



Essais contrôlés randomisés et études d'observation

Les études médicales sont utilisées pour déterminer si une exposition ou une intervention **entraîne** un certain résultat¹.

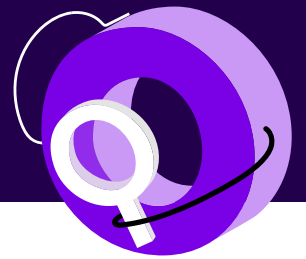
Une meilleure **compréhension de la causalité** aide à appuyer la prise de décision^{1,2}.

Les **essais contrôlés randomisés** et les **études d'observation** peuvent être utilisés pour générer des preuves médicales².

Les essais cliniques contrôlés randomisés bien conçus sont considérés comme la « **norme de référence** » pour les preuves médicales¹.



Les études d'observation sont une source pour les **données probantes concrètes (real-world evidence, RWE)**, et fournissent des preuves obtenues dans des situations **qui ne sont pas** des environnements cliniques soigneusement contrôlés³.



Facteurs de confusion⁴

Les études d'observation peuvent avoir des **facteurs de confusion**.

Les facteurs de confusion sont des facteurs associés au résultat d'intérêt et aux autres facteurs étudiés.

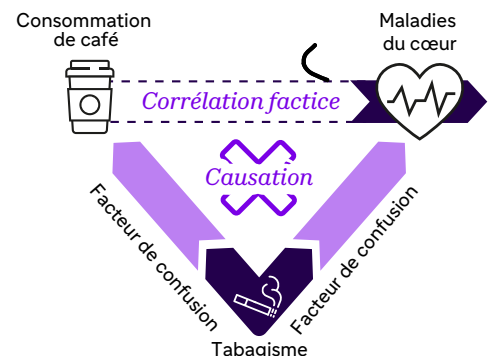


Peut mener à des groupes **non comparables** et à des **conclusions incorrectes**.



Un essai **bien conçu** peut aider à réduire les facteurs de confusion.

Exemple d'un facteur de confusion



Un essai contrôlé randomisé bien conçu aide à équilibrer les facteurs de confusion^{4,4}.



Participants inscrits à l'essai

D'après Brody (2016)⁵.



+



Groupe de traitement recevant le traitement à l'essai



+



Groupe de contrôle recevant les soins réguliers ou le placebo

Analyse des effets du traitement

La randomisation peut fournir une répartition similaire des facteurs de confusion entre les groupes⁴.

Les groupes doivent être comparables, sauf en matière de traitement¹.

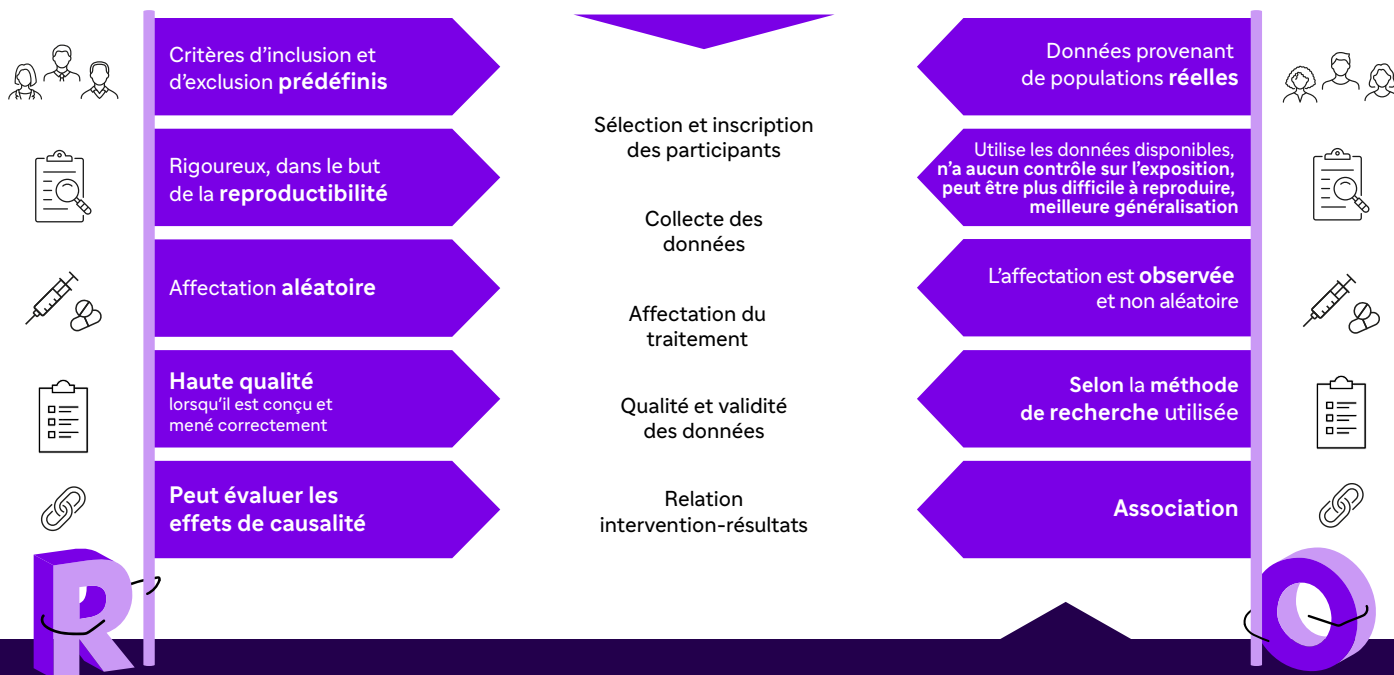
Une relation entre le traitement et les résultats peut souvent être déterminée⁴.

Références : 1. Friedman LM, Furberg CD, DeMets DL, Reboussin CBG. Fundamentals of clinical trials. 5^e éd. Switzerland: Springer; 2015. 2. International Council for Harmonization of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use. Generation considerations for clinical studies (RI). Disponible à l'adresse : https://database.ich.org/sites/default/files/E8-RI_Guideline_Step4_2021_1006.pdf. Consulté le 6 décembre 2022. 3. Faries D, Zhang X, Kadziola Z, Siebert U, Kuehne F, Obenchain RL, Haro JM. Real world health care data analysis: causal methods and implementation using SAS[®]. Cary, NC: SAS Institute Inc.; 2020. 4. Hackshaw AK. A concise guide to observational studies in healthcare. London: Wiley; 2016. 5. Brody T. Clinical trials: study design, endpoints and biomarkers, drug safety and FDA and ICH guidelines. 2^e éd. London: Academic Press; 2016.

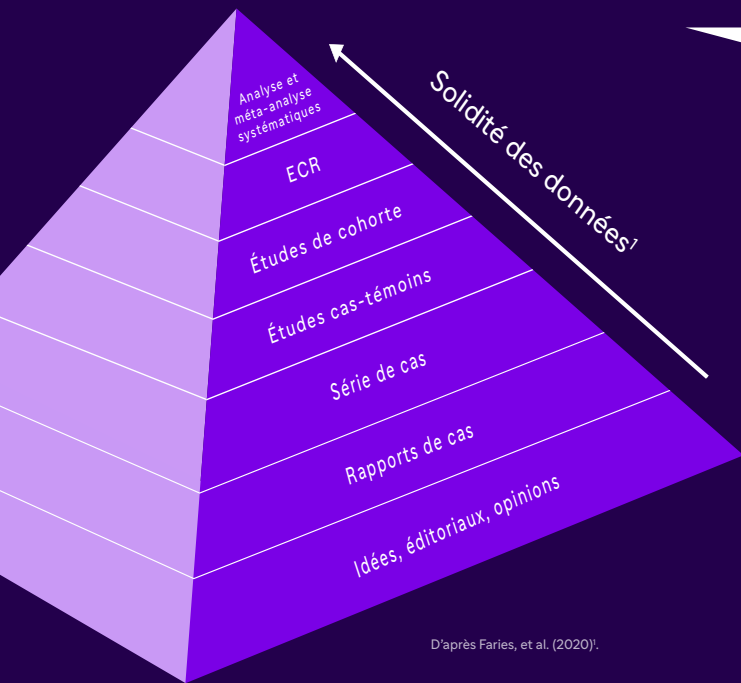


Essais contrôlés randomisés et études d'observation

Caractéristiques des ECR et des études d'observation¹⁻³



Résumé



D'après Faries, et al. (2020)¹.

Les ECR sont considérés comme la **norme de référence** pour la recherche clinique et peuvent être utilisés pour évaluer l'efficacité d'une intervention².

Les études d'observation **s'ajoutent aux données probantes** des ECR – fournissant des données supplémentaires provenant d'une **vaste population de patients** ou de sous-groupes de patients généralement exclus des ECR ou non représentés dans ceux-ci¹.



1. Faries D, Zhang X, Kadziola Z, Siebert U, Kuehne F, Obenchain RL, Haro JM. Real world health care data analysis: causal methods and implementation using SAS®. Cary, NC: SAS Institute Inc.; 2020. 2. Friedman LM, Furberg CD, DeMets DL, Reboussin CBG. Fundamentals of clinical trials. 5^e éd. Switzerland: Springer; 2015. 3. Hackshaw AK. A concise guide to observational studies in healthcare. London: Wiley; 2015.

