

# Lecture critique des résultats des études cliniques

## Introduction

Les résultats d'une étude clinique comportent toutes les données, les mesures et les analyses statistiques obtenues lors de l'étude. Ils incluent une description de la population de l'étude, les données de base, les mesures de l'effet du traitement sur les participants et les événements indésirables éprouvés par les participants. Les résultats et les analyses de l'étude clinique passent ensuite dans le domaine public via divers canaux, et plus particulièrement les réunions scientifiques et les publications médicales.

Les lecteurs doivent faire preuve de sens critique lors de la lecture des résultats d'une étude clinique, notamment pour évaluer les niveaux de preuve fournis et pour identifier toutes les sources d'erreurs possibles dans la publication. Il convient également de tenir compte des informations pertinentes en provenance des meilleures sources disponibles. Il est possible d'effectuer des recherches dans la documentation disponible afin d'identifier les articles pertinents au moyen des outils à disposition (PubMed, par exemple). Les lecteurs peuvent aussi se reporter aux textes publiés par des organismes réputés (soit par exemple l'EMA, la FDA ou les organismes nationaux ou internationaux d'ordre général pour les patients).

L'article suivant aborde des questions que peut se poser le lecteur critique lorsqu'il analyse les résultats d'une étude clinique.

## L'étude est-elle fiable ?

- Il s'agit d'évaluer si les **objectifs** et la nature précise de l'hypothèse sont clairs.
- Les résultats de l'étude peuvent-ils être **généralisés** à l'ensemble de la population ? Le lecteur doit évaluer la population à laquelle les résultats de l'étude peuvent être appliqués. Les caractéristiques de l'échantillon de population recrutée doivent être décrites.
- Tous les **traitements utilisés dans l'étude sont-ils clairement détaillés**, et le traitement expérimental a-t-il un rapport avec la question du lecteur ?
- Quels sont les **bénéfices et les risques** vraisemblables pour le patient à l'issue de ce traitement ?
- Considérez tout **conflit d'intérêt**, et s'il est possible de faire confiance à l'authenticité et à l'objectivité des travaux de recherche.

## La méthodologie de l'étude est-elle adaptée à l'évaluation de l'hypothèse émise ?

- Le **traitement de référence** constitue-t-il un point de comparaison adapté et correspond-il à la pratique actuelle ? S'agit-il d'un placebo, d'un traitement disponible, de bons soins de soutien ou d'un groupe témoin historique ?
- La **population de l'étude doit être clairement définie**. Il doit être clairement déterminé si toute la population ou un sous-ensemble a été étudié, et si un biais de sélection est possible. Considérez la pertinence et les raisons derrière chaque abandon de l'étude par un patient.
- Évaluez si le **groupe témoin** avait été bien choisi et si les critères d'exclusion étaient valides.

- Les **critères d'évaluation** de l'étude sont-ils bien définis et significatifs ?
- La **puissance** de l'étude était-elle clairement définie pour le critère d'évaluation principal ?
- L'étude a-t-elle été menée sur une **période assez longue pour mesurer les résultats** et afin de recueillir assez d'événements ?

## Les résultats sont-ils convaincants ?

- Les résultats doivent être clairement et objectivement présentés de manière **suffisamment détaillée** ; ils doivent par exemple être catégorisés par stade de la maladie, âge, sexe et/ou tout facteur de confusion possible.
- Évaluez si les résultats sont convaincants, si les **statistiques sont appropriées**, et si d'autres explications sont possibles pour justifier les résultats.
- Identifiez le **taux de patients perdus de vue** pendant l'étude et la manière dont les **participants ne répondant pas au traitement** ont été considérés. Ont-ils par exemple été catégorisés dans les échecs du traitement ou inclus séparément dans l'analyse ?
- Vérifiez l'absence de **biais**. Évaluez si les chercheurs ont contrôlé ou réduit ce risque.

## La section portant sur la discussion est-elle convaincante ?

- La discussion doit inclure **tous les résultats** de l'étude et pas seulement ceux en faveur de l'hypothèse initiale.
- La discussion doit indiquer si les objectifs initiaux ont été remplis et si la ou les **questions faisant**

**l'objet de ces recherches ont reçu des réponses.**

- Évaluez si les auteurs **ont écarté les biais potentiels** et reconnu les limites possibles de l'étude.
- Vérifiez si des généralisations sont faites de manière incorrecte sur la base des résultats de l'étude.
- Vérifiez l'adéquation avec la **documentation médicale existante** (recherchez toujours d'autres publications portant sur le même sujet).

## **L'effet démontré est-il significatif du point de vue clinique ?**

- Évaluez sérieusement si les effets prétendus sont pertinents cliniquement. **Ont-ils un effet significatif sur la santé du patient ?** Un effet statistiquement significatif peut avoir une ampleur tellement faible qu'il n'est cliniquement pas pertinent pour les patients. Plus la taille de l'étude est importante, plus les effets dont l'ampleur est minime peuvent être détectés. Un effet statistiquement significatif mais cliniquement non significatif peut provenir d'une étude clinique trop vaste ou surpuissante.
- D'un autre côté, l'absence de preuve ne signifie pas forcément l'absence de tout effet. L'absence d'une différence statistiquement significative entre les bras de l'étude ne signifie pas que les traitements comparés sont équivalents. Cela provient du fait que les tests statistiques ne mesurent pas les preuves en faveur de l'hypothèse, mais sont plutôt destinés à évaluer les preuves qui soutiennent que l'hypothèse est fausse (preuve en faveur de l'hypothèse nulle). En d'autres termes, les tests statistiques tentent de valider l'hypothèse nulle. Même si l'efficacité des traitements diffère véritablement, les tests statistiques peuvent

être non significatifs en raison de l'effet du hasard (erreur de type II) ou en raison d'une quantité d'informations disponibles insuffisante (étude de petite taille, manque de puissance).

## **Les conclusions sont-elles valides ?**

- Les conclusions fournies par l'auteur doivent être corroborées par les **données disponibles**. Vérifiez si les conclusions sont en rapport avec les buts et objectifs énoncés pour l'étude.

A2-4.35.2-v1.1