

Résumé – Recherche en santé

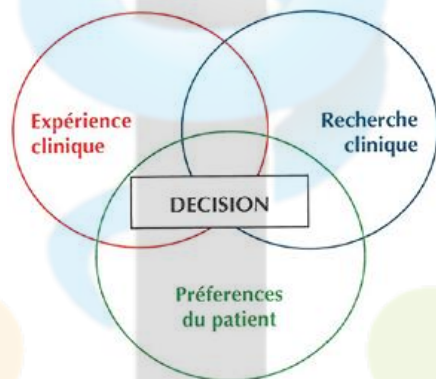
I. Médecine fondée sur les preuves (Evidence Based Medicine)

A. Apprentissage médical

L'apprentissage médical est l'apprentissage d'une médecine factuelle fondée sur des preuves scientifiques. Il consiste en une **acquisition puis une mise en pratique** d'un grand volume de connaissances. Les connaissances et preuves scientifiques sont cependant en **constante évolution**.

B. Définition de l'Evidence Based Medicine

L'EBM repose sur l'utilisation des **savoirs** et la **recherche de meilleures données scientifiques** en réalisant **une approche personnalisée** de chaque patient.

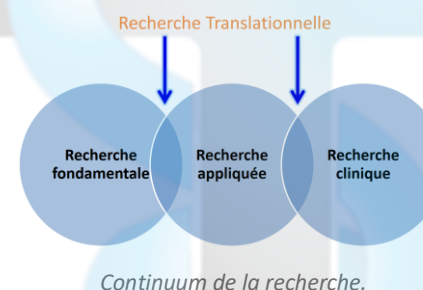


Piliers de l'Evidence Based Medicine.

II. La recherche

A. Définitions

- **Recherche** : C'est « l'ensemble d'études et de travaux mené méthodiquement par un(e) spécialiste et ayant pour objet de faire **progresser la connaissance** » ;



Continuum de la recherche.

- **Recherche fondamentale** : Objectif de **production de savoirs** et la **compréhension des phénomènes naturels**. En sciences de la vie et de la santé, il s'agit notamment de **décrypter les mécanismes** du vivant ;
- **Recherche appliquée** : Objectif **pratique** déterminé et est effectuée sur des **modèles biologiques (in vitro) ou animaux (in vivo)** des maladies humaines ;
- **Recherche translationnelle** : C'est le **développement d'innovations diagnostiques ou thérapeutiques** au service de la santé, grâce au transfert de la recherche fondamentale ou pré-clinique vers la recherche / pratique clinique ;
- **Recherche clinique** : Ce sont « l'ensemble des études scientifiques **qui sont réalisées sur la personne humaine**, en vue du développement des connaissances biologiques ou médicales. » (INSERM) ;

- Recherche de santé publique : Elle a pour objectif **d'améliorer la santé et le bien-être des populations**. Elle étudie « l'influence des **déterminants de santé**, en s'appuyant sur les cohortes et les bases de données. » (INSERM) ;
- Recherche sur les services de santé : Elle étudie l'**accès** aux services de santé, leurs **coûts** et leurs **impacts** sur les patients afin de trouver une meilleure stratégie de prise en charge des patients ;
- Epidémiologie : C'est une discipline scientifique qui étudie la **fréquence des maladies, leur répartition dans la société, les facteurs de risque et les décès** liés à cette maladie.

B. Structure d'un projet de recherche

Le projet de recherche consiste en une **idée que l'on souhaite explorer** et prend corps en une succession d'étapes stéréotypées :

1. Prendre le temps de bien formuler l'**hypothèse** ;
2. Établir un **cadre méthodologique** pour la tester ;
3. Mener l'**expérimentation** selon ce cadre ;
4. **Interpréter** les résultats obtenus.

L'impact d'une recherche dépend de 3 éléments :

- **Innovation** = Proposer quelque chose de nouveau ;
- **Niveau de preuve** = Privilégier une méthode rigoureuse ;
- **Communication** = Faire passer un message.

C. Éthique scientifique

Durant un projet de recherche, il est important de :

- **Rester objectif** ;
- **Rester honnête** ;
- **Rester prudent**.

D. Question, Hypothèse et Objectif de Recherche

Une hypothèse de recherche est la réponse présumée à la question qui oriente une recherche. Il s'agit d'une supposition qui est faite en réponse à une question de recherche.

Un projet de recherche ne comporte qu'une seule hypothèse principale, qu'il vise précisément à confirmer ou à infirmer.

Un objectif de recherche est la contribution que les chercheurs espèrent apporter à un champ de recherche en validant ou en invalidant une hypothèse.

1 question = 1 hypothèse = 1 objectif = 1 cadre méthodologique pour y répondre.

Pour trouver une bonne hypothèse de recherche, on dispose de critères de choix :

Pertinence : l'hypothèse posée représente-t-elle un réel intérêt scientifique ?

Originalité : l'hypothèse a-t-elle déjà été explorée par d'autres équipes et comment ?

Faisabilité : une méthode d'investigation est-elle envisageable pour y répondre ? (« suis-je à même d'y répondre ? »)

Impact : quel est le bénéfice attendu de la découverte en termes de santé publique ?

Clarté : l'hypothèse est-elle précise et formulée de manière explicite ?

III. Grandes étapes d'un projet de recherche

A. Étape 1 : Préparation du projet

1. **Définition du type d'étude** (descriptive, longitudinale, randomisée...);
2. **Rédaction du protocole** avec : l'objectif(s), la population étudiée, les modalités des critères de jugement et des résultats. C'est l'investigateur principal qui rédige le protocole et il peut être assisté par d'autres personnes (collaboration);
3. **Estimation du budget** prévu pour l'étude;
4. **Réalisation d'appels d'offres** pour trouver les fonds (publics ou privés).

B. Étape 2 : Coordination du projet

1. **Démarches réglementaires** : analyse de l'éthique et de la sécurité des données imposé par la loi JARDE de 2016;
2. **Conception des documents de l'étude** : le manuel opératoire (procédures), une note d'information (à destination du patient), le formulaire de consentement éclairé (si l'étude est interventionnelle);
3. **Conception des documents de recueil des données** (CRF, carnet du patient, guide de recueil);
4. **Saisi des données dans une base de données**;
5. **Recrutement des centres participants** avec conception d'une **convention** pour officialiser leur participation à la recherche;
6. **Réalisation d'un suivi de l'étude** (réunions de mise en place de l'étude entre les différents centres, suivi d'inclusion des patients, réunions du comité de pilotage; réalisation de newsletters).

C. Étape 3 : Gestion des données

1. **Recueille puis saisit** des données;
2. **Contrôle qualité des données**;

3. **Extraction** des données;
4. **Gel de la base** des données.

D. Étape 4 : Analyse statistique

1. **Analyses statistiques**;
2. **Analyses intermédiaires** (évaluation de la balance B/R et l'efficacité);
3. **Analyse finale**;
4. **Rédaction du rapport** d'analyse finale des résultats.

E. Étape 5 : Valorisation scientifique

1. **Rapports intermédiaires**;
2. **Rapport final**;
3. **Publications scientifiques** : principale et secondaires.

F. Acteurs d'un projet de recherche

Le promoteur : Personne **responsable d'une recherche** impliquant la **personne humaine**. Il est responsable de la **sécurité des personnes** participant à la recherche et doit mettre en place des **contrôles**. Il est le **propriétaire des données**. Le promoteur est **l'interlocuteur unique du Comité de Protection des Personnes et de l'Autorité Compétente** et peut être **industriel** ou **institutionnel**.

L'investigateur : Personne qui **dirige et surveille** la réalisation de la recherche sur un lieu. Il s'engage à **mener la recherche selon les Bonnes Pratiques Cliniques** et selon le **protocole fourni**. L'investigateur **inclut** également les patients.

G. Autorisations réglementaires

Informé le patient : obligatoire dans tous les types de recherche excepté dans une recherche sur donnée quand le patient est anonymisé.

Recueillir le consentement ou la non-opposition : obligation du consentement écrit pour une étude interventionnelle et seulement une non-opposition pour la recherche observationnelle.

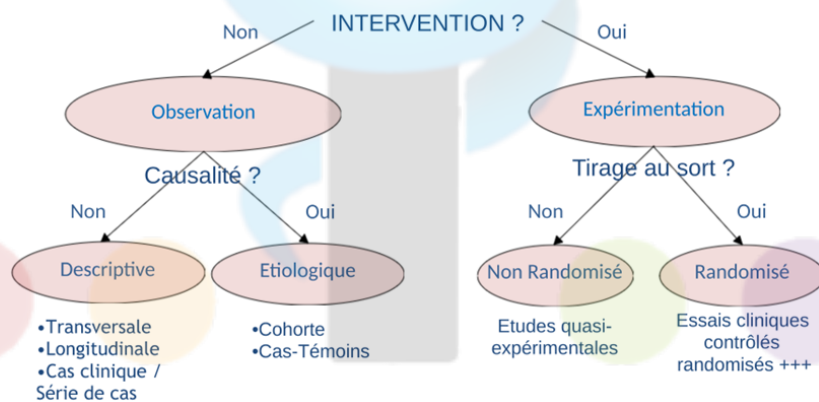
Demande d'un avis éthique : obligatoire pour les recherches impliquant la personne humaine. C'est une demande auprès du CPP (Comité de Protection de la Personne) pour s'assurer que les personnes sont bien protégées. Pas obligatoire pour des recherches sur les données.

Autorisation de la CNIL : obligatoire pour les recherches menées sur les personnes. Le CNIL permet le respect de l'information des personnes concernées et de l'effectivité de leurs droits.

Autorisation de l'ANSM : obligatoire uniquement pour les études interventionnelles sur la personne humaine.

IV. Types de questions de recherche et types d'études appropriés

A. Différents types d'études



Les différents types d'études.

Études descriptives : Étude de la **fréquence** et de la **répartition** des maladies et des **facteurs** de santé dans la population. Attention, elles ne nous permettent pas de statuer **un lien de causalité entre une pathologie et un facteur**.

Incidence : Permet d'évaluer la fréquence et la vitesse d'apparition d'une pathologie, mais aussi des comparaisons entre les populations et dans le temps.

Le taux d'incidence est le rapport entre le nombre de nouveaux cas d'une pathologie observés pendant une période donnée (population incidente) et la population dont sont issus les cas, pendant cette même période (population cible).

Prévalence :

La prévalence est une mesure de l'état de santé d'une population, dénombrant le nombre de cas de maladies, à un instant donné ou sur une période donnée.

Pour une affection donnée, on calcule le taux de prévalence en rapportant ce nombre à la population considérée (proportion typiquement exprimée en pourcentage).

Études analytiques : Elles permettent de comparer plusieurs groupes et de tester une hypothèse. Il y a **une association entre l'exposition à un facteur et la survenue d'une maladie**.

Études de cohorte : **Suivi** au cours du **temps** d'un groupe d'individus initialement **indemnes** de la maladie. Chez ces individus indemnes, on mesure **l'exposition au facteur étudié** et la **survenue** de la maladie étudiée.

Étude cas-témoins : Comparaison de l'exposition du facteur étudié entre 2 groupes : les malades (= cas) et les non-malades (= témoins).

Études expérimentales : L'objectif est d'évaluer l'efficacité et la tolérance d'une intervention sur un critère de jugement clinique. On compare ce critère entre un groupe **exposé à l'intervention** et un groupe **non exposé**.

B. Question posée : type d'étude appropriée

Question posée	Type d'étude
Prévalence d'une maladie	Étude transversale
Incidence d'une maladie	Étude longitudinale (de cohorte)
Facteurs de risque associés à la survenue d'une maladie	Étude transversale Étude cas-témoins Étude de cohorte
Efficacité d'une intervention (traitement, dépistage)	Essai clinique randomisé

C. Niveau de preuve scientifique

NIVEAU DE PREUVE SCIENTIFIQUE FOURNI PAR LA LITTÉRATURE	GRADE DES RECOMMANDATIONS
Niveau 1 ☐ Essais comparatifs randomisés de forte puissance ☐ Méta analyse d'essais comparatifs randomisés ☐ Analyse de décision basée sur des études bien menées	A Preuve scientifique établie
Niveau 2 ☐ Essais comparatifs randomisés de faible puissance ☐ Études comparatives non randomisées bien menées ☐ Études de cohorte	B Présomption scientifique
Niveau 3 ☐ Études de cas témoin C	C Faible niveau de preuve scientifique
Niveau 4 ☐ Études comparatives comportant des biais importants ☐ Études rétrospectives ☐ Séries de cas ☐ Études épidémiologiques descriptives (transversale, longitudinale)	

Niveau de preuve et grade de recommandation.