

A. DUPUY (1), J.-C. GUILLAUME (2)

Certains notions utiles à l'interprétation du risque relatif ont été précédemment présentées (cf. fiche « Risque relatif et odds-ratio »), de même que le cadre général d'interprétation du résultat d'un essai (cf. fiche « Deux types d'erreur »).

Plutôt que de donner les résultats en valeur absolue (pourcentage de guérison par exemple), la conclusion d'un essai thérapeutique comparant un médicament et un placebo ou deux médicaments peut se résumer à une information minimum : le risque relatif (RR), assorti de son intervalle de confiance (IC).

L'intervalle de confiance d'une mesure (par exemple, le risque relatif) donne la « marge d'incertitude » autour de cette mesure. Traditionnellement on présente un intervalle de confiance « à 95 p. 100 ». Cela signifie qu'il y a 95 p. 100 de chances que la « vraie » valeur se trouve entre les bornes de cet intervalle.

Les informations fournies par le risque relatif assorti de son intervalle de confiance sont nombreuses, notamment :

- 1) La valeur du risque relatif permet d'évaluer l'importance de l'effet thérapeutique
- 2) Si l'intervalle de confiance contient la valeur 1, le résultat de l'essai est « négatif », ce qui veut dire que la valeur de « p » est supérieure à 5 p. 100. En effet, parmi les valeurs compatibles « à 95 p. 100 » avec les résultats de l'essai, figure la valeur 1. Cette valeur 1 signifie que les deux traitements sont équivalents. Cette valeur 1 étant dans l'intervalle de confiance, on ne peut

rien conclure, les traitements sont peut-être équivalents ou il existe une différence en faveur de l'un ou de l'autre des traitements.

3) *A contrario*, lorsque la borne (inférieure ou supérieure, selon les situations) est éloignée de la valeur 1, le résultat de l'essai est « positif » et le « p » est inférieur à 5 p. 100. Le « p » est d'autant plus significatif que la borne est éloignée de la valeur 1.

4) La largeur de l'intervalle de confiance représente la « précision » de l'estimation du risque relatif. Dans une étude de forte puissance, l'intervalle de confiance est étroit, dans une étude de faible puissance (en pratique, une étude où le nombre de malades est faible) l'intervalle de confiance est large.

Soit 4 essais dont les risques relatifs représentent le « risque » relatif de guérison dans le groupe traité par rapport au groupe placebo, accompagné de son intervalle de confiance à 95 p. 100.

Essai n° 1 : RR = 2 ; IC 95 % [1,50-2,67].

Essai n° 2 : RR = 1 ; IC 95 % [0,40-2,50].

Essai n° 3 : RR = 1 ; IC 95 % [0,80-1,25].

Essai n° 4 : RR = 2,1 ; IC 95 % [0,90-4,90].

Commentaires

ESSAI N° 1

Le RR est élevé (deux fois plus de guérisons dans le groupe traité que dans le groupe placebo), avec un « p » très significatif puisque la borne inférieure de l'IC (1,5) est très éloignée de 1. La borne inférieure à 1,5 signifie que le risque relatif peut être au minimum estimé (avec un risque d'erreur de 5 p. 100) à 1,5 (ce qui équivaut à 50 p. 100 de malades guéris en plus dans le

groupe traité que dans le groupe placebo).

ESSAI N° 2

Il s'agit d'un essai négatif, le risque relatif est égal à 1, c'est-à-dire qu'il n'y a aucune différence statistiquement significative entre les deux groupes. Cependant, au vu de l'IC, ces résultats restent compatibles avec un effet important du traitement (jusqu'à 2,5), tout comme avec un effet délétère du traitement (RR = 0,4). Le risque d'erreur de type 2 (c'est-à-dire le risque de conclure que le traitement est inefficace, alors qu'« en réalité » il aurait une certaine efficacité) est ici très élevé. En pratique, aucune conclusion n'est possible.

ESSAI N° 3

Essai négatif, mais avec une estimation relativement précise (IC étroit). Le risque d'erreur de type 2 est beaucoup plus faible que précédemment, et on est peu enclin à croire à l'efficacité du traitement. En pratique il ne paraît pas raisonnable d'envisager un essai plus puissant comportant un grand nombre de malades.

ESSAI N° 4

Ce résultat suggère que le traitement a un effet important (le RR est très élevé), mais l'essai est négatif (l'intervalle de confiance contient la valeur 1). Un tel résultat incite à refaire l'étude avec de meilleures conditions de puissance (en pratique, avec plus de malades).

Cette façon très performante d'exprimer les résultats est de plus en plus utilisée, elle permet en particulier de comparer plus aisément les résultats de 2 essais thérapeutiques de même type et de présenter facilement sur une même figure les résultats de plusieurs essais comparatifs en particulier lors d'une méta-analyse.

(1) Service de Dermatologie, Hôpital Saint-Louis, 75475 Paris Cedex 10

(2) Service de Dermatologie, Hôpital Pasteur, 39, avenue de la Liberté, 68770 Colmar Cedex.

Tirés à part : J.-C. GUILLAUME, à l'adresse ci-dessus.