

# **THEORIE DE LA PRISE DE DECISION ET DE LA STRATEGIE MEDICALE**

---

*Franck A. SONNENBERG (Université de New Jersey)*

In : Décision thérapeutique et qualité de vie. R. Launois <sup>(1-2)</sup>, F. Régnier. Traduction R. Launois  
John Libbey Eurotext, Paris, 1992, pp. 27-54

<sup>(1)</sup> REES France - 28, rue d'Assas - 75 006 Paris – Email : reesfrance@wanadoo.fr - Site Internet : <http://www.rees-france.com>

<sup>(2)</sup> UNIVERSITE Paris XIII – Faculté de médecine Léonard de Vinci – 74, rue Marcel Cachin - 93017 Bobigny – France

## INTRODUCTION

Chaque jour, les médecins sont amenés à prendre des dizaines de décisions : prescrire un examen, déclencher ou interrompre un traitement, en changer, ou faire admettre un patient à l'hôpital. La plupart des décisions sont prises facilement, le plus souvent automatiquement, lorsque le diagnostic est évident, le traitement choisi efficace et les risques nuls.

Néanmoins, dans bien d'autres cas, la bonne décision à prendre n'est pas évidente par exemple, lorsque le diagnostic est particulièrement incertain, lorsque les investigations ou traitements présentent des risques, lorsque l'efficacité des traitements disponibles n'est pas clairement établie, ou lorsque l'éventail des choix possibles implique des arbitrages significatifs entre des objectifs contradictoires. En pareil cas, les avis des cliniciens sont souvent divergents, même chez ceux qui sont consultés comme experts quant à une démarche à suivre. Dans un tel contexte, l'analyse de décision peut offrir un éclairage complémentaire.

Dans cette étude, je montrerai comment l'analyse de décision fournit le cadre logique et général qui permet d'étudier des options contradictoires et de choisir entre celles-ci. J'aborderai également les problèmes pratiques que soulève son utilisation, les avantages et les limites qu'elle comporte, et je tenterai de répondre à quelques-unes des plus importantes critiques qu'elle a suscitées.

## BASE THEORIQUE DE L'ANALYSE DE DECISION

Ron Howard, du Groupe de Décisions Stratégiques de Menlo Park, Californie, définit l'analyse de décision comme une technique quantitative qui « spécifie les options alternatives, les informations et les préférences du décideur, et en déduit la décision qui en découle »<sup>1</sup>.

Dans cette définition, les options alternatives désignent l'éventail des choix qui s'offrent au décideur, l'information recouvre l'ensemble des événements pertinents à considérer et leur probabilité d'apparition, les préférences mesurent la désirabilité relative des différents résultats aux yeux du décideur. Une décision est dite « logiquement implicite », lorsqu'elle s'impose en fonction des jugements de valeur dont elle procède : elle correspond alors à l'espérance d'utilité maximale.

L'espérance d'utilité est définie en termes de loterie et d'utilité. Une loterie est un événement aléatoire, comportant deux résultats mutuellement exclusifs et complètement exhaustifs, chacun survenant avec une probabilité spécifique.

Lorsqu'on attribue une valeur numérique à chacun des résultats, la valeur attendue de la loterie est la moyenne pondérée de la valeur des deux résultats. C'est une espérance mathématique de gain obtenue en multipliant chacun des résultats par leur probabilité d'apparition et en sommant les produits correspondants. Un individu est censé « posséder » une loterie lorsqu'il s'engage à n'y jouer qu'une seule fois, qu'il en accepte les aléas et qu'il se déclare prêt à vivre avec les conséquences qu'elle implique. Quand les valeurs numériques se rapportent non aux résultats mais à l'utilité de ceux-ci, la valeur attendue de la loterie est une espérance d'utilité et on postule que les deux grandeurs sont égales. Cependant, l'espérance d'utilité n'est pas nécessairement égale à l'espérance mathématique de gain, compte tenu de la présence d'un risque. Une loterie dont la valeur attendue est donnée vaut en général moins que celle d'un résultat certain de même valeur, parce que la plupart des gens sont prêts à consentir certains sacrifices pour éviter d'être exposés au risque. La prime d'assurance que les gens sont disposés à payer en est une bonne illustration. Ils échangent une certaine somme d'argent contre l'élimination du risque d'en perdre encore davantage. J'aborderai cette question en détail ultérieurement, lorsque je présenterai les techniques de mesure de l'utilité.

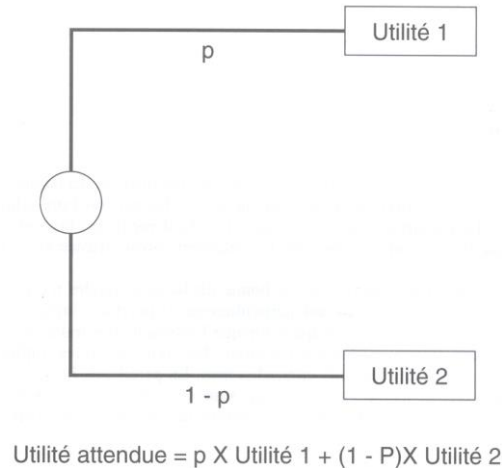


Figure 1

Notez bien que l'analyse de décision est une technique normative. Elle détermine les choix qui devraient être effectués au sein d'une liste d'options possibles. Ce n'est pas une méthode descriptive, elle ne décrit pas la façon dont les décisions sont habituellement prises par les cliniciens. L'analyse décisionnelle repose sur plusieurs « axiomes de comportement rationnel ». Sous leur forme d'origine<sup>2</sup>, ces axiomes sont relativement rébarbatifs et complexes. Néanmoins, chacun peut être explicité de façon simple et intuitive :

- 1) Il existe un ensemble de préférences par rapport aux différents résultats qui peuvent être totalement et complètement ordonnées. La mesure quantitative de la valeur d'un résultat est appelée son utilité.
- 2) Étant donné un choix entre deux loteries élémentaires, un décideur préférera toujours celle qui présente les plus grandes chances de gain.
- 3) Les préférences peuvent être quantifiées en recherchant la probabilité de la meilleure des issues possibles de la loterie qui rend celle-ci psychologiquement équivalente à la situation certaine.
- 4) Les préférences sont « transitives » : un décideur rationnel qui préfère a à b et b à c préférera a à c.
- 5) Le « principe de substitution » : si un décideur est indifférent entre deux conséquences, chacune d'entre elles peut être substituée à l'autre sans modifier la solution du problème de décision.
- 6) Les préférences d'un décideur quant aux conséquences de ses choix doivent être indépendantes de la nature hypothétique ou certaine de la décision qu'il pourrait ou devra prendre.

Notez bien que chacun des énoncés ci-dessus correspond à des axiomes et non à des faits empiriquement vérifiables. Les utilités ont été définies sur la base de ces principes. Si l'on croit qu'un seul d'entre eux est erroné, on ne peut prétendre avoir recours à une véritable échelle d'utilité.

## CONSTRUCTION D'UN MODELE DE DECISION

Les étapes de l'analyse de décision sont les suivantes :

- 1) Délimiter la question.
- 2) Structurer le problème (construire un arbre de décision).
  - a. définir les options ;
  - b. recenser les principaux événements et identifier les résultats significatifs.
- 3) Affecter des probabilités aux événements aléatoires.
- 4) Attribuer des utilités aux résultats.

- 5) Calculer l'espérance d'utilité (évaluer l'arbre de décision).
- 6) Procéder à l'analyse de sensibilité.
- 7) Interpréter les résultats.

Chacune de ces étapes sera illustrée par un exemple, extrêmement simplifié, afin d'être clair.

## DELIMITER LA QUESTION

La première étape consiste à poser le problème en vue de procéder à l'analyse de décision. La question doit impliquer un choix entre plusieurs options possibles. La question de savoir « Que doit-on faire ? » n'est pas assez précise pour permettre une analyse. Il faut d'abord chercher à savoir si le patient qui est malade doit recevoir un traitement symptomatique ou être mis en observation ?

## STRUCTURER LE PROBLEME

L'étape suivante consiste à structurer le problème en construisant un arbre de décision. La première chose à faire est de tracer un nœud décisionnel, représenté par un rectangle plein, dont les branches reflètent le choix spécifique : traitement symptomatique ou mise en observation.

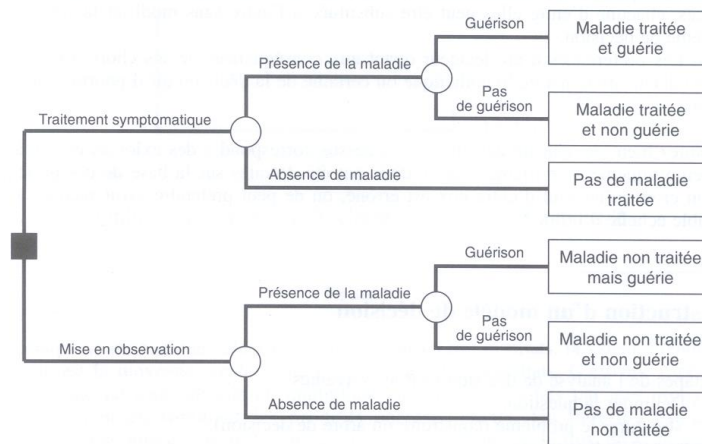


Figure 2

Il y a autant de branches issues du nœud décisionnel que d'actions distinctes possibles maîtrisées par le décideur. On emploie fréquemment le terme de stratégies décisionnelles pour les désigner.

Tout événement qui survient sous l'influence du hasard définit un nœud aléatoire qui est représenté sous la forme d'un cercle. Les branches des nœuds aléatoires doivent être des événements mutuellement exclusifs et collectivement exhaustifs, c'est-à-dire qu'ils doivent couvrir l'ensemble des résultats possibles pour un événement donné.

Dans l'exemple simple que nous traitons, deux événements successifs sont pris en considération :

- 1) Le sujet est-il sain ou malade ?
- 2) Le traitement est-il efficace ou non ?

Dans un modèle plus complexe, des nœuds aléatoires peuvent être ajoutés dans l'arborescence pour représenter soit les complications inhérentes au traitement soit les évolutions particulières de la maladie, abstraction faite de l'efficacité du traitement. Enfin, il nous faut spécifier les nœuds terminaux de l'arbre, un pour chaque cheminement décisionnel combinant des choix et des

événements aléatoires. Dans notre exemple, nous avons étiqueté ces nœuds terminaux en fonction de la présence ou non de la maladie, de la survenue ou non d'une guérison, de l'administration ou non d'un traitement.

## AFFECTER LES PROBABILITES

L'étape suivante consiste à affecter aux branches des nœuds aléatoires les probabilités correspondantes.

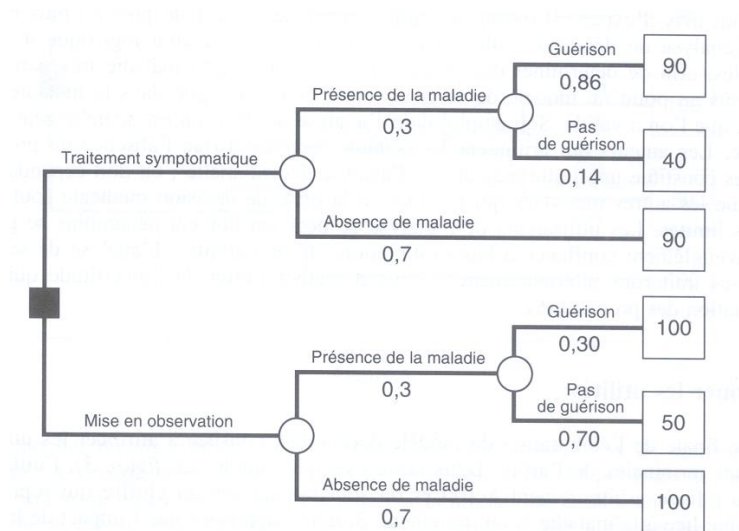


Figure 3

Les branches qui symbolisent la présence ou l'absence de pathologie se voient attribuer respectivement une probabilité égale à la probabilité *a priori* de la maladie et à celle de son absence.

Dans l'exemple présenté, la probabilité d'apparition de la maladie est de 0,3. La probabilité de la seconde branche dans chaque cas doit être égale au complément 1 - la valeur de la probabilité de la maladie. Puisque les branches correspondent à un ensemble collectivement exhaustif d'événements aléatoires, la somme des probabilités des branches doit être égale à un. Dans notre cas de figure, nous avons affecté une probabilité de 0,3 à la possibilité que la guérison survienne en l'absence de traitement. Si le traitement a une efficacité de 0,8 (ce qui réduit de 80 % la probabilité de « non-guérison »), la probabilité de guérison sous traitement est de 0,86. On trouvera *figure 3* l'arbre de décision comportant les probabilités et les utilités attribuées.

Les sources de probabilités utilisables sont multiples: littérature médicale, modèles mathématiques, avis d'experts, ... L'un des principaux obstacles, en pratique, à la mise en application de l'analyse décisionnelle réside dans le fait que les probabilités dont on a besoin, soit demeurent introuvables dans la littérature médicale, soit ne peuvent s'appliquer au patient en question, parce que les chiffres publiés correspondent à des sujets dont les caractéristiques sont différentes.

Souvent, les probabilités peuvent être adaptées au patient pour lequel l'analyse est effectuée, au moyen de modèles mathématiques de pathologie et de survie. Par exemple, il est possible d'évaluer le risque d'une intervention chirurgicale dans un délai donné après un infarctus du myocarde, à partir d'une fonction qui exprime la façon dont le risque diminue en fonction du temps, à partir des données publiées et des caractéristiques personnelles du patient. Le plus souvent pour évaluer les probabilités-clés, on ne dispose que d'un avis d'expert. Il existe une autre technique qui est de plus en plus employée dans l'analyse de décision: elle consiste à utiliser une fonction logistique à variables

multiples, afin de déterminer des probabilités d'apparition de maladie très particulières. On a mis au point un modèle de ce type pour l'ischémie aiguë dans la maladie coronarienne, que l'on a validé.

Son emploi dans l'analyse de décision est actuellement en cours d'étude. Les auteurs qui critiquent la méthode prétendent que l'absence de probabilités précises constitue une faille majeure de l'analyse décisionnelle; on doit cependant souligner que les autres méthodes qui président à la prise de décision médicale souffrent des mêmes limites. Les utilisateurs de l'analyse de décision doivent néanmoins se garder de faire aveuglément confiance à leurs estimations de probabilités. L'analyse de sensibilité, que nous traiterons ultérieurement, permet d'évaluer l'effet de l'incertitude qui entoure l'évaluation des probabilités.

## ATTRIBUER LES UTILITES

L'étape finale de l'élaboration du modèle décisionnel consiste à attribuer les utilités aux branches terminales de l'arbre. Dans notre exemple simple (cf. *figure 3*), l'utilité maximale est fixée arbitrairement à 100 et on soustrait un certain chiffre qui représente la morbidité liée à la maladie et au traitement. Si nous supposons que l'impact de la maladie s'élève à - 50 « utils » et celui du traitement à - 10 « utils », les utilités des dernières branches s'échelonneront entre 100 (dans le cas où il n'existe ni maladie ni traitement) et 40 (dans le cas d'une maladie traitée mais non guérie). Des utilités intermédiaires sont calculées de la même manière pour la maladie traitée et guérie (90), pour le traitement en l'absence de maladie (dont l'utilité est aussi égale à 90) et pour une maladie non traitée et non guérie (dont l'utilité est égale à 50).

Il faut souligner le fait qu'il s'agit là d'un modèle d'utilité extrêmement simplifié, employé seulement à des fins didactiques. Il s'agit d'une échelle arbitraire dont la pertinence clinique est douteuse.

L'élaboration d'échelles d'utilité cliniquement plus adaptées sera abordé ultérieurement dans l'exposé.

## CALCUL DE L'ESPERANCE D'UTILITE

L'évaluation du modèle décisionnel destinée à déterminer l'espérance d'utilité est obtenue par un calcul de la moyenne pondérée et la procédure de la “ remontée de l'arbre ” (de droite à gauche). Cela est représenté en *figure 4*.

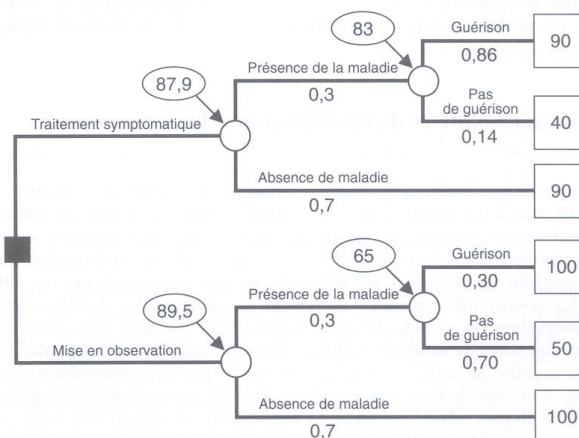


Figure 4

On part des nœuds terminaux et on attribue à chacun d'entre eux un nombre égal à leur utilité. A chaque nœud aléatoire, on calcule la valeur de chaque branche en multipliant la valeur du nœud situé à son extrémité par la probabilité de la branche en question (c'est donc le calcul de la moyenne). La

valeur de chaque nœud aléatoire est égale à la somme des valeurs de chacune de ses branches. Ce procédé correspond à la mise en application du principe de substitution qui autorise le remplacement de toute loterie (ou nœud aléatoire) par une seule utilité égale à l'espérance de la loterie. La remontée de l'arbre s'effectue en descendant des plus hautes branches de l'arbre jusqu'à ses racines, chaque nœud aléatoire distribuant à son tour sa valeur à la branche à laquelle il est attaché. Les branches du nœud de décision situé au niveau des racines de l'arbre ne sont pas comptabilisées dans la moyenne, mais simplement comparées directement. La stratégie recommandée est celle qui comporte l'espérance d'utilité la plus élevée, à savoir dans le cas présent la mise en observation.

L'accent doit donc être mis sur le fait que le modèle décisionnel présenté ici est extrêmement simple et ne contient que 6 branches. Les modèles décisionnels habituellement utilisés peuvent comprendre des centaines, voire des milliers de branches, exigeant un nombre énorme de calculs pour une simple " remontée de l'arbre ". Depuis la fin des années 70, on utilise un logiciel afin d'accélérer les évaluations, de sorte que des arbres présentant des centaines, voire des milliers de branches, peuvent être traités en un temps très bref. En pratique, le temps exigé par les calculs ne constitue plus un obstacle à l'application d'une analyse de décision. La nécessité de données ultra-spécifiques et les difficultés inhérentes à la compréhension, au dépouillement et à l'explicitation des grands modèles sont les principaux facteurs qui en limitent actuellement le développement. Cependant, ces problèmes peuvent également être traités par la micro-informatique.

## **ANALYSE DE SENSIBILITE ET DE DETERMINATION DES VALEURS-SEUILS**

L'évaluation ci-dessus constitue ce que l'on appelle une évaluation « initiale » de l'arbre, dans laquelle toutes les variables se voient attribuer soit une valeur de référence soit la meilleure estimation possible. Le résultat de l'analyse doit être interprété en fonction de ces hypothèses dont il convient de rappeler toujours la teneur. Si la probabilité d'apparition de la maladie est de 0,3 et si l'efficacité du traitement ainsi que ses effets secondaires ont les valeurs spécifiées dans le modèle, la meilleure des stratégies est celle de la mise en observation du malade. On peut supposer qu'une telle recommandation puisse changer dans un contexte différent. Celui-ci peut être étudié grâce à une analyse de sensibilité. Dans le cadre de celle-ci, on fait varier un ou plusieurs paramètres dans un intervalle donné, et on calcule pour chacune des valeurs de ces paramètres l'espérance d'utilité associée à chaque stratégie dans le modèle de décision. On note la stratégie recommandée pour chaque valeur du paramètre que l'on fait varier. On rassemble habituellement les résultats dans un graphique orthonormé xy, sur lequel la valeur du paramètre variable est représentée sur l'axe des abscisses et l'espérance d'utilité sur l'axe des ordonnées.

L'analyse de sensibilité poursuit trois objectifs principaux :

- 1) Déterminer les paramètres qui sont susceptibles d'avoir une influence sur les résultats, c'est-à-dire ceux qui modifieront le choix de la stratégie recommandée lorsqu'on les fait varier dans un intervalle donné.
- 2) Déterminer les conditions (par exemple la probabilité *a priori* d'apparition de la maladie) pour lesquelles les conclusions du modèle demeurent valables.
- 3) Faire la preuve que le modèle ne présente aucune erreur de structure. On s'en assure en vérifiant que l'analyse de sensibilité fonctionne comme prévu. On trouvera *figure 5* une analyse de sensibilité portant sur la probabilité d'apparition de la maladie.

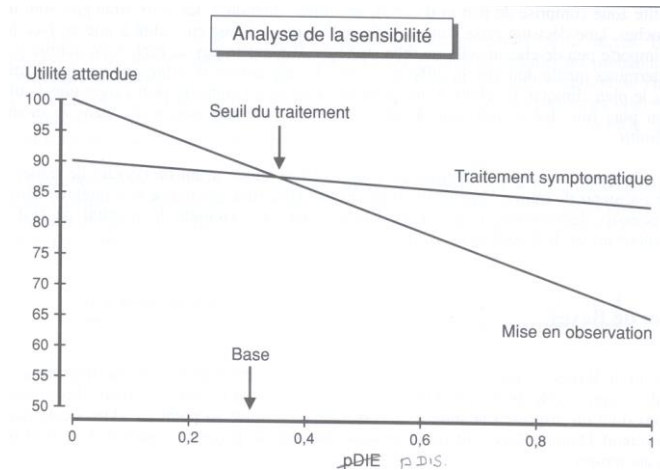


Figure 5 (pDIS : probabilité de décès)

Dans ce cas, on fait varier la probabilité *a priori* d'apparition de la maladie entre 0 et 1. Comme prévu, lorsque la probabilité *a priori* de la maladie est nulle (aucune pathologie n'est présente), la mise en observation est alors la stratégie recommandée. Si tel n'était pas le cas, le modèle décisionnel serait peu fiable. La différence existant entre l'utilité attendue de la mise en observation et celle du traitement à ce point précis est égale à la morbidité du traitement (soit 10 utils). A l'inverse, lorsque la probabilité *a priori* d'apparition de la maladie est égale à un, on est certain de la présence de celle-ci, et comme prévu, le traitement est la stratégie conseillée. La différence entre les stratégies de mise en observation et de traitement correspond alors au bénéfice net du traitement (c'est-à-dire la morbidité de la maladie moins celle du traitement).

Entre ces deux probabilités extrêmes, il existe un point où se croisent les courbes d'espérance d'utilité. Ce point est appelé seuil de probabilité<sup>3</sup> et c'est à cet endroit que le choix de la stratégie recommandée s'inverse. Par définition, les utilités attendues des deux stratégies sont alors égales au point seuil. Les seuils peuvent se calculer de façon algébrique, graphique, en utilisant un point tracé comme à la figure 5, ou par approximation itérative (méthode de Newton) en utilisant un logiciel d'analyse de décision. Chacune de ces trois méthodes doit conduire au seuil de 0,36.

Étant donné les autres conditions décrites dans le modèle initial (morbidité de la maladie, efficacité du traitement, etc.), on devrait donc procéder au traitement symptomatique lorsque la probabilité d'apparition de la maladie est supérieure à 0,36, et mettre le patient en observation en deçà de cette valeur. Au point-seuil (de même que dans une petite zone comprise de part et d'autre), les utilités attendues des deux stratégies sont très proches. Une décision prise dans de telles conditions se joue en réalité à pile ou face<sup>4</sup>, il importe peu de choisir telle ou telle stratégie. Il n'existe pas de règle bien définie pour déterminer quelle doit être la différence entre les espérances d'utilité qui est significative sur le plan clinique. Le choix d'une stratégie dans un tel contexte peut exiger une évaluation plus fine des utilités afin de tenir compte de facteurs non inclus dans le modèle primitif. On peut envisager de réaliser un examen diagnostique avant de décider de traiter ou de s'abstenir de traiter. Cependant, avant qu'une telle stratégie puisse être intégrée dans le processus décisionnel, il convient d'interpréter correctement le résultat de test en s'appuyant sur le théorème de Bayes.



## LOI DE BAYES

La loi de Bayes est une technique mathématique qui permet de réviser une hypothèse initiale (comme celle de la probabilité d'un diagnostic), à la lumière des nouvelles informations dont on dispose à la suite d'un test. Elle a été mise au point au XVIII<sup>e</sup> siècle par le Révérend Thomas Bayes.

Avant d'appliquer la règle de Bayes, il convient de définir plusieurs termes :

*La probabilité a priori* est la probabilité (c'est-à-dire : la croyance en la vraisemblance d'un événement) qui existe au départ avant de connaître le résultat d'un test diagnostique. Elle est parfois appelée probabilité pré-test.

*La probabilité a posteriori* est la probabilité de l'existence d'un événement après avoir pris en compte le résultat du test. Lorsque le résultat du test est positif, la probabilité *a posteriori* est appelée valeur prédictive positive du test. La probabilité *a posteriori* de ne pas avoir de maladie lorsque le résultat du test est négatif est appelée valeur prédictive négative.

*La sensibilité* est la probabilité que le test soit positif chez un patient malade. La sensibilité correspond aussi au pourcentage de vrais positifs. Le complément de la sensibilité est le pourcentage de faux négatifs.

*La spécificité* est la probabilité que le test soit normal chez un sujet sain. La spécificité correspond aussi au pourcentage de vrais négatifs. Le complément de la spécificité est le pourcentage de faux positifs.

La formule la plus générale de la loi de Bayes est :

$$p(H/E) = \frac{p(H) \times p(E/H)}{p(E)}$$

Ce principe signifie que la probabilité d'une hypothèse H (l'état morbide), étant donné l'événement E (le résultat du test), est calculée en multipliant la probabilité *a priori* de la maladie par la probabilité d'observer l'anomalie chez les sujets atteints, puis en divisant le tout par la probabilité d'obtenir des résultats anormaux.

Il n'est pas nécessaire de se rappeler l'équation pour calculer la loi de Bayes. Une simple méthode, prenant appui sur l'arbre de décision, permet de calculer les probabilités *a posteriori* des résultats positifs et négatifs d'un test. Prenons l'exemple du test du virus HIV du sida. La sensibilité du test est de 99 %, ce qui signifie que 99 personnes infectées sur 100 auront un test positif. Sa spécificité est de 99,9 %, ce qui signifie que 9 999 personnes saines sur 10 000 présenteront un test négatif.

Considérons tout d'abord le test d'une personne appartenant à un groupe à faible risque, comme par exemple le demandeur d'un certificat pré-nuptial, pour qui la probabilité *a priori* d'infection est de 1 sur 10 000, soit de 0,01 %. On trouvera *figure 6* l'arbre de probabilité correspondant.

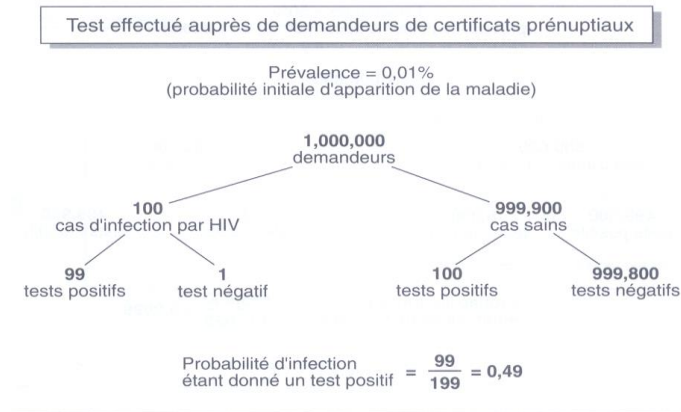


Figure 6

Imaginons un échantillon d'un million de demandeurs de certificat. La probabilité *a priori* de 0,01 % nous dit que 100 personnes sur un million seront infectées par HIV et que 99 900 ne le seront pas. La sensibilité de 99 % nous dit que 99 personnes infectées sur 100 présenteront un test positif et qu'une personne infectée aura un faux négatif. La spécificité de 99,99 % nous dit que, sur 999 900 personnes saines, 999 800 auront un test négatif et 100 auront un test faussement positif. La valeur prédictive d'un test positif, c'est-à-dire la probabilité d'avoir une infection par HIV, alors que le test est positif, est égal au nombre des personnes infectées ayant un test positif (les vrais positifs), divisé par le nombre total de personnes présentant un test positif (comprenant à la fois les vrais et les faux positifs). Dans ce cas, la valeur positive est de 0,49, ce qui signifie qu'un test positif effectué chez un patient appartenant à une population à faible risque a autant de chances d'être vrai que faux.

La *figure 7* montre le même calcul dans le cas d'une population hypothétique d'un million de personnes à risque, présentant des antécédents de toxicomanie par voie intraveineuse. Ici, la prévalence de la maladie est de 0,5. Sur les 500 000 personnes infectées par HIV dans cette population, 495 000 personnes auront un test positif, si la sensibilité du test de 99 %, alors que 5 000 auront un test faussement négatif. Et sur les 500 000 personnes saines, une spécificité de 99,99 % indique que 499 950 personnes auront un test négatif et 50 un test faussement positif. Donc, la valeur prédictive positive est égale au nombre de vrais positifs divisé par le nombre total de positifs, soit 99,99 %.

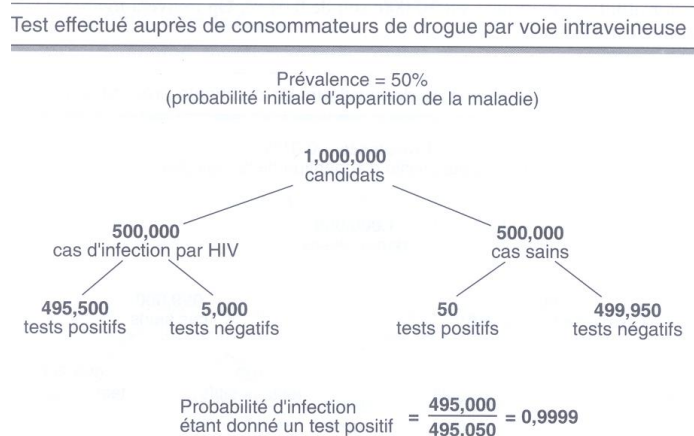


Figure 7

Plusieurs enseignements importants peuvent être tirés de cet exemple. En premier lieu, la valeur prédictive positive est fortement influencée par la prévalence de la maladie dans la population testée. En second lieu, la fréquence relative de faux tests positifs est plus élevée dans une population où la fréquence de la maladie est faible. On doit donc être très prudent quand on interprète les résultats d'un test très sensible appliqué à une population où la prévalence de la maladie est peu élevée.

## UTILISATION DE LA LOI DE BAYES DANS L'ARBRE DE DECISION : INTRODUCTION D'UN TEST DANS LES STRATEGIES

La *figure 8* présente le même arbre décisionnel que précédemment (cf. *figure 2*), mais on y ajoute un test diagnostique (dont la sensibilité est de 0,95 et la spécificité de 0,9) pour une pathologie donnée qui est suivi d'un traitement si le test est positif. Sur la figure, la branche située au milieu de l'arbre, appelée Test, conduit à un nœud aléatoire représentant un événement supplémentaire, que le test soit positif ou non. Le résultat positif du test conduit à l'administration du traitement et le résultat négatif du test conduit à l'absence de traitement. De tels enchaînements correspondent à des décisions « implicites », qui font partie de la stratégie diagnostique. Il serait possible de faire apparaître explicitement ces décisions en les matérialisant par des nœuds à plusieurs branches communément appelés nœuds de décision « incrustés ». La densification de l'arbre décisionnel permet de montrer les modalités d'utilisation des arborescences secondaires : la portion d'arbre située à droite de l'accolade est supposée attachée à chaque branche située sur le côté gauche de l'accolade.

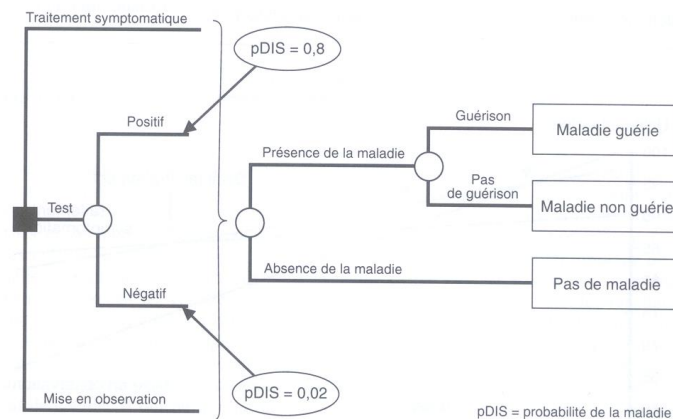


Figure 8

Afin de compléter le modèle décisionnel, il est nécessaire de connaître la probabilité d'apparition de la maladie sur chacune des branches selon les résultats du test. Elle peut être calculée en appliquant la loi de Bayes. Dans la *figure 8*, nous avons chiffré les probabilités *a posteriori* de l'apparition d'une maladie à 0,8 pour un test positif et à 0,02 pour un test négatif. En pratique, lorsqu'on construit un modèle décisionnel, on doit insérer la formule de la loi de Bayes directement dans l'arbre, parce que les probabilités *a posteriori* changeront, dès lors que la probabilité *a priori* de la prévalence de la maladie sera modifiée au cours de l'analyse de sensibilité. Cette modification automatique des paramètres du modèle, qui est entraînée par la variation d'autres paramètres, correspond à la nature conditionnelle des relations qui les unient. Cette liaison reflète bien notre perception des situations cliniques. L'interdépendance des variables constitue donc un avantage important, dont on peut tirer partie en utilisant un logiciel d'analyse de décision.

## SEUILS DECISIONNELS : EXPLORER ET TRAITER OU PROCEDER D'EMBLEE AU TRAITEMENT

Lorsque l'on réalise une analyse de sensibilité unidimensionnelle sur la probabilité *a priori* d'apparition de la maladie, on obtient les résultats présentés *en figure 9*.

Une fois encore, pour des prévalences de la maladie très faibles, la mise en observation est la meilleure stratégie à adopter, alors que pour des prévalences fortes, le traitement symptomatique est préféré. Cependant, dans la gamme des probabilités intermédiaires, il existe une zone dans laquelle la stratégie d'investigation donne l'espérance d'utilité la plus élevée. Dans un tel cadre, il existe deux seuils de probabilités et non pas un. Le premier seuil, appelé seuil de test diagnostique, désigne la probabilité en deçà de laquelle le risque du test n'est pas compensé par son bénéfice.

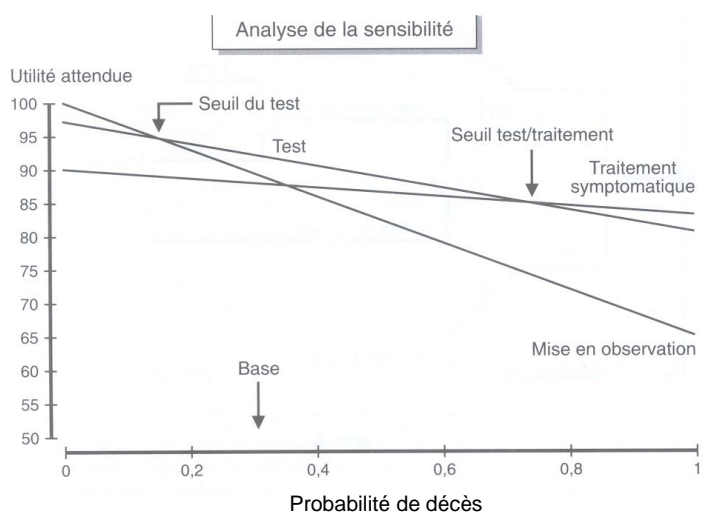


Figure 9

Le second seuil, appelé seuil test/traitement, désigne la probabilité d'apparition de la maladie au-delà de laquelle un traitement symptomatique constitue la meilleure stratégie à adopter. Administrer le test est très intéressant dans le cas de probabilités intermédiaires. On peut alors distinguer un groupe de patients chez qui la probabilité d'être malade est plus forte et l'administration du traitement justifiée et un groupe de patients chez qui la probabilité d'apparition de la maladie est faible et auxquels on peut éviter la morbidité d'un traitement. Lorsque la probabilité d'apparition de la maladie est très peu élevée, il n'existe pas un nombre suffisant de patients atteints pour justifier le risque inhérent à la mise en œuvre du test pour l'ensemble des sujets. Lorsque la probabilité d'apparition de la maladie est très élevée, procéder à un test ne se justifie pas, en raison du fait que la majorité des patients présenteront un résultat positif, ce qui impliquerait leur exposition simultanée au risque du test et à celui du traitement.

L'analyse de sensibilité indique qu'un test diagnostique restreint le champ de probabilités d'apparition de la maladie pour lesquelles un traitement symptomatique ou une mise en observation se justifient.

L'association de la loi de Bayes et de la théorie de la décision offre un bon cadre d'analyse pour aborder les problèmes délicats où la pathologie, le traitement et les tests diagnostiques disponibles comportent tous un risque de morbidité important (suspicion d'embolie pulmonaire).

## ÉVALUATION DE L'UTILITE

Retournons maintenant à la question de savoir comment on attribue les utilités aux branches terminales des arbres de décision. Jusqu'à présent, nos exemples comprenaient des échelles arbitraires d'utilité, ainsi nommées en raison du choix arbitraire de leurs bornes et de leurs unités d'étalonnage. Alors que l'on attribue traditionnellement à de telles échelles les valeurs limites 0 et 1 ou 0 et 100, rien n'interdirait en principe qu'une échelle d'utilité ait pour valeur extrême la racine carrée de 2 et  $\pi$  ! En fait, le problème majeur que posent les échelles d'utilité arbitraire réside dans le fait que les résultats de l'analyse sont difficiles à interpréter, lorsqu'ils sont exprimés à l'aide de telles unités. Que veut-on dire, par exemple, quand on affirme que la stratégie qui comporte une demande d'examen a une utilité supérieure de 4,03 unités à celle d'un traitement symptomatique ? L'autre problème réside dans le fait qu'une échelle arbitraire permet difficilement de décider si oui ou non la mesure de l'utilité obtenue dans le cadre de l'analyse a un sens clinique.

Une fonction d'utilité pluridimensionnelle doit rendre compte de toutes les caractéristiques importantes du résultat final, telles que la durée de survie, le soulagement de la douleur, le temps passé en maladie, le nombre de complications spécifiques et l'argent dépensé. Idéalement, la mesure de l'utilité devrait rendre compte à la fois de données objectives, notamment la durée de survie, et de données subjectives comme la qualité de vie. Dans son article cité en référence sur l'analyse coût-efficacité<sup>5</sup>, Milton Weinstein, propose la notion d'espérance de vie pondérée en fonction de la qualité de vie, que l'on calcule en multipliant l'espérance de vie {mesurée en unités de temps, habituellement en années) par un facteur qualitatif. Une telle présentation offre de nombreux avantages :

- 1) L'espérance de vie peut être obtenue grâce à des sources objectives de données telles que les tables de survie et les études publiées sur le sujet.
- 2) Le couple espérance de vie/qualité de vie confirme de façon explicite que non seulement la durée supplémentaire de vie obtenue grâce au traitement médical est importante, mais également sa qualité.
- 3) Le temps de survie peut se subdiviser en plusieurs périodes, chacune correspondant à un état de santé différent. L'ensemble des périodes peut être rassemblé en une mesure unique du résultat; celle-ci est égale à l'intégrale des années de vie pondérées en fonction de leur qualité sur l'horizon choisi.

## ÉVALUATION DE L'ESPERANCE DE VIE: LA METHODE DEALE

Examinons tout d'abord la définition de l'espérance de vie. Idéalement, celle-ci devrait être calculée sur des sujets présentant les mêmes caractéristiques que ceux faisant l'objet de l'analyse. Mais, il est souvent difficile dans la pratique de trouver des études exactement comparables. Les principales raisons des difficultés inhérentes aux données publiées s'expliquent par le fait que les patients sont habituellement d'un âge différent de celui des sujets étudiés dans les essais et présentent de surcroît diverses comorbidités. Beck et Pauker<sup>6-7</sup> ont mis au point une technique simple, pouvant être mise en œuvre au chevet des malades, qui permet de déterminer le taux de mortalité spécifique d'un patient, en tenant compte de toutes ses comorbidités.

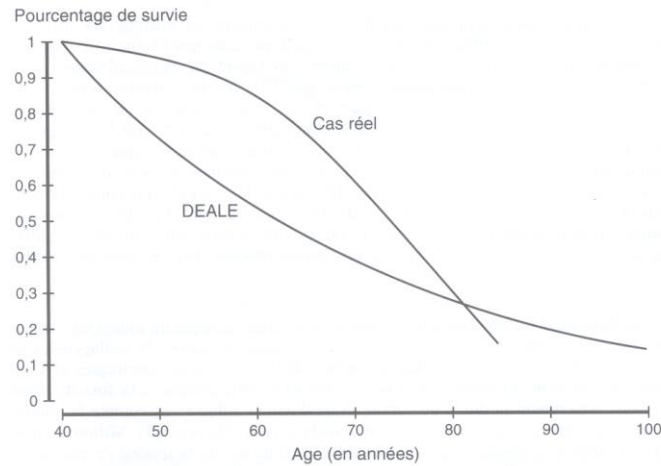


Figure 10

On trouvera *figure 10* la courbe de survie (courbe supérieure), construite à partir de données empiriques, fournies par des études démographiques.

Elle montre, pour une cohorte de personnes nées à la même période, le nombre de survivants observés à un âge donné. L'espérance de vie est égale à la surface située sous la courbe de survie, dont l'espérance mathématique est l'intégrale de la fonction de survie, entre 0 et l'infini. Une telle courbe de survie peut être représentée par une fonction exponentielle où le taux de mortalité augmente avec le temps.

Le problème est que l'intégrale de la courbe de survie établie à partir de cette fonction n'a pas de solution finie. Il faut donc recourir à d'autres techniques pour obtenir une approximation de l'espérance de vie. La méthode de l'approximation exponentielle décroissante de l'espérance de vie (méthode DEALE) adopte une hypothèse de constance dans le temps du taux de mortalité. La fonction de survie correspondante s'écrit sous la forme :

$$f = e^{-\mu \cdot t}$$

dans laquelle  $\mu$  est le taux de mortalité constant multiplié par  $t$  le temps. Cette équation donne une courbe de survie exponentiellement décroissante (courbe inférieure), présentée à la *figure 10*, en même temps que la courbe réelle de survie précédemment décrite. La courbe DEALE surestime la mortalité pour les sujets jeunes et sous-estime la mortalité pour les sujets plus âgés. Quoi qu'il en soit, pour les patients ayant des temps de survie courts, les sur et sous-estimations se neutralisent réciproquement dès lors que le taux de mortalité constant est choisi de façon appropriée.

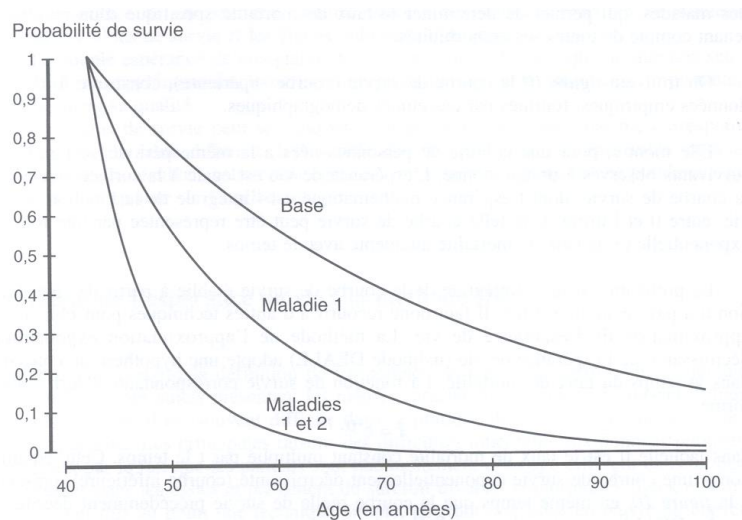
Les avantages de la méthode DEALE sont les suivants :

- 1) La surface située sous la courbe de survie, c'est-à-dire l'intégrale indéfinie entre 0 et l'infini est simplement égale à  $1/\mu$ .
- 2) Pour une espérance de vie (EV) à âge, sexe et race donnés, le taux de mortalité naturelle est simplement égal à l'inverse de l'espérance de vie ( $1/EV$ ).
- 3) Les différents éléments indépendants qui entrent dans la composition du taux de mortalité global peuvent être exprimés sous la forme d'une somme égale au total des différents taux de mortalité. Le taux de mortalité total est égal à :

$$\mu T = \mu ASR + \mu D1 + \mu D2 + \mu D3$$

$\mu_T$  est le taux de mortalité global,  
 $\mu_{ASR}$  est le taux de mortalité naturel lié à l'âge, au sexe et à la race,  
 et  $\mu_{D1} \dots \mu_{D3}$  sont des taux de mortalité spécifiques afférents aux diverses comorbidités du sujet. Ces taux de mortalité spécifiques sont obtenus en déduisant le taux de mortalité relevé dans la population en général à âge et sexe donné du taux brut de mortalité observé chez les patients des essais qui présentent les mêmes caractéristiques démographiques.

Lorsqu'on additionne les taux de mortalité spécifiques et le taux de mortalité naturel à âge, sexe et race donnés, la courbe de survie DEALE (en *figure 11*) décroît plus vite en fonction du temps, ce qui correspond à une diminution de l'espérance de vie.



*Figure 11*

## MESURE DE LA QUALITE DE VIE

L'évaluation de l'utilité est l'un des aspects les plus controversés de la théorie de la décision. J'ai présenté précédemment une définition didactique de l'utilité. Il convient maintenant d'étudier précisément comment on la mesure en pratique, afin de pondérer l'espérance de vie par sa qualité. La *figure 12* représente une fonction d'utilité.

Les quantités, c'est-à-dire le nombre d'années de survie, sont portées sur l'axe horizontal et l'utilité correspondante sur l'axe vertical. Par convention, la fonction d'utilité part de l'origine, là où l'utilité et les quantités sont nulles. A l'extrémité supérieure de la courbe, la valeur maximale des quantités correspond à l'utilité maximale. Lorsqu'il existe une correspondance univoque entre quantité et utilité, la fonction d'utilité est une droite diagonale. Celle-ci reflète une attitude de neutralité vis-à-vis du risque. La majorité des gens ont une répugnance par rapport au risque, ce qui produit une courbe de survie concave au-dessus de la diagonale. Cela signifie que les quantités initiales sont associées à des valeurs en termes d'utilité supérieures à celles que procurent des quantités additionnelles. D'autres personnes peuvent avoir une attirance pour le risque, ce qui correspond à une courbe convexe, située au-dessous de la diagonale.

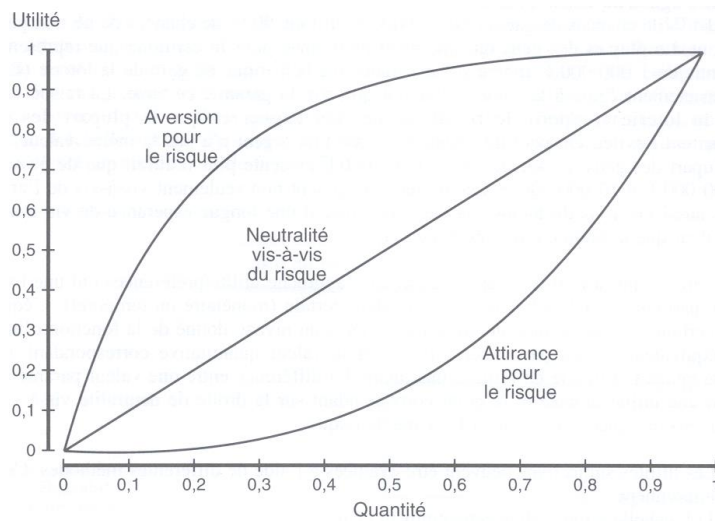


Figure 12

Afin de comprendre pourquoi les fonctions d'utilité présentent ces formes, considérons le problème de décision illustré à la *figure 13*.

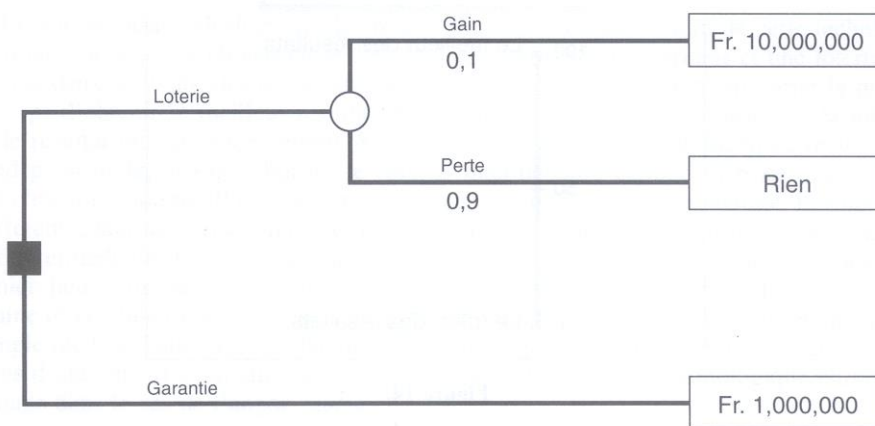


Figure 13

Il s'agit d'un choix entre une garantie de 1 000 000 F et une simple loterie comportant 10 % de chances de gagner 10 000 000 F, et donc 90 % de chances de ne rien gagner du tout. La plupart des gens ont une nette préférence pour la certitude que représente la garantie de 1 000 000 F, même si l'espérance mathématique de gain de la loterie (EMG) est strictement égale à la somme d'argent qu'offre la garantie certaine. La raison en est que la loterie comporte le risque de ne rien gagner et que la plupart des gens souhaitent l'éviter. On peut dire également que tout argent n'a pas la même valeur. Pour la plupart des gens, passer de rien à 1 000 000 F présente plus d'attrait que de passer de 9 000 000 F à 10 000 000 F. Ces préférences jouent non seulement vis-à-vis de l'argent, mais aussi vis-à-vis du temps: la dernière année d'une longue espérance de vie a moins de valeur que la première des années à venir.

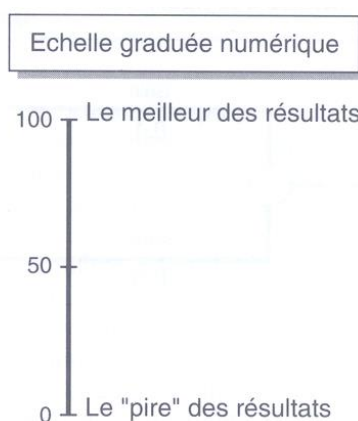


Certains termes utilisés dans le cadre de l'approche utilité/préférences ont une importance particulière. C'est le cas de l'équivalent certain (monétaire ou temporel). L'équivalent certain désigne la quantité qui est associée à un niveau donné de la fonction d'utilité. Un équivalent certain particulier, l'EC<sub>50</sub>, est la valeur quantitative correspondant à une utilité égale à la moitié de l'utilité maximale. La différence entre une valeur paramétrique ayant une utilité donnée et le point correspondant sur la droite de neutralité vis-à-vis du risque est désignée comme étant la prime de risque.

Les utilités subjectives peuvent être évaluées à l'aide de différentes méthodes. Celles-ci comprennent :

- 1) L'échelle à intervalles apparemment égaux.
- 2) Le jeu de hasard idéalisé (standard gamble).
- 3) Le temps psychologiquement équivalent (time trade-off).

Une échelle à intervalles apparemment égaux (voir *figure 14*) est une échelle linéaire qui correspond à une mesure arbitraire de l'utilité, telle qu'on l'a définie précédemment.



*Figure 14*

Par convention, la meilleure des situations possibles et la moins bonne sont placées respectivement en haut et en bas de l'échelle. On demande aux sujets interrogés de placer les situations intermédiaires dont ils doivent apprécier l'utilité quelque part sur l'échelle. Les limites de cette technique sont désormais connues. Puisque les unités sont définies de façon arbitraire, les sujets ne sauront pas comment donner des valeurs différentes à un état de santé ou à un autre. De plus, il se peut que certains sujets comprennent qu'ils doivent graduer l'ensemble de l'échelle. Il est donc possible qu'ils affectent des utilités élevées à des résultats qui devraient avoir des valeurs faibles et vice-versa. En pratique, l'échelle à intervalles apparemment égaux est surtout utile pour s'assurer que le sujet a classé ses préférences de façon correcte.

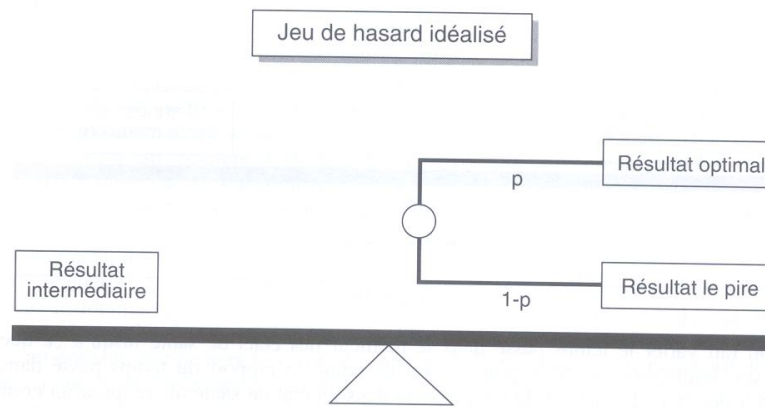


Figure 15

Le jeu de hasard idéalisé est illustré à la *figure 15*. Dans le cadre de cette technique, on propose au sujet de choisir entre des résultats intermédiaires certains et une loterie qui présente deux résultats aléatoires extrêmes: le pire et le meilleur. On fait varier la probabilité ( $p$ ) d'obtenir le meilleur résultat et on demande au sujet de choisir soit la loterie, soit le résultat intermédiaire certain. S'il a classé ses préférences de façon correcte, alors quand  $p$  est nulle, le sujet choisira le résultat intermédiaire certain. Si  $p$  est égal à 1, le sujet choisira la loterie. Pour une certaine valeur du coefficient de probabilité, le sujet sera indifférent quant au choix à faire. Cette probabilité est par définition l'utilité de l'état de santé intermédiaire. Dans la pratique, les valeurs extrêmes de 0 et de 1 sont présentées en premier lieu, puis, les valeurs intermédiaires. Le point d'indifférence entre la situation certaine et la situation à risque est recherché par tâtonnements successifs. Si on choisit un exemple médical courant, la probabilité de la loterie pourrait correspondre aux chances de succès d'une intervention chirurgicale destinée à soulager un état pathologique chronique (pontage dans le cas de l'angor stable).

La technique des temps psychologiquement équivalents est proche de celle du jeu de hasard idéalisé. Selon cette technique, illustrée *figure 16*, on présente au sujet un choix entre une espérance de vie normale dont la qualité correspond à celle d'un état de santé intermédiaire et une espérance de vie abrégée dont la qualité est égale à celle du meilleur état de santé possible.

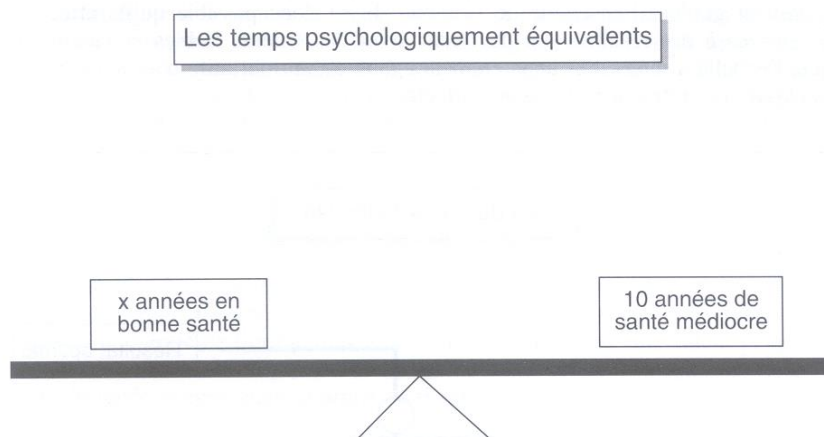


Figure 16

On fait varier le temps passé dans le meilleur des états de santé jusqu' à ce que le sujet soit indifférent au choix proposé. En ce point, le rapport du temps passé dans le meilleur des états de santé et du temps passé dans un état de santé altéré, pour un nombre d'années à vivre donné dans cette pathologie, mesure l'utilité de cet état de santé altéré. Il est possible d'utiliser la technique des temps psychologiquement équivalents pour évaluer la désutilité d'événements temporaires comme la gêne résultant d'une intervention chirurgicale. La technique est similaire. On demande au sujet de choisir entre une espérance de vie normale (dans le meilleur des états de santé) après l'intervention et une espérance de vie abrégée dans l'état de santé altéré en l'absence d'intervention. On fait à nouveau varier le temps de survie sans opération jusqu'à ce que le sujet devienne indifférent au choix proposé. Le laps de temps que le sujet accepte de sacrifier pour éviter l'opération permet de mesurer la désutilité de celle-ci. Un réajustement des utilités est alors possible, il est généralement opéré en introduisant quelque part sur les branches de l'arbre un « péage » (toll) mesuré en terme d'utilité.

## APPLICATION PRATIQUE

Le service de consultation sur la Prise de décision clinique au Centre médical de Nouvelle Angleterre, où j'ai été chargé de cours après l'internat, est fonctionnel depuis la fin des années 70. Durant cette période, des centaines d'analyses de décision y ont été réalisées. Ce centre a accumulé une expérience unique, qui ne connaît pas d'équivalent, en matière d'analyse de décision portant sur de réels problèmes. En 1986, Plante et ses collaborateurs<sup>8</sup> ont fait le point de l'expérience du centre. Il a été répertorié au total 196 consultations. Les problèmes posés par celle-ci peuvent être étudiés sous diverses rubriques :

- 1) *Incertitude diagnostique*: une embolie pulmonaire post-chirurgicale est suspectée chez un patient. Doit-on effectuer une angiographie pulmonaire ou doit-on administrer une thérapie par anti-coagulants ?
- 2) *Incertitude thérapeutique*: doit-on administrer des corticoïdes à un patient qui présente un trouble vasculaire, s'il souffre d'insuffisance rénale ?
- 3) *Brève espérance de survie*: une angine de poitrine est suspectée chez un patient porteur d'un cancer du colon. Doit-on faire une artériographie et procéder à un pontage aorto-coronarien ?
- 4) *Risque de complications au décours du traitement*: un patient porteur de prothèses valvulaires cardiaques qui nécessite un traitement anticoagulant fait plusieurs hémorragies cérébrales. Doit-on poursuivre le traitement anticoagulant ?
- 5) *Programmation adéquate de l'intervention*: un cancer de la vessie est trouvé chez un patient qui a fait récemment un infarctus du myocarde non compliqué. Une intervention précoce sur le cancer s'accompagnerait d'un risque chirurgical indéniable. Mais reculer l'intervention accroîtrait le risque d'apparition de métastases. Quand doit-on procéder à l'intervention, sachant qu'il convient de choisir entre deux risques: le risque de l'intervention et celui des métastases.
- 6) *Séquence optimale de multiples interventions*: un patient souffre d'un anévrisme aortique abdominal qui nécessite une intervention chirurgicale. On trouve chez ce patient une occlusion de l'artère coronaire. Retarder l'intervention sur l'anévrisme afin de procéder à un pontage augmentera le risque de rupture de l'anévrisme; tenter d'abord de supprimer l'anévrisme augmentera le risque opératoire. Quelle intervention doit-on d'abord effectuer ?
- 7) *Prise en compte des préférences du patient*: un patient, ayant un greffon rénal en état de fonctionnement, développe deux mélanomes malins de façon synchrone, imputables au traitement immunosuppresseur. On lui recommande de l'interrompre pour éviter d'éventuelles récurrences de mélanome. Mais cela signifierait la perte du greffon rénal et un retour à la dialyse, ce que le patient préfère éviter. Étant donné que le patient préfère la greffe à l'hémodialyse, doit-on arrêter ou poursuivre le traitement immunosuppresseur ?
- 8) *Décryptage des informations médicales*: un patient de sexe masculin, ayant eu un cancer épidermoïde des bronches, présente au scanner une lésion volumineuse au niveau du cerveau. Quelle est la probabilité pour que cette atteinte soit une tumeur primitive ou une métastase

résiduelle du cancer du poumon ?

- 9) *Problèmes rares, nouveaux, ou cas isolés*: un jeune homme présentant une malformation artérioveineuse rare au niveau d'un membre inférieur, souffre d'une insuffisance cardiaque menaçant le pronostic vital. Le seul traitement efficace connu de la première pathologie est l'amputation de la jambe. Pour sauver la vie du patient, doit-on envisager de mettre en œuvre des thérapeutiques expérimentales qui permettraient d'éviter l'amputation ?

Ces exemples illustrent bien les questions pratiques qui sont posées lorsque l'on tente d'appliquer l'analyse décisionnelle à des cas concrets. « Le passage de la théorie à la pratique implique le face-à-face avec le réel »<sup>9</sup>. Chacun des exemples ci-dessus provient de cas concrets, et les résultats de l'analyse ont joué un rôle dans les soins prodigués au patient. Plusieurs de ces cas ont fait l'objet d'une publication dans la revue *Medical Decision Making* sous le titre « les conférences de décision clinique ».

Malheureusement, on dispose de peu d'informations fiables quant à la recevabilité de ces analyses par les cliniciens et à leur impact sur leur démarche clinique. Ces données sont actuellement colligées par le New England Medical Centre pour savoir si de telles analyses sont portées à la connaissance des cliniciens en temps opportun et si éventuellement leurs recommandations sont suivies d'effets.

Cependant, on manque toujours d'informations sur l'efficacité proprement dite de l'analyse de décision, à savoir est-ce que son utilisation entraîne un meilleur résultat que celui que l'on obtiendrait sans celle-ci ? Cette dernière question pose de graves problèmes de méthodologie pour deux raisons. Tout d'abord, chez un malade particulier, un bon résultat ne découlera pas nécessairement d'une prise de décision correcte et un mauvais résultat ne résultera pas nécessairement d'une décision incorrecte.

Ensuite, l'étude empirique de l'efficacité de l'analyse décisionnelle exigerait un très grand nombre de patients présentant le même problème et suffisamment appariés pour justifier la comparaison. Il semble peu probable que l'on puisse trouver de tels effectifs. En effet, les centaines de cas analysés par le New England Medical Centre sont suffisamment particuliers pour qu'on ne puisse y trouver, ne serait-ce qu'une seule fois, un cas où le modèle de décision appliqué puisse être dupliqué sans modification.

Enfin, on doit souligner que la situation du New England Medical Centre est exceptionnelle, avec une équipe entière qui se consacre à ces travaux: trois enseignants universitaires employés à plein temps, quatre ou cinq assistants disponibles à tout moment pour élaborer une analyse réaliste. De plus, les personnalités les plus prestigieuses du New England Medical Centre, Stephen Pauker et Jérôme Kassirer, en raison de leur autorité dans le domaine, ont réussi de manière assez inhabituelle à faire reconnaître leur technique par leurs collègues. Il est impensable que le succès de ce programme dans des conditions tout à fait inhabituelles puisse être réitéré. Bien que l'on effectue des analyses dans d'autres centres de manière isolée, la mise en œuvre régulière de cette technique comme un instrument clinique de pratique quotidienne se limite à notre centre.

## REPONSES AUX CRITIQUES

L'analyse de décision est une technique controversée, dès lors qu'elle est utilisée en médecine. Je voudrais évoquer ici les critiques les plus importantes qui ont été émises et répondre à chacune d'entre elles :

### **L'analyse de décision n'a pas été empiriquement validée**

On ne peut nier ce fait et il reste à démontrer pour les défenseurs d'analyse décisionnelle que celle-ci concoure à l'amélioration de la décision clinique. Pourtant, en toute justice, on doit observer que le

«jugement clinique», même celui des experts, n'a pas non plus été validé. Les différences inexplicables et injustifiées de la pratique médicale dans différentes collectivités américaines tendent au contraire à prouver que le simple jugement clinique ad hoc n'est pas adapté à la prise de décision clinique. Les algorithmes sont plus faciles à valider. Cependant, il est impossible de prouver qu'un algorithme choisi pour une étude est celui qui convienne le mieux à une situation clinique donnée.

### **Les probabilités nécessaires à l'analyse de décision font défaut**

Il est souvent exact - et cela constitue l'un des problèmes les plus contrariants que pose l'analyse de décision lorsque l'on tente de l'appliquer à un cas concret - que ces probabilités font défaut, notamment lorsque le cas isolé diffère sensiblement des cas publiés. Cependant, le raisonnement clinique standard se heurte à une difficulté du même ordre puisqu'il doit implicitement disposer des mêmes informations. Les analystes de décision tirent leurs probabilités des mêmes sources que les cliniciens qui utilisent des méthodes ad hoc (rapports publiés dans la littérature scientifique, méta-analyse de rapports publiés et de jugements d'expert). L'inférence statistique bayésienne présente certes des limites, néanmoins, elle permet d'éviter les erreurs de logique dans l'interprétation de l'information clinique, par exemple supposer à tort que la valeur prédictive soit indépendante de la prévalence de la maladie dans la population considérée.

### **Évaluer les utilités est impossible**

L'évaluation de l'utilité pourrait être le talon d'Achille de l'analyse de décision. Au début de son utilisation, elle a été critiquée à juste titre, parce qu'elle utilisait des échelles d'utilité arbitraires. Depuis lors, les échelles arbitraires ont fait place à des échelles d'utilité qui s'appuient sur des mesures de résultats plus pertinentes sur le plan clinique, qui concordent mieux avec le cadre conceptuel précédemment défini. En pratique, l'application de cette technique est difficile, mais cela a été fait, souvent avec un succès spectaculaire<sup>10</sup>. Les patients apprécient très souvent de voir leurs préférences intégrées dans un processus de prise de décision clinique. L'analyse de décision est la seule technique que je connaisse bien qui permet de le faire de façon structurée. Ce que j'ai affirmé au sujet des probabilités est aussi vrai des utilités. Les cliniciens sont amenés à prendre en compte au moins de façon implicite l'utilité afférente au résultat lorsqu'ils prennent une décision. Si les utilités sont impossibles à déterminer, qu'est-ce que les cliniciens expérimentés utilisent à leur place ?

Quoi qu'il en soit, on doit reconnaître que les utilités, à l'instar des probabilités, ne sont pas validées cliniquement. Des recherches complémentaires sont actuellement en cours afin de déterminer la validité de différentes méthodes d'estimation, et de mettre au point de nouvelles techniques de révélation des préférences du patient. On a recours par exemple à un protocole de présentation interactif qui utilise le vidéodisque pour évaluer les effets du traitement.

### **La technique exige trop de temps**

Il est certain que la technique nécessite beaucoup trop de temps pour être utilisée dans la pratique clinique courante, compte tenu de la technologie actuellement disponible. Cependant, il faut souligner que l'analyse de décision n'a jamais été conseillée pour des décisions cliniques classiques. Les outils micro-informatiques ont essentiellement allégé le poids des calculs et ont permis d'élaborer des modèles plus détaillés. Mais, c'est la recherche nécessaire à la construction du modèle et à l'attribution des probabilités qui requiert le plus de temps. Les recherches en cours se focalisent sur la mise en place de bases de données cliniques, facilement accessibles, qui permettraient de construire rapidement un modèle de décision pour une situation clinique bien définie.

Ces modèles, appelés « modèles de décision intelligents », associent les techniques d'intelligence artificielle et celles des « modèles de décision analytiques ».

Mon groupe de recherche à la faculté de médecine Robert Wood Johnson est actuellement en train de mettre au point un système de ce type, destiné à faciliter la prise en charge thérapeutique des malades sidéens, présentant des infections pulmonaires. Il permettra la construction d'un modèle qui, en quelques minutes, pourra donner, en s'appuyant sur les données les plus récentes, la solution à un problème clinique.

### **Les modèles sont trop simples pour refléter la réalité clinique**

Lors des premières années de la mise en application de l'analyse de décision en médecine, les modèles étaient de loin beaucoup plus simples. Des considérations d'ordre pratique interdisaient de procéder à l'évaluation et à l'analyse de sensibilité de modèles importants et complexes.

Ce problème est aujourd'hui résolu grâce au logiciel de construction d'arbres de décision.

Actuellement, il n'existe effectivement plus aucune limite technique à la complexité des modèles.

Cependant, il existe encore des obstacles pratiques à leur mise en œuvre, et ce, pour deux raisons.

D'abord parce que les modèles les plus complexes nécessitent davantage de données qui peuvent n'être pas disponibles. Ensuite, parce que, lorsque les modèles se complexifient, ils sont difficiles à comprendre et à mettre à la portée des cliniciens. L'analyse doit être suffisamment complexe pour qu'elle puisse refléter la richesse des tableaux cliniques, mais elle ne doit pas l'être trop, sinon elle exigera une accumulation excessive de données et un effort de compréhension disproportionné.

Je n'accepte pas l'idée selon laquelle les modèles de décision doivent pouvoir couvrir toutes les situations possibles. En effet, des études psychologiques empiriques ont montré que l'esprit humain ne peut maîtriser simultanément qu'un nombre limité de facteurs<sup>11</sup>.

Il est certain que les praticiens, lorsqu'ils utilisent les méthodes de raisonnement adéquates, ne prennent pas en compte l'ensemble des facteurs disponibles. Ils concentrent leur attention sur les seuls paramètres qui jouent un rôle clé dans la prise de décision.

### **L'analyse de décision ne reflète pas le mode de pensée clinique**

*A priori* rien ne dit qu'une technique, pour être utile, doive nécessairement reproduire la logique du raisonnement humain. Les programmes informatiques d'échecs n'utilisent pas les mêmes stratégies que les joueurs experts, mais ont pu accéder au statut de grand maître.

Comme je l'ai mentionné ci-dessus, il n'existe aucune donnée empirique permettant de montrer que le mode de réflexion des cliniciens est préférable à toute autre approche et la diversité des pratiques médicales suggère que beaucoup d'entre elles ne sont pas optimales.

Enfin, je dois reconnaître que les critiques formulées à l'analyse de la décision par d'éminents auteurs dont le Dr. Feinstein ont eu un impact positif sur la discipline. Elles nous ont obligés à jeter un regard sans complaisance sur les questions les plus difficiles auxquelles l'analyse de décision est confrontée et à reconnaître les limites de cette technique, et enfin à engager des recherches pour trouver des méthodes qui permettent de les dépasser.

### **AVANTAGES DE L'ANALYSE DECISIONNELLE**

En résumé, je voudrais souligner les avantages de l'analyse décisionnelle :

Cette technique :

- 1) permet d'expliciter tous les choix et leurs conséquences ;
- 2) encourage les décideurs à considérer des options non prises en compte au départ, telles qu'un traitement symptomatique ;
- 3) rend explicite l'ensemble des données utilisées dans la décision et en particulier fait apparaître les secteurs où celles-ci sont défailtantes ;
- 4) subdivise le problème en plusieurs autres, plus faciles à maîtriser; chaque élément peut ainsi être considéré isolément, sans qu'aucun facteur « confondant » ne vienne gêner son interprétation ;
- 5) met l'accent, grâce à l'analyse de sensibilité, sur les facteurs critiques qui exigent des informations complémentaires ;
- 6) permet d'inclure directement les préférences des patients dans le processus de décision médicale et propose des méthodes pour en faciliter la révélation ;
- 7) sert de base à une analyse coût/efficacité pouvant analyser l'impact éventuel de décisions sur la politique de santé, lorsqu'un essai prospectif ne peut être pratiqué pour des raisons de durée trop longue et de coût trop élevé ;
- 8) permet d'éviter des erreurs de logique, en particulier lors de l'interprétation des données du test diagnostique.

L'analyse de décision ne constitue pas une panacée, et il existe de nombreux obstacles à sa mise en place dans la pratique médicale quotidienne. Cette technique ne convient pas à des cas cliniques classiques, pour lesquels le protocole thérapeutique est évident. Il est important de ne l'appliquer qu'après s'être assuré de la qualité des modèles et de l'adéquation des données cliniques. Cependant, l'analyse de décision fournit des avantages incontestables dans les problèmes de décision lorsqu'il existe des incertitudes majeures, lorsque l'ensemble des options présentent des risques, lorsque les préférences du patient sont un sujet de préoccupation dominant et lorsque se présentent des cas cliniques tout à fait inhabituels.

En outre, l'expérience a montré que la technique peut surmonter les obstacles que pose sa mise en œuvre et qu'elle peut s'adapter avec succès aux situations cliniques concrètes. Des recherches sont actuellement en cours dans ce domaine afin d'améliorer les méthodes pour obtenir plus rapidement des analyses précises avec moins d'efforts et comportant plus de données cliniques significatives qu'à l'heure actuelle. De telles recherches fourniront aussi de meilleures méthodes pour garantir que les utilités utilisées reflètent le plus exactement possible les préférences des patients.

## REFERENCES

- 
- <sup>1</sup> Howard RA, Matheson JE. *The principles and applications of decision analysis*. Menlo Park, CA, Strategic Decisions Group, 1983.
  - <sup>2</sup> Raiffa H. *Decision analysis : introductory lectures on choices under uncertainty*. Reading, Mass : Addison-Wesley, 1968.
  - <sup>3</sup> Pauker SG, Kassirer JP. The threshold approach to clinical decision making. *N Engl J Med*, 1980;302:1109.
  - <sup>4</sup> Pauker SG, Kassirer JP. *The threshold approach (Editorial)*. *N Engl J Med*, 1981 ;305: 1467-9.
  - <sup>5</sup> Weinstein MC, Stason WB. Foundations of cost-effectiveness analysis for health and medical practices. *N Engl J Med*, 1977 ; 296: 716.
  - <sup>6</sup> Beck JR, Pauker SG. A Convenient Approximation of Life Expectancy (The « DEALE » ) I, Validation of the Method. *Am J Med*, 1982 ; 73 : 883.
  - <sup>7</sup> Beck JR, Pauker SG. A Convenient Approximation of Life Expectancy (The « DEALE » ) II. Use in Medical Decision Making. *Am J Med*, 1982 ; 73 : 889.
  - <sup>8</sup> Plante DA, Kassirer JP, Zarin DA, Pauker SG. A clinical decision consultation service. *Am J Med*, 1986; 80: 1169.
  - <sup>9</sup> Feinstein AR. Clinical biostatistics. XXXIX. The haze of Bayes, the aerial palaces of decision analysis and the computerized Ouija board. *Clin Pharmacol Ther*; 1977 ; 21 : 482-96.
  - <sup>10</sup> Cucharal GJ, Levey AS, Pauker SG. Kidney failure or cancer: should immunosuppression be continued in a transplant patient with malignant melanoma ? *Med Decis Making*, 1984 ; 4 : 83.
  - <sup>11</sup> Miller GA. The magical number seven, plus or minus two. *Psychol Rev*, 1956 ; 63 : 81.