

Raisonnement médical, arbre de décision

I) Histoire du raisonnement médical

La préhistoire :

- ♣ Observation de lésions sur des squelettes (cicatrisation de certaines trépanations : **hémorragie**) réalisée à dessein. Cependant il persiste une incertitude : ce sont des pratiques rituelles ou thérapeutiques ?
- ♣ Il y avait aussi de la **magie** et de la **théurgie** : fondements des croyances médicales de l'époque.

Théurgie : (du grec ancien theos, dieu et ergon, travail) est une forme de magie qui permettrait à l'homme de communiquer avec les « bons esprits » et d'invoquer les puissances surnaturelles aux fins louables.

Les temps historiques :

- ♣ Avec l'apparition de l'écriture on commence à trouver des **écrits** de médecine.
- ♣ **Médecine théurgique** : la médecine babylonienne interprétait les astres, la médecine égyptienne attribuait les maladies à l'intervention de diverses puissances surnaturelles et avait recours à l'**invocation des dieux** pour obtenir la guérison.
- ♣ Cependant certains papyrus révèlent des descriptions de maladies reconnues. Certains médicaments et onguents accompagnaient les incantations.
- ♣ Instruments chirurgicaux en Egypte (dans le bas-relief du temple de Kom Ombon)

La Grèce antique :

- ♣ La rationalité de la médecine vient avec **Hippocrate** qui a dégagé la médecine de l'influence théurgique et du réflexe en donnant de l'importance à l'**observation**. Il a décrit la goutte, le paludisme, la lithiase et l'épilepsie entre autres. → **ratio** = **raison**, ici liée à la **connaissance**
- ♣ A l'époque hellénistique (grecque), les médecins de l'école d'Alexandrie commencent à étudier l'anatomie (Hérophile)
- ♣ C'est le début de la **compréhension rationnelle des phénomènes**
- ♣ Les préoccupations morales de l'exercice sont prises en charge par le **Serment d'Hippocrate**
- ♣ Mais il persiste des principes et d'autres constructions spéculatives basées sur du raisonnement **analogique** sans aucune démonstration
- ♣ **L'influence des dieux en médecine est remplacée par celle des médecins et d'Esculape, Hippocrate**

Le siècle des Lumières :

- ♣ **La Renaissance** : l'aube de la médecine scientifique (*Sylvius, Fallope, Eustache, Ambroise Paré : anatomistes*)
- ♣ Le souci de l'**observation rigoureuse** et de l'**analyse critique** des phénomènes sans interprétation théorique dogmatique va naître.
- ♣ Au XVII^{ème} siècle, Sanctorius de Padoue évoque la **métrologie** en médecine et Malpighi découvre les cellules du **microscope**. L'anatomie pathologique et anatomie orientée sur l'étude des voies d'abord **chirurgicales** sont inventées (Scarpa, Morgagni...)
- ♣ La vaccination inventée par Jenner en 1797 (observations empiriques mais solides de transmission de la vaccine) : protection contre la variole.

La révolution industrielle :

- ♣ Changement **épistémologique** au XIX^{ème} siècle grâce au perfectionnement de la **méthode anatomo-clinique**, puis le développement de la **physiologie**, de la **médecine expérimentale** et de la **bactériologie**

- ♣ Grands cliniciens : Bichat, Laennec, Bright, Hodgkin, Addison, Charcot. Magendie et Claude Bernard ont inauguré la médecine expérimentale basée sur l'utilisation du **raisonnement scientifique** et sur l'apport de la physiologie : corrélation entre l'expression (clinique) / physiologie.
- ♣ Pasteur a détruit le dogme de la **génération spontanée**
- ♣ Koch et Henlé ont établi les postulats des rapports de causalité concernant les **maladies infectieuses**. *Ex: phthisie galopante ou tuberculose*
- ♣ Il manquait tout de même des éclaircissements sur la nature des maladies et surtout les moyens thérapeutiques restaient encore limités

De nos jours :

- ♣ L'exercice de la médecine s'inscrit dans le cadre de **principes rationnels** acceptés le plus souvent explicitement par les acteurs de la médecine du **monde occidental contemporain**
- ♣ 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
- ♣ Une médecine efficace ne peut se concevoir sans ces bases scientifiques de l'élaboration des **connaissances médicales et des actes médicaux**

Connaissances médicales :

Il y a 2 catégories schématiques **complémentaires et unifiées** au niveau conceptuel par une conduite logique commune qui est l'application du raisonnement scientifique :

- ♣ **Science spécifiquement médicale** qui aboutit aux procédures de prise en charge des patients : sujet sur lequel on applique des décisions avec conscience
- ♣ **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

II) Notion d'épistémologie

Pour les sciences du vivant :

Epistémologie : étude des **sciences**, donc des principes, des **méthodes** et des **outils** intellectuels utilisés dans les sciences (*tout ce qui concourt à la production d'une décision*)

Observation et description du réel :

⌘ L'observation et la mesure ⌘

- ♣ **Données** : ce qui est perçu **immédiatement** par observation et indépendamment de tout raisonnement : il s'agit du fait conscient irrécusable
Ex : si ça marche sur 10000 patients, ça marche sur notre patient
- ♣ **Donné** : 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
- ♣ **Mesure** : quantification d'un phénomène. La qualité d'une mesure est donc la capacité de cette mesure à bien rendre compte du phénomène

⌘ Taxinomie ⌘

- ♣ **Taxonomie = taxinomie** : 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.
- ♣ **Classification** : 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 du classement
 - ♥ Action intellectuelle de distribuer par classe ou par catégories
 - ♥ Résultat de cette action
- ♣ **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** :
 - ♥ Action concrète de ranger dans un certain ordre préalablement défini
 - ♥ Façon dont un ensemble est rangé

Ex : causes d'anémie

Interprétation du réel, raisonnements

⌘ Définitions ⌘

Quand l'homme est confronté à un problème à résoudre (jugement, prévision...), il doit mettre en œuvre des **mécanismes mentaux** qui lui permettront d'aboutir à une conclusion, à porter une inférence

➔ Observation ➔ conclusion

Il y a 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**

- ♣ **Inférence** : passage d'un admis initial à un admis qui est accepté à cause de sa connexion avec celui-ci
Ex : porter un diagnostic / ceux qui ne travaillent pas n'auront pas l'examen
- ♣ **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

⌘ Raisonnement analogique ⌘

Il est extrêmement ancien et répandu (époque médiévale). Il a été discrédité par Descartes (déductiviste) puis par Bacon ou Newton (inductiviste). Quel est le principe ? ➔ 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).

Dans le langage courant : « *les mêmes causes produisent les mêmes effets* ». Ce raisonnement est rigoureux quand il prend la forme d'une proportionnalité ($A/B = C/D$)

Ex : 2 étudiants de P1 se connaissent : l'un travaille 3h et à un certain résultat si l'autre travaille 3h alors il aura le même résultat

En droit, il est la base de la notion de jurisprudence (pour condamner quelqu'un).

En recherche scientifique, il est utilisé en tant qu'outil expérimental. L'homéopathie est fondée sur une physiopathologie de type analogique.

⌘ Raisonnement déductif ⌘

- ♣ **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 classique de syllogisme : Tous les hommes sont mortels (prémisse majeure), Socrate est un homme (prémisse mineure) ; donc Socrate est mortel (conclusion).

➔ Deux formes de syllogismes peuvent être distingués :

- ♥ **Le modus ponens (MP)** : Si $A \rightarrow B$ et A, alors B
Ex : Le syllogisme « Socrate » est de ce type, ça permet de faire progresser un raisonnement en déduisant ce qui est possible à partir de ce qui est connu.
- ♥ **Le modus tollens (MT)** : Si $A \rightarrow B$ et non B, alors non A
Ex : Le médicament X guérit tous les cancéreux, un cancéreux ayant pris le médicament X est mort de sa maladie ; donc il est faux que le médicament X guérit tous les cancéreux.

⌘ Raisonnement hypothéco-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**.

- ♣ **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

En sciences appliquées, en particulier biologiques, le raisonnement déductif pur ne peut être utilisé. On utilise sa variante, le **raisonnement hypothéticodéductif**.

Il sous-tend la démarche expérimentale et la théorie des tests statistiques utilisés en sciences.

- ♣ **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** à répétition 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, c'est que l'hypothèse est fausse : on dit qu'elle est réfutée : c'est le modus tollens. En revanche, si les résultats sont compatibles, le scientifique ne pourra rien dire sur la véracité de l'hypothèse : il l'admet jusqu'à la preuve du contraire.
- ♣ **Raisonnement par l'absurde** : 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 fausse (et donc que son contraire est vrai).

⌘ Raisonnement inductif ⌘

- ♣ **Raisonnement inductif** : Raisonnement qui va **du particulier au général** : il part des 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.
Exemple : courant d'induction → dynamo qui fait de la lumière.
Exemple : 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.

⌘ Raisonnement probabiliste ⌘

Une des limites du raisonnement inductif est que la certitude des conclusions ne peut **jamais être aussi absolue** que dans la déduction. Cette incertitude a pu être quantifiée par une approche probabiliste : c'est une application directe du **théorème de Bayes**. C'est une transposition dans la vie réelle avec des réseaux Bayésiens.

La probabilité d'une hypothèse (ou théorie) est égale au produit de la probabilité a priori de cette hypothèse, $P(H)$ par la probabilité conditionnelle de l'événement si l'hypothèse est vraie, $P(E|H)$, divisée par la probabilité de l'événement, $P(E)$:

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

III) Décision

Définitions et étapes de la décision :

⌘ Définitions ⌘

En médecine se pose le problème de la décision : *le résultat ne compte pas c'est le processus.*

Ex : choix d'un diagnostic

- ♣ **Décision** : c'est un jugement qui apporte une solution

- ♥ **Décision logique/rationnelle** (réflexion) : procède de prémisses analysées par inférence
- ♥ **Décision affective** (sentiments) : procède du préjugé, de la conduite de l'imitation sociale, de la réaction passionnelle

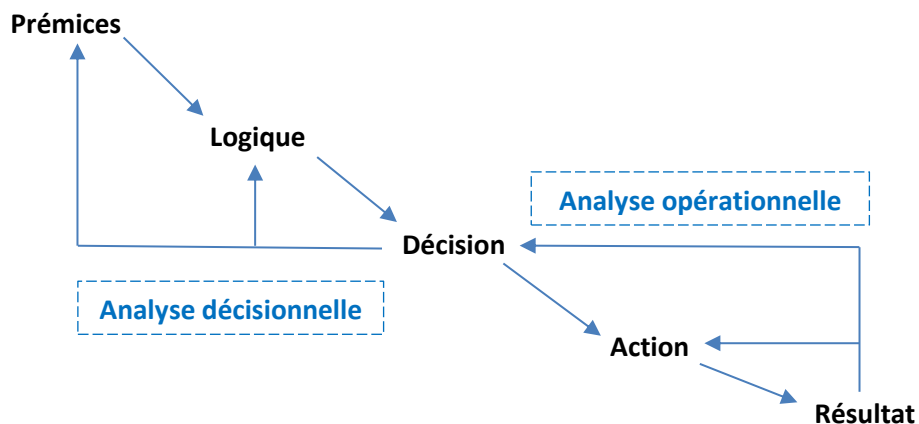
⌘ Etapes de la décision médicale ⌘

1. **Identification du problème décisionnel** : interprétation des données cliniques et sélection des informations significatives
2. **Structuration du problème décisionnel** : formulation d'hypothèses diagnostiques de façon déductive (signe pathognomonique) et de façon inductive (diagnostic dans une population à risque)
3. **Choix de la solution** : fait appel à des connaissances mémorisées et structurées

⌘ Pertinence de la décision ⌘

Elle peut être effectuée à partir de ses **conséquences** (évaluation des résultats) ou bien de ses **qualités intrinsèques** (sécurité, efficacité, efficience, optimalité, puissance, bénéfice, risque, utilité, légitimité, caractère approprié).

⌘ Raisonnement et décision ⌘



Ce schéma se présente comme une balance de la justice. Le résultat n'est qu'une étape dans la décision : c'est la mise en œuvre du raisonnement.

Décisions diagnostiques :

On a 3 situations possibles :

- Du symptôme au diagnostic
- Cas d'un nouveau symptôme
- Découverte fortuite d'une anomalie de l'examen clinique

Du symptôme au diagnostic :

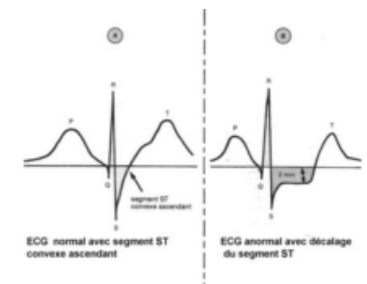
1. **Génération d'hypothèses** : Mémorisation de situations déjà vécues, référence à des modèles physiopathologiques, arbres décisionnels.
2. **Des hypothèses au diagnostic** : Raisonnement hypothético-déductif, on avance pas à pas vers le diagnostic le plus probable, choix d'un examen (orienté par la probabilité a priori de l'existence de telle ou telle pathologie (cf exemple ECG dans le diapo))
3. **Intégration de l'ensemble des données dans des arbres de décision.**
4. **Déterminer la gravité de la pathologie diagnostiquée** : Classification des patients en fonction de leur score de gravité.

Exemple de l'ECG d'effort :

Sous-décalage de ST > 2mm sur le tracé de l'ECG ce qui est signe d'ischémie du myocarde.

C'est observé dans 75% des cas lorsque le malade, homme ou femme, a une athérosclérose obstructive des coronaires (sensibilité de l'examen). C'est observé dans 5% des hommes et 15% des femmes ayant des coronaires normales (faux positifs...).

Dans une population de 100 hommes de 60 ans ayant des douleurs thoraciques et des facteurs de risque de l'athérosclérose coronaire. Probabilité a priori d'avoir une athérosclérose coronaire : 80%. 60 épreuves d'effort réellement positives (75% x 80 sujets malades). 1 épreuve d'effort faussement positive (5% des 20 sujets sains).



| | Coronaires malades | Coronaires saines | TOTAL |
|---------------------------|--------------------|-------------------|-------|
| Test ECG d'effort positif | 60 | 1 | 61 |
| Test ECG d'effort négatif | 20 | 19 | 39 |
| TOTAL | 80 | 20 | 100 |

Sensibilité ECG d'effort : $60/80 = 75\%$
 Spécificité ECG d'effort : $19/20 = 95\%$
 Valeurs intrinsèques du test
 Dans cet exemple, une épreuve d'effort positive sera dans 60 cas sur 61 associée à une maladie coronaire.
 $VPP = 60/61 = 98,4\%$
 $VPN = 19/39 = 48,7\%$

On teste 100 femmes de la cinquantaine ayant des douleurs thoraciques. La probabilité a priori d'avoir une athérosclérose coronaire est alors seulement de 10%. On observera 7 à 8 épreuves d'effort réellement positives chez les 10 coronariennes ($75\% \times 10$) et 4 à 5 épreuves d'effort faussement positives ($5\% \times 90$).

| | Coronaires malades | Coronaires saines | TOTAL |
|---------------------------|--------------------|-------------------|-------|
| Test ECG d'effort positif | 7,5 | 4,5 | 12 |
| Test ECG d'effort négatif | 2,5 | 85,5 | 88 |
| TOTAL | 10 | 90 | 100 |

Sensibilité ECG d'effort : 75%
 Spécificité ECG d'effort : 95%

Valeurs intrinsèques du test
 INCHANGÉES

Dans cet exemple, une épreuve d'effort positive sera plus souvent associée à une absence de maladie coronaire qu'à sa présence.
 $VPP = 7,5/12 = 62,5\%$
 $VPN = 85,5/88 = 97\%$

Qu'est-ce qui est différent entre ces deux analyses ? Pas les caractéristiques du test qui sont les mêmes (ce sont des propriétés intrinsèques du test). Ce qui change c'est la prévalence de la maladie (10% dans un groupe= femmes et 80% dans l'autre), la probabilité a priori (pré-test) de présence de la maladie influence grandement la capacité d'un examen complémentaire à prédire la maladie. Les probabilités pré-test déterminées à partir de données collectées par l'expérience clinique. Elles sont donc spécifiques à l'environnement, aux catégories de patients que l'on voit, en première ou seconde intention, études épidémiologiques, études longitudinales, banques de données. Savoir utiliser l'expérience clinique personnelle pour adapter chaque estimation initiale de la probabilité aux spécificités de chaque patient : caractéristiques biologiques, âge, symptômes ou signes cliniques d'appel... Pour prendre une décision, j'ai donc besoin de savoir quelle est la probabilité a priori de la maladie chez la personne qui va subir le test.

Décisions thérapeutiques :

⌘ Analyse critique des évaluations ⌘

Etapes de la décision :

1. Identifier le problème décisionnel.
2. Formulation d'hypothèses.
3. Choix de la solution.

Un essai thérapeutique comparatif doit respecter un certain nombre de critères méthodologiques :

- ♣ Population étudiée **bien caractérisée** sur le plan pathologique.
- ♣ Population **peu sélectionnée** sur le plan géographique (l'idée que les cas de l'étude sont bien représentatifs de la maladie partout ailleurs...).
- ♣ **Randomisation** pertinente et correctement réalisée.
- ♣ Jugement de l'efficacité en **double ou triple insu**
- ♣ **Faible nombre de perdus de vue** et méthode de « **rattrapage des données** ».
- ♣ **Calcul** préalable du nombre de **sujets nécessaires** pour assurer une puissance statistique suffisante.
- ♣ etc. (d'autres critères existent qui seront revus dans les années ultérieures...)

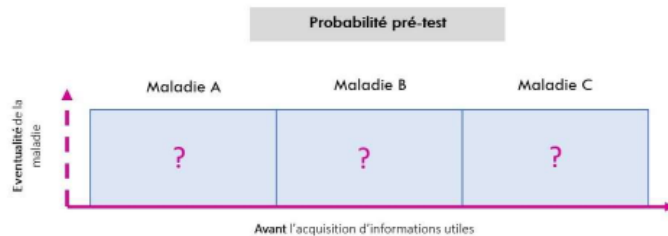
⌘ Quantifier l'effet d'un traitement ⌘

Les indices d'efficacité pour **critères binaires** quantifient l'efficacité d'un **traitement** à partir des modifications observées dans la fréquence de survenue d'un événement clinique utilisé comme critère de jugement. Si, par exemple, le critère est le décès, ces indices quantifient la réduction de la mortalité (c'est-à-dire la réduction de la fréquence des décès) provoquée par le traitement.

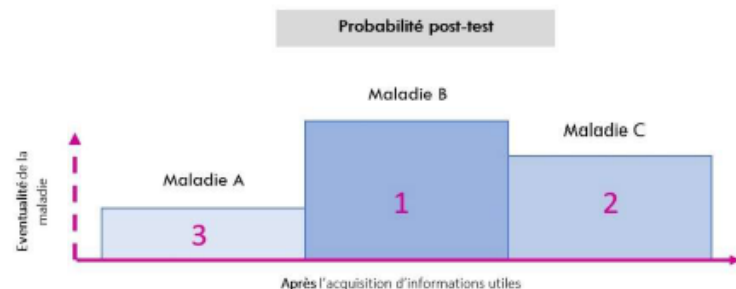
Les indices sont calculés à partir de la **fréquence** de survenue (risque) du critère de jugement dans les deux groupes : expérimentaux et contrôle. Le terme **risque est synonyme de fréquence**, il est dérivé du domaine de l'épidémiologie.

Dans un essai, le **risque** correspond à l'**incidence du critère de jugement**. Ces risques sont calculés à partir des effectifs et du nombre d'événements observés dans chacun des deux groupes.

Probabilité pré et post test :



- ♣ A partir de données (essai clinique...), avant le test/examen
- ♣ A priori
- ♣ Peut correspondre à la prévalence dans la population (nombre de cas parmi la population)



- ♣ Avec les données du test, après le test/examen
- ♣ A posteriori
- ♣ Peut correspondre à la VPP ou à 1-VPN (probabilité que personne ne soit malade en sachant que le test est négatif)

La probabilité pré-test influence la probabilité post-test

Ratios de vraisemblance :

Le ratio de vraisemblance (RV) = LR (likelihood ratio) est indicateur de la sensibilité et spécificité qui permet de quantifier l'information apportée par le test diagnostic.

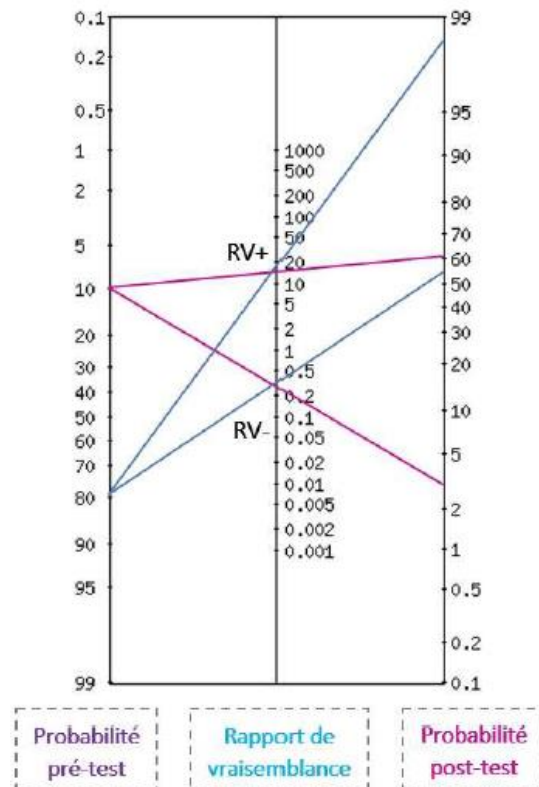
| LR+ Ratio de vraisemblance positif (RV+) | LR- Ration de vraisemblance négatif (RV-) |
|---|--|
| $\frac{Se}{1 - Sp} = \frac{P(T+ M)}{P(T+ NM)}$ | $\frac{1 - Se}{Sp} = \frac{P(T- M)}{P(T- NM)}$ |
| LR+ correspond à la probabilité que le test soit positif chez les malades (=sensibilité) sur la probabilité que le test soit positif chez les non malades (=1 - spécificité) | LR- correspond à la probabilité que le test soit négatif chez les malades (=1 - Sensibilité) sur la probabilité que le test soit négatif sur les non malades (=Spécificité) |
| Si LR+ = 1 $P(T+ M) = P(T+ NM)$ → probabilité post-test = probabilité pré-test Le test est inutile ! | Si LR- = 1 $P(T- M) = P(T- NM)$ → probabilité post-test = probabilité pré-test Le test est inutile ! |
| Si LR+ > 1 $P(T+ M) > P(T+ NM)$ → probabilité post-test > probabilité pré-test Le test est utile | Si LR- < 1 $P(T- M) < P(T- NM)$ → probabilité post-test < probabilité pré-test → $P(M T-) < P(M)$ Le test est utile ! |
| Si LR+ > 10 → probabilité post-test augmente significativement par rapport à la probabilité pré-test <i>Ex : si LR+ = 15 on a $P(T+ M) = 15 \times P(T+ NM)$: il y a donc 15 fois plus de chance qu'un test positif provienne d'un patient malade que d'un patient non malade. De plus, la probabilité post-test est augmentée de manière significative</i> | Si LR- < 0,1 → probabilité post-test diminue significativement par rapport à la probabilité pré-test <i>Ex : si LR- = 0,25 on a $P(T- M) = 0,25 \times P(T- NM)$ Donc $4 \times P(T- M) = P(T- NM)$ Il y a donc 4 fois plus de chance qu'un test négatif provienne d'un patient non malade</i> |

Retour sur l'exemple de l'ECG d'effort avec le LR (capacité du test à m'orienter vers la bonne décision) : Un résultat positif à l'ECG d'effort a 15 fois plus de chances de provenir d'un patient ayant une sténose coronaire que d'un patient non malade. Un résultat négatif à l'ECG d'effort a 0,26 fois plus de chances (4 fois moins de chances) de provenir d'un patient ayant une sténose coronaire que d'un patient non malade.

Taux de probabilité d'un test positif
= likelihood ratio+ (LR+)
= sensibilité / (1 – spécificité)
= 75% / 5% = 15

Taux de probabilité d'un test négatif
= likelihood ratio- (LR-)
= (1 - sensibilité) / spécificité
= 25% / 95% = 0,26

Nomogramme :



Nomogramme : outil utilisé pour interpréter les résultats des tests diagnostiques.
→ La **première colonne** représente la **probabilité pré-test** qui change selon les populations. Exemple : en violet les hommes et en bleu les femmes.

→ La **deuxième colonne** représente le **LR** identique pour les deux sexes car intrinsèque au test, donc indépendant de la population.

→ La **troisième colonne** correspond à la **probabilité post-test** (VPP ou 1-VPN) qui nous est donnée en reliant le RV et la **proba pré-test**.

Remarque : On voit bien que la probabilité post-test augmente d'une part (test+ RV≠ 1) et baisse d'autre part (test - RV≠ 1) par rapport à la proba pré-test.

Risque dans un essai thérapeutique comparatif

⌘ Définitions ⌘

Un essai thérapeutique comparatif pour démontrer un rapport de causalité doit respecter différents critères :

- ♣ Population clairement définie.
- ♣ Echantillon **représentatif** (sous ensemble fini de la population source).
- ♣ **Randomisation** (tirage au sort qui permet à l'échantillon d'être représentatif).
- ♣ **Double ou triple insu** (double : l'expérimentateur et le sujet ignorent la nature du traitement attribué (placébo ou traitement) ; triple : le sujet, l'expérimentateur et le statisticien en ignorent la nature.)
- ♣ **Peu de perdus de vue.**
- ♣ Calcul du **NNT** (nombre nécessaire à traiter, number needed to treat, nombre de sujet minimal pour une puissance statistique suffisante)

⌘ Quantifier l'effet d'un traitement ⌘

La fréquence est un indice **d'efficacité** utilisé.

Le risque est un synonyme de la fréquence ! +++

RISQUE = FREQUENCE

Indices qui mesurent la différence :

| Groupe | Effectif | Evénements | Risques | RR | RRR | DR | NNT |
|-----------------|----------|------------|-------------------------|-------------------|-----------------------|-------------|----------------|
| TTT étudié | n_1 | x_1 | $r_1 = \frac{x_1}{n_1}$ | $\frac{r_1}{r_0}$ | $(1-RR) \times 100\%$ | $r_1 - r_0$ | $\frac{1}{DR}$ |
| TTT de contrôle | n_0 | x_0 | $r_0 = \frac{x_0}{n_0}$ | | | | |

Risque r_0 = risque de base = risque sans TTT

Risque relatif, $RR = \frac{r_1}{r_0} = \frac{\text{risque du TTT}}{\text{risque de base}}$, le risque du TTT = RR x risque de base

Réduction relative du risque = $RRR = (1-RR) \times 100\%$, le TTT entraîne une RRR

Différence de risque = $DR = r_1 - r_0$, c'est la différence absolue ou le bénéfice absolu. Si la différence est importante, l'effet est important.

Nombre nécessaire à traiter = $NNT = \frac{1}{|DR|} = \frac{1}{|r1-r0|}$ Un NNT de x signifie qu'il faut en moyenne traiter x patients pour éviter un événement. En moyenne tous les NNT un événement est évité.

Exemple.:

| Groupe | Effectif | Evénements | Risque |
|---------------------|----------|------------|------------|
| Traitement étudié | 250 | 21 | 0,08 (8%) |
| Traitement contrôle | 246 | 36 | 0,15 (15%) |

Calcul du risque de base :

$$r0 = x0/n0 = 21/250 = 8\%$$

Calcul du risque relatif :

$$RR = 0,08/0,15 = 0,53$$

Cela signifie que le risque sous traitement est 0,53 fois celui du risque sans traitement. Le risque est donc divisé par deux.

Calcul de la réduction relative de risque :

$$RRR = (1-0,53) \times 100\% = 47\%$$

Le traitement entraîne une réduction relative de la fréquence de l'événement (le risque) de 47%.

Calcul de la différence de risque :

$$DR = 0,08 - 0,15 = -0,07 = -7\%$$

Cela signifie que le traitement évite la survenue de 7 événements sur 100.

Calcul du nombre nécessaire à traiter :

$$NNT = 1/|-7\%| = 1/0,07 = 14$$

Un NNT de 14 signifie qu'il faut traiter en moyenne 14 patients pour éviter un événement.

En effet, sans traitement le nombre d'événements attendu chez 14 sujets est de $14 \times 0,15 = 2,1$, tandis que sous traitement ce nombre est de $14 \times 0,08 = 1,1$, ce qui correspond bien à 1 patient de moins.

IV) Aide à la décision

Contexte actuel de la médecine :

L'exercice médical actuel s'appuie essentiellement sur un **corpus de connaissances scientifiques** établies.

Mais, même pour un médecin d'intelligence et de capacités mnésiques satisfaisantes (voire supérieures) la **connaissance** du corpus de connaissances médicales ne peut être que **partielle**.

Solutions envisageables :

Les solutions classiques : acquisition avec **mise à jour possible des connaissances médicales** par des ouvrages de médecine, revues plus ou moins spécialisées, conférences (de consensus par exemple comme celles diffusées par la HAS) 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 : en plein essor grâce à la généralisation d'internet. Elle aide à la **décision rationnelle et scientifique** (modélisation d'aides décisionnelles basées sur des algorithmes et des tentatives de quantification des possibilités de choix et adaptation des doses d'un médicament en cas d'insuffisance rénale par exemple)

Donc le professionnel de santé peut appuyer sa décision sur :

- ♣ **La mise à jour des connaissances (HAS, FMC, consensus...)**
- ♣ **Des recherches bibliographiques**
- ♣ **Des algorithmes d'aide à la décision**

Analyse de la décision :

Elle 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** (théorème de Bayes) pour combiner les informations pertinentes. Elle ne **crée pas d'information nouvelle**, 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**.

Arbres de décision :

On représente les problèmes de décision par des arbres de décision.

La construction d'un arbre de décision se fait une fois que les **données du problème** ont été précisées. Celles-ci sont :

- ♣ Les modalités possibles du choix
- ♣ Les résultats de ces choix

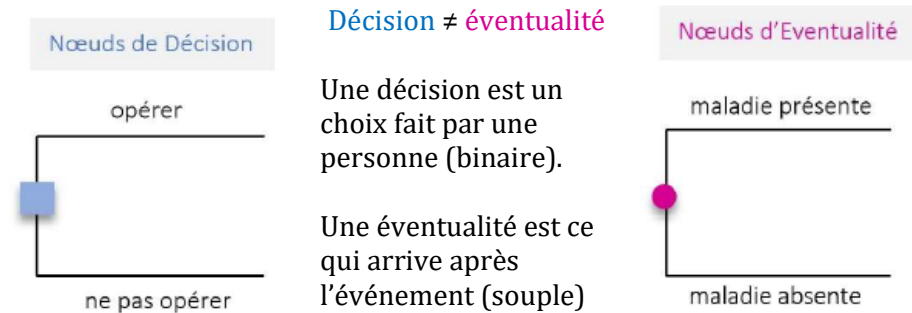
L'arbre représente alors tous les scénarios possibles (branches) représentés par une suite de « **nœuds** » qui expriment :

- ♣ Des choix contrôlés : décision de faire ou ne pas faire
- ♣ Des événements incertains ou non contrôlés qui sont alors associés à une probabilité de survenue : survenue d'une complication.

Formalisme

L'arbre est composé de nœuds représentant des décisions ou des éventualités qui mènent aux branches de l'arbre.

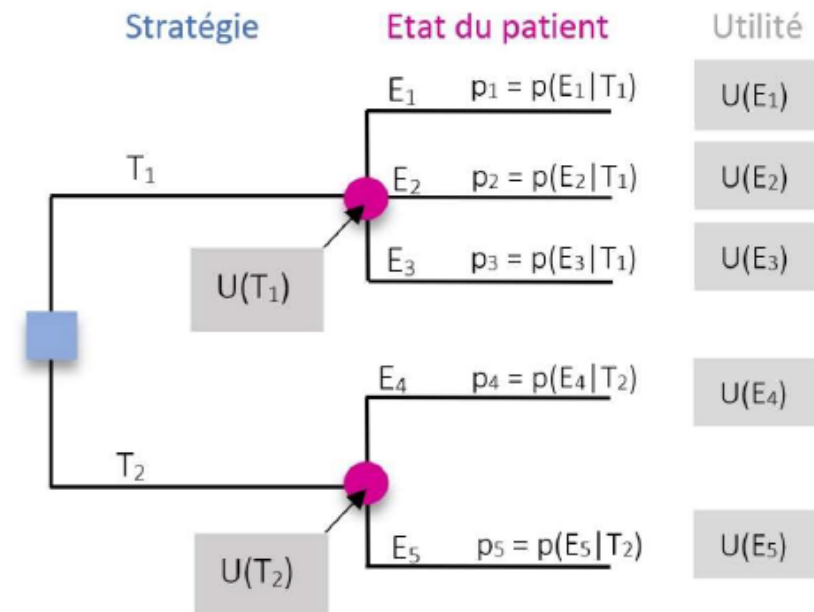
Les décisions sont représentées par des **carrés** et les éventualités par des **ronds**.



Notions d'utilité

Utilité : degré de préférence de chaque solution

Score d'utilité : maximum expected utility : valeur qui permet de quantifier l'utilité et d'aider à choisir la solution (on choisit la solution avec le score le plus haut). On « **fleurit** » l'arbre en plaçant le score d'utilité sur les branches.



Le **degré de préférence** de chaque solution est donné par :

Score d'utilité = utilité x proba de la branche + utilité x proba de la branche

$$U(T_2) = U(E_4) \times p_4 + U(E_5) \times p_5$$

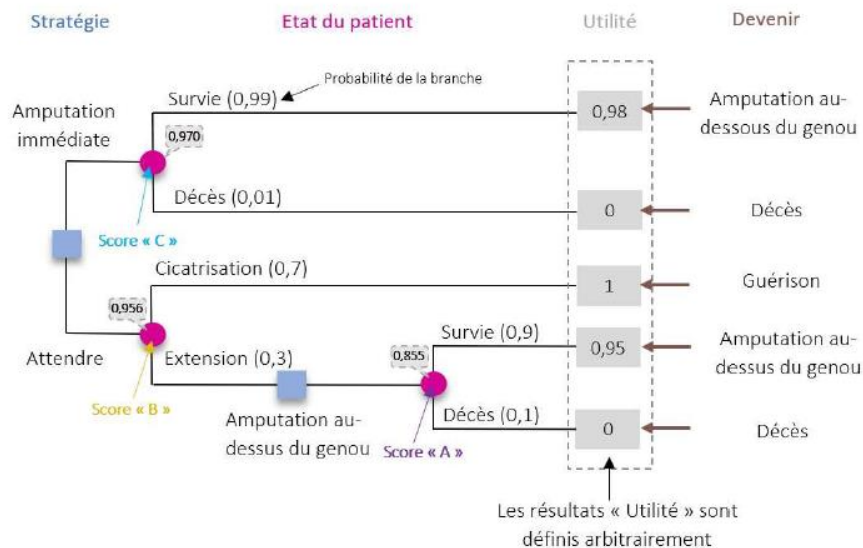
Exemple : Il garde sa jambe ou elle moisit ?

Un homme diabétique a une blessure au pied gauche avec une infection pouvant causer une gangrène. Que faites-vous Dr [insérer votre nom] ?

1. *Problème : L'homme et son pied sont en danger. Soit on décide de l'amputer immédiatement soit on attend.*

2. *Hypothèse : si on l'ampute il risque de mourir, si on ne l'ampute pas il risque de mourir ou d'avoir une amputation plus haute. On construit un arbre pour solutionner le problème en pondérant d'utilité les différents chemins. On choisit une utilité arbitrairement mais d'autant important que la solution est favorable (survie avec amputation=0,98<cicatrisation sans amputation = 1).*

3. *On choisit la meilleure solution après avoir calculé le score d'utilité.*



Solution choisie : amputation immédiate car c'est le chemin avec le score le plus élevé

Calcul des scores des différents nœuds

$$\text{Score « A »} = 0,9 \times 0,95 + 0,1 \times 0 = 0,855$$

$$\text{Score « B »} = (0,9 \times 0,95 + 0,1 \times 0) \times 0,3 + 0,7 \times 1 = 0,855 \times 0,3 + 0,7 \times 1 = 0,956$$

$$\text{Score « C »} = 0,99 \times 0,98 + 0,01 \times 0 = 0,970$$

Ce cours est un peu long, mais l'historique n'est pas forcément à apprendre par cœur

Il y a quelques formules mais elles restent pas très difficiles !

Le prof aime beaucoup les raisonnements et les calculs de la fin +++

Je vous souhaite un bon courage pour les 2 derniers mois !! Croyez en vous c'est la clé !!

Plein de love à mes fillots : Ambre, Baptiste, Lina, Kamila, Pauline et Ariel !! Ne lâchez rien vous êtes les meilleurs

J'envoie plein d'amour et de courage à Elisa, Laure, Emma, Blandine, Marie, Luna, Guillaume, Câlin, Alexandre, Emmy

Dédicace à es fillotes officieuses Iness et Lila, je crois en vous

Une dédicace particulière à mes co tuts et à mes vieilles d'amour, je vous aime foooooort ♥

Et le meilleur pour la fin : dédicace au KL ♣ ♦ ♠ ♥