

# LIRE UN ARTICLE MÉDICAL

---

**SÉANCE 5 : NOTIONS, L'ESSAI RANDOMISÉ CONTRÔLÉ**

[lucy.georges@univ-lorraine.fr](mailto:lucy.georges@univ-lorraine.fr)

# NOTIONS DE CONCEPTION : L'AVEUGLE

---

Eviter les biais

- Du participant
- Du chercheur

3 niveaux

- Simple            participant **ou** chercheur
- Double            participant **et** chercheur
- Triple            participant **et** chercheurs

# NOTIONS DE CONCEPTION : BRAS

---

Séparation selon traitements

Types

- Expérimental
- Comparaison active
- Placébo
- Factice
- Sans intervention

# NOTIONS DE CONCEPTION : ATTRIBUTION

---

Distribution aléatoire ou non aléatoire

Randomisation

- *A priori*
  - Par blocs permutés
  - Par strates - en fonction des caractéristiques des patients
- *A posteriori*
  - Adaptive – tient compte des attributions qui précèdent
  - Minimisée – adaptive par strates
  - Gagnant renforcé – efficacité précédente prise en compte

# NOTIONS DE CONCEPTION : CLUSTER RANDOMIZATION

---

Attribution en fonction d'un groupe pas de l'individu

Permet

- d'évaluer une intervention où l'impact concerne le système plutôt que l'individu
- d'éviter la **contamination**

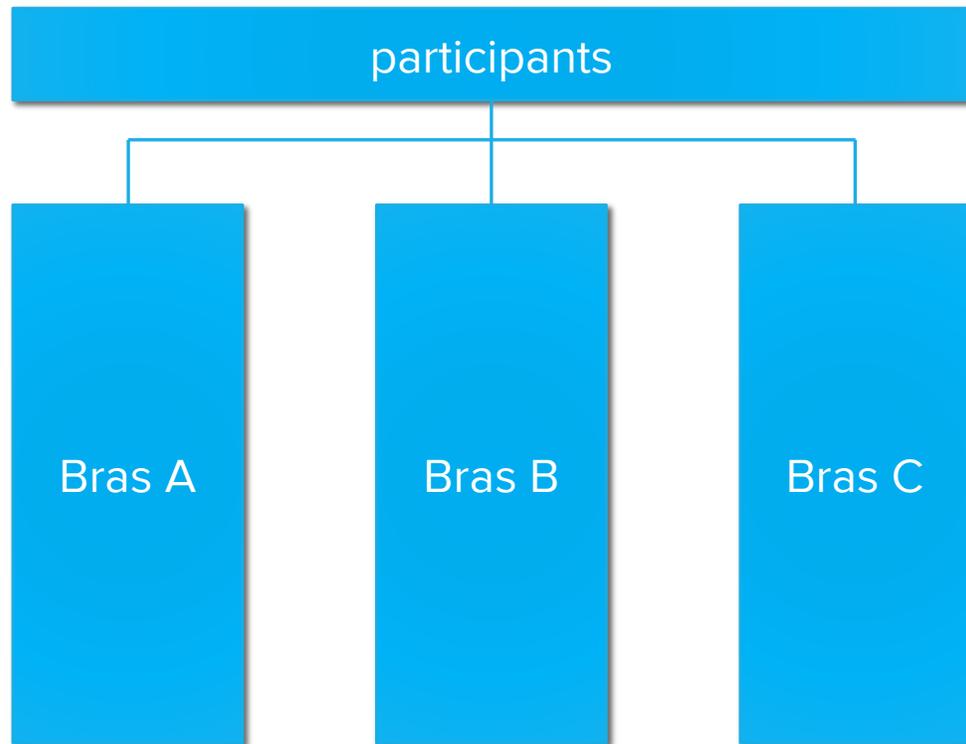
Exemple : Essai de deux stratégies de perte de poids



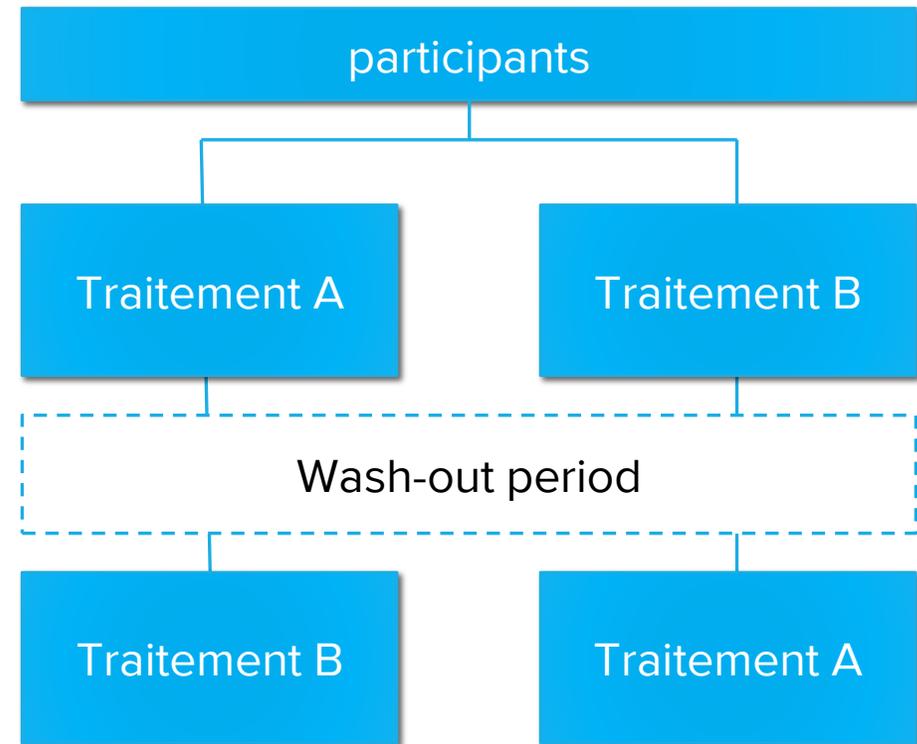
# NOTIONS DE CONCEPTION :

## CROISEMENT

Parallèle



Croisé



$A+B = B+A ?$

# VÉRIFICATION DE RÉSULTATS

---

## Test-retest

- Comparaison des résultats d'un même test après un laps de temps

## Inter-rater reliability

- Comparaison des résultats à un même test de deux évaluateurs différents

## Spécificité

- Bonne identification des vrais négatifs, peu de faux positifs

## Sensibilité

- Bonne Identification des vrais positifs, peu de faux négatifs

### The Truth

		Has the disease	Does not have the disease	
Test Score:	Positive	True Positives (TP) a	False Positives (FP) b	$PPV = \frac{TP}{TP + FP}$
	Negative	False Negatives (FN) c	True Negatives (TN) d	$NPV = \frac{TN}{TN + FN}$

**Sensitivity**

$$\frac{TP}{TP + FN}$$

**Specificity**

$$\frac{TN}{TN + FP}$$

Or,

$$\frac{a}{a + c}$$

$$\frac{d}{d + b}$$

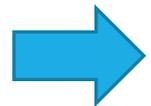
# VÉRIFICATION D'ANALYSES STATISTIQUES

---

## EXAMPLE

QUESTION DE RECHERCHE : Est-ce que le contact physique avec un bébé a un effet sur le bonheur du père ?

HYPOTHESE : Tenir un bébé rend plus heureux que simplement regarder un bébé



Étude comparative de deux groupes

L'hypothèse nulle = pas de différence significative

# ERREURS

---

L'hypothèse nulle = aucune différence significative

Type I : rejet de l'hypothèse nulle vraie

Type II : absence de rejet d'une hypothèse nulle fausse

# TESTS POST-HOC OU CORRECTIONS

---

Réduction ou élimination des erreurs, notamment de type I

Nombreuses méthodes statistiques

- Scheffé, Tukey, Bonferroni, Dunn, Fischer's LSD, Newman-Keuls, Dunnett's...
- Choix dépendra de la **nature des données** et du **test initial**

# L'ESSAI (OU ÉTUDE) RANDOMISÉ CONTROLÉ

---

Une référence (gold standard)

- Méthode rigoureuse pour identifier une relation cause-effet entre un traitement et un résultat

Méthode de randomisation choisie au besoin

Aveugle utilisé lorsque c'est possible

# L'ÉTUDE RANDOMISÉE CONTROLÉE

---

+

Niveau de preuve le plus élevé pour évaluer un traitement

Meilleure démonstration de lien cause à effet

La randomisation limite l'influence des facteurs de confusion potentiels

Pas de doute sur la chronologie

Permet les études en aveugle et ainsi limite certains biais

Peut mesurer incidence et résultats multiples

-

Problèmes éthiques pour l'attribution.

Coûteux et long.

Peu efficace lorsque la pathologie est rare ou lorsque l'effet est retardé.

Generalisabilité – les participants peuvent être plus enclins à adhérer au traitement que la population plus large.

Limite de l'essai randomisé	Complémentarité des études de cohorte et cas-témoin
Protocole stricte et peu représentatif d'une situation empirique	Habituellement représentatif des soins médicaux réels
Exclut des populations d'intérêt (enfants, femmes enceintes, personnes âgées)	Peut focaliser sur tout type de population
Taille d'échantillon limitée	Peut inclure un grand nombre de patients, surtout en utilisant des sources de données secondaires, ce qui est probant pour la détection d'événements rares.
Durée courte	Peut suivre une population pendant des années
Evaluation de comparaisons de traitements sans pertinence	Peut comparer plusieurs traitements pertinents
Critères d'évaluation pas toujours pertinents pour le patient	Peut inclure tout critère qui est mesurable
Coût élevé	Coût relativement bas.

Source : John-Michael Gamble, Canadian Journal of Hospital Pharmacy , VOLUME 67 , NUMBER 5 , September-October 2014

# ELÉMENTS POUR ANALYSER LA MÉTHODOLOGIE D'UNE ÉTUDE CONTROLÉE RANDOMISÉE

---

## Focalisation

- Identification : population, facteur(s) de risque, effet(s)

## Randomisation

- Méthode employée

## Aveugle

- Simple, double, triple ?

## Comparabilité des groupes ?

- facteurs divers (age, sexe, socio-économiques...)

---

## Egalité des groupes

- Mêmes méthodes de suivi et analyse (à l'exception du traitement)

## Entrées = sorties

- Attrition?

## Ampleur des résultats

- Identification de : primary (& secondary) outcomes
- Omissions dans les résultats?

---

## Précision

- Résultats significatifs? Intervalles de confiance ?

## Pertinence

- Les résultats sont-ils applicables dans la pratique clinique ?

## Omissions

- Résultats non pris en compte? Besoin de l'étude expliqué ?

## Rapport bénéfices – risques

- Évoqué ?
- 

# CONSORT

---

**1993** – 2 groupes indépendants (Ottawa & Californie) produisent deux listes

**1996** – Rencontre des deux groupes, 1ere liste CONSORT  
Consolidated Standards of Reporting Trials

**2001** – Révision de la liste et du schéma

**2007** – Révision

**2010** – Dernière révision en date

*Révisions mineurs depuis, notamment 2019 pour 3+ bras*

*Ajouts d'extensions*



---

# **EXERCICE D'APPLICATION**

