

# Justification d'une Etude ou d'une Recherche

Pr Roch Giorgi

 [roch.giorgi@univ-amu.fr](mailto:roch.giorgi@univ-amu.fr)

# Exemple : Semmelweiss (1)

- Constatations à l'Hôpital Général de Vienne, 1846
  - ✓ Témoignages de femmes indiquant qu'elles redoutent d'accoucher dans S<sup>ce</sup> de Klin
  - ✓ Mortalité plus forte dans le S<sup>ce</sup> de Klin (étudiants en médecine) que dans S<sup>ce</sup> du Pr Bartch (sages-femmes)
  - ✓ Avant 1840, létalité faible et similaire entre les 2 services, et pas d'étudiants en médecine
  - ✓ Mortalité faible chez les femmes qui accouchent dans la rue puis qui vont dans le S<sup>ce</sup> de Klin
  - ✓ Les étudiants vont de la salle de dissection à la salle d'accouchement sans précautions particulières (absence de lavage des mains)
  - ✓ Les commissions chargées d'évaluer les causes de ces décès nombreux et inexplicables ne proposaient pas de solution

Quel est le problème ?

# Exemple : Semmelweiss (2)

---

- Problème
  - ✓ Observation d'une mortalité forte dans les suites de couche lorsque les femmes sont examinées par des étudiants en contact avec du matériel cadavérique et ne se lavant pas les mains
- Faut-il le résoudre ?
  - ✓ Oui, phénomène sans réponses à partir des connaissances à ce jour
- Comment le résoudre ?
  - ✓ Mise en place d'une étude scientifique

# Exemple : Semmelweiss (3)

---

- Justification de la mise en place d'une étude
  - ✓ Mortalité des femmes en couches
    - Problème grave et fréquent
    - Conséquences importantes pour l'enfant, la famille, la société
  - ✓ Lacunes concernant la manière dont survient cette mortalité
    - Rôle des professionnels de santé ?
    - Rôle du lavage des mains ?
    - Rôle de la situation du service, des conditions atmosphériques ?
  - ✓ Les observations conduisent à formuler une hypothèse qui permettrait d'agir
    - Retirer l'exposition au matériel cadavérique par un lavage des mains

# Justification de la Recherche et Problème

- Justification d'une étude scientifique
  - ✓ Résoudre des **problèmes pertinents**
- Problème pertinent ?
  - ✓ Question pour laquelle il n'existe actuellement aucune réponse satisfaisante à partir des données actuelles de la science

 Ce que l'on veut savoir

Ce que l'on sait 

- Comment résoudre un problème
  - ✓ Faire des recherches
  - ✓ Diffuser ces nouvelles connaissances

⇒ Se poser des questions

# Problème et Question de Recherche

---

- Significations équivalentes mais formulations différentes
- Problème
  - ✓ Met en évidence une faille ou une lacune dans nos connaissances
- Question
  - ✓ Traduit cette faille ou lacune en une interrogation claire et précise

# Exemple : Semmelweiss (4)

---

- Problème
  - ✓ Observation d'une mortalité forte dans les suites de couche lorsque les femmes sont examinées par des étudiants en contact avec du matériel cadavérique et ne se lavant pas les mains
- Question
  - ✓ Y a t-il une relation entre le lavage des mains et la mortalité des femmes en couches ?

# De l'Hypothèse à l'Objectif de la Recherche

---

- Hypothèse
  - ✓ Proposition servant de point de départ à un raisonnement admis à titre provisoire et que l'on souhaite mettre à l'épreuve de faits
- Objectif
  - ✓ Énoncé plus général que l'hypothèse visant à décrire un phénomène,...



# Exemple : Semmelweiss (5)

---

- Hypothèse
  - ✓ Les étudiants en contact avec du matériel cadavérique introduisent un « agent invisible » chez les femmes en couches en les examinant qui pourrait être source de mortalité
  - ✓ Le lavage des mains avant examen doit être suivi d'une diminution de la mortalité en suites de couche
- Objectif
  - ✓ Étudier l'impact du lavage systématique des mains à l'aide d'une solution de chlorure de calcium sur la mortalité en suites de couche

# Problématique d'une Recherche

- Les étapes
  - ✓ Problème
  - ✓ Question
  - ✓ Hypothèse
  - ✓ Objectif

THE NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE

ORIGINAL ARTICLE

## A Placebo-Controlled Trial of Antimicrobial Treatment for Acute Otitis Media

Paula A. Tahtinen, M.D., Miia K. Laine, M.D., Pentti Huovinen, M.D., Ph.D., Jari Jalava, Ph.D., Olli Ruuskanen, M.D., Ph.D., and Aino Ruohola, M.D., Ph.D.

### BACKGROUND

From the Department of Pediatrics, Turku University Hospital (P.A.T., M.K.L., O.R.A.R.), the Division of Health Protection, National Institute for Health and Welfare (P.H., J.J.), and the Department of Medical Microbiology and Immunology, University of Turku (P.H.)—all in Turku, Finland. Address reprint requests to Dr. Ruohola at the Department of Pediatrics, Turku University Hospital, P.O. Box 20521, Turku, Finland; or at aino.ruohola@utu.fi.

N Engl J Med 2011;364:116-26.  
Copyright © 2011 Massachusetts Medical Society.

ANTIMICROBIAL TREATMENT OF ACUTE OTITIS MEDIA

### BACKGROUND

ACUTE OTITIS MEDIA IS THE MOST COMMON bacterial infection during early childhood.<sup>1</sup> Antimicrobial agents have been the primary treatment for this infection since the 1950s, when the first studies showed that antimicrobial therapy improved the outcome.<sup>2-5</sup> Nevertheless, there is no consensus regarding the optimal management of acute otitis media.<sup>6</sup> Because the treatment of acute otitis media is a major reason for the use of antimicrobial agents in the outpatient setting, experts have called for these agents to be used judiciously.<sup>6-8</sup> Several guidelines for the management of acute otitis media recommend an observation period before antimicrobial therapy is even considered.<sup>6-8</sup> These recommendations are based largely on meta-analyses that concluded that for 1 child to have relief of symptoms, 7 to 17 children must be treated with antimicrobial agents.<sup>4,9,10</sup> However, some experts have suggested that the original studies included in the meta-analyses had important limitations, such as biases in patient selection, varying diagnostic criteria, and suboptimal spectrum or dosage of antimicrobial agents.<sup>11-19</sup>

We conducted a randomized, double-blind, placebo-controlled study of the efficacy of antimicrobial therapy in the age group with the highest incidence of acute otitis media. Our aim was to assess the efficacy of antimicrobial treatment for acute otitis media when strict diagnostic criteria are used and the antimicrobial coverage and dosage of the active treatment are adequate.

### METHODS

#### PATIENTS AND DIAGNOSTIC CRITERIA

Children 6 to 35 months of age with acute symptoms were eligible for our diagnostic screening. A list of the exclusion criteria, along with descriptions and explanations, is provided in the Supplementary Appendix, available with the full text of this article at NEJM.org. Children in whom acute otitis media was diagnosed per protocol were eligible for inclusion in the study. Three overall criteria were required for the diagnosis of acute otitis media (see videos 1, 2, and 3). First, middle-ear fluid had to be detected by means of pneumatic otoscopic examination that showed at least two of the following tympanic-membrane findings: bulging position, decreased or absent mobility, abnormal color or opacity not due to scarring, or air–fluid interfaces. Second, at least one of the following acute inflammatory signs in the tympanic membrane had to be present: distinct erythematous patches or streaks or increased vascularity over full, bulging, or yellow tympanic membrane. Third, the child had to have acute symptoms, such as fever, ear pain, or respiratory symptoms. A parent of each child provided written informed consent. The protocol, which is available at NEJM.org, was approved by the ethics committee of the Hospital District of Southwest Finland. The authors vouch for the accuracy and completeness of the reported data and the fidelity of this report to the study protocol.

#### STUDY DESIGN

This was a randomized, double-blind, placebo-controlled study that was initiated by the investigators and was conducted independently of any commercial entities. Our objective was to study the efficacy of antimicrobial treatment with respect to the resolution of symptoms and signs of acute otitis media. The hypothesis was that amoxicillin–clavulanate would reduce the risk of treatment failure.

At the enrollment visit (day 1), the patient's symptoms, medical history, and demographic and clinical characteristics were recorded, a nasopharyngeal sample was obtained, and a clinical examination was performed that included thorough otoscopic and tympanometric examinations. Details of nasopharyngeal sampling, bacterial culturing, analyses of resistance of the bacteria to antimicrobial agents, and otoscopic examinations are provided in the Supplementary Appendix.

Eligible patients were randomly assigned to receive amoxicillin–clavulanate (40 mg of amoxicillin per kilogram of body weight per day plus 5.7 mg of clavulanate per kilogram per day, divided into two daily doses) or placebo for 7 days. The placebo was similar to the active treatment in appearance and taste. (For a description of the study drugs, the randomization procedure, and the procedure for concealment of study assignments, see the Supplementary Appendix.) Parents were given a diary and were asked to record symptoms, doses of study drugs and any other medications, absenteeism of the child from day care and of the parent from work, and adverse events. Fever was defined as a body temperature of 38°C or higher. We encouraged the use of analgesic and antipyretic agents and allowed the use of analgesic ear drops and decongestant nose drops or sprays.

Comment on this article at NEJM.org

Video showing otoscopic signs of acute otitis media are available at NEJM.org

### RESULTS

Treatment failure occurred in 18.6% of clavulanate, as compared with 44.9% of placebo (day 3), at which time 13.7% of the children as compared with 25.5% of those who received amoxicillin–clavulanate reduced the hazard ratio, 0.38; 95% confidence interval, 0.19 to 0.76;  $P < 0.001$ . Analgesic or antipyretic use in the children in the amoxicillin–clavulanate group was significantly more common in the placebo group. A total of 47.8% of the group had diarrhea, as compared with 20.2% and 3.2% of the children in the respective

### CONCLUSIONS

Children with acute otitis media benefit from antimicrobial treatment when strict diagnostic criteria are used and the antimicrobial coverage and dosage of the active treatment are adequate.

Children with acute otitis media benefit from antimicrobial treatment when strict diagnostic criteria are used and the antimicrobial coverage and dosage of the active treatment are adequate.

Children who may derive the greatest benefit from antimicrobial treatment and the development of the Foundation for Paediatric Research (NCT00299455).

116 N ENGL J MED 364(2) NEJM.ORG | The New England Journal of Medicine | Downloaded from nejm.org on January 21, 2011. For personal use only. Copyright © 2011 Massachusetts Medical Society.

117 N ENGL J MED 364(2) NEJM.ORG | JANUARY 13, 2011 | The New England Journal of Medicine | Downloaded from nejm.org on January 21, 2011. For personal use only. No other uses without permission. Copyright © 2011 Massachusetts Medical Society. All rights reserved.

# Justification d'une Etude

---

- Rôle d'une étude
- Importance du problème de l'étude
- Revue de la littérature
- Retombées, perspectives de l'étude
- Méthodes utilisées pour l'étude

# Rôle d'une Etude

---

- Situer la recherche dans le champ des connaissances actuelles (données actuelles de la sciences)
  - ✓ Bibliographie
  - ✓ Que sait-on ?
  - ✓ Quelles sont les lacunes ?
- But de la recherche
  - ✓ Améliorer les connaissances
  - ✓ Evaluer une action
  - ✓ ...

# Importance du Problème de l'Etude

---

- Importance du problème de recherche
  - ✓ Pour la décision
    - Pour la Santé Publique
    - Pour la clinique
  - ✓ Lacunes dans les connaissances nécessaires à l'action
- Place dans le champ de recherche
  - ✓ Situation dans le développement (médicament, test diagnostique, marqueur pronostique,...)
  - ✓ Situation dans la réponse au problème particulier
    - Étape exploratoire
    - Étape systématique

# Revue de la Littérature

---

- Éléments de la définition du problème et des méthodes
- Arguments de justification de l'importance du problème et des retombées attendues
  - ✓ Transposition de résultats connus ?
  - ✓ Modification de résultats selon le moment de l'action ?
  - ✓ ...
- Arguments méthodologiques
  - ✓ Variables étudiées
  - ✓ Instruments de mesure
  - ✓ Outils statistiques
  - ✓ ...

# Retombées, Perspectives de l'Etude

---

- Qu'apportent ces résultats ?
- A quoi vont-ils servir ?
- Arguments décisionnels
  - ✓ Financiers, décideurs
  - ✓ Acteurs de la recherche
  - ✓ Superviseurs
- Retombées attendues / Perspectives
  - ✓ Pour les connaissances
  - ✓ Pour la recherche
  - ✓ Pour la pratique

# Méthodes Utilisées pour l'Étude

---

- Schéma d'étude le plus approprié pour tester l'hypothèse scientifique
- Typologie générale de l'étude
  - ✓ Expérimentale
  - ✓ Observationnelle
- Justification du schéma d'étude
  - ✓ Quels sont les alternatives ?
  - ✓ Quelle en est sa validité ?
  - ✓ Quelle en est sa faisabilité ?



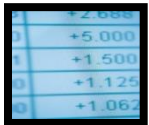
# Processus de Recherche



Formulation d'une hypothèse de recherche



Mise en place d'un schéma d'étude adapté



Recueil des données de l'étude



Analyse des données de l'étude



Diffusion des résultats de l'étude

# Le Fil d'Ariane

---

- ▶ Hypothèse de recherche
- ▶ Objectif principal
- ▶ Conduite de l'étude
  - ▶ Schéma d'étude
  - ▶ Population d'étude
  - ▶ Recueil des informations pertinentes
  - ▶ Analyse statistique
- ▶ Résultats de l'étude

# Sources

---

- Chêne G. Justification de l'étude. Atelier de formation à la recherche clinique. Abidjan, Mars 2009.