

Mémoire pour le diplôme de Master 2 en recherche Éthique et Bioéthique

Petite taille idiopathique et traitement par hormone de croissance : déterminants d'un positionnement médical

Anna CRESSEAU

Dirigée par M. Jean-Claude K. Dupont, Docteur en Philosophie

PLAN

1 – CONTEXTE

2 – QUESTION DE RECHERCHE

3 – METHODE

4 – RESULTATS

5 – DISCUSSION

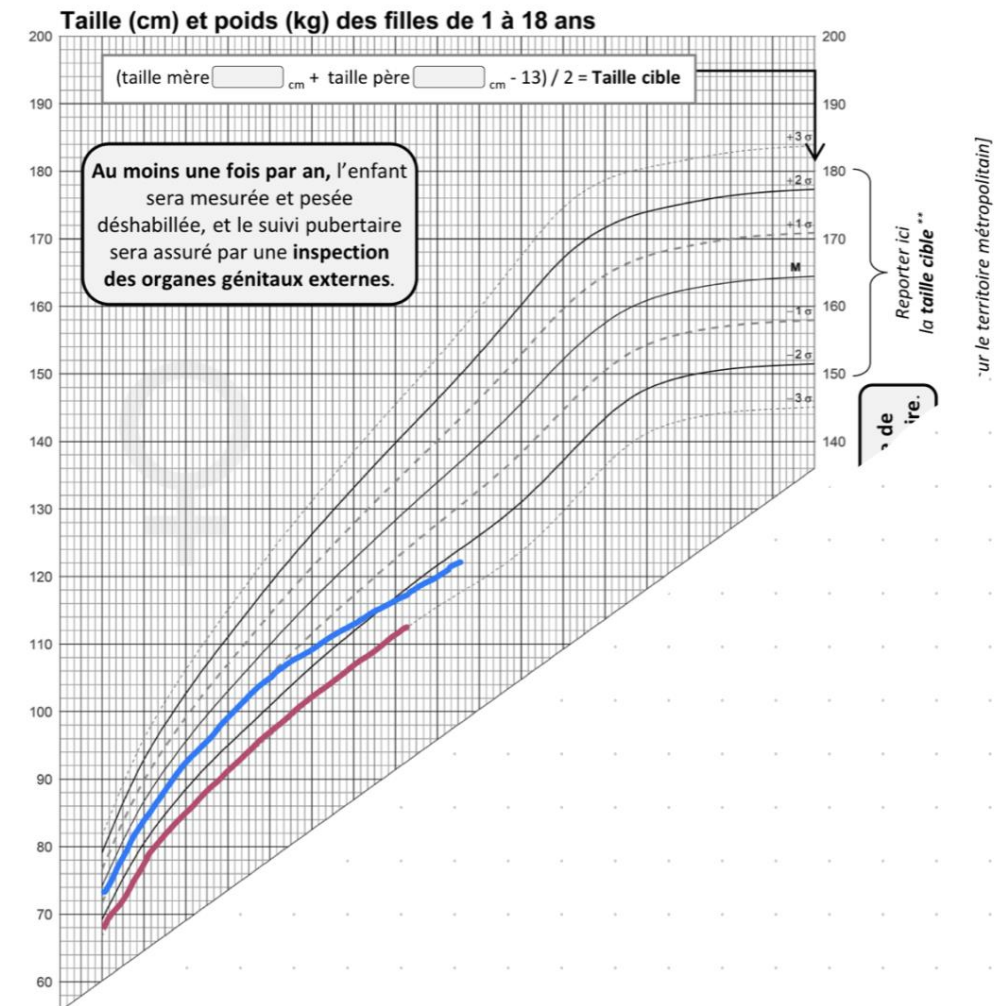
6 - CONCLUSION

Petite taille idiopathique

Constat clinique → retard statural

- Croissance staturale en dessous de la courbe « -2 DS ».
- Croissance inférieure à -1.5 DS de la taille cible génétique.
- Un infléchissement de la courbe de croissance.

Déviati standard	♀ Femme	♂ Homme
- 2 DS	151,5 cm	162 cm
- 2,5 DS	148 cm	158 cm
- 3 DS	145 cm	154,5 cm



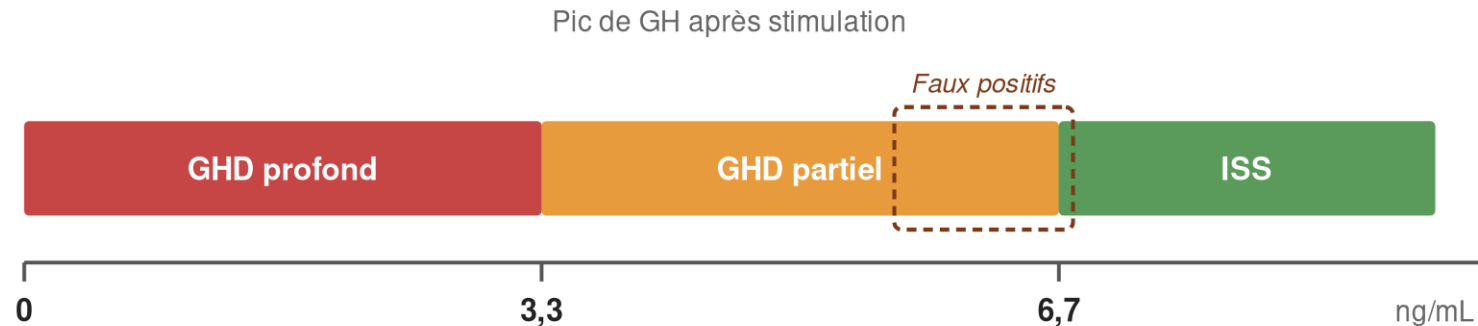
Explorations paracliniques

Biologie sanguine

+/- Radiographies osseuses

Test « GH » : dépister un déficit biologique en hormone de croissance

+/- Dépistage génétique



Classifications étiologiques

Déficit biologique en GH

2 tests GH « déficitaires »

— ou —

1 test GH déficitaire +
anomalie IRM / irradiation

Autres étiologies

Causes génétiques

Turner · Prader-Willi · Noonan
Mutation SHOX

Maladie chronique

Insuffisance rénale

Cause fœtale

Nés petits pour l'âge gestationnel

Petite taille idiopathique

Diagnostic d'exclusion

Aucune étiologie identifiée

70–80 %

des enfants pour retard statural

Traitement par GH

Déficit biologique en GH

2 tests GH « déficitaires »

— ou —

1 test GH déficitaire +
anomalie IRM / irradiation

Autres étiologies

Causes génétiques

Turner · Prader-Willi · Noonan
Mutation SHOX

Maladie chronique

Insuffisance rénale

Cause fœtale

Nés petits pour l'âge gestationnel

Petite taille idiopathique

Diagnostic d'exclusion

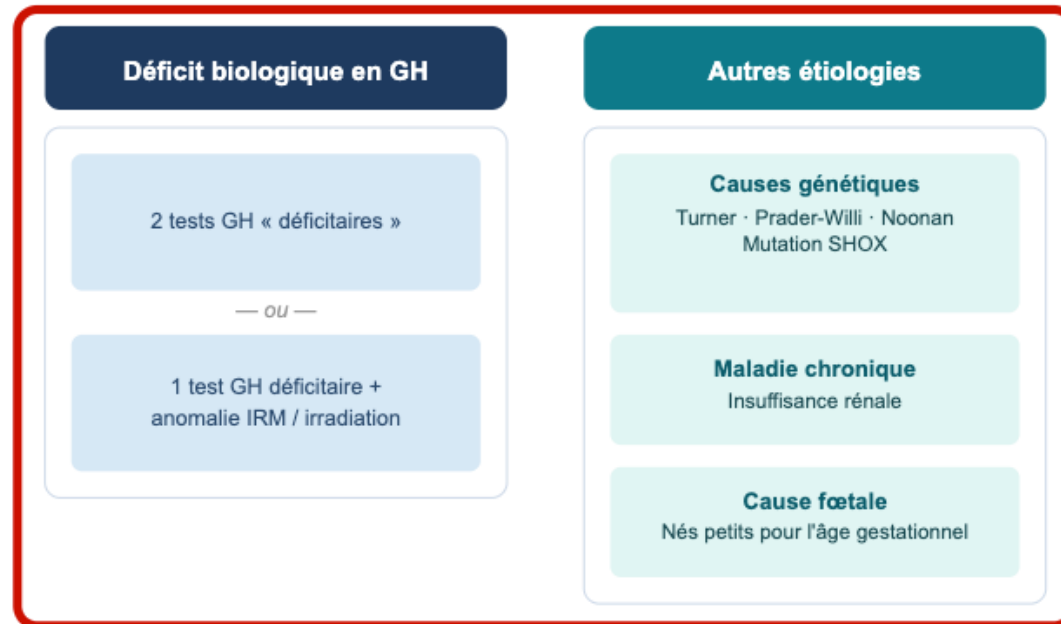
Aucune étiologie identifiée

70–80 %

des enfants pour retard statural

AMM pour le traitement par GH

Traitement par GH



AMM pour le traitement par GH

Petite taille idiopathique

Diagnostic d'exclusion
Aucune étiologie identifiée

70–80 %
des enfants pour retard statural

↳ **Doit-on proposer le traitement par hormone de croissance à certains de ces enfants ?**

Prescription
hors AMM

Elargissement
de l'AMM

Traitement par GH

40 années de recul

Efficacité Pour les petites tailles idiopathiques	Risques	Pénibilité	Coût
- Grande hétérogénéité - Gain total : 3 à 7 cm (+ 1 cm/an) - Gain qualité de vie débattu	- Effets indésirables rares (1/1000) - Pas de surrisques démontrés pour : cancer, mortalité toute cause confondue.	- Injection sous cutanée 6 à 7 jours/7	- Prise en charge à 100 % dans les AMM 5-14 000 € / année

CONTEXTE

QUESTION

METHODE

RESULTATS

DISCUSSION

CONCLUSION

Incertitude
diagnostique

Incertitude
thérapeutique

Une décision complexe

Demande
familiale

Prescription
hors-AMM

Cadre théorique

Petite taille → normalité ou malades à prendre en charge ?

Normal : sens statistique VS sens moral .

Anomalie : concept descriptif, ce qui s'éloigne de la norme → ne constitue pas nécessairement une pathologie.

Pathologie : le discours sur la souffrance.

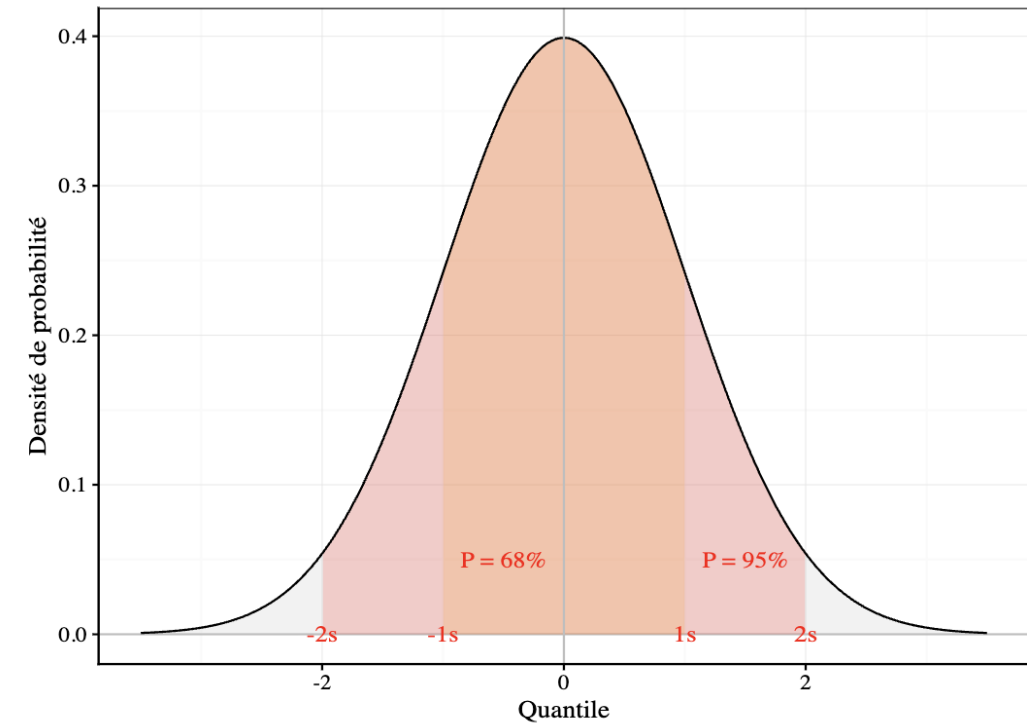
- Anormale sur le plan normatif (non souhaitable).
- Normale sur le plan statistique (existe, fait partie de la vie).

Cadre théorique

Endocrinologie → médecine des seuils

Suppose une frontière nette entre le normal et le pathologique.

- Test déficitaire → enfant malade, traitement disponible.
- Test non déficitaire → enfant normal, pas de suivi.



Distribution normale d'une variable continue, avec les aires centrales autour de 1 et 2 écarts types

CONTEXTE

QUESTION

METHODE

RESULTATS

DISCUSSION

CONCLUSION

Cadre théorique

2 visions de la médecine

Vision biostatistique

physiologie

Vision clinique

souffrance

Cadre théorique

Médicalisation = processus par lequel les institutions médicales catégorisent et prennent en charge des phénomènes physiques ou comportementaux qui ne relevait jusqu'alors pas du champ de la médecine

Un moyen pour l'individu de se réapproprier son corps ?

- Reconnaissance de la souffrance
- Sentiment d'être entendu
- Redonner le pouvoir d'agir
- Amélioration de la qualité de vie
- Accroissement des connaissances

Un moyen de contrôle de la société sur le corps des individus ?

- Caractère normatif de la thérapeutique
- Risque de stigmatisation
- Impact sur la perception de son corps

CONTEXTE

QUESTION

METHODE

RESULTATS

DISCUSSION

CONCLUSION

Cadre théorique

Risque d'inégalités ?

Inégalités sociales
(Davies et al. UK)

Inégalités ethniques
(Grimberg et al. EU)

Relative au médecin
(Cutler EU)

CONTEXTE

QUESTION

METHODE

RESULTATS

DISCUSSION

CONCLUSION

Incertitude
diagnostique

Incertitude
thérapeutique

Prescription
hors-AMM

Une décision complexe

Risques
d'iniquité de
prise en
charge ?

Impact de la
médicalisation

Demande
parentale VS
demande de
l'enfant

HYPOTHESES

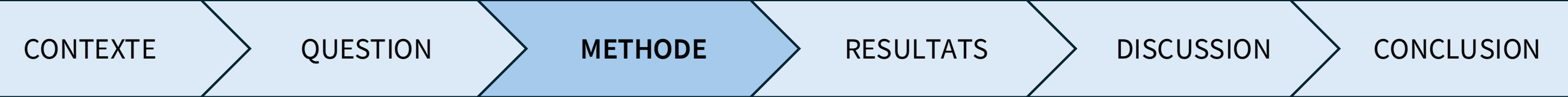
Hétérogénéité des pratiques

Importance des représentations du médecin dans son positionnement



QUESTION DE RECHERCHE

Quelles représentations de la PTI les pédiatres endocrinologues ont-ils ? Et comment perçoivent-ils les enjeux de prise en charge de ces patients ?



Entretiens semi-dirigés
Guide d’entretien

12
Entretiens en région parisienne

25 – 92
minutes

5 CHU + ville

Analyse thématique

Points de convergences

Enfant en bonne santé
Abstention thérapeutique non dangereuse

« Des enfants qui sont en bonne santé et qui ont une taille dans les limites de la normale » E8

Demande parentale forte

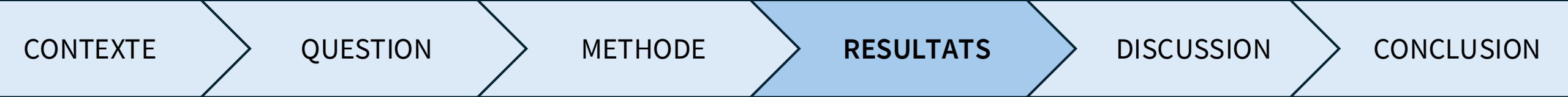
« Ça m'est arrivé d'avoir des parents qui veulent absolument et le gamin qui ne veut pas » E1

Souffrance dans certains cas

« C'est hyper variable d'un enfant à l'autre. (...) Certains vont arriver avec un ressenti psychologique énorme, moquerie à l'école, nécessité de changement d'école » E2

Pénibilité du traitement

« Ce n'est quand même pas rien comme traitement. C'est lourd en termes de faire des piqûres tous les jours » E7.



Spécificité du traitement par GH

Evocation du coût	Place de la collégialité
« <i>Jusqu’où on va, de façon éthique, pour le confort du patient ? Parce que ça coute des sous à la société.</i> » E8 « <i>C'est un traitement qui est cher et qui n'intervient pas sur la santé de l'enfant.</i> C'est un contexte particulier qui ne correspond pas à une chimiothérapie qui n'était pas validée, mais qui est mise en protocole » E5	Besoin de partager la responsabilité d'une prescription autant que de discuter de son indication.

Hétérogénéité des pratiques

« Il y a des centres qui, vraiment, n'écoutent que l'AMM et il y a des centres qui écoutent beaucoup le ressenti psychologique. De savoir qui a raison, qui a tort, c'est très difficile » E9.

« J'ai découvert l'hétérogénéité des pratiques de prescription, pas à l'échelle juste de Paris qui est déjà très hétérogène, pas à l'échelle de mon service qui est déjà très hétérogène, mais à l'échelle de la France » E12.

Refus du hors AMM

« Je vais essayer de me baser vraiment sur les indications médicales » E4.

Prescription hors AMM

« J'essaie d'aborder avec empathie, de penser que dans la vie de cet enfant et de cette famille, là, je peux filer un coup de main en répondant à sa demande et en l'accompagnant comme ça » E5.

CONTEXTE

QUESTION

METHODE

RESULTATS

DISCUSSION

CONCLUSION

Déterminants d'un positionnement

PATIENT

pronostic de taille + souffrance manifeste

MEDECIN

INSTITUTIONNELS

« effet centre »

STRUCTURELS

Ville / Hôpital
Collégialité

INDIVIDUELS

Valeurs & représentations

Déterminants institutionnels

« Je n'ai que **l'école** [CHU1] » E4

« des affaires **d'écoles** » E5

« Je viens d'une **équipe** assez détendue sur l'hormone de croissance, donc j'ai un biais » E9

« C'est **centre dépendant**, bien sûr, il y a des centres qui traitent plus ou moins » E10

« Mais après, moi, **j'ai grandi** dans une équipe » E4

« Moi, **j'étais formée** comme ça avec [CHU3] aussi » E7

➔ Les institutions ne se contentent pas d'organiser les pratiques, elles **structurent les modes de raisonnement**.

CONTEXTE

QUESTION

METHODE

RESULTATS

DISCUSSION

CONCLUSION

Déterminants structurels

VILLE

HOPITAL

« Prendre seule la responsabilité, c'est plus complexe que de la prendre en équipe » E4

Déterminants individuels

~~Caractère
pathologique PTI ?~~

~~Avis du
médecin sur
l'importance de
la taille~~

Avis au sujet de
l'efficacité du
traitement

~~Perception de la
souffrance~~

Avis concernant le
rôle du médecin

Déterminants individuels (1) : efficacité

« De toute façon le traitement GH c'est globalement un assez mauvais traitement qui ne fonctionne pas très bien et qui est survenu en termes d'efficacité » E1

Plutôt non
prescripteurs

« Si on fait bien le traitement, il est marquant, le changement (...) ils vont se voir changer de vêtements pour mettre des vêtements plus grands. (...) Pouvoir faire telle ou telle attraction au parc d'attraction, pouvoir attraper tel ou tel truc dans le placard » E5

Plutôt
prescripteurs

Déterminants individuels (2) : Rôle du médecin

Profil « Evidence Based Medicine »



« Je pense qu'il faut avant tout rester très évidence base médecine, mais même si on a des critères d'évidence base médecine qui sont discutables » E4

Profil « symptôme »



« On ne traite pas une maladie, on traite le symptôme. Et le symptôme, c'est la petite taille » E6

Déterminants individuels (2) : Rôle du médecin

Profil « Evidence Based Medicine »

Pratique ancrée dans la **littérature**

Le médecin est celui qui **traite les maladies**

Contre la pathologisation de la petite taille
Pour l'acceptation de la différence

Plutôt non
prescripteurs

Profil « symptôme »

Traitement du **symptôme** :

⇒ petite taille / souffrance

Le médecin est celui qui **résout les problèmes**

Ne pas prescrire

⇒ être passif

⇒ abandon du patient

Plutôt
prescripteurs

Prescription hors AMM ou élargissement de l'AMM ?

- Contradiction entre la réalité de l'existence de prescriptions hors AMM et l'opposition globale à son élargissement.
- Coût économique.
- Crainte des dérives.
- La possibilité du hors AMM laisse une liberté centrée sur la spécificité de chaque situation sans prendre le risque de généraliser le traitement par GH à tous les enfants présentant une petite taille idiopathique.

Apparition d'une controverse

« Je pense que c'est une grande force dans les équipes de ne pas être d'accord. Parce que si tout le monde est d'accord, il n'y a plus de discussion, il n'y a plus de critique, il n'y a plus d'esprit critique » (E12). ⇒ **La contradiction est nécessaire au raisonnement scientifique**

« Evoque des choses très personnelles et de visions de la société » (E12) ⇒ **ne porte pas sur des faits mais sur des valeurs**

« C'est un sujet un peu de cristallisation » (E9)

- **Rigidification des pratiques sur des postures**
- **Diminution du dialogue**

« Ce n'est pas évident » (E5)

« Ca nous complique beaucoup la vie » (E7)

- **Difficultés professionnelles**

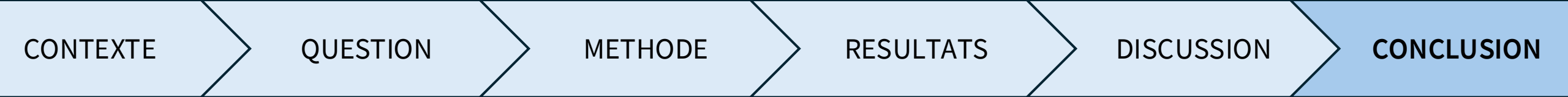
« Je m'en suis pris plein la tronche » (E4)

« Il y a des abus » (E11)

« Ils ont fait n'importe quoi » (E9)

« C'est un peu hypocrite » (E6)

- **Jugement entre pairs**



Quelles représentations de la PTI les pédiatres endocrinologues ont-ils ?
Et comment perçoivent-ils les enjeux de prise en charge de ces patients ?

Représentations variables

- traitement
- rôle du médecin

Question complexe



Hétérogénéité des pratiques

Importance du cadre
institutionnel

S'appuyer sur la
littérature scientifique
« objective »

*Solutions pour échapper
à sa propre subjectivité.*

S'appuyer sur la
subjectivité du patient
➔ la demande, le
symptôme

Merci !