# Faire la preuve d’efficacité d’un traitement en médecine : une évolution constante et nécessaire

Stéphane Auvin1

## 1 Université Paris Cité – Hôpital universitaire Robert Debré

### Résumé

Les connaissances médicales possèdent une longue histoire, qui débute avec la tradition hippocratique, passée du bassin hellénique aux pays arabes avant de revenir en Europe au moyen-âge, livrant une pharmacopée hétéroclite. Après la naissance de la médecine moderne, une démarche scientifique s’est peu à peu esquissée. Les méthodes pour évaluer l’efficacité et l’innocuité des médicaments ont évolué formidablement au cours des dernières décennies. Initialement, l’évaluation des traitements se faisait majoritairement sur la base d’observations subjectives et notamment d’études de cas. Les avis d’experts étaient alors primordiaux. L’essor de la médecine fondée sur les preuves a permis de passer de l’expérience clinique et de l’intuition aux preuves scientifiques. Cette évolution semble avoir culminé avec l’utilisation d’essais contrôlés et randomisés. Parfois décriée, souvent mal interprétée, cette méthode pour produire la preuve a des avantages et des inconvénients. La recherche clinique sur les médicaments ne doit pas se fonder uniquement sur les essais randomisés, qui ne répondent plus aux nouveaux défis des médicaments développés de façon personnalisée. L’utilisation de placebo au cours d’essais randomisés pose parfois des questions éthiques et est à l’origine de réticences légitimes des patients à participer à la recherche.

Dans ce contexte, de nouvelles méthodes d’évaluation objectives des médicaments émergent. Il s’agit entre autres de l’utilisation de données en vie réelle, utilisant parfois des analyses de big data, de la modélisation de groupes contrôle basés sur l’histoire naturelle de la maladie ou encore de méthodes d’analyses de petits effectifs basées sur un objectif individuel plutôt que le résultat du groupe. L’évaluation des traitements en médecine est en pleine évolution, répondant aux enjeux de médecine personnalisée et notamment des thérapies géniques pour les maladies rares. La présentation expliquera les facteurs–clés qui ont conduit aux innovations méthodologiques, que ce soit sur le plan éthique, méthodologique ou pratique de la conduite des essais cliniques

#### **Mots-clés** : médicaments ; essais cliniques ; essai randomisé ; *big data* ; médecine personnalisée