussi les insatisfactions face à la médecine actuelle, telles qu'elles sont ressenties par une partie des patients consommateurs. Ainsi, les médecines qualifiées de "naturelles" ou de "douces" semblent délibérément prendre à contre-pied ce qui est qualifié de "médecine technologique « proclamée » plus soucieuse de la maladie que du malade" ou supposée telle.

## LES MODÈLES CULTURELS MÉDICAUX DES COMMUNAUTÉS IMMIGRÉES OU MODÈLES "ETHNIQUES"

L'importance dans la plupart des pays occidentaux de l'immigration venue du tiers monde dans les décennies 1950-1970, a contribué à importer des modèles de représentation non occidentaux ou "ethniques" de la maladie. Ceux-ci sont conservés par les communautés immigrées et ont parfois été diffusés dans la population "autochtone". C'est particulièrement le cas en France.

D'une manière générale, on constate que les communautés immigrées gardent leurs représentations et leurs comportements spécifiques, tout en s'acculturant progressivement à leur pays d'accueil. Il en résulte une intrication et une interaction de modèles conceptuels différents d'une grande complexité. Mais le devenir de ces communautés et l'évolution de leurs comportements relatifs à la santé et à la maladie au contact de leur pays d'accueil sont dans l'ensemble mal connus (les ethnologues français se sont plus intéressés à l'évolution locale des pays du tiers-monde au contact de l'occidentalisation, qu'à leurs communautés émigrées, pourtant plus proches d'eux).

Des travaux, la plupart américains portant sur les communautés *Latinos* et asiatiques, et anglais sur les communautés indiennes et pakistanaises, ont cependant révélé une grande diversité des modèles conceptuels mais aussi des interactions avec les cultures locales. La médecine chinoise pratiquée dans une diaspora très solidaire est évidemment très éloignée de celle des *Latinos*, elle-même fort différente des conceptions indiennes ou africaines... La difficulté est particulièrement grande pour l'étude des troubles psychiatriques et des phénomènes qualifiés de conversion ou de troubles somatoformes par la psychiatrie actuelle.

Les seuls traits communs à toutes ces communautés semblent finalement être une gestion plus collective qu'individuelle de la maladie, et la présence constante de guérisseurs reconnus et d'ailleurs consultés en première intention par les malades appartenant à ces communautés.

## IMPLICATIONS POUR LA PRATIQUE QUOTIDIENNE

La diversité culturelle concernant les représentations et les comportements en matière de santé doit être prise en compte dans la pratique médicale quotidienne. Dans certains cas, le système interprétatif ou explicatif du patient peut être en décalage important par rapport à la physiopathologie médicale et contribuer à perturber grandement la relation médecin-malade et la prise en charge du malade. Plusieurs études ont aussi montré que la façon dont le praticien appréhendait le modèle explicatif utilisé par le malade prédisait la qualité de la communication et, par voie de conséquence, la compliance aux mesures prescrites et la satisfaction du patient. Il est en outre nécessaire que le médecin ait une attitude ouverte, de "négociation" selon l'expression de Kleinman, pour faire converger le modèle explicatif du patient avec la conception médicale. Car le souci

du médecin de *garder la maladie*, et nécessairement le malade, *sous contrôle* doit se concilier avec les *impératifs de respect de la culture, de la religion, de l'autonomie du patient* qu'impose l'Éthique médicale (voir ce chapitre).

## D'abord comprendre le ressenti et les représentations du malade

La communication verbale est primordiale pour comprendre le ressenti et le vécu des troubles. Le médecin doit aussi demander au patient comment il comprend sa maladie, puis analyser et éventuellement discuter la logique de cette interprétation (en particulier, la relation de causalité). Il doit aussi s'assurer de la compréhension par le patient du vocabulaire qu'il utilise. Il y a de nombreux exemples d'incompréhension de termes de base comme "pronostic" (confondu avec "diagnostic"), "dépistage" (confondu avec recherche d'extension<sup>(2)</sup>), etc.

Dans certaines situations, une grande attention doit être portée à une communication non verbale. Rappelons que chez certains individus, et surtout dans certaines ethnies, la douleur n'est pas verbalisée et presque inapparente ; chez d'autres, au contraire, le corps sert à exprimer de nombreux sentiments... : chutes ou sanglots ne sont pas du "cinéma" mais un autre moyen d'expression que le médecin doit s'efforcer de décoder.

Cette communication peut s'avérer longue, difficile et même éprouvante, et certainement pas compatible avec des durées de consultations de quelques minutes. Elle doit parfois être complétée ou exclusivement conduite avec un ou des proches. Dans le cas de maladies graves, le problème de la "vérité", du pronostic à révéler ou non<sup>(3)</sup> (voir le chapitre "Éthique") peut être très difficile.

## Ensuite, négocier si nécessaire

Après l'évaluation du ressenti et la compréhension des représentations et du modèle culturel de la maladie du patient par le praticien, la présentation et l'explication de la conception médicale et de ses conséquences, notamment en termes thérapeutiques, doivent être plus simples, et l'acceptation de celles-ci par le malade est plus facile. Habituellement, une solution où les deux modèles (le modèle du patient et le modèle médical) sont présentés comme complémentaires est acceptée (c'est ainsi que la médecine a négocié pendant des siècles avec la religion quand celle-ci influençait profondément les comportements dans la société). Dans certains cas, une négociation plus difficile doit s'engager, avec des concessions plus substantielles de part et d'autre. L'impératif éthique de "faire le bien" tout en "respectant l'autre" peut demander alors de réels talents de négociateur de la part du médecin, qui doit par ailleurs définir des objectifs prioritaires à atteindre.

### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Le patient, en raison de son éducation ou de son appartenance à un groupe culturel ou ethnique, exprime et surtout interprète ses troubles organiques ou psychologiques de manière très différente.
- Cette diversité culturelle de l'expression et de l'interprétation des troubles doit être bien connue du praticien, qui en gagnera une meilleure compréhension des plaintes et des attentes de ses patients. Cela permettra un dialogue plus constructif avec le malade et, de ce fait, une meilleure prise en charge de celui-ci.
- La majorité des représentations communes ou "profanes" sur la santé et la maladie sont d'origine médicale, et peuvent être rattachées à des théories anciennes et rejetées par la médecine scientifique. Certaines représentations se rattachent néanmoins à d'autres sources d'inspiration culturelle, notamment la religion et la magie.
- Dans les dernières décennies, la mise en question de l'autorité médicale, la fréquence accrue des maladies chroniques et dégénératives, et l'incapacité de la médecine scientifique à assurer la *guérison* de ces maladies, ont favorisé la recrudescence chez le malade d'un comportement de consommateur, qui prend plusieurs formes : automédication, associations de malades ou groupes de pression, recours à des "médecines parallèles" ou "alternatives".
- Le souci du médecin de *garder la maladie* et le malade *sous contrôle* doit se concilier avec les *impératifs de respect de la culture, de la religion, de l'autonomie du patient* qu'impose l'Éthique médicale. Dans ce cadre, il paraît ainsi souhaitable que le praticien :
  1. connaisse les principales représentations et le comportement en matière de santé et de maladie de la communauté à laquelle le patient appartient,
  2. tente de comprendre comment le patient raisonne, et de savoir en fonction de quel modèle explicatif le patient se comporte,
  3. discute et négocie avec le patient ou son entourage, pour faire accepter son point de vue et faire mettre en œuvre la prise en charge nécessaire.

<sup>(2)</sup> Dans plusieurs études faites sur le sujet, des patientes auxquels on proposait un "dépistage" du cancer du sein avaient compris qu'elles en avaient réellement un !

<sup>(3)</sup> Par exemple, chez les musulmans traditionalistes, une femme malade ne s'exprime pas directement. Le mari, le frère ou le père sont alors les interlocuteurs obligés du médecin (qui, par ailleurs, ne peut être une femme).

## POUR EN SAVOIR PLUS

- ASTIN JA. Why patients use alternative medicine. Results of a national study. JAMA 1998 ; 279 : 1548-53.
- CARRILLO JE, GREEN AR, BETANCOURT JR. Cross-cultural primary care : a patient-based approach. Ann Intern Med. 1999 ; 130 : 829-34.
- EVANS DA et al. Frames and heuristics in doctor-patient discourse. Soc Sci Med 1986 ; 22 : 1027-34.
- GREENHALGH T et al. Health beliefs and folk models of diabetes in British Bangladeshis : a qualitative study. BMJ 1998 ; 316 : 978-83.
- HELMAN CG. Communication in primary care : the role of patient and practitioner explanatory models. Soc Sci Med 1985 ; 20 : 923-31.
- HERZLICH C, PIERRET J. Malades d'hier, malades d'aujourd'hui. Paris, Payot, 1991.
- KLEINMAN A, EISENBERG L, GOOD B. Culture, illness, and care : clinical lessons from anthropologic and cross-cultural research. Ann Intern Med. 1978 ; 88 : 251-8.
- NATHAN T. La folie des autres. Traité d'ethnopsychiatrie clinique. Paris, Dunod, 1986.
- PATCHER LM. Culture and clinical care. Folk illness beliefs and behaviors and their implications for helath care delivery. JAMA 1994 ; 271 : 690-4.
- ZEMPLENI A. Entre "sickness" et "illness" : de la socialisation à l'individualisation de la médecine. Soc Sci Med 1988 ; 27 : 1171-82.

# Chapitre 19

## LA PROTECTION SOCIALE ET L'ÉCONOMIE DE LA SANTÉ

### INTRODUCTION

Comme on l'a vu dans les précédents chapitres, le raisonnement médical appliqué à la prise en charge du patient ne peut faire abstraction des conditions de la relation médecin-malade. Or, nous avons vu que cette dernière est fortement influencée par des facteurs culturels (voir chapitre "La relation médecin-malade et les facteurs culturels") et qu'elle est encadrée par des normes éthiques (voir chapitre "Éthique"). Le mode d'exercice médical et les conditions financières de cet exercice, et plus généralement l'organisation de protection sociale, interviennent aussi fortement dans cette relation médecin-malade. *Ce que le médecin peut faire est fortement déterminé par ce que le patient (ou la société) voudra ou pourra payer.*

La dimension économique de la médecine a toujours été importante quels qu'en soient le type d'exercice, la nature et les conditions d'administration des soins médicaux. L'accroissement massif des dépenses de santé, puis des déficits sociaux à partir des années soixante-dix, a suscité un intérêt accru pour le coût de la médecine et de la santé.

Deux types de réponse bien différents ont été apportés à cette question du coût de la santé et de son financement. D'une part, une réponse "comptable" et institutionnelle de l'État et des organismes en charge de la protection sociale, visant à limiter les dépenses en agissant d'abord sur l'offre de soins et la régulation des tarifs, puis, plus récemment, sur les pratiques. D'autre part, une réponse scientifique, grâce à l'émergence d'une nouvelle discipline, l'économie de la santé. Celle-ci a élaboré des méthodologies adaptées au champs de la santé : les études "médico-économiques", puis a commencé à accumuler des données qui se révèlent bien plus pertinentes pour le médecin que celles, traditionnelles, fournies par la comptabilité analytique, notamment hospitalière. Les études médico-économiques sont d'ailleurs de plus en plus utilisées pour la mise au point de recommandations de pratique et pour décider de la diffusion ou pérennisation de technologies ou manœuvres médicales.

Dans ce chapitre, nous rappellerons brièvement l'organisation de la protection sociale en France et ses conséquences sur la pratique avant de présenter, également brièvement, les principes et les principales réalisations, récentes ou attendues, de l'économie de la santé. Nous verrons surtout dans quelle mesure et comment ces aspects économiques et de protection peuvent entraîner, à terme, un infléchissement des pratiques médicales.

### L'ORGANISATION DU SYSTÈME DE SOINS ET DE PROTECTION SOCIALE FRANÇAIS

#### Aperçu des dépenses de santé et protection sociale en France

La France consacre à la santé près de 10 % de son PIB (un des plus fort taux au monde), ce qui correspond à plus de 12 000 francs par habitant et par an. La protection sociale contre les risques financiers liés à la maladie est assurée principalement par l'assurance maladie, branche de la Sécurité sociale. \*

Depuis la mise en place de la couverture médicale universelle (CMU) en 2000, la totalité de la population est protégée par l'assurance maladie, le plus souvent sur une base professionnelle ou familiale (actifs et retraités ainsi que leurs ayants-droit). Le régime général est le plus important régime de l'assurance maladie. Il assure les salariés du commerce et de l'industrie ainsi que leurs familles, soit environ 80 % de la population (les autres sont couverts par une multitude de régimes particuliers : le régime agricole, le régime des professions indépendantes...).

\* L'assurance maladie prend en charge 75 % des dépenses de santé, l'État et les collectivités locales 1%, les mutuelles 7%, les assurances privées 3% et les institutions de prévoyance 2%. Le reste (11 %) est financé par les ménages eux-mêmes. 47% des dépenses sont hospitalières, 27% vont aux soins ambulatoires, 20% vont aux médicaments et 6% vont pour les autres biens médicaux et aux transports (Source : Ministère de la santé, 2000)

## Les médecins, leur mode d'exercice et de rétribution

Actuellement, 175 000 médecins environ exercent en France (densité de 3 pour 1000 habitants). Les médecins généralistes représentent environ la moitié des effectifs. 75% des généralistes et 68% des spécialistes ont une pratique libérale. Il existe un *numerus clausus* à l'entrée dans les études médicales. Après 6 ans d'études, les étudiants sont répartis entre ceux qui se dirigeront vers la médecine générale et ceux qui, après avoir réussi au concours de l'internat, se dirigeront vers une spécialité (une réforme en cours doit proposer de nouvelles modalités de recrutement pour la médecine générale et les spécialités).

L'assurance maladie ne restreint ni la liberté de choix des malades, ni la liberté de prescription des médecins. Toutefois, quelques "références médicales opposables" aux médecins ont été mises en œuvre dans le cadre de la "maîtrise médicalisée des dépenses" (voir plus bas). Il est à noter que les généralistes ne jouent pas le rôle d'orienteur dans le système de santé, comme c'est le cas dans la plupart des pays européens, et que le malade peut donc librement accéder aux soins de spécialistes (un système de médecins référents est, cependant, en cours de mise en place).

Les relations entre les médecins et les institutions de tutelle et de financement diffèrent selon qu'ils sont dans le secteur libéral ou dans le secteur public. Dans le secteur public, les modalités de rémunération sont fixées par l'État. Dans le secteur privé, c'est l'assurance maladie qui définit par voie conventionnelle les modes de rémunération des médecins.

Les conventions entre l'assurance maladie et les médecins libéraux ont pour objectif de fixer les règles de la distribution et du paiement des services rendus. Elles sont négociées entre les principaux régimes d'assurance maladie et les syndicats. D'après ces conventions, les médecins doivent facturer leurs prestations selon les tarifs calculés en fonction d'une nomenclature qui classe les différents services ou "actes" dans des groupes désignés par des lettres clés et des tarifs négociés pour chacune des différentes lettres clés. \*

\* Le malade paie le plus souvent au médecin la totalité du coût des soins reçus et obtient ensuite un remboursement, généralement partiel, du régime d'Assurance maladie auquel il est affilié. En fait, il existe de nombreux cas où ce régime prend en charge directement les frais engagés à hauteur du remboursement correspondant (tiers-payant). Cette pratique est courante en cas d'hospitalisation, on peut également la rencontrer en matière d'achats de médicaments. Les sommes remboursées aux malades sont calculées en fonction des tarifs ou des prix négociés et d'un pourcentage, le ticket modérateur. Ce ticket modérateur est plus élevé pour les soins ambulatoires (30% pour les soins de médecins), et en matière de médicaments de confort (60%) que pour les soins hospitaliers (25%). Dans certaines conditions, il y a l'exonération du ticket modérateur pour une des 31 "affections de longue durée", pour certains actes et traitements spécialisés à l'hôpital et pour l'hospitalisation supérieure à 30 jours mais également grossesse, accident du travail, pensionné de guerre, etc. Il existe également un "forfait journalier" pour les patients admis à l'hôpital.

## La maîtrise des dépenses, les RMOs

Les politiques de maîtrise des dépenses de santé se sont longtemps focalisées sur le contrôle de l'offre de soins (*numerus clausus*, carte sanitaire), l'instauration de procédures de financement a priori de certaines activités (enveloppes globales pour les hôpitaux, objectifs annuels pour la biologie, les soins infirmiers, les cliniques privées), le contrôle des tarifs et les prix, enfin la restriction de la prise en charge de certains soins et biens médicaux. Les nombreux plans de désengagement de l'assurance maladie se sont traduits par l'augmentation de la participation financière du malade, le déremboursement de certains médicaments, etc. Depuis 1980, les conventions incluent un volet sur la maîtrise des dépenses de santé. Celle de 1993 a intégré la "maîtrise médicalisée", et l'opposabilité de références médicales visant à rationaliser les pratiques médicales (RMO).

Les recommandations pour la pratique clinique (RPC) existent dans de nombreux pays. Elles sont élaborées, en France, par l'agence nationale d'accréditation et d'évaluation en santé (ANAES). La méthode d'élaboration repose sur la "sélection, la synthèse et l'analyse objectives de la littérature médicale par un groupe de travail multidisciplinaire et multiprofessionnel, chargé d'élaborer les recommandations au terme d'une prise en compte de l'avis d'experts également multiprofessionnels et multidisciplinaires" (ANAES). Les RPC de l'ANAES peuvent être trouvées sur le site de l'ANAES : <http://www.anaes.fr>.

Les références médicales opposables (RMO) sont des références de pratique clinique (RPC) élaborées par l'ANAES et choisies par les signataires de la convention médicale (assurance maladie-syndicats médicaux) et susceptibles d'être opposables aux médecins (libéraux) prescripteurs, qui peuvent être contrôlés (a posteriori) et sanctionnés financièrement en cas d'écarts constatés. Les médecins doivent indiquer sur l'ordonnance et la

feuille de soins si l'acte qu'ils effectuent rentre dans le cadre d'une référence ou non. Le système d'opposabilité comprend trois critères : la gravité, la fréquence et l'incidence financière des écarts. La sanction financière est prononcée par un comité paritaire (des partenaires conventionnels). Il existe environ 250 RMOs.

Les RMOs qui ont été retenues correspondent pour la plupart à des pratiques soit scientifiquement totalement infondées, soit devenues obsolètes. Par exemple, la RMO consacrée aux marqueurs des cancers du sein et colo-rectal met en cause des pratiques basées sur la confusion entre l'utilité (fondée) de marqueurs pour le suivi et le pronostic, et l'utilité (infondée) de ces marqueurs pour le diagnostic et plus encore le dépistage (qui seul est retenu dans le texte) :

- Il n'y a pas lieu de doser l'antigène carcino-embryonnaire ou l'antigène Ca15.3 dans le dépistage du cancer du sein.
- Il n'y a pas lieu de doser l'antigène carcino-embryonnaire dans le dépistage du cancer colo-rectal.
- Il n'y a pas lieu, dans le cadre des bilans de dépistage, chez les sujets sans antécédents de cancer et asymptomatiques, de doser plusieurs marqueurs tumoraux.

Les RMOs donnent souvent l'impression, comme dans l'exemple précédent, d'être très grossières et d'"enfoncer des portes ouvertes". Elles ont surtout l'inconvénient d'avoir amalgamé deux problèmes réels mais de nature différente : les erreurs de prescription (liées habituellement à un manque de connaissances théoriques et qui devraient être sanctionnées par une obligation de formation) et le coût des investigations et des soins eux-mêmes. Leur faible nombre et les difficultés pratiques de leur mise en œuvre en ont de toute façon beaucoup limité l'impact.

En milieu hospitalier, les RMOs ne s'appliquent pas. Mais leurs praticiens ne sont pas à l'écart des contraintes économiques et financières, bien au contraire. Avec le système du budget global, et sa stagnation d'une année à l'autre, le financement des innovations (examens complémentaires, thérapeutiques) se fait, sauf exceptions (par exemple, les antiprotéases pour le traitement du SIDA), à moyens constants. Des arbitrages délicats doivent être faits, et c'est le rôle des "commissions d'évaluation" et des "commissions des finances", émanations des institutions médicales représentatives (Commissions Médicales d'Établissement) et de structures spécialisées comme le Comité d'évaluation et de diffusion des innovations technologiques (CEDIT) à l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris d'aider à réaliser ces arbitrages. Des arguments scientifiques, comme les résultats d'études médico-économiques, peuvent alors être utilisés pour la décision de diffuser ou non une nouvelle technique (et parfois, d'en supprimer une autre, obsolète ou jamais validée).

## L'ÉCONOMIE DE LA SANTÉ

L'économie a pour objet l'allocation des ressources dans le but de produire des biens et des services. Toutefois, dans la mesure où les ressources sont toujours limitées par rapport aux besoins à satisfaire, elle s'intéresse surtout aux arbitrages qui doivent être faits entre les différents besoins.

*Les biens et services de santé faisant, eux aussi, l'objet de choix et d'arbitrages par les responsables du système de santé et de protection sociale, l'économie de la santé apporte une aide à la définition de leurs actions. Cette aide est habituellement une analyse comparative d'actions possibles, sur la base de leurs coûts et de leurs résultats.*

La présentation brève des principes et des différents types d'études médico-économiques permettra de comprendre leur intérêt mais aussi leurs limites qui, si celles-ci ne concernent pas toujours directement le praticien, l'aideront à comprendre comment les résultats de ces études ont orienté certaines décisions de diffusion ou de suppression de technologies ou manœuvres médicales dans le système de soins.

## Principes des études médico-économiques

Les études médico-économiques s'intéressent simultanément aux coûts et aux résultats des "procédures médicales" (habituellement, des examens complémentaires, thérapeutiques, manœuvres de prévention ou de dépistage). Leur méthodologie est maintenant bien codifiée (elle est présentée, par exemple, dans l'ouvrage de Drummond, Stoddart et Torrance : *Methods for the economic evaluation of health care programmes*).

### Les coûts des procédures médicales

Les coûts directs et parfois les coûts indirects doivent être considérés.

Les **coûts directs** représentent l'ensemble des ressources consommées et des dépenses directement engendrées par la procédure. Ils incluent les coûts liés à la réalisation de la procédure elle-même (matériel, médicaments, salaire médical, etc.) mais aussi les coûts de fonctionnement de la structure où la procédure est réalisée (investissement en bâtiments et en équipements médicaux, coût de l'administration, etc.).

D'une manière générale, les coûts directs peuvent être très variables d'une structure à l'autre (et d'un système de santé à l'autre, ce qui fait que les études réalisées aux États-Unis ou en Europe du Nord ne sont pas transposables en France).

Les **coûts indirects** comprennent principalement la perte de productivité et de revenus liée au temps de travail perdu par le patient ou son entourage à cause de la maladie ou de la participation à une procédure médicale (la durée d'arrêt de travail pour se faire soigner ou se faire dépister).

Ces coûts indirects sont soumis à une grande variabilité d'un patient à l'autre, selon l'âge, le type d'emploi occupé, etc. Ici aussi, et peut-être encore plus nettement que pour les coûts directs, ces coûts varient d'un pays à l'autre.

#### Les résultats des procédures médicales

On distingue les indicateurs d'efficacité, d'utilité et de bénéfice économique des procédures médicales.

L'**efficacité** désigne la capacité de la procédure d'atteindre le but recherché en termes de santé. Ceux-ci sont exprimés en "unités naturelles" pour le médecin. Selon le problème étudié, les indicateurs d'efficacité sont différents : nombre de vies sauvées, nombre d'années de vie gagnées, durée de la maladie, nombre de jours sans douleurs, etc.

L'**utilité** est une notion appréhendée du point de vue du patient. La fonction d'utilité correspond aux valeurs subjectives que le patient accorde aux différents états de santé qu'il vit à la suite de l'administration de la procédure évaluée. Deux approches sont possibles pour évaluer la fonction d'utilité : l'approche psychométrique et l'approche économétrique.

L'approche psychométrique de l'utilité fait appel à des instruments standardisés, comme les questionnaires de "qualité de vie" qui intègrent des mesures de fonctionnement physique, psychologique et social, prises séparément ou agrégées.

L'approche économétrique de l'utilité fait principalement appel à trois méthodes spécifiques : l'échelle visuelle analogique, la méthode de l'équivalent probabiliste ("standard gamble") et l'arbitrage temporel ("time trade off").

Une fois estimée, l'utilité permet de pondérer la durée de vie gagnée grâce à la procédure ou de calculer le nombre de QALYs (pour Quality Adjusted Life Years).

Les **bénéfices économiques** sont l'ensemble des changements induits par le programme dans l'utilisation des ressources économiques. Les bénéfices directs, exprimés en unités monétaires, sont les éco-

\* Il est indispensable de ne pas confondre le "coût" et le "prix". Le prix d'une procédure ne reflète pas le coût que dans les conditions très théoriques d'une régulation par le marché, à l'équilibre entre l'offre et la demande. Dans le domaine de la santé, le nombre et le prix de beaucoup de procédures médicales sont contrôlés (médicaments, nomenclature des actes médicaux, etc.) et les prix observés ne correspondent que rarement au coût réel de la procédure en question.

\* Le principe des méthodes économétriques, couramment utilisées pour évaluer l'utilité est le suivant :

- Avec l'échelle visuelle analogique, le sujet interrogé cote directement l'utilité d'un état de santé qui lui est décrit sur une échelle entre 0 (le pire état de santé possible) et 1 (le meilleur état de santé possible).
- Dans la méthode de l'équivalent probabiliste, on demande au sujet interrogé de choisir entre deux scénarios : soit vivre avec un état de santé donné (qui lui est décrit) de manière permanente, soit prendre un risque (p) de mourir immédiatement et une chance (1-p) de vivre en parfaite santé ; on détermine la valeur "p" pour laquelle le patient est indifférent aux deux termes de l'alternative (c'est-à-dire qu'il pourrait choisir aussi bien l'une que l'autre) ; La valeur de "p" reflète "l'utilité" associée par le sujet à l'état de santé considéré (plus p est élevée, plus faible est l'utilité associée à l'état de santé).
- Dans l'arbitrage temporel, le sujet doit choisir entre soit vivre un temps "tj" dans un état de santé donné, soit vivre un temps "tj" (inférieur à tj) en parfaite santé ; la différence (tj-tj) reflète "l'utilité" associée par le sujet à la vie dans l'état de santé considéré ; plus cette différence est grande, plus faible est l'utilité associée à l'état de santé.

\* La méthode des QALYs, utilisée depuis une vingtaine d'années, pondère le temps passé dans un état de santé par un coefficient rendant compte de l'utilité associée à cet état. Ce coefficient varie de 0 qui correspond au décès immédiat à 1 qui est associé à l'état de santé parfaite. Le QALY est donc une façon de mesurer les résultats d'une procédure par une mesure unique, qui intègre simultanément les effets sur la mortalité et sur la morbidité. Il est donc possible, pour tout sujet, de convertir une suite d'états de santé au cours du temps en un nombre d'années de vie ajustées par leur qualité.

nomies réalisées dans l'utilisation des ressources médicales que permet la procédure évaluée. Les bénéfices indirects concernent les gains de production (journées de travail gagnées) obtenus grâce à la procédure.

## Les différents types d'études médico-économiques

À côté des études purement descriptives, cherchant à évaluer le coût d'une procédure, il existe plusieurs types d'études médico-économiques permettant de comparer les coûts et les résultats de deux ou plusieurs procédures. On distingue les études de minimisation de coût, les études coût-efficacité, les études coût-utilité et les études coût-bénéfice. Elles utilisent des indicateurs de résultats différents, et permettent de répondre à des questions différentes, ainsi que le montre le tableau suivant :

| Type d'étude         | Question posée  | Indicateurs de résultat                                |
|----------------------|---|--|
| Minimisation de coût | Quelle est la procédure la moins coûteuse pour obtenir un résultat donné ?            | Aucun, les résultats sont postulés équivalents.        |
| Coût-efficacité      | Quelle est la procédure la moins coûteuse pour obtenir le meilleur résultat ?         | Nombre de vies gagnées, de complications évitées, etc. |
| Coût-utilité         |   | Années de vie pondérées par la qualité, QALYs          |
| Coût-bénéfice        | Une procédure est-elle économiquement bénéfique à la société ou à un de ses groupes ? | Monétaires   |

#### Les études de minimisation de coût

Dans les études de minimisation de coût, les procédures comparées donnent des résultats identiques ou similaires en termes d'efficacité. Le but de l'étude est de fournir des données pour choisir la moins coûteuse.

#### Les études coût-efficacité

Dans les études coût-efficacité, les procédures sont comparées sous un double point de vue : coût d'une part, efficacité d'autre part, et un ratio coût-efficacité est en général calculé :

$$\text{Ratio C/E} = \frac{\text{Coût procédure 1} - \text{Coût procédure 2}}{\text{Efficacité procédure 1} - \text{Efficacité procédure 2}}$$

La positivité ou la négativité de ratio incitera à choisir l'une ou l'autre procédure. La grandeur (en valeur absolue) du ratio reflétera le coût supplémentaire à dépenser par unité physique gagnée.

Les études coût-efficacité sont les études médico-économiques les plus fréquemment réalisées, et les plus faciles à comprendre. Des résultats tels que "une méthode dépistera 3 fois plus de cas pour le même coût" sont également assez facilement généralisables d'un système de santé à un autre.

#### Les études coût-utilité

L'étude coût-utilité peut être considérée comme une variante de l'étude coût-efficacité dans laquelle l'efficacité, dans son acception médicale, et selon le point de vue médical, serait remplacée par une approche plus globale du résultat en termes de santé, obtenue avec le point de vue du patient. La limite entre les deux types d'étude est d'ailleurs assez floue : les échelles de qualité de vie sont fréquemment utilisées dans une problématique coût-efficacité.

Les indicateurs d'utilité basés sur les préférences subjectives et le mode de calcul des QALYs ne sont pas sans difficultés de mise en œuvre pratique, et sont aussi plus difficilement généralisables.

#### Les études coût-bénéfice

Les études coût-bénéfice utilisent clairement le point de vue et les questions de la société qui sont exprimés exclusivement en termes économiques : "Combien gagne-t-on à faire telle procédure ?". Elles sont plus particulièrement adaptées pour l'évaluation des mesures de prévention ou de dépistage, mais elles sont rarement réalisées.

\* Dans une approche coût-utilité, la méthode des QALYs permet de comparer des actions de santé (prévention, traitement, médicaments...) selon leurs coûts et les nombres de QALYs qu'elles produisent. Ces actions peuvent ensuite être classées dans un tableau (appelé en anglais "league table") en fonction du rapport coût par QALY. De sérieuses critiques ont toutefois été faites à cette méthode et surtout à son utilisation à des fins décisionnelle, comme celles faites dans certains états nord-américains (Oregon en particulier) pour définir les priorités de la politique de santé.

**Exemple fictif**

L'exemple fictif suivant illustre les unités et les ratios utilisés pour les trois types d'étude.

On compare deux stratégies thérapeutiques A et B :

| Stratégie | Coût      | Efficacité : survie | Efficacité ou utilité : qualité de vie moyenne pendant la survie | Utilité : QALY       | Bénéfice monétaire |
|-----------|-----------|---------------------|--|----------------------|--------------------|
| A         | 100 000 F | 5 ans               | 0,7  | $0,7 \times 5 = 3,5$ | 8 MF               |
| B         | 50 000 F  | 3 ans               | 0,9  | $0,9 \times 3 = 2,7$ | 7 MF               |

Le ratio

$$C/E = \frac{100\ 000 - 50\ 000}{5 - 3} = 25\ 000 \text{ F/an}$$

indique que A est plus coût-efficace que B, et qu'il faut dépenser avec A 25 000F supplémentaires par année gagnée.

Le ratio

$$C/U = \frac{100\ 000 - 50\ 000}{3,5 - 2,7} = 31\ 250 \text{ F/QALY}$$

indique que A est plus coût-utile que B, et qu'il faut dépenser avec A 31 250F supplémentaires par QALY gagné.

Le ratio

$$C/B = \frac{100\ 000 - 50\ 000}{8\text{MF} - 7\text{MF}} = 0,05$$

indique que A est plus coût-bénéfique que B, et qu'il faut dépenser avec A 0,05 F supplémentaire pour gagner 1 Franc.

**Exemple réel**

Une étude coût-efficacité a évalué l'intérêt de la vaccination contre l'hépatite B en période post-natale et pendant l'adolescence<sup>(1)</sup>. Les données d'incidence de l'hépatite B et d'efficacité et de coût des méthodes ont été recherchées dans la littérature. Le risque de développer une infection par le virus B au cours de la vie a été estimé à 4,8%. Ce risque serait réduit de 68% par une prévention périnatale (immunoglobulines à la naissance) associée à une vaccination post-natale, contre 45% seulement pour une vaccination pendant l'adolescence. Le coût de la prévention périnatale a été estimé à 164 dollars par vie sauvée, à 1522 dollars si la vaccination a lieu en période post-natale et 3760 dollars par vie sauvée si la vaccination a lieu pendant l'adolescence. Les résultats de l'étude ont plaidé pour une vaccination précoce.

**Utilisation des résultats des études médico-économiques**

Les études médico-économiques sont principalement destinées à être utilisées par les "décideurs" de la diffusion de technologies ou d'actions médicales : autorisation de mise sur le marché (médicaments<sup>(2)</sup>), programme réalisé à l'échelon national ou d'une région (dépistage, prévention). Elles peuvent aussi l'être par des décideurs hospitaliers et par des financeurs de la protection sociale. À ce titre, leurs résultats ne concernent donc pas directement le praticien. Toutefois, ces études sont de plus en plus utilisées pour la mise au point de recommandations de pratique, de "guidelines", d'algorithmes décisionnels (voir les chapitres "Différents modes de pensée en médecine" et "Décision").

<sup>(1)</sup> Margolis HS, et al. Prevention of hepatitis B virus transmission by immunization. An economic analysis of current recommendations. JAMA 1995 ; 274 : 1201-1208.

<sup>(2)</sup> Aux Etats-Unis et dans la plupart des pays européens, les agences nationales chargées de la commercialisation des médicaments utilisent l'économie de la santé pour fixer le prix et le remboursement des médicaments en fonction du service médical rendu, notion dérivée de l'"utilité" des économistes dont nous avons parlé.

**Économie de la santé et raisonnement médical**

Le rapport entre les études médico-économiques et le raisonnement individuel du praticien est encore assez problématique.

Il est clair que le raisonnement médical en lui-même ne doit pas être affecté par des considérations économiques. La conclusion du processus discursif qui aboutit à la définition exacte du problème posé par chaque patient doit, en effet, intervenir en amont de ces considérations. Mais cela ne veut pas dire que les considérations économiques ou financières ne sont pas sans retentissement sur la pratique médicale. Actuellement, elles facilitent dans certains cas ou freinent dans d'autres la mise en œuvre de tel ou tel traitement ou de telle ou telle exploration complémentaire.

Mais rappelons encore qu'une optimisation du raisonnement médical est garante à la fois de la solidité des éléments de prise de décision et de l'absence de gaspillage (humain et financier). En ce sens, l'amélioration des processus du raisonnement médical, que ce soit en ce qui concerne ses bases scientifiques ou ses applications, est le gage d'une médecine plus économique, car un bon raisonnement est aussi le plus performant et le moins coûteux.

**POUR EN SAVOIR PLUS**

- DRUMMOND MF, STODDART GL, TORRANCE GW. Methods for the economic evaluation of health care programmes. Oxford, Oxford University Press, 1987.
- DURIEUX P (Dir). Évaluation, qualité, sécurité dans le domaine de la santé. Guide des principaux termes. Paris, Flammarion, 1997.
- GRANATA AV, HILLMAN AL. Competing practice guidelines : using cost-effectiveness analysis to make optimal decisions. Ann Intern Med 1998 ; 128 : 56-63.
- LE PEN C. Pharmaceutical economy and the economic assessment of drugs in France. Soc Sci Med 1997 ; 45 : 635-43.
- MATILLON Y, DURIEUX P. L'évaluation, du concept à la pratique. Paris, Flammarion, 2000.
- RUSSEL LB et al. The role of cost-effectiveness analysis in health and medicine. JAMA 1996 ; 276 : 1172-77.
- Haut Comité de la santé publique. Le système de santé en France. Document consultable sur le site du ministère de la santé : <http://www.sante.gouv.fr/htm/minister>.

**CE QU'IL FAUT RETENIR**

- L'organisation de protection sociale et le coût des interventions médicales déterminent les possibilités d'action du médecin dans de nombreuses circonstances.
- L'accroissement des dépenses de santé et des déficits sociaux dans les dernières décennies a donné lieu à deux types de réponse : une réponse comptable, et une réponse scientifique.
- Sur le plan comptable, en France, l'État et les organismes de protection sociale ont d'abord privilégié la limitation des dépenses par une action sur l'offre de soins (numerus clausus, carte sanitaire), la régulation des tarifs, l'adoption du budget global hospitalier et l'augmentation de la participation financière du malade. Depuis 1993, la "maîtrise médicalisée" des dépenses inclut un souhait d'action sur les pratiques médicales avec l'opposabilité de certaines références médicales (RMOs).
- Les RMOs sont des références de pratique clinique (établies en fonction de l'état des connaissances médicales du moment) choisies par les signataires de la convention médicale et susceptibles d'être opposables aux médecins prescripteurs, qui peuvent être contrôlés et sanctionnés financièrement en cas d'écarts.
- Sur le plan scientifique, une nouvelle discipline, l'économie de la santé s'est développée. Les études médico-économiques sont de plus en plus utilisées pour la mise au point de recommandations de pratique et pour décider de la diffusion ou pérennisation de technologies ou manœuvres médicales.

# Chapitre 20

## CAS DE RÉOLUTION COMPLEXE : POLYPATHOLOGIE ET PATHOLOGIES RARES, PSYCHOLOGIE ET PSYCHIATRIE

### INTRODUCTION

Le raisonnement médical peut rencontrer des difficultés quand la science médicale ne fournit pas de connaissances scientifiques validées applicables au sujet à prendre en charge.

Nous avons vu, tout au long de cet ouvrage, que les connaissances sont établies grâce à des études dans lesquelles une question posée ou une hypothèse envisagée ont été confrontées à des données recueillies dans un échantillon homogène de sujets, habituellement des patients, aux caractéristiques prédéfinies et communes. Les méthodes les plus rigoureuses d'élaboration des connaissances sont les procédures expérimentales contrôlées, qui doivent être mises en œuvre toutes les fois que cela est possible. Quand elles ne peuvent l'être, des études d'observation tentent de s'en approcher, mais le niveau de la preuve fournie est plus faible, ce qui se traduit, pour le praticien, par une augmentation de l'incertitude dans la décision à prendre. La résolution de certains problèmes passe par des extrapolations qui peuvent être plus ou moins heureuses (voir le chapitre "Décision"). Mais dans certaines situations, le savoir scientifique est tellement limité que ces extrapolations sont elles-mêmes impossibles :

- c'est le cas des sujets atteints de polypathologies, exclus habituellement des études qui portent sur des groupes homogènes de sujets "monopathologiques". Ces patients posent également des problèmes délicats de choix dans les priorités, et de risque de iatrogénicité ;
- c'est aussi le cas quand la maladie est rare, donc mal connue. Cela est source de difficultés surtout thérapeutiques.

Mais en dehors de ces situations en rapport avec un défaut de données scientifiquement validées, d'autres situations sont difficiles à résoudre en raison d'interactions entre la biopathologie et des facteurs psychologiques, voire psychiatriques, qui sont responsables de circonstances ou de présentations particulières :

- Le praticien peut être trompé par des leurrures de maladies. Des affections organiques peuvent être simulées par des affections mentales ou par une volonté de falsification de la part de certains sujets.
- La psychologie des patients les amène, par ailleurs, à réagir individuellement de façon très variable à leur maladie. Ces réactions peuvent interférer de façon majeure avec la prise en charge médicale. La frontière avec la psychiatrie n'est alors pas toujours commode à déterminer.

*La résolution de tous ces problèmes est un défi aux méthodes usuelles de raisonnement médical car ils ont en commun une situation exceptionnelle et non "balisée". Leur résolution est aussi largement dépendante des qualités de discernement et de jugement du médecin. Mais il faut en analyser les déterminants pour tenter d'apporter la solution la moins mauvaise.*

### LES POLYPATHOLOGIES

Les polypathologies posent des problèmes de diagnostic, de pronostic et de thérapeutique. En termes de diagnostic, il est classique que l'existence d'une maladie modifie l'expression symptomatique d'une autre : l'existence de fractures passées inaperçues chez des sujets présentant un trouble de sensibilité est un exemple aisé à comprendre. Il en existe bien d'autres. Mais la difficulté tient essentiellement au rattachement à une ou plusieurs entités de la symptomatologie ou des signes recueillis. C'est le caractère fortuit ou non de deux ou plusieurs tableaux qui est la question principale.

### Associations fortuites ou ensembles pathologiques

La survenue fortuite, c'est-à-dire due au hasard seul, de deux ou plusieurs pathologies associées chez le même sujet est fréquente. Dans ce cas, le praticien est confronté à des pathologies, coexistantes chez le même individu,

mais n'ayant aucun rapport cohérent. Il n'arrive à établir aucun lien logique entre les constatations liées à l'une et l'autre des pathologies. C'est le cas par exemple de la survenue simultanée d'une maladie infectieuse chez un sujet atteint en même temps d'un accident aigu de pathologie vasculaire comme un infarctus ou une hémorragie.

Mais des associations de plusieurs états associés se rencontrent avec une fréquence particulière plus élevée que ne le voudrait le hasard. Ces affections sont habituellement chroniques. Elles ont en commun un comportement, un facteur de risque et ou simplement l'âge :

- alcoolisme et tabagisme ;
- cancer et alcoolisme ;
- maladies sexuellement transmissibles et toxicomanie ;
- arthrose, artériopathie de membres inférieurs et maladie de Parkinson.

Les atteintes polyviscérales du diabète ou de l'hypertension posent le problème d'une seule maladie ou d'un facteur de risque commun.

Toutes ces associations entraînent une complexité qui influe à la fois sur l'établissement des diagnostics respectifs, sur le jugement de la part de chaque composante dans le résultat global de l'état pathologique, sur l'établissement du pronostic et de la thérapeutique. Cette situation est devenue particulièrement fréquente avec l'élévation de l'espérance de vie et l'augmentation du nombre de personnes très âgées.

## Le problème de la polyopathie des sujets d'âge avancé

Chez ces sujets, l'accumulation de pathologies viscérales, de déficiences neurosensorielles, de déficits locomoteurs fonctionnels et d'insuffisances des organes de la vie végétative retentit sur la vie relationnelle. De plus, des pathologies aiguës se greffent fréquemment chez des sujets dont les capacités de défense naturelle sont diminuées par cette atteinte polyviscérale. Ces particularités de la médecine du sujet âgé ont d'ailleurs justifié le développement d'une spécialité médicale : la gériatrie (et le lecteur est prié de se reporter à ses ouvrages de référence).

Les cas de polyopathie nécessitent une analyse détaillée de chaque situation au cas par cas. Il faut reconnaître chacune des pathologies et savoir en apprécier l'étiologie, le retentissement et le pronostic. Il est enfin indispensable de faire un classement des priorités et des problèmes secondaires. Pour cela, le degré de gravité et les possibilités thérapeutiques paraissent les éléments essentiels à prendre en compte.

La prise en charge et les soins nécessitent aussi une coordination des moyens à utiliser. Le risque de "iatrogénicité" doit être toujours présent à l'esprit du prescripteur qui doit savoir, parfois, modérer ses ambitions thérapeutiques s'il veut s'assurer de faire plus de bien que de mal à ses patients. Il doit donc décider après avoir pris la mesure de chacune des pathologies, avoir établi une hiérarchie des problèmes en comparant leurs données concrètes avec les données de la littérature quand elles existent, et en portant un jugement. Il est logique de traiter en priorité l'affection la plus sévère qui dispose d'un traitement efficace. La prédiction de l'avenir, déjà difficile pour les pathologies uniques, atteint ici de bien plus grandes difficultés.

## LES MALADIES RARES OU "ORPHELINES"

Les maladies rares récemment baptisées "orphelines" posent certains problèmes similaires à ceux de la polyopathie. En premier lieu, les connaissances sur la maladie sont difficiles à obtenir. Les données scientifiquement validées sont plus difficiles à établir que lorsqu'on a à faire à une affection commune, où les chercheurs peuvent recourir à des observations étendues et répétées de nombreux patients bien caractérisés. La rareté des cas entraînant une carence de données factuelles rend plus fragiles les preuves qui seraient utiles pour atteindre un niveau satisfaisant de généralisation. Font exception à cette difficulté les patients qui, bien que peu nombreux sont atteints d'une affection monogénique où un raisonnement physiopathologique critique bien mené peut permettre la compréhension et parfois le traitement des troubles constatés.

La rareté des cas ne provoque pas seulement une difficulté dans la recherche. Elle fait aussi que l'intérêt suscité entraîne un surcroît d'exams, d'investigations qui peut provoquer un rejet de coopération, parfois légitime, de la part du patient. Tous les patients n'ont pas la vocation d'être de "beaux malades" et de tirer satisfaction de se découvrir porteur d'une maladie qui "intéresse le corps médical". Il est donc nécessaire de veiller à respecter la dignité de ces patients, même si on peut rencontrer des difficultés de gestion de la relation médecin-malade. D'autre part, les enquêtes familiales souhaitables, dans certains cas, posent de difficiles problèmes éthiques sur ce qu'il convient de révéler aux parents et aux membres de la fratrie. Le praticien confronté à un cas de maladie rare participe donc souvent à son étude scientifique. Mais il a, de toute façon, à gérer

une affection qui est l'objet de plus d'incertitude puisqu'il existe une insuffisance numérique de sujets et donc des difficultés à rassembler des cohortes de patients sur lesquels puissent être menées des analyses statistiques satisfaisantes.

Enfin, la thérapeutique de ces maladies se heurte à de plus grandes difficultés. La recherche de médicaments pour ces affections rares n'a pas les mêmes possibilités de développement ultérieur et est de ce fait plus rarement engagée par les industriels. Quand bien même une hypothèse déboucherait sur une méthode de traitement envisageable, les essais thérapeutiques sont souvent impossibles ou très difficiles à réaliser faute d'effets suffisants, ce qui rend les comparaisons invalides et les analyses statistiques impossibles.

Ces difficultés ont suscité une réflexion qui a amené à la mise en place d'un organisme dénommé ORPHANET qui, selon ses intentions déclarées, "a pour objectif d'aider les professionnels de santé, les chercheurs, les malades et leur famille à trouver les informations dont ils ont besoin sur les maladies rares et les médicaments "orphelins". Cet organisme a donné d'ailleurs certaines définitions de ces maladies et de ces médicaments. "Une maladie est dite rare lorsqu'elle atteint moins de 1 personne sur 2000 dans la population, et un médicament est dit orphelin si sa viabilité commerciale n'est pas assurée du fait de l'étroitesse du marché potentiel." Les données sont accessibles sur Internet à l'adresse : <http://orphanet.infobiogen.fr>

## AFFECTIONS ORGANIQUES, PSYCHOLOGIE ET PSYCHIATRIE

Nous n'aborderons ici (brièvement) que les notions de psychologie et de psychiatrie indispensables au raisonnement médical appliqué à la biopathologie, en laissant le lecteur intéressé par ces disciplines se reporter aux ouvrages appropriés.

Plusieurs aspects des relations entre la biopathologie, la psychologie et la psychiatrie paraissent devoir être considérés dans le cadre du raisonnement médical. Ce sont :

- la différenciation entre, d'une part maladies organiques, et d'autre part "somatisations" ou phénomènes dits de "conversion" ou, de façon générale, plaintes d'allure somatique sans substrat organique caractérisé ;
- la distinction à faire entre les phénomènes psychiatriques caractérisés et les réactions psychologiques aux atteintes pathologiques ou aux agressions physiques et psychologiques de l'existence ;
- la cohérence des traitements et prises en charge des troubles, désordres et manifestations constatés. Le médecin ne doit pas se "tromper de cible" ;
- le nécessaire abord psychologique approprié de tous les patients, que leur affection soit de nature psychiatrique ou de nature organique. Cet abord rentre dans le cadre de la relation médecin-malade.

Quelques rappels et définitions sont d'abord nécessaires.

## Distinction entre psychiatrie et psychologie

L'abord psychiatrique ne concerne que les sujets porteurs d'une maladie ou d'un désordre ou trouble mental. En biopathologie, le problème se pose surtout pour les troubles somatoformes, les troubles de conversion et la pathologie qui compliquent et perturbent la démarche diagnostique, thérapeutique, la prise en charge du patient et les rapports avec l'entourage.

L'abord psychologique intéresse tous les patients dans la mesure où il n'est pas possible de s'en passer pour prendre en charge le patient et l'entourage (familial ou autre). Cet abord fait partie de la relation médecin-malade.

Il est parfois difficile de reconnaître la maladie ou le désordre psychiatrique, de distinguer entre psychiatrique et normal, de reconnaître le caractère pathologique ou anormal de certaines réactions psychologiques à des événements existentiels ou à la survenue d'une pathologie authentiquement organique au début de l'évolution des troubles.

## L'abord psychiatrique

La définition des affections psychiatriques peut parfois poser des problèmes difficiles, surtout lorsqu'elles se présentent sous la forme de troubles donnant le change avec une affection organique (somatisation). D'autre part la normalité est aussi difficile à définir.



La discipline psychiatrique pose des problèmes épistémologiques qui ont déjà été traités (dans le chapitre "Épistémologie"). Rappelons ici que l'étude des troubles mentaux peut, très schématiquement, se concevoir de deux façons :

- Par une conception neurobiologique. L'étude des affections mentales caractérisées (et particulièrement des affections organiques du cerveau) ne paraît pas être différente de celle des autres maladies. Les conceptions basées sur des théories explicatives non démontrées ou des spéculations ne paraissent pas avoir place dans ce cadre.
- Par une conception à partir de la définition de la normalité de la personnalité et des comportements socio-culturels. Les désordres de la personnalité et des comportements qu'ils peuvent entraîner relèvent, peut-être, d'une démarche spécifique. Celle-ci doit faire une place à des conceptions variables, suivant les lieux et le temps, de la société concernant la norme des comportements. Les limites du normal et du pathologique sont, alors, difficiles à tracer et peuvent être considérées comme sujettes à des variations, dont l'étude dépend de l'approche que permet l'attitude scientifique, mais peut aussi dépendre de considérations plus incertaines ayant trait à des conceptions sociales (voire philosophiques ou idéologiques) sujettes à variations.

Des connaissances psychiatriques et une formation adéquate sont nécessaires pour pouvoir aborder convenablement une part importante de la pathologie psychiatrique.

Reconnaître des désordres mentaux caractérisés est possible pour un non-psychiatre à la condition qu'il ait les connaissances théoriques nécessaires et une formation pratique de base suffisante. Il doit être capable, par exemple, de reconnaître parmi les psychoses, une affection bipolaire maniaco-dépressive, ou un trouble majeur de l'humeur, ou une schizophrénie caractérisée, ou un délire hallucinatoire chronique. À l'opposé, la difficulté peut être plus grande en cas de névrose simple ou de troubles caractériels. Il peut s'aider de l'utilisation des critères des désordres mentaux contenus dans le DSM ou Manuel diagnostique et statistique des désordres mentaux (la dernière version DSM-IV est le dernier avatar des propositions nosologiques en psychiatrie). Dans ce manuel, les syndromes et les catégories y sont décrites grâce à des critères basés sur les associations caractéristiques de symptômes. Le DSM fait aussi place aux désordres de la personnalité. Une fois l'affection suspectée (ou reconnue), le recours au spécialiste ou aux institutions spécialisées est très souvent nécessaire pour pouvoir mettre en œuvre les mesures de protection et de traitement indispensables.

Dans les autres cas, le recours au spécialiste est, aussi, nécessaire, surtout si les conséquences de l'évolution naturelle de l'affection semblent présenter un danger (difficile à détecter parfois) pour le patient et l'entourage. Mais l'obtention de la participation du patient à cette démarche pose des problèmes délicats. Cette difficulté est majeure en cas de troubles somatoformes si le patient et/ou l'entourage refusent d'admettre le caractère non organique des troubles.

### La différenciation entre maladies organiques et "somatisations"

Il est indispensable que le praticien puisse différencier les maladies organiques et les "somatisations".

Cette différenciation entre maladies organiques et "somatisations" (ou troubles de "conversion" ou "plaintes d'allure somatique" ou troubles dits "factices") est un problème diagnostique, qui implique les connaissances et le jugement du praticien, et qui a un grand retentissement sur la gestion des examens complémentaires (et des traitements comme on le verra plus bas)<sup>(1)</sup>.

En ce qui concerne les examens complémentaires, il est indispensable de faire l'économie d'examen inutiles mais, aussi, agressifs et/ou coûteux et anxiogènes. On peut s'aider, pour éviter ces erreurs, de plusieurs méthodes dont la formation médicale adéquate (en psychiatrie) est probablement la plus efficace. La diffusion de connaissances basées sur des données factuelles et une reconnaissance objective des désordres peut, aussi, y participer.

À l'opposé il faut se garder de jugements hâtifs de "troubles fonctionnels" et surtout de leur proclamation irréflectée alors qu'il peut exister une pathologie organique. Ces déclarations qui seront perçues comme la traduction d'une "Maladie imaginaire" sont très mal vécues par les patients ou l'entourage. La révélation ultérieure de leur caractère erroné risque d'entraîner une suspicion vis-à-vis du médecin responsable, mais aussi de la médecine...

### La prise en considération de la pathologie psychosomatique

Depuis très longtemps, l'influence de facteurs psychologiques, particulièrement des émotions, dans l'apparition et dans l'évolution de manifestations somatiques comme les troubles vasomoteurs, la rougeur, la pâleur,

<sup>(1)</sup> Voir aussi le chapitre "Démarche générale de prise en charge des patients" où ces problèmes ont été traités longuement en raison des problèmes de gestion des investigations que cette situation implique.

la tachycardie, la motricité intestinale, etc. est bien connue. Ces réactions sont physiologiques et ne constituent des désordres pathologiques que s'ils perturbent profondément la vie de relation de la personne qui en est affectée.

Certains auteurs ont voulu élargir ces manifestations à des troubles somatiques caractérisés et organisés, et ont cherché à les rattacher à une perturbation psychique. Il en est résulté le concept de médecine psychosomatique qui a, en principe, pour objet les maladies organiques dont pourraient être responsables des facteurs psychologiques.

La définition des troubles psychosomatiques est plus ou moins large selon les auteurs. Il est recommandé d'être prudent dans l'attribution de causes à des maladies organiques où l'on croit noter une influence du psychisme. Les mêmes précautions épistémologiques que pour les autres affections paraissent indispensables (voir ce chapitre). Mais il semble établi que des tensions nerveuses, des états affectifs ou émotifs intenses ou prolongés, des agressions et, d'une façon globale, ce qu'il est convenu d'appeler le "stress" résumant ces états, semblent bien précéder parfois de manière troublante, surtout par leur régularité de répétition, certaines manifestations comme des poussées d'hypertension artérielle, de douleurs d'ulcère gastro-duodéal, d'asthme (dont certaines crises ont été rapportées comme pouvant être déclenchées par la simple représentation de l'allergène habituellement déclenchant).

### La cohérence des traitements et prises en charge des troubles

C'est un problème thérapeutique majeur car le traitement de désordres relevant de somatisations par des thérapeutiques visant des pseudo-troubles somatiques, en fait inexistant, ne fait habituellement que "conforter" le patient dans la fausse opinion qu'il est atteint d'une authentique affection organique. Cela peut entraîner, en outre, des réactions anxieuses majeures. D'autre part, si le praticien veut rendre service au sujet porteur de ces troubles, il est nécessaire qu'il sache en reconnaître la variété exacte et qu'il prescrive le traitement approprié comme, par exemple, un traitement antidépresseur s'il a à faire à une "dépression masquée", ou à la psychothérapie adéquate en cas de troubles anxieux...

### Le nécessaire abord psychologique approprié de tous les patients

Que leur affection soit de nature psychiatrique ou de nature organique, le praticien ne peut se soustraire aux relations humaines qu'impose la prise en charge des patients. Cet abord rentre dans le cadre de la relation médecin-malade<sup>(2)</sup>.

Négliger cet aspect de la médecine comme on a l'occasion de le constater avec une grande fréquence (surtout chez les médecins pratiquant des techniques spécialisées "pointues") entraîne au minimum un malentendu et parfois un conflit caractérisé entre le patient et le praticien. Ce conflit peut même s'étendre, par un amalgame rudimentaire, à tout le corps médical et entraîner une fuite vers des médecines dites "alternatives", qui ne doivent une grande partie de leur succès qu'à la maladresse de praticiens imbus de leurs certitudes et qui négligent les plus élémentaires précautions d'entretien de rapports humains avec leurs patients<sup>(3)</sup>.

Les connaissances de base sur la communication médecin-malade ont été développées plus haut (voir le chapitre "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels"). Elles permettent de concevoir la façon de prendre en compte les représentations que l'homme se fait de la maladie. Ces représentations, déjà très diverses dans une société relativement homogène sur le plan culturel il y a quelques décennies seulement, ont considérablement changé depuis. Cela est intervenu sous l'influence conjuguée, d'une part, d'une bien plus grande éducation du public, et, d'autre part, du fait des brassages de populations qui ont apporté des cultures venant d'horizons très éloignés. Ce phénomène entraîne une difficulté de gestion certaine due à la diversité de ces ethnocultures.

*En dehors d'urgences absolues qui obligent à une action immédiate salvatrice, l'attitude du médecin doit être nuancée.*

<sup>(2)</sup> Les conduites médicalement les plus justifiées peuvent être refusées par des patients à qui on n'a pas su présenter les problèmes de façon appropriée. La technicité de certains actes fait parfois oublier à ceux qui les pratiquent que ces actes s'adressent à des personnes humaines souffrantes dont il faut respecter les sentiments et les choix fondamentaux.

<sup>(3)</sup> La formation dans ce domaine a longtemps fait défaut dans le cursus des études médicales. Elle devrait être développée sur le plan théorique et surtout pratique.

La prise en charge psychologique du patient intervient à chacun des stades de l'activité du médecin :

- Dès la prise de contact le médecin doit faire un double diagnostic : celui de la maladie et celui "du malade". L'interrogatoire et l'examen physique ne peuvent être conduits, de la même façon chez une personne familiarisée avec la médecine et chez un sujet "naïf" qui peut s'étonner, s'effaroucher de certaines manœuvres comme le toucher pelvien, ou même s'irriter et avoir une attitude hostile quand il est confronté à certaines nécessités de l'interrogatoire ou des explorations jugées nécessaires. Cela entraîne des précautions, voire des renoncements (au moins provisoires) à certaines investigations. Le raisonnement médical idéal ne peut être convenablement mené.
- La délivrance du pronostic est aussi un exercice très difficile. Il est indispensable de comprendre ou de deviner ce qu'attend le patient, ce qu'attend l'entourage et quelle utilisation risque d'être faite de l'information médicale délivrée. Le praticien ne délivre pas la même information à un patient qu'il examine pour la première fois qu'à un patient qu'il revoit ; il ne délivre pas, non plus, la même information pronostique à des patients dont la personnalité ou l'anxiété sont différentes. Il doit se montrer plus rassurant avec des sujets anxieux, qui risquent une aggravation de leur état psychologique, et peut-être moins apaisant avec des sujets qui montrent une apathie avec incompréhension de la gravité de certaines situations. Il peut être direct, mais prudent, avec ceux qui montrent du "sang froid". L'attitude change aussi au fur et à mesure que la maladie évolue, particulièrement si le pronostic est sévère ou si une issue fatale est prévisible. Le praticien doit s'efforcer de prévoir quels sujets auront une attitude résignée et lesquels, au contraire, demanderont une attitude de thérapeutique active, voire "jusqu'au boutiste".
- Les difficultés sont, enfin, aussi grandes en ce qui concerne le traitement et sa mise en œuvre. L'adhésion au principe de la thérapeutique n'est pas toujours obtenue et il faut savoir respecter l'autonomie du patient. La compliance et l'effet placebo surajouté seront d'autant plus obtenus que le patient adhère à la représentation de la thérapeutique qu'on lui a communiquée.

Ce ne sont ici que quelques exemples de l'influence possible de la relation médecin-malade et de ses conséquences sur la maîtrise des situations pathologiques. Un long développement ne peut intervenir dans le cadre de cet ouvrage, mais il est nécessaire d'insister à nouveau sur les perturbations possibles du déroulement du raisonnement médical optimal que peuvent entraîner une relation médecin-malade défectueuse.

#### CE QU'IL FAUT RETENIR

- Le raisonnement médical rencontre des difficultés quand la science médicale ne fournit pas de connaissances scientifiques validées applicables au sujet à prendre en charge. C'est le cas des sujets atteints de polyopathologies, exclus habituellement des études qui portent sur des groupes homogènes de sujets "monopathologiques" ou quand la maladie est rare donc mal connue. En dehors de ces situations en rapport avec un défaut de données scientifiquement validées, d'autres situations sont difficiles à résoudre en raison d'interactions entre la biopathologie et des facteurs psychologiques, voire psychiatriques, qui sont responsables de circonstances ou de présentations particulières. L'incertitude qui en résulte est source de difficultés dans les prises de décision.
- Les polyopathologies posent des problèmes de diagnostic, de pronostic et de thérapeutique. L'existence d'une maladie peut modifier l'expression symptomatique d'une autre, mais la difficulté tient essentiellement au rattachement à une ou plusieurs entités de la symptomatologie ou des signes recueillis. Cette situation est devenue particulièrement fréquente avec l'élévation de l'espérance de vie et l'augmentation du nombre de personnes très âgées.
- Les maladies rares ou "orphelines" posent des problèmes assez similaires ceux de la polypathologie : les connaissances scientifiquement validées sur ces maladies sont rares et difficiles à obtenir, et leur thérapeutique se heurte à de plus grandes difficultés par manque de moyens disponibles. Des problèmes éthiques se surajoutent quand la recherche conduite sur les malades interagit avec leur prise en charge.
- Le médecin peut être trompé par des leurre de maladies. Des affections organiques peuvent être simulées par des affections mentales ou par une volonté de falsification de la réalité de la part de certains sujets. La reconnaissance et le traitement de ces états nécessitent un abord conceptuellement différent.
- La psychologie des patients les amène à réagir individuellement à leur maladie de façon très variable. Ces comportements doivent être analysés de façon très critique pour éviter de prendre cette participation du mental pour de la pathologie psychiatrique et pour pouvoir apporter la solution adéquate à ces situations.
- La résolution de tous ces problèmes est un défi aux méthodes usuelles de raisonnement médical car ils ont en commun une situation exceptionnelle et non "ballisée". Mais il faut en analyser les déterminants pour tenter d'établir le meilleur jugement et d'apporter la solution la moins mauvaise.

#### POUR EN SAVOIR PLUS

- JEAMMET PH, REYNAUD M, CONSOLI SM. Psychologie médicale. Masson, Paris, 1996.
- ORPHANET consultable sur <http://orphanet.infobiogen.fr>
- POROT M. La psychologie médicale du praticien. Paris, Presses Universitaires de France, 1976.
- SAINT-JEAN O, BERIGAUD S, BOUCHON JP. Polyopathologie et comorbidité: un mode dynamique de description de la morbidité chez les sujets âgés. Ann. Méd Interne. 1991 ; 142 : 563-569.
- LEMPERIÈRE TH., FÉLINE A. Psychiatrie de l'adulte, Paris, Masson, 1999.

# Chapitre 21

## RAISONNEMENT MÉDICAL ET DÉCISIONS EN MÉDECINE DE SOINS INDIVIDUELS

### INTRODUCTION

La pratique médicale de soins requiert constamment la prise de décision par le médecin : décision de prescrire un examen complémentaire, de traiter, de convoquer... Parfois, les actions médicales sont sans risque et ne souffrent pas d'alternatives. Mais il est des situations fréquentes où plusieurs alternatives sont possibles, et où le choix n'est pas évident d'emblée. Dans ces cas, les décisions sont alors prises, de manière explicite ou implicite, sur la base de connaissances médicales communes, de données publiées ou de l'expérience personnelle. Les attentes du patient, le respect de son autonomie, l'obtention de son consentement, la spécificité de la relation médecin-malade, et le contexte de pratique interviennent également dans la prise de décision. Le processus de décision est complexe, avec des déterminants multiples.

### Définitions

La **décision** est un acte intellectuel qui consiste à faire un choix entre différentes possibilités. C'est un acte porteur de sens, qui est le résultat d'un **jugement**. La décision précède l'action dont elle est la représentation mentale anticipée. Il ne s'agit donc pas d'une activité mentale purement *spéculative*.

La **décision médicale** est une variété de décision particulière par son objet qui est l'action médicale. Comme elle résulte d'un jugement, elle implique, de ce fait, outre une base de connaissances médicales, des éléments provenant de la logique, de la psychologie, et des valeurs socioculturelles.

En pratique, il n'y a pas une décision médicale unique mais, le plus souvent, des décisions consécutives (c'est-à-dire la résolution de plusieurs choix successifs). Il en résulte la notion de "*nœuds décisionnels*" dont il faut avoir conscience afin d'assurer, au mieux, la gestion des actes nécessaires à la prise en charge des patients dont la médecine est la finalité.

On peut distinguer deux grands types de décision, en matière de médecine et de santé :

- La décision portant sur les soins à donner aux individus. C'est le domaine de la médecine de soins.
- La décision portant sur les mesures de santé publique qui intéresse surtout les médecins responsables des problèmes de médecine de population(s), mais aussi les économistes, les législateurs et les divers partenaires de la vie sociale.

C'est la décision portant sur les soins à donner aux individus qui sera développée dans cet ouvrage.

### Champs de la décision médicale

En médecine clinique, la décision concerne essentiellement trois types d'action : le diagnostic, le pronostic et le traitement.

Dans le domaine du *diagnostic*, il n'a existé que peu de choix et de problèmes décisionnels jusqu'à la fin du XIX<sup>e</sup> et au début du XX<sup>e</sup> siècle, c'est-à-dire tant que l'examen se résumait au recueil et à la simple utilisation de renseignements obtenus par les sens du médecin. Mais, depuis la prolifération des examens complémentaires possibles, les nœuds décisionnels se sont multipliés. Des questions qui se posent de plus en plus souvent ont trait au choix de l'examen le plus performant, le plus commode, le moins invasif, le plus économique etc. Autant de décisions et de choix interviennent alors. La clôture de la démarche diagnostique est également une décision majeure, car on doit juger si on dispose de tous les éléments susceptibles de définir avec une probabilité assez grande le diagnostic exact (voir le chapitre "Raisonnement appliqué au diagnostic").

Dans le domaine du *pronostic*, le médecin doit décider de ce qui est prévisible et de ce qui doit être révélé au patient, à la famille, et, éventuellement, à la société... Il est bon de rappeler que le pronostic ne vaut que

par la précision du diagnostic puisque celui-ci est le fondement de l'édifice sur lequel peuvent se développer les connaissances de l'évolution naturelle possible et des diverses modifications qu'on peut lui apporter par les mesures thérapeutiques et de soins adéquates.

Dans le domaine de la thérapeutique, la décision a acquis une grande acuité depuis que la médecine s'est dotée de méthodes thérapeutiques efficaces et, en même temps, potentiellement dangereuses. La thérapeutique permet, en effet, des possibilités de traitements efficaces qui ne peuvent être ignorées ou négligées afin de ne pas faire perdre de chances au patient, mais elle expose, aussi, à des risques incontournables. Il est essentiel que le praticien trouve le bon équilibre entre ces deux faces des résultats possibles de l'activité médicale, l'objectif du choix final étant de faire plus de bien que de mal.

Avant les progrès rapides de ces dernières décennies, les choix étaient réduits et les décisions étaient relativement simples à prendre. On peut dire qu'elles se résument presque à quelques choix élémentaires : nécessité d'action immédiate dans le cadre de grandes urgences : asphyxie, hémorragie externe, par exemple, et où la conduite était dictée par des physiopathologies simples et évidentes, interventions élémentaires en pathologie traumatique, évacuation de pus et excrèses, de conception assez sommaire en pathologie tumorale. Dans les cas de pathologie interne dont les causes et mécanismes étaient inconnus, la médecine se contentait bien souvent de faire des constats. La seule décision portait, dans ces cas, sur ce qu'il fallait révéler au patient ou à son entourage (et, éventuellement, à la société).

En revanche, au fur et à mesure que la médecine est devenue éclairée et efficace, les problèmes se sont multipliés et les choix rendus nécessaires sont devenus très nombreux. On assiste actuellement à une accélération du processus et à une véritable explosion des procédures rendues possibles par les progrès scientifiques et techniques. Avec, pour corollaires, les problèmes de leurs indications, de leurs effets bénéfiques, mais aussi leurs dangers ainsi que les problèmes psychologiques, économiques, philosophiques ou éthiques, voire religieux, légaux et réglementaires... qu'ils posent.

## Aperçu des différents facteurs impliqués dans la décision

La décision en médecine a été longtemps considérée comme relevant d'un acteur unique : le médecin. Sur la base d'un savoir constitué par le corpus des connaissances médicales, il aurait porté, seul, un jugement sur une situation concrète donnée. En fait, ce schéma simpliste n'a véritablement jamais existé à l'état pur car le médecin était, le plus souvent, impliqué dans le dialogue singulier avec le patient.

De nos jours, le dialogue singulier persiste mais il a pris une tonalité différente en raison des exigences de respect plus formel de l'autonomie du patient. Le médecin ou l'équipe soignante se trouvent confrontés à la volonté d'un patient soucieux de préserver son autonomie et qui veut pouvoir faire ses propres choix, mais à qui on ne peut fournir tous les éléments d'information idéale. Les composantes de la prise de décision individuelle proprement dite peuvent, alors, comporter une part conflictuelle qu'il ne faut pas se dissimuler si le patient s'estime insuffisamment informé ou si le médecin répugne à user de quelques précautions psychologiques mais aussi juridiques que nécessite cette situation. Les décisions de jurisprudence seront certainement, à l'avenir, un facteur déterminant de l'attitude du corps médical dans ce domaine.

De plus, la multiplicité des acteurs médicaux appelés à gérer certaines situations fait que le problème des décisions "collectives" ou "collégiales" se pose de plus en plus souvent (voir plus bas, Décisions collégiales).

On peut, dans la décision médicale, distinguer deux volets :

- Un volet scientifique et professionnel, basé surtout sur les connaissances et les applications de la science biologique normale et pathologique. Il ne peut être résolu que par un médecin et/ou par une équipe professionnelle capable(s) et compétent(s).
- Un volet humain, pour ne pas dire "humaniste", où la participation du médecin, le plus souvent, se complète et s'allie avec la conception du patient ou de l'entourage, mais, parfois, peut se trouver en opposition avec elle. Le médecin se trouve confronté à des situations complexes où interviennent des éléments de psychologie, et des implications socioculturelles, d'éthique et de mœurs, relevant elles-mêmes de convictions philosophiques ou religieuses. En outre, des données économiques interviennent de plus en plus souvent.

## LE VOLET SCIENTIFIQUE DE LA DÉCISION, L'AIDE À LA DÉCISION

L'exercice médical actuel s'appuie essentiellement sur un corpus des connaissances scientifiquement établies<sup>(1)</sup>. Mais si ce principe de l'exercice méritait d'être rappelé, il faut faire remarquer que la connaissance du corpus des connaissances médicales ne peut être que partielle. Un médecin d'intelligence, de capacités mnésiques satisfaisantes et même supérieures ne pourrait prendre connaissance que d'une part infime de toutes les publications médicales qui voient le jour.

Dans ce contexte, les solutions proposées pour atteindre cette connaissance optimale sont les solutions classiques et des solutions émergentes liées au progrès des recherches bibliographiques informatisées et à des tentatives de mise en œuvre de procédures d'aide à la décision :

- *Les solutions classiques* mises au point de façon empirique sont des réalisations familières et bien connues : Il s'agit de l'acquisition, avec possibilité de mise à jour, des connaissances médicales par les ouvrages de médecine, revues plus ou moins spécialisées, conférences et actions de formation continue etc. Sur la base de ces connaissances, le médecin élabore un jugement qui le mène à des conclusions diagnostiques et/ou thérapeutiques qu'il propose au patient.
- *La recherche bibliographique informatisée* a bénéficié de progrès très importants depuis les dernières décennies et surtout depuis la généralisation récente d'Internet. Une méthode de recherche des documents bibliographiques pertinents et de leur utilisation consécutive fait l'objet de ce qu'il est convenu d'appeler Médecine basée sur les faits prouvés ou EBM (voir le chapitre consacré à cette nouvelle notion).
- *L'aide à la décision rationnelle et scientifique*, aboutissant au concept, en vogue outre-Atlantique, de "medical decision making", semble venir à point pour atteindre ces objectifs. Les nouvelles procédures comprennent des modélisations d'aides décisionnelles basées sur des algorithmes et des tentatives de quantification des possibilités de choix. Les aides informatisées à la décision sont, encore, en voie de développement.

## Principes de l'analyse de la décision

Un champ de recherche s'est développé considérablement depuis le milieu des années 1980 : l'analyse de la décision ou "decision analysis" (Kassirer) ou encore "medical decision making"<sup>(2)</sup>. Cette approche vise à orienter ou à guider la décision du clinicien. Le développement de ce concept est étroitement lié à la construction de "systèmes-experts" ou systèmes informatiques d'aide à la décision. Malgré ses insuffisances sur lesquelles nous reviendrons, l'analyse de la décision permet une explicitation et une formalisation des mécanismes en jeu dans la décision qui n'est pas sans intérêt théorique et pédagogique.

L'analyse de la décision repose sur une approche structurée et quantitative du choix à effectuer dans un contexte d'incertitude. Le processus de structuration du problème posé doit permettre de déterminer les informations pertinentes à la décision. La nature quantitative de l'approche doit permettre aux utilisateurs d'examiner les conséquences possibles de la décision, avant qu'elle soit prise. L'analyse de la décision fait appel au calcul des probabilités et singulièrement au théorème de Bayes (voir chapitre "Épistémologie générale") pour combiner les informations pertinentes. Elle ne crée pas d'information nouvelle comme une étude de recherche, mais tente d'utiliser au mieux les informations existantes. L'analyse de la décision utilise communément, pour la représentation des problèmes de décision, des graphiques, appelés arbres de décision.

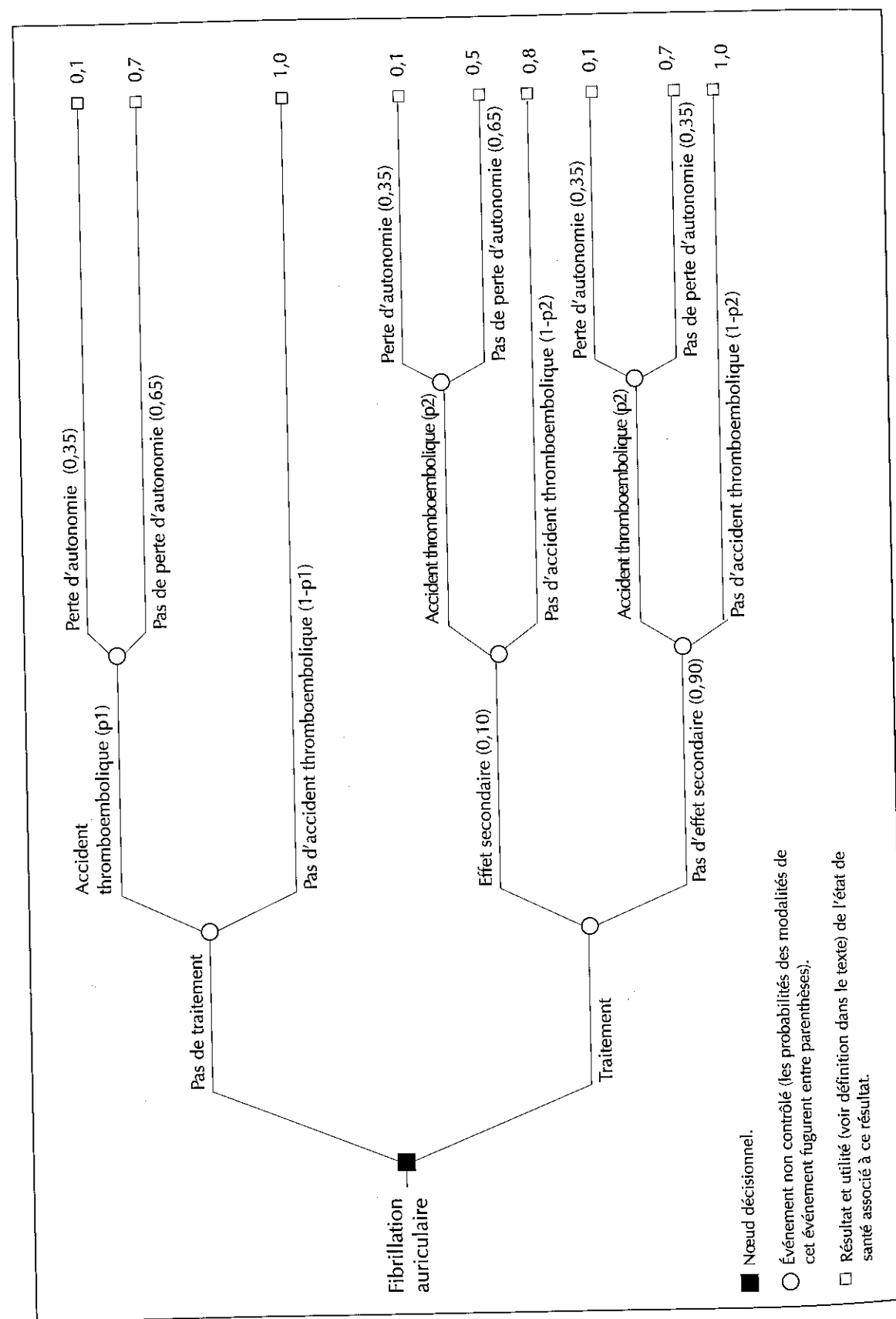
## Les arbres de décision

La construction d'un arbre de décision se fait une fois qu'on a précisé "les données du problème" que sont : les modalités possibles du choix et les résultats de ces choix. L'arbre représente alors tous les scénarios possibles (branches), représentés par une suite de "nœuds", expriment soit des choix (contrôlés), soit des événements incertains ou non contrôlés, qui sont alors associés à une probabilité de survenue. Cette probabilité peut être trouvée par l'analyse de la littérature ou estimée par une étude *ad hoc*. Chaque extrémité de branche est constituée d'une feuille qui correspond à un résultat, dont on il faut quantifier la "désirabilité" ou l'"utilité".

<sup>(1)</sup> La connaissance de ce corpus est une triple nécessité :

- professionnelle pour être et rester performant ;
- déontologique pour se conformer aux articles 11, 32 et 33 du code de déontologie qui lui font obligation d'entretenir ses connaissances, de donner des soins fondés sur les "données acquises de la science" et de s'aider des "méthodes scientifiques les mieux adaptées" ;
- et légale depuis les ordonnances d'avril 1996 sur la formation continue.

<sup>(2)</sup> Une revue portant ce nom lui est consacrée.



Exemple d'arbre de décision (traitement anticoagulant dans la fibrillation auriculaire).

Un exemple très simple d'arbre de décision est donné dans la figure de la page précédente. Il s'agit d'un arbre de décision de traitement anticoagulant oral dans la fibrillation auriculaire. Il n'y a ici qu'une seule décision à prendre : traiter ou non. Cette décision génère les deux premières branches de l'arbre "traitement" et "pas de traitement". Si le patient est traité, un effet secondaire peut survenir avec une probabilité estimée à 10% dans la littérature : deux branches naissent donc de la branche "traitement". Enfin, un événement thromboembolique peut survenir ou non, et s'il survient, des séquelles sévères peuvent en résulter avec une probabilité de 35 % (toujours estimée dans la littérature). Les probabilités de survenue d'un accident thromboembolique en l'absence ou en présence de traitement sont figurées par les symboles  $p1$  et  $p2$ .

### Les utilités

L'intérêt relatif de chaque résultat est quantifié par le calcul des utilités (voir la définition de l'utilité dans le chapitre "Protection sociale et économie de la santé"). Celles-ci sont soit dérivées de la littérature (p. ex. : espérance de vie), soit établies par des comités d'experts, soit basées sur l'évaluation des préférences réalisées par les malades eux-mêmes (voir chapitre "Protection sociale et économie de la santé"). Une moyenne des utilités associées à chaque stratégie, pondérée par la probabilité de chaque résultat, est calculée. On choisira alors la stratégie associée à la moyenne la plus élevée.

Dans l'exemple déjà utilisé, les utilités des différents états ont été révélées par la méthode de l'arbitrage temporel<sup>(3)</sup> dans un échantillon de 97 sujets atteints de fibrillation auriculaire (les médianes sont indiquées sur la figure). Par exemple, les résultats "accident thromboembolique suivi d'une perte d'autonomie", "accident thromboembolique sans perte d'autonomie" et "pas d'accident thromboembolique" sont associées à une utilité de 0,1, 0,7 et 1 respectivement (sur une échelle d'utilité fixée arbitrairement de 0 à 1). Sur la base d'une réduction du risque d'accident thromboembolique estimée à 68 % avec le traitement anticoagulant ( $p2/p1=0,32$  est la moyenne de valeurs issues de plusieurs essais randomisés), on peut montrer que l'utilité moyenne avec le traitement anticoagulant est supérieure à l'utilité sans traitement dès que le risque d'accident thromboembolique excède 6%.

Évidemment, des situations aussi simples que celle de l'exemple présenté sont rares, mais les situations cliniques réelles plus complexes peuvent être traitées avec cette méthode, en subdivisant le problème en plusieurs unités décisionnelles élémentaires, chacune représentée par un arbre.

### L'analyse de sensibilité

L'intérêt de cette modélisation par arbre de décision ne se limite pas au choix de la meilleure option. Elle permet aussi d'évaluer des scénarios différents quant aux probabilités des événements (qui sont rarement estimées avec précision) ou à la valeur des utilités. Dans sa forme la plus simple, dite "analyse de sensibilité simple", on fait varier un paramètre (probabilité, utilité) et on examine la variation de l'utilité moyenne. Dans l'analyse de "sensibilité à seuil", on fait varier un ou plusieurs paramètres jusqu'à ce que la meilleure option soit changée : les valeurs des paramètres où le changement se produit sont appelés seuils. Les stratégies restant optimales pour un large éventail de scénarios de probabilité ou d'utilité sont bien sûr préférables.

### Limites de l'analyse de la décision

Si le principe de l'analyse de la décision peut apparaître séduisant, des problèmes apparaissent rapidement quand il faut construire les arbres de décision et, en particulier, obtenir les données chiffrées qui "alimentent" l'analyse. Les probabilités des différents résultats sont souvent difficiles à trouver ou très imprécises (par carence quantitative et qualitative d'études d'histoire naturelle), de même que l'estimation des utilités. Ces difficultés expliquent le petit nombre de sujets sur lesquels l'analyse de la décision a été mise en œuvre. D'autre part, une simplification excessive des objectifs de la prise en charge et de son processus est souvent nécessaire, avec omission de facteurs importants, comme le manque de compliance, l'abandon de prise en charge, etc.<sup>(4)</sup>

En ce qui concerne l'évaluation des "décisions aidées" par ces algorithmes ou arbres de décision, c'est-à-dire leur "validation" proprement dite, les données manquent presque totalement. Il n'y a pas eu d'essai randomisé montrant l'utilité d'algorithmes construits avec ce concept. La faisabilité même de leur application est d'ailleurs problématique. Il est d'abord nécessaire de s'assurer que le sujet à prendre en charge appartient bien à un groupe de patients comparable à celui dont sont extraites les données de la littérature consultée pour

<sup>(3)</sup> Le principe de cette méthode est donné dans le chapitre "Protection sociale et économie de la santé".

<sup>(4)</sup> De ce fait, un certain nombre de ces mises en œuvre de l'analyse de la décision évoquent irrésistiblement l'aphorisme anglo-saxon du "GI-GO" ("garbage in, garbage out").

construire l'arbre. Cela pose un problème très délicat qui est celui du passage des données "probabilistes" – telles qu'elles ressortent de l'étude de populations homogènes définies pour des besoins et conditions de recherche – à ce qu'on peut en déduire pour l'individu précis (et unique) auquel on doit, éventuellement, appliquer les conclusions des études.

L'analyse de la décision reste donc, en l'état actuel des choses, du domaine de la recherche.

## LE VOLET HUMAIN OU HUMANISTE DE LA DÉCISION

La décision médicale dépend aussi de facteurs liés à la spécificité de l'intervention sur l'humain. Les phénomènes biologiques impliqués sont de nature universelle et diffèrent seulement par certaines variations d'espèce. Mais la décision de ce qu'il convient de faire dans l'espèce humaine est de nature différente et engage plus que le savoir scientifique.

Des considérations étrangères à la biologie pathologique interfèrent avec la conduite qui s'inspirerait uniquement de celle-ci. De tous temps ces considérations sont intervenues, et actuellement elles deviennent de plus en plus importantes. Leur énumération en montre la diversité. Ce sont :

- *Les considérations éthiques.* Elles concernent surtout les grands choix que posent toutes les avancées thérapeutiques et les innovations majeures dans le domaine de la procréation assistée, de la manipulation des embryons et de la génétique. Mais il existe aussi des problèmes d'éthique au quotidien qui impliquent des décisions délicates. Ces problèmes sont envisagés au chapitre "Éthique". On peut distinguer, schématiquement, les conjonctures classiques de la médecine quotidienne et les conjonctures où il faut prendre en compte les innovations majeures :
  - dans les conjonctures classiques, la décision du médecin se trouve confrontée à l'autonomie du malade qui veut voir tenir compte de sa propre décision. Son consentement doit être obtenu après une information appropriée ;
  - dans la conjoncture des innovations majeures, les décisions relèvent, dans ces cas, d'une conception éthique bien plus que des possibilités techniques qui sont imaginées par leurs inventeurs et maîtrisées par les exécutants (qui, au début des innovations, se confondent souvent avec les inventeurs). Les débats que suscitent ces problèmes sont le plus souvent traités par le Comité Consultatif National d'Éthique qui a pour mission de donner des avis sur ces situations. D'autres organismes consultatifs, comme l'Académie Nationale de Médecine, interviennent aussi dans les débats.
- *Les considérations légales, déontologiques et administratives.* Ces obligations, du fait de leur nature même, s'imposent au médecin. Les lois dites de bioéthique règlent les conduites dans les cas des grandes innovations. La jurisprudence s'adresse plutôt aux problèmes "classiques" des pratiques de l'activité quotidienne.
- *L'application des "recommandations médicales opposables" et des recommandations de pratique clinique.* Le chapitre qui leur est consacré ("Protection sociale et économie de la santé") montre leur principe et leur utilisation.
- *Les considérations psychologiques et les interférences familiales et sociales.* Nous renvoyons aussi au chapitre qui leur sont consacrés (chapitres "La communication médecin-malade et ses déterminants culturels" et "Cas de résolution complexe").

## LES DIFFÉRENTES SITUATIONS DE PRISE DE DÉCISION

Il existe différentes situations de prise de décision en pratique clinique. On peut distinguer schématiquement deux types de décisions individuelles :

- Les décisions où le problème est clairement défini et où on dispose de connaissances parfaitement établies sur le plan scientifique (ou décisions prises en situation de quasi-certitude) .
- Les décisions où le problème est mal défini et où on ne dispose que de connaissances incertaines (ou décisions prises en situation d'incertitude).

Il faut aussi envisager le problème des décisions "collectives" ou "collégiales" et celui de situations nouvelles issues des dernières découvertes de la recherche biologique.

## L'incertitude

De même que la médecine est à la fois une discipline scientifique et l'art ou la façon d'appliquer les connaissances afférentes à son objet, l'incertitude médicale recouvre ces deux composantes principales :

- La première a trait à l'ensemble des sciences de la nature et, en l'occurrence, des sciences médicales ou biopathologiques. Cette partie de l'incertitude peut être représentée en termes de probabilités.
- L'autre composante a trait à l'incertitude à laquelle est confronté le médecin praticien en matière de décision qu'il doit prendre alors qu'il ne dispose pas de bases de connaissances sûres pour porter son jugement.

Quelques définitions méritent d'être, au préalable, rappelées :

**L'incertitude, d'une façon générale,** est l'état de ce qui n'est pas fixé et déterminé à l'avance, assuré ou parfaitement sûr. Elle a trait à tout ce qui est aléatoire, contingent, voire hypothétique.

**L'incertitude, dans le langage commun,** est l'état où se trouve l'esprit quand les bases de jugement ne sont pas sûres. On utilise parfois aussi ce terme pour désigner un trait de caractère qui est synonyme d'irrésolution.

**La contingence** est une notion moins familière. Elle est apparentée à l'incertitude.

Dans le domaine scientifique elle désigne :

- *en logique* ce qui n'est pas nécessaire ;
- *et, dans les sciences de la nature,* ce qui est aléatoire. Ceci fait qu'on peut confondre cette notion avec celle de probabilité (voir le chapitre «Épistémologie»). Dans le domaine de la biologie et surtout de la biopathologie, les études ne fournissent qu'une probabilité forte mais plus ou moins élevée de la vérification des hypothèses. De plus, il faudrait garder à l'esprit la réserve "popperienne" de possible "falsification" concernant toutes les théories qui s'efforcent de rendre compte des phénomènes de la nature (voir le chapitre "Épistémologie générale").

**L'incertitude médicale** est l'état qui caractérise une situation où les éléments dont on dispose pour établir un jugement médical ne sont pas assurés.

## Les décisions à prendre dans les situations où le problème est clairement défini et où on dispose de connaissances certaines et parfaitement établies sur le plan scientifique

Ces décisions sont prises en situation de certitude "scientifique" quasicomplète et de certitude au sens "psychologique" du terme et dans le langage commun.

Il existe des sujets où les connaissances scientifiques ont atteint un très haut niveau de qualité qui équivaut à des certitudes. Le jeu des probabilités tient, seul, sous sa dépendance le restant d'incertitude. Celle-ci est plus ou moins importante suivant la nature des maladies, suivant les sujets qui en sont atteints et la qualité des travaux qui ont établi les connaissances.

On sait ainsi, *dans cette situation idéale,* la cause de l'affection à laquelle on est confronté, ses lésions, son mécanisme. On sait aussi ses probabilités d'histoire naturelle, ses possibilités thérapeutiques et les résultats très hautement probables qu'on peut en attendre dans une population homogène dont le sujet fait partie.

Cette situation idéale pose peu de problèmes en dehors de ceux de la contingence, au sens épistémologique, et de l'incertitude qui accompagne la *transposition en termes "d'individu"* (voir plus bas).

Mais cette situation exige aussi que le médecin ou l'équipe soignante connaissent ces raisonnements, et leurs capacités et soient capables d'appliquer les mesures optimales qui ressortent de l'analyse de la situation. Encore faut-il, naturellement, que le patient accepte, ce qui représente certainement le meilleur, dans l'état actuel, de ce qu'on peut, ainsi, lui proposer. L'autonomie du patient peut l'amener à s'opposer à ce que le médecin considère comme ce qu'il a de mieux à offrir.

*D'autres situations sont moins satisfaisantes : il est en effet possible que le patient à qui on se proposerait d'appliquer les conclusions de l'étude diffère du patient "moyen" de la population sur laquelle a été menée l'étude ou la recherche. C'est le cas, par définition, de tous les sujets qui en ont été écartés du fait qu'ils remplissaient les "critères d'exclusion", c'est-à-dire : les enfants, les vieillards, les femmes enceintes, les sujets avec une autre pathologie... Ces sujets font partie d'une population pour laquelle il faut extrapoler les conclusions de l'étude menée, ce qui n'est pas toujours confortable ni recommandable.*

## Les décisions à prendre dans les situations où le problème n'est pas nettement défini et/ou on ne dispose que de connaissances incertaines

Il s'agit de décisions prises en situations "d'incertitude", ici prise au sens du langage commun. L'incertitude peut être causée par l'insuffisance de l'état des connaissances médicales, lorsque celles-ci n'ont pas bénéficié de tous les progrès souhaitables de la recherche, ou consécutive au fait que la pathologie n'est pas nettement définie. Ces situations ne sont pas rares et on peut même dire qu'elles étaient la règle jusqu'à il y a quelques décennies. Mais leur fréquence a tendance à diminuer depuis les progrès de la recherche et depuis la mise en pratique de l'évaluation scientifique des procédures diagnostiques et thérapeutiques. On a recours dans ces cas à l'utilisation des hypothèses qui semblent les plus valables, faute de données éprouvées.

L'incertitude peut aussi être causée par la carence en connaissances du clinicien ou de façon plus générale du décideur en matière de santé. Il serait d'ailleurs plus adéquat de parler alors d'ignorance, si ce terme n'avait une connotation péjorative et risquant de devenir culpabilisante. Cette carence est, en effet, pratiquement incontournable ; car le nombre des publications et le renouvellement des connaissances augmentent à un rythme tel que personne n'oserait prétendre aujourd'hui qu'il dispose de toutes les connaissances établies en matière médicale et/ou biologique appliquées à la médecine. Ainsi, toutes les lacunes et carences possibles de la connaissance et de la formation médicale ne sont même pas "répertoriables". Les moyens de réduire cette incertitude devraient être le principal souci des formations initiales et continues. Les méthodes classiques d'enseignement initial et continu et les aides informatisées à la bibliographie et à la lecture font partie de ces moyens.

## La perception et la prise en compte de l'incertitude médicale

La résolution des problèmes posés par l'incertitude est délicate. Il faut tout d'abord prendre connaissance de l'incertitude, en tenir compte et tenter de trouver une solution.

### Perception

L'incertitude médicale est perçue de façon différente par les médecins et par la société :

- Chez les médecins, elle est une gêne plus ou moins consciente et explicitée, mais elle peut être source de sentiments variés (allant de l'angoisse à l'accoutumance, voire même à un certain degré d'indifférence ou de relâchement d'attention).
- La société, de son côté, a tendance à être de plus en plus exigeante vis-à-vis de la médecine et des médecins et même de chaque médecin, en particulier par la voie de demandes, voire de revendications, d'informations, mais aussi par la voie de démarches procéduraires de plus en plus fréquentes dans le monde occidental. Le terme extrême de cette évolution pourrait aboutir à mettre en avant le principe de précaution qui consiste, dès qu'il existe une suspicion de danger potentiel, à proposer, voire à imposer, l'interdiction de la procédure potentiellement dangereuse. Cela serait totalement paralysant pour l'exercice de la médecine.

### Prise en compte

La prise en compte de l'incertitude médicale par les divers protagonistes passe par une démarche complexe qui comporte :

- la prise de conscience et la définition des problèmes posés, qui deviennent de plus en plus nombreux au fur et à mesure des progrès de la recherche et des avancées des connaissances et des techniques ;
- la mise en œuvre des méthodes pour tenter d'apporter des solutions qui comportent, toutes, d'une part l'appréciation exacte de la précision et du niveau de validité des connaissances disponibles, et, d'autre part, la prise en compte de la dimension humaine et éthique des décisions à prendre (voir plus bas : Volet humain de la décision).

La latitude laissée au jugement et à la décision dans ce domaine est relative et d'autant plus réduite que les connaissances sont précises et que leur marge de fluctuation est étroite.

## La prise de décision en situation d'incertitude

### Nécessité de la prise de décision

La nécessité de prises de décisions différencie le médecin du chercheur et du philosophe, par exemple. Ces derniers se préoccupent du savoir et se gardent, du moins ils le devraient, de conclure s'ils ne détiennent pas les preuves ou les certitudes des conclusions ou des théories qu'ils proposent.

En revanche, le médecin est confronté à la nécessité de prises de décisions : Quelle hypothèse favoriser, quels examens complémentaires demander, quand arrêter le processus diagnostique, quel pronostic et quelle évolution naturelle prévoir, quelle méthode thérapeutique choisir, quelle stratégie adopter, quels soins appliquer etc. ? Il ne peut se contenter de remettre à plus tard les solutions à proposer, même s'il est en situation de grande incertitude. Comme nous l'avons signalé plus haut, il doit trouver l'hypothèse utile et qui est la plus appropriée à la situation à traiter en utilisant, selon les circonstances, les différentes façons de penser en médecine (voir ce chapitre). Il doit, naturellement, les critiquer en tenant compte du degré de l'urgence. C'est pourquoi dans ce dernier cas les solutions doivent être toutes prêtes à être appliquées, même s'il s'agit de solutions qui pourront être revues et corrigées ultérieurement.

Dans tous ces cas, le médecin doit choisir, parmi les hypothèses qu'il a envisagées, celle qui lui paraît la plus appropriée ou celle qui lui paraît avoir le plus de chances de "marcher". L'action qui en découle se fera avec le consentement éclairé du patient, sauf dans les cas d'urgence ou d'incapacité au consentement qui sont de mieux en mieux répertoriés et auxquels on s'efforce d'apporter les solutions humainement et éthiquement les plus satisfaisantes.

### Les solutions, améliorations ou corrections possibles dans l'avenir

L'existence et le degré de l'incertitude doivent d'abord être perçus. Cette analyse de l'incertitude ne servirait à rien si les protagonistes médicaux de la décision n'en tenaient pas compte. Les jugements doivent être les plus précis et argumentés possible, car ceux portés "à vue de nez" (ou heuristiques) sont encore très fréquents malgré les risques d'erreur qu'ils comportent.

Il est aussi souhaitable de tenter d'améliorer les décisions par la prise de conscience et par la correction des erreurs et des biais. Les sciences cognitives ont apporté un certain nombre de connaissances et de solutions sur les erreurs de jugement en situation d'incertitude. D'autres méthodes d'examen critique de l'activité médicale ont été aussi étudiées. Une analyse en a été réalisée dans différents chapitres de cet ouvrage pour chacune d'entre elles (voir les chapitres qui leur sont consacrés et concernant les heuristiques, l'analyse des erreurs au chapitre "Diagnostic", la validité des pronostics et la médecine basée sur le niveau de preuve).

Ce sujet est encore l'objet de recherches dont il faut espérer qu'elles entraîneront de meilleures données pour baser les jugements et une amélioration des prises de décision en situations d'incertitude.

## Le problème des décisions "collectives" ou "collégiales"

De plus en plus souvent, du fait de la complexité des problèmes médicaux et techniques à résoudre, le nombre des acteurs médicaux appelés à intervenir en collaboration augmente. Certaines disciplines, comme la cancérologie ou l'hématologie, font le plus souvent appel aux décisions "collectives" ou "collégiales". Mais le phénomène tend à se généraliser.

Cela ne va pas sans poser quelques problèmes. La façon dont les décisions doivent être prises n'est pas encore bien codifiée. On peut redouter qu'interviennent alors des jeux d'influence qui n'ont plus rien à voir avec les arguments scientifiques et rationnels. On peut redouter que ce soit le plus déterminé et/ou le plus influent qui emporte la décision au détriment de celui qui aurait pu avancer les arguments les plus sensés mais qui aura été "neutralisé". Il semble clair que les "règles du jeu" devront être précisées et que, à l'avenir, les divers protagonistes devront s'y tenir.

Des problèmes éthiques et de responsabilité impliqués sont un enjeu important, d'autant que la jurisprudence est en cours d'établissement et que la recherche des responsabilités individuelles ne pourra être éludée.

## Le problème des situations nouvelles issues des avancées majeures de la recherche médicale

Ces situations proviennent des avancées de la science biologique. Elles ont d'abord rendu possibles des réanimations et des survies prolongées par les méthodes de réanimation et de palliation des fonctions vitales défaillantes dans des cas auparavant désespérés. Les greffes d'organes ont contribué de leur côté à ces sauvetages de la vie de patients atteints de défaillances viscérales incompatibles avec la survie. Les décisions des choix des receveurs et du recrutement des donneurs dépassent les attributions d'un médecin isolé ; elles sont le fruit de la coopération d'équipes multidisciplinaires de soignants aux fonctions diverses. La législation en ce domaine règle les modalités des processus à mettre en œuvre. L'heure des exploits est passée (ou devrait l'être) et le problème des indications est résolu, grâce à des procédures de consensus, de façon assez standardisée à l'heure actuelle.

En revanche, des progrès permettant d'intervenir dans les processus de la reproduction sont en plein développement. Ils permettent d'agir sur la procréation, sur l'embryon et le fœtus, sur les gènes, sur la biologie moléculaire et même sur la manipulation des cellules à potentialité de devenir des personnes humaines. Ces problèmes, qui ont en commun de s'adresser essentiellement à des problèmes thérapeutiques inédits sont envisagés au chapitre "Éthique".

## RÔLE RESPECTIFS DU SAVOIR, DU SAVOIR-FAIRE, DE L'EXPÉRIENCE ET DES FACTEURS PERSONNELS DANS LA DÉCISION MÉDICALE

Le savoir est fondamental et indispensable dans la prise de décision médicale. Il est la base des connaissances validées sur lesquelles on peut trouver les notions de référence qui serviront à porter le jugement. La base des connaissances est en croissance permanente et l'augmentation des notions nécessaires est très rapide. Une méthode de mise à jour des connaissances devient donc impérative. On a toutes raisons de penser que la recherche informatisée sur les bases rapportant les travaux scientifiquement validés et les synthèses rigoureuses va connaître un grand essor<sup>(5)</sup>.

Le savoir-faire est individuel. Il s'acquiert par l'apprentissage auprès des aînés compétents, par l'accumulation de l'expérience professionnelle et par la confrontation avec les opinions des autres membres de la communauté médico-scientifique. L'expérience acquise suivant les principes précédents doit être entretenue.

La faculté de faire un bon jugement et le discernement sont des qualités qui semblent faire intervenir une bonne part de qualités intrinsèques du médecin, mais qui peuvent aussi être améliorées par l'apprentissage de l'utilisation d'une méthode de travail stricte.

L'apprentissage du raisonnement médical rigoureux est, à ce point de vue, la voie menant aux possibilités d'amélioration des performances. Le jugement reposant sur des bases solides et aidé par un apprentissage de bonnes méthodes représente donc la meilleure façon de traiter les problèmes de la décision médicale.

### La part personnelle du médecin dans la décision

Il est certain que les jugements que porte le praticien sont très divers et cela entraîne des variations dans la façon de prendre les décisions. Les discussions, parfois animées, que l'on peut constater au cours des réunions de "discussions de cas cliniques" en sont la meilleure illustration. Cette possibilité de conduites différentes se traduit par des variations de pratique plus ou moins importantes qui font l'objet d'études épidémiologiques sur le sujet. Il existe plusieurs raisons à cette variabilité des pratiques :

- Il persiste une insuffisance de données scientifiques incontestable dans certains domaines de la médecine. Le praticien est obligé de pallier ces déficits par une attitude pragmatique d'adoption de mesures de substitution.
- La personnalité des praticiens intervient également. La variabilité des jugements des praticiens pour la même situation est facile à constater. Leurs traits psychologiques interviennent ainsi dans les solutions envisagées et dans les prises de décisions. Il est impossible d'en envisager toutes les variétés qui vont de l'indécis à l'autoritaire et du prudent, voire du timoré, à l'audacieux friand d'exploit (de préférence médiatique)...

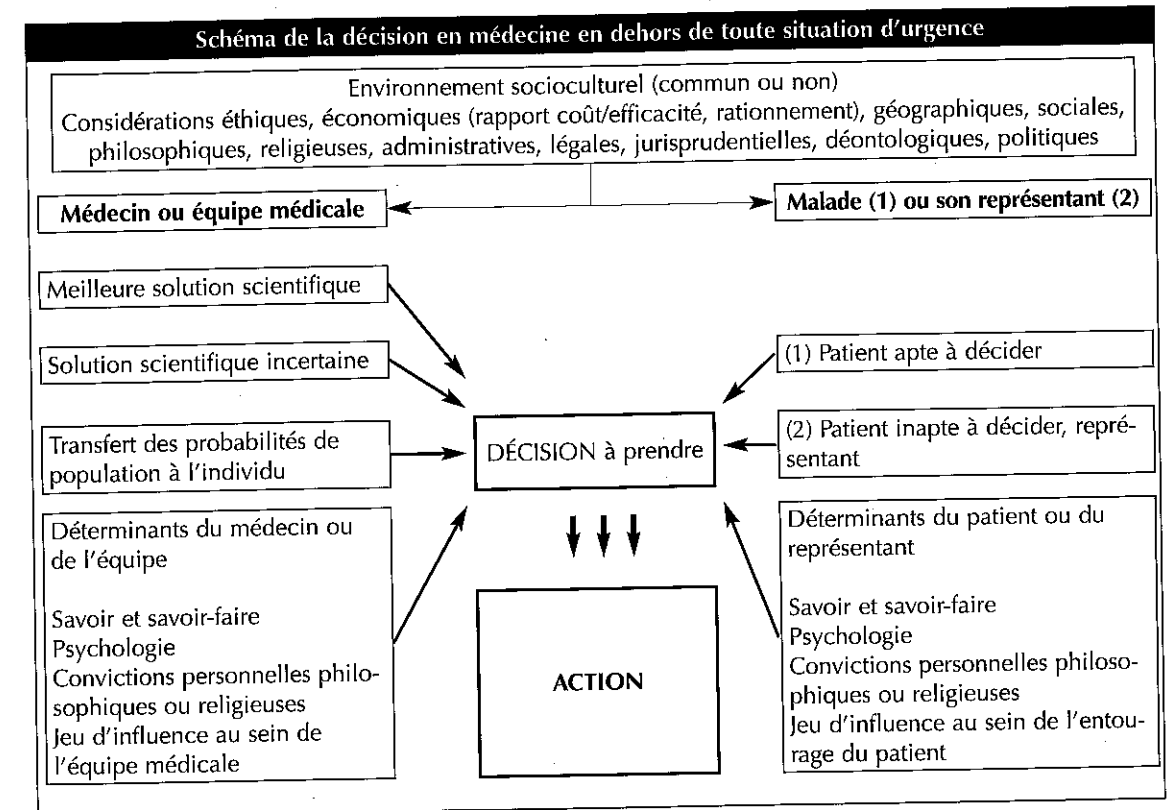
Au fur et à mesure que les données scientifiques s'amélioreront, il y aura une réduction relative des procédures tendant à pallier les insuffisances de connaissance prouvées. Mais les deux dernières considérations font que la part de décision personnelle et incontournable du praticien sera toujours présente, car il persistera toujours une place résiduelle pour les prises de décision en rapport avec les dispositions psychologiques personnelles.

L'amélioration de cette part de la décision résidera probablement de plus en plus dans l'encouragement de la pratique de l'autoévaluation du niveau personnel des connaissances et des capacités propres du praticien, de l'appréciation de la certitude des connaissances disponibles, et du niveau de son savoir-faire dans la gestion de l'incertitude et celle des nœuds décisionnels. Confronté à une situation de décision, le praticien doit prendre conscience que, même lorsqu'il émet des hypothèses, il doit en mesurer les conséquences et ne pas considérer cette activité comme une simple activité intellectuelle sans en voir les retombées pratiques. Il serait inadéquat de considérer cette étape mentale comme une spéculation identique à celle qui a cours dans la recherche. Les décisions doivent prendre en compte les données humaines et environnementales.

<sup>(5)</sup> Il s'y ajoute le savoir personnel tiré de l'expérience du praticien (voir : Savoir personnel).

## L'état actuel de la décision en médecine

Ainsi, de plus en plus, la décision individuelle est la résultante de plusieurs facteurs dont certains sont contradictoires. Le schéma proposé ci-dessous est un condensé bien imparfait des différents facteurs de la décision en médecine. Il montre les différents éléments contextuels qui interfèrent avec le raisonnement de nature médicale proprement dite. Il est valable en dehors de toute situation d'urgence. Dans ce dernier cas, des règles assez strictes prises soit à la suite de travaux d'évaluation des conduites à tenir, soit par consensus doivent être appliquées afin de garantir la prise en charge optimale du patient. Mais même dans ces cas urgents, des considérations extra médicales peuvent interférer avec la conduite souhaitée et en rendre l'exécution malaisée.



Toutes ces interférences peuvent aller jusqu'à représenter des contraintes, qui évoluent de telle manière qu'il faut craindre que la décision en médecine ne s'oriente de plus en plus vers une mise en conformité des mesures à prendre avec des règles préétablies. Ce ne serait alors plus une décision. Il faut le déplorer car, si cela se produisait, on aboutirait à une démission "déresponsabilisante" du raisonnement médical ; et à une abdication de la pensée, du discernement et du jugement médicaux. Ce qui aboutirait à un appauvrissement des capacités nécessaires pour trouver des solutions adéquates à chacun des choix individuels nécessaires. En revanche, une "aide à la décision" serait bienvenue à condition qu'il s'agisse, non pas d'une prescription normative rigide, mais, au contraire d'un outil conçu et adapté pour apporter aux médecins les informations et les arguments leur permettant de faire les choix qui sembleraient les mieux adaptés à la situation concrète à laquelle ils se trouvent confrontés.



## POUR EN SAVOIR PLUS

- Code de Déontologie. Paris : Direction des journaux officiels, 1995.
- ESCALANTE CP, MARTIN CG, ELTING LS, RUBENSTEIN EB. Medical futility and appropriate medical care in patients whose death is thought to be imminent. Support Care Cancer 1997 ; 5 : 274-80.
- GRANATA AV, HILLMAN AL. Competing practice guidelines : using cost-effectiveness analysis to make optimal decisions. Ann Intern Med 1998 ; 128 : 56-63.
- GRENIER B. Evaluation de la décision médicale. Paris, Masson, 1999.
- GRENIER B. Faut-il justifier nos décisions médicales ? Presse Méd 1997 ; 26 : 1343-5
- GRUNDSTEIN-AMADO R. An integrative model of clinical-ethical decision making. Theor Med 1991 ; 12 : 157-170
- HERVÉ C. Éthique de la recherche et éthique clinique. Paris, L'Harmattan, 1998.
- HERVÉ C, WOLF M. Relation médeci-malade: soigner ou se protéger ? La traversée de l'Atlantique par la responsabilité médicale. Presse Med 1998; 27: 1387-1389.
- HOERNI B. L'autonomie en médecine Nouvelles relations entre les personnes malades et les personnes soignantes. Paris, Payot, 1991.
- JADAD AR, HAYNES RB. The Cochrane Collaboration - Advances and challenges in improving evidence-based decision making. Med Decis Making 1998 ; 18 : 2-9
- KASSIRER JP, KOPELMAN RI. Learning Clinical Reasoning. Baltimore, Williams & Wilkins, 1991.
- MATTEI JF, RAUCH C. Génétique et société: implications éthique et légales. Rev Prat 1997 ; 47 : 182-186
- MOSKOWITZ AJ, KUIPERS BJ, KASSIRER JP. Dealing with uncertainty, risks, and tradeoffs in clinical decisions. A cognitive science approach. Ann Intern Med 1988 ; 108 : 435-449
- PAUKER SG, Kassirer JP. The threshold approach to clinical decision making. N Engl J Med 1980 ; 302 : 1109-1117.
- PROTHEROE J, FAHEY T, MONTGOMERY AA, PETERS TJ. The impact of patients' preferences on the treatment of atrial fibrillation: observational study of patient based decision analysis. BMJ. 2000 ; 320 : 1380-4.
- REID MC, LANE DA, FEINSTEIN AR. Academic calculations versus clinical judgments: practicing physicians use of quantitative measures of test accuracy. Am J Med 1998 ; 104 : 374-380.
- REISMAN Y. Computer-based clinical decision aids. A review of methods and assessment of systems. Med Inform 1996 ; 21 : 179-197.
- RIZZO JA. Physician uncertainty and the art of persuasion. Soc Sci Med 1993; 37:1451-1459.
- RUSSELL LB, Gold MR, Siegel JE, Daniels N, Weinstein MC. The role of cost-effectiveness analysis in health and medicine. JAMA 1996 ; 276 : 1172-1177.
- SACKETT DL, HAYNES RB, GUYATT GH, TUGWELL P. Clinical Epidemiology. A Basic Science for Clinical Medicine (2<sup>e</sup> édition). Boston, Toronto, Londres, Little & Brown. 1991.

## CE QU'IL FAUT RETENIR

- La décision est la partie noble de l'activité intellectuelle médicale. Elle est porteuse de sens et est le fait des médecins responsables.
- Une décision intervient à chaque étape de la prise en charge du patient sous la forme de nœuds décisionnels divers où le jugement du médecin intervient dans des circonstances variables, comme choisir l'examen complémentaire le plus performant ou bien la meilleure méthode thérapeutique ou la forme adéquate pour délivrer une information, pour ne citer que les exemples les plus communs. La clôture du processus de prise en charge du patient passe par deux étapes décisionnelles majeures : la décision d'accepter de façon ferme le diagnostic final et la détermination de la conduite thérapeutique et des soins.
- En médecine de soins, la décision en situation de certitude est aisément praticable quand le praticien dispose de connaissances parfaitement établies sur le plan scientifique.
- En revanche, le jugement médical est malaisé en situation d'incertitude. Le praticien devra le porter dans des circonstances où pour diverses raisons il ne dispose pas de tous les éléments du savoir scientifique souhaitables. Il lui faudra, par exemple se contenter d'une simple hypothèse et non de notions démontrées. La prise de conscience de cette situation n'est pas toujours patente. Lorsqu'elle l'est, elle peut être source d'angoisse et de difficulté de jugement, provoquant ainsi une prise de précautions exagérées.
- La décision médicale nécessite la maîtrise de nombreux facteurs. En plus des facteurs dépendant des connaissances et du savoir-faire professionnel, la décision nécessite le contrôle de plusieurs autres composantes et subit un certain nombre de contraintes. Celles-ci peuvent être d'ordre économique, déontologique, législatif ou réglementaire, administratives et circonstancielles diverses. Les recommandations médicales opposables et les recommandations de pratique clinique peuvent interférer avec les autres facteurs de décision pour la résolution de certains cas complexes. La décision se fait aussi dans un contexte familial, professionnel social ou même ethnique et elle relève beaucoup moins du ressort du médecin que par le passé.
- Pour l'instant, la mise en œuvre de systèmes d'aide à la décision, très intéressants sur le plan théorique, reste du domaine de la recherche.

- Sox HC Jr. Probability theory in the use of diagnostic tests. An introduction to critical study of the literature. Ann Intern Med 1986 ; 104 : 60-66.
- TRUCHET D. La décision médicale et le droit. Actualité juridique de droit administratif 1995 : 611-619.

# Index

# INDEX DES MOTS-CLÉS

(Les définitions sont indiquées en caractère gras)

- Acceptabilité : 116  
Accident thérapeutique (causalité) : 45  
**Affection : 62**  
Aides à la décision : 194, 247-250  
**Aléa thérapeutique : 190**  
Analyse de sensibilité : 249  
Antagonisme sensibilité-spécificité : 55  
Arbre décisionnel : 247-249  
Arrêt de la thérapeutique : 195  
Assurance maladie : 229  
Autocritique : 124  
Automédication : 225  
**Autonomie : 214, 242, 246**  
**Autonomie du patient : 216**  
Autoquestionnaire : 58  
Aveugle (procédure d') : 100  
**Axiome : 30**  
**Banques d'information : 142**  
**Base de données informatiques : 142**  
Bases de données médicales : 143  
Bénéfices économiques : 232  
**Biais :**  
– de confusion : 47  
– de lecture : 57  
– de sélection sur la gravité de la maladie : 57  
– de sélection : 47  
– de vérification : 57  
– d'information : 47, 83  
**Bienfaisance : 216**  
Bioéthique : 19, 219  
Biopathologie : 35, 207  
Botanique : 63  
Cancérologie : 39, 158, 202  
**Catégorie : 28**  
**Causalité : 42-45, 69, 110, 111, 158**  
**Cause : 42**  
CCPPRB : 217  
Chimioprophylaxie : 199  
Chirurgie : 102, 103  
**Classe : 28**  
**Classement : 28**  
**Classification : 27**  
des maladies : 63-67  
Clôture du diagnostic : 162, 174  
**Code de Nuremberg : 211**  
Coefficient de corrélation intraclasse : 52  
Cohorte incipiente : 82  
Compagnonnage : 11, 80, 122  
Compliance : 226, 227, 242  
Conférence de consensus : 105  
Connaissances :  
– médicales, mise à jour : 11, 12, 106, 121, 122  
– médicales, élaboration : 46  
– médicales, renouvellement rapide : 11-12, 25, 141  
– tirées de l'expérience personnelle : 121  
**Contingence : 251**  
**Courbe ROC : 56**  
**Coûts directs : 232**  
**Coûts indirects : 232**  
Couverture maladie universelle (CMU) : 229  
**Critères :**  
– de causalité de Hill : 45, 111  
– de classification : 66  
Critique : 32  
(nécessité) : 25, 32  
**Culture : 139, 208, 212, 213, 224, 240**  
**Décision : 245**  
collective ou collégiale : 253  
**médicale : 245, 245-256**  
Démographie médicale : 230  
**Déontologie : 138, 208, 214, 250**  
Dépenses de santé : 229  
**Dépistage : 43, 114, 114-116, 201-203**  
**ou prévention secondaire : 109**

Dermatologie : 27, 36, 61, 63, 65

**Déterminisme : 42**

Diagnostic : 150, 155-184, 185, 245

- différentiel : 158

- étiologique : 158

- instantané : 160

- **précoce : 114, 201**

**Doctrinaire : 33, 40**

**Doctrines : 32**

**Dogmatique : 32, 40**

**Dogme : 32, 137**

**Donné : 27**

**Données : 27**

DSM (manuel diagnostique et statistique des maladies mentales) : 41, 240

Échelle (score) de risque d'une maladie : 112

**Échelle composite d'évaluation : 57-60**

Échelles (scores) de gravité : 85, 86, 186

Économie de la santé : 139, 208, 231-235

**Effet placebo : 91, 196, 197**

**Effets secondaires des thérapeutiques : 101, 190**

**Efficacité : 232**

**thérapeutique : 190**

Effizienz : 232

Entité nosologique : 65, 66

Entité nosologique idéale : 69

**Épidémiologie : 110**

Épidémiologie clinique : 110

**Équité : 216**

Erreurs : 46, 47

- **aléatoires : 47**

- conceptuelles : 46

- de diagnostic : 177-181

- de pronostic : 187

- méthodologiques : 47

- **systématiques ou biais : 47**

Essai :

- randomisé : 43, 93-95, 99, 113, 200, 249

- thérapeutique de phase 1 : 98

- thérapeutique de phase 2 : 98

- thérapeutique de phase 3 : 99, 99-102

- thérapeutique de phase 4 : 99

Éthique : 38, 124, 138, 196, 207, 250

- des essais thérapeutiques : 94, 102

- fondements : 212-215

- **médicale : 211**

**Étiologie : 44, 45, 158**

Étude :

- avant-après : 113

- cas témoins : 113

- coût-bénéfice : 233

- coût-efficacité : 233

- coût-utilité : 233

- de cohorte : 82, 113

- de minimisation de coût : 233

- ici-ailleurs : 113

- médico-économique : 231-234

- promotionnelle : 99

Évaluation :

- médico-économique : 113, 116

- **météorologique : 50**

Evidence-based medicine : 123, 141-145, 247

Évitabilité : 113

**Évolution d'une maladie : 69, 81, 81-87, 185**

Examen clinique : 124, 156

Examens complémentaires : 12, 77, 78, 157, 168

Exercice de la médecine : 11-12, 19, 25, 38, 219

**Expérimentation : 17, 31**

- animale (des médicaments) : 98

- humaine : 217, 218

Extrapolation et généralisation des résultats des études : 56, 57, 82, 101

Facteur :

- de confusion : 42, 83

- **de risque : 45, 200, 201**

- **prédictif (de l'évolution) : 81, 186**

- **pronostique : 185**

- interférant (avec la mise en œuvre du raisonnement médical) : 20, 207-243

Falsification : 31, 36, 138

**Fiabilité : 49**

**Fidélité : 216**

Flair (en médecine) : 38, 39

**Futilité : 191**

Gain de temps (dans l'histoire naturelle) : 115

Génétique : 96, 238

Gériatrie : 238

Gold standard (ou méthode de référence) : 53

Grille de lecture standardisée (de la littérature médicale) : 143

**Hétéronomie : 214**

**Heuristique : 28, 132-136**

- d'ajustement : 133, 166

- de disponibilité : 133, 166

- de représentativité : 133, 160, 166, 167, 173

**Histoire naturelle de la maladie : 81, 185, 186, 200**

Histoire naturelle de la maladie (modifier) : 186

Hygiène : 109, 200

**Hypothèse : 31**

  diagnostique : 160, 167-174

iatrogénicité : 190, 237, 238

Immigrés : 226

**Incertitude : 251**

**en pratique médicale : 136, 251, 251-253**

**Indication thérapeutique : 190, 192-194**

Infections nosocomiales : 200

**Inférence : 28**

Information du patient : 185, 195, 201, 215, 219, 246

Insu : 100

Intention de traiter (analyse en...) : 100

Interprétation : 28, 36

**Intuition : 33, 39**

Isolement : 199

**Jugement : 175, 245**

Jurisprudence : 208, 250

**Kappa (coefficient) : 51**

Labellisation ("labelling effect") : 201

Likelihood ratios : 170

Littérature médicale : 56, 57, 82, 101, 105, 142-144, 247

**Logique : 30**

**formelle : 30**

Loi Huriet : 217

Magie : 15, 16, 225

**Maladie : 62**

  Maladie "idiopathique" : 159

  Maladies :

    - cardiovasculaires : 39, 96, 112, 113, 158, 202

    - génétiques : 159

    - immunitaires : 158

    - infectieuses : 44, 56, 96, 158

    - mentales : 40

    - orphelines : 238

**Mancœuvre placebo : 91**

Mathématique : 30

Médecine :

  - coût : 12

  - physique : 103

  - scientifique : 11, 18, 25, 35-37

  - histoire : 15-18

  - alternatives : 36, 225, 226

Medline : 142

**Mesure : 27, 49**

Méta-analyse : 105, 144

Méthode :

  - anatomo-clinique : 17

  - de Bland et Altman : 52

  - de l'arbitrage temporel : 232

  - de l'équivalent probabiliste : 232

  - phénétique : 63, 64

  - phylogénétique : 63, 64

  - **thérapeutique : 190, 193**

Météorologie : 49

Mode de pensée :

  - individuel rigoureux : 134, 172

  - irrationnel : 137

  - par jugement éclairé : 135

**Modèle ou catégorie culturelle : 224**

Motivation du médecin : 191, 192

Motivation du patient : 147-149, 191

Neurobiologie : 40, 41, 92, 240

Niveau de fiabilité : 144

Niveau de validité des constructions nosologiques : 67, 68

**Nocebo : 91**

Nœud décisionnel : 155, 162, 247

Nombre nécessaire de sujets :

  - à dépister : 115

  - à traiter : 105

Normalité : 41, 70, 78, 240

- Normalité (variations culturelles de la...) : 71
- Nosographie : 62**
- Nosologie :** 61-73, **62**, 155, 176
- Observation : 27, 28, 217, 218
- Odds ratio : 111
- Orthopédie : 39
- Pathologique : 71**
- Perdus de vue : 83
- Performance :  
– diagnostique : 175-178  
– pronostique : 187  
– thérapeutique : 194
- Pharmacovigilance : 101
- Philosophie : 41, 207, 212, 213
- Physiologie : 35
- Physiopathologie : 35, 127
- Placebo impur : 91**
- Placebo pur : 91**
- Placebo : 90-95**
- Placebosensibilité : 93
- Polypathologie : 237, 238
- Postulat : 30**  
– de Henlé-Koch : 44
- Prescription médicamenteuse : 195
- Prévention : 43, 199-201  
– **primaire : 109-114**  
– **tertiaire : 109**
- Principe de causalité : 42**
- Prise en charge du patient : 147-151, 190
- Pronostic :** 150, 151, **185**, 185-188, 242, 245
- Proportion de cas attribuables (à un facteur de risque) : 112
- Protection sociale : 208, 229-231
- Psychiatrie : 40, 58, 64, 72, 103, 208, 209, 226, 239, 240
- Psychologie : 138, 208, 209, 239
- Psychothérapies : 103
- Qalys : 232
- Qualité de vie : 58, 59
- Quantification : 12, 38, 79
- Raisonnement :** 11, 13, 16, 17, **28**  
– aidé par algorithme : 130, 171, 172, 247  
– **analogique : 130**  
– causal : 126, 127, 168, 169, 173  
– **déductif : 29**  
– descriptif : 126  
– hypothético-déductif : 31  
– **inductif : 31**  
– physiopathologique : 127-129, 168, 173  
– probabiliste : 31-32, 129, 130, 169-171, 173
- Randomisation : 99
- Rationalité : 28
- Réanimation : 96, 215
- Recherche sur l'humain : 215
- Recommandations de pratique clinique :** 194, 203, **230, 231**
- Références médicales opposables :** **230, 231**
- Réglementation de l'exercice médical : 208, 250
- Relation médecin-malade : 208, 219, 223-228, 239, 241, 242, 246
- Religion : 207, 212, 216, 225
- Représentation : 224**
- Réseau informatique : 142**
- Responsabilité : 254
- Révélation : 39
- Revue(s) systématique(s) : 105, 144
- Rhumatologie : 52, 54, 84
- Risque :  
– absolu : 111, 200  
– relatif : 111
- Santé : 71, 207**
- Satisfaction : 227
- Savoir : 121, 122, 254
- Savoir-faire : 122, 123, 254
- Science :  
– médicale : 11-12, 18, 25, 35, 36  
– naturelle (science médicale comme une...) : 36  
– cognitives : 28, 132, 164, 166
- Sémiologie : 75, 75-80, 155, 176**
- Sensibilité : 54, 116, 169, 170**
- Seuil de décision : 164, 165
- Signe : 76**
- Signes :**  
– **fonctionnels : 76**  
– **fonctionnels objectifs : 76**  
– **fonctionnels subjectifs : 76**  
– **généraux : 76**  
– **physiques : 76**

- Société : 208, 212, 223, 240
- Soins : 190**
- Somatisation : 148, 226, 240
- Spécificité : 54, 116, 169, 170**
- Spéculation : 16, 39, 137**
- Stratégie thérapeutique : 190**
- Suggestion : 92
- Suivi : 151
- Supputation diagnostique : 183
- Surveillance : 151
- Surveillance du suivi : 195
- Syllogisme : 29**
- Symptôme : 75**  
– **direct : 75**  
– **fonctionnel : 75**  
– **indirect : 76**
- Syndrome : 79, 156, 156-159**
- Système :  
– de soins : 229  
– **documentaire informatique : 142**
- Taxinomie : 27**
- Taxinomie en médecine : 62**
- Téléologie : 214**
- Test :  
– diagnostique : 53-57  
– statistique : 100, 101
- Théorème de Bayes : 32, 129, 169, 170
- Théorie : 31**
- Thérapeutique :** 43, 87-107, 144, 151, 189-198, **190**, 246
- Théurgie : 16
- Traduction-adaptation (d'une échelle composite d'évaluation) : 59, 60
- Traitement : 189**  
– **curatif : 95, 151, 190**  
– de suppléance : 190  
– **incertain : 105**  
– **invalide : 105**  
– **palliatif (symptomatique) : 95, 190**  
– symptomatique : 151  
– **valide : 105**
- Traumatologie : 86, 96, 158
- Utilité : 51, 190, 232, 249
- Vaccination : 199
- Valeur(s) :  
– de référence (construction de ...) : 72  
– prédictives : 116, 170  
– sémiologiques : 79
- Validation : 50  
(des entités nosologiques) : 66
- Validité : 50  
– de construction : 59  
– de contenu : 59  
– de structure : 59  
– instrument :
- Variabilité : 50
- Visite médicale : 106