Évaluer la valeur des résultats d’essais cliniques

Introduction

Tous les essais cliniques ne sont pas égaux. En décidant quelle importance accorder aux résultats des essais cliniques, cela vaut la peine de poser quelques questions-clés :

Comment l’essai a-t-il été conçu ?

Il n’existe pas de conception correcte unique pour un essai clinique – c’est plus une question de savoir si la conception utilisée était appropriée aux circonstances. Alors que les grands essais cliniques sont généralement plus fiables que les petits, cela doit être interprété avec bon sens. Par exemple, un essai sur une déficience enzymatique héréditaire rare ne sera jamais capable d’inclure 5 000 patients, comme il a été fréquemment observé dans les essais cliniques sur les médicaments pour les attaques cardiaques. De même, une période de suivi de quelques semaines est parfaitement adaptée pour un essai sur la pneumonie, mais elle serait inappropriée pour un essai sur une pilule contraceptive. Des groupes de contrôle placebo, bien que très utiles dans l’interprétation des résultats, sont clairement contraires à l’éthique dans certaines situations (par ex. : des maladies mortelles pour lesquelles il existe des traitements efficaces). Alors que les essais comparatifs sont la meilleure façon d’évaluer l’efficacité, des essais ouverts de plus grande envergure et qui durent plus longtemps peuvent offrir un meilleur aperçu de l’innocuité réelle des médicaments.

Chaque conception de l’essai doit être abordée selon la question : “Était-ce la meilleure façon de procéder dans ces

circonstances ?”

Est-ce que la population de patients étudiée correspond à celle qui m’intéresse ?

Les informations d’un essai mené chez des adultes âgés de 18 à 65 ans peuvent être d’une pertinence limitée pour les patients très âgés et elles seront presque certainement insuffisantes pour guider le traitement des petits bébés. De même, les personnes ayant une grave maladie ou une maladie à un stade très avancé peuvent réagir très différemment de ceux ayant une maladie moins grave ou à un stade plus précoce.

Quelle est la pertinence des critères ?

Certaines maladies et symptômes se prêtent plus facilement que d’autres à l’étude dans un essai clinique. Si un nouveau médicament pour le cancer augmente la survie médiane d’un an, il y a peu de doute qu’il soit une mesure pertinente. Une nouvelle anti-douleur utilisée pour traiter les mêmes patients sera beaucoup plus difficile à évaluer car il n’existe pas d'”unité standard de la douleur” précise. Encore une fois, tout ce qui peut être fait est de se demander si l’approche adoptée est appropriée aux circonstances.

Est-ce que les effets du médicament ont eu une valeur clinique ?

En général, plus le médicament fait effet, meilleur il est. Tous les médicaments coûtent cher en termes d’argent et d’effets secondaires. L’objectif est de trouver le plus grand avantage possible en retour de ces coûts. Il est toutefois

utile de se rappeler qu’un résultat modeste dans l’ensemble peut provoquer une amélioration spectaculaire chez certains patients et aucun changement chez d’autres. Si des recherches plus poussées peuvent vous aider à identifier le sous-groupe susceptible de bien fonctionner, alors le nouveau médicament peut avoir beaucoup à offrir à cette population cible.

Comment est-ce que les résultats des essais cliniques s’insèrent dans le schéma de connaissance préalable ?

Il est très inhabituel pour un essai clinique d’être le seul ayant des informations disponibles dans un domaine particulier de la médecine. Lorsque cela arrive, il représente habituellement la première utilisation d’une approche radicalement nouvelle de traitement et tout ce que l’on peut faire, c’est de noter les résultats avec intérêt et attendre pour voir si les essais ultérieurs les encouragent. Beaucoup plus couramment, il y aura eu des essais antérieurs menés avec le même médicament ou un médicament de la même classe pour la même maladie ou d’autres maladies connexes. Les nouveaux résultats de l’essai clinique peuvent ensuite être examinés à la lumière de l’ensemble des connaissances antérieures. Les constatations qui cadrent bien avec ce qui est déjà connu sont généralement plus faciles à accepter que celles qui contredisent directement les résultats antérieurs. Il est toutefois important de garder un esprit ouvert.

A2-4.34.3-v1.2