

Études de cas *versus* revues de la littérature : les indicateurs du changement de modèle dominant de partage des connaissances en médecine

Case reports versus literature reviews: indicators of change in the dominant model for sharing medical knowledge

Borgès Da Silva G¹, Borgès Da Silva R², Contandriopoulos AP³

Résumé

Objectifs : La crise du paradigme de la médecine s'est manifestée à la fin du XX^e siècle par la variabilité des pratiques, l'incertitude de la décision médicale et les difficultés à définir la normalité. A partir de l'évolution de la production des connaissances, notre objectif a été d'apporter une mesure à cette crise paradigmatique et de tenter de percevoir le sens du changement.

Méthodes : Nous avons mesuré, sur Medline, chaque année entre 1976 et 2004, le nombre de publications d'études de cas *versus* le nombre de revues de la littérature et d'articles d'essais cliniques.

Résultats : Nos résultats montrent que, parmi les articles indexés chaque année, la proportion d'articles de revues de la littérature a dépassé en 1994 celle des articles d'études de cas. Cette proportion poursuit actuellement sa croissance. La proportion des articles d'études de cas a diminué de moitié dans les vingt dernières années. Les articles d'essais cliniques augmentent régulièrement et pourraient dépasser les articles d'études de cas dans la prochaine décennie.

Conclusion : La mesure du changement de paradigme de la médecine qu'apportent nos résultats permet de saisir les modifications des équilibres antérieurs :

- l'approche qualitative de la maladie laisse place à une approche quantitative ;
- le développement des connaissances s'oriente vers une démarche scientifique. D'inductive elle devient déductive. Cette connaissance évolue et se stratifie par accumulation et synthèse de connaissances primaires émanant de différentes équipes ;
- la recherche de certitudes étiologiques, propre au paradigme mécaniste, se heurte à la complexité et celle-ci est appréhendée par l'usage des probabilités.

Mais, au-delà des grands nombres, l'approche clinique et la compétence humaine du médecin restent des pré-alables fondamentaux pour soigner.

Rev Med Ass Maladie 2006;37(1):15-25

Mots-clés : revue de la littérature ; essai clinique ; étude de cas ; épistémologie ; paradigme ; complexité ; mécaniste ; probabiliste ; empirisme ; Medline ; organisation des soins ; médecine factuelle ; evidence based medicine.

Summary

Aims: The crisis in the medical paradigm was seen at the end of the 20th century in the variability of practices, uncertainty of medical-decision making and difficulties in defining normality. Using changes in knowledge production as a marker, our aim was to characterize this paradigm crisis and to foresee its evolution.

Methods: We reviewed Medline annually between 1976 and 2004, and counted the number of published case reports *versus* the number of literature reviews and clinical trial articles.

Results: Our results show that of the articles indexed each year the proportion of literature review articles in 1994 was greater than case reports. This proportion is currently increasing. The proportion of case reports articles has fallen by half over the last twenty years. Clinical trial articles are increasing regularly and may exceed case reports in the next decade.

Conclusions: The measurement of changes in the medical paradigm provided by our results show changes in the previous equilibrium:

- the qualitative approach to disease is giving way to a quantitative approach;
- knowledge development is moving towards a scientific process. From being inductive it is becoming deductive. This knowledge is changing and is stratifying through accumulation and review of primary knowledge from different teams;
- research into etiologic certainties specific to the mechanistic paradigm is clashing with complexity, which is translated in the use of probabilities.

Beyond large numbers, however, the clinical approach and human skills of the doctor remain fundamental prerequisites for care.

Rev Med Ass Maladie 2006;37(1):15-25

Key-words: review; literature review; clinical trial; case reports; epistemology; paradigm; complexity; mechanist; probabilist; empirism; Medline; organisation of care; factual medicine; evidence based medicine.

¹ Médecin-conseil chef de service, Département veille et stratégie, Direction stratégie, études et statistiques, CNAMTS (Paris).

² Ingénieur économiste. Doctorante en santé publique, Groupe de recherche interdisciplinaire en santé (GRIS) - Université de Montréal ; Groupe de recherche sur l'équité d'accès et l'organisation des services de santé de première ligne (GRÉAS 1) - Direction de la santé publique de Montréal (Canada).

³ Professeur titulaire, Département d'administration de la santé, Faculté de médecine, Université de Montréal (Canada) ; Chercheur au Groupe de recherche interdisciplinaire en santé (GRIS) - Université de Montréal.

INTRODUCTION

L'histoire de l'acquisition des connaissances scientifiques n'a pas été un processus cumulatif [1]. Elle a évolué par des remises en cause complètes de concepts adoptés précédemment.

1. Evolution du système de santé et de la médecine dans les deux derniers siècles

Selon Foucault, on observe au XVIII^e siècle un changement radical dans la conception des relations entre l'État et la santé. D'une souveraineté ayant droit de faire mourir ou laisser vivre, on est passé à un État ayant pouvoir de régulation pour faire vivre ou laisser mourir [2]. Le corollaire de ce renversement de l'idée que l'on se faisait de l'État a été l'apparition de ce que Foucault appelle le biopouvoir. Celui-ci s'est appuyé sur une nouvelle conception de la médecine.

Jusqu'au XVIII^e siècle, la médecine se basait principalement sur des spéculations théoriques réalisées à l'écoute du malade mais sans véritablement valoriser l'observation et l'examen clinique.

Le XIX^e siècle a été marqué par l'apparition de l'observation et par ce que Foucault a appelé la naissance de la clinique [3]. Des pathologistes identifièrent des entités-maladies à partir de relations entre des lésions anatomiques et des tableaux cliniques (par exemple l'ulcère gastrique). Un peu plus tard, des relations ont été établies entre des troubles physiologiques et des tableaux cliniques (par exemple le diabète). A la fin de ce siècle, une autre branche de cette classification étiologique des maladies s'est développée en relation avec la découverte des agents infectieux. Le dogme d'uni causalité (une cause - une maladie) a été affirmé [4].

A cette époque, on pensait qu'il suffirait de connaître les mécanismes des maladies pour en déduire le traitement. Cette conception mécaniste¹ conduisait à mettre en œuvre des traitements à partir d'hypothèses physiopathologiques et de l'étude de leur mécanisme d'action en laboratoire. On n'envisageait pas de tester les traitements par des méthodes empiriques comme le feront plus tard les essais cliniques. Avant d'atteindre ses limites, cette conception a participé à d'importants progrès dans les techniques diagnostiques et thérapeutiques, notamment après la seconde guerre mondiale.

Dans les années 1960, des cliniciens mirent en doute l'efficacité des nouveaux médicaments élaborés en laboratoire sur des hypothèses mécanistes. Ils en recherchèrent les preuves empiriques directes avec des essais cliniques contrôlés. Le champ d'application des essais s'étendit à l'introduction des nouvelles techniques préventives ou diagnostiques [4]. Une des révolutions du XX^e siècle a été l'approche probabiliste de l'épidémiologie

clinique avec le développement des biostatistiques [5] et de la clinimétrie [6, 7] pour appréhender la complexité. A côté de la recherche d'une étiologie physiopathologique comme unique cause de maladie (approche mécaniste), il devint possible d'éluder en partie le questionnement sur l'étiologie et d'agir sur des facteurs de risques de déclenchement d'une maladie ou de ses complications (approche probabiliste). Cette approche était particulièrement adaptée pour agir sur les maladies chroniques dont la prévalence augmentait dans cette période de transition épidémiologique.

Cette approche a des similitudes avec l'attitude pragmatique définie par Schwartz et coll [8], en opposition à l'attitude explicative. Selon Schwartz et coll, dans les essais thérapeutiques, deux attitudes sont possibles. L'attitude explicative vise à apporter une réponse sur le plan de la compréhension (par exemple : savoir si un traitement est actif en le comparant à l'absence de traitement). L'attitude pragmatique vise à savoir si un traitement apporte quelque chose de plus intéressant en pratique, par exemple en le comparant avec le meilleur traitement classique.

De la même façon, alors que l'attitude mécaniste va rechercher des liens de causalité entre les constatations cliniques et la mécanique biologique pour en découvrir le traitement, l'attitude probabiliste peut éluder la connaissance des mécanismes intimes d'une affection ou de ses complications (cancer, maladies cardio-vasculaires) pour s'employer à définir les facteurs de risques de sa survenue et à proposer d'agir en prévention.

Face à la complexité des phénomènes biologiques, la vision de la maladie, comme événement découlant du dysfonctionnement d'un mécanisme biologique simple, ne pouvait plus être seule porteuse de progrès. Les facteurs subjectifs et les interactions entre les déterminants sociaux, environnementaux, personnels et génétiques étaient aussi à appréhender [9].

Selon différents auteurs, la décennie 1970-79 a marqué, par un changement profond, l'histoire du système de santé des démocraties occidentales.

Selon Ashton, trois phases distinctes de l'évolution des systèmes de santé peuvent être identifiées au cours des 150 dernières années. La première phase commence avec la révolution industrielle et s'étend jusqu'aux années 1930. La deuxième phase, marquée par l'augmentation croissante de l'implication de l'État jusque dans les années 1970, voit le développement des vaccins et de l'immunisation. Elle est remplacée au début des années 1970 par l'ère thérapeutique. Cette dernière a été fortement remise en question avec la croissance des coûts des systèmes de santé [10].

Pour Contandriopoulos, jusqu'au milieu des années 70, on a assisté à l'instauration des régimes publics d'assu-

¹ Par mécaniste, nous faisons référence à la philosophie de la nature qui s'efforce d'expliquer l'ensemble des phénomènes naturels par les seules lois de cause à effet (Larousse, 2003).

rance maladie. Cette période est caractérisée par une croissance rapide des dépenses de santé et par la domination, dans la régulation du système de santé, de la logique professionnelle des professions de santé. Le système de soins était conçu comme un dispositif permettant à chaque professionnel d'exercer son expertise, au nom du patient, de la façon la plus libre et la plus complète possible. Ensuite et jusqu'à la fin des années 80, la logique professionnelle subit une certaine disqualification au profit des logiques gestionnaire et marchande. Pour la logique gestionnaire, il est possible en mobilisant des approches scientifiques, de définir comment employer de façon optimale les ressources pour satisfaire au mieux les besoins de la population. La logique marchande souhaite introduire les lois du marché dans la santé. Puis, les années 90 ont été caractérisées par une perception générale de la crise des systèmes de santé [11].

Pour Spitzer, pendant le dernier quart du XX^e siècle, les sciences biomédicales ont fait évoluer les professions de santé. Elles sont passées d'une dépendance exclusive de l'opinion, comme déterminant de la décision clinique, à une philosophie propre au scientifique, fondée sur les faits [12].

Selon Giraud, la médecine a vécu du XIX^e siècle jusqu'aux années 1970 sur un modèle mécaniste. Ainsi, à la fin du XX^e siècle on imaginait encore que les progrès de la médecine parviendraient à éradiquer les grandes maladies dont souffrent les populations. Mais les résistances microbiennes et l'émergence de nouvelles maladies ont montré que l'instabilité et la complexité des systèmes, connues dans d'autres domaines des sciences, s'étendent également à la médecine. La gestion de l'incertitude et de la complexité est apparue nécessaire. L'épidémiologie clinique a été proposée comme une discipline permettant à la médecine de porter des conclusions plus conformes à la réalité clinique que celles dérivées de la foi dans le modèle mécaniste. Pour cela, elle a intégré l'incertitude dans ses raisonnements, à l'aide des outils statistiques. Il s'agissait de passer d'un paradigme d'explication (déterminisme, certitude) à un paradigme de prédiction intégrant l'usage des probabilités (donc des éléments d'incertitude) dans sa réalité. La connaissance des mécanismes des maladies est souvent insuffisante pour poser des diagnostics et prescrire des traitements appropriés, efficaces et sûrs. Il a donc fallu adapter à la médecine clinique, les instruments des sciences dites précliniques comme l'épidémiologie et la statistique. Il a aussi été nécessaire d'utiliser une méthode rigoureuse d'observation et de classification pour en contrôler autant que possible les facteurs de variations, de biais et d'erreurs. Enfin, la lecture critique des articles médicaux s'est intégrée comme un des instruments de l'épidémiologie clinique. Ainsi l'épidémiologie clinique est devenue progressivement la base scientifique de l'évaluation médicale [13].

2. Evolution de l'élaboration et du partage des connaissances en médecine

Depuis la Renaissance, le libre examen est devenu la règle du raisonnement intellectuel. L'idée de vérité révélée a été progressivement abandonnée. Un nouveau système d'explication du monde s'est mis en place. La valorisation de l'expérimentation personnelle a permis de faire de grands progrès.

Jusque dans les années 1970, les décisions cliniques des professionnels reposaient essentiellement sur leurs connaissances acquises durant leur formation et sur leurs expériences personnelles ainsi que celles de leurs maîtres. Mais l'accélération du renouvellement des connaissances a disqualifié la pratique laborieusement construite sur le champ limité de l'expérience individuelle. D'autant que celle-ci mettait la durée d'une vie pour se construire avant de disparaître. L'efficacité de l'action des professionnels a été démultipliée par le profit tiré de l'expérience collective validée.

Les revues à comité de lecture sont devenues le cristallisateur de la connaissance validée. Le développement de l'internet a facilité l'élaboration collective en multipliant les échanges.

Ce changement est associé à un changement culturel majeur : la compétence n'est plus liée au cumul de l'expérience. Elle n'est donc plus nécessairement l'apanage de l'âge ou de l'ancienneté du professionnel [14].

Pour être valide et utilisable par tous, cette expérience à partager doit être basée sur des faits. Ces faits sont plus souvent probants que réellement prouvés car les preuves irréfutables sont rarement acquises dans les sciences. Mais même si les hypothèses construites sur les faits sont sujettes à péremption, elles sont, le plus souvent, plus efficaces que celles déterminées par les opinions. Il ne serait donc ni raisonnable ni éthique de ne pas se servir des preuves scientifiques lorsqu'elles existent [15].

La publication dans les revues à comité de lecture est actuellement le système de validation (perfectible) des expériences professionnelles proposées à la collectivité des acteurs de santé.

A la fin du XX^e siècle, le développement des connaissances médicales, leur éparpillement par la multiplication des revues [16] et des supports, puis leur mutualisation, à l'aide des nouvelles technologies de l'information et de la communication (NTIC), ont induit l'élaboration de synthèses d'expériences collectives (les synthèses critiques basées sur des revues de la littérature). Elles ont mis à la disposition des acteurs de santé des synthèses rigoureuses et objectives des données disponibles afin de les aider dans leur choix de méthode d'action. Ainsi, le partage des synthèses des connaissances produites par le corpus professionnel devient une aide décisionnelle pour les professionnels et les décideurs.

Pour Salmi, cette médecine factuelle, puisque fondée sur des faits, se définit comme la capacité d'accéder, de résumer et d'appliquer les connaissances disponibles dans la littérature à des problèmes cliniques quotidiens. Les synthèses des connaissances doivent être réalisées selon une démarche bien particulière. Tout d'abord, l'utilisation des faits scientifiques disponibles implique de savoir retrouver la littérature pertinente sur un sujet. Ensuite, il faut extraire l'information pertinente dans chaque article trouvé. Les outils de la lecture critique sont alors indispensables. Il s'agit de différencier les connaissances utiles, basées sur des faits, de celles qui n'apportent rien à la pratique. Il faut donc reconnaître les études respectant les standards de recherche de celles qui sont faussées par des erreurs méthodologiques ou par des défauts de pertinence. Enfin, il faut traduire les faits en décisions cliniques ou de santé publique par une synthèse entre les apports des différents articles [17].

Suite aux travaux de la Canadian task force on periodic health examination [18], une quantification du niveau de preuve scientifique (ou de gradation des faits) a classé en haut de toutes les échelles internationales les méta-analyses (synthèses quantitatives d'essais cliniques) et les essais cliniques bien menés, et en bas les études de cas cliniques².

Cette logique scientifique qui a émergé dans la fin du XX^e siècle, est partagée par une partie de la communauté médicale et par ceux qui s'emploient à permettre à tous un accès égal à des soins de qualité. Elle s'appuie sur le réel et sur les faits à travers l'expérience collective validée et la synthèse critique des connaissances. Elle s'oppose à une logique basée sur l'opinion, l'interprétation personnelle, l'expérience aléatoire du professionnel isolé. Elle rompt avec la hiérarchie gérontocratique issue de la compétence basée sur l'opinion d'un *leader* ou sur l'expérience personnelle cumulée toute une vie et dont le mode de transmission est fragile.

3. Objectif

Notre objectif est de montrer que l'un des changements majeurs de la fin du XX^e siècle marquant le système de santé, a débuté vers 1985 et se poursuit encore. Celui-ci réside dans le changement du modèle dominant d'élaboration et de partage des connaissances en santé. L'élaboration collective des connaissances par les revues de la littérature est devenue récemment le modèle dominant. La connaissance évolue et se stratifie par accumulation de connaissances primaires émanant de différentes équipes. Pour le démontrer, nous avons cherché un indicateur pouvant témoigner de cette évolution à travers les dernières décennies.

Jusque dans les années 1970, la valorisation de l'expérience individuelle favorisait la publication d'un genre particulier d'articles : les études de cas.

Nous avons voulu montrer que la valorisation de l'expérience collective, sous la forme de synthèses du corpus de connaissances, prend une ampleur toujours croissante et qu'elle se manifeste par une augmentation de fréquence des articles de revues de la littérature, issus de la compilation des données d'autres articles.

Ce changement s'est accompagné d'un changement du déterminant de la décision clinique. Celle-ci s'est basée moins sur le jugement personnel et plus sur les faits établis car constatés par des expérimentations suivant un protocole rigoureux. Les articles d'essais cliniques ont fourni, avec d'autres types de publication, la matière première nécessaire à la réalisation de revues de la littérature. Enfin, la mise à disposition de l'expérience collective validée et sa dispersion dans diverses sources a conduit au développement de recommandations pour la pratique [22]. Ce changement de modèle de production des connaissances devient progressivement le modèle dominant et remplace ainsi le modèle de production d'expériences individuelles, sans pour autant le faire disparaître car il a une place légitime et il sert notamment à former des hypothèses. Les articles d'études de cas sont aussi utilisés dans certaines revues de la littérature.

C'est donc la permutation de la place de chaque modèle que nous avons voulu montrer.

Pour le démontrer, nous avons mesuré, sur une base bibliographique mondiale, le nombre de publications d'études de cas *versus* le nombre de revues de la littérature et d'articles d'essais cliniques.

MÉTHODES

Nous avons procédé, de manière rétrospective, à des requêtes en série sur la base bibliographique mondiale Medline, avec son interface PubMed³. Nous avons limité nos recherches aux articles :

- portant sur les humains ;
- indexés dans la base entre 1976 et 2004, soit durant 29 années.

La base a été constituée en 1966 mais nous avons constaté que le codage des types de publication n'a pas été systématiquement différencié durant les dix premières années de son existence. C'est pourquoi notre recherche a débuté en 1976.

Les équations de recherche [23] ont utilisé les descripteurs des types de publication figurant dans le thésaurus des mots-clés du MeSH⁴ (medical subject heading).

² Il faut toutefois noter que cette conception de la validité des résultats d'une recherche peut être discutée [19, 20]. La recherche expérimentale a sans aucun doute une très forte validité interne, mais sa validité externe repose, *in fine*, sur la solidité de la théorie sous-jacente, autrement dit sur la capacité à pouvoir interpréter les résultats obtenus. Les études de cas [21] dans cette perspective peuvent aussi avoir une forte validité et contribuer significativement à l'avancement des connaissances.

³ <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/entrez/query.fcgi?db=PubMed>

⁴ <http://disc.vjf.inserm.fr:2010/basismesh/meshv05.html#>

Le descripteur *case reports* existe depuis 1966, tandis que *review* et *clinical trial* ont été introduits en 1991. Le codage rétrospectif réalisé par les documentalistes de Medline permet de retrouver les descripteurs *review* et *clinical trial* dans les articles antérieurs à l'introduction de ces descripteurs.

En 2005, antérieurement à nos requêtes, les descripteurs de types de publication *review*, *academic* et *review, literature* ont été supprimés et remplacés dans la base par *review*.

La définition des descripteurs est disponible sur PubMed. Nous leur donnons ici une définition abrégée.

Review : travail réalisé à partir d'un examen plus ou moins complet de la littérature publiée sur un sujet spécifique. Il est habituellement accompagné d'une analyse critique et d'une synthèse de cette littérature.

Case reports : présentations cliniques pouvant être suivies d'études évaluatives menant à un diagnostic.

Clinical trial : étude clinique pré-planifiée portant sur la sécurité, l'efficacité, ou le schéma posologique optimum d'une ou plusieurs drogues, dispositifs, ou techniques diagnostiques, thérapeutiques, ou prophylactiques chez l'homme. Les critères d'acceptabilité, les effets favorables et défavorables sont prédéfinis.

Les requêtes ont été réalisées le 3 octobre 2005.

Les indicateurs mesurés pour chaque année et leur équation de recherche étaient les suivants :

- Nombre annuel d'articles de tous les types de publication : *année* [Publication Date]
- Nombre annuel d'articles d'études de cas : *année* [Publication Date] AND "case reports" [Publication Type]
- Nombre annuel d'articles de revue de la littérature : *année* [Publication Date] AND "review" [Publication Type]
- Nombre annuel d'articles d'essais cliniques : *année* [Publication Date] AND "clinical trial" [Publication Type]

Nous avons ensuite calculé la proportion annuelle d'articles de chaque type de publication dans la base des articles de l'année.

Dans cet article, nous avons utilisé les traductions de l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (INSERM) pour les descripteurs des types de publication (étude de cas, essai clinique), sauf pour

review que nous avons traduit par revue de la littérature pour éviter le deuxième sens courant du mot revue quand il signifie journal.

RÉSULTATS

Pour les types de publications que nous avons étudiés, les articles indexés dans la période 1976-2004 portant sur les humains étaient répartis ainsi :

- tous les types de publications : 7 445 472 articles ;
- étude de cas : 1 067 113 articles ;
- revue de la littérature : 892 444 articles ;
- essais cliniques : 370 072 articles.

La proportion d'articles indexés chaque année sur la base Medline a presque triplé en 29 ans (figure 1).

Le type de publication regroupant le plus grand nombre d'articles était « articles journal ». Ce descripteur a regroupé entre près de 100 % des articles en 1976, à 89 % en 2004. Il n'est pas spécifiquement un type d'article mais une caractéristique de type de support dans lequel l'article est publié.

Parmi les types de publication caractérisés, les études de cas puis les revues de la littérature ont été ceux ayant le plus fort effectif, en ordre décroissant.

Les figures 2 et 3 montrent que :

- les articles d'études de cas ont augmenté dans la période étudiée. Mais la croissance a été relativement faible et a peu bénéficié de la croissance des articles indexés dans la base. En valeur relative au total d'articles indexés chaque année, leur proportion a été décroissante ;
- les études de revue de la littérature ont constitué un flux assez faible jusqu'en 1986. Leur nombre a fortement augmenté entre 1987 et 1989 puis un fort taux de croissance s'est maintenu jusqu'à la période actuelle. Cette croissance a largement bénéficié de l'augmentation du nombre d'articles indexés dans la base. A partir de 1994, leur effectif annuel a dépassé celui des études de cas. Dans la période actuelle, la valeur relative de leur effectif a atteint le niveau où se situaient les études de cas dans la décennie 1976-1985, soit un article indexé sur six ;
- les articles d'essais cliniques représentaient une faible part des articles indexés mais leur croissance s'est maintenue avec une forte augmentation entre 1986 et 1995. Si leur courbe générale de croissance se maintient, elle pourrait croiser celle des études de cas dans une dizaine d'années.

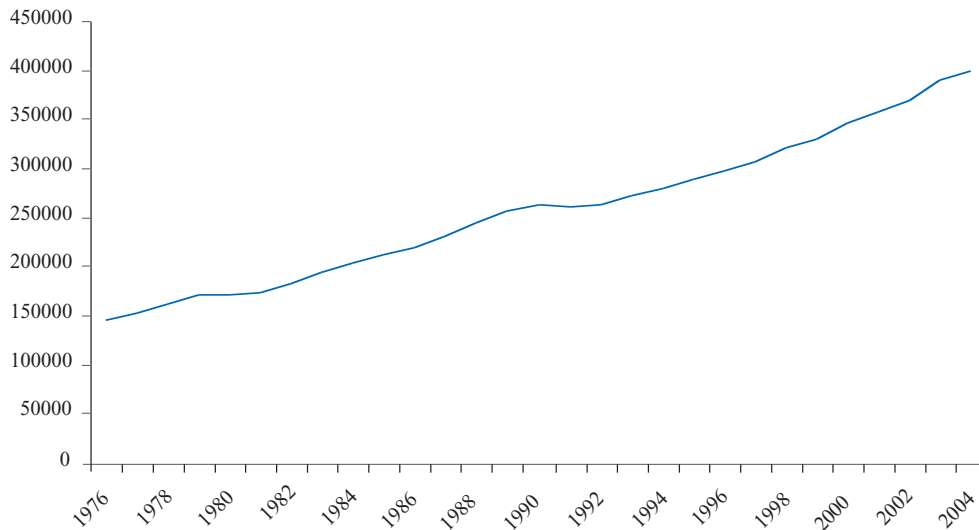


Figure 1. Evolution annuelle du nombre d'articles indexés (en ordonnée) dans Medline, entre 1976 et 2004 (en abscisse).

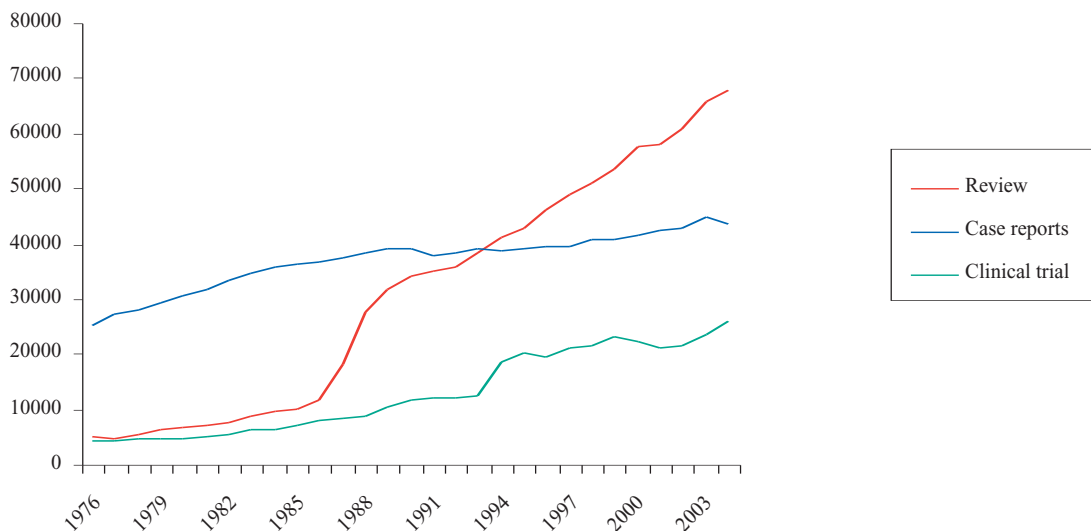


Figure 2. Evolution annuelle du nombre d'articles indexés dans Medline (en ordonnée), avec les descripteurs *review*, *case reports*, *clinical trial*, entre 1976 et 2004 (en abscisse).

DISCUSSION

Nos résultats ont montré que, parmi les articles indexés chaque année, la proportion d'articles de revues de la littérature a dépassé, depuis 1994, celle des articles d'études de cas. Cette proportion poursuit actuellement sa croissance.

La proportion des articles d'études de cas a diminué de moitié dans les vingt dernières années.

Les articles d'essais cliniques augmentent régulièrement et pourraient dépasser les articles d'études de cas dans la prochaine décennie.

Avant d'entreprendre nos requêtes sur Medline, nous avons fait l'hypothèse d'un modèle d'évolution de la diffusion des connaissances induisant un accroissement des revues de la littérature et une baisse relative des études de cas. Nous avons testé cette hypothèse, et nos résultats ont été cohérents avec elle.

1. Interprétation des résultats

Nous interprétons ces résultats comme les témoins d'un changement de modèle dominant de partage des connaissances médicales.

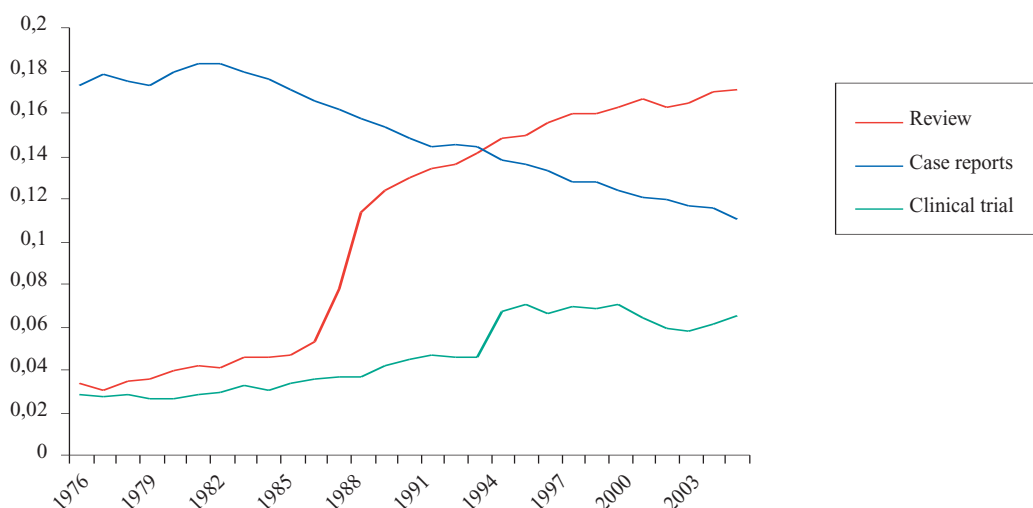


Figure 3. Evolution annuelle de la proportion d'articles indexés dans Medline (en ordonnée), avec les descripteurs *review*, *case reports*, *clinical trial*, entre 1976 et 2004 (en abscisse).

a) Le développement des connaissances s'oriente vers une démarche scientifique

Les études de cas font appel à l'expérience, la plus souvent individuelle, d'un clinicien, tandis que les revues de la littérature sont fondées sur l'expérience collective synthétisée à partir des publications de différents auteurs. Depuis 1994, la diffusion des connaissances médicales utilise donc préférentiellement les méthodes de la synthèse de l'expérience collective.

Selon Popper, le premier stade d'acquisition de la connaissance scientifique n'est pas l'observation (telle que nous la trouvons dans les études de cas) mais la formulation d'une hypothèse pouvant ensuite être testée par les observations et par les expérimentations [24].

Avec la synthèse des connaissances, quand elle se fait avec une analyse critique des articles, les hypothèses sont élaborées, puis les données probantes disponibles sont recherchées dans la littérature. Cette démarche hypothético-déductive peut conduire à la réfutation des hypothèses initiales.

C'est aussi ce processus que suivent les essais cliniques. La mise à l'épreuve d'une hypothèse (exemples : supériorité d'un traitement A vs un traitement B, ou bien, relation entre un traitement et un effet) se réalise parce qu'au départ l'expérimentateur a fait une hypothèse. Celles-ci sont soumises à l'expérimentation ou à l'observation. Si elle est mise en défaut, cette hypothèse est rejetée.

Quand ces essais concluent que l'hypothèse de l'absence d'effet d'un traitement est fautive, les essais cliniques permettent l'inférence déductive que proposait Popper. Par contre, ils ne permettent pas de conclure que la théorie suivant laquelle un traitement est efficace, est vraie. Mais la crédibilité de l'hypothèse augmente avec le nombre de tentatives de réfutation auxquelles elle a été soumise. Il

faut donc plusieurs essais thérapeutiques concordants pour qu'un niveau de crédibilité suffisant soit acquis [25]. Cela justifie l'intérêt des méta-analyses et des revues de la littérature.

Les synthèses critiques des connaissances apportées par les revues systématiques de la littérature reposent sur :

- la validation des méthodes, notamment au regard d'autres travaux sur le même sujet ;
- l'attribution d'un niveau de preuve à chacun des travaux colligés, en fonction, le plus souvent, du schéma d'étude utilisé ;
- la globalisation d'expériences multiples et multicentriques ;
- le recensement de phénomènes marginaux mais retrouvés de manière répétitive dans les différents travaux colligés ;
- la révélation des déficits de la connaissance sur un sujet ;
- la mise à l'épreuve d'une hypothèse vis-à-vis d'une pratique.

Ainsi, la connaissance médicale tend donc à passer de la démarche inductive fragile à la démarche déductive dont la plus grande fiabilité a été montrée par Popper [24, 26] et Kuhn [1].

Le développement des essais cliniques que nous constatons ne peut être interprété de manière univoque. D'une part, il exprime le constat de Gavaret [27] sur l'insuffisance des lois de la logique pour juger de l'effet des traitements et la nécessité de faire appel aux lois des grands nombres pour résoudre les problèmes cliniques. D'autre part, il peut aussi être attribué à la montée en puissance de l'industrie pharmaceutique, au renouvellement accéléré de ses médicaments, ainsi qu'au développement des techniques diagnostiques relevant de tests de fiabilité et de validité. L'évaluation des technologies médicales incite aussi à

la multiplication des essais cliniques car elle constitue le lien entre données probantes et décisions [28, 29].

b) L'approche qualitative de la maladie laisse place à une approche quantitative

Nos résultats montrent que le développement de la connaissance en médecine, basé sur une approche qualitative avec les études de cas, se tourne à présent vers une approche quantitative. Même s'il subsiste une approche qualitative dans certaines revues de la littérature, cette approche quantitative est particulièrement marquée dans les revues de la littérature d'essais cliniques et dans les méta-analyses.

Cette connaissance collective acquise par les revues de la littérature permet le développement d'une approche probabiliste et l'acquisition de données quantitatives sur les facteurs de risque de survenue de maladies ou de leurs complications.

Ces données quantitatives répondent à la demande émergente des usagers du système de santé. En effet, il devient de plus en plus inacceptable, pour l'intéressé, qu'un médecin justifie, par son seul jugement, une décision le concernant. De plus en plus, l'usager attend du professionnel qu'il lui présente une évaluation des avantages et des risques de chaque option pour pouvoir participer à l'élaboration de son parcours de soins.

2. Limites de nos méthodes

Les résultats de notre étude dépendaient de la qualité du codage réalisé par les opérateurs de Medline. Différents travaux ont montré que la qualité de codage de la base est acceptable [30, 31].

Les résultats ont pu aussi être influencés par les modifications du MeSH survenues durant les 29 années d'études. Le descripteur *review* n'a été introduit qu'en 1991. Il est possible que le codage rétrospectif des articles antérieurs à cette date ne soit pas complet. Mais même si c'était le cas, nous constatons, sur les figures 2 et 3, qu'entre 1991 et 1993 l'effectif de ces articles était inférieur à celui des études de cas et qu'il l'a dépassé à partir de 1994. Donc, si notre étude s'était limitée à analyser la période 1991-2004, les conclusions auraient été les mêmes.

A noter que pour le descripteur *clinical trial*, introduit lui aussi en 1991, cette introduction n'a provoqué aucun décrochage des courbes d'évolution des indexations d'articles à cette date (figures 2 et 3). Ce qui tend à montrer qu'un codage rétrospectif est bien réalisé par les documentalistes de Medline.

Certains articles sont comptabilisés à la fois dans *review* et dans *case reports* quand il s'agit de synthèses d'études de cas. Mais cette interférence qui majore le nombre d'études de cas, est peu fréquente et ne modifie pas la nature de nos résultats.

Les articles de revue de la littérature ne sont pas tous

porteurs de connaissances validées. Les revues de la littérature aboutissent à des résultats pertinents quand elles sont réalisées avec une démarche critique vis-à-vis des publications analysées.

3. Mise en perspective de nos résultats

a) L'internalisation de l'actualisation des connaissances, dans la pratique médicale

Selon McIntyre et Popper, l'amélioration de la pratique médicale passe par une auto-évaluation et la critique par les pairs. Dans la mesure où la connaissance se développe par l'identification des erreurs, le développement d'une nouvelle éthique professionnelle devrait encourager les médecins à admettre et analyser leurs erreurs ; à accepter l'idée de la critique mutuelle. Cette approche ouverte renforcerait la relation patient-médecin [32].

Nos résultats ont montré que les revues de la littérature, avec l'analyse critique des connaissances qui précède souvent leur synthèse, constituent à présent le processus dominant de diffusion du savoir médical. Il ne s'agit pas encore de l'auto-évaluation préconisée par les auteurs cités mais déjà d'une internalisation de la critique par le corps professionnel.

Cette progression de la synthèse des connaissances à travers les revues de la littérature est à rapprocher de la parution en 1992 de l'article princeps du *EBM working group* qui a lancé le mouvement en faveur de la médecine factuelle [33]. Une mise au point a ensuite exprimé ce qu'est l'*Evidence-based medicine* (EBM) [34]. Les modalités de mise en pratique de l'état le plus actuel des connaissances, sont ainsi définies par cet article :

- formuler clairement les problèmes cliniques à résoudre dans le cas du malade considéré ;
- réaliser une revue de la littérature en excluant les données issues de méthodes critiquables ;
- apprécier la validité et l'applicabilité des conclusions pratiques des articles ;
- en déduire la conduite à tenir pour le malade en cause.

b) La pratique médicale s'ouvre à l'audit externe

Les synthèses de connaissances collectives réalisées par les revues de la littérature conduisent à une normalisation de la pratique médicale. Elle favorise l'évaluation interne mais aussi externe de ces pratiques. Ce nouveau modèle de partage des connaissances devient dominant. De plus en plus de médecins se l'approprient, soit comme auteurs, soit comme lecteurs des articles conformes à ce modèle. Selon Contandriopoulos et coll, chaque groupe d'acteurs a sa propre logique bâtie sur sa vision du système de soins. Jusque dans les années 1970, les médecins voyaient la régulation du système uniquement à travers leur logique professionnelle [11].

Nous déduisons de nos résultats qu'une partie du corps

médical modifie son approche du système de santé et modifie sa logique pour rejoindre celle des gestionnaires telle que définie par Contandriopoulos et coll : pour cette dernière logique, il est possible en mobilisant des approches scientifiques, de définir comment employer de façon optimale les ressources pour satisfaire au mieux les besoins de la population [11].

Progressivement, les médecins attribuent une primauté à la vision scientifique plutôt qu'à la vision corporatiste. Il s'agit là d'un processus d'un grand intérêt pour le futur du système de soins. Cette modification de la logique professionnelle est une ouverture du corps médical vers une plus grande transparence des pratiques et vers la possibilité de leur évaluation externe.

Il s'agit maintenant de développer des modèles intégrés d'organisation permettant de donner plus de cohérence au système de santé, par un co-pilotage entre les médecins et les gestionnaires. Bien entendu, ce couple médecins et gestionnaires ne doit pas exclure du financement de la santé, tous ceux qui interviennent pour améliorer la santé en agissant sur ses déterminants sociaux et environnementaux. Un équilibre est à trouver entre la satisfaction de la demande individuelle de services sanitaires à la personne et celle de l'intérêt global de la collectivité pour sa santé.

c) La complexité est appréhendée par l'usage des probabilités

La multiplication du nombre d'articles d'essais cliniques montre aussi une plus grande réceptivité au fondement factuel de la pratique médicale. L'essai thérapeutique répond à une demande de plus de fiabilité par rapport au modèle mécaniste qui prévalait jusqu'au milieu du XX^e siècle.

Selon Wennberg (1987), la variabilité des pratiques médicales et l'incertitude devant la décision proviennent de l'absence de méthode pour mettre en application le potentiel des connaissances médicales [35]. L'apport de l'épidémiologie clinique, avec notamment les essais cliniques, a été de maîtriser l'incertitude grâce à l'utilisation des probabilités.

Cependant, selon Lomas et Contandriopoulos [36], l'épidémiologie clinique est incapable d'évaluer les interventions susceptibles d'influencer les déterminants non sanitaires de la santé. L'information critique sur l'efficacité des soins doit donc s'accompagner de la production d'informations comparables visant les aspects sociaux et environnementaux de la santé. En effet, ces déterminants ont une influence plus importante sur la santé de la population que les pratiques de soins [9].

Nos résultats ont montré qu'un changement est en cours. Sont-ils révélateurs d'une science en crise et d'une révolution scientifique en marche telles que Kuhn définit cette période ? C'est possible car la variabilité des pratiques médicales et l'absence de consensus devant des cas semblables, l'incertitude devant la décision médicale [37], la

progression de l'incertitude par le développement des connaissances [38], les multiples crises sanitaires, le développement des affections iatrogènes, les mises en causes de traitements ne répondant pas aux attentes qu'ils avaient induits ou provoquant des effets secondaires majeurs, l'obsolescence rapide de nombreuses pratiques médicales que l'on croyait établies, les difficultés à définir la normalité, les exigences des usagers du système de santé et la diffusion des connaissances sur l'internet, ont mis en cause le modèle mécaniste et ses certitudes.

L'inefficacité de certaines pratiques pouvait, un temps, être tenue pour ce que Kuhn [1] appelle une énigme. Elle devient à présent ce qu'il appelle une preuve, s'opposant au paradigme de la médecine considérée comme un art individuel basé sur l'expérience personnelle. Ce que Kuhn appelle la « science normale » est mis en cause de manière partielle mais avec une ampleur progressivement croissante. Devant la complexité, la synthèse critique des connaissances collectives apparaît être la réponse la plus fiable dont peuvent disposer les acteurs de santé.

Cependant, l'approche collective de la connaissance pourrait être simplement considérée comme un moyen d'adaptation de l'ancien paradigme. A notre avis, elle est plus qu'un moyen car elle a une incidence sur la nature et la place de la médecine dans la société :

- la synthèse critique des connaissances, par sa démarche hypothético-déductive, fournit une approche scientifique à la médecine et en change sa nature ;
- la pratique se fixe des normes et s'ouvre à l'évaluation externe.

En conséquence, cette nouvelle approche va-t-elle avoir une incidence structurante sur le système de santé ? Ce nouveau paradigme dominant va-t-il structurer la pratique et l'organisation des soins ? Ou bien l'organisation des soins, la place du médecin dans la société et dans ses relations avec les gestionnaires sont-ils en mesure de s'adapter à cette nouvelle approche de la connaissance médicale qui limiterait son effet à celui d'un courtage en connaissance ? Sommes-nous devant un nouveau paradigme allant brutalement restructurer le système de santé ou bien l'ancien va-t-il s'accommoder de ce changement ? Sommes-nous dans la période de « tensions essentielles » dans laquelle l'ancien paradigme répond mal aux attentes sans que pour autant le « monde désorganisé » ait déjà produit un paradigme de substitution ?

Nous pouvons envisager que l'approche probabiliste avec les synthèses critiques des connaissances collectives, les essais cliniques et les méthodes de l'épidémiologie clinique soient des outils mieux adaptés au paradigme de la complexité [38]. Celui-ci, après avoir touché les sciences « dures », atteindrait la médecine et s'installerait dans la conscience collective comme le modèle explicatif commun.

A l'époque du paradigme mécaniste triomphant (du XIX^e au milieu du XX^e siècle) et de la vision de la santé au travers de la seule physique-chimie, la part de la com-

plexité et du hasard était résolue par l'expérience personnelle, l'intuition et la connaissance informelle.

A notre époque, la santé ne peut plus se réduire à de la physique et de la chimie. Le contrôle empirique des hypothèses s'est imposé en médecine comme il s'était imposé, par exemple, en aérodynamisme (on vérifie les caractéristiques des prototypes en les testant dans des souffleries). Les calculs de probabilité sur des échantillons additionnés ont la même fonction pour les soignants que le télescope chez l'astronome : chercher à préciser ce qui est difficile à distinguer à l'œil nu. Avec la vision globale qu'elle apporte, cette approche peut aussi être assimilée au « microscope » de Rosnay [39].

d) La connaissance validée est un savoir-action

En médecine, l'expérience individuelle a élaboré une masse de connaissances informelles qu'il s'agit de valider pour les transformer en savoir-action. Le développement des connaissances médicales passe par une mutualisation des savoirs collectifs et par l'utilisation des probabilités pour maîtriser l'approche des fluctuations de la nature.

Le processus d'élaboration de la connaissance validée suit une phase d'élaboration primaire d'unités de connaissance. Une deuxième phase lui succède et porte sur la synthèse critique de plusieurs de ces unités. Cette deuxième phase réalise une distanciation de l'objet d'analyse et une dématérialisation de la relation entre le producteur final de la connaissance et son objet initial. Ce processus aboutit le plus souvent à un résultat quantifié associé à un intervalle de confiance.

Ce processus d'élaboration de ce capital immatériel qu'est la connaissance peut être déroutant. Nous pouvons envisager le moment présent comme une période de transition troublante pour nombre de professionnels de santé. Il nous apparaît alors essentiel de rechercher une vision pour avancer ensemble vers une organisation des soins susceptibles de favoriser un nouvel équilibre structurel satisfaisant entre les différents acteurs de la régulation du système de santé [40, 41].

CONCLUSION

La mesure du changement de paradigme de la médecine qu'apportent nos résultats permet de saisir les modifications des équilibres antérieurs :

- l'approche qualitative de la maladie laisse place à une approche quantitative ;
- le développement des connaissances s'oriente vers une démarche scientifique. D'inductive elle devient déductive. Cette connaissance évolue et se stratifie par accumulations et synthèses, souvent critiques, de connaissances primaires émanant de différentes équipes ;
- la recherche de certitudes étiologiques, propre au paradigme mécaniste, se heurte à la complexité et

celle-ci est appréhendée par l'usage des probabilités. Ces modalités comportent cependant des limites liées au vide bibliographique concernant certains sujets et au recrutement de malades de première ligne chez qui se mêlent souvent des éléments sociaux et familiaux [42]. Les études de cas, même si elles ne correspondent plus au paradigme dominant, restent une approche importante de la connaissance, notamment par les hypothèses qu'elles incitent à valider. Il en est de même pour beaucoup d'études qualitatives réalisées par les méthodes propres aux sciences humaines.

Comme le dit Ménard, la médecine ne doit pas oublier de monter les escaliers et d'aller à la rencontre des gens [43]. L'approche scientifique ne peut se départir de toute humanité. L'individu malade est toujours unique et sa demande de compassion ne peut être standardisée. La clinique, c'est-à-dire l'écoute, l'examen du malade et leur interprétation, sont des préalables fondamentaux à la décision, quel que soit le paradigme.

Il est utile de se souvenir de temps en temps que, bien qu'il soit peu étudié dans la littérature, voire même considéré comme une source de nuisance expérimentale [44], le traitement le plus souvent utilisé, le moins coûteux et le moins dangereux, se révélant relativement efficace avec une grande constance... c'est le placebo. Et la compétence humaine du médecin en est le conditionnement.

RÉFÉRENCES

1. Kuhn TS. *La structure des révolutions scientifiques*. Paris : Flammarion ; 1999.
2. Foucault M. *Il faut défendre la société*. Paris : Seuil-Gallimard, Cours au Collège de France, 1976 ; 1997.
3. Foucault M. *La naissance de la clinique*. Paris : Presses universitaires de France, *Quadrige grands textes*, 7^e édition ; 2003.
4. Wulff, Andur Pedersen, Rosenberg. *Invitation à la philosophie de la médecine*. Montpellier (France) : Saurand médical ; 1993.
5. Jenicek M, Cléroux R. *Epidémiologie clinique, clinimétrie*. St-Hyacinthe (Québec – Canada) : Edisem et Paris : Maloine ; 1985.
6. Feinstein AR. *Cinical Biostatistics*. St Louis (USA) : CV Mosby ; 1977.
7. Feinstein AR. *An additionnal basic science for clinical medicine. IV. The development of clinimetrics*. *Ann Intern Med* 1983;99:843-8.
8. Schwartz D, Flamant R, Lellouch J. *L'essai thérapeutique chez l'homme*. Paris : Flammarion, *Médecine sciences* ; 1973.
9. Evans RG, Barer ML, Marmor TL, eds. *Etre ou ne pas être en bonne santé. Biologie et déterminants sociaux de la maladie*.

Paris : John Libbey Eurotext et Montréal : Les Presses de l'Université de Montréal ; 1996.

10. Ashton J, Seymour H. *The New Public Health: The Liverpool experience*. Milton Keynes – Philadelphie (USA) : Open University Press ; 1995, chap. 2.

11. Contandriopoulos AP, de Pourvoirville G, Poullier JP, Contandriopoulos D. *A la recherche d'une troisième voie : les systèmes de santé au XXI^e siècle*. In : Pomey MP, Poullier JP, Lejeune B, eds. *Santé publique*. Paris : Ellipses ; 2000. p. 637-67.

12. Spitzer WO. [Préface à la deuxième édition] *Regard d'un méthodologiste*. In : Salmi LR. *Lecture critique et communication médicale scientifique*. Paris : Elsevier ; 2002. p.11-12.

13. Giraud A. *Evaluation médicale des soins hospitaliers*. Paris : Economica, Collection santé publique ; 1992.

14. Greenwald R. ...And a diagnostic test was performed. *N Engl J Med* 2005;353:2089-90.

15. Danzon M, Charpak Y. *Évidences et décision en santé publique : dialogue fictif entre un décideur et un scientifique*. *Rev Epidemiol Sante Publique* 2002;50:337-9.

16. Smith R. *Electronic publishing in science [Editorial]*. *BMJ* 2001;322:627-9.

17. Salmi LR. *Lecture critique et communication médicale scientifique*. Paris : Elsevier ; 2002.

18. *Canadian task force on periodic health examination. The periodic health examination*. *Can Med Assoc J* 1979;121:1193-233.

19. Campbell DT. *Relabeling internal and external validity for applied social scientists*. In *Advances in Quasi-Experimental Design Analysis: New Directions for Program Evaluation*. San Francisco : Jossey-Bass ; 1986. 31:67-77.

20. Contandriopoulos AP, Champagne F, Potvin L., Denis JL, Boyle P. *Savoir préparer une recherche, la définir, la structurer, la financer*. Montréal : Les presses de l'Université de Montréal ; 1990.

21. Yin RK. *Case study research: design and methods*. *Applied social methods research*. Thousand Oaks : Sage Publication ; 1994. Vol. 5.

22. Battista RN, Jacob R. *Evaluation et régulation du système de santé au Québec*. In : Matillon Y, Durieux P, eds. *L'évaluation médicale. Du concept à la pratique*. Paris : Flammarion, Médecine sciences ; 1994. p. 147-53.

23. Borgès Da Silva G. *L'utilisation des ressources de l'internet pour la médecine et la santé publique*. *Rev Med Ass Maladie* 2000;(2):1-114.

24. Popper KR. *Conjectures et réfutations. La croissance du savoir scientifique*. Paris : Payot ; 1985.

25. Cucherat M. *La recherche clinique est-elle une démarche scientifique ? Karl Popper et la recherche clinique*. *Rev Prat* 2000;50:1286-9.

26. Popper KR. *La logique de la découverte*. Paris : Payot, 5^e édition ; 1989.

27. Gavaret J. *Principes généraux de statistique médicale*. Paris ; 1840.

28. Battista R, Hodje MJ. *The evolving paradigm of health technology assessment: reflections for the millennium*. *CMAJ* 1999;160:1464-7.

29. *Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE). Le projet de l'OCDE sur la santé : Technologies de la santé et prise de décision*. Paris : OCDE ; 2005.

30. Funk ME, Reid CA. *Indexing consistency in Medline*. *Bull Med Libr Assoc* 1983.71:176-83.

31. Wilczynski NL, Walker CJ, McKibbin KA, Haynes RB. *Reasons for the loss of sensitivity and specificity of methodologic MeSH terms and textwords in Medline*. *Proc Annu Symp Comput Appl Med Care*. 1995;436-40.

32. McIntyre N, Popper K. *The critical attitude in medicine: the need for a new ethics*. *BMJ* 1983;287:1919-23.

33. *Evidence-based medicine working group. Evidence-based medicine: a new approach to the teaching of medicine*. *JAMA* 1992 ;268:2420-5.

34. Rosenberg W, Donald A. *Evidence-Based medicine: an approach to clinical problem solving*. *BMJ* 1995;310:1122-6.

35. Wennberg JE. *The paradoxe of appropriate care*. *JAMA* 1987;258:2568-9.

36. Lomas J, Contandriopoulos AP. *Pour une harmonie nouvelle entre la médecine et la santé*. In : Evans RG, Barer ML, Marmor TL, eds. *Etre ou ne pas être en bonne santé. Biologie et déterminants sociaux de la maladie*. Paris : John Libbey Eurotext et Montréal : Les Presses de l'Université de Montréal ; 1996. p. 257-85.

37. Arrow K. *Uncertainty and the welfare economics of medical care*. *American Economic Review* 1963;53:941-73.

38. Morin E. *Introduction à la pensée complexe*. Paris : Seuil, Points essais ; 2005.

39. de Rosnay J. *Le microscope*. Paris : Seuil, Points essais ; 1977.

40. Borgès Da Silva G, Borgès da Silva R. *La gestion intégrée des soins : l'expérience de Kaiser permanente et de Veterans health administration, aux USA*. *Rev Med Ass Maladie* 2005;(36):323-35.

41. Contandriopoulos AP. *Quel avenir pour le système de santé canadien ? Isuma – Revue Canadienne de Recherche sur les Politiques* 2000;1:39-43.

42. Chabot JM. *Evidence-based medicine : 1980-2000*. *EBM Journal (édition française)* 1999;17:1-2.

43. Menard J. *Préface*. In : Matillon Y, Durieux P, eds. *L'évaluation médicale. Du concept à la pratique*. Paris : Flammarion, Médecine sciences ; 1994.

44. Falissard B. *Comprendre et utiliser les statistiques dans les sciences de la vie*. 3^e ed. Paris : Masson ; 2005.