

## **Objectif 1**

**Objectif 1 :** L'objet d'un article médical scientifique, parmi les suivants : évaluation d'une procédure diagnostique, d'un traitement, d'un programme de dépistage, estimation d'un pronostic, enquête épidémiologique à l'exclusion des méta-analyses.

► **Les types d'étude au programme de l'ECN**

- **Évaluation d'une procédure diagnostique :** comparaison d'une technique diagnostique (score, échelle, test... ) à la technique de référence
- **Essai thérapeutique :** permet de comparer l'efficacité d'un traitement ou d'une stratégie thérapeutique par rapport au traitement de référence ou à un placebo s'il n'existe pas de traitement connu. Elle peut aussi évaluer la tolérance du traitement
- **Programme de dépistage :** efficacité, rapport coût-efficacité
- **Étude pronostique :** évaluation d'un facteur pronostic. C'est une étude de cohorte
- **Enquête épidémiologique :** descriptive / analytique sous forme d'étude cas-témoin / cohorte / transversale

► **Pour compléter sa réponse préciser s'il s'agit d'une étude**

- Descriptive +/- analytique
- Prospective / rétrospective ; pour les études cas-témoins, le recrutement des cas peut être prospectif (cas dits incidents) ou rétrospectif (cas dits prévalents)
- Monocentrique / multicentrique
- En double aveugle / simple aveugle / ouvert (pas d'aveugle)
- Si aveugle préciser : contre placebo / double placebo (pour maintenir l'aveugle) si essai contre le traitement de référence
- Contrôlée / non contrôlée
- Si contrôlé : en groupes parallèles (le groupe A reçoit le traitement X et groupe B reçoit le traitement Y) ou groupes croisés (le groupe A reçoit le traitement X puis Y et le groupe B reçoit le traitement Y puis X)
- Randomisée ou non randomisée

► **Pour les essais thérapeutiques, on précisera**

- **S'il s'agit d'une étude de supériorité**
  - unilatéral : le test statistique a pour but de mettre en évidence une différence d'efficacité dont le sens est connu : traitement A supérieur au traitement B
  - bilatéral : le test statistique a pour but de mettre en évidence une différence d'efficacité dont le sens n'est pas connu : traitement A supérieur au traitement B ou traitement B supérieur au traitement A

**PS :** en pratique l'hypothèse est souvent unilatérale mais le test quasiment toujours bilatéral.

- Ou s'il s'agit d'une étude de non-infériorité
  - l'étude a pour but de prouver qu'il n'y a pas de différence significative d'efficacité entre deux traitements. En pratique, on accepte une différence entre les deux traitements, en particulier on accepte une perte d'efficacité, jusqu'à un certain point (le fameux  $\delta$ ) avec en contre-partie d'autres avantages permettant d'accepter cette perte d'efficacité. Ce type d'étude est de plus en plus fréquent car le service médical rendu SMR est de plus en plus difficile à obtenir. Ce type d'étude est intéressant pour des traitements qui à efficacité équivalente vont avoir une meilleure tolérance, des modalités de prise plus facile et donc une meilleure observance, un plus faible coût...

La phase de l'étude : I, II, III, IV

Phase de l'étude	Participants	Intérêt de l'étude
Phase I	Petit effectif de volontaires sains	Dose maximale tolérée pharmacocinétique
Phase II	Petit effectif de volontaires malades	Efficacité pharmacologique Déterminer la dose optimale
Phase III : la plus fréquente	Grands effectifs de volontaires malades	Rapport efficacité / tolérance Schéma posologique
Phase IV	Patients malades traités	La pharmacovigilance repère les effets indésirables non vus pendant les phases précédentes

Théoriquement seuls les essais de phase III et IV peuvent faire l'objet d'un sujet à l'ECN.

**Attention :** ne pas confondre l'objet de l'étude avec la question posée appelée aussi objectif de l'étude (cf. objectif 2).

## **Objectif 2**

**Objectif 2:** La « question » posée par les auteurs (hypothèse) = objectif de l'étude.

► Normalement énoncée en fin d'introduction, la question posée contient

- Le traitement étudié / test étudié / exposition étudiée
- Le traitement de référence / test de référence
- La population concernée
- La maladie étudiée
- Le groupe contrôle
- Le critère de jugement principal / critère d'évaluation principal

Il se traduit par une hypothèse telle que : le médicament A est supérieur au médicament de référence B sur tel critère de jugement principal dans telle population.

**Objectif 3 et 4**

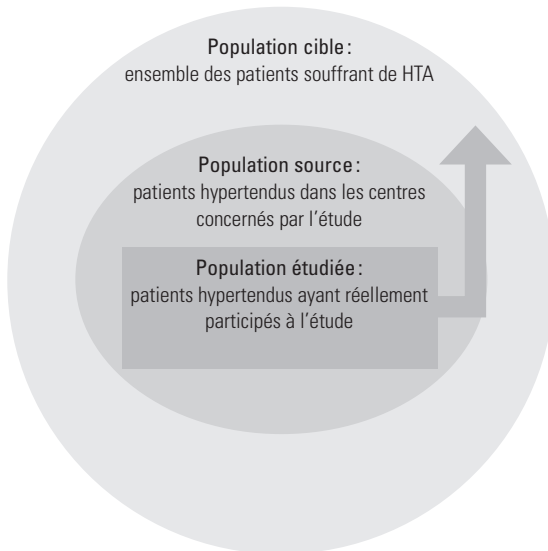
**Objectif 3** : Identifier les caractéristiques (données démographiques) de la population étudiée, à laquelle, les conclusions pourront être appliquées.

**Objectif 4** : Analyser les modalités de sélection des sujets, critères d'inclusion et de non-inclusion et d'exclusion.

► Il faut distinguer

- Population étudiée : population réellement incluse dans l'étude
- Population source : population d'où ont été extraites les personnes analysées
- Population cible : population à laquelle les résultats devraient être extrapolés à applicabilité, validité externe de l'étude

Exemple d'un essai thérapeutique pour l'évaluation de l'efficacité d'un traitement de l'HTA



La population étudiée et ses modalités de sélection doivent être clairement décrits dans la partie « Méthodes ».

Elle doit permettre la généralisation des résultats à la population cible.

Elle est déterminée par les questions suivantes :

► **Qui ?** Critères de sélection de la population étudiée

- Critères d'inclusion : critères autorisant l'accès à l'étude
- Critères de non-inclusion : liste de critères faisant que les patients ne peuvent pas être inclus dans l'étude
- Critères d'exclusion : critères entraînant une sortie de l'étude

Parfois les critères de non-inclusion et d'exclusion sont confondus.

► **Où ?** Unicentrique ou multicentrique

► **Quand ?** Durée pour l'inclusion du nombre de sujets nécessaire. Si elle est trop prolongée elle traduit des difficultés à l'inclusion et donc des critères de sélection de la population très serrés pouvant compromettre l'extrapolation de l'étude

► **Comment ?** Type de recrutement : aléatoire / séquentiel / volontariat

**Attention :** le recrutement aléatoire ne doit pas être confondu avec l'allocation aléatoire de traitement dans un essai randomisé (chez des patients « sélectionnés » sur la base des critères de l'essai et ayant accepté de participer). Le recrutement aléatoire n'est finalement possible qu'à partir de registres ou de bases de données médico-administratives.

Tous les participants doivent signer un consentement éclairé. Il n'est cependant pas systématiquement nécessaire (par exemple pour les études observationnelles).

La population étudiée est généralement décrite dans le tableau 1.