

Evidence-Based Medicine et choix du patient

Evidence-Based Medicine and patient's choice

Mots-clés : *Evidence-Based Medicine, Standards, Préférences, Décision médicale.*

Keywords : *Evidence-Based Medicine, Standards, Preferences, Medical-decision making.*

S. Taïeb⁽¹⁾, P. Vennin⁽²⁾, P. Carpentier⁽³⁾

La question du choix du patient, face aux alternatives thérapeutiques, se situe clairement dans le domaine de la décision médicale. Qui va décider ? D'après quelle logique ? Sur quels arguments ? Sauf s'il prend plusieurs avis, le patient ne se met pas lui-même devant des choix thérapeutiques. Le choix du patient, c'est avant tout le choix du médecin. Bien sûr, le patient peut choisir les médecins qui le prendront en charge, l'institution, le circuit. Mais le patient n'a pas choisi sa maladie et il ne choisit pas non plus l'attitude de son médecin, confronté aux incertitudes de sa pratique.

C'est du fait du médecin que le patient sera ou non confronté à une alternative thérapeutique. Mais ce qui détermine l'attitude du médecin est peut-être davantage lié à l'habitude qu'à une volonté consciente et réfléchie.

Le dilemme est, en tout cas, ancien. Il y a d'un côté le désir du médecin de protéger le patient d'informations jugées insoutenables et de choix "impossibles", et de l'autre, le désir légitime du patient d'obtenir des informations précises et de participer, éventuellement, à des décisions qui le concernent personnellement.

Ces difficultés non spécifiques sont particulièrement aiguës dans le domaine de la cancérologie des tumeurs solides de l'adulte. Les traitements sont souvent irréversibles, lourds de conséquences et de contraintes par rapport à des bénéfices réels mais limités.

1. Département d'imagerie, centre Oscar-Lambret, Lille.

2. Département de sénologie, centre Oscar-Lambret, Lille.

3. Unité de médecine nucléaire, centre Oscar-Lambret, Lille.

Evidence-Based Medicine et standards

L'*Evidence-Based Medicine* (EBM) est présentée par ses promoteurs comme un changement de paradigme selon le sens qui a été donné à ce mot par T. Khun [1]. Ce concept apparaît en 1992 dans un article du *Jama* [2]. Les auteurs proposaient la formalisation d'un nouveau mode d'enseignement de la médecine reléguant au second plan "la bonne pratique", fondée sur l'acquisition d'un savoir, lui-même fondé sur l'expérience clinique non systématisée et la rationalité physiopathologique, au profit de "l'évidence venue de la recherche clinique".

Le terme anglais "*Evidence-Based Medicine*" a été traduit de multiples façons : médecine fondée sur les faits, médecine factuelle, médecine fondée sur les preuves, médecine fondée sur le niveau de preuve. . . Nous avons préféré dans ce texte garder le terme anglais, d'une part, parce que c'est celui qui est utilisé dans la littérature anglo-saxonne, d'autre part, parce que la traduction française ne nous donne pas satisfaction et nous y reviendrons plus loin.

La prise de décision médicale

Selon l'ancien paradigme, la résolution d'un problème clinique et la prise de décision afférente sont fondées sur la propre expérience des cliniciens, leurs connaissances biologiques, la consultation d'un document de référence ou d'un expert. Pour Davidoff et al. [3], le changement de paradigme est lié (et imposé) par l'apparition, dans les années 1960, de l'essai randomisé, puis de la méta-analyse.

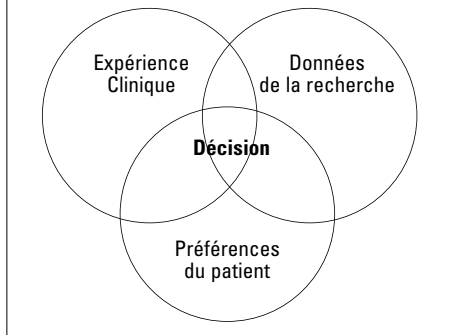
En pratique

Si l'expérience clinique est une part cruciale de la compétence médicale, de nombreux aspects de la pratique médicale ne peuvent pas être ou ne seront jamais testés rigoureusement. L'expérience clinique doit donc se fonder sur une analyse systématique des observations cliniques, de manière reproductible et non biaisée, en évitant toute interprétation intuitive de l'information. Ainsi, la confiance que l'on peut accorder aux estimations du pronostic, des tests diagnostiques et du traitement a une plus grande valeur. L'étude et la compréhension des mécanismes intimes des maladies sont nécessaires mais insuffisantes pour guider la pratique. La rationalité issue de principes physiopathologiques peut se révéler incorrecte.

Le clinicien doit donc consulter régulièrement la littérature originale pour résoudre ses problèmes cliniques et offrir une prise en charge optimale. La compréhension des règles méthodologiques permettant l'évaluation des niveaux de preuve (**tableau I**) est indispensable pour interpréter correctement la littérature sur la causalité, le pronostic, les tests diagnostiques et la stratégie thérapeutique. Il faut savoir retrouver et sélectionner les articles importants. L'ampleur de la tâche – soit 10 000 périodiques médicaux et 2 millions d'articles biomédicaux par an : il faudrait lire 17 articles par jour, 365 jours par an [3] –

TABLEAU I. Les niveaux de preuve.**Quatre niveaux de preuve**

Niveau A	Grands essais randomisés, effectifs suffisants, résultats indiscutables.
Niveau B	Essais contrôlés, non randomisés, petits effectifs, résultats discutables.
Niveau C	Essais ouverts, non randomisés, existence de biais méthodologiques.
Niveau D	Études rétrospectives, études cas-temoins.

FIGURE 1. Modèle de l'Evidence-Based Medicine.

n'est clairement pas à la portée du médecin praticien. La collaboration Cochrane édite des bases de données spécifiques (*the Cochrane library*). Ces périodiques sélectionnent et résument les informations essentielles pour la pratique clinique.

Dans l'optique de l'EBM, les deux premiers cercles ne sont en aucun cas suffisants pour permettre une prise de décision. La discussion sur les préférences du patient fait partie intégrante du processus.

Un modèle visuel assez simple et pragmatique résume cela (*figure 1*). Il

concrétise bien la symbiose entre l'expérience du médecin, les données de la recherche, et les préférences du patient.

Devant un problème, il faut donc :

- formuler clairement le problème à résoudre pour un patient donné ;
- réaliser une revue des données de la littérature ;
- apprécier la validité et l'applicabilité des conclusions pratiques des articles ;
- en déduire la conduite à tenir pour une prise en charge personnalisée de chaque patient ;
- évaluer les conséquences afin d'améliorer son expérience clinique.

Il s'agit donc d'une réflexion sur la formalisation de la décision médicale, engagée par des cliniciens thérapeutes, dont le but premier était de faire évoluer l'apprentissage de la médecine. L'intérêt consiste également en une tentative de rationalisation de l'acte médical où le patient est présumé autonome et capable de prendre les décisions le concernant.

Les critiques

Dès 1996, dans un ouvrage rédigé sous la direction des doyens Ph. Even et B. Guiraud-Chaumeil [4], les réserves concernant l'EBM s'exprimaient ainsi : "Au nom de ce que la médecine est un art autant qu'une science, les principes même de l'Experience-Based Medicine, présentée comme un paradigme dominant, sont énergiquement combattus." Les auteurs reprochaient à l'EBM "la prétendue supériorité d'une connaissance factuelle, statistique,

impersonnelle et soi-disant objective sur les connaissances acquises” et lui préféreraient, pour “répondre à des situations cliniques différentes : l’intuition, l’expérience individuelle, les rationnels physiopathologiques et la qualité du raisonnement clinique”.

Naylor [5] rappelait l’existence des “grey zones”, c’est-à-dire les très nombreux domaines de l’activité clinique pour lesquels les études et les données scientifiques n’existent pas ou ne sont pas représentatives des patients auxquels elles prétendent s’appliquer. De plus, les problèmes à résoudre en médecine sont généralement complexes, souvent inscrits dans un cadre polyopathologique où se mêlent les dimensions sanitaires, sociales et familiales.

Enfin, Maynard, en 1999 [6], expliquait, opposant l’éthique individuelle de l’EBM à la nécessaire réflexion sur la répartition des ressources, en quoi l’EBM était insuffisante pour rationaliser la décision médicale. L’illustration était la suivante : si un traitement A vaut 1 000 francs et permet un gain de 5 ans en survie (de bonne qualité), il en coûte à la collectivité 200 francs par année de vie gagnée. Pour cette même pathologie, un traitement B, d’un coût de 7 000 francs, permet un gain de survie de 10 ans, soit 700 francs par année de vie gagnée. L’EBM choisira le traitement B. Or, sur le plan économique, le traitement A présente un rapport coût/efficacité supérieur.

Application a la pratique médicale

Les problèmes liés à cette mauvaise compréhension de l’EBM faisaient qu’en 1996 Sackett et al. ont publié “*Evidence-Based Medicine : what it is and what it isn’t*”. Dans ce papier, ils redéfinissaient l’EBM de la manière suivante : l’EBM est l’utilisation consciencieuse, explicite et judicieuse de la meilleure “évidence” du moment, pour une prise en charge personnalisée de chaque patient [7].

Durieux, en 1998, dans un papier intitulé “EBM : une médecine normalisée ou la promotion de l’esprit critique” [8], précisait le rôle de l’EBM dans un but d’aide à la décision et insistait sur la nécessité d’en connaître les limites, si ce concept était utilisé dans un but de contrôle des coûts de la santé.

À notre sens, les risques de dévoiement de l’idée initiale des promoteurs sont liés à la survalorisation de l’apport de la méthodologie des statistiques due (entre autres) à l’absence d’apprentissage du raisonnement probabiliste en médecine et à la prééminence de la recommandation, poussée par les difficultés économiques du secteur santé, sur le libre arbitre du praticien. Cela génère deux types de problèmes :

- d’une part, les réticences de ceux qui ne voient dans l’EBM qu’un moyen de rationnement des soins fondés sur la preuve avec le risque de retard dans l’application de nouveaux traitements en l’absence de preuves ;
- d’autre part, le risque d’une application instrumentale de ce concept comme “outil à produire du standard et à réguler les coûts” en oubliant la nature probabiliste du savoir médical et la discussion sur les préférences des patients avant la prise de décision.

La connaissance de la méthodologie statistique est un préalable majeur à l’utilisation de l’EBM en pratique courante. Le test statistique qui peut aider le médecin à estimer

l'intérêt d'un traitement ou d'un examen diagnostique ne saurait tenir lieu ni de démonstration ni de preuve. Il s'agit d'une approche purement probabiliste. Les méthodes statistiques dont nous nous servons sont fondées sur une confrontation entre les faits tels qu'ils sont observés et une réalité qui est hors d'atteinte. Les valeurs de sensibilité, présentes dans toutes les études évaluant les tests diagnostiques, ne concernent que la population étudiée et la prévalence de la pathologie dans cette population. L'extrapolation à une population générale reste difficile. Un essai randomisé qui évalue un pronostic, la valeur d'un traitement, ou la valeur d'un test diagnostique n'apporte pas de certitude. Il apporte des éléments à deux niveaux différents :

- au niveau du groupe, il ne peut pas conclure “ce traitement est bénéfique”, mais “ce traitement a tel effet thérapeutique et tel effet secondaire indésirable dans tel pourcentage de cas (situé dans tel intervalle de confiance) et dans telle population étudiée” ;
- au niveau de l'individu, on ne peut en déduire que ce traitement est bénéfique dans l'absolu ; il peut ne pas l'être, on peut juste estimer une probabilité de bénéfice. De plus, il évalue une intervention médicale et non un patient particulier souvent porteur d'une polyopathie et qui, à ce titre, n'aurait jamais été inclus dans un essai clinique. Or, il s'agit bien de traiter ce patient particulier.

Une des applications de l'EBM est constituée par les recommandations de pratique clinique (RPC). Le risque serait de faire de la méthode statistique et de la méta-analyse un instrument de preuve indiscutable (pour toute situation ayant fait l'objet d'une étude rigoureuse) qui permettrait une standardisation des traitements : type de traitement, efficacité attendue et coût, entraînant une application coercitive des RPC dans un but de contrôle des coûts de la santé. Or, non seulement des pans entiers de la pratique médicale n'ont pas fait (et ne feront pas) l'objet de telles études – des faits prouvés peuvent se révéler inapplicables en pratique –, mais aussi, si la littérature renseigne sur des faits positifs, elle n'informe quasiment jamais sur des résultats négatifs. Il s'agit, en fait, d'une confusion entre l'objectif (une pratique médicale fondée sur des faits prouvés) et la méthode (l'essai contrôlé). Un éditorial de la revue *Prescrire* disait en février 1999 : “*Afin d'étayer leurs décisions quotidiennes, les professionnels de santé ont besoin de recommandations claires, synthétiques, adaptées à leur pratique.*” Nous sommes complètement d'accord sur le fond : le médecin a besoin de “recommandations claires et synthétiques”, ces synthèses sont nécessaires. La pratique de l'EBM montre qu'elles ne sont en aucun cas suffisantes. D'un point de vue pragmatique, la diffusion de règles, de standards, de guides de bonne pratique, si elle est une aide à la prise en charge du patient, ne saurait suffire.

Standards et recommandations

David Eddy [9-11] nous a expliqué, il y a plus de dix ans, que la décision médicale reposait sur l'addition de faits et de préférences. Définir une pratique dépend, d'un côté, de ce que nous savons des conséquences du traitement (les faits) et, de l'autre, des préférences (valeurs) des individus par rapport au traitement. Deux mots sont importants :

incertitude et variabilité ; ils permettent de définir le degré de flexibilité. En effet, la flexibilité d'une règle dépend de la connaissance que nous avons des conséquences et des préférences d'une attitude thérapeutique. Lorsque les conséquences (positives et négatives) sont connues et que les préférences (des patients) sont connues et unanimes, il n'y a aucune difficulté, le traitement est un standard. D'un côté, on sait exactement ce que l'on fait, et de l'autre, tous les patients dans la même situation choisissent la même chose. Le standard d'Eddy est une règle quasiment inflexible à laquelle il est difficile de déroger, mais évidemment, il y a peu de standards. Dans le cas où les conséquences importantes du traitement et les préférences sont connues, majoritaires mais non unanimes, la pratique est une recommandation. Les autres situations sont des options. Si les conséquences du traitement ne sont pas connues, les décisions sont, de toute façon, arbitraires ; on ne peut pas expliquer au patient le pour et le contre, juste lui expliquer que l'on ne sait pas. Dans le cas où les préférences sont indifférentes, il n'est pas besoin d'expliquer, cela n'a pas d'importance. Si les conséquences sont connues, mais les préférences inconnues ou variables, il est indispensable d'expliquer au patient les conséquences des différentes options thérapeutiques pour tenir compte de ses préférences.

Cette définition du standard en médecine, tenant compte à la fois des données scientifiques et des préférences des patients, n'a jamais été réellement retenue comme telle. La FNCLCC, qui travaille depuis 1995 à l'édition de la collection "Standards, options, recommandations", touchant à différents pans de la cancérologie, définit ainsi le "standard" : *"Méthodes pour lesquelles les résultats sont connus et qui sont considérées comme bénéfiques, inappropriées ou nuisibles, à l'unanimité. Ils sont l'équivalent d'indications ou de contre-indications absolues."* Il s'agit, bien sûr, de l'unanimité des médecins.

Une lecture littérale de cette définition tend à faire admettre que, dans une situation pathologique donnée, ne pas suivre le standard équivaut à une faute. Or, la pratique quotidienne montre que, dans nombre de cas, il n'en est rien : il ne serait pas éthique pour un médecin de croire que son objectif est de suivre le standard en faisant abstraction du patient qui est devant lui [12]. Si un standard devient une obligation, ou si une règle de bonne conduite est progressivement perçue comme un impératif, le médecin, en toute bonne foi, risque de croire que son objectif est désormais de respecter la règle et ainsi d'oublier le troisième cercle de l'EBM : le patient. La question est de savoir s'il est réaliste de tirer des conclusions fortes à partir de la littérature sans tenir compte de l'avis des patients.

Choix du patient

La réflexion sur le rôle du patient dans la prise de décision médicale est récente, et pose le problème d'un changement majeur de la pratique médicale. Ce changement repose sur deux notions : l'information et la participation [13-16].

Concernant la pratique médicale devant ces notions d'information et de participation des patients, E.J. Emanuel et L.L. Emanuel [17], après avoir écarté un modèle instrumental

(il n'est pas pensable qu'un patient puisse avoir besoin d'informations ou exprime des préférences puisque le médecin sait et décide seul ce qui est bon pour le patient et pour la société), distinguaient plusieurs modes de comportement des médecins :

- le modèle paternaliste présume d'une part, qu'il existe des critères objectifs qui permettent de définir ce qui est le mieux pour le patient et, d'autre part, que les préférences sont partagées entre le médecin et le patient. Il n'y a pas de problème de choix, puisque le patient pense comme le médecin : "Docteur faites comme pour vous !" ;

- l'autre extrême est le modèle informatif : il présume que les faits et les préférences sont bien séparés. Le patient connaît ses valeurs et il est bien le seul, il ne lui manque que les faits pour choisir. Le médecin donne les faits au patient, celui-ci détermine tout seul ce qui est le mieux pour lui. Dans ces deux modèles, il n'y a pas de discussion entre le patient et le médecin ;

- le troisième modèle est délibératif : en plus de l'information et de l'élucidation des préférences, on trouve ici une discussion des valeurs entre médecin et patient pour l'aider à choisir. Il s'agit, bien sûr, d'une discussion, non pas sur les valeurs en général, mais sur les valeurs relatives à la santé. Par exemple, la participation à une étude clinique comporte un certain altruisme qui serait, dans ce modèle, encouragé par le médecin.

Il paraît important d'évaluer son propre mode de fonctionnement qui n'est pas exclusif : il variera en fonction des patients, des situations cliniques et des alternatives thérapeutiques.

Information des patients

Aspects légaux

La loi française est claire. Face au médecin qui se situe dans une obligation de moyens, le consentement du malade est indispensable pour conclure le contrat médical (article 1108 du Code civil). La jurisprudence exige un consentement "libre, éclairé et conscient". Le consentement doit être éclairé par une "information simple, approximative, intelligible et loyale" (Cour de cassation, chambre civile, 21 février 1961). Rappelons qu'en droit français, tout individu adulte est présumé disposer de la plénitude de ses capacités intellectuelles et juridiques. L'article 34 du Code de déontologie précise : "*Le médecin doit à la personne qu'il examine, qu'il soigne ou qu'il conseille, une information loyale, claire, et appropriée sur son état, les investigations et les soins qu'il lui propose.*" L'obligation d'information n'est pas nouvelle, le changement récent tient au renversement de la charge de la preuve de l'information. Depuis l'arrêt Hédreul (25 février 1997), "*le médecin est tenu d'une obligation particulière d'information vis-à-vis de son patient et il lui incombe de prouver qu'il a exécuté cette obligation*". La loi du 4 mars 2002 relative aux droits des patients renforce encore ce devoir d'information, avec le droit au libre accès au dossier médical.

Le rapport de l'Anaes sur l'information des patients dissocie une conception défensive de l'information, dans le but de se prémunir contre un procès, d'une conception positive, dans le but de mettre le patient en situation de comprendre ce qui lui est proposé [18].

Aspects pratiques

Outre-Atlantique, les questionnaires ont depuis longtemps mis en évidence le besoin d'information des patients [13-15]. La demande du patient est cruciale : il paraît tout aussi anormal de ne pas apporter d'informations à un patient qui en demande, que d'en apporter à un patient qui n'en demande pas.

En cancérologie, la plainte la plus fréquente des patients concerne l'insuffisance de communication et d'information. Les patients s'estiment peu ou mal informés [19] ; pourtant, à chaque stade de la maladie, la communication est perçue comme un élément important de la prise en charge [20]. Les médecins sous-estiment régulièrement les souhaits d'information des patients [13, 21]. Des études plus récentes et dans d'autres pays confirment la demande générale d'information. Sowden [22], en 2001, montrait que 87 % de 2 000 patients atteints d'une lésion néoplasique souhaitaient obtenir toutes les informations concernant leur pathologie.

La question du type d'information et des modalités de délivrance de celle-ci se précise. Le Plan cancer formalise une consultation d'annonce qui a pour but :

- d'informer le patient sur la maladie dont il est porteur, sur les différentes alternatives diagnostiques et thérapeutiques qui lui sont proposées, sur les risques thérapeutiques que ces traitements comportent, sur les éléments du pronostic ;
- de permettre un dialogue autour de cette annonce, tout en respectant le poids de celle-ci et les émotions qu'elle peut susciter ;
- de permettre au patient, compte tenu des informations et des préconisations qui lui sont fournies, dont l'accès au dossier médical, de prendre les décisions concernant sa santé, y compris avec un délai de réflexion et après consultation d'un second avis, s'il le souhaite ;
- d'expliquer le déroulement dans le temps des différents traitements.

Cette consultation intervient après le temps de concertation multidisciplinaire, qui apporte au patient la garantie que la stratégie qui va lui être proposée a été choisie entre plusieurs professionnels acteurs du diagnostic, voire du traitement.

L'information qui est peut-être une fin en soi pour des raisons morales ou légales n'est pas forcément une fin en soi du point de vue médical. Le but du médecin, pour soigner, n'est pas de dire la vérité et toute la vérité, mais d'assurer une information suffisante pour la discussion et la décision. Si le but du médecin est d'élaborer avec le patient un plan de prise en charge, l'information n'est que le moyen de permettre une participation active.

Participation des patients

La demande des patients

L'information est une chose, la participation en est une autre. On ne peut participer aux décisions sans être informé, mais on peut souhaiter être informé sans participer aux décisions. Le souhait de participation aux décisions est souvent clairement exprimé, mais les chiffres annoncés sont variables. Au Canada, 44 % de 1 012 femmes atteintes de cancer du sein souhaitent prendre la décision avec le médecin, 22 % préfèrent choisir

leur traitement elles-mêmes et 34 % préfèrent laisser cette responsabilité au médecin [23]. Il y a dix ans, nous avons respectivement, parmi 72 nouvelles patientes dans la même situation, 67, 14 et 19 % [21]. Dans l'étude canadienne, seulement 42 % des patientes estimaient avoir eu le degré de participation qu'elles souhaitaient ; 59 % de nos patientes estimaient que les décisions avaient été prises ensemble, médecin et patient. Souvent, la demande de participation est liée à l'âge [15, 21, 23]. La grande majorité des patientes sont satisfaites de leur implication dans le choix thérapeutique [24] et ne paraissent pas plus traumatisées que les autres lorsqu'elles sont interrogées à distance de leur décision [25].

Globalement, le besoin de participation apparaît donc variable selon les études et les patients, et variable aussi dans le temps et selon le stade de la maladie. En Australie, les patients dont la condition s'est dégradée souhaitent moins s'impliquer dans leurs décisions qu'au début de la maladie [26].

Les obstacles à la participation

Le médecin idéal aurait toutes les informations relatives au problème posé par le patient, il les traduirait en langage commun à un patient idéal, qui comprendrait les conséquences du traitement et prendrait la décision qui le concerne en toute connaissance de cause. Mais nous savons bien qu'il existe de multiples obstacles, liés au médecin, liés à la médecine, liés au patient.

En 1980, Brody [27] a résumé les obstacles classiques à la participation du point de vue du médecin. Les patients peuvent manquer de maturité et de capacités intellectuelles. Il peut exister des barrières psychologiques à la perception de l'information. Donner cette information prend du temps et génère un coût. Le médecin peut penser que l'information et le choix sont anxiogènes et inutiles. Un reproche fréquemment entendu, aussi, est que le patient qui décide de son traitement se sentira personnellement responsable de son échec en cas de récurrence. Un article plus récent [28] fait état des "mythes", partagés entre professionnels et non professionnels, qui rendent ces obstacles à la participation difficilement surmontables et ôtent ainsi toute capacité aux patients à la moindre autonomie concernant leur propre santé :

- confondre la capacité de décision et la compétence ;
- penser que si l'avis des patients diffère de celui des médecins, la participation des patients est impossible ;
- penser que la participation des patients répond à une loi du tout ou rien ;
- penser qu'un affaiblissement des fonctions cognitives empêche la participation ;
- penser que la participation est une condition permanente quel que soit le stade de la maladie.

Comme s'il était admis que le droit des patients de participer aux décisions qui les concernent ne peut s'exercer que dans un cadre limité par le médecin et sans évaluer précisément et sans parti pris la propre capacité des patients. Il est vrai que les préférences des patients et des médecins peuvent être différentes. Bruera [29], dans une étude concernant 57 patientes présentant un cancer du sein, ne retrouvait que 24 cas de concordance entre les préférences des patientes et des médecins sur les 51 patientes qui souhaitaient

participer aux décisions. Pour les auteurs, l'augmentation de la concordance viendra d'une amélioration de la communication entre médecin et patient : meilleure évaluation du propre cadre de référence des patients et amélioration des capacités du médecin à faire participer les patients aux décisions les concernant. Concernant la décision chirurgicale (chirurgie partielle versus mastectomie), dans les cancers du sein où, sur 101 participantes, la concordance patients-médecins était de 38 %, Janz [30] montrait que la discussion sur la préférence n'augmentait pas le temps de consultation, tout en augmentant nettement la satisfaction des patientes.

Il existe donc, principalement, des obstacles liés à l'attitude du médecin confronté aux incertitudes de sa pratique. Ce ne sont pas que des mots. Qui peut croire qu'il n'y a pas de différence entre un médecin qui dit à ses patientes : *"J'ai réfléchi à votre cas (nous avons réfléchi à plusieurs à votre cas) et je vous propose de faire une chimiothérapie"* et un médecin qui dit : *"Je vais vous expliquer ce que vous pouvez attendre de la chimiothérapie, je vais vous expliquer aussi les contraintes, puis nous verrons ensemble si le traitement vous convient"* ? Il est certain que présenter au patient une attitude thérapeutique comme un impératif catégorique, un standard, enlève toute possibilité de discussion et gomme ses préférences. Cela ne semble pas poser de réel problème pour l'instant, mais n'est-ce pas uniquement lié au fait que les règles construites pour la "moyenne" conviennent effectivement à la plupart des patients.

Les préférences des patients

Il existe une littérature importante sur le choix de personnes, malades ou non, mises devant des scénarios hypothétiques. Slevin [31] a interrogé des patients atteints de cancer et adressés pour chimiothérapie, des médecins généralistes, des oncologues, des infirmières et des témoins en bonne santé. Une des questions était : "À partir de quelle probabilité de guérison une chimiothérapie intensive vaut-elle la peine ?" Les réponses sont édifiantes, elles varient de 1 % pour les patients en situation, de 10 % pour les oncologues, de 25 % pour les généralistes, de 50 % pour les infirmières et les témoins. À San Antonio, une enquête a été réalisée auprès de 318 patientes qui avaient reçu une chimiothérapie adjuvante pour cancer du sein [32]. Le gain médian à partir duquel la chimiothérapie paraît acceptable, du point de vue de ces patientes, est faible (0,5 à 1 %) en termes de réduction du risque de récurrence, mais 26 % des patientes n'acceptent pas la chimiothérapie pour une réduction du risque inférieure à 5 %. Même constatation auprès de patients atteints d'un cancer du poumon [33] : certains accepteraient la chimiothérapie pour des gains de survie d'une semaine, d'autres ne la prendraient pas pour un gain d'un an. Évidemment, nous sommes dans l'hypothèse, mais les messages sont clairs [34-37]. La plupart des patients acceptent des contraintes importantes pour des bénéfices qui paraissent faibles à des gens en bonne santé, mais il y a une variabilité extrêmement importante d'un patient à un autre. C'est, bien sûr, cette variabilité des préférences, constamment observée, qui rend difficile toutes les tentatives de standardisation.

La littérature plus récente fait état des préférences des patients en situation réelle et retrouve une variabilité importante, sans que l'on puisse réellement standardiser ces variations. Ni le type de traitement ni l'âge, ni le milieu socio-économique, ni même le stade de la maladie ne sont réellement significatif pour les expliquer. Compte tenu de la variabilité des désirs d'informations et des préférences, Epstein et al. [38] ont réalisé une revue systématique de la littérature entre 1966 et 2003, dont l'objectif était d'identifier différentes façons de communiquer les informations médicales, afin d'augmenter la compréhension et la participation aux décisions des patients et également leur compréhension des conséquences de leur choix. Au terme de l'analyse, devant l'absence de recommandations fiables en termes de niveaux de preuve selon l'EBM, les auteurs proposaient, afin de progresser dans cette communication, quelques pistes de réflexion :

- comprendre (dans le sens de faire preuve d'empathie) le cadre de référence du patient et de sa famille ;
- construire un partenariat en informant le patient sur ce qui est prouvé (niveaux de preuves A et B) en n'omettant pas la discussion sur les incertitudes (niveaux C et D) ;
- faire état des recommandations apportées par l'expérience clinique et les préférences des patients quand celles-ci sont connues (et concernant le cancer du sein, elles le sont de plus en plus) ;
- s'assurer d'avoir été compris avant de recueillir l'agrément du patient.

Le choix des patients au quotidien

La participation nous semble d'autant plus facile (pour le patient et pour le médecin) que le risque est faible et les échéances lointaines.

En consultation d'oncogénétique des cancers du sein et de l'ovaire, nous voyons des femmes qui se savent en situation de risque familial. Une bonne partie de ces femmes sont jeunes et en parfaite santé. Leur démarche est une demande d'information. Il est aisé de donner une information générale sur les conséquences des tests moléculaires de recherche de mutation des gènes BRCA. L'information est assimilée, mûrie, les recherches biologiques sont faites. Avant le résultat individuel, il y aura d'autres entretiens, souvent avec un psycho-oncologue. Le cheminement est, le plus souvent, fait avant le résultat des tests moléculaires. Les décisions sont presque prises d'avance, en fonction du vécu, de l'âge, des enfants, de la gravité des cancers dans la famille, du type de cancer, de leur âge de survenue...

En traitement complémentaire d'un carcinome intracanalair du sein, il est facile d'expliquer, en chiffres, les conséquences (positives et négatives) du traitement par tamoxifène. C'est un traitement préventif qui réduit le risque de récurrence d'un cancer invasif ou intracanalair. La lésion a été opérée, analysée, le risque est futur, le plus souvent faible. Les bénéfices sont à l'évidence faibles, mais les inconvénients aussi.

En traitement médical adjuvant des cancers du sein, les patientes sont, là encore, en bonne santé. Le médecin peut mesurer assez précisément un risque de métastase à distance, qui peut être insignifiant ou au contraire très élevé ; c'est encore une fois une probabilité future. Le risque étant mesuré, on peut estimer le bénéfice attendu pour ensuite le confronter avec la patiente aux contraintes et aux risques du traitement médical, chimiothérapie et tamoxifène. Le bénéfice potentiel du traitement ne sera jamais mesuré directement pour la patiente, quoi qu'il arrive. Qui d'autre que la patiente peut juger du niveau de contraintes acceptable pour un bénéfice donné ? Il ne paraît pas bien difficile d'expliquer à une patiente (qui le souhaite) que sur 100 femmes dans sa situation, 20 (ou plus, ou moins) auront une récurrence à distance dans les 10 ans sans traitement, et que le chiffre ne sera plus 20, mais 15 (ou plus, ou moins) avec le traitement.

En situation de cancer avancé ou métastatique, il ne s'agit plus d'hypothèses lointaines, mais d'une confrontation à une réalité inacceptable et plus ou moins proche. Les conséquences des traitements sont moins connues, difficiles à exposer sereinement. Le pronostic est grave, réservé, le patient qui vivait dans l'angoisse de la récurrence vit dans l'espoir d'une découverte médicale capable de le guérir. Le médecin n'est plus confronté à une décision ponctuelle, mais à des processus décisionnels répétés associés à un accompagnement psychologique. La discussion des avantages et inconvénients, si elle est réelle, nous semble moins chiffrée, moins rationalisée. Nous sommes dans l'accompagnement d'un échec programmé avec une place importante pour la compassion et l'espoir malgré tout.

Conclusion

Le terme anglais *evidence* (preuve) est le contraire d'évidence. Il ne s'agit pas d'une proposition binaire (présence versus absence de preuves), ni d'une proposition juridique (preuve à charge), ni d'une proposition positiviste (certitude indiscutable). Les traductions françaises mettent en avant "la certitude", alors que l'EBM se réfère au principe de "l'incertitude scientifique". L'intérêt majeur de l'EBM est la tentative de mesurer la valeur de l'incertitude (se traduisant pratiquement par des décisions différentes selon les praticiens) au lieu de l'évacuer ou de l'attribuer à l'incompétence. D'après les données de l'EBM, on va vers un catalogue raisonné des pratiques médicales en distinguant ce qui est démontré comme utile, ce qui est démontré comme inutile et, enfin, ce qui n'est pas démontré du tout. Parallèlement, l'évolution sociétale et légale prend en compte le souhait légitime des patients d'être informé et de participer aux décisions les concernant.

Les résistances à ces changements reposent davantage, à notre sens, sur une conception philosophique que sur une conception éthique [39]. Les médecins de notre génération ont longtemps été portés, dans la lignée de Claude Bernard, par une vision positiviste de la médecine : fondée sur la science expérimentale, sur la compréhension des mécanismes et sur un déterminisme absolu. *"Il faut que le médecin sache bien qu'il y a une raison pour que les choses se passent ainsi qu'il les voit se passer et qu'il s'habitue à remonter jusqu'au*

déterminisme des choses” [40]. Il y a des critères objectifs, indépendants du patient, qui vont permettre de déterminer la meilleure attitude thérapeutique. Les études scientifiques vont permettre de définir, dans une situation donnée, le ratio avantages/inconvénients de chaque traitement. Un meilleur traitement existe pour chaque patient, il faut l’identifier, puis le lui proposer. Dans les situations où l’information manque, il faut faire des études pour savoir. Pour avancer, il faut essayer d’uniformiser les attitudes thérapeutiques. Puisqu’il y a des critères objectifs de décision, les situations d’équivalence sont rares, ce sont surtout des défauts de puissance. Il n’y a pas de débat sur le choix du patient, puisque qu’il n’y a pas de choix du patient. Le médecin a proposé le meilleur traitement, d’après les données de la science. Les situations d’équivalence ne sont que les limites du savoir. Évidemment, ce meilleur traitement, une fois identifié, n’est pas imposé ; son application nécessite le consentement du patient. Le consentement tient au domaine juridique, puisque, du point de vue médical, le principe de bienfaisance est atteint ; la meilleure solution a été identifiée et présentée. Le modèle classique résiste assez bien aux situations extrêmes, lorsque les avantages dépassent clairement les inconvénients pour tout le monde, médecins et patients. Ces situations sont sans doute fréquentes et de fait, ce modèle peut tenir. La difficulté est liée aux situations limites qui sont des sources de désaccord perpétuel entre les médecins.

Le modèle de type EBM, en mettant l’accent sur l’incertitude scientifique, permet un autre modèle et une autre relation médecin-patient. Les études vont effectivement permettre de mesurer les avantages et inconvénients de chaque traitement, mais la mesure quantitative des avantages et des inconvénients passe nécessairement par le patient. L’estimation chiffrée d’un risque est une chose, le poids que lui donnera le patient en est une autre. Si l’on veut effacer les préférences des patients et définir entre médecins la meilleure attitude, on n’a fait que déplacer le problème et on est confronté à la variabilité des préférences, non plus des patients, mais des médecins (qui sont potentiellement des patients). La définition d’un seuil d’action est, par nature, insoluble. L’information n’est pas seulement un problème éthique, c’est une nécessité technique, indispensable pour que le patient puisse se faire une opinion sur les différentes options possibles. Il y a presque toujours plusieurs options, l’abstention thérapeutique ne pouvant être systématiquement écartée. Le problème du “choix du patient”, c’est, en fait, le problème de sa participation active à la discussion sur les options pour parvenir progressivement, ensemble, avec le médecin, plus ou moins facilement, plus ou moins rapidement, selon les cas, à un accord mutuel sur l’attitude thérapeutique.

Comment le médecin peut-il choisir entre ces deux modèles ? Il nous semble que les mentalités changent progressivement. Les études prospectives randomisées ont “révolutionné” la pratique de la médecine. En peu d’années, les cancérologues ont compris que notre pouvoir face à la maladie avait été surestimé. La plupart de nos patients (et parfois les médecins) surestiment encore nos possibilités diagnostiques et thérapeutiques. Les médias entretiennent une confusion entre la connaissance (biologique), qui progresse à

pas de géant, et les conséquences (thérapeutiques), qui restent, pour le cancérologue de terrain, des espoirs bien lointains. Les bénéfices thérapeutiques étant revus à la baisse, les traitements demeurant lourds de conséquences, les préférences des patients étant variables, la nécessité d'impliquer le patient dans les décisions devient inéluctable. Cette évolution inévitable ne se fait donc pas seulement pour des raisons morales ou juridiques, mais tout simplement pour des raisons médicales, pour ajuster au mieux le traitement au patient individuel. Le rôle du médecin est alors d'éclairer le patient sur son affection, sur l'évolution possible, sur les moyens à disposition pour changer l'évolution spontanée de la maladie, de l'éclairer suffisamment pour permettre une décision commune, partagée, réfléchie. Le patient est nécessairement face à des choix thérapeutiques, mais il n'est pas seul.

Références bibliographiques

- [1] T. Kuhn. *La structure des révolutions scientifiques*. Paris : Champs-Flammarion, 1983.
- [2] Evidence-Based Medicine group. *Evidence-Based Medicine. A new approach to teaching the practice of medicine*. *Jama* 1992; 268: 2420-5.
- [3] Davidoff F, Haynes RB, Sackett DL, Smith R. *Evidence-Based Medicine*. *BMJ* 1995; 310: 1085-6.
- [4] Guiraud-Chaumeil B, Even Ph. *Confrontation avec le système de santé américain*. In: *Les hôpitaux universitaires de l'an 2000*. Privat (ed.) 1996: 239.
- [5] Naylor CD. *Grey zones of clinical practice: some limits to evidence-based medicine*. *Lancet* 1995; 345: 840-2
- [6] Maynard A. *Evidence-Based Medicine: an incomplete method for informing treatment choices*. *Lancet* 1999; 349: 126-8.
- [7] Sackett DL, Rosenberg WM, Muir Gray JA, Haynes RB, Richardson WS. *Evidence-Based Medicine: what it is and what it isn't*. *BMJ* 1996; 312: 71-2.
- [8] Durioux P. *Evidence-Based Medicine. Une médecine normalisée ou la promotion de l'esprit critique*. *La Presse Médicale* 1998; 27: 1900-4.
- [9] Eddy D. *Anatomy of a decision*. *Jama* 1990; 263: 441-3.
- [10] Eddy D. *Standards, guidelines, and options. Designing a practice policy*. *Jama* 1990; 263: 3077-84.
- [11] Eddy D. *Clinical decision making from theory to practice. Comparing benefits and harms: the balance sheet*. *Jama* 1990; 263: 2493-505.
- [12] Vennin P, Taïeb S, Carpentier P. *À propos de standards: de la règle au patient. L'exemple du cancer du sein*. *Bull Cancer*. 2001; 88(2): 221-2.
- [13] Strull WM, Lo B, Charles G. *Do patients want to participate in medical decision making?* *Jama* 1984; 252: 2990-4
- [14] Sutherland HJ, Llewellyn-Thomas HA, Lockwood GA, Tritchler DL, Till JE. *Cancer patients: their desire for information and participation in treatment decisions*. *J Royal Soc Med* 1989; 82: 260-3.
- [15] Cassileth BR, Zupkis RV, Sutton-Smith K, March V. *Information and participation preferences among cancer patients*. *Ann Int Med* 1980; 92: 832-6.
- [16] Veronesi U, Von Kleist S, Redmond K et al. *Caring about women and cancer (CAWAC): a european survey of the perspectives and experiences of women with female cancers*. *Eur J Cancer* 1999; 35: 1667-75.
- [17] Emanuel EJ, Emanuel LL. *Four models of the physician-patient relationship*. *Jama* 1992; 267: 2221-6.
- [18] Agence nationale d'accréditation et d'évaluation en santé (Anaes). *Information des patients – Recommandations destinées aux médecins*. Service des recommandations professionnelles, Paris, 2000.

- [19] Veronesi U, Von Kleist S, Redmond K et al. *Caring about women and cancer (CAWAC) : a european survey of the perspectives and experiences of women with female cancers.* *Eur J Cancer* 1999; 35: 1667-75.
- [20] Serin D, Pujol H, Schraub S, Chevalier H. *Parcours de femmes. Opinion survey carried out among women treated for gynecologic and breast cancers and their medical teams.* *Bull Cancer* 1998; 85: 578-88.
- [21] Vennin P, Hecquet B, Marcuzzi I, Demaille MC. *Cancer du sein: l'information en question(s). Enquête auprès des patientes et des médecins d'un Centre de lutte contre le cancer.* *Bull Cancer* 1995; 82: 698-704.
- [22] Sowden AJ, Forbes C, Entwistle V, Watt I. *With people who have cancer: informing, communicating and sharing decisions.* *Qual Health Care* 2001; 10: 193-6.
- [23] Degner LF, Kristjanson LJ, Bowman D et al. *Information needs and decisional preferences in women with breast cancer.* *Jama* 1997; 277: 1485-92.
- [24] Protiere C, Viens P, Genre D et al. *Patient participation in medical decision-making: a french study in adjuvant radio-chemotherapy for early breast cancer.* *Ann Oncol* 2000; 11: 39-45.
- [25] Fallowfield LJ, Hall A, Maguire P et al. *Psychological effects of being offered choice of surgery for breast cancer.* *Br Med J* 1994; 309: 448.
- [26] Butow PN, Maclean M, Dunn SM et al. *The dynamics of change: cancer patients' preferences for information, involvement and support.* *Ann Oncol* 1997; 8: 857-63.
- [27] Brody DS. *The patient's role in clinical decision-making.* *Ann Intern Med* 1980; 93: 718-22.
- [28] Ganzini L, Volicer L, Nelson WA, Fox E, Derse AR. *Ten myths about decision-making capacity.* *J Am Med Dir Assoc* 2004; 5(4): 263-7.
- [29] Bruera E, Willey JS, Palmer JL, Rosales M. *Treatment decisions for breast carcinoma : patient preferences and physician perceptions.* *Cancer* 2002; 94(7): 2076-80.
- [30] Janz NK, Wren PA, Copeland LA et al. *Patient-physician concordance: preferences, perceptions, and factors influencing the breast cancer surgical decision.* *J Clin Oncol* 2004; 22(15): 3091-8.
- [31] Slevin ML, Stubbs L, Plant HJ et al. *Attitudes to chemotherapy: comparing views of patients with cancer with those of doctors, nurses, and general public.* *Br Med J* 1990; 300: 1458-60.
- [32] Ravdin PM, Siminoff IA, Harvey JA. *Survey of breast cancer patients concerning their knowledge and expectations of adjuvant therapy.* *J Clin Oncol* 1998; 16: 515-21.
- [33] Silvestri G, Pritchard R, Welch HG. *Preferences for chemotherapy in patients with advanced non-small cell lung cancer: descriptive study based on scripted interviews.* *Br Med J* 1998; 317: 771-5.
- [34] Hayman JA, Fairclough DL, Harris JR, Weeks JC. *Patient preferences concerning the trade-off between the risks and benefits of routine radiation therapy after conservative surgery for early-stage breast cancer.* *J Clin Oncol* 1997; 15: 1252-60.
- [35] McQuellon RP, Muss HB, Hoffman SL et al. *Patient preferences for treatment of metastatic breast cancer : a study of women with early-stage breast cancer.* *J Clin Oncol* 1995; 13: 858-68.
- [36] Wilson RG, Hart A, Dawes PJK. *Mastectomy or conservation: the patient's choice.* *Br Med J* 1988; 297: 1167-9.
- [37] Bremnes RM, Andersen K, Wist EA. *Cancer patients, doctors and nurses vary in their willingness to undertake cancer chemotherapy.* *Eur J Cancer* 1995; 31A : 1 955-9.
- [38] Epstein RM, Alper BS, Quill TE. *Communicating evidence for participatory decision making.* *Jama* 2004; 291(19): 2359-66.
- [39] Vennin P, Taïeb S, Carpentier P. *Le patient face aux choix thérapeutiques en cancérologie: vers une décision partagée.* *Bull Cancer* 2001; 88(4): 391-7.
- [40] Bernard Claude. *Principes de médecine expérimentale.* Paris: Quadrige/PUF 1947:265.