

## Chapitre 15

### La mesure de la qualité de vie en recherche clinique

**CaroleVuillerot, Isabelle Hodgkinson**

L'échec relatif des indicateurs objectifs (mortalité, morbidité) à rendre compte de certains bénéfices de la médecine, ou de la chirurgie, a amené le milieu médical à développer des indicateurs subjectifs comme la qualité de vie.

La qualité de vie (QDV) est un critère de jugement. Ce critère peut être utilisé dans tous les types d'étude : cas-témoins, cohorte, essai thérapeutique.... Mais il doit être justifié.

L'interprétation des résultats en dépend. Il existe deux approches de la QDV, l'une générale définie par l'OMS, « perception qu'a un individu de sa place dans l'existence, dans le contexte de la culture et du système de valeurs dans lequel il vit et en relation avec ses objectifs, ses attentes, ses normes et ses inquiétudes », l'autre plus spécifique au domaine médical, dite QDV liée à la santé « La qualité de vie liée à la santé est la valeur qui est attribuée à la durée de vie en fonction des handicaps, du niveau fonctionnel, des perceptions et des opportunités sociales modifiées par la maladie, les blessures, les traitements ou les politiques de santé »

Pour mesurer la QDV d'une personne dans un contexte de recherche clinique, il est habituel d'utiliser un questionnaire. Celui-ci sera élaboré en fonction des objectifs de l'étude, de la population étudiée et du concept de QDV choisi. Un auto-questionnaire est toujours préférable lorsque la situation le permet. Il doit être d'application facile, validé dans une population de sujets sains, et avoir des qualités métrologiques reconnues.

Malgré ces précautions, les biais d'interprétation sont nombreux. L'interprétation des résultats sera d'autant plus juste que la réflexion en amont aura été approfondie.

## **I. Introduction**

L'échec relatif des indicateurs objectifs (mortalité, morbidité) à rendre compte de certains bénéfices de la médecine, ou de la chirurgie, a amené le milieu médical à développer des indicateurs subjectifs comme la QDV de manière à envisager l'existence d'une autre réalité.

La médecine prend dorénavant en compte l'individu dans sa globalité et non plus seulement dans ses aspects somatiques. Le seul avis des experts médicochirurgicaux dans l'évaluation médicale n'est plus suffisant. Le concept de QDV instaure une approche plus humaniste de la médecine, en modifiant le regard porté par le médecin sur sa relation au malade. Il oublie sa position classique de sujet supposé savoir en acceptant de porter son attention sur les points de vue proprement subjectifs qu'un individu a de lui-même, de sa situation actuelle, de son handicap, de ses attentes et de ses buts dans la vie [1]. Les préoccupations médicales ont évolué, la médecine s'adresse maintenant tant au sujet pensant (souffrant, anxieux) qu'au sujet vivant (dont le corps est malade) [2] [3]. La médecine doit permettre au patient de vivre plus longtemps, en bonne santé, et satisfait de sa vie.

De multiples outils de mesure validés ou non se développent dans le but de fournir des évaluations fiables, spécifiques et reproductibles. A l'heure actuelle, lors de la conception d'un protocole de recherche clinique, il devient indispensable d'ajouter un questionnaire de QDV comme garantie de l'intérêt porté au patient. Mais cette attitude systématique n'a que peu de valeur. Que la QDV soit le critère principal d'évaluation de l'efficacité d'un traitement, ou bien l'un des critères secondaires, dans tous les cas sa signification et l'interprétation des résultats dépendent de multiples facteurs, en particulier de la pertinence de l'outil utilisé et du cadre conceptuel de QDV choisi.

## **2. Qu'est ce que la qualité de vie ?**

### **2.1. Concept général de qualité de vie**

Il n'existe pas de définition universelle de la QDV ; chacun employant sa propre terminologie. La QDV est une notion subjective, dynamique et influencée par le contexte environnemental. Comme le bonheur ou la tristesse, lorsque l'on utilise ce terme, tout le monde le comprend, chacun ayant sa propre définition. La signification de ce concept est intuitive, spontanée et propre à chaque personne.

Une première approche est représentée par le ressenti de la personne sur sa propre existence. Il s'agit, en particulier, de sa satisfaction dans les différents domaines de sa vie ; domaines variables en fonction des âges de la vie. Ces différents domaines recouvrent « le large éventail des dimensions de l'expérience humaine depuis celles associées aux nécessités de la vie jusqu'à celles associées à un sentiment d'accomplissement, de réussite et de bonheur personnel » [4].

Une deuxième approche définit la QDV comme la différence entre les attentes d'un individu et sa situation présente. Avec en plus, dans le cas de l'enfant et de l'adolescent, les attentes des parents qui peuvent être différentes de celles de l'enfant. Pour nombre d'auteurs nord-américains, la qualité de vie se décompose en « being » (ce qu'on est), « becoming » (ce qu'on va -ou veut -devenir), et « belonging » (comment on se sent inséré dans un groupe d'appartenance ou la société : notions d'adaptation, d'acceptation sociale, d'appartenance) [5].

D.Curran [6] évoque la capacité de l'être humain à adapter ses attentes personnelles à ce qu'il perçoit comme compatible avec sa condition. Ces adaptations permettent aux personnes ayant des conditions de vie difficiles d'acquiescer un sentiment de QDV convenable [7]. Ainsi chaque individu, selon son histoire, sa situation actuelle et son cheminement personnel, peut percevoir une situation de vie comme permettant une excellente ou une déplorable QDV. Le

jugement d'un médecin sur la QDV de son patient est alors rendu impossible. Plusieurs études confirment cette hypothèse, comparant l'estimation de la QDV par le médecin, et par le patient lui-même : le patient s'estime souvent beaucoup plus satisfait de sa vie que ne le juge son médecin. [8][9].

Ces approches permettent toutes deux d'affirmer que la personne concernée est seule capable d'évaluer sa propre QDV : « perception qu'a un individu de sa place dans l'existence, dans le contexte de la culture et du système de valeurs dans lequel il vit, et en relation avec ses objectifs, ses attentes, ses normes et ses inquiétudes »[10].

Cette définition de l'OMS s'organise ainsi autour de trois dimensions principales : la dimension physique ou physiologique, la dimension mentale ou psychologique et la dimension sociale ou environnementale.

**La dimension physique** est abordée sous l'angle des données subjectives. Il ne s'agit pas de mesurer un score fonctionnel ou un degré d'invalidité mais la façon dont le sujet perçoit et exprime sa dépendance physique et certains symptômes comme la douleur ou la fatigue.

**La dimension psychologique** explore l'état mental (dépression, estime de soi, structures de personnalité) exprimé par le sujet dans ses réponses au questionnement.

**Les interactions sociales et familiales** constituent la troisième dimension du concept de QDV. Chez l'adulte, contrairement à l'enfant, une des composantes majeures de cette dernière dimension est représentée par le statut socio-économique.

## **2.2. Concept de qualité de vie liée à la santé**

Si la QDV est définie comme l'évaluation de la satisfaction et du bien-être de l'individu dans les différents domaines de sa vie, la QDV liée à la santé ou Health Related Quality Of Life (HRQOL) est alors considérée comme un sous-domaine de ce concept multidimensionnel. Sa

mesure est concentrée sur des aspects directement liés à l'état de santé. « La qualité de vie liée à la santé est la valeur qui est attribuée à la durée de vie en fonction des handicaps, du niveau fonctionnel, des perceptions et des opportunités sociales modifiées par la maladie, les blessures, les traitements ou les politiques de santé » [12].

Lorsque l'on mesure la QDV du sujet atteint d'une maladie très invalidante, on mesure en fait sa QDV liée à sa santé, tant la maladie est au cœur de l'existence du sujet.

Les définitions de QDV liée à la santé retrouvées dans la littérature comprennent souvent le statut fonctionnel et l'état de santé. Même s'il est certain que QDV, fonction et santé sont liées, cela ne signifie pas qu'elles sont interchangeables [11]. Pour illustrer ce propos, nous citerons le *Sickness Impact Profile* (SIP)[28]. Ce questionnaire comprend 136 items répartis en trois dimensions : la dimension physique (déambulation, soins du corps, mouvement, mobilité), la dimension psychosociale (interactions sociales, comportement émotionnel, communication) et la dernière dimension regroupant des sous-dimensions indépendantes (le sommeil, les repas, le travail, les travaux ménagers, les loisirs). Dans le cas de patients ayant une déficience motrice, avec ce questionnaire, nous mesurons l'indépendance fonctionnelle, les incapacités, les difficultés de la vie quotidienne, mais non la QDV du sujet. Nous obtenons l'avis du sujet sur des données objectives de sa vie bien loin de la notion de QDV telle que définie par l'OMS. Nous obtenons une information sur ce que la personne est capable de faire mais beaucoup moins sur ce qu'elle ressent.

### **3. La mesure de QDV**

Mesurer « consiste (à établir) des règles d'attribution de nombres à des objets et à représenter des quantités d'attributs » [13]. Le fait de vouloir quantifier ou mesurer une valeur qualitative semble de prime abord suspect. Bergson, en 1889, [14] s'interrogeait déjà sur la volonté des médecins, pour rendre la psychologie « scientifique », de réduire le qualitatif au quantitatif. Il

s'opposait à la volonté des médecins de faire passer « des perceptions de grandeur pour des grandeurs de perception ». Le concept de QDV est par définition en dehors du spectre de la quantité, puisqu'il peut être défini comme ce qui fait l'essence de la vie. La préséance de la qualité sur la quantité n'est pas remise en question par la volonté de mesurer cette QDV. C'est le seul moyen que le monde médical a trouvé pour mesurer le gain ou la perte de bien-être engendrée par les interventions thérapeutiques. Nous devons mesurer la QDV de nos patients en nous fondant sur l'opinion des malades, c'est-à-dire sur des critères purement subjectifs. Pour convertir la QDV d'un patient en donnée chiffrée, on peut raisonner en considérant que le bien-être a plusieurs composantes ou dimensions et qu'à l'intérieur de chaque dimension il admet le plus et le moins. En d'autres termes, à l'intérieur de chaque dimension, il y a des degrés dans la qualité du fonctionnement qui permettent de préciser la QDV de l'individu. Nous convertissons alors une qualité en quantité en utilisant des questionnaires standardisés dont les réponses chiffrées des patients en termes de satisfaction constitueront notre profil ou index chiffré de QDV. Ces mesures associent des valorisations subjectives à des éléments descriptifs et sont appelées mesures composites.

Pour mesurer la QDV d'une personne dans un contexte de recherche clinique, il est habituel d'utiliser des questionnaires de QDV. On pourrait évaluer la QDV, en demandant à une personne d'estimer son niveau de QDV, sur une échelle de 1 à 10. D'abord le résultat obtenu ne serait que global, peu précis et difficilement interprétable. En effet, comment interpréter une évaluation de QDV à 4,3 ? De plus, face à une telle question, la réponse du sujet est rapide, sans réflexion approfondie sur son existence et son ressenti. Le fait d'utiliser des questionnaires avec des sous-dimensions permet au sujet de cheminer dans l'analyse des différentes facettes de sa vie. L'information obtenue est plus précise, on obtient alors des scores par dimension, à l'intérieur desquelles chaque question peut elle aussi être interprétée.

On peut aussi approcher de façon très différente la QDV d'un groupe d'individus par les mesures économétriques (d'utilité) ou en utilisant l'indicateur QALY (Quality Adjusted Life Years), c'est-à-dire le nombre d'années de vie gagnées ajustées sur la qualité de vie (liée à la santé) (voir chapitre X). Cet indicateur constitue une tentative d'estimation objective de la QDV sans tenir compte de l'opinion directe des intéressés. L'indice des QALY est habituellement utilisé pour évaluer plusieurs thérapeutiques médicales, en comparant les années de survie qu'elles offrent, « ajustées » par un jugement de la qualité de cette survie. Cette méthode permet d'étudier l'impact de certains états morbides et de comparer le coût-bénéfice de certaines interventions qui prolongent la vie au prix d'effets secondaires ou de séquelles physiques, des conséquences psychologiques et/ou sociales. Ces mesures permettent aux professionnels de santé de justifier certains choix thérapeutiques [15]. Elles ne s'intéressent pas au ressenti du patient dans son individualité, mais essaient d'estimer au niveau d'un groupe de patients l'impact d'une intervention thérapeutique et ce, dans un souci de rationalisation des soins et de politique de santé publique.

#### **4. Le choix d'un questionnaire de QDV pour un projet de recherche clinique**

Que la QDV soit le critère de jugement principal ou secondaire de l'étude, sa délimitation conceptuelle dans la population étudiée doit être précisée en fonction des objectifs poursuivis par l'étude. Et ce choix doit être justifié dans le protocole. Ainsi le questionnaire sera choisi en fonction des objectifs de l'étude, de la population étudiée et du concept de QDV choisi.

##### **4.1. Questionnaire générique ou spécifique**

Il existe deux types de questionnaires de QDV, les **questionnaires génériques** et les **questionnaires spécifiques**. Les questionnaires génériques sont élaborés à partir de questionnaires mis au point en population générale. Ils ne peuvent jamais rendre compte avec

détail de la spécificité de chaque pathologie abordée, mais permettent de comparer les résultats de plusieurs études sur différentes populations. Ils sont peu sensibles au changement de l'état de santé. Au contraire, les questionnaires spécifiques évaluent « la partie de la santé, du bien-être ou de la qualité de vie qui est affectée en priorité par la pathologie en question » [13]. L'instrument peut être spécifique d'une pathologie donnée ou d'une population donnée. Un instrument spécifique peut contredire les données apportées par un instrument générique dans la mesure où l'instrument générique ne peut tenir compte des particularités de la population étudiée.

Par exemple, pour un essai thérapeutique concernant l'évaluation d'un nouveau stylo à insuline dans une population d'enfants diabétiques, si on envisage de mesurer la QDV, le questionnaire le plus adapté est un questionnaire spécifique pour les enfants diabétiques en lien avec les aspects spécifiques de la maladie (contrainte des injections 3 fois par jour, rapport aux autres enfants, etc...). L'outil spécifique a dans ce cas toute sa valeur car il aborde toutes les facettes de la QDV de l'enfant en lien avec son diabète.

#### **4.2 Auto-questionnaire versus hétéro-questionnaire**

En règle générale, l'autoévaluation fait l'objet d'un consensus [16]. La personne elle-même est la mieux placée pour évaluer sa propre QDV. La QDV d'un sujet déficient ou atteint d'une maladie chronique ne doit pas être évaluée par un individu valide [16]. La projection de l'évaluateur de ses propres repères d'une vie de qualité fausse son appréciation de la QDV d'un sujet déficient ou malade. Si pour un sujet valide, le fait de pouvoir marcher est souvent inhérent à une vie de qualité, le raisonnement d'un sujet déficient est souvent bien différent.

Concernant l'évaluation de la QDV, l'ensemble du personnel médical et paramédical sous-estime la QDV du patient par rapport à sa propre évaluation [16] [17]. Dans le cadre des maladies neuromusculaires, pour Abresch et al. [18], la ventilation chez le patient porteur



d'une dystrophie musculaire de Duchenne n'a pu se développer que lorsque l'on a commencé à s'intéresser à l'avis du patient pour orienter les choix thérapeutiques. Les médecins jugeant la QDV des patients atteints d'une dystrophie musculaire comme très affectée, avaient tendance à ne pas proposer de traitement qui aurait pu prolonger leur vie. Gibson [19] rapportait aussi qu'une des raisons pour lesquelles les médecins ne recommandaient pas l'assistance ventilatoire aux patients atteints de dystrophie musculaire étaient qu'ils considéraient leur QDV comme mauvaise.

Chez l'enfant, la validité et la reproductibilité de l'évaluation de sa QDV par lui-même ont longtemps été remises en cause ; les parents et les soignants étaient considérés comme plus aptes à décrire la QDV de l'enfant [20] [21] [22]. Cependant, le jugement des adultes à propos des émotions de l'enfant est fondé sur leurs interprétations du comportement de l'enfant, ce qui constitue un biais supplémentaire à cette mesure. De plus, un des risques de l'hétéro-évaluation chez l'enfant est de ne pas prendre en considération des éléments qui sont pertinents pour l'enfant mais méconnus ou sous-estimés par son entourage. Alors que l'adulte perçoit souvent l'hospitalisation comme un événement de santé négatif, certains enfants la considèrent comme une marque de courage, liée à un sentiment d'estime de soi. Il est certain que les professionnels de santé et les parents peuvent fournir une évaluation intéressante du fonctionnement psychologique et physique d'un enfant. Mais nous devons également nous interroger sur la valeur du jugement d'un adulte au sujet du ressenti de l'enfant et sur ses propres perceptions du bien-être. Finalement, le répondant idéal, tout comme chez l'adulte, devrait être l'enfant. A partir de 8 ans, il semble que l'autoévaluation soit fiable, encore faut-il utiliser un questionnaire validé et adapté à cette population.

Mais parfois du fait du très jeune âge, de l'altération des capacités cognitives, ou des troubles du comportement, cette autoévaluation est impossible. L'hétéro-évaluation demeure la seule alternative si l'on veut mesurer la QDV des patients.

### **4.3. Questionnaire d'application facile et adapté à la population d'étude**

Le questionnaire doit être un outil pragmatique et facilement applicable dans la population étudiée. En cas de difficulté de concentration, en particulier chez l'enfant, il ne doit pas être trop long. Les items du questionnaire doivent être facilement compréhensibles par les patients, en évitant par exemple les doubles négations. Le questionnement doit être orienté en fonction de la population étudiée sur des domaines importants de la QDV, domaines variables en fonction de l'âge, du sexe, de l'affection du patient. Par exemple chez l'adulte, un questionnement sur les ressources financières peut-être important [23]. Chez l'adolescent, le questionnaire doit contenir des items sur le corps et son acceptation, sur la relation avec les parents qui constituent des éléments pivots de la QDV à cet âge. Dans une population à motricité déficiente, il faudra veiller à l'absence d'items en lien direct avec la fonction motrice.

Enfin, il ne faudra pas sous-estimer les possibles sentiments de dévalorisation engendrés par les questionnaires de QDV chez le patient. Dans l'idéal, les questionnaires devront contenir à la fois des items négatifs comme « avez vous été stressé(e) ; déprimé(e) ; facilement découragé(e)..... » et des items « positifs » de la QDV comme « êtes vous content(e) ; satisfait(e) de votre vie ; entouré(e) par vos amis .... ». Ainsi les patients ne sont pas interrogés exclusivement sur ce qui ne va pas, mais aussi sur ce qui leur apporte du bien-être.

Les critères pour juger l'acceptabilité du questionnaire dans la population sont le temps de réponse au questionnaire, le nombre de refus de participer, la compliance (nombres d'items renseignés sur la totalité des items).

### **4.4. Un questionnaire possédant de bonnes qualités métrologiques.**

Un bon outil de mesure doit satisfaire certaines qualités métrologiques pour être considéré comme pertinent : sa sensibilité au changement, sa fidélité et sa validité. Ces différentes propriétés sont analysées lors de l'étude de validation d'un questionnaire de QDV.

Ces études de validation sont longues et coûteuses mais elles constituent un passage obligé avant l'utilisation d'un outil dans un essai clinique.

Les questionnaires sont l'objet d'un copyright, ils ne peuvent donc être modifiés ou traduits sans l'autorisation de l'auteur. Dans le cas d'un outil traduit dans une autre langue, il faut d'abord vérifier que la traduction a été faite selon une méthodologie rigoureuse : la validation linguistique. Ensuite vérifier que la traduction a conservé les qualités métrologiques satisfaisantes de l'outil.

#### **4.4.1. La fidélité**

La fidélité (reliability) est la capacité du questionnaire à se comporter de manière fiable et donc de mesurer de manière reproductible la QDV. La fidélité intrajuge ou la reproductibilité (reproductibility) indique la cohérence des mesures. Elle est définie par la stabilité du résultat au cours des mesures répétées, l'état du sujet restant stable pendant ce laps de temps. Elle est à rattacher à la notion de précision de la mesure. La fidélité interjuge est étudiée en effectuant au même moment par deux observateurs une appréciation indépendante. Dans le cas de mesure qualitative comme la QDV, la fidélité des différentes mesures sera évaluée par le coefficient de concordance Kappa (qui s'applique aux jugements qualitatifs).

#### **4.4.2. La cohérence interne**

La cohérence interne (internal consistency) : le coefficient alpha de Crombach évalue la cohérence interne d'un ensemble d'items correspondant à une dimension clinique ; c'est-à-dire la force des inter-corrélations entre items d'une même dimension. Les items de chaque

dimension doivent former un tout cohérent. Plus les items sont liés entre eux, plus le coefficient alpha est proche de 1. En pratique, la cohérence interne doit être assez grande ( $\alpha > 0,70-0,80$ ) mais le coefficient ne doit pas être trop proche de 1 car cela signifie que plusieurs items sont redondants.

#### **4.4.3. La validité**

La validité ou pertinence d'un outil est sa capacité à bien mesurer ce qu'il est censé mesurer.

La validité présente plusieurs facettes. La **validité d'apparence** (face validity) représente le jugement subjectif (fonction de l'utilisateur) prenant en compte les aspects visibles de l'échelle de façon superficielle : la longueur du questionnaire, le libellé des items, les modalités de réponse... La **validité de contenu** (content validity) encore appelée **spécificité** concerne la pertinence du contenu de l'outil établie par un jugement d'experts. Elle juge si les questions sélectionnées représentent bien toutes les facettes du concept à mesurer. La sélection des items retenus pour composer l'outil doit avoir été réalisée par une équipe composée d'experts médicaux, de malades et de psychologues. La **validité contre critère** (criterion validity) représente la mesure d'intensité de lien statistique existant entre la mesure effectuée par l'échelle étudiée et la mesure effectuée par une échelle existante considérée comme la référence. Enfin, la **validité du construit** (construct validity) s'affirme au fur et à mesure que des expériences successives confirment les hypothèses théoriques émises lors de la conception de l'échelle.

#### **4.4.4. La sensibilité au changement**

Un instrument est dit sensible au changement s'il 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.

Un outil est sensible s'il mesure le phénomène étudié avec une finesse suffisante pour permettre de distinguer les individus ou des groupes d'individus. La sensibilité au changement est importante puisqu'elle permet d'évaluer l'évolution de la maladie avec les effets éventuels des thérapeutiques.

#### **4.4.5. Score global ou profil de QDV**

Seule l'homogénéité des questions autorisera l'établissement d'un score global ou index de QDV. Si les différentes dimensions ne sont pas homogènes, on obtiendra un score par dimension et un profil de QDV plus qu'un index global. Certains questionnaires comme le CHQ (Child Health Questionnaire) [24] par exemple ne fourniront qu'un profil de QDV alors que d'autres comme le VSP-A (Vécu Santé Perçu par l'Adolescent) [25] autoriseront l'établissement d'un index global de QDV sur 100.

### **5. Les biais d'interprétation des résultats**

La QDV est un critère de jugement qui peut être utilisé dans tous les types d'étude : descriptive, cas-témoins, cohorte, essai thérapeutique....

Dans le cas d'une étude descriptive, la QDV des patients est mesurée à un instant t comme une mesure supplémentaire permettant de mieux définir la population. La question est de savoir si dans cette population spécifique du fait d'une affection aiguë, d'un traitement au long court ou d'une affection chronique, la QDV des patients est significativement différente de la population générale. Il ne s'agit pas d'interpréter les mesures de QDV en fonction de leur valeur, car il n'existe aucune norme de QDV. Pour l'interprétation d'une mesure de QDV dans une population donnée, nous devons disposer de résultats dans une population dite de référence.

Dans le cas d'une étude cas-témoin, l'interprétation est plus aisée car la comparaison est faite avec la population témoin.

Enfin, dans les études de cohortes et les essais thérapeutiques, intervient la notion de sensibilité au changement car plusieurs mesures de QDV sont réalisées à différents temps d'intervalle. Les questions posées peuvent porter sur l'évolution de la QDV de patients atteints d'une maladie chronique au cours du temps et sur l'impact de la thérapeutique sur cette évolution.

### **5.1 Biais d'interprétation en lien avec le concept même de QDV**

Il n'existe aucune norme de QDV. Les questionnaires permettent dans la majorité des cas de calculer un score par dimension, voire un score global si l'homogénéité du questionnaire le permet. Ces scores sont souvent transformés linéairement en une échelle allant de 0 à 100, 100 indiquant la QDV « la plus favorable » et 0 la QDV « la moins favorable ». Comment interpréter un score de 85 par exemple ? Pouvons nous dire par exemple que le patient a une bonne QDV puisque qu'il se situe dans le quart maximum des résultats mais ne pourrions nous pas aussi dire que sa QDV n'est pas parfaite puisqu'elle n'atteint pas 100% ? Ce type d'interprétation n'a pas lieu d'être, car pour interpréter un score de QDV il faut disposer de données sur une population de référence appariée au moins sur l'âge et le sexe. Par exemple si on évalue la QDV chez les enfants, la période clé de l'adolescence est d'interprétation délicate. En effet, il a pu être montré chez les adolescents sains que, si leur évaluation de QDV était mauvaise, c'est finalement qu'ils allaient plutôt bien en s'inscrivant dans une attitude d'opposition propre à cet âge [4]. Sans la référence à une population d'enfants sains l'interprétation des résultats aurait été erronée.

Dans le cas d'une étude de cohorte ou d'un essai thérapeutique, les biais sont encore plus importants. Si entre deux mesures de QDV encadrant une intervention thérapeutique par exemple, on mesure une augmentation significative de la QDV, le lien de causalité sera évoqué mais difficile à affirmer. Car que s'est-il passé dans la vie de ces patients dans cet

intervalle, ils se sont mariés, ont trouvé un travail qui les épanouissait, ou peut-être ont-ils perdu une personne proche, autant de facteurs difficiles à contrôler dans un essai thérapeutique hormis par un entretien individualisé avec une psychologue. Il ne s'agit pas par ce propos de remettre en cause l'utilité de questionnaire de QDV en recherche clinique, mais seulement de relativiser certaines conclusions et de souligner la prudence avec laquelle il faut interpréter les résultats. Par exemple, dans une étude sur l'impact de la mise en place de la ventilation non invasive chez des patients porteurs d'une dystrophie musculaire, Young et al. [26] concluent à l'effet positif de la ventilation sur la QDV des patients car la QDV demeure stable après mise en place de la VNI, alors que les auteurs postulaient que la QDV devait se dégrader avec l'évolution de la pathologie. Voici un exemple de conclusion très discutable, car rien ne prouvait qu'en l'absence de cette ventilation la QDV de ces patients se serait dégradée [27].

## **5.2. Biais en lien avec la mesure de QDV**

### **5.2.1. Défaut de sensibilité au changement.**

L'utilisation d'une mesure de QDV qui n'est pas sensible au changement peut expliquer l'absence de significativité d'un test de comparaison. Conclure à l'inefficacité thérapeutique serait alors une erreur. Et ceci d'autant plus si la QDV fait partie des critères d'évaluation secondaires dont la progression attendue grâce au traitement n'a pas été prise en compte dans le calcul de la taille d'échantillon.

### **5.2.2. Concept du questionnaire non adapté à la question posée.**

L'intérêt de l'étude peut être remis en cause selon le choix d'une échelle générique ou d'une échelle spécifique ou d'une échelle de QDV liée à la santé ; par exemple quel serait l'intérêt

d'utiliser une échelle de QDV dans laquelle on tiendrait compte des capacités fonctionnelles de déplacement dans l'évaluation d'une population de patients ayant un handicap moteur ?

Si cette étude comportait une comparaison à une population générale on en connaîtrait le résultat d'emblée. Si cette étude testait l'efficacité d'une thérapeutique sur la fonction, n'aurait il pas été plus pertinent d'utiliser une échelle de mesure de la fonction motrice ?

## **Conclusion**

La notion de QDV apparaît comme un concept multidimensionnel, aux définitions variables en fonction de l'évaluateur et des objectifs de l'évaluation. La QDV d'une personne ne peut être assimilée à l'absence de symptôme objectif. Il apparaît que la meilleure évaluation de la QDV en recherche clinique est celle utilisant un questionnaire :

- pour lequel le concept de QDV a été parfaitement défini,
- qui possède de bonnes qualités métrologiques,
- qui s'adresse directement au patient permettant de ne pas passer à coté d'éléments méconnus ou sous-estimés par l'entourage.

Cependant, les profils ou index de QDV doivent être interprétés avec beaucoup de prudence, le bien-être ressenti par une personne tout au long de son existence ne peut être réduit à quelques données chiffrées, si précises et valides soient-elles. Une telle évaluation ne peut se concevoir sans un entretien avec le patient permettant de cerner son histoire et son environnement familial et social afin d'appréhender des domaines inaccessibles par un questionnement standardisé.

## **Références**

- [1] Bénony H. Mesure de la qualité de vie. Ann readapt Med Phys 2001;44 Suppl 1:72-84



- [2] Fallissard B. Valeur scientifique des mesures de qualité de vie et autres mesures subjectives réalisées en recherche clinique ? E-mémoires de l'Académie Nationale de Chirurgie 2004;3(1):19-23
- [3] Fallissard B. Peut-on mesurer la qualité de vie ? In: Groupe d'Etude et de Recherche sur l'Infirmité Motrice d'Origine Cérébrale(éd). « La Qualité de Vie », 15 et 16 mai 2006, Lyon
- [4] Duverger P. Qualité de vie chez l'enfant malade chronique-le cas de la transplantation rénale. In: Groupe d'Etude et de Recherche sur l'Infirmité Motrice d'Origine Cérébrale(éd). « La Qualité de Vie », 15 et 16 mai 2006, Lyon
- [5] Renwick R, Brown I. Quality of Life in Health Promotion and Rehabilitation. In: Brown I. (ed), The Center for Health Promotion's Conceptual Approach to Quality of Life: Being, becoming, and belonging. Thousand Oaks (CA): Sage Publications, 1996. 75-86
- [6] Curran D. Analysis of longitudinal quality of life data with dropout (1998). In: "Three Country Corner" RSS Local Group meeting, The Janssen Research Foundation, 1er Avril 1998, Beerse, Belgique
- [7] Chow SM, Lo SK, Cummins RA. Self-perceived quality of life of children and adolescents with physical disabilities in Hong Kong. Qual Life Res 2005 Mar;14(2):415-23
- [8] Bach JR, Barnett V. Ethical considerations in the management of individuals with severe neuromuscular disorders. *Am J Phys Med Rehabil.* 1994;73(2):134-140.
- [9] Bach JR, Vega J, Major J, Friedman A. Spinal muscular atrophy type 1 quality of life. *Am J Phys Med Rehabil* 2003;82:137-42
- [10] The WHOQOL Group. The development of the World Health Organization quality of life assessment instrument (the WHOQOL). In: Orley J, Kuyken W (Eds), Quality of Life Assessment: International Perspectives. Heidelberg: Springer Verlag, 1994
- [11] Drotar D. Validating measures of paediatric health status, functional status, and health-related quality of life: key methodological challenges and strategies. *Amb Paediatr* 2004;4:358-64
- [12] Patrick DL, Erickson P. Health status and health policy: quality of life in health care evaluation and resource allocation. New York: Oxford University Press, 1992
- [13] Leplège A. Les mesures de la qualité de vie. Paris: PUF, 1999. Que sais-je;3506
- [14] Bergson H. Essai sur les données immédiates de la conscience. Paris Alcan, 1889

- [15] Guyatt GH, Feeny DH, Patrick DL. Measuring health-related quality of life. *Ann Intern Med* 1993 Apr 15;118(8):622-9
- [16] Bach JR, Barnett V. Ethical considerations in the management of individuals with severe neuromuscular disorders. *Am J Phys Med Rehabil* 1994 Apr;73(2):134-40
- [17] Bach JR, Campagnolo DI, Hoeman S. Life satisfaction of individuals with Duchenne muscular dystrophy using long-term mechanical ventilatory support. *Am J Phys Med Rehabil* 1991;70:129-35
- [18] Abresch RT, Seyden NK, Wineinger MA. Quality of life. Issues for persons with neuromuscular diseases. *Phys Med Rehabil Clin N Am* 1998;9:233-48
- [19] Gibson B. Long-term ventilation for patients with Duchenne muscular dystrophy. Physicians' beliefs and practices. *Chest* 2001;119:940-6
- [20] Achenbach T M, McConaughy SH, Howell CT. Child/adolescent behavioural and emotional problems: implications of cross-informant correlations for situational specificity. *Psychol Bull* 1987;101:213-32
- [21] Herjanic B, Herjanic M, Brown F, Wheatt T. Are children reliable reporters? *J Abnorm Child Psychol* 1975;3(1):41-8
- [22] Seaberg, JR. Child well-being scales: A critique. *Soc Work Res Abstr* 1988;24: 9-15
- [23] Borgel F, Mémin B, Perret J. Réadaptation et concept de qualité de vie : critique des outils de mesure du subjectif. *Ann Readapt Med Phys* 1991;34:75-80
- [24] Landgraf J, Abetz NL. Measuring health outcomes in paediatric population: issues in psychometrics and application. In: Spilker B (Ed), *Quality of life and pharmacoeconomics in clinical trials*. Philadelphia: Lippincott-Raven, 1996. 793-802
- [25] Simeoni MC, Auquier P, Antoniotti S, Sapin C, San Marco JL. Validation of a French health-related quality of life instrument for adolescents: the VSP-A. *Qual Life Res* 2000;9(4):393-403
- [26] Young HK, Lowe A, Fitzgerald DA, et al. Outcome of noninvasive ventilation in children with neuromuscular disease. *Neurology* 2007;68:198-201
- [27] Vuillerot C, Hodgkinson I, Bissery A, Schott-Pethelaz AM, Iwaz J, Ecochard R, D'Anjou MC, Commare MC, Berard C. Self-Perception of Quality of Life by Adolescents with Neuromuscular Diseases. *Journal of adolescent health* 2010;46:70-76
- [28] Bergner M, Bobbitt RA, Pollard WE, Martin DP, Gilson BS. The sickness impact profile: validation of a health status measure. *Med Care*. 1976 Jan;14(1):57-67.