

Luc Perino
Médecin généraliste,
Lyon

Mot clé : médecine
factuelle
[Evidence-Based
Medicine]

Concepts

Après des millénaires de fantaisies subjectives, la notion de « preuve » a fait son apparition dans le domaine thérapeutique, il y a moins de deux siècles. L'idée originale, élémentaire et triviale, fut de comparer deux populations de patients : l'une traitée, l'autre non. Puis, avec l'évolution des pathologies prises en charge, avec l'ascendance des statistiques et le développement de la santé publique, les approches populationnelles et probabilistes ont fini par dominer la thérapeutique. Aujourd'hui cette pensée statistique règne en maître sur toutes les publications et tous les enseignements médicaux. Les cliniciens que nous sommes, respectueux de ce progrès incontestable, ont le devoir d'en contraindre la rigueur scientifique et d'en critiquer le monopole. Sinon, nous ne pourrions plus être les garants de l'individualité clinique que nous devons à nos patients.

Evidence Based Medicine : critique raisonnée d'un monopole

Première partie : aux sources de l'EBM

Un terme partiellement inexact et infondé

Certaines « révolutions » des pratiques et des modes de pensée ont permis des avancées dans la connaissance du corps humain. La dissection a permis les progrès de l'anatomie, la méthode expérimentale, ceux de la physiologie ; la microscopie a permis de comprendre l'organisation du vivant, la méthode anatomo-clinique et l'imagerie ont permis l'exactitude diagnostique. Mais, pendant longtemps, les pratiques médicales sont restées indépendantes de toutes ces découvertes sur le corps humain. La thérapeutique médicale (non chirurgicale) fut le dernier domaine de la médecine à accéder à une méthodologie.

Examiner et traiter des millions de patients individuellement ne suffit pas à établir une science clinique ou thérapeutique. La médecine scientifique est véritablement née avec l'étude de groupes homogènes : la méthode anatomo-clinique, en regroupant des malades aux symptômes et aux lésions similaires, a permis

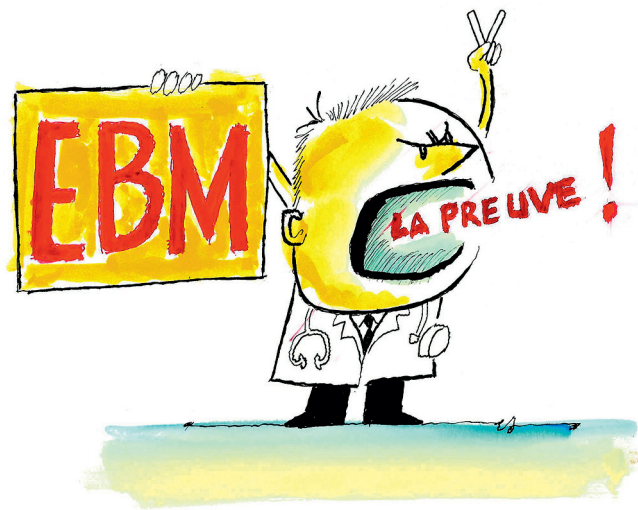
l'émergence d'une science clinique ; la comparaison de l'efficacité de divers traitements sur des groupes de patients comparables, a permis l'émergence d'une discipline thérapeutique.

La médecine dite « scientifique » regroupe donc trois grandes entités :

- l'ensemble des sciences descriptives (anatomie, physiologie, histologie, biologie, génétique, etc.) ;
- la pathologie et la clinique qui décrivent, théorisent et nomment les maladies ;
- la thérapeutique qui évalue les actions de modification du cours des maladies.

Le néologisme de « médecine basée sur les preuves » est un abus de langage, puisqu'il ne désigne en réalité que la thérapeutique. Les sciences descriptives et la clinique ont été basées sur des preuves solides bien longtemps avant que n'apparaisse l'idée même de preuve en thérapeutique.

Même, si à son début, le terme d'EBM se voulait moins restrictif [1], aujourd'hui, il ne concerne que le pronostic et la thérapeutique. Nous devrions donc parler de « *thérapeutique basée sur les preuves* ». Cette confusion, loin d'être anodine, perturbe l'analyse critique des médecins et du public.



Histoire de la « méthode numérique »

Il est difficile de définir la date de naissance de la « thérapie basée sur les preuves ». Pendant des millénaires, aucun médecin n'a eu l'idée, toute simple, de comparer l'action à l'abstention ! Le Dr Pierre Louis (1787-1872) fait partie de ces cliniciens qui ont eu le bon sens d'affirmer qu'il était impossible d'évaluer notre impact sur une pathologie si nous n'en connaissions pas, au préalable, l'histoire naturelle, hors de tout apport médical ou magique. En 1830, lorsqu'il osa contester l'utilité de la saignée dans le traitement de la pneumonie, il décida de séparer les patients en deux groupes, pour suivre l'évolution de leur maladie, selon qu'ils avaient eu une saignée ou non [2]. Le résultat fut sans appel, la saignée n'avait aucune influence sur le cours naturel de la maladie. La « méthode numérique » était née et la saignée disparut en quelques décennies. Nous devons à la vérité historique de préciser que la majorité des médecins de terrain avaient déjà constaté que cette saignée ne servait à rien. La « méthode numérique » donna raison a posteriori à leur « bon sens » clinique. Les descendants du Dr Louis sont alors progressivement devenus les porteurs du savoir académique, car la « méthode numérique » pouvait s'enseigner, alors que le « bon sens » est un thème pédagogique médiocre. Deux siècles plus tard, la suprématie de la méthode numérique est telle qu'elle est presque devenue un frein à la réflexion et au progrès. Pourtant, cette suprématie n'a pas été un long fleuve tranquille. Les dogmatismes et les empirismes des mandarins n'ont pas cessé après le Dr Louis, et il a fallu attendre 130 ans avant que ne se généralisent, dans les années 1960, les essais cliniques randomisés en double aveugle contre placebo qui sont devenus le *gold standard* de la méthode numérique. L'effet placebo était connu depuis longtemps, il était largement utilisé par les médecins et les charlatans, mais personne n'avait eu l'idée d'en faire un instrument de mesure pour différencier l'efficacité « physiologique » des thérapeutiques de leur efficacité « psychologique ».

Dès lors, il apparut que le seul sujet d'études digne d'intérêt était celui de l'efficacité physiologique des thérapeutiques, discréditant pour de nombreuses décennies les recherches fondamentales sur leur efficacité psychologique. Bien plus récemment, par le truchement de la neurophysiologie et de l'imagerie, on retrouve aujourd'hui un intérêt académique à l'étude de l'effet psychologique, alias placebo ; lequel continue, envers et contre tout, à être l'effet dominant de nombreuses thérapeutiques.

Ces essais cliniques ont eu pour premier effet de valider certaines thérapies et d'en invalider d'autres. Ces « labels » thérapeutiques eurent de notables conséquences commerciales et socio-sanitaires. Le marché pharmaceutique s'est scindé en deux : un premier marché, celui des médicaments dont l'efficacité physiologique avait été démontrée par la méthode numérique, produits « éthiques », exigeant une ordonnance médicale et donnant droit à un remboursement solidaire ; un second marché, celui des médicaments n'ayant pas subi l'épreuve numérique, « *placebos par défaut* » restant en vente libre, souvent appelés « produits conseils » ou « *OTC* » (*over the counter*), ne donnant pas lieu à remboursement.

Sociologues et philosophes auraient pu trouver là l'occasion de disserter sur le fait que l'éthique et la solidarité avaient choisi le camp de la physiologie au détriment de celui de la psychologie. Ils ne l'ont pas fait, nous non plus, car cela semblait s'inscrire dans la logique des progrès biomédicaux. Notons cependant que les deux secteurs du marché pharmaceutique, tant celui de l'éthique physiologique que celui du placebo psychologique, se sont développés avec le même dynamisme, donnant une preuve (de type numérique) de la permanence des deux demandes.

Ce n'est que très récemment, dans les années 1990, que cette approche statistique a reçu le nom de *Evidence Based Medicine* (EBM), expression souvent (mal) traduite en français par « médecine basée sur les preuves ». Nul ne s'étonne de voir ce terme effacer implicitement, et avec une certaine inélégance, toute la science médicale de nos ancêtres. L'anatomie de Vésale, l'anatomo-clinique de Laennec, la physiologie de Claude Bernard et Carl Ludwig, la pathologie cellulaire de Virchow, les vaccinations de Jenner et Pasteur, la comptabilité du Dr Louis, se trouvent soudain reléguées à l'Histoire médicale d'avant les « Preuves » !

Il s'agit véritablement d'une usurpation de la médecine par la thérapeutique. Malgré cette spoliation, EBM est désormais consacré par l'usage international. Regrettable manque de rigueur de la terminologie médicale, et preuve supplémentaire du primat de l'usage et de la communication sur la science, en médecine. La spoliation est double, puisque même à l'intérieur du domaine de la thérapeutique, la plupart des traitements médicamenteux efficaces ont été découverts bien avant l'EBM. L'insuline, la cortisone, les hormones sexuelles, l'héparine, les AVK, les diurétiques, les neuroleptiques, la plupart des vaccins, des vitamines et des antibiotiques et tant d'autres médicaments ont été découverts et validés sans le recours de l'EBM. Ils ont soigné des millions de patients et sauvé des millions de vie avant que ne soient mis en place les essais randomisés.

Il n'est donc pas irrévérencieux envers l'EBM, d'affirmer que lorsque les maladies n'étaient définies que par les symptômes ou le vécu des patients et par des signes perceptibles

par le clinicien, ces deux registres de critères étaient d'excellents moyens de mesurer l'efficacité des thérapeutiques. Enfin un examen attentif de l'Histoire nous montre que les premiers écrits sur l'EBM ne prétendaient rayer ni l'analyse ni le bon sens du clinicien, ils lui recommandaient d'intégrer, en plus, les résultats des essais randomisés dans ses décisions. À ses débuts, l'EBM n'était donc qu'un instrument supplémentaire dans la longue liste des progrès mis à la disposition du clinicien.

Pourquoi donc ce nouvel instrument, parmi tant d'autres, exerce-t-il aujourd'hui un monopole sur la pratique et la pensée médicales ?

Il est difficile de répondre à cette question de façon dépassionnée. D'une part, le rôle du marché est devenu primordial, pour ne pas dire exclusif, dans la suprématie de l'EBM. D'autre part, critiquer cette prépondérance mathématique, même au sein d'une science humaine, est immédiatement taxé d'obscurantisme. Preuve qu'un certain dogmatisme de l'EBM remplace les dogmatismes d'antan, en déclarant obscur, tout ce qui ne se situe pas exactement dans ce nouveau cercle lumineux. Il y a néanmoins deux raisons pouvant expliquer ce monopole.

La première est certainement le changement progressif de la pathocénose. Les maladies étudiées aujourd'hui par les sciences biomédicales diffèrent grandement de celles d'hier. Il n'y avait nul besoin de statistiques pour affirmer que les antibiotiques empêchaient de mourir de septicémie, que l'insuline prolongeait la vie des diabétiques de type 1, ou que les neuroleptiques calmaient les délires. Avec la prise en charge de pathologies chroniques, cycliques, auto-immunes et dégénératives, toutes plurifactorielles, avec l'engouement récent pour les facteurs de risque assimilés à des maladies tels que le diabète de type 2 ou l'hypertension, avec la prise en charge de nouvelles plaintes comme les douleurs chroniques, la souffrance psychique ou l'insomnie, la preuve de la supériorité de l'action sur l'abstention ou sur un placebo est de plus en plus difficile à établir. Cette preuve nécessite de grands essais comparatifs qui sont bien le domaine d'excellence de l'EBM.

La deuxième raison est le manque de moyens et de volonté pour l'enseignement hors ce cadre, facile, aisément formalisable et largement financé. Il est pratiquement impossible de formaliser et d'enseigner le « bon sens » d'une clinique ou d'une thérapeutique individualisée, car il découle des années de pratique, il se construit dans l'interaction soignant-soigné, voire dans la biologie de ces interactions. L'éthologie étudie les interactions individuelles et les comportements. La biologie évolutionniste relativise toutes les pathologies et leur évolution dans le cadre des interactions internes des écosystèmes individuels. Ces deux disciplines majeures de la biologie des organismes complexes, ne sont curieusement pas enseignées dans les facultés de médecine. Un comble pour l'enseignement de la biologie du

plus complexe des êtres vivants ! L'enseignement actuel de la médecine se résume aux disciplines descriptives et aux résultats thérapeutiques basés sur la méthode numérique. Le constat est le même au sujet des publications internationales. Toute publication susceptible de participer à l'élaboration d'une science clinique à la fois plus globalisante et plus individualisée, trouve plus souvent sa place dans des revues de philosophie ou de sciences humaines que dans les revues médicales. Ces dernières sont les seules à garantir la promotion professionnelle de leurs auteurs. Comme dans le système hospitalo-universitaire actuel, l'accès à des responsabilités cliniques est lié au succès éditorial, la boucle se referme. Le formatage *EBM* de la pensée clinique, est inévitable, parce qu'il est obligatoire.

Les limites structurelles de l'EBM

Sans revenir sur les innombrables biais, régulièrement dénoncés par ailleurs, abordons ici quelques insuffisances historiques, intrinsèques à la conception de l'EBM.

1) L'obligation d'un placebo, en tous points semblable au traitement actif, a réduit la variété des thérapeutiques testables. La kinésithérapie, la chirurgie, les psychothérapies, l'acupuncture, la relaxation, etc., offrent difficilement des placebos acceptables pour un essai rigoureux. Ce premier inconvénient a conduit très vite à une marginalisation passive, *de facto*, de toutes les thérapeutiques non médicamenteuses... Par la suite, on tenta de remédier à ce défaut initial... Il existe aujourd'hui la procédure *sham* pour la microchirurgie. On peut, par exemple, faire une arthroscopie avec une intervention réelle ou simplement simulée, à l'insu du patient, mais pas du médecin. On peut aussi faire de la neurostimulation réelle ou simulée dans les douleurs chroniques ou la maladie de Parkinson. Les procédés d'acupuncture placebo se perfectionnent également. Dans ces cas, pour que l'insu soit respecté du côté du médecin, il faut un tiers évaluateur.

Malgré ces corrections, l'EBM, aujourd'hui, s'adresse très majoritairement aux médicaments. Ce qui est très réducteur... Enfin, sous diverses influences, la marginalisation initiale, passive, du non-médicamenteux, se transforme en une marginalisation active...

2) Le coût de ces essais a été d'emblée très élevé. Ils nécessitaient l'accord d'un grand nombre de patients, leur mise en place posait de délicats problèmes éthiques, le suivi sur le long terme imposait une lourde logistique. Ce deuxième inconvénient est devenu majeur, au cours des crises économiques successives, avec la réduction budgétaire des gouvernements et des institutions. L'EBM est ainsi devenue la « propriété » quasi exclusive des industries sanitaires, avec les dérives que l'on connaît, et des objectifs qui coïncident rarement avec les objectifs prioritaires de santé publique.

3) La méthode numérique de comparaison de groupes impose une précision des mesures, pour trouver des différences significatives, et pouvoir parer aux critiques. Les critères de mesure choisis doivent donc éviter la subjectivité

du médecin ou du patient. D'où une nécessité structurelle de mesurer des critères quantitatifs et paracliniques au détriment des critères qualitatifs et cliniques. L'EBM démontre l'efficacité sur un chiffre ou une image, sans lien systématique avec un critère final de qualité/quantité de vie. Il existe bien des échelles cliniques comme celles de la douleur ou de la dépression qui modèrent mon propos. Mais les différents critères de qualité de vie, d'intégration sociale, d'autonomie ou de libre-arbitre, sont inexistantes, ou rarement au premier plan. Enfin, cette prépondérance des critères quantitatifs permet de manier plus aisément l'arme de l'obscurantisme contre ceux qui parlent de critères qualitatifs ou subjectifs, participant ainsi à leur marginalisation active.

4) Enfin, le caractère plurifactoriel des pathologies étudiées par l'EBM, et la méconnaissance fréquente de leur histoire naturelle, compliquent l'établissement des causalités et des objectifs réels. Cette dernière faiblesse est certainement la pire, car la mort inéluctable de tous les individus rend de plus en plus difficile la définition d'une maladie chronique. Cette lacune terminologique ne semble pas prête d'être comblée. La chronicisation des pathologies et la médicalisation de la vie se rejoignent. Elles sont deux facettes d'un vaste processus mercatique dont l'EBM est un

instrument puissant. Paradoxalement, le temps et l'énergie passés à la critique des innombrables biais de l'EBM est aussi un excellent moyen d'en favoriser et d'en instrumentaliser la promotion !

Cette domination sur la pensée et l'enseignement médicaux, a fini par bouleverser la définition du terme « maladie », et par rendre impossible une définition académique du concept lui-même. L'hyperglycémie et l'hypercholestérolémie ne sont pas des maladies, ce sont des critères de mesure EBM-compatibles des risques cardio-vasculaires. Conduire une voiture n'est pas une maladie, même si le nombre de kilomètres parcourus, ou la vitesse moyenne, sont de bons critères de mesure des risques de mort prématurée. Les universitaires n'ont plus la maîtrise du concept même de maladie, car ils se sont laissé usurper le libre-arbitre qu'il faut pour une telle réflexion.

Liens d'intérêts : [[À déclarer]].

Nous verrons dans la deuxième partie de cet article que l'EBM est un progrès réel dans l'histoire de la médecine, mais que son monopole est un recul de la science clinique.

Références :

1. Sackett DL, Rosenberg WMC, Gray JAM, Haynes RB, Richardson WS. Evidence based medicine: what it is and what it isn't. *BMJ*. 1996;312:71.
2. Morabia A. Pierre-Charles-Alexandre Louis and the evaluation of bloodletting. *JR Soc Med*. 2006;99(3):158-60.