

BONNES PRATIQUES POUR SELECTIONNER UN PROM : UNE APPROCHE METHODIQUE EN 5 ETAPES CLEFS



Article écrit par

Mohammed Bennani,
QUALEES

Céline Fabre, HORIANA

Lise Radoszycki, CARENITY

Membres du groupe de travail
RWD de l'AFCROs

03/2025

Objet : identifier le PROM le plus approprié pour un sujet donné et une population cible, garantissant des mesures pertinentes et fiables pour l'évaluation des résultats de santé rapportés par les patients

Les *Patient-Reported Outcome Measures* (PROMs) jouent un rôle central dans l'évaluation des résultats de santé, en donnant directement la parole aux patients sur leur qualité de vie, leur bien-être ou encore l'impact des soins reçus. Cependant, le choix d'un PROM approprié peut s'avérer complexe. Il nécessite une démarche méthodique, alliant rigueur scientifique et prise en compte des contraintes pratiques et contextuelles. Identifier le bon indicateur implique de sélectionner un outil fiable, valide, sensible au changement et adapté à la population cible.

Cet article propose une méthode structurée pour choisir un PROM pertinent, en s'appuyant sur des critères psychométriques, des dimensions pratiques et une approche collaborative impliquant toutes les parties prenantes.

ETAPE 1 :

Identifier les instruments qui répondent aux objectifs de la recherche

La sélection du PROM commence lorsque l'objectif de la recherche a été défini et que l'on sait précisément quel aspect de la santé ou de la qualité de vie sera mesuré. Cette sélection repose sur une revue systématique de la littérature et l'exploration de bases de données spécialisées.

La 1ère étape de cette revue systématique consiste à élaborer une stratégie de recherche en définissant les mots-clés et les termes d'indexation liés au domaine évalué. On identifie ensuite les bases de données pertinentes comme PubMed, Embase, PsycINFO (base de données bibliographique spécialisée dans les sciences psychologiques et comportementales), et CINAHL (*Cumulative Index to Nursing and Allied Health Literature*) afin de réaliser une revue exhaustive. Pour les PROMs spécifiques, des plateformes comme PROQOLID (*Patient-Reported Outcome and Quality Of Life Instruments Database*), COSMIN database (*COnsensus-based Standards for the selection of health Measurement Instruments*), ou PROMIS (*Patient-Reported Outcomes Measurement Information System*) permettent d'obtenir des informations détaillées sur les PROM existants, allant de leurs caractéristiques psychométriques à leurs champs d'application.

ETAPE 2 :

Evaluer les propriétés psychométriques des PROMs

Il faut ensuite sélectionner les articles répondant aux critères définis et évaluer leur pertinence par le biais d'une lecture complète. Afin de garantir que le PROM sélectionné est adapté aux objectifs de la recherche et de la pratique clinique, il faut évaluer ses propriétés psychométriques. Cette évaluation est une étape clé pour garantir qu'il est fiable et adapté à son contexte d'utilisation. Voici les principales étapes pour analyser ces critères :

- **Evaluer la validité**, c'est-à-dire confirmer que le PROM mesure ce qu'il prétend mesurer. On distingue plusieurs types de validité : la **validité de contenu** (correspondance entre les items du PROM et le concept ciblé), la **validité de construit** (lien entre le PROM et des concepts théoriques, évaluée selon trois méthodes : corrélations avec une autre version du même instrument, corrélations convergentes et divergentes et analyse factorielle) et la **validité de critère** (comparaison du PROM avec un "gold standard" ou un autre instrument susceptible de mesurer le même concept).
- **Evaluer la fiabilité**, c'est-à-dire valider que le PROM est reproductible et précis. On évalue la cohérence interne (homogénéité entre les items d'un même domaine), la fiabilité test-retest (stabilité des résultats dans le temps) et la fiabilité inter-évaluateurs (accord entre différents évaluateurs).
- **Evaluer la sensibilité au changement** (erreur standard de mesure, changement minimal détectable...) pour vérifier que le PROM détecte bien les variations cliniquement significatives.

ETAPE 3 : Considérer les contraintes pratiques de l'étude

Au-delà des critères scientifiques et psychométriques, il est important de prendre en compte les contraintes pratiques pour garantir la faisabilité de l'administration du PROM dans le contexte spécifique de l'étude.

Les principales dimensions à prendre en compte sont :

- **Le temps nécessaire pour remplir le questionnaire** : des questionnaires trop longs ou complexes peuvent décourager les participants, entraînant un taux de réponse plus faible ou des données incomplètes.
- **Le format d'administration** : qu'il soit proposé sur papier, en version électronique, ou encore sous forme vocale, le format du PROM doit être ergonomique pour permettre une complétion intuitive du questionnaire. Aussi, le format sélectionné doit correspondre aux capacités technologiques des utilisateurs et des structures impliquées. Pour les versions électroniques, il convient de vérifier la fiabilité et l'interopérabilité des systèmes pour éviter toute altération ou perte de données.
- **L'accessibilité et la simplicité d'utilisation** : le PROM doit être adapté aux besoins spécifiques des personnes interrogées (personnes âgées, patients atteints de déficiences cognitives, ou ayant des limitations physiques...). L'adaptation du format comprend par exemple, l'utilisation de versions simplifiées ou audios du questionnaire, la possibilité d'avoir l'aide d'un accompagnateur, l'augmentation du contraste et de la taille des caractères ou encore le recours à un lecteur d'écran ou à un support vocal interactif.
- **Les contraintes logistiques** : certains PROMs nécessitent le paiement d'une licence ou des frais d'utilisation, ce qui peut constituer une contrainte budgétaire, notamment pour des études à grande échelle. Il est également important de vérifier si le PROM dispose de traductions validées pour les populations étudiées afin de garantir une collecte uniforme des données. Lorsque les traductions ou les versions électroniques ne sont pas disponibles, le temps de validation doit être pris en compte dans le calendrier du projet.

En tenant compte de ces aspects pratiques, le PROM sélectionné sera non seulement adapté à l'objectif de l'étude, mais favorisera également une bonne utilisation dans des conditions réelles.

ETAPE 4 :

Prendre en compte l'avis de l'ensemble des acteurs

Outre les aspects scientifiques et pratiques, il est essentiel d'impliquer l'ensemble des parties prenantes (patients, cliniciens, chercheurs, décideurs de santé...) dans le choix d'un PROM. Cette collaboration garantit que l'outil réponde aux attentes de chacun, favorisant ainsi sa pertinence et son adoption.

Ainsi, il est intéressant de recueillir l'avis des patients sur la pertinence des questions posées et leur capacité à refléter fidèlement le vécu de la maladie. Leur contribution permet également d'identifier des obstacles à la bonne complétion du PROM comme des formulations ambiguës, des questions intrusives, ou un manque d'ergonomie. La perspective des cliniciens permet d'apporter un éclairage sur l'intérêt du PROM pour la prise de décisions cliniques et l'optimisation des parcours de soins. Les chercheurs, quant à eux, contribuent à l'évaluation de la robustesse méthodologique et au respect des standards en vigueur. Enfin, les décideurs de santé, comme les représentants d'agences réglementaires, jugent de la pertinence du PROM dans un contexte de santé publique ou d'évaluation médico-économique.

Pour structurer et organiser cette consultation, diverses méthodes sont envisageables : la constitution d'un comité d'experts, la conduite de *focus groups* ou d'entretiens individuels, etc. Il peut également être pertinent de réaliser un pilote pour tester en conditions réelles l'ergonomie et la pertinence du questionnaire.

Cette approche collaborative garantit un PROM accepté, compris et utilisé efficacement, renforçant la qualité des données collectées et l'impact global du projet.

ETAPE 5 :

Comparer chaque instrument et sélectionner le mieux adapté à l'étude

Après avoir réalisé les 4 premières étapes du processus (revue de la littérature et des recommandations, évaluation des propriétés psychométriques et des contraintes logistiques, collaboration avec les acteurs de la recherche) un tableau comparatif peut aider à choisir le PROM qui est le plus adapté à un sujet donné et une population cible. Il est important de rédiger un rapport détaillant la stratégie d'identification des PROMs, les critères de sélection et les raisons justifiant le choix final, afin de garantir la transparence et la reproductibilité de l'approche.

En suivant ces étapes, il est possible de sélectionner un indicateur PROM basé sur des preuves solides et adapté aux besoins spécifiques du projet.

EN PRATIQUE :

3 exemples d'outils permettant de standardiser la sélection des PROMs

L'utilisation de cadres méthodologiques standardisés est essentielle pour garantir une sélection rigoureuse et adaptée des PROMs. Ces outils permettent d'assurer que les mesures choisies répondent à des critères de qualité élevés et sont pertinentes pour la population cible, le domaine clinique et les objectifs de l'étude.

COSMIN

Le cadre COSMIN (*C*onsensus-based *S*tandards for the selection of health *M*easurement *I*nstruments) est une référence clé dans l'évaluation et la sélection des PROMs. Il vous guide pour identifier les PROMs pertinents, évaluer les études sur leurs propriétés psychométriques et classer ces instruments en fonction de leur robustesse. Il fournit :

- Des standards pour évaluer les propriétés psychométriques
- Une méthodologie pour réaliser une revue systématique des PROMs

Un outil pratique (*COSMIN Risk of Bias checklist*) : Cette checklist aide à évaluer la qualité des études publiées sur les PROMs et à minimiser les biais lors de leur sélection.

OMERACT

Le cadre OMERACT (*Outcome Measures in Rheumatology*) est spécialisé dans les mesures des résultats en rhumatologie, mais sa méthodologie peut être appliquée à d'autres domaines. Il se concentre sur :

- **La pertinence clinique** : L'outil reflète-t-il les priorités des patients et des cliniciens ?
- **La faisabilité** : Le PROM peut-il être utilisé facilement en pratique clinique ?
- **La validation scientifique** : L'outil est-il fiable et précis ?

PROMIS

Le système PROMIS (*Patient-Reported Outcomes Measurement Information System*) offre une collection de PROMs validés couvrant de multiples domaines (douleur, fatigue, qualité de vie, etc.) et aires thérapeutiques. Il propose des instruments basés sur des modèles modernes comme la théorie de réponse aux items (TRI) pour :

- Améliorer la précision des mesures.
- Offrir une administration flexible (courtes versions adaptées aux besoins des patients)

L'ensemble de ce processus garantit que l'outil sélectionné réponde aux objectifs de l'étude, tout en étant compréhensible, accessible et adapté au contexte spécifique. En impliquant patients, cliniciens, chercheurs et décideurs, il est possible d'identifier des PROMs qui reflètent fidèlement l'expérience des patients tout en soutenant une prise de décision clinique et stratégique éclairée. Ces bonnes pratiques contribuent non seulement à la qualité des données collectées, mais aussi à la pertinence des actions de santé publique et à l'amélioration des parcours de soins. En s'appuyant sur cette approche méthodique, les chercheurs et les praticiens peuvent maximiser l'impact des PROMs, en plaçant véritablement le patient au cœur de l'évaluation des résultats de santé.