

CINQ RECOMMANDATIONS POUR REMÉDIER AUX LIMITES DES MESURES DE RÉSULTATS RAPPORTÉS PAR LES PATIENTS (PROMs)

Cook C, Wright A, Wittsein J, Barbero M, Tousignant-Laflamme Y. Five recommendations to address the limitations of patient-reported outcome measures.

J Orthop Sports Phys Ther. 2021;51(12):562-565

doi:10.2519/jospt.2021.10836

L'ensemble des références bibliographiques sont disponibles dans le texte original sur le site du JOSPT : <http://www.jospt.org/doi/10.2519/jospt.2021.10836>

Traduction: Caroline Sacchiero Vicaigne, Claire Coulondre, Pierre-Yves Froideval.

RÉSUMÉ : Les mesures de résultats rapportées par le patient (PROMs) le sont par ce dernier et sont conçues pour saisir le point de vue unique des patients sur leurs symptômes, leur qualité de vie, leur état fonctionnel, leur handicap et leur état de santé général.

Malgré leur rôle important dans le paysage des soins, il convient de reconnaître que les PROMs présentent de nombreuses limites. Elles concernent notamment des faiblesses dans le développement d'outils et l'interprétation des valeurs d'échelle, qui peuvent conduire à des déclarations variables de la part des patients et influencer les résultats des études.

Cet article « point de vue » émet des recommandations sur la manière d'interpréter et d'utiliser au mieux les PROMs en dépit de leurs défauts.

MOTS CLÉS : validité de contenu, interprétabilité, mesures des résultats

Les mesures des résultats rapportés par les patients (Patient Reported Outcome Measures PROMs) sont exprimées par ces derniers, et sont conçues pour représenter les perceptions personnelles donc uniques qu'ont les patients de leurs symptômes (par exemple la douleur physique et la détresse psychologique) et les interprétations de leur propre état de santé (par exemple la qualité de vie et le handicap). Outre la performance physique, le rapport coût-efficacité, et les mesures de processus (c'est-à-dire la durée du séjour, le nombre de visites médicales, l'utilisation des médicaments, le retour au travail), la collecte systématique des PROMs est préconisée par un certain nombre de groupes (Initiative on Methods, Measurement, and Pain Assessment in Clinical Trials [IMMPACT], Outcome Measures in Rheumatoid Arthritis Clinical Trials [OMERACT], et le Consensus-based Standards for the selection of health Measurement Instruments [COSMIN]). Les résultats rapportés par les patients jouent un rôle essentiel dans la compréhension de l'efficacité des interventions de santé et devraient être utilisés plus largement dans la pratique clinique.

Malgré leur place primordiale, les PROMs ont des limites qui influencent la cotation, l'évaluation et l'interprétation des mesures. Dans cet article « point de vue », nous alertons les lecteurs sur cinq limites des PROMs dans deux domaines principaux : (1) le développement des échelles et (2) l'interprétation des échelles (INFOGRAPHIE). Nous soulignons les principales limites et nous formulons cinq recommandations correspondantes sur la façon dont les cliniciens peuvent concilier ou s'adapter aux limites des PROMs. Reconnaître ces limites peut améliorer la capacité des chercheurs et des cliniciens à comprendre les interprétations de leurs patients de leur état de santé actuel ou de son évolution et comment favoriser au mieux l'auto-gestion de leur état de santé.

Limites dans la façon dont les PROMs ont été développées :

Le développement des PROMs implique une série de processus exhaustifs dédiés pour s'assurer que la mesure est fiable, valide, réactive et interprétable. Les progrès notables de ces dernières années ont permis de créer de nouveaux instruments plus performants. Un

certain nombre d'anciennes échelles (PROMs qui sont couramment utilisées dans la pratique clinique et qui existent depuis des décennies) n'ont pas inclus tous ces processus exhaustifs.

Problème 1 :

Bon nombre de mesures héritées du passé et empiriques manquent de validité. Par définition, toutes les PROMs sont des mesures indirectes : une alternative à un concept physiquement non mesurable comme la dépression, la fatigue, la détresse ou l'état fonctionnel. La validité de contenu évalue la pertinence des différents items d'un instrument d'évaluation, qui doit être représentatif de l'objectif ciblé et pour lequel il a été conçu. Si une PROM possède une validité de contenu adéquate, elle couvre de manière exhaustive l'ensemble des problèmes de santé rencontrés par les patients et pertinents pour le concept recherché. Bien qu'elle soit considérée comme la mesure standard la plus importante, la validité de contenu constitue l'un des paramètres le plus souvent manquant dans un certain nombre de PROMs sur les systèmes de pathologies et les régions du corps.

Recommandations:

Vérifier soigneusement les méthodes de validation appliquées et éviter la généralisation à d'autres contextes empiriques ou échantillons. Pour ce faire, le clinicien doit évaluer la littérature et examiner les premières étapes du développement de l'échelle. Une meilleure compréhension de la façon dont la validité de contenu des PROMs est vérifiée améliorera sa capacité à juger de la pertinence d'une échelle. La mise en œuvre du système de mesure des résultats rapportés par les patients (PROMIS), dont le contenu a été soigneusement évalué, est une option pour les cliniciens qui n'ont pas le temps ni les ressources nécessaires pour accéder à la littérature.

Problème 2 :

Les patients ont été peu impliqués dans la création des PROMs. La validité apparente est la mesure la plus subjective de la validité de l'échelle et se réfère à l'impression générale de savoir si un questionnaire mesure ou non ce qu'il est censé mesurer, tel que perçu par les participants à l'étude. Pendant l'étape de la validité apparente du développement de l'échelle, la plupart des PROMs étaient basées sur les jugements des chercheurs et des professionnels de santé, avec un apport limité des utilisateurs finaux comme les patients. Par conséquent, de nombreuses PROMs standardisées peuvent ne pas refléter pleinement l'expérience du patient et peuvent sous-estimer les résultats significatifs ou utiles d'une intervention chirurgicale ou d'une rééducation. Les patients peuvent penser que les items d'une échelle ne reflètent pas leur expérience de la maladie.

Recommandations

Reconnaître que le score PROM reflète l'expérience personnelle. L'interprétation du patient d'un concept (l'objectif sous-jacent d'une mesure de résultats) est unique, ce qui suggère que les patients interpréteront une question spécifique sur une PROM de différentes manières. Envisager l'utilisation de l'échelle fonctionnelle spécifique, qui

demande aux patients d'identifier jusqu'à cinq limitations fonctionnelles spécifiques à leur problème de santé. D'autres options peuvent inclure les tests adaptatifs informatisés, qui sont conçus pour adapter individuellement une échelle à un patient. Le test adaptatif informatisé est un test géré par ordinateur dans lequel l'item ou la série d'items sont sélectionnés selon les réponses précédemment données par la personne qui passe le test à nouveau. Lorsque le coût des tests adaptatifs informatisés n'est pas prohibitif pour une clinique, un cabinet ou des professionnels, ils peuvent répondre à de nombreuses limites des tests traditionnels.

Problème 3 :

De nombreuses mesures classiques sont soumises à des biais de réponses extrêmes. Le biais de réponse extrême implique la tendance d'un répondant à sélectionner les options de Likert les plus élevées et les plus basses dans les échelles d'évaluation (ndt: l'échelle de Likert est un outil psychométrique permettant de mesurer une attitude chez des individus grâce à plusieurs affirmations pour lesquelles la personne interrogée exprime son degré d'accord ou de désaccord), sans tenir compte de la pertinence du paramètre pour la personne qui répond à l'item. Les biais de réponse extrêmes constituent souvent une tentative des patients de souligner l'importance de leur état actuel vis-à-vis de leur soignant. Les biais de réponse tels que le biais de responsabilité sociale et le biais de courtoisie impliquent une tentative des patients "d'aider" le clinicien en rapportant un meilleur état de santé sur les PROMs que leur état réel. Ces biais sont particulièrement gênants dans les cas où la méthode de récolte des résultats influence la réponse du patient (par exemple, le clinicien est présent pendant que le patient remplit les questionnaires). On entend par réponse extrême les réponses les plus extrêmes sur l'échelle d'un questionnaire.

Recommandations

Envisager d'utiliser un ensemble de résultats et d'intégrer une routine d'examen des réponses de patients pour chaque échelle. Nous suggérons que chaque mesure de résultats soit évaluée pour les réponses extrêmes. Lorsque des réponses extrêmes sont identifiées, le clinicien doit interroger le patient de manière plus approfondie sur la ou les réponses choisies. Standardiser la collecte des données afin de minimiser l'interaction du clinicien pendant le remplissage des PROMs peut réduire la tendance du patient à émettre des réponses extrêmes. Enfin, comprendre que les réponses extrêmes sont plus susceptibles d'être gênantes au début et tout au long du suivi, peut aider à réduire les réactions exagérées des cliniciens.

Limites de l'interprétation des PROMS

Le groupe COSMIN définit l'interprétabilité comme le degré auquel on peut attribuer une signification qualitative aux scores quantitatifs d'une PROM ou à la variation des scores. Pour les PROMs, fournir une valeur significative dans l'échelle est essentiel pour comprendre son implication dans la pratique clinique.

Problème 4 :

La plupart des valeurs publiées pour interpréter les PROMs sont basées sur des scores de groupe. Les PROMs ont été conçues pour saisir un concept spécifique dans des groupes de patients (principalement pour la recherche), en utilisant des méthodologies également basées sur des groupes (test classique et théorie de la réponse à l'item). Les méthodologies basées sur les groupes peuvent surestimer ou sous-estimer les effets positifs du traitement (et l'état de santé du patient). Une différence minimale cliniquement importante (Minimal Clinically Important Difference-MCID) est un standard courant :

Mesures des résultats rapportés par les patients

5 limitations et solutions importantes dont vous devez être conscients

01

Les PROMS manquent de validité de contenu

Des preuves de faible qualité étayent la validité du contenu de nombreuses PROMS et peuvent ne pas refléter véritablement l'expérience du patient.

03

Les PROMS sont vulnérables aux biais de réponse

Les biais de réponse extrêmes (sélection des options les plus élevées/les plus basses de l'échelle de Likert) et les autres biais de réponse (biais de courtoisie) peuvent entraîner des problèmes d'interprétation.

05

Les PROMS sont influencées par des facteurs externes

Les caractéristiques personnelles et environnementales (douleur/travail) peuvent induire une variabilité importante, influençant la réactivité et l'interprétation.

02

De nombreuses PROMS ont été créées avec une faible implication des utilisateurs finaux (patients)

Par conséquent, de nombreuses PROMS peuvent ne pas rendre pleinement compte de l'expérience du patient et sous-estimer des résultats significatifs.

04

Les PROMS ont des problèmes d'interprétation

L'interprétabilité des changements dans le score PROMS, en particulier la MCID, est problématique pour conclure au niveau individuel. Les scores des mesures individuelles sont uniques au patient.

Infographie originale parue dans le JOSPT Décembre 2021. Traduction française: Caroline Sacchiero Vicaigne

INFOGRAPHIE. Limites des mesures de résultats rapportés par les patients. Abréviations : MCID, différence minimale cliniquement importante ; PROM, mesure de résultats rapportés par les patients

c'est la quantité minimale de changement qui est importante pour le patient et qui est au-delà de l'erreur de mesure. Il existe un large éventail de méthodologie pour calculer les scores MCID, dont la plupart des stratégies sont basées sur des populations qui sont parfois dérivées de moyennes de groupe. Cette multitude de méthodologies peut donner lieu à des MCID différents pour une même PROM.



Recommandations

Ne pas oublier que les résultats individuels sont uniques au patient. Essayer de limiter les comparaisons aux moyennes du groupe ou à d'autres patients similaires au risque qu'elles soient inappropriées. Nous recommandons vivement que les scores MCID de groupe ne soient pas utilisés pour déterminer si les patients de façon individuelle dépassent un seuil "significatif". Nous recommandons aussi fortement qu'une compensation ne soit pas déterminée selon qu'un patient dépasse ou non une MCID. En outre, nous recommandons que les cliniciens évaluent et interprètent l'ampleur des effets du traitement pour chaque patient, car les méthodes de seuils actuelles ne sont pas optimales.

Problème 5 :

Les scores des PROMs sont fortement influencés par des facteurs tels que la douleur, la détresse psychologique et les facteurs sociaux ; mais aussi par l'état fonctionnel de base, l'âge, le sexe, les antécédents d'exercice, les facteurs de comorbidité, le niveau socio-économique, le statut professionnel et le niveau de chronicité. Des facteurs tels que les caractéristiques sociales, le fonctionnement cognitif et les traits de personnalité peuvent influencer de façon marquée les PROMs, quelle que soit l'intervention réalisée. Les mesures d'auto-évaluation qui sont fortement conditionnées par la douleur, telles que l'Osteoarthritis Index des universités de Western Ontario et McMaster ou l'indice d'invalidité d'Oswestry, peuvent être en décalage entre ce que les gens indiquent qu'ils pensent pouvoir faire et ce qu'ils peuvent réellement faire. Dans certains cas, les patients déclarent que leur état s'est amélioré (parce que la douleur a diminué) même si leur état fonctionnel s'est dégradé. Tous ces facteurs conduisent à confondre l'état de santé général interprété d'une personne et son score sur une PROM, qui, à son tour, influence la réactivité et l'interprétabilité du résultat final.

Recommandations

Garder à l'esprit que les résultats de recherche et les scores PROMs des patients peuvent varier en fonction de la population et que différentes études publiées peuvent inclure des personnes présentant des caractéristiques sociales et psychologiques marquées. Nous recommandons aux décideurs de comparer les résultats d'un clinicien à l'autre, ou d'une étude à l'autre avec prudence. Faire preuve de prudence en associant la performance exclusivement à des mesures de résultats, car elles peuvent ne pas refléter la pertinence des soins fournis par le clinicien. Évaluer soigneusement si les cliniciens ont suivi des lignes directrices fondées. Au cours de leur prise en charge il est plus pertinent de déterminer l'utilité des soins fournis que d'examiner aveuglément les résultats isolés de leur contexte.

Résumé :

Les PROMs contribuent à améliorer la compréhension des cliniciens et des chercheurs de l'état de santé d'un patient et peuvent donner une perspective sur l'efficacité des traitements dans la recherche. Les PROMs sont largement recommandées pour la pratique clinique et la recherche, mais elles présentent d'importantes limites qui peuvent interférer sur la façon dont les résultats sont interprétés. Bien que celles-ci ne suggèrent pas une non-utilisation de ces outils, elles peuvent générer des différences dans les résultats des études, pouvant influencer les résultats quant à l'efficacité du traitement mesuré. Comprendre les limites des PROMs peut aider les cliniciens à atteindre leur objectif ultime : améliorer la qualité des soins dispensés aux patients.

Points Clés :

- Les PROMs ont un certain nombre de limites, mais elles restent une composante essentielle de l'évaluation de l'état de santé d'un patient. La compréhension de ces limites devrait permettre l'interprétation nuancée par les cliniciens et les chercheurs de l'état de santé du patient.
- Un certain nombre de PROMs (outils utilisés depuis des décennies) manquent de validité de contenu et ont été créés sans l'avis des patients. Par conséquent, les patients peuvent penser que la PROM ne reflète pas les problèmes liés à leur état de santé.

- Bien qu'elles soient utilisées pour l'évaluation individuelle d'un patient, la plupart des PROMs ont été créées sur la base de mesures de groupe.
- Les variables extérieures peuvent influencer les PROMs, les administrateurs doivent faire preuve de prudence lorsqu'ils comparent les résultats d'un clinicien à un autre, d'un patient à un autre et d'une clinique à une autre.