

Cas unique en psychiatrie biologique

C. Spadone *

Résumé

Introduction

Intérêt de la question du cas unique :

- intérêt exploratoire des cas uniques dans l'histoire des sciences
- retour général au cas unique, dans des domaines de connaissance très divers
- valeur heuristique et paradigmatique.

Recherche bibliographique : mots clés :

(Cas unique)

N of One studies
single case
single case experiment
single-subject experiment
single-case experimental design
sample size of one
N of One randomized controlled trials

1 - Intérêt des single case studies

1°) *par rapport aux observations thérapeutiques d'un cas unique non contrôlées*

- a) - quand l'évolution observée correspond à l'évolution spontanée
- b) - du fait de l'effet placebo
- c) - par un biais d'observation

d) - par le «biais d'obsequiosité»

2°) *par rapport aux études multicentriques*

a) - intérêt en terme de faisabilité: (recrutement, coût, durée, maladies rares)

b) - possibilité de viser des cibles thérapeutiques différentes

c) - intérêt pour les "patients minoritaires"

d) - problèmes de validité des études multicentriques :

facteurs de variation non spécifique,

compatibilité

perte d'homogénéité

II - Méthodologie des essais cas unique

2.1 - Essai médicamenteux

Les études multicentriques donnent les principaux renseignements pour:

l'efficacité,

la tolérance,

le rapport bénéfice-risque,

les fourchettes posologiques....

Mais elles sont inadaptées pour certains patients, dans certaines situations cliniques particulières

a) **Dessin des études :**

Généralement plusieurs séquences de traitements actifs ou placebo contrôlés, donnés à un même patient en double aveugle

La séquence des traitements (placebo ou actif) est déterminée de façon randomisée

Le nombre de séquences thérapeutiques est un paramètre difficile a fixer

La durée des séquences doit prendre en compte la rapidité d'apparition ou de disparition de la cible thérapeutique

Difficultés liées au phénomène de sevrage

b - **Buts de l'étude**

Elaborés avec le patient

Cibles thérapeutiques fixées au préalable, selon des critères différents de ceux d'un essai multicentrique;

- dans les essais multicentriques, la ou les cibles devront être un «PGCD»,
- dans les essais cas unique, la ou les cibles seront "l'écart a la moyenne "

Modalités d'évaluation s

- 1 - utilisation d'outils standardisés,
- 2 - mise en place d'outils spécifiques.
- 3 - quantification du trouble

c - **Outils statistiques**

Tests paramétriques :

- T-test
- T-test apparié
- Test de permutation

ou non paramétriques :

- sign test de Guyatt,
- test de Willcoxon

Sous estimation de la variance du fait de l'absence d'indépendance des séries comparées

d - Problèmes éthiques

Mêmes contraintes que les essais multicentriques :

- si recherche prospective, le CCPPRB doit a priori être consulté
- consentement éclairé, possibilité d'interrompre l'étude sans préjudice de soins
- confidentialité des résultats

Problème du secret médical

2 - 2 Recherches biologiques

Les recherches N of One sur des indices biologiques obéissent pour une bonne part aux mêmes règles que celles mises en place pour les essais médicamenteux.

Importance de l'étude des marqueurs traits, par rapport aux marqueurs d'état.

Conclusion

Limites des essais cas uniques :

- maladies chroniques et relativement stables dans le temps
- le patient doit être capable de comprendre et de construire avec le clinicien l'essai N of One
- risque d'extrapolation des résultats

Voie exploratoire plus que confirmatoire mais d'une importance centrale dans certaines recherches biologiques ou pharmacologiques

Dans le domaine thérapeutique, les études classiques tendent à prouver l'intérêt d'un produit ou d'une procédure thérapeutique, les essais cas unique tendent à trouver l'intérêt d'un patient.

** Praticien hospitalier, Service hospitalo-universitaire Pr. Léo),
CH Sainte-Anne, 1 rue Cabanis 75014 PARIS*