

# Le raisonnement et la décision en médecine. La médecine fondée sur les preuves (Evidence Based Medicine, EBM). La décision médicale partagée. La controverse IC-3

- Connaître la définition de la médecine basée sur les preuves (EBM). Notion de niveaux de preuve
- Savoir définir les notions de savoirs, de connaissances et d'incertitude
- Connaître les recommandations
- Connaître les styles de raisonnement
- Connaître les supports au raisonnement clinique
- Connaître les généralités sur la démarche clinique et l'examen clinique
- Connaître les examens complémentaires
- Connaître les bases d'information
- Connaître la logique thérapeutique
- Connaître la définition de l'efficacité théorique, de l'effectivité (efficacité pratique), de l'efficience et de l'utilité
- Connaître la définition de la décision médicale
- Connaître la définition de la décision partagée, de la décision paternaliste
- Connaître la définition de la personne de confiance
- Connaître les représentations, les attentes, les préférences et les demandes des patients
- Connaître la décision collégiale
- Connaître la définition de l'analyse décisionnelle
- Connaître le modèle des dynamiques décisionnelles
- Connaître les technologies de l'information et de la communication (TICE) et l'aide à la décision clinique
- Connaître la résolution de problème avec les TICE
- Connaître les systèmes d'aide à la décision
- Connaître les architectures des systèmes d'information
- Connaître la définition et les caractéristiques principales d'une controverse
- Connaître les particularités de la controverse en santé

## Connaître la définition de la médecine basée sur les preuves (EBM). Notion de niveaux de preuve OIC-003-01-A

### A Définition

La médecine fondée sur les preuves (*evidence-based medicine* ou EBM) désigne l'utilisation consciencieuse et judicieuse des meilleures données scientifiques actuelles dans la prise en charge personnalisée de chaque patient. Cette pratique est fondée sur le fait que le développement des connaissances scientifiques est tel qu'aucun médecin ne peut les assimiler, même dans son propre domaine. Il doit donc être capable, en cas d'incertitude, de rechercher et d'évaluer les informations scientifiques permettant de résoudre le problème clinique posé.

La médecine fondée sur les preuves a été conceptualisée et développée par des spécialistes de l'épidémiologie clinique de l'université McMaster à Hamilton (Canada) dans les années 1980.

Pour les concepteurs de la médecine fondée sur les preuves, la décision médicale intègre (fig. 1.3) :

- l'expérience clinique du médecin ;
- les données les plus récentes issues de l'épidémiologie clinique ;
- les préférences du patient.

### B Principes

La démarche de médecine fondée sur les preuves comporte quatre étapes.

#### 1 Formuler une question clinique claire et précise à partir de la situation clinique rencontrée dans la pratique

Il s'agit de convertir le problème clinique rencontré dans la pratique en une question claire et précise. Pour être complète, cette question doit comporter les éléments suivants, résumés par l'acronyme « PICOT » pour *patients, intervention, comparator, outcomes, time* (tableau 1.1) :

- définition précise du groupe de patients considéré ;
- spécification de l'intervention considérée (diagnostique, préventive, thérapeutique, de réadaptation) ;
- spécification éventuelle de la principale alternative à l'intervention considérée ;
- définition d'un ou plusieurs critères de jugement pertinent pour évaluer l'efficacité et la sécurité de l'intervention ;
- spécification de l'horizon temporel pour évaluer le critère de jugement.

Tableau 1.1 Formulation de la question clinique dans la démarche de médecine fondée sur les preuves, en fonction du type d'étude

PICOT	Traitement	Diagnostic	Étiologie	Pronostic
<i>Patient</i>	Population, patients, problème clinique			
<i>Intervention</i> (élément soumis à évaluation)	Intervention	Nouveau test	Facteur d'exposition	Facteur pronostique
<i>Comparator</i> (situation de référence)	Contrôle (traitement ou intervention de référence)	Prise en charge ou test de référence	Absence d'exposition	Absence du facteur pronostique ou degré d'importance du facteur évalué (par ex. taille d'une tumeur)
<i>Outcome</i> (critère de jugement)	Issue clinique (ce que l'on veut améliorer : survie, évolution de la maladie...)	Identification de la maladie à diagnostiquer (validité du diagnostic)	Maladie	Issue clinique (survie, complication, évolution de la maladie...)
<i>Time</i> (horizon temporel)	Moment de l'évaluation			
Type d'étude	Essai contrôlé randomisé	Transversale Cohorte	Cas-témoins Cohorte	Pronostique (cohorte)

## 2 Identifier les publications pertinentes

Il s'agit d'identifier les publications pertinentes pour répondre à la question posée. Tous les médecins n'ont pas le temps ou les moyens d'identifier les publications pour pratiquer une médecine fondée sur des preuves. Il existe un certain nombre de ressources élaborées conformément aux principes de la médecine fondée sur les preuves et facilement accessibles (encadré 1.3 Encadré 1.3 Médecine fondée sur des preuves : les outils que peut utiliser le médecin

Le développement d'Internet a considérablement facilité l'accès des médecins (et du public) aux publications scientifiques, au travers en particulier de la base Medline via son interface PubMed mais aussi à l'aide des moteurs de recherche usuels. Tous les médecins n'ont cependant pas le temps ni l'appétence pour ce genre de recherches. Ils disposent, à condition cependant de lire l'anglais, de ressources qui mettent à disposition une information valide, compilée et analysée.

## 3 Évaluer de manière critique la méthodologie et les résultats des publications identifiées

Il s'agit d'apprécier leur validité (niveau de preuve scientifique), leur impact (importance de l'effet) et leur utilité pratique (grade de recommandation). Lorsqu'une analyse exhaustive de la littérature est effectuée en respectant ces trois étapes, cela correspond à une revue systématique, qui peut être complétée par une méta-analyse. Une revue systématique consiste à identifier, évaluer et synthétiser toutes les études, publiées ou non, traitant d'un sujet donné. Son objectif est de répondre à une question précise dans le domaine de la santé.

Si les résultats quantitatifs des études peuvent être combinés, on peut calculer une mesure statistique de l'effet global de l'intervention évaluée. On parlera alors de méta-analyse – la méta-analyse proprement dite étant la combinaison statistique des résultats de plusieurs études.

# Bases de connaissances

Elles offrent l'accès à des revues systématiques rigoureusement sélectionnées et à un certain nombre de ressources dans le domaine de la médecine fondée sur les preuves (accès payant pour certaines) :

- BMJ Clinical evidence ([www.clinicalevidence.bmj.com](http://www.clinicalevidence.bmj.com)) ;
- CiSMef ([www.chu-rouen.fr/cismef/](http://www.chu-rouen.fr/cismef/)), qui recense des ressources dans le domaine de la médecine fondée sur les preuves (médecine factuelle) en français ;
- ACP Journal club ([www.acpjc.org](http://www.acpjc.org)) et Evidence-Based Medicine Journal ([www.ebm.bmj.com](http://www.ebm.bmj.com)) proposent une analyse d'articles de haut niveau de preuve scientifique, issus d'une sélection des meilleurs journaux dans le domaine de la médecine.

## Revue systématiques et méta-analyses

La principale source de revues systématiques est la banque Cochrane ([www.thecochranelibrary.com](http://www.thecochranelibrary.com)). Elle présente des revues systématiques et méta-analyses réalisées par des professionnels de santé, membres de la Collaboration Cochrane, au sein de groupes thématiques. Au total, plus de 50 groupes de revue travaillent à la réalisation et l'actualisation des revues, supervisés par une équipe éditoriale qui veille à l'application des standards de qualité rigoureux. L'ensemble des résumés traduits en français est accessible sur le site français ([www.cochrane.fr](http://www.cochrane.fr)).

## Les recommandations pour la pratique clinique

Il s'agit de « *propositions développées selon une méthode explicite pour aider le praticien et le patient à rechercher les soins les plus appropriés dans des circonstances cliniques données* ». Leur objectif est d'informer les professionnels de santé, les patients et usagers du système de santé sur l'état de l'art et les données acquises de la science afin d'améliorer la prise en charge et la qualité des soins. Contrairement aux revues systématiques, qui ne prennent en compte que les informations issues des publications scientifiques, les recommandations intègrent l'avis d'experts (lorsque les données scientifiques ne peuvent trancher) ainsi que l'organisation des soins, les moyens disponibles, voire la culture du pays où elles sont élaborées. En France, elles sont proposées par la Haute Autorité de santé ([www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)) ainsi que par les sociétés savantes.

Il s'agit d'apprécier leur validité (niveau de preuve scientifique), leur impact (importance de l'effet) et leur utilité pratique (grade de recommandation). Lorsqu'une analyse exhaustive de la littérature est effectuée en respectant ces trois étapes, cela correspond à une revue systématique, qui peut être complétée par une méta-analyse. Une revue systématique consiste à identifier, évaluer et synthétiser toutes les études, publiées ou non, traitant d'un sujet donné. Son objectif est de répondre à une question précise dans le domaine de la santé.

Si les résultats quantitatifs des études peuvent être combinés, on peut calculer une mesure statistique de l'effet global de l'intervention évaluée. On parlera alors de méta-analyse – la méta-analyse proprement dite étant la combinaison statistique des résultats de plusieurs études.

## 4 Dédire une conduite à tenir personnalisée pour le patient

On intègre dans ce but :

- les possibilités d'extrapolation des résultats issus de la revue de la littérature au patient ;
- la pertinence de l'intervention pour le contexte de la pratique du médecin ;
- la balance bénéfice/risque de l'intervention ;
- les préférences du patient. Les préférences du patient englobent ses attentes et ses objectifs personnels en termes de santé et de qualité de vie ainsi que le poids qu'il accorde aux bénéfices attendus, aux effets indésirables potentiels, aux coûts et aux contraintes associés aux différentes options de prise en charge. La révélation des préférences du patient peut être informelle ou faire appel à des outils d'aide à la décision ou à des méthodes formalisées (échelle visuelle analogique, arbitrage temporel ou pari standard). Idéalement, la conduite à tenir est décidée au terme d'un processus de décision médicale partagée.

---

## Savoir définir les notions de savoirs, de connaissances et d'incertitude OIC-003-02-A

- 70 % des consultations en médecine générale sont des situations non caractéristiques d'une maladie. Le médecin se retrouve dans une situation **d'incertitude diagnostique**.
- Le **savoir** n'est pas une simple accumulation de **connaissances**.

Exemples de savoirs :

- **Médicaux**
- **Scientifiques**
- **Profanes/Experts**

**Expérientiels**

---

## Connaître les recommandations OIC-003-03-A

- La décision s'appuie en général, sur des **référentiels** (guideline). Ex. HAS. Elles servent à baliser la décision dans les situations : à hautes prévalences, particulièrement coûteuses ou à haut risque d'accident.
- **Graduation de niveaux de preuves** et des **grades de recommandations** leur correspondant. Ex. OMS et *Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation* (GRADE), *Oxford Centre for Evidence-Based Medicine*, *Scottish Intercollegiate Guidelines Network*...
- Ces niveaux de preuves vont permettre de générer des **recommandations de pratique clinique (RPC)**, éditées en France le plus souvent par la HAS.
- Les recommandations peuvent être **analysées** (pertinence, validité interne et externe, prise en compte des biais), à l'aide d'outils : ex. grille AGREE.

---

## Connaître les styles de raisonnement OIC-003-04-A

- Symptomatologies parfois **typiques** => raisonnement simple et réponse bien codifiée par des recommandations solidement étayées = **Reconnaissance archétypale** (*pattern recognition*). Situations souvent **complexes**.
- **Méthode hypothéticodéductive : triade « hypothèses, indices, confirmation (ou infirmation) »**. **Écoute attentive**, puis évocation de **situations cliniques antérieures compatibles**. **Hypothèses** à affirmer ou infirmer par anamnèse et examen clinique. Le médecin se construit ensuite une série **d'hypothèses de travail** qui se verront renforcées ou infirmées par l'anamnèse et l'examen clinique.
- **Mode intuitif** : ou analogique (« c'est comme d'habitude »), mode très opérationnel : routines.
- **Démarche « algorithmique »** : système de démarche binaire (oui/non, présence/absence) explore par exclusions, indépendamment du contexte.
- **Démarche « exhaustive »** : en situation très complexe, face au doute. Elle est très coûteuse en temps et énergie concerne les situations très complexes. Risque d'incidentales.

---

## Connaître les supports au raisonnement clinique OIC-003-05-B

- **Motifs de consultation souvent multiples (2,6 par consultation en moyenne)**.

- Intriquant suivi de pathologies chroniques et pathologies aiguës.
  - Le médecin doit adapter sa prise en charge des divers résultats de consultation au **degré d'urgence** et aux **priorités du patient**. Il **s'aide du temps**.
  - Le médecin garde à l'esprit le **danger des bilans et de l'inscription du malade dans des filières de soins déraisonnables**. C'est la **prévention quaternaire**.
- 

## Connaître les généralités sur la démarche clinique et l'examen clinique OIC-003-06-A

**Démarche clinique et raisonnement hypothético-déductif** : **Écoute attentive**, puis évocation de **situations cliniques antérieures compatibles**. **Hypothèses** à affirmer ou infirmer par anamnèse et examen clinique. Le médecin se construit ensuite une série **d'hypothèses de travail** qui se verront renforcées ou infirmées par l'**anamnèse** et l'**examen clinique**.

---

## Connaître les examens complémentaires OIC-003-07-A

Les examens complémentaires disponibles sont de plus en plus nombreux et relèvent de quatre catégories :

1. Imagerie
2. Analyses biologiques
3. Endoscopie
4. Epreuves fonctionnelles

La prescription d'un examen complémentaire doit être faite après une réflexion sur l'information que le résultat apportera (probabilité post-test), les risques associés, le coût, et les conséquences du résultat sur la prise en charge diagnostique, thérapeutique ou l'information pronostique.

---

## Connaître les bases d'information OIC-003-08-B

Exemples :

- o En médecine générale par exemple, la SFMG a construit pour chaque **résultat de consultation** une **fiche de risques critiques évitables**.
  - o La **Haute Autorité de santé** (HAS) édite des **fiches de transparence** sur lesquelles figure le **Service médical rendu** (SMR) qui balise les **bénéfices/ risques** des médicaments.
- 

## Connaître la logique thérapeutique OIC-003-09-B

La **démarche thérapeutique** s'inscrit dans la démarche médicale au sens plus large.

- **Nommer la situation clinique** (ex. résultat de consultation en médecine générale)
  - **Décider**, de façon **négociée** avec le patient, selon :
    - o La situation clinique évoquée.
    - o Préférences et caractéristiques du patient.
    - o Caractéristiques du médecin.
    - o Éléments conjoncturels.
- 

## Connaître la définition de l'efficacité théorique, de l'effectivité (efficacité pratique), de l'efficience et de l'utilité OIC-003-10-B

- Une décision doit viser l'**efficacité** = **parvenir à ses objectifs**
- Donc nécessité de s'entendre sur les **objectifs**
- L'**efficience** = **capacité à atteindre des objectifs au prix d'une consommation optimale de ressources**.
- Des outils comme le ratio bénéfice/risque, le ratio coût/ efficacité, mais aussi des méta- analyses, avec des modélisations mathématiques peuvent clarifier le débat.
- L'**utilité** comporte sans doute un sens moral. Retour au malade : question du conflit de norme. Dans un système de soins en grande partie remboursé (état providence), l'utilité d'un acte ne peut se mesurer à la simple utilité « perçue » par le patient.

## Connaître la définition de la décision médicale OIC-003-11-A

**Définition** : la décision est définie comme « l'action de décider, ou le résultat de cette action » et renvoie au verbe décider. Décider, c'est « arrêter, déterminer ce que l'on va faire ou penser ». Ses synonymes permettent de bien cerner cette notion : arbitrer, arrêter, choisir, commander, conclure, décréter, départager, dicter, ordonner, prévoir, prendre parti, prescrire, résoudre, solutionner, statuer, trancher. Une décision, c'est un concept abstrait, prendre une décision, c'est d'abord une opération conceptuelle. Par contre, la mise en œuvre d'une décision est généralement une opération concrète, au sens où elle va avoir un impact sur l'état du monde.

- Les décisions médicales sont diverses, allant de l'introduction d'un traitement au fait de réaliser un signalement.
- Ne pas introduire de traitement, ne pas réaliser d'examen complémentaires sont également des décisions médicales.

---

## Connaître la définition de la décision partagée, de la décision paternaliste OIC-003-12-A

• Du **modèle paternaliste** à la **décision partagée** («*shared decision making*»), le médecin se positionne sur une **éthique décisionnelle**.

• La HAS en octobre 2013 s'est positionnée sur le «*shared decision making*» :

o Le professionnel de santé et le patient **partagent de manière bilatérale une information médicale**

o Soutien au patient pour envisager les différentes **options** possibles et exprimer ses **préférences**. Ces options peuvent être du domaine de la prévention, du diagnostic ou du traitement, et comprennent l'option de ne pas agir.

o Un **choix éclairé** entre les différentes options est effectué et **accepté mutuellement** par le patient et les professionnels de santé.

---

## Connaître la définition de la personne de confiance OIC-003-13-A

• **Loi Clayes- Leonetti**

• Toute personne majeure peut désigner **une personne de confiance**, qui peut être un parent, un proche ou le médecin traitant et qui sera consultée au cas où elle-même serait hors d'état d'exprimer sa volonté et de recevoir l'information nécessaire à cette fin.

• Témoigne de **l'expression de la volonté de la personne**. Son témoignage prévaut sur tout autre témoignage.

• La personne de confiance pourra s'assurer que les directives anticipées sont bien respectées.

---

## Connaître les représentations, les attentes, les préférences et les demandes des patients OIC-003-14-A

La prise en charge d'une plainte exprimée par le patient peut se faire au prix d'une **négociation** autour de plusieurs dimensions pour le patient :

- o Ses **attentes** : guérison, réparation...
- o Ses **représentations**
- o Ses **normes**
- o Ses **informations ou ses connaissances**

---

## Connaître la décision collégiale OIC-003-15-A

• Dans le cadre de l'éthique du soin, le médecin veille à **travailler en collégialité**. Considérant les limites de son savoir il saura s'entourer d'avis d'autres professionnels de santé reconnus dans des domaines qu'il connaît moins.

• Face à une situation complexe autour de questions à caractère éthique, il saura créer un **climat de délibération interdisciplinaire** pouvant inclure, médecins, soignants, famille, entourage, et bien sûr patient.

---

## Connaître la définition de de l'analyse décisionnelle OIC-003-16-B

L'analyse décisionnelle est une technique de modélisation permettant d'aborder des problèmes complexes en les décomposant en problèmes élémentaires de type « loterie ».

Elle peut être utilisée dans les domaines diagnostique, pronostique ou thérapeutique.

L'analyse décisionnelle se base sur le calcul de l'utilité moyenne de stratégies concurrentes : l'utilité moyenne est la somme des utilités respectives des issues potentielles d'une stratégie pondérées par leur probabilité de survenue. Elle prend en compte les performances d'un test diagnostique ou l'efficacité d'un traitement, mais aussi l'utilité mesurée par exemple en termes d'impact sur



la qualité de vie estimée par les patients. L'analyse décisionnelle peut représenter graphiquement le problème analysé par un arbre de décision.

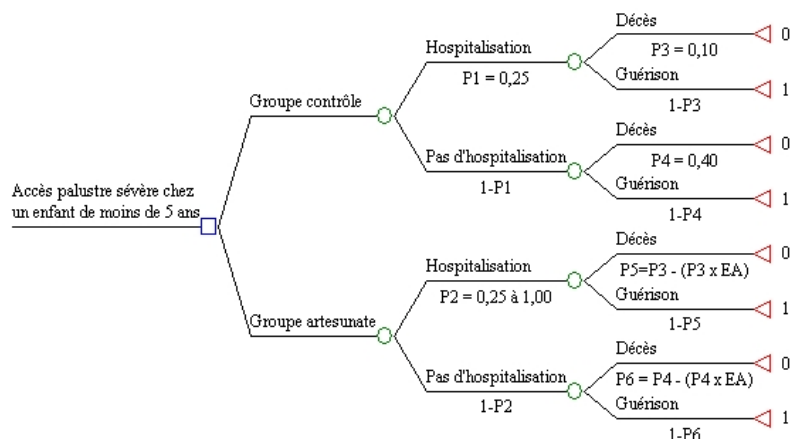


Fig. Arbre décisionnel modélisant le rapport coût-efficacité de l'administration d'une dose d'artésunate par voie intrarectale dans la prise en charge préhospitalière d'un accès palustre sévère chez un enfant âgé de moins de 5 ans. Source : adaptée d'après Tozan Y *et al.* Prereferral rectal artesunate for treatment of severe childhood malaria: a cost-effectiveness analysis. *Lancet* 2010; 376 : 1910–5.

L'analyse médico-économique de type coût-utilité est basée sur les mêmes principes mais intègre, en plus de l'utilité, les coûts des différentes options. Les stratégies peuvent être comparées en calculant le coût additionnel par année de vie sauvée supplémentaire, par exemple.

## Connaître le modèle des dynamiques décisionnelles OIC-003-17-B

- **L'homogénéité** de l'importance de chacune des parties du modèle de Sackett conduit à la **décision partagée**.
- **L'effacement du « sujet patient »** dans le modèle de Sackett au profit d'une prépondérance de l'art médical et des données actuelles de la science, correspondent un mode de **décision paternaliste**.
- La **négligence des données actuelles de la science** (ex. médecines dites alternatives comme l'homéopathie).
- Le **scientisme**, ou aliénation aux données de la science (médicalisation de la société).

## Connaître les technologies de l'information et de la communication (TICE) et l'aide à la décision clinique OIC-003-18-A

Version Novembre 2024

### Modélisation et informatisation de la prise de décision.

Le processus de prise de décision se conçoit dans un objectif donné, pour une tâche donnée. On peut le décomposer en quatre étapes : (i) la caractérisation d'une situation clinique, c'est-à-dire la documentation de l'ensemble des paramètres d'entrée, (ii) le choix du modèle ou des connaissances à mobiliser pour atteindre l'objectif donné à partir des paramètres d'entrée, (iii) l'exploitation du modèle et la production du résultat du traitement sous la forme d'un ou plusieurs paramètres de sortie pouvant correspondre à des propositions de décisions possibles, (iv) la sélection de la proposition la plus adaptée. Dans le cas de systèmes « d'aide » à la décision (et non de systèmes « décisionnels »), la quatrième étape est laissée à l'appréciation des professionnels de santé qui utilisent le système d'aide à la décision médicale (SADM), celui-ci se bornant à proposer les alternatives décisionnelles possibles.

### Caractérisation d'une situation clinique

Pour permettre la mise en œuvre d'un SADM, on représente formellement une situation clinique par un ensemble de données correspondant à des critères ou variables de décision. Pour être exploitable de façon optimale, l'information doit être codée. Le codage peut être numérique, p. ex. l'âge, le cholestérol total, etc. Il peut être de type booléen, c'est-à-dire vrai ou faux, comme par exemple le fait d'être ménopausée. Enfin il peut être catégoriel, comme par exemple le groupe sanguin (A, B, AB, O). Au-delà du codage, il est nécessaire que les données soient structurées et organisées, c'est-à-dire rangées dans des rubriques différentes afin, p.ex., de distinguer le problème courant, des antécédents personnels ou familiaux. De la même manière, on doit distinguer le traitement courant des traitements passés. Chaque donnée doit être datée afin d'être correctement identifiée et n'être utilisée que si cela fait sens, c'est-à-dire si on peut la considérer comme toujours valide.

Il existe plusieurs méthodes pour alimenter en données un SADM. La première est de saisir les données "manuellement", c'est-à-dire que l'entrée des données est réalisée par l'utilisateur (non recommandé du fait d'un risque d'erreur de saisie). La seconde est d'obtenir l'information via un dispositif de production numérique, comme c'est le cas des images digitalisées, des signaux numériques, des mesures obtenues via des capteurs. Par exemple, une balance connectée pourra transmettre automatiquement le poids du patient. Enfin, une autre méthode est de réutiliser des données existantes, par ex. des données stockées dans des dossiers patients informatisés (DPIs), ou dans le système d'information hospitalier. Si le codage des données permet leur traitement par des systèmes d'information, ces données bien que codées ne pourront pas forcément être partagées entre différentes solutions informatiques. En effet, si l'on souhaite échanger, partager des données entre différents systèmes d'information, il est nécessaire que ces différents systèmes puissent communiquer entre eux et se "comprendre", c'est-à-dire, qu'ils soient interopérables.

Les SADM sont des outils informatiques mettant en œuvre des algorithmes qui permettent l'analyse des caractéristiques d'un patient, et plus globalement d'une situation clinique, afin de produire des propositions personnalisées de prévention, de prise en charge diagnostique, de prise en charge thérapeutique, ou de suivi. Ces algorithmes issus de l'intelligence artificielle (IA) peuvent mettre en œuvre des approches logico-symboliques qui utilisent des connaissances et reproduisent les raisonnements de l'expert humain engagé dans sa démarche décisionnelle (inférences) ou des approches numériques qui se fondent sur un apprentissage « machine » (*machine learning*) utilisant des données. Plus récemment, Les grands modèles de langue (*Large language Models* ou LLMs), pré-entraînés sur de vastes corpus de texte afin de comprendre et de générer du langage naturel ont été évalués dans leur capacité à proposer une aide à la décision.

### 1. Aide à la décision basée sur les connaissances : raisonner pour décider

Ce type d'approche a été à la base de la construction des premiers systèmes experts en médecine dans les années 70. L'organisation de ces systèmes repose sur l'articulation de trois composants : (i) la base de connaissances qui est une représentation formalisée des connaissances à mobiliser pour l'aide à la décision, (ii) la base de faits qui définit la situation clinique pour laquelle la décision doit être prise, et (iii) le moteur d'inférences qui met en œuvre un raisonnement logique permettant d'articuler les connaissances pour résoudre la situation clinique.

Il existe différents formalismes de représentation des connaissances, notamment les règles de production SI-ALORS avec ou sans coefficient de confiance, par exemple « SI céphalée et raideur de la nuque et nausées/vomissements ALORS syndrome méningé », les arbres de décision, les réseaux sémantiques. Les connaissances peuvent être organisées en cartes d'états reliés par des opérateurs de transition (modèle EON), ou en processus (modèle GLIF).

Les moteurs d'inférences s'appuient sur trois types d'inférences : (i) la déduction ou le modus ponens qui consiste à dériver une conclusion à partir de règles et de faits (*Socrate est un homme (fait), les hommes sont mortels (règle), donc Socrate est mortel*), (ii) l'induction qui consiste à dériver une règle générale à partir de faits (*Socrate est un homme (fait), Socrate est mortel, donc les hommes sont mortels (règle)*), (iii) l'abduction qui consiste à formuler des hypothèses à partir de règles et de faits (*les hommes sont mortels (règle), Socrate est mortel (fait), donc Socrate est un homme*). Seule la déduction permet de propager le vrai dans le raisonnement.

Les moteurs d'inférences peuvent fonctionner :

- en chaînage avant : on part des parties SI des règles SI-ALORS à partir desquelles on dérive des parties ALORS qui jouent le rôle de nouvelles parties SI jusqu'à saturer la base de connaissances et on arrive à des conclusions qui correspondent aux propositions de décisions.
- en chaînage arrière : on formule une hypothèse et on part des parties ALORS des règles SI-ALORS qui permettent de remonter aux parties SI qui deviennent de nouvelles parties ALORS, on sature la base de connaissances et on arrive à une partie SI qui, si elle est vraie, permet de valider l'hypothèse de départ, sinon on réfute l'hypothèse de départ.
- ou en mélangeant le chaînage avant et le chaînage arrière.

Actuellement, les SADM à base de connaissances fonctionnent sur le même principe d'architecture avec une situation clinique caractérisées par des données patient extraites du DPI (si le SADM et le DPI sont interopérables), une base de connaissances qui modélise dans un format structuré le contenu des guides de bonnes pratiques, et un moteur d'inférences. Récemment, des approches mettant en œuvre les principes du Web sémantique ont proposé de représenter les connaissances sous la forme d'ontologies. Une ontologie est une structuration des notions d'un domaine ordonnées selon une relation de généralisation/spécialisation (p. ex. 'hypertension artérielle' est une 'maladie cardiovasculaire') permettant un raisonnement par subsomption pour la classification du cas clinique à résoudre dans une classe de cas attachée à la prise en charge recommandée.

### 2. Aide à la décision basée sur les données : apprendre pour décider

Dans l'approche numérique de l'aide à la décision, on met en œuvre un apprentissage à partir de données (*machine learning*). On fait la différence entre

- l'apprentissage supervisé pour lequel les données d'apprentissage sont résolues au sens où pour chaque situation clinique, on dispose de la décision (*pour toutes les mammographies d'apprentissage, on sait s'il y a ou pas une lésion suspecte de cancer du sein*) et où l'objectif est de construire l'algorithme qui permettra de prédire la solution pour toute nouvelle observation.
- l'apprentissage non supervisé pour lequel on dispose d'observations non résolues et où l'objectif est de construire une taxinomie des observations afin de les regrouper en classes maximisant la comparabilité des observations intra-classe et leur dissemblance inter-classes (classification ou clustering).

Dans l'apprentissage supervisé, on construit un échantillon d'apprentissage constitué de  $n$  situations cliniques (taille de l'échantillon) chacune étant caractérisée par  $p$  variables. Si les techniques statistiques de modélisation sont optimales lorsque les dimensions ( $n$ ,  $p$ ) du problème d'apprentissage à résoudre sont « raisonnables » (i.e.  $n \gg p$ ), et que les hypothèses distributionnelles sont vérifiées (normalité), d'autre algorithmes viennent les concurrencer avantageusement lorsque le volume des données est important (big data) : les arbres de décisions, la méthode des  $k$  plus proches voisins, les machines à vecteurs de support (support vector machines ou SVM), les forêts aléatoires (random forests) et les algorithmes d'apprentissage profond (deep learning) basés sur des réseaux de neurones artificiels dont l'usage explose depuis une dizaine d'années. De nombreuses bibliothèques accessibles en libre accès permettent d'utiliser ces différents algorithmes.

Dans tous les cas d'apprentissage supervisé, la méthode est la même : préparation des données de l'échantillon d'analyse en veillant à ce qu'il soit représentatif de la population pour laquelle le SADM sera utilisé, partition aléatoire de l'échantillon (échantillon d'apprentissage et échantillon d'évaluation souvent dans un rapport de 80/20), mise en œuvre des différents algorithmes, comparaison des performances (à l'aide des indicateurs précision, rappel et F1-score) et choix du meilleur. Il est en effet établi qu'il n'y a pas de "meilleure" méthode connue a priori, chacune étant plus ou moins bien adaptée au problème posé et à la nature des données, et qu'il faut en tester plusieurs.

### 3. Aide à la décision basée sur les grands modèles de langue : chatter pour décider

Les LLMs, tels que, par exemple, GPT (*Generative Pre-trained Transformer*) développé par OpenAI ou BERT (*Bidirectional Encoder Representations from Transformers*) développé par Google, sont des modèles d'intelligence artificielle pré-entraînés sur de vastes

corpus de texte afin de répondre en langage naturel à des questions posées en langage naturel. Des études récentes ont permis d'analyser la capacité des LLMs pour l'aide à la décision avec des résultats variables allant de 8% à 92% de bonnes propositions (performance plus élevée dans le domaine de l'oncologie médicale). Par ailleurs, les LLMs peuvent aussi présenter des lacunes dans la compréhension du contexte médical ou l'analyse du langage naturel, conduisant à des propositions de décision incomplètes, voire fausses (on parle d'hallucinations). Enfin, il existe des enjeux de confidentialité des données médicales lorsque les cas cliniques sont soumis sans avoir été au préalable anonymisés.

---

## Connaître la résolution de problème avec les TICE OIC-003-19-B

Méthodes de résolution de problèmes et les approches techniques à la santé et aux contextes biomédicaux (par exemple indexation, stockage et recherche d'information).

---

## Connaître les systèmes d'aide à la décision OIC-003-20-B

Version Novembre 2024

### Les systèmes d'aide à la décision médicale

Du fait de l'augmentation continue des connaissances, il est difficile pour les professionnels de santé de se tenir à jour des dernières recommandations de prise en charge pour les différentes pathologies qu'ils ont à traiter. Aider à la décision, c'est proposer au décideur les prises en charge validées (en anglais, on parle de *process* pour qualifier les soins prodigués) capables de produire les meilleurs résultats chez les patients (en anglais, on parle de *clinical outcomes* pour qualifier les bénéfices cliniques). Les outils et ressources permettant d'aider la décision sont multiples, et varient selon leur mode d'utilisation, leur complexité, les tâches qu'ils assistent, et leurs supports.

Les systèmes informatisés capables de délivrer une information personnalisée en fonction de caractéristiques patient sont qualifiés de systèmes d'aide à la décision médicale (SADM) ou Clinical Decision Support Systems (CDSSs). Ils sont définis comme des applications logicielles fournissant aux cliniciens et aux patients des informations cliniques ou des données relatives au patient, intelligemment filtrées et présentées au moment opportun pour faciliter la décision de prise en charge. Les SADM ont prouvé qu'ils étaient des outils ayant le potentiel d'améliorer la conformité des décisions aux recommandations préconisées par l'état de l'art.

#### On distingue trois types de SADM selon les ressources sur lesquelles fonctionnent leurs algorithmes :

- Les SADM qui s'appuient sur des connaissances explicites, représentées sous une forme symbolique, et traitées dans le cadre de la logique. Ce sont des SADM basés sur les connaissances qui, lorsqu'elles sont complexes relèvent des techniques d'intelligence artificielle symbolique.
- Les SADM qui reposent sur des modèles construits par apprentissage à partir de jeux de données existantes. Ce sont des SADM basés sur les données qui relèvent des techniques d'apprentissage automatique (*machine learning*) ou intelligence artificielle numérique
- Les SADM issus de l'IA générative. Ce sont des SADM entraînés sur de gigantesques ensembles de données textuelles provenant d'Internet et d'autres sources, leur permettant d'apprendre des représentations linguistiques générales et les connaissances nécessaires dans certains domaines dont celui de la santé. Ils répondent en langage naturel à des questions qui leur sont posées en langage naturel.

### Des systèmes d'aide à la décision pour chaque étape du parcours de soins

Il existe une multitude de SADM dont les modèles sous-jacents vont du plus simple à l'extrêmement complexe. De même, les domaines d'intervention où les SADM peuvent être mobilisés dans une pratique médicale sont variés.

- Les **systèmes d'aide à la décision pour le dépistage** (par exemple, le dépistage organisé des cancers du sein, de l'utérus et colo-rectal), la prévention (par exemple, les rappels de vaccination), le pronostic (par exemple, les calculs de risque, cardiovasculaire, de rechute d'un cancer, etc.).
- Les **scores cliniques** sont considérés comme des outils d'aide à la décision, même si leur conception est parfois simple. Il existe de nombreux sites, programmes et applications pour calculer des scores cliniques, avec des origines diverses (qu'elles soient publiques, issues des sociétés savantes, comme celle de la Société française de médecine d'urgence, ou privées qui foisonnent sur le web). Ce sont des modules qui peuvent être intégrés aux logiciels métiers, dossiers patient informatisés ou systèmes d'information hospitaliers, par exemple, le test de Fagerström pour évaluer le niveau de dépendance au tabac, le score de Wells pour évaluer le risque d'embolie pulmonaire, Predict Breast Cancer pour évaluer la probabilité de survie à 5, 10 et 15 ans après un cancer du sein, etc.
- Les **systèmes d'aide au diagnostic**, activité hautement cognitive, visent à rechercher la, ou les, pathologies susceptibles d'expliquer un tableau clinique observé, décrit par un ensemble de signes, symptômes, syndromes et antécédents. DXplain est le système historique d'aide au diagnostic, développé aux États-Unis en 1984. L'utilisateur saisit un ensemble de critères permettant de décrire une situation clinique. Les diagnostics évoqués par cette description sont alors affichés, en distinguant les diagnostics communs et les diagnostics rares. Le système suggère à l'utilisateur de documenter des critères additionnels permettant d'affiner la sélection des diagnostics possibles et de s'orienter vers un diagnostic spécifique (démarche hypothético-déductive). L'aide au diagnostic peut également être proposée dans le domaine de l'imagerie avec des approches numériques de l'aide à la décision basées sur la décomposition de l'image en pixels (par exemple, l'analyse d'image en radiologie).
- Les **systèmes d'aide à la prise en charge thérapeutique** : l'objectif est de proposer le meilleur traitement ou plan de soins pour un patient donné, à un moment donné de sa prise en charge, selon l'état de l'art courant. Pour élaborer ce type de SADM, on se réfère aux connaissances médicales sur la prise en charge que l'on souhaite assister. Celles-ci sont synthétisées sous la forme



de recommandations de bonnes pratiques (RBP) dans des guides de bonne pratique (GBP) ou encore des lignes directrices (guidelines). On est bien ici dans le cadre de *l'evidence-based medicine*. Les GBP sont élaborées par la Haute Autorité de Santé (HAS) ou par les sociétés savantes selon une méthodologie établie par la HAS.

- Les **systèmes d'aide à la prescription médicamenteuse** (ou logiciel d'aide à la prescription, LAP) visent à garantir la bonne utilisation des médicaments et à sécuriser l'ordonnance (détection des surdosages, des interactions médicamenteuses, des contre-indications). Les contrôles sont réalisés automatiquement une fois la prescription établie par le médecin, et déclenchent des alertes en cas de détection d'un problème. Il est à noter que les LAP ne fournissent pas d'aide au choix des « bons » médicaments, i.e. ceux qui sont indiqués pour traiter les pathologies du patient. Ainsi, on peut prescrire des antibiotiques à un patient atteint de diabète, le LAP vérifiera le dosage, les interactions médicamenteuses éventuelles et les contre-indications, mais ne signalera pas que la prescription d'antibiotiques n'est pas la prescription recommandée pour traiter le diabète.

## Ressources pour l'aide à la décision

Les ressources documentaires à l'origine des bases de connaissances des systèmes d'aide à la décision logico-symboliques sont habituellement textuelles et exprimées en langage naturel. Il s'agit des manuels de sémiologie pour l'aide au diagnostic, des Résumés des Caractéristiques du Produits (RCP) pour l'aide à la prescription et des guides de bonnes pratiques pour l'aide à la décision thérapeutique. Ces textes doivent d'abord être traduits dans un format computationnel (structuration du contenu et codage dans un formalisme de représentation des connaissances) avant d'être utilisés pour construire les bases de connaissances des SADM. Shiffman (chercheur à Yale, New Haven, Connecticut, États-Unis) a proposé une séquence d'étapes permettant de contrôler la formalisation du contenu des textes : l'atomisation pour identifier les notions d'intérêt, incluant la normalisation des libellés et leur catégorisation en variables de décision (caractérisant la situation clinique) et variables d'action (caractérisant l'action recommandée) ; la désabstraction pour quantifier les notions et les rendre exploitables par un traitement informatisé (par exemple, passer de « fièvre élevée » à « fièvre > 38°C »); la désambiguïsation pour éliminer les ambiguïtés du texte et figer, si nécessaire, l'interprétation, c'est-à-dire, prendre un parti pris (par exemple, passer de « il faudrait éviter les beta-bloquants » à « il faut éviter les beta-bloquants »), et la complétion pour compléter l'ensemble des profils cliniques couverts par les guides de bonnes pratiques.

Pour les systèmes d'aide au diagnostic, les bases de connaissances peuvent être représentées sous la forme de règles de production liant les critères décrivant le tableau clinique et les symptômes aux diagnostics possibles. On pourra citer Aidediag pour les médecins généralistes (payant), et les symptom checkers à destination du grand public qui permettent d'évaluer le niveau d'urgence d'une situation clinique et d'orienter les patients vers le service médical adéquat (pharmacien, médecin généraliste, ou service d'urgences), notamment le symptom-checker de la Mayo Clinic (<https://www.mayoclinic.org/symptom-checker/select-symptom/itt-20009075>) ou Symptomate disponible en français en français (<https://symptomate.com/fr>).

Pour l'aide à la prescription, le travail de formalisation des RCP est réalisé par les éditeurs de base de données médicamenteuses. Le répertoire des médicaments comportant l'extrait, le RCP et la notice patient est publié par l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des produits de santé (ANSM). Les principales bases de données médicamenteuses sont Thériaque , Thésorimed , la base Claude Bernard (BCB), et Vidal. On notera que la base de données publique des médicaments (<https://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/>), mise en ligne par l'ANSM, n'est pas une ressource exploitable par les LAP.

En ce qui concerne l'aide à la décision thérapeutique, les ressources sont les guides de bonnes pratiques diffusés par les agences nationales en charge de la qualité des soins : la Haute Autorité de Santé (HAS) en France, le NICE au Royaume Uni. Le site équivalent aux États-Unis, le National Guideline Clearinghouse, maintenu par l'AHRQ a fermé en 2018 suite à l'arrêt des financements fédéraux.

Les systèmes d'aide à la décision à base de données sont entraînés sur des données massives, d'images annotées en radiologie ou en anatomopathologie (lames virtuelles), ou sur des corpus de textes pour l'aide à la décision nécessitant la mise en œuvre de méthodes de traitement du langage naturel (synthèse d'un dossier patient, recherche d'information, etc.). Outre les entrepôts de données cliniques qui sont en cours de construction dans les établissements de santé, le Health Data Hub (groupement d'intérêt public) regroupe les données des organismes publics (dont celles du Système National des Données de Santé (SNDS)), des informations de l'Assurance Maladie et des hôpitaux français afin de les rendre accessibles pour les travaux de recherche. L'accès et l'analyse de données personnelles de santé sont très encadrés en France. Si les données sont parfaitement anonymes, les porteurs de projet peuvent accéder librement aux données. Si elles ne le sont pas parfaitement, il est nécessaire d'obtenir une autorisation de la CNIL avant la mise en œuvre du projet. L'intérêt public et l'éthique du projet devra être validé par le Comité Éthique et Scientifique pour les Recherches, les Études et les Évaluations dans le domaine de la Santé (CESREES).

---

## Connaître les architectures des systèmes d'information OIC-003-21-B

Version Novembre 2024

### L'interopérabilité des systèmes d'information de santé

Depuis 2005, on sait qu'un des facteurs de l'utilisation effective des SADM (Systèmes d'Aide à la Décision Médicale) est leur intégration dans le workflow des praticiens, le SADM devant être interfacé avec le dossier patient informatisé (DPI) pour s'alimenter des données du patient consignées dans le DPI et produire une aide à la décision visible dans le DPI.

L'interopérabilité est la capacité que possède un système, dont les interfaces sont intégralement connues, à fonctionner avec d'autres systèmes existants ou futurs et ce sans restriction d'accès ou de mise en œuvre. C'est donc la capacité des systèmes d'information à fonctionner ensemble et à échanger des données sans perte.

### Les niveaux d'interopérabilité

On distingue trois niveaux d'interopérabilité qui chacun requiert que les niveaux inférieurs soient satisfaits, l'interopérabilité technique, l'interopérabilité syntaxique, et l'interopérabilité sémantique.

- L'interopérabilité **technique** est la capacité des systèmes à communiquer entre eux à un niveau très bas, sans se préoccuper du type d'information communiquée. On est au niveau matériel de la connectique, des appareils de réseaux, et au niveau logique des couches logicielles gérant le réseau (les protocoles de bas niveau comme TCP/IP, les conventions sur l'adressage internet).

- L'interopérabilité **syntactique** suppose que les systèmes soient capables de reconnaître la structure des informations qu'ils échangent. L'interopérabilité syntaxique repose sur des conventions de codage et de structure des informations échangées.
- Le dernier niveau est l'interopérabilité **sémantique** qui suppose que le sens des informations échangées, est partagé. Pour que des systèmes soient interopérables sur le plan sémantique, l'information doit être non ambiguë et donc codée avec un identifiant unique pour une signification unique donnée. On pourra adjoindre un libellé, et une définition, en langage naturel pour permettre de relier le code à son sens (pour les utilisateurs). Afin de s'entendre sur les codifications utilisées, on a besoin qu'elles soient déclarées dans des référentiels explicites qui vont lister l'ensemble des codes.

Les différents éléments des systèmes d'information en santé, par exemple : le dossier patient informatisé, le système d'archivage en imagerie ou le système de gestion du laboratoire, reposent pour leurs échanges sur tous les niveaux d'interopérabilité.

### Normes et standards d'interopérabilité en santé

Plusieurs normes et standards d'interopérabilité sont utilisés dans le domaine de l'informatique biomédicale, aux niveaux national et international. En ce qui concerne l'interopérabilité technique, rien n'est spécifique à la santé, ce sont les standards d'internet qui sont la référence.

Au niveau de l'interopérabilité syntaxique, HL7 est une organisation internationale qui promeut l'interopérabilité dans le domaine de la santé. Le format CDA R2 (Clinical Document Architecture) définit les différents composant structurés de documents cliniques afin qu'ils puissent être échangés, par exemple, l'auteur du document, les destinataires, la date, le patient concerné. Dans le niveau 1 du CDA R2, le contenu des composants structurés n'est pas contrôlé et peut être du texte libre. La structuration est plus fine avec le niveau 3. En France, l'ANS (Agence du numérique en santé) fournit le cadre d'interopérabilité des systèmes d'information de santé qui s'appuie sur le CDA. FHIR est une évolution du CDA, proposée par HL7, qui vise à fournir des packages comprenant à la fois des modèles de documents inspirés du CDA et des outils logiciels pour les manipuler.

Dans le cas de l'échange d'images médicales, la norme utilisée est DICOM.

Pour l'interopérabilité sémantique, il existe de nombreux **référentiels ou terminologies de référence**, parmi lesquels on peut citer :

- La CIM-10, Classification Statistique Internationale des Maladies et des Problèmes de Santé Connexes version 10, est élaborée par l'OMS. Cette classification est utilisée en France dans le cadre du PMSI pour coder les séjours hospitaliers.
- La CISP-2, Classification Internationale des Soins Primaires, promue par la WONCA, association internationale des médecins généralistes, est destinée à la médecine de ville.
- La SNOMED CT, Systematic Nomenclature Medical Clinical Terms, se veut être une conceptualisation de toute la médecine.
- LOINC, Logical Observation Identifiers Names and Codes, permet de caractériser les demandes et résultats d'examen, par exemple ceux de biologie.
- La CCAM, Classification Commune des Actes Médicaux, française, est destinée à coder les actes pratiqués par les médecins et permet d'établir la tarification des actes réalisés.

Enfin on mentionnera HeTOP, pour Health Terminology / Ontology Portal, le portail terminologique de santé réalisé par l'équipe CISMEF du CHU de Rouen. Ce n'est pas un référentiel terminologique, mais plutôt un serveur multi-terminologies permettant d'accéder à de nombreux référentiels. Il permet pour un terme donné de retrouver l'ensemble des codes associés dans de nombreux référentiels terminologiques, grâce à l'alignement de ces référentiels. Ainsi, quand on cherche sur le portail HeTOP le terme français « cancer du sein », on retrouve son équivalent ou les termes associés dans différents référentiels. On y voit que le terme préféré dans la nomenclature MeSH est « tumeur du sein », que son équivalent anglais est « breast neoplasm », que le code CIM-10 est « C50 – tumeur maligne du sein », parmi les codes d'autres nomenclatures faisant référence à cancer du sein.

Si les deux premiers niveaux d'interopérabilité, technique et syntaxique, sont a priori complètement masqués à l'utilisateur, le codage sémantique de l'information médicale est du ressort du professionnel de santé à l'origine de la donnée. Néanmoins, il n'est pas besoin de connaître toutes les terminologies de référence et leurs codes car les applications permettent généralement d'utiliser des terminologies d'interface, ensemble de termes utilisés couramment dans une pratique de spécialité, pour lesquelles l'alignement avec les terminologies de référence est réalisé au niveau de l'application. La qualité des données codées est d'une importance capitale, car toute déviation dans le codage conduit à construire une représentation formalisée du patient qui sera erronée. Ceci aura potentiellement un impact majeur sur tous les traitements algorithmiques qui seront faits, comme par exemple fournir une recommandation de prise en charge correcte du point de vue du codage, mais inadaptée au patient réel.

## Connaître la définition et les caractéristiques principales d'une controverse OIC-003-22-B

- Controverse = désaccord public sur des savoirs (leur véracité, stabilité ou applicabilité)
- État « normal » de la recherche, par contraste avec l'état des savoirs stabilisés
- Régularité de la controverse dans les sociétés médiatiques
- *Fake news* à travers l'histoire, les combats d'autorité
- Connaître les modalités de la controverse :

o Publication et contre publication

o Débat et contestation

o Diverses « arènes » des controverses (revues, congrès, plateaux médiatiques, tribunaux, parlements)

o Acteurs variables, mais relativement stables sur le plan sociologique (chercheurs en médecine, praticiens, patients, industriels, administrations)

---

## Connaître les particularités de la controverse en santé OIC-003-23-B

- Maladie et responsabilité partagée pour le corps du patient
- Enjeux méthodologiques, économiques, politiques
- Exemples de controverses scientifiques et médicales centraux pour la consultation : vaccins (concept d'hésitation vaccinale), médicaments, risques environnementaux, alimentation

La responsabilité d'un professionnel de santé ou d'un établissement de santé peut être recherchée à deux fins : soit la sanction du professionnel ou de l'établissement, soit l'indemnisation de l'utilisateur victime des conséquences d'un événement indésirable associé aux soins. La sanction peut être de nature pénale ou disciplinaire. L'indemnisation incombe au responsable (exercice libéral) ou à son employeur s'il est salarié (public ou privé). Elle peut également être obtenue via la procédure amiable devant les commissions de conciliation et d'indemnisation. L'indemnisation des victimes est assurée par l'obligation de souscription pour les médecins et les établissements de santé (public ou privé) d'une assurance de responsabilité civile professionnelle. En plus d'assurer l'indemnisation des victimes, cette assurance permet de couvrir les médecins salariés lorsque la faute est détachable du service ou lorsque la mission qui leur a été confiée est outrepassée.