



CARE-MD

Comprehensive Academic Research Education for Medical Disciplines

Initiation à la méthodologie de la recherche clinique

Module 2 : Les études descriptives

BEKER 2025/2026

Professeur Samira ABROUK



Building a Research-Driven Medical Future



Les études descriptives

- **Un seul groupe d'individus**
- **Description de la situation à un instant t : Etudes transversales**
 - Particulièrement adaptées aux études de prévalence, ou de manière générale pour estimer un paramètre à un instant t (pourcentage, moyenne, ...)
- **Evolution de la situation lors du suivi des patients : Etude cohorte ou étude longitudinale**
 - Particulièrement adaptées aux études d'incidence; on s'intéresse au nombre de patients qui vont présenter au cours du suivi l'évènement étudié

Méthodologie d'une étude descriptive transversale

COMPREND PLUSIEURS PARTIES :

- **Type d'étude**
- **La population d'étude**
- **L'échantillonnage** (Taille minimale, méthode de constitution de l'échantillon) +++
- **Organisation de l'étude** : Modalités de recrutement des patients, explications détaillées sur le déroulement de la consultation: Anamnèse, examens cliniques et biologiques permettent de répondre aux objectifs de l'étude
- **Plan d'analyse statistique** : Basé sur la statistique descriptive (pour l'objectif principal), éventuellement sur des analyses statistiques uni ou multi variées (pour répondre aux objectifs secondaires),

Méthodologie d'une étude descriptive longitudinale

- ♦ Enquête au cours de laquelle des informations sont recueillies de façon longitudinale, c'est-à-dire tout au long de l'étude. La durée de l'étude est définie et peut être assez longue (plusieurs années). Elle peut être prospective ou rétrospective.
- ♦ **Les différentes parties du protocole** : **Justificatif / Introduction, Population de l'étude, Echantillonnage** (Taille minimale de l'échantillon, constitution de l'échantillon), **Organisation de l'étude**, en détaillant le déroulement des différentes consultations, terminer ce chapitre avec un calendrier récapitulatif à la fin.
- ♦ **Le plan d'analyse statistique** : répond aux objectifs de l'étude

Mesures de fréquence dans les études descriptives

- Les mesures de fréquence les plus utilisées sont:
 - la prévalence : étude de type transversal
 - l'incidence : étude de type longitudinal

La prévalence d'une maladie quantifie la proportion d'individus d'une population, atteints de la maladie à un moment précis

$p_0 = (\text{Nombre de cas de la maladie à un moment donné}) / \text{Population étudiée}$

Exemple : Prévalence de l'ACFA dans la population masculine âgée de plus de 50 ans

La mesure de la prévalence est estimée au niveau d'un échantillon représentatif de la population étudiée, puis généralisée à la population totale

Mesures de fréquence dans les études descriptives (2)

- Contrairement à la prévalence, l'incidence quantifie le nombre d'évènements ou cas de la maladie, nouveaux, survenus en un temps donné, dans une population d'individus soumis au risque
- L'incidence comporte deux mesures spécifiques :
 - L'incidence cumulative (IC)
 - Le taux ou densité d'incidence (TI)

IC = Nouveaux cas d'une maladie au cours d'une période donnée / Population à risque

TI = Nouveaux cas d'une maladie au cours d'une période donnée / Personnes-temps

Mesures de fréquence dans les études descriptives (3)

Exercice d'application

Les données de cet exercice ont été modifiées et ne correspondent pas à la réalité

Dans un échantillon de 300 patients asthmatiques mis sous Respicure durant une période de 3 mois, 4 ont développé des effets indésirables graves respectivement à 30j, 40j, 50j et 70j)

Incidence cumulative et taux d'incidence des lésions précancéreuses dans l'année qui a suivi l'exposition ?

- Incidence cumulative IC : $4 / 300 = 0,013$ ou 1,3%
- Taux d'incidence

Numérateur = 4 Dénominateur = $296(90) + 1(30) + 1(40) + 1(50) + 1(70) = 26830$ patients-jours,

TI = $4 / 26830 = 0,0149$ cas pour 100 patients-jours ou $0,0149 * 90 = 1,34$ cas pour 100 patients-trimestre.

Lorsque l'évènement étudié est fréquent, le taux d'incidence est plus élevé que l'incidence cumulative

Lorsque l'évènement étudié est rare, on peut confondre incidence cumulative et taux d'incidence.

Mesures standardisées

Tranche d'âge	Prévalences observées	Effectif dans la population mondiale
50-54	p_{01}	n_1
50-54	p_{02}	n_2
60-64	-	-
65-69	-	-
70-74	-	-
75-79		
≥ 80 ans	p_{0k}	n_k
Total		N

Prévalence standardisée par rapport à la population générale:

$$p_{0s} = (n_1 p_{01} + n_2 p_{02} + \dots + n_k p_{0k}) / N$$

Etudes descriptives

Calcul de la taille minimale de l'échantillon

- Critère de jugement qualitatif : Survenue ou non d'un événement

$$n = z_{\alpha/2}^2 \frac{p_0 q_0}{i^2}$$

- Critère de jugement quantitatif :

Exemple : Evolution de la FEVG chez les patients atteintes de cancer du sein non métastatique HER2+ mises sous Trastuzumab après 12 mois de traitement

$$n = z_{\alpha/2}^2 \frac{s^2}{i^2}$$

Etudes descriptives

Éléments de statistique descriptive

Type de variables à décrire :

- Variables quantitatives
 - **Variables discrètes** : Nombre de personnes vivant sous le même toit
 - **Variables continues** : Dosage biologique
- Variables qualitatives
 - **Ordinales**: Niveau d'études; Stade de gravité d'une maladie
 - **Nominales**: Groupage sanguin; Sexe; Malade/Non malade

Etudes descriptives

Eléments de statistique descriptive

Variable quantitative

Les valeurs prises par la variable chez les individus de l'échantillon (**série statistique**) sont généralement résumées par:

1- **ses paramètres de tendance centrale :**

- La moyenne
- La médiane

2- **ses paramètres de dispersion :**

- La variance
- L'écart-type
- Les quartiles
- L'erreur-type = Ecart-type de la moyenne

Etudes descriptives

Éléments de statistique descriptive

Variable qualitative

Une variable qualitative est décrite par:

- Les différentes modalités que prend la variable
- Les effectifs correspondant aux différentes modalités
- Les pourcentages correspondant aux différentes modalités

Etudes descriptives

Éléments de statistique descriptive

Intervalle de confiance

- Les variables quantitatives sont généralement estimées à l'aide de la moyenne et de l'écart-type observés à partir des données de l'échantillon $m \pm s$
- Les variables qualitatives sont généralement estimées par le pourcentage observé p_0 à partir des données de l'échantillon.
- L'extrapolation à la population d'étude se fait à l'aide **de l'intervalle de confiance à 95%**. C'est l'intervalle (a b) qui a 95% de chances de contenir la vraie valeur du paramètre (*celle correspondant à toute la population d'étude*) ou encore que la probabilité pour que la vraie valeur (μ , p , ...) se situe dans l'intervalle de confiance (a b) est égale à 0,95.

■ Intervalle de confiance d'un pourcentage (Prévalence, Incidence)

Grands échantillons : $np \geq 5$ et $n(1-p) \geq 5$

$$p_0 \pm z_{\alpha/2} \sqrt{\frac{p_0 q_0}{n}}$$

Conditions d'utilisation :

$np_i \geq 5$ et $nq_i \geq 5$, p_i étant la borne inférieure de l'IC

$np_s \geq 5$ et $nq_s \geq 5$, p_s étant la borne supérieure de l'IC

Lorsque les conditions ne sont pas respectées, on a recours à la table de l'IC

■ Intervalle de confiance d'une moyenne

- Grands échantillons $n \geq 30$ $m \pm z_{\alpha/2} \sqrt{\frac{s^2}{n}}$
- Petits échantillons $n < 30$: Vérifier la normalité de la distribution

$$m \pm t_{n-1, \alpha/2} \sqrt{\frac{s^2}{n}}$$

Etudes descriptives

Éléments de statistique descriptive

■ Calcul de la taille minimale de l'échantillon

- Basé sur l'intervalle de confiance à 95%

■ Critère de jugement qualitatif à 2 modalités

$$n = \frac{3,84p_0q_0}{i^2}, \text{ } p_0 \text{ pourcentage connu et } i \text{ degré de précision}$$

■ Critère de jugement quantitatif

$$n = \frac{3,84s^2}{i^2}, \text{ } s^2 \text{ variance connue et } i \text{ degré de précision}$$