

17. La prise de décisions et l'insuffisance des données de recherche

Andrew D Oxman^{1}, John N Lavis², Atle Fretheim³ et Simon Lewin⁴*

Oxman AD, Lavis JN, Fretheim A, Lewin S: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 17. Dealing with insufficient research evidence.** Health Research Policy and Systems; 2009, **7(Suppl 1):S17** doi:10.1186/1478-4505-7-S1-S17.
<http://www.health-policy-systems.com/content/pdf/1478-4505-7-S1-s17.pdf>

1. Norwegian Knowledge Centre for the Health Services, P.O. Box 7004, St. Olavs plass, N-0130 Oslo, Norway
2. Centre for Health Economics and Policy Analysis, Department of Clinical Epidemiology and Biostatistics, and Department of Political Science, McMaster University, 1200 Main St. West, HSC-2D3, Hamilton, ON, Canada, L8N 3Z5
3. Norwegian Knowledge Centre for the Health Services, P.O. Box 7004, St. Olavs plass, N-0130 Oslo, Norway; Section for International Health, Institute of General Practice and Community Medicine, Faculty of Medicine, University of Oslo, Norway
4. Norwegian Knowledge Centre for the Health Services, P.O. Box 7004, St. Olavs plass, N-0130 Oslo, Norway; Health Systems Research Unit, Medical Research Council of South Africa

* Personne-ressource principale (oxman@online.no)

Il s'agit de la traduction d'un article publié dans le Health Research Policy and Systems, 2009; 7:Supplement 1 (www.health-policy-systems.com/supplements/7/S1). La reproduction, la distribution et l'utilisation de ces article, par quelque moyen que ce soit, sont permises à condition d'en citer la source. Le site Web SUPPORT (www.support-collaboration.org) renferme les hyperliens vers les versions chinoise, française, portugaise et espagnole. Vous pouvez envoyer vos commentaires sur la façon d'améliorer les outils présentés dans cette série de documents, par courriel, à : STP@nokc.no.

Cette série d'articles a été préparée dans le cadre du projet SUPPORT, parrainé par le programme INCO du sixième programme cadre de la Commission européenne, numéro de contrat 031939. L'Agence norvégienne de coopération pour le développement (NORAD), l'Alliance pour la recherche sur les politiques et les systèmes de santé et le Milbank Memorial Fund ont financé une réunion visant l'examen par des pairs d'une version initiale de la série. John Lavis a touché un salaire de la Chaire de recherche du Canada sur le transfert et l'échange des connaissances. NORAD, la composante norvégienne du groupe Cochrane Effective Practice and Organisation of Care (EPOC), le Centre norvégien de connaissances pour les services de santé de santé, l'AHPSR, la Fondation canadienne de la recherche sur les services de santé (FCRSS), l'Evidence-Informed Policy Network (EVIPNet) et l'Organisation panaméricaine de la santé (OPS) ont participé à la traduction et à la diffusion des articles. Aucun des bailleurs de fonds n'a influé sur la rédaction, la révision ou l'approbation du contenu de la série.

La Fondation canadienne de la recherche sur les services de santé a traduit cet article en français avec l'appui du Centro Rosarino de Estudios Perinatales (CREP) et de l'Organisation panaméricaine de la santé (OPS).



Résumé

Le présent article fait partie d'une série de documents à l'intention des personnes chargées de prendre des décisions relativement aux politiques et aux programmes de santé ainsi que de celles qui les assistent.

Dans le présent article, nous examinons la prise de décisions dans un contexte où les données probantes sont insuffisantes. En pareille situation, les responsables de politiques sont souvent incapables de prévoir avec certitude les répercussions d'une proposition de politique ou de programme de santé, mais ils doivent tout de même prendre des décisions. Nous proposons quatre questions à envisager lorsque la rareté des données probantes ne permet pas de s'assurer des répercussions de la mise en œuvre d'une proposition : 1. Une étude méthodique des impacts de la proposition a-t-elle été menée? 2. S'est-on fondé sur des données probantes réfutables pour conclure à l'absence de répercussions? 3. Est-il possible d'être convaincu du bien-fondé d'une décision malgré le manque de données probantes? 4. La proposition envisagée pourrait-elle être néfaste, inefficace ou non rentable?

À PROPOS DES OUTILS DU PROJET SUPPORT

Le présent article fait partie d'une série de documents destinés aux personnes chargées de prendre des décisions relativement aux politiques et aux programmes de santé et à celles qui les assistent, dans le but de les aider à s'assurer que leurs décisions sont bien éclairées par les meilleures données de recherche disponibles. L'introduction décrit plus en profondeur les outils du projet SUPPORT et les manières dont ils peuvent être utilisés [1]. Le glossaire de la série est joint à chaque article (voir le fichier complémentaire 1). Les résumés des études méthodiques préparés dans le cadre du projet SUPPORT peuvent être consultés à www.support-collaboration.org (en anglais). Des résumés en français, espagnol, portugais et chinois seront affichés sur ce site au cours de 2010 (www.support-collaboration.org/supporttool.htm). Toute rétroaction visant l'amélioration des outils abordés dans la série est la bienvenue et doit être envoyée à STP@nokc.no.

SCÉNARIO

Le ministère de la Santé examine diverses stratégies de recrutement et de fidélisation des professionnels de la santé dans les régions rurales mal desservies. Vous avez été chargé de conseiller le ministre au sujet de ces stratégies. Vous avez trouvé plusieurs articles décrivant des stratégies qui ont été utilisées dans d'autres milieux, mais aucune évaluation fiable des impacts de ces stratégies [2].

CONTEXTE

Aux responsables de politiques et aux personnes qui les assistent, le présent article propose cinq questions à se poser au moment d'évaluer divers scénarios lorsque les données probantes sont insuffisantes pour éclairer leur jugement quant aux impacts des propositions de politiques et de programmes.

Il est irréaliste de croire qu'il soit possible de prédire avec certitude les impacts d'une politique ou d'un programme de santé. De nombreux mécanismes de gouvernance, de gestion financière et de prestation de soins n'ont jamais été évalués de façon rigoureuse, non plus qu'un grand nombre des programmes, services et médicaments que soutiennent ces mécanismes. Mais les responsables de politiques doivent prendre des décisions, nonobstant l'accessibilité ou le manque de données probantes permettant de les éclairer.

Dans le présent article, nous examinons la prise de décisions dans les situations où les données probantes accessibles sont insuffisantes pour déterminer si une proposition aura les effets recherchés, ou si elle peut avoir des incidences imprévues (ou indésirables). En cas de données probantes insuffisantes, il est fréquent de tirer des

conclusions concernant les données probantes sans procéder à une étude méthodique, de considérer à tort qu'un manque de données indique une absence de répercussions, de présumer que le manque de données jette nécessairement un doute quant au bien-fondé d'une décision ou d'assumer qu'il est à propos, d'un point de vue politique, de feindre l'assurance. Les quatre questions présentées dans le présent article peuvent aider à éviter ces écueils.

QUESTIONS À ENVISAGER

Lorsque la rareté des données probantes accessibles ne permet pas de s'assurer des répercussions d'une proposition de politique ou de programme, il peut être utile d'envisager les questions suivantes :

1. A-t-on procédé à une étude méthodique des impacts de la proposition envisagée?
2. S'est-on fondé sur des données réfutables pour conclure à l'absence de répercussions?
3. Est-il possible d'être convaincu du bien-fondé d'une décision malgré le manque de données probantes?
4. La proposition envisagée pourrait-elle être néfaste, inefficace ou non rentable?

1. A-t-on procédé à une étude méthodique des impacts de la proposition envisagée?

En cas de manque apparent de données probantes, il faut d'abord recenser les données qui *sont* accessibles. Il est risqué de présumer de l'accessibilité des données probantes sans s'appuyer sur des études méthodiques. Les facteurs entourant la recherche et l'évaluation critique des études méthodiques sont l'objet des articles 5 et 6 de la présente série [3,4].

Nombre de questions entourant les systèmes de santé ne sont abordées dans aucune étude méthodique pertinente et à jour. Or il est généralement admis que les travailleurs de la santé sont essentiels à l'atteinte des objectifs du Millénaire pour le développement (OMD) et d'autres objectifs liés à la santé. Malgré cela, une recherche documentaire sur les propositions visant l'amélioration des ressources humaines en santé n'a permis de recenser que quelques résumés de données de recherche de qualité concernant les répercussions de certaines de ces propositions [5]. D'autres examens d'études méthodiques ont révélé les mêmes lacunes [6]. Un manque d'études méthodiques ne signifie pas nécessairement un manque de données probantes. Mais dans de telles conditions, il est difficile pour les responsables de politiques de savoir quelles données probantes sont accessibles (voir le tableau 1, par exemple).

Des évaluations rapides peuvent s'imposer lorsque le temps et les ressources sont restreints. Ces évaluations devraient définir clairement les méthodes utilisées ainsi que toute limite méthodologique importante ou incertitude connexe. Elles devraient

également examiner la nécessité et l'urgence de procéder ultérieurement à une étude méthodique exhaustive [7]. Qui plus est, en l'absence d'une étude pertinente, à jour et de qualité, il peut être souhaitable d'en commander une nouvelle. Outre le recours à des processus appropriés, dont l'établissement des priorités à l'égard des études méthodiques [8], la mise en place et le renforcement de collaborations internationales, telles que la Collaboration Cochrane (http://res_franco.cochrane.org/fr/index.html), peuvent aider à éviter le chevauchement inutile des études méthodiques et à s'assurer d'une plus grande accessibilité d'études à jour.

2. S'est-on fondé sur des données réfutables pour conclure à l'absence de répercussions?

En présence de données probantes non concluantes, une autre erreur fréquente consiste à confondre le manque de données sur les effets avec une preuve d'absence de répercussion [9]. Il est faux de prétendre que des données non concluantes démontrent qu'une politique ou un programme est sans effet. Il *ne faut pas* confondre la signification statistique avec l'importance.

Lorsque les résultats ne sont pas statistiquement significatifs, il faut éviter d'en déduire une absence d'impact. En général, on utilise un seuil de significativité de 5 p. 100 pour indiquer une signification statistique. Cela signifie que les résultats seront considérés statistiquement non significatifs si l'analyse révèle que des différences aussi ou plus importantes que l'écart observé pourraient vraisemblablement survenir par hasard *plus* d'une fois sur vingt ($p \geq 0,05$). Cette hypothèse comporte toutefois deux lacunes. D'abord, le seuil de 5 p. 100 est arbitraire. En deuxième lieu, des résultats statistiquement non significatifs (souvent nommés à tort « négatifs ») peuvent ou non être réfutables. Le tableau 2 clarifie davantage cette question et la figure 1 illustre la confusion pouvant découler de l'utilisation des termes « statistiquement non significatif » ou « négatif ».

Les tendances « positives » (c.-à-d. en faveur d'une proposition) mais « statistiquement non significatives » sont souvent décrites comme étant « prometteuses », ce qui peut aussi induire en erreur. Les tendances « négatives » de même ampleur, par contre, ne sont pas généralement décrites comme étant des « indicateurs d'alerte ».

Les responsables de politiques doivent savoir que les chercheurs commettent souvent ce genre de méprises. Pour éviter d'être induits en erreur, ils doivent se méfier des interprétations fautives de la signification statistique.

3. Est-il possible d'être convaincu du bien-fondé d'une décision malgré le manque de données probantes?

Certains responsables de politiques seraient d'accord avec Charlie Brown lorsqu'il affirmait : « Je suis toujours certain lorsque c'est une question d'opinion. » La plupart des gens serait toutefois d'avis qu'il vaut mieux s'appuyer sur des données probantes de

qualité pour s'assurer du bien-fondé de nos décisions. Cependant, il existe parfois de bonnes raisons d'être sûr d'une décision même en l'absence de données probantes. Par exemple, les données probantes démontrant que l'administration d'aspirine à des enfants atteints d'influenza ou de varicelle peut causer le syndrome de Reye (une pathologie rare mais mortelle) sont de très piètre qualité [10]. Malgré cela, le chef des services de santé des États-Unis (Surgeon General), entre autres, a déconseillé sans hésitation l'utilisation de l'aspirine dans de telles circonstances. En effet, bien qu'il demeure une incertitude quant au niveau réel de risque associé à l'aspirine, un choix de rechange économique et tout aussi efficace, le paracétamol (acétaminophène), permet de traiter les enfants sans aucun risque. Par contre, on peut raisonnablement affirmer que les politiques et les programmes dispendieux et présentant des risques d'effets nocifs graves *ne* devraient *pas* être mises en œuvre sans une évaluation rigoureuse de leurs impacts.

4. La proposition envisagée pourrait-elle être néfaste, inefficace ou non rentable?

Comme le déclarait Ian Chalmers, rédacteur en chef de la James Lind Library, lors d'une présentation au Centre norvégien de connaissances pour les services de santé, le 1^{er} septembre 2003, les bonnes intentions dans l'exercice de la profession et les théories plausibles ne suffisent pas pour choisir les politiques et les pratiques visant à protéger, à promouvoir et à rétablir la santé. L'humilité et l'incertitude sont les conditions préalables d'une évaluation impartiale des répercussions des prescriptions et des proscriptions édictées par les responsables de politiques et d'autres intervenants au profit d'autres personnes. Nous servirons le public de façon plus responsable et éthique lorsque la recherche destinée à réduire les possibilités d'être induits en erreur par la partialité ou le hasard deviendra un élément escompté de l'exercice de la profession et de la prise de décisions, et non un ajout optionnel. (Pour un examen plus détaillé de ces commentaires, voir Chalmers, 2005 [11]).

Il est risqué de nier l'incertitude par souci d'opportunisme politique. Comme nous l'avons indiqué dans l'article 1 de la présente série [12], le fait d'admettre que l'information servant à éclairer les politiques puisse être imparfaite peut réduire le risque politique, car cela permet aux responsables de politiques de modifier le tir si les politiques ne donnent pas les résultats escomptés.

Comme Chalmers le fait valoir, les bonnes intentions et les théories plausibles ne suffisent pas à sélectionner les politiques et les pratiques. Cette vérité s'applique tant aux systèmes de santé qu'aux interventions cliniques. Voici des exemples d'interventions cliniques qui se sont révélées inefficaces ou néfastes après avoir été largement utilisées et considérées comme étant bénéfiques :

- Des solutions de réhydratation à osmolarité élevée plutôt que faible pour traiter la diarrhée chez les enfants [13]

- Le diazépam ou la phénytoïne plutôt que le sulfate de magnésium pour traiter les femmes présentant une éclampsie [14,15]
- Six visites de soins prénataux ou plus plutôt que quatre [16]
- Les corticostéroïdes pour traiter les patients souffrant d'un traumatisme crânien grave [17]
- L'albumine plutôt que l'eau salée pour la réanimation des patients atteints d'une maladie chronique [18]
- Le traitement hormonal de substitution pour réduire le risque de coronaropathie et d'accident vasculaire cérébral chez les femmes [19]
- Les répulsifs électroniques pour prévenir les piqûres de moustique et l'infection palustre [20]

Toutes les interventions citées plus haut étaient fondées sur des théories sous-jacentes, des données indirectes, des résultats de substitution et des études observationnelles. Des essais cliniques à répartition aléatoire ont par la suite réfuté toutes les hypothèses sous-jacentes, appuyant ainsi l'affirmation (susmentionnée) selon laquelle, pour éclairer la prise de décisions relatives aux interventions cliniques tout en servant le public de façon responsable et éthique, les évaluations minutieuses doivent être *escomptées* plutôt qu'*optionnelles*.

Des préoccupations similaires s'appliquent aux interventions touchant les systèmes de santé et la santé publique. Voici quelques exemples d'interventions grandement répandues et préconisées dans ces deux secteurs, mais qui peuvent s'avérer inefficaces et plus nocives que bénéfiques :

- L'éducation et les interventions communautaires visant à réduire le risque de grossesse chez les adolescentes [21]
- La thérapie sous observation directe (dot) dans la lutte contre la tuberculose [22];
- Les frais d'utilisation appliqués aux médicaments essentiels [23]
- Les hôpitaux privés à but lucratif plutôt que sans but lucratif [24]
- L'amélioration de la répartition géographique des médecins en les forçant à pratiquer pendant un certain nombre d'années dans une région mal desservie avant de leur permettre de se spécialiser [2]
- Certains types de financement fondé sur les résultats ou la rémunération au rendement [25]
- L'impartition des services de santé au secteur privé [26]

Il faut exercer une grande prudence avant d'investir des ressources limitées dans des propositions de politiques ou de programmes requérant d'importants investissements qui ne pourront être récupérés [27]. Si les impacts de telles propositions demeurent très incertains, une évaluation rigoureuse (une étude pilote, par exemple) peut prévenir le gaspillage des ressources. Selon Julio Frenk, l'ancien ministre de la Santé du Mexique, bien que certaines précautions puissent sembler provoquer des délais inutiles – d'un point de vue politique, afin de rendre compte aux bailleurs de fonds du système et d'un point de vue éthique, pour veiller à faire un usage optimal des

ressources disponibles – l'évaluation est absolument essentielle [28]. Tant les décisions favorables que défavorables à une proposition de politique ou de programme peuvent entraîner des conséquences indésirables si les données probantes sont insuffisantes (voir le tableau 3, qui contient un exemple et des précisions). Une approche judicieuse consiste à éclairer l'élaboration de politiques en vérifiant l'efficacité d'une proposition au moyen d'une évaluation d'impact bien conçue.

Lorsque les effets des propositions sont évalués en fonction de théories, de résultats de substitution, d'études observationnelles limitées, d'évaluations d'impact inadéquates ou d'expériences et d'analogies anecdotiques, les responsables de politiques doivent considérer avec circonspection la mise en œuvre de ces propositions (voir l'exemple fourni au tableau 4) [29].

Même s'il demeure peu d'incertitude quant aux avantages d'une proposition, des doutes importants peuvent subsister au sujet *d'autres* conséquences potentiellement importantes, y compris les effets involontaires (nuisibles) et les coûts (voir le tableau 5). Les politiques et les programmes dont la justification semblait impérieuse peuvent, de fait, causer préjudice.

Dans le cas d'une proposition prometteuse, mais au sujet de laquelle les données sont insuffisantes pour juger avec certitude si elle peut être néfaste, inefficace ou non rentable, il faudrait envisager de procéder à une évaluation d'impact bien conçue. Celle-ci peut être entreprise avant la mise en œuvre de la politique ou du programme, ou intégrée au processus de mise en œuvre. D'autres considérations touchant la surveillance et l'évaluation sont abordées dans l'article 18 de la présente série [29].

CONCLUSION

La plupart des politiques et des programmes de santé sont complexes et susceptibles d'avoir des effets multiples. Dans presque tous les cas, il existera des données probantes fondées sur l'expérience de politiques ou de programmes similaires mis en place dans des contextes différents. Cependant, comme il a été mentionné dans les articles 8 et 9 de la présente série, les responsables de politiques doivent évaluer la fiabilité de ces données ainsi que la pertinence des constatations dans leur propre milieu [4,30]. En général, il subsistera une incertitude relative aux répercussions d'une politique ou d'un programme sur certains résultats importants. Lorsque l'incertitude est grande, il faut éviter les erreurs courantes comme celles qui sont décrites dans le présent article.

RESSOURCES

Documents utiles et lecture complémentaire

Chalkidou K, Hoy A, Littlejohns P. 2007. « Making a decision to wait for more evidence: When the National Institute for Health and Clinical Excellence recommends a technology only in the context of research ». *J R Soc Med*; 100:453-60.

<http://jrsm.rsmjournals.com/cgi/content/full/100/10/453>

Oxman AD, Bjørndal A, Becerra F, Gonzalez Block MA, Haines A, Hooker Odom C et coll. « Helping to ensure well-informed public policy decisions: a framework for mandatory impact evaluation ». *The Lancet*. Sous presse

CONFLIT D'INTÉRÊTS

Les auteurs déclarent n'avoir aucun conflit d'intérêts.

CONTRIBUTIONS DES AUTEURS

ADO a rédigé l'ébauche initiale du présent article; JNL, AF et SL ont contribué à ce travail en plus de réviser le document.

REMERCIEMENTS

L'introduction de la présente série comprend nos remerciements aux bailleurs de fonds et aux personnes qui y ont contribué. Nous tenons toutefois à exprimer notre reconnaissance particulière à Iain Chalmers et à Malcolm Maclure pour leurs commentaires avisés sur une version antérieure du présent article.

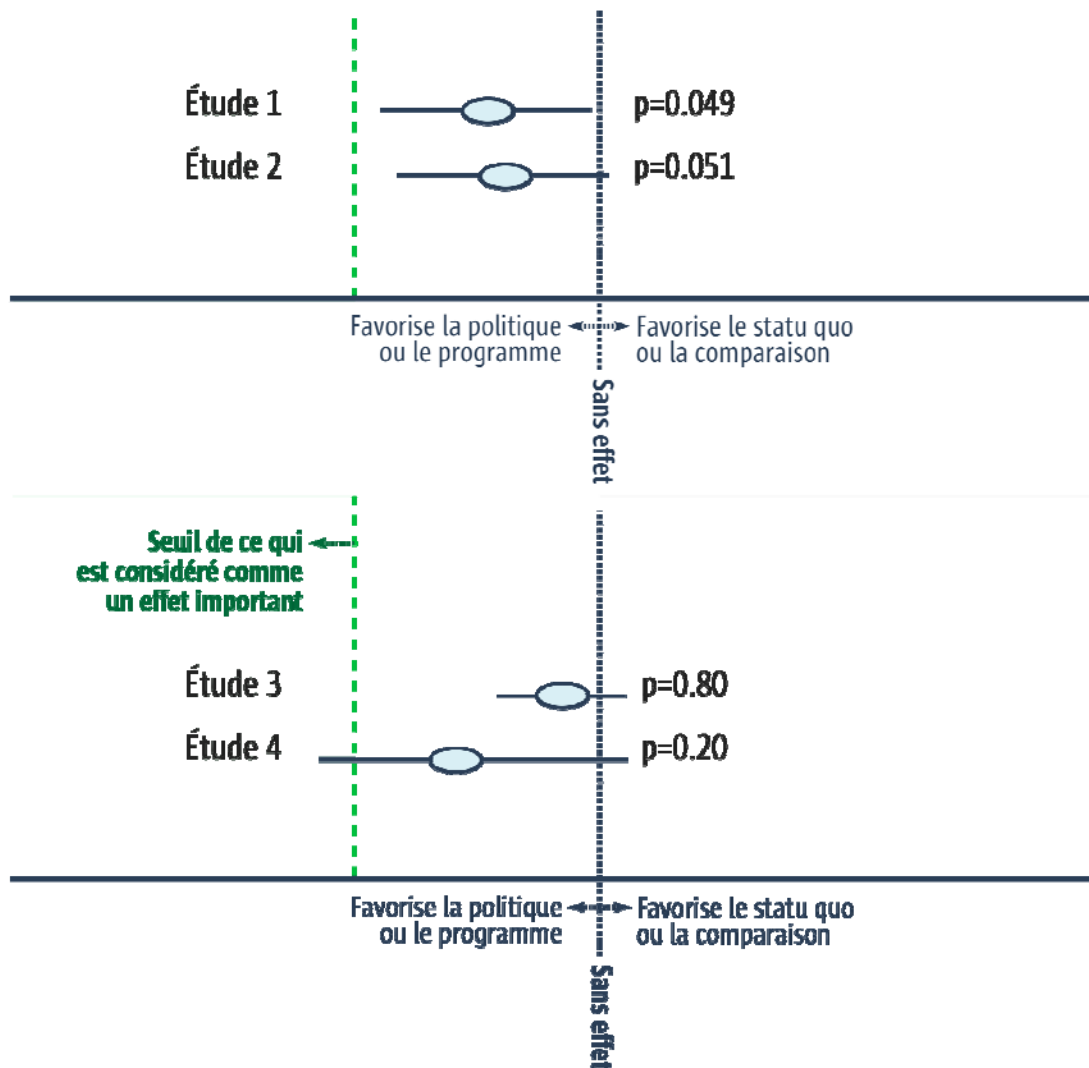
RÉFÉRENCES BIBLIOGRAPHIQUES

1. Lavis JN, Oxman AD, Lewin S, Fretheim A: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). Introduction.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:I1)**.
2. Grobler LA, Marais BJ, Mabunda S, Marindi P, Reuter H, Volmink J: **Interventions for increasing the proportion of health professionals practising in underserved communities.** *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2009, **1:CD005314**.
3. Lavis JN, Oxman AD, Grimshaw J, Johansen M, Boyko JA, Lewin S, *et al*: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 7. Finding systematic reviews.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:S7)**.

4. Lewin S, Oxman AD, Lavis JN, Fretheim A: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 8. Deciding how much confidence to place in a systematic review.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:S8)**.
5. Chopra M, Munro S, Lavis JN, Vist G, Bennett S: **Effects of policy options for human resources for health: an analysis of systematic reviews.** *Lancet* 2008, **371:668-74**.
6. Lewin S, Lavis JN, Oxman AD, Bastias G, Chopra M, Ciapponi A *et al*: **Supporting the delivery of cost-effective interventions in primary health-care systems in low-income and middle-income countries: an overview of systematic reviews.** *Lancet* 2008, **372:928-39**.
7. Oxman AD, Schunemann HJ, Fretheim A: **Improving the use of research evidence in guideline development: 8. Synthesis and presentation of evidence.** *Health Res Policy Syst* 2006, **4:20**.
8. Lavis JN, Oxman AD, Lewin S, Fretheim A: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 3. Setting priorities for supporting evidence-informed policymaking.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:S3)**.
9. Alderson P, Chalmers I: **Survey of claims of no effect in abstracts of Cochrane reviews.** *BMJ* 2003, **326:475**.
10. Centers for Disease Control (CDC): **Surgeon General's advisory on the use of salicylates and Reye syndrome.** *MMWR Morb Mortal Wkly Rep* 1982, **31:289-90**.
11. Chalmers I: **If evidence-informed policy works in practice, does it matter if it doesn't work in theory?** *Evidence & Policy* 2005, **1:227-42**.
12. Oxman AD, Lavis JN, Lewin S, Fretheim A: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 1. What is evidence-informed policymaking.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:S1)**.
13. Hahn S, Kim S, Garner P: **Reduced osmolarity oral rehydration solution for treating dehydration caused by acute diarrhoea in children.** *Cochrane Database Syst Rev* 2002, **1:CD002847**.
14. Duley L, Henderson-Smart D: **Magnesium sulphate versus diazepam for eclampsia.** *Cochrane Database Syst Rev* 2003, **4:CD000127**.
15. Duley L, Henderson-Smart D: **Magnesium sulphate versus phenytoin for eclampsia.** *Cochrane Database Syst Rev* 2003, **4:CD000128**.
16. Villar J, Carroli G, Khan-Neelofur D, Piaggio G, Gulmezoglu M: **Patterns of routine antenatal care for low-risk pregnancy.** *Cochrane Database Syst Rev* 2001, **4:CD000934**.
17. Alderson P, Roberts I: **Corticosteroids for acute traumatic brain injury.** *Cochrane Database Syst Rev* 2005, **1:CD000196**.
18. Liberati A, Moja L, Moschetti I, Gensini GF, Gusinu R: **Human albumin solution for resuscitation and volume expansion in critically ill patients.** *Intern Emerg Med* 2006, **1:243-5**.

19. Farquhar C, Marjoribanks J, Lethaby A, Suckling JA, Lamberts Q: **Long term hormone therapy for perimenopausal and postmenopausal women.** *Cochrane Database Syst Rev* 2009, **2**:CD004143.
20. Enayati AA, Hemingway J, Garner P: **Electronic mosquito repellents for preventing mosquito bites and malaria infection.** *Cochrane Database Syst Rev* 2007, **2**:CD005434.
21. Guyatt GH, DiCenso A, Farewell V, Willan A, Griffith L: **Randomized trials versus observational studies in adolescent pregnancy prevention.** *J Clin Epidemiol* 2000, **53**:167-74.
22. Volmink J, Garner P: **Directly observed therapy for treating tuberculosis.** *Cochrane Database Syst Rev* 2007, **4**:CD003343.
23. Austvoll-Dahlgren A, Aaserud M, Vist G, Ramsay C, Oxman AD, Sturm H, *et al*: **Pharmaceutical policies: effects of cap and co-payment on rational drug use.** *Cochrane Database Syst Rev* 2008, **1**:CD007017.
24. Devereaux PJ, Choi PT, Lacchetti C, Weaver B, Schunemann HJ, Haines T, *et al*: **A systematic review and meta-analysis of studies comparing mortality rates of private for-profit and private not-for-profit hospitals.** *CMAJ* 2002, **166**:1399-406.
25. Oxman AD, Fretheim A: *An overview of research on the effects of results-based financing.* Report Nr 16-2008. Oslo, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten. 2008.
26. Lagarde M, Palmer N: **The impact of contracting out on access to health services in low and middle income countries.** *Cochrane Library* 2009, **4**:CD008133.
27. Chalkidou K, Hoy A, Littlejohns P: **Making a decision to wait for more evidence: when the National Institute for Health and Clinical Excellence recommends a technology only in the context of research.** *J R Soc Med* 2007, **100**:453-60.
28. Moynihan R, Oxman A, Lavis JN, Paulsen E: *Evidence-Informed Health Policy: Using Research to Make Health Systems Healthier.* Rapport nr. 1-2008. Oslo, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten. 2008.
29. Fretheim A, Oxman AD, Lavis JN, Lewin S: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 18. Planning monitoring and evaluation of policies.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:S18)**.
30. Lavis JN, Oxman AD, Souza NM, Lewin S, Gruen RL, Fretheim A: **SUPPORT Tools for evidence-informed health Policymaking (STP). 9. Assessing the applicability of the findings of a systematic review.** *Health Res Policy Syst* 2009, **7 (Suppl 1:S9)**.
31. UK Cabinet Office: *Modernising government: presented to parliament by the prime minister and the minister for the Cabinet Office by command of Her Majesty.* Cm 4310. London, Stationary Office. 1999.
32. Macintyre S, Chalmers I, Horton R, Smith R: **Using evidence to inform health policy: case study.** *BMJ* 2001, **322**:222-5.

Figure 1. Deux problèmes liés à la classification des résultats comme étant « statistiquement non significatifs » ou « négatifs »



Les points bleus dans la figure ci-dessus indiquent l'effet estimé selon chaque étude et les lignes horizontales montrent les intervalles de confiance de 95 p. 100. Un intervalle de confiance de 95 p. 100 signifie qu'on peut être certain à 95 p. 100 que l'importance réelle de l'effet se situe entre les limites de confiance inférieure et supérieure (les deux extrémités des lignes horizontales). À l'opposé, il existe une possibilité de 5 p. 100 que l'effet réel se situe à l'extérieur de cet intervalle de variation.

Tableau 1. Enquête indépendante sur les inégalités dans le domaine de la santé – un exemple du besoin d'études méthodiques à jour pour connaître les données probantes existantes

En 1997, le nouveau gouvernement travailliste britannique s'est engagé à réduire les inégalités dans le domaine de la santé. Dans ce but, il a sollicité l'avis du milieu de la santé publique, tout en établissant des limites claires quand aux conseils qu'il jugerait acceptables. Le gouvernement voulait une réponse rapide, mais soutenue par des données probantes, comme le reste des politiques publiques [31]. Le milieu de la santé, entre autres intervenants, a répondu avec enthousiasme. Une importante documentation, ainsi que plusieurs recommandations, sont issues de l'enquête [32]. Des examens subséquents des recommandations ne sont toutefois pas parvenus à confirmer l'efficacité probable ou réelle de plusieurs d'entre elles [32]. On avait également omis de procéder à une recherche adéquate des données probantes pertinentes et de prendre des mesures pour éviter la partialité dans la sélection, l'évaluation et l'utilisation de l'information.

Cela ne veut pas dire que les gouvernements devraient éviter d'élaborer ou de mettre en œuvre des politiques en l'absence de données probantes sans équivoque même s'il leur est difficile d'établir les priorités. Cette difficulté est en outre exacerbée par la tendance des chercheurs à recommander des politiques sans en connaître l'efficacité probable. L'objectif de cette enquête menée au Royaume-Uni aurait été plus facile à atteindre si des études méthodiques et à jour avaient été accessibles. De plus, un système permettant la révision régulière des recommandations de l'enquête, en fonction de l'information et des données nouvelles issues de la mise à jour des études méthodiques, aurait permis d'ajuster les politiques au besoin. Cela aurait aussi aidé à éviter des difficultés similaires au moment de procéder à des enquêtes semblables ou d'envisager la mise en œuvre de politiques du même genre dans d'autres régions. Les réseaux internationaux tels que la Collaboration Cochrane (www.cochrane.org) – qui s'intéresse aux services de santé – et la Collaboration Campbell (www.campbellcollaboration.org) – qui porte sur l'éducation, le crime et la justice, et le bien-être social – sont structurés de façon à permettre la création et la mise à jour d'études méthodiques, ce qui peut faciliter l'utilisation plus efficace des données probantes.

Des investissements substantiels de ressources publiques ont été consentis et se poursuivent dans le domaine de la recherche primaire. Mais le rendement est bien moindre qu'on aurait pu l'espérer et les résultats sont dispersés au lieu de faire l'objet de synthèses. Les personnes dont les tâches et les échéanciers sont semblables à celles ayant participé à l'enquête britannique bénéficieraient grandement d'une plus grande accessibilité d'études méthodiques à jour. Pour qui tente de mettre sur pied des politiques et des programmes de santé, il n'y a pas de réponse absolue à la question « qu'est-ce qui fonctionne? ». Une étude méthodique constitue le meilleur point de départ pour trouver ce qui est déjà connu.

Tableau 2. Non-signification statistique

La figure 1 illustre deux problèmes qui surviennent lorsque les résultats sont classifiés comme étant « statistiquement non significatifs » ou « négatifs » :

1. *La classification est fondée sur un seuil de significativité arbitraire.* Les résultats de l'étude 1, par exemple, sont quelque peu différents de ceux de l'étude 2. En utilisant le seuil conventionnel ($p < 0,05$), cependant, les résultats de l'étude 1 sont considérés comme « statistiquement significatifs » et les résultats de l'étude 2, « statistiquement non significatifs ».
2. *Des résultats non significatifs peuvent ou non être réfutables.* Si la courte ligne verticale verte dans la figure ci-dessous représente l'effet le plus faible considéré comme important, les résultats de l'étude 3 seraient concluants, puisqu'un impact crucial serait très improbable. Les résultats de l'étude 4 seraient catégorisés comme étant « non concluants », puisqu'un impact important ne serait pas improbable (l'intervalle de confiance de 95 p. 100 s'étend au-delà de ce qui est considéré comme un effet important). Les deux résultats, cependant, peuvent être considérés comme étant « statistiquement non significatifs » ou « négatifs ».

Tableau 3. Les conséquences de répondre « non » ou « oui » plutôt que « seulement dans le contexte d’une évaluation »

Tous les pays font face à des contraintes en matière de ressources. C’est pourquoi au Royaume-Uni, par exemple, le National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) reconnaît officiellement le principe voulant que, lorsque des incertitudes importantes subsistent au sujet des répercussions d’une intervention, il est préférable de recommander que cette intervention ne soit utilisée que dans le contexte de la recherche [27]. Seize (environ 4 p. 100) des recommandations du NICE faisant suite à une évaluation technologique publiées entre 1999 et le début de 2007 visaient à restreindre l’utilisation de la technologie au contexte de la recherche. Les conséquences des mauvaises décisions découlant de l’adoption ou du rejet d’une technologie sont résumées ci-dessous (voir Chalkidou et coll., pour plus de précisions [27]).

Les conséquences de répondre « non » plutôt que « seulement dans le contexte de la recherche »

- Les patients n’ont pas accès aux technologies prometteuses et potentiellement efficaces
- Des retards s’accumulent dans la création d’une base de données probantes dans les secteurs clés, ce qui a un impact négatif général sur les résultats cliniques

Les conséquences de répondre « oui » plutôt que « seulement dans le contexte de la recherche »

- L’accès à des interventions non éprouvées et potentiellement néfastes ou inefficaces est facilité
- Les recherches courantes ou futures dans le domaine sont gravement compromises. D’importantes questions concernant l’efficacité et la rentabilité pourraient ne jamais trouver réponse
- Des ressources limitées sont gaspillées
- Il est difficile de renverser une décision positive à la lumière de nouvelles données; cela compromet la crédibilité et ajoute à la difficulté de mise en œuvre de la politique ou du programme

Tableau 4. Exemple d'une intervention potentiellement inefficace ou néfaste qui a été largement préconisée malgré l'insuffisance de données probantes

Depuis les années 1940, il existe des médicaments efficaces contre la tuberculose. Malgré cela, deux millions de personnes meurent chaque année de cette maladie, la majorité dans les pays à faible revenu. Les personnes atteintes de tuberculose nécessitent un traitement qui dure de six à huit mois. Beaucoup ont du mal à suivre le traitement jusqu'au bout, ce qui représente un obstacle majeur à l'éradication de la maladie. La mauvaise observance du traitement peut mener à une infectiosité prolongée, à une résistance aux médicaments, à des rechutes et même à la mort. Un traitement incomplet pose ainsi un risque grave tant au malade lui-même qu'à la collectivité dans son ensemble. La thérapie sous observation directe (*directly observed therapy* – DOT) vise à améliorer l'observance des traitements contre la tuberculose en faisant appel à des travailleurs de la santé, à des membres de la famille ou à des membres de la communauté pour observer directement les patients pendant qu'ils prennent leurs médicaments antituberculeux. Cette thérapie peut être avantageuse, car il est possible d'améliorer l'observance thérapeutique lorsque les malades sont surveillés de près et qu'un processus social incluant la pression des pairs est en place. Les désavantages éventuels comprennent le fait que ce type de traitement s'éloigne des modèles d'observance fondés sur la communication, qui mettent l'accent sur la coopération entre le patient et le prestataire de services de santé, pour privilégier une approche traditionnelle de la médecine qui considère le patient comme un récipiendaire passif des conseils et des traitements. De plus, une telle politique a des effets importants sur les ressources, particulièrement dans les PRFI où le nombre de cas est souvent élevé. La thérapie sous observation directe peut également aggraver les problèmes d'observance si elle est appliquée de façon trop rigide dans un contexte autoritaire ou si les patients doivent franchir de grandes distances pour obtenir un traitement supervisé.

Depuis les années 1980, l'Organisation mondiale de la santé, entre autres, fait une promotion active de la thérapie sous observation directe, généralement dans le cadre d'un programme global de gestion de la tuberculose appelé DOTS (*directly observed therapy short course*, ou thérapie sous observation directe de courte durée), une stratégie en cinq points de la lutte contre la tuberculose. Bien que cette stratégie semble porter fruit, il existe une grande incertitude quant à l'efficacité de la thérapie sous observation directe lorsqu'elle est de courte durée. Lorsque ce programme a été mis en place, les données probantes sur l'efficacité de la thérapie sous observation directe provenaient toutes d'études observationnelles et aucune évaluation aléatoire de ses répercussions n'avait été entreprise. Subséquemment, onze essais cliniques à répartition aléatoire ont comparé cette thérapie avec l'auto-administration et ont révélé que la thérapie sous observation directe n'améliorait pas l'observance thérapeutique, malgré les ressources importantes qu'elle requiert et ses autres désavantages [22].

Tableau 5. Exemple des grandes incertitudes concernant les dommages potentiellement importants

Bien qu'il subsiste peu de doutes que les incitatifs financiers puissent, s'ils sont suffisamment importants, changer les comportements, ils peuvent aussi entraîner des comportements non souhaités. En outre, les coûts des incitatifs et de leur administration peuvent être substantiels [25]. Les effets imprévus de la rémunération au rendement (le versement d'une somme en fonction de l'atteinte de résultats bien définis) qui ont été observés comprennent :

- *Les comportements non souhaités* : les transferts conditionnels en espèces (TCE) ont mené des mères à maintenir leurs enfants dans un état de malnutrition afin de conserver leur admissibilité. Par ailleurs, une augmentation de 2 p. 100 à 4 p.100 de la fertilité, observée dans une autre étude, pourrait être attribuable au fait que seules les femmes enceintes étaient admissibles aux TCE
- *Les distorsions* : les incitatifs financiers peuvent porter les bénéficiaires à ignorer d'autres tâches importantes
- *Les simulations* : les incitatifs financiers peuvent donner lieu à la simulation (changements dans la façon de préparer les rapports et non changements désirés dans la pratique)
- *La corruption* : les incitatifs financiers peuvent faire l'objet d'un vol ou d'un mauvais usage s'ils ne sont pas adéquatement gérés
- *Le tri sélectif des patients* : des incitatifs liés au rendement offerts aux prestataires de services de santé peuvent influencer sur l'accessibilité des soins pour les patients en modifiant la volonté des travailleurs et des organismes de la santé de s'occuper des patients les plus malades, des populations les plus désavantagées et des patients les plus difficiles
- *L'élargissement de l'écart entre les ressources accessibles aux riches et aux pauvres* : les incitatifs liés au rendement offerts aux prestataires de services de santé peuvent élargir l'écart qui existe entre les ressources des organismes qui servent les patients désavantagés et celles des organismes qui n'ont pas ce type de clientèle
- *La dépendance envers les incitatifs financiers* : le recours aux incitatifs peut engendrer une dépendance envers ceux-ci. Lorsque les comportements des prestataires de services de santé ne sont pas bien ancrés, ils peuvent se dégrader ou disparaître si les incitatifs prennent fin ou si d'autres sont mis en place
- *La démoralisation* : les incitatifs financiers peuvent entraîner des sentiments d'injustice et de démoralisation dans les cas où, par exemple, des professionnels sous contrat à court terme reçoivent plus d'incitatifs financiers que ceux qui ont établi des pratiques à long terme, ou lorsqu'il y a impression de favoritisme
- *La bureaucratisation* : les plans de financement axés sur les résultats peuvent comporter des coûts administratifs importants liés à la surveillance du rendement et à la gestion du versement des incitatifs financiers