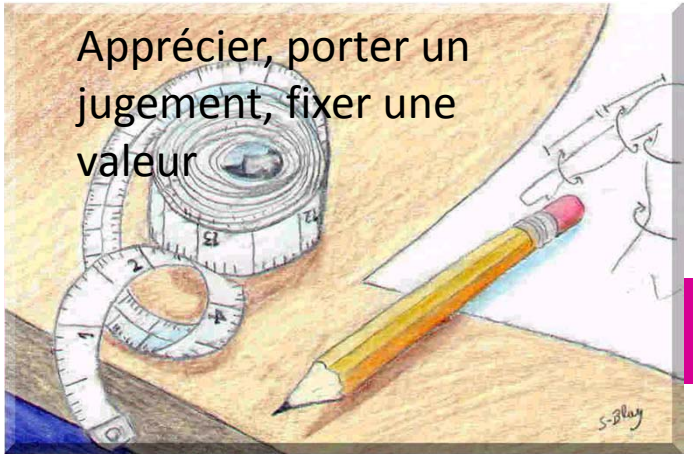
R4P • *Réseau Régional de Rééducation et de Réadaptation Pédiatrique en Rhône-Alpes*

Introduction Histoire de l'évaluation, intérêt pour la famille, le patient

Carole Vuillerot, Pédiatre,
Service l'Escale, Hôpital Femme Mère Enfant, Bron

un jugement de valeur sur une entreprise

Si vous deviez représenter par une image ce que signifie pour vous *évaluer*, quelle serait-elle?



Genèse de la nécessité d'évaluer en médecine

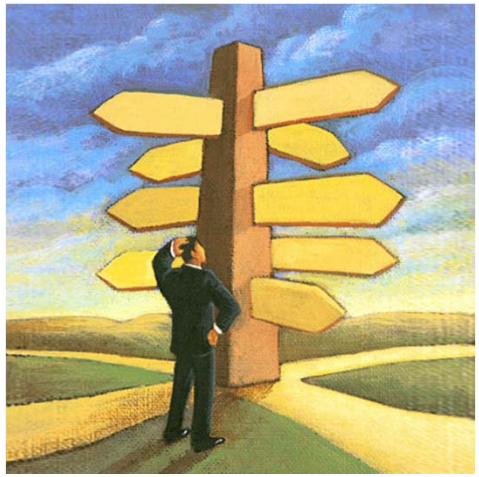
- Evidence des progrès de la médecine depuis la 2nd guerre mondiale avec les grandes découvertes

- Puis la notion de qualité s'impose de façon concomitante a l'augmentation du cout de la sante avec la nécessaire **évaluation du rapport cout/efficacité des soins**

- Evolution de la relation médecin/malade d'une relation paternaliste vers la décision médicale partagée **évaluation des besoins des patients dans toutes les dimensions de sa vie**

- Le paradigme de l' «Evidence Based Medicine». La medecine n'est plus seulement un art, elle doit se fonder sur les meilleures donnees cliniques externes

  évaluation critique de la validité et de l'utilité des resultats



Le médecin se trouvent confronté à une contrainte externe (augmentation des dépenses de santé) et une contrainte interne (inflation des connaissances)

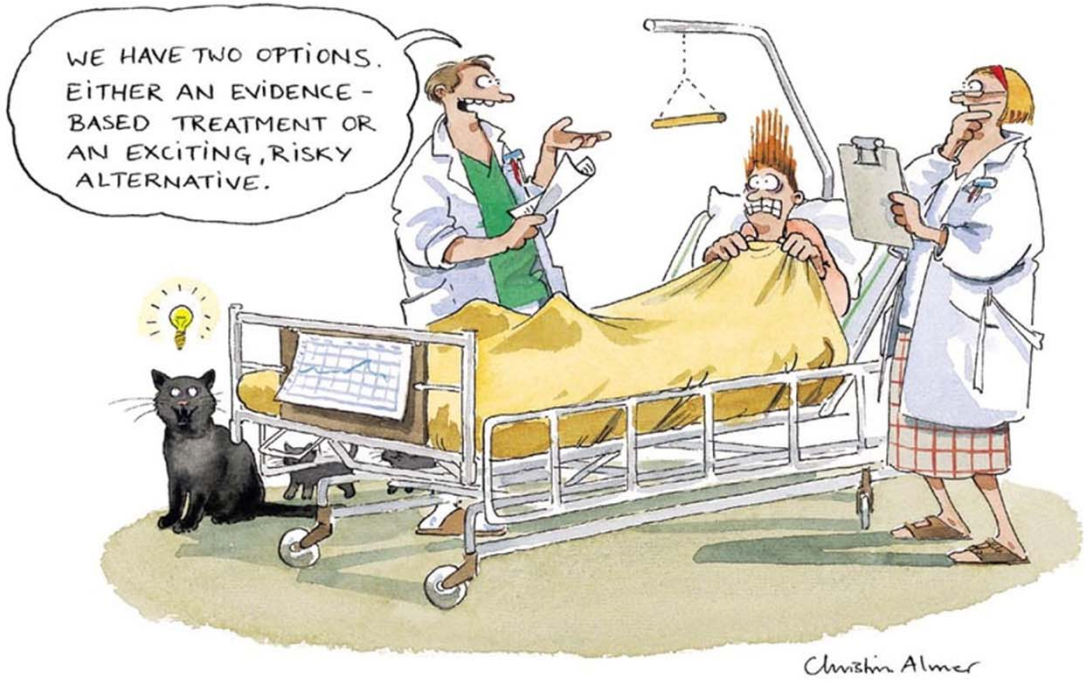
1. L'évaluation comme solution pour affronter ces 2 obstacles
2. L'évaluation comme un outils de transparence vis-à-vis du patient et des tutelles

Une tentative de définition du mot «évaluation »…

- Evaluer c'est apprécier objectivement l'efficacité de telle ou telle stratégie pour permettre un meilleure choix pour le malade. C'est mettre en place les procédures permettant d'en vérifier la bonne réalisation, détecter et quantifier les écarts, imaginer et fournir les éléments pour mettre en place les éléments de corrections

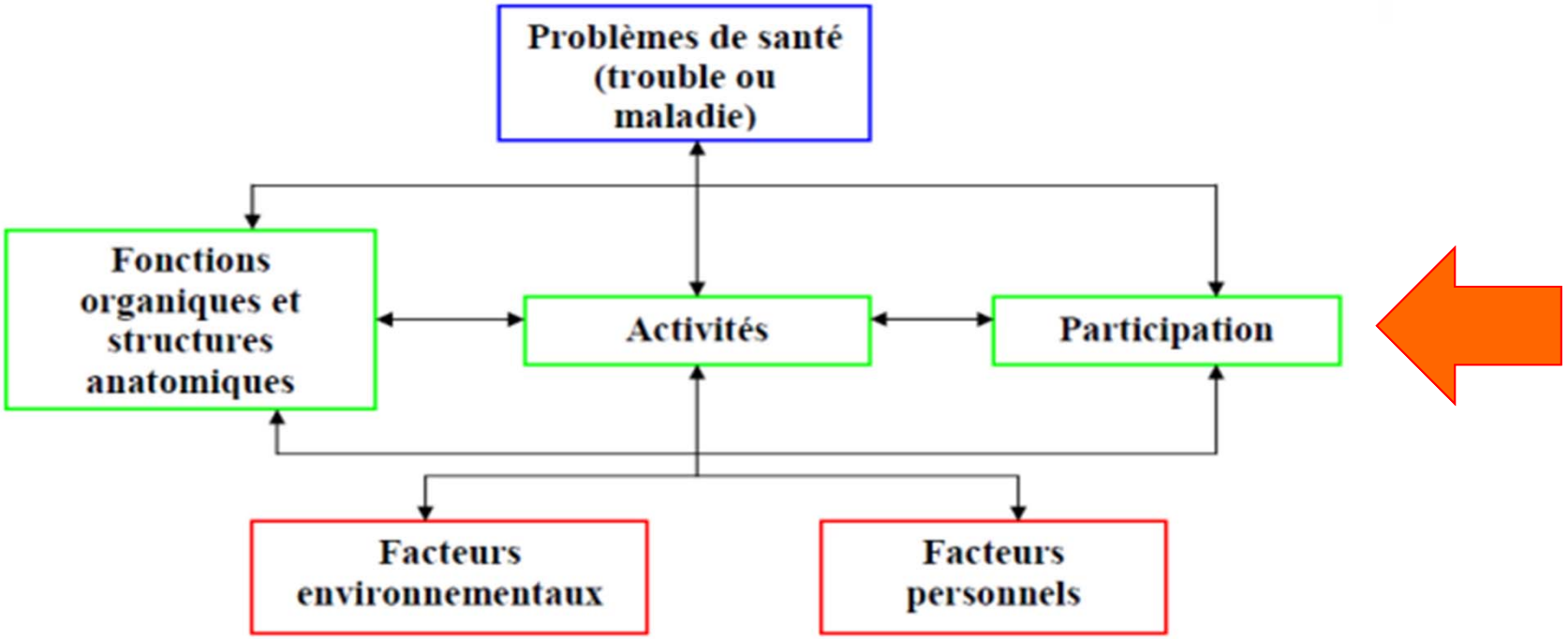
Yves Matillon Rev Prat 1982

Finalité de l’ évaluation

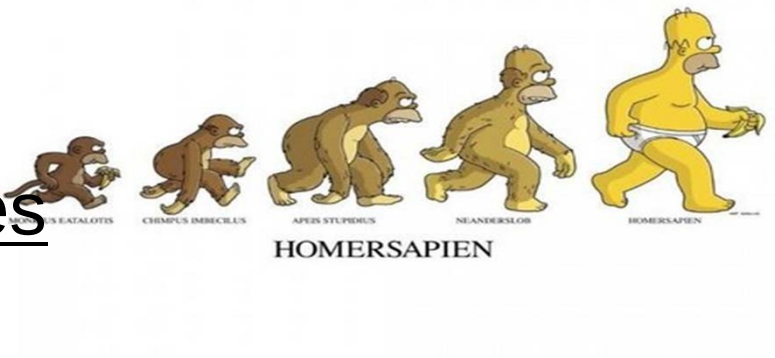


L’ évaluation n'a pas d’autre finalité que celle de mieux soigner les malades et d’améliorer la qualité des soins

Evolution des cibles de l’ évaluation dans le champ du handicap



Mais aussi du type de mesures



- Des mesures dites objectives
  - Esperance de vie
  - Timed test ….

Vers les mesures centrees sur le patient

  - Mesures ecologiques
  - Mesures subjectives s'iinterressant au ressenti du patient
    - QdV
    - Douleur
    - Echelle de contrats d'objectifs : GAS, COPRM

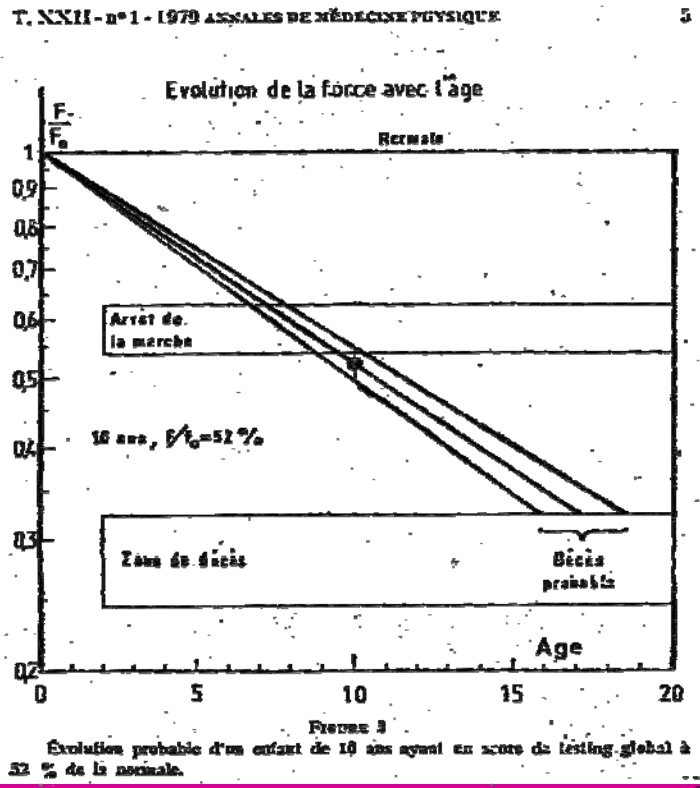
Pour faire une bonne mesure encore faut il avoir un bon outil

- Un outil fiable qui donne les mêmes résultats d'une mesure chez un patient considéré comme « stable » si ce test ou cette prise de mesure est répétée ou lorsqu'elle est effectuée par des testeurs différents [*Streiner & Norman, 2003]*
- Un outil valide qui mesure bien ce qu'il pretend mesurer [*Bruchon-Schweitzer*]
- Un outil sensible au changement qui est capable de mesurer avec précision les variations en plus ou en moins du phénomène mesuré. Il doit permettre un classement suffisamment fin des individus et être capable de repérer des variations cliniquement perceptibles [de Vet 2006]
- Un outil applicable facilement

Quels intérêts de la mesure pour le patient et sa famille ?

Une meilleure connaissance de la maladie et de son evolution : Les etudes d'histoire naturelle

Les données de la littérature
La DMD est une maladie progressive



Évolution probable d'un enfant de 10 ans ayant un score du testing global à 52 % de la normale.

Legrand-Persoz M, Persoz B, Boulvert E, Gros P, Dardel JP, Arhan P. Surveillance de l'évolution musculaire respiratoire dans la myopathie de Duchenne de Boulogne à évolution rapide: application au contrôle thérapeutique. Ann Med Phys 1979; ***23:*** *1−14.*

La DMD est une maladie progressive

Allsop KG, Ziter FA. Loss of strength and functional decline in Duchenne's dystrophy. Arch Neurol 1981; ***38:*** *406−11.*

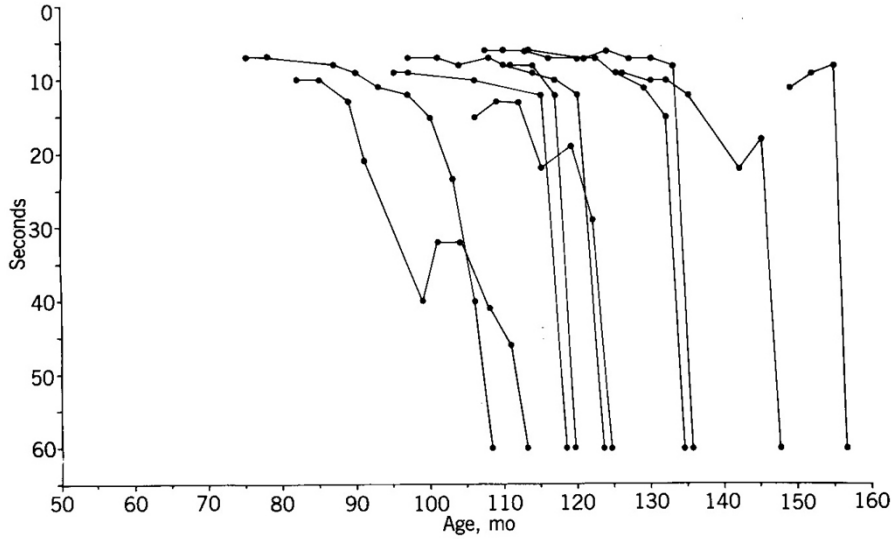


Fig 5.—Timed 750-cm walk. Top, Patients who remained capable of task. Bottom, Patients who failed task.

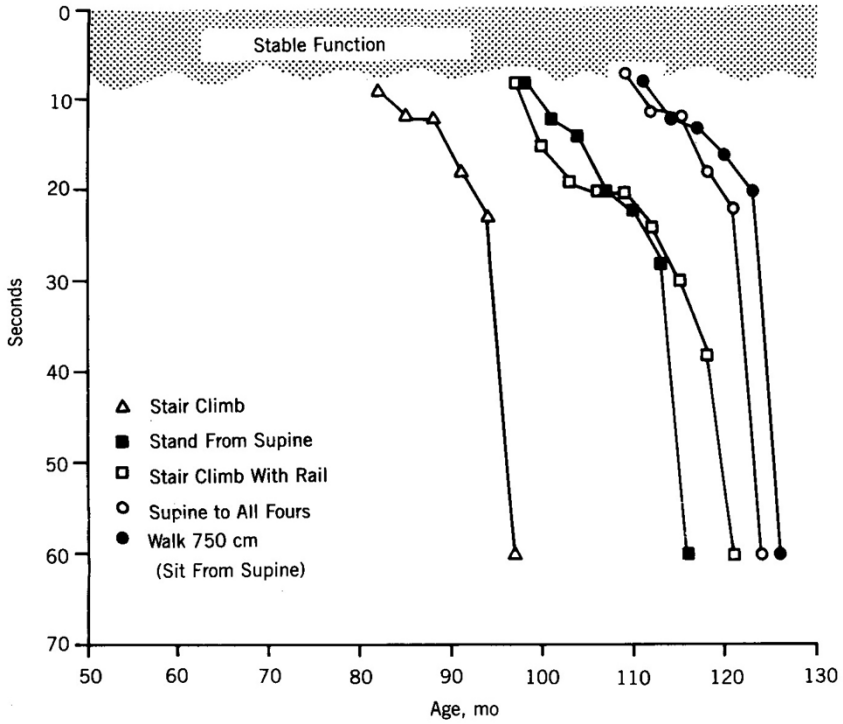


Fig 6.—Composite functional decline in group.

La DMD est une maladie progressive

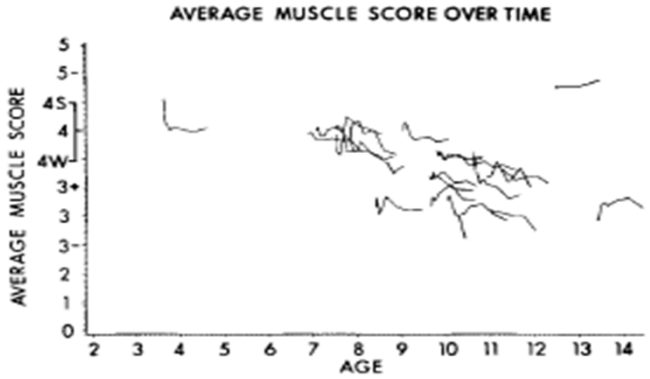


Figure 4. These plots are of the strength of 23 of the patients during the course of the protocol. The average muscle score of each patient is plotted against the age of the patient. The points for an individual patient are joined.

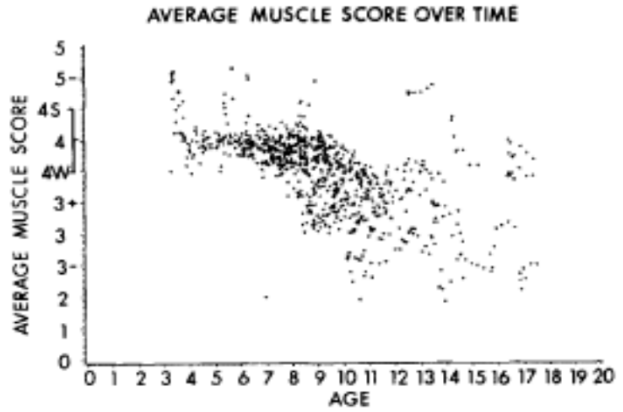


Figure 1. A scatter plot of the average muscle score versus the age of the patient at the time the observation was made. (R = 0.47; P < 0.0001)

Brooke MH, Fenichel GM, Griggs RC, Mendell JR, Moxley R, Miller JP, Province MA. Clinical investigation in Duchenne dystrophy. 2. Determination of the 'power' of therapeutic trials based on the natural history. Muscle Nerve 1983; ***6:*** *91−103.*

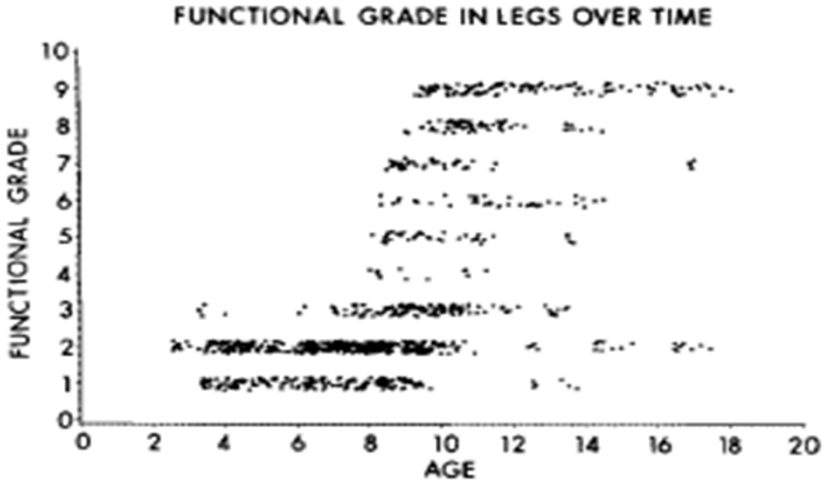
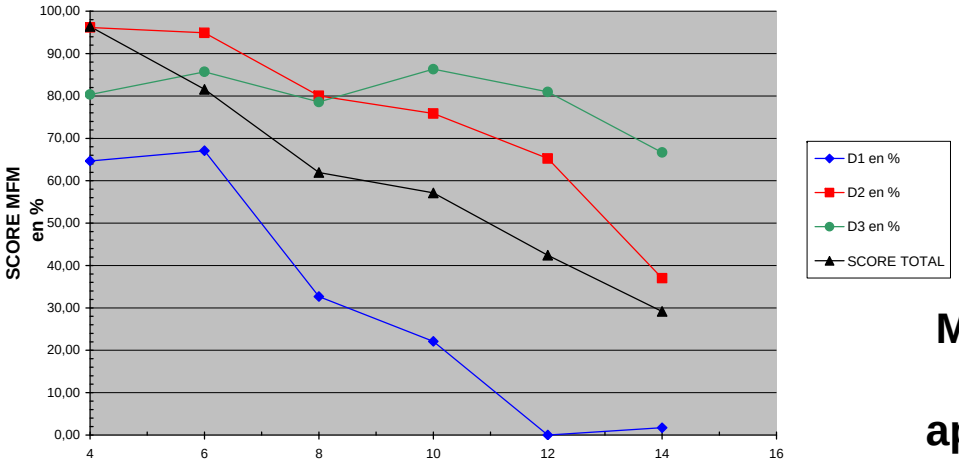


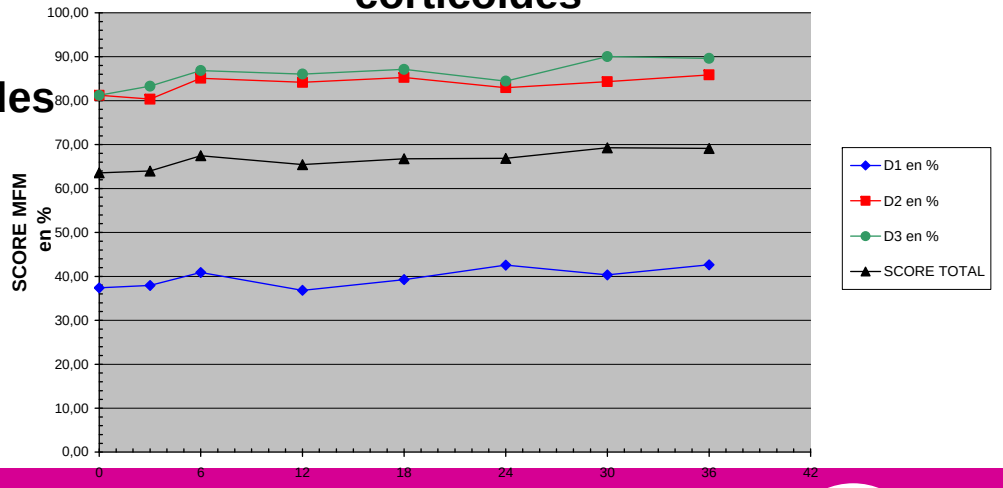
Figure 9. The functional grade of patients plotted against their age.

Modification de l'histoire naturelle des pathologies



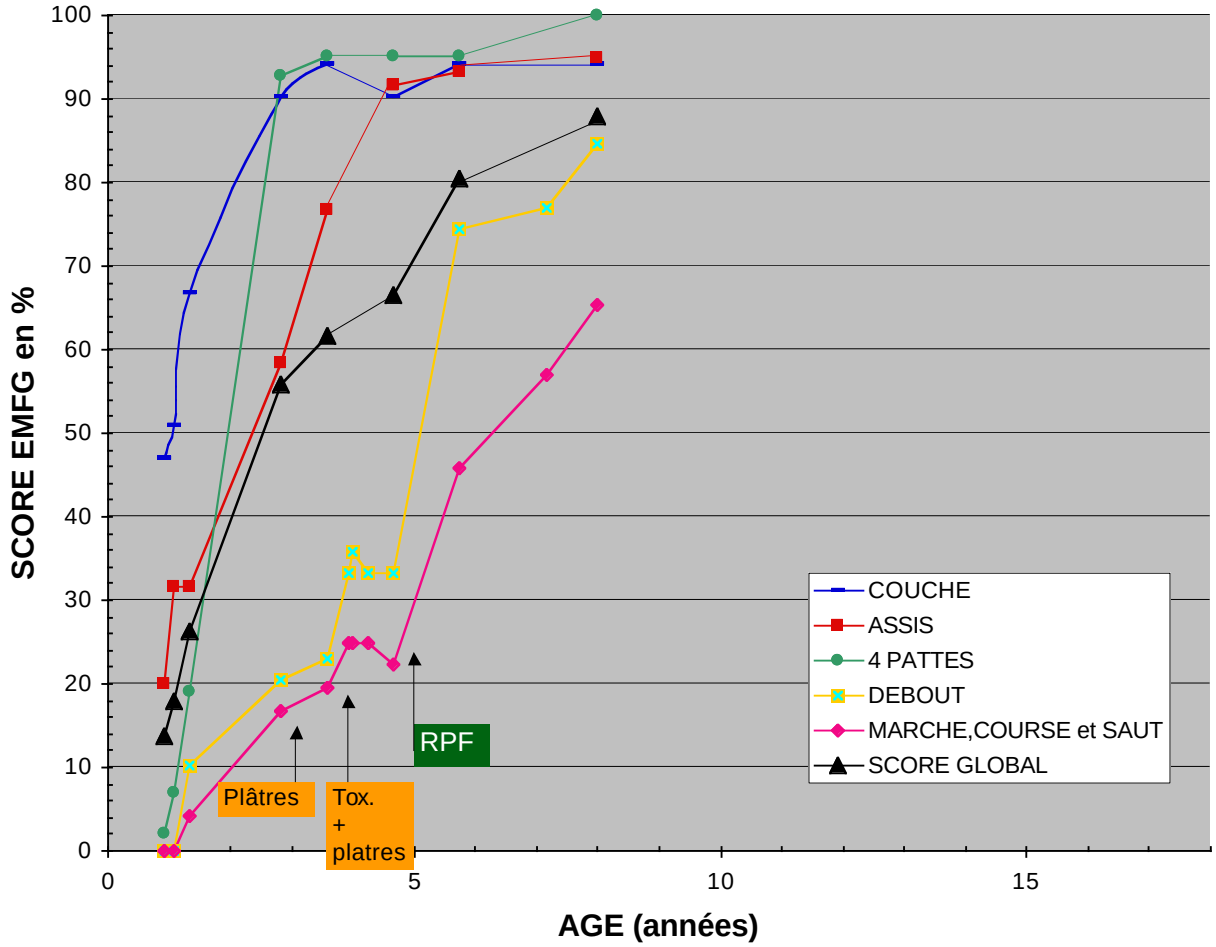
Moyenne du Score Total MFM pour 27 DMD (vs âge) **avant traitement par corticoïdes**

Moyenne du Score Total MFM pour 27 DMD après 2-3 ans de traitement par corticoïdes



Identifier un évènement intercurrent afin de proposer une intervention thérapeutique

EMFG de Piel K. né le 17/06/94



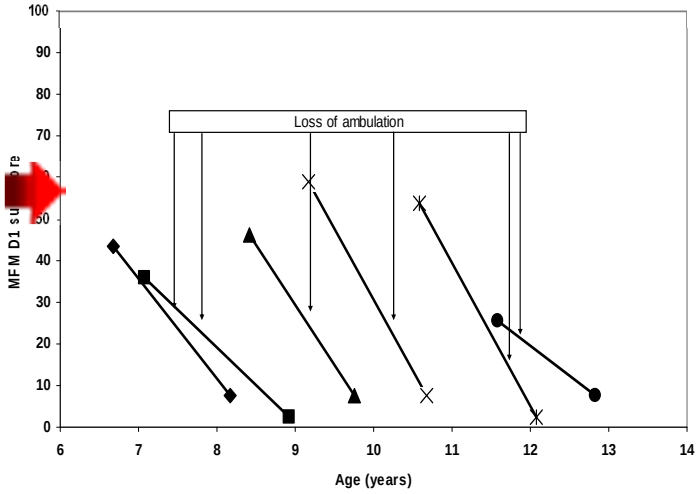
Préparer une étape importante comme la perte de la marche

DEVELOPMENTAL MEDICINE & CHILD NEUROLOGY ORIGINAL ARTICLE

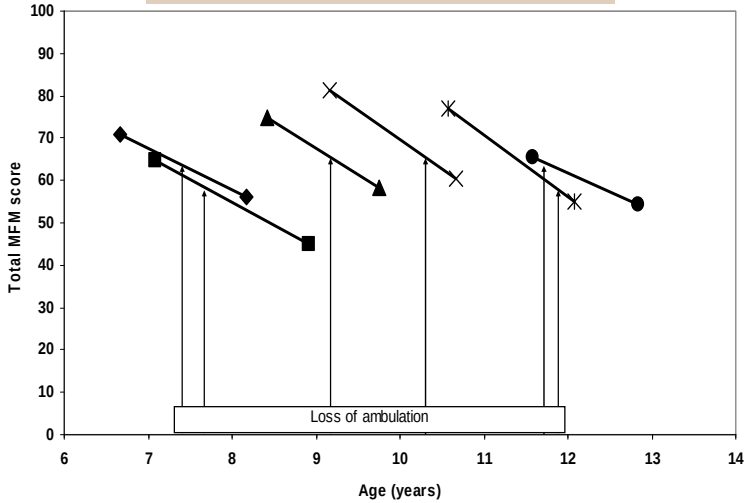
Monitoring changes and predicting loss of ambulation in Duchenne muscular dystrophy with the Motor Function Measure

CAROLE VUILLEROT MD[1,2] | FRANÇOISE GIRARDOT PT[1,2] | CHRISTINE PAYAN MD[3] | JACQUES FERMANIAN PHD[4] | JEAN IWAZ PHD[5,6,7,8] | CAPUCINE DE LATTRE MD[1,2] | CAROLE BERARD MD[1,2]

Dimension D1



Total Score



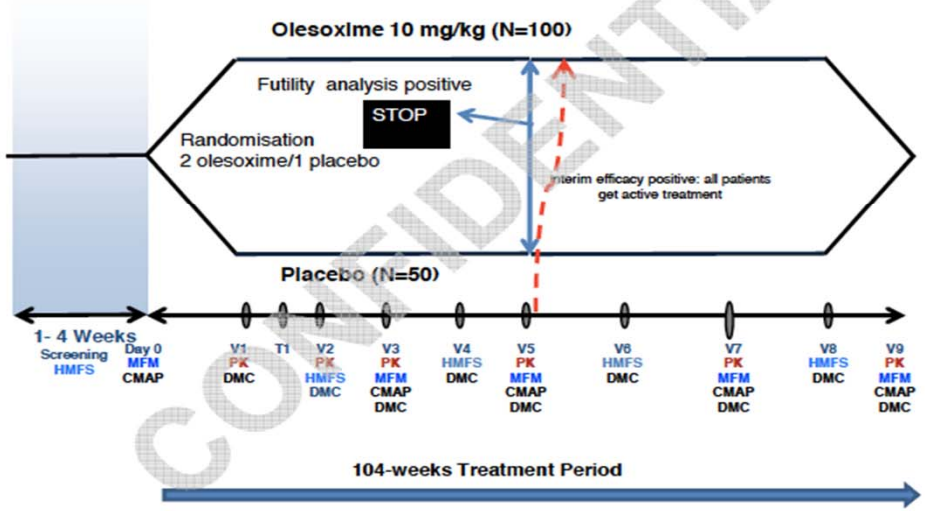
En utilisant le changement moyen des scores MFM sur 1 an chez les patients marchants, une estimation des scores MFM 1 an avant la perte de marche a pu etre proposee : **MFM D1 50% et MFM TS 75%**

Espérer pouvoir identifier l'efficacité éventuelle d'une thérapeutique

TRO19622CLEQ1275-1

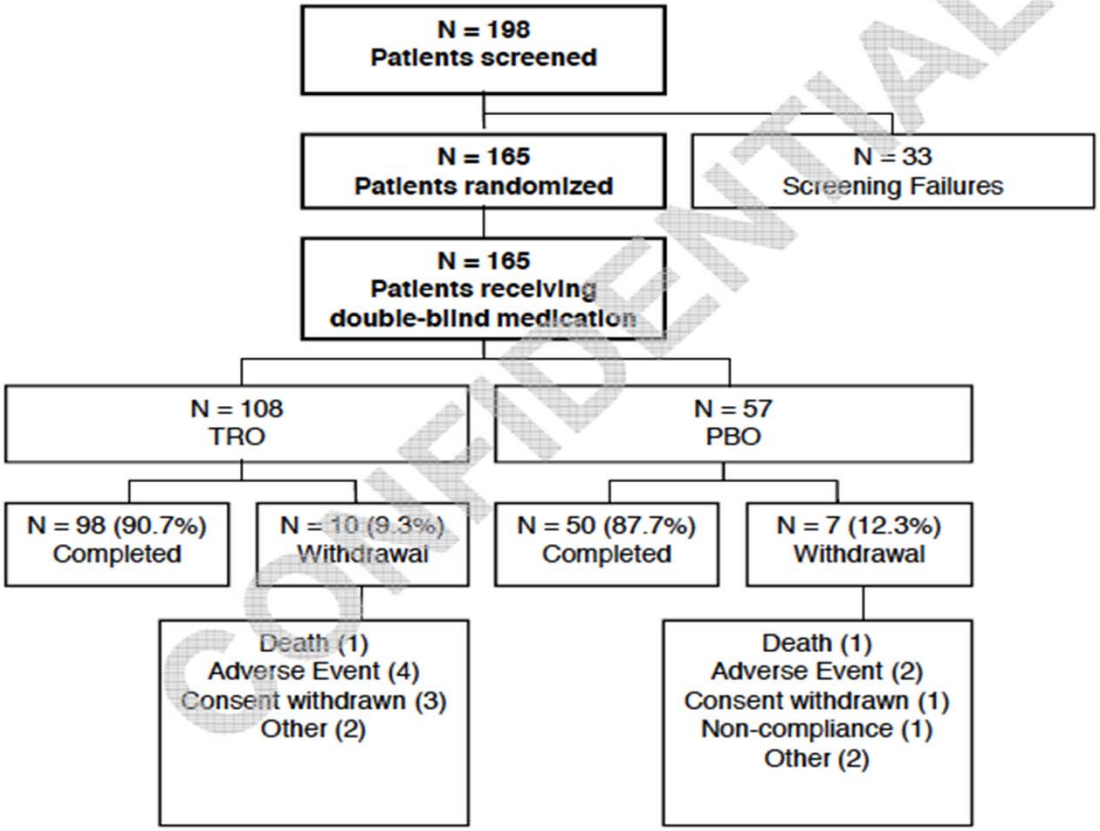
Phase II, multicentre, randomised, adaptive, double-blind, ebo controlled study to assess safety and efficacy of olesox 19622) in 3-25 year old Spinal Muscular Atrophy (SMA) pat

STUDY DESIGN



CONFIDENTIAL

Espérer pouvoir identifier l'efficacité éventuelle d'une thérapeutique

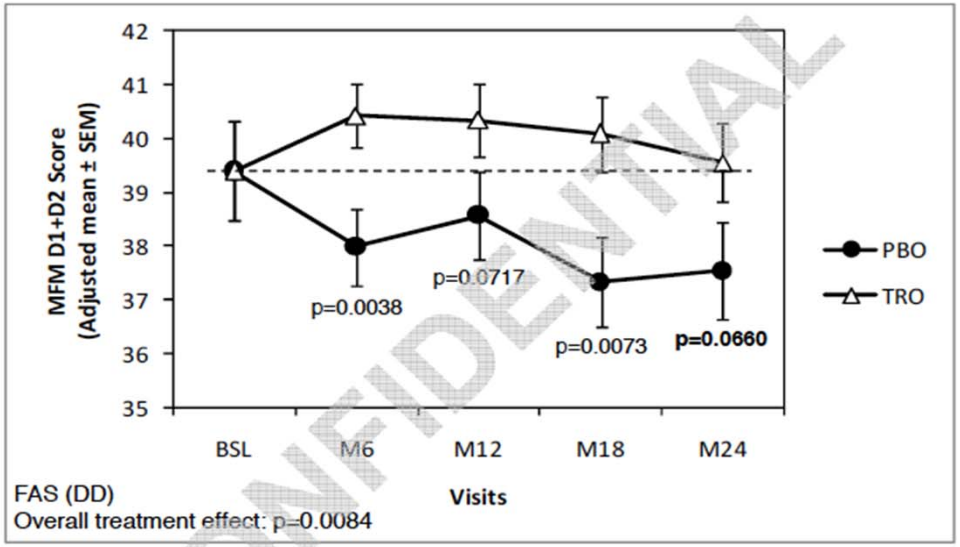


CONFIDENTIAL

Espérer pouvoir identifier l'efficacité éventuelle d'une thérapeutique

TROPHOS

PRIMARY ENDPOINT - MFM D1+D2 (FAS, DERIVED DATA)



CONFIDENTIAL

- The treatment effect at M24 is close to significance but not significant (primary analysis: p = 0.066)
- The overall treatment effect over time (main treatment effect) is highly significant (main secondary analysis: p = 0.0084).

R4P

Conclusions

- La mesure plus que l’ évaluation
- Intérêt partage pour le patient et le professionnel
- Des preuves sont maintenant « exigées » pour justifier le choix de tel ou tel traitement, tout en tenant compte des préférences du patient
- La mesure est nécessaire en médecine avant tout car l’humain mérite rigueur

Merci de votre attention

carole.vuillerot@chu-lyon.fr