Essais contrôlés randomisés et *études* d'observation

Les études médicales sont utilisées pour déterminer si une exposition ou une intervention **entraîne** un certain résultat[1].

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 médicales[2].

Les essais cliniques contrôlés randomisés bien conçus sont considérés comme **la « norme de référence »** pour les preuves médicales[1].

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 contrôlés[3].

Facteurs de confusion[4]

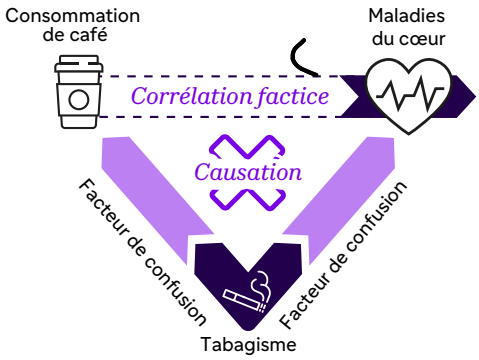
Les études d'observation peuvent avoir des *facteurs de confusion*.

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[1,4].



D'après Brody (2016)[5].

La randomisation peut fournir une **répartition similaire des facteurs de confusion** entre les groupes[4].

Les groupes doivent être **comparables**, sauf en matière de traitement[1].

Une **relation entre le traitement et les résultats** peut souvent être déterminée[4].

Références :
1. Friedman LM, Furberg CD, DeMets DL, Reboussin CBG. Fundamentals of clinical trials. 5e éd. Switzerland: Springer; 2015. **2.** International Council for Harmonization of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use. Generation considerations for clinical studies (R1). Disponible à l'adresse : https://database.ich.org/sites/default/files/E8-R1_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; 2015. **5.** Brody T. Clinical trials: study design, endpoints and biomarkers, drug safety and FDA and ICH guidelines. 2e éd. London: Academic Press; 2016.

MAT-CA-2401130 v1.0 10/2024

N'utilisez pas ce document apres le 30 septembre 2025, car certaines informations pourraient ne plus etre e jour.

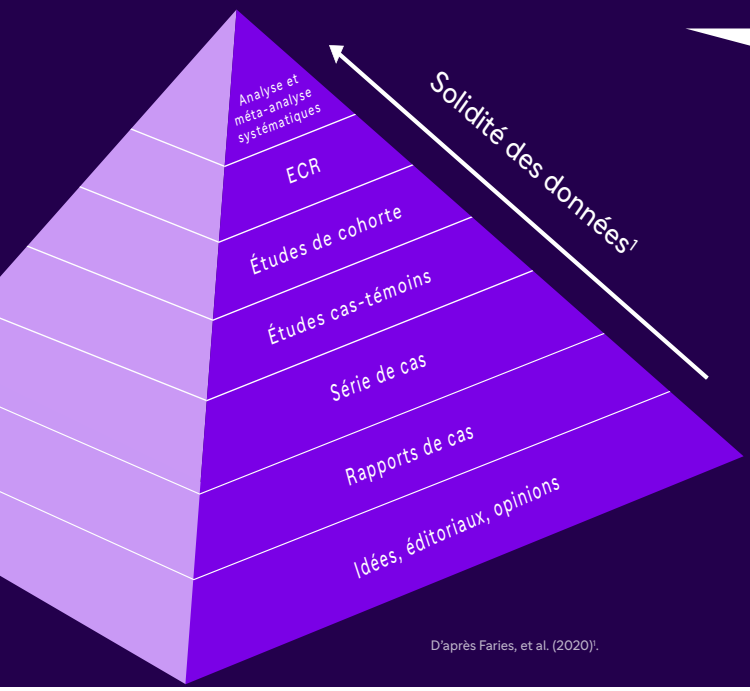
sanofi

Essais contrôlés randomisés et *études* d'observation

Caractéristiques des ECR et des études d'observation[1-3]

ECR		Études d'observation
Critères d'inclusion et d'exclusion **prédéfinis**	Sélection et inscription des participants	Données provenant de populations **réelles**
Rigoureux, dans le but de la **reproductibilité**	Collecte des données	Utilise les données disponibles, **n'a aucun contrôle sur l'exposition, peut être plus difficile à reproduire, meilleure généralisation**
Affectation **aléatoire**	Affectation du traitement	L'affectation est **observée** et non aléatoire
Haute qualité lorsqu'il est conçu et mené correctement	Qualité et validité des données	**Selon** la **méthode de recherche** utilisée
Peut évaluer les effets de causalité	Relation intervention-résultats	**Association**

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 intervention[2].

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-ci[1].

Références :
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. 5e éd. Switzerland: Springer; 2015. **3.** Hackshaw AK. A concise guide to observational studies in healthcare. London: Wiley; 2015.

MAT-CA-2401130 v1.0 10/2024

N'utilisez pas ce document apres le 30 septembre 2025, car certaines informations pourraient ne plus etre e jour.

sanofi