



HAL
open science

Estimation du nombre de problèmes et détermination du nombre de sujets nécessaires dans les études d'utilisabilité : une approche bayésienne

Vincent Vandewalle, Alexandre Caron, Benoît Dervaux

► To cite this version:

Vincent Vandewalle, Alexandre Caron, Benoît Dervaux. Estimation du nombre de problèmes et détermination du nombre de sujets nécessaires dans les études d'utilisabilité : une approche bayésienne. Journées Biostatistiques 2020 - GDR " Statistiques & santé ", Oct 2020, Paris, France. hal-03118164

HAL Id: hal-03118164

<https://hal.inria.fr/hal-03118164>

Submitted on 21 Jan 2021

HAL is a multi-disciplinary open access archive for the deposit and dissemination of scientific research documents, whether they are published or not. The documents may come from teaching and research institutions in France or abroad, or from public or private research centers.

L'archive ouverte pluridisciplinaire **HAL**, est destinée au dépôt et à la diffusion de documents scientifiques de niveau recherche, publiés ou non, émanant des établissements d'enseignement et de recherche français ou étrangers, des laboratoires publics ou privés.

Estimation du nombre de problèmes et détermination du nombre de sujets nécessaires dans les études d'utilisabilité : une approche bayésienne

Vincent Vandewalle^{1,2}, Alexandre Caron¹, Benoit Dervaux^{1,3}

¹ Univ. Lille, CHU Lille, ULR 2694 Evaluations des technologies de santé et des pratiques médicales, F-59000 Lille, France,

² Inria, F-59000 Lille, France,

³ CHU Lille, Direction de la Recherche et de l'Innovation, F-59000 Lille, France

Jeudi 1^{er} octobre 2020

Journées Biostatistiques 2020

GDR « Statistiques & santé »

CNAM, Paris

Contexte : Tests d'utilisabilité



$$n \text{ patients} \left\{ \begin{array}{c} \overbrace{\left(\begin{array}{cccccccc} 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 \\ 0 & 1 & 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 \\ 0 & 0 & 0 & 1 & 1 & 1 & 1 & 0 & 0 \\ 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 1 & 0 \\ 0 & 0 & 0 & 1 & 0 & 0 & 0 & 1 & 1 \\ 0 & 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 \end{array} \right)}^{j \text{ problèmes découverts}} \end{array} \right\} = \mathbf{d}$$

Questions :

- ▶ Nombres de problèmes total (m) ?
- ▶ Probabilités de détection de chacun des problèmes (p_1, \dots, p_m) ?
- ▶ Évaluation des conséquences économiques de problèmes non découverts ?
- ▶ Nombre de patients (n') supplémentaires nécessaires pour limiter les conséquences économiques ?

Modélisation de la matrice de découverte¹(1/2)

\mathbf{d} issue d'une matrice complète \mathbf{x}_h^m avec m colonnes

$$\mathbf{x}_h^m = \begin{pmatrix} 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 1 & 0 \\ 0 & 0 & 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 1 & 0 & 0 & 0 \\ 0 & 0 & 0 & 1 & 1 & 1 & 1 & 0 & 0 & 0 & 0 \\ 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 1 & 0 \\ 1 & 0 & 0 & 1 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 1 \\ 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 0 & 1 & 0 & 0 & 0 \end{pmatrix}$$

$H(\mathbf{d}, m)$: nombre de matrices complètes donnant \mathbf{d} pour m problèmes

$$P(\mathbf{d}|m) = \sum_{h=1}^{H(\mathbf{d},m)} P(\mathbf{x}_h^m)$$

Si les colonnes de \mathbf{x}_h^m sont échangeables, on note simplement \mathbf{x}^m , et on a :

$$P(\mathbf{d}|m) \propto A_m^j \times P(\mathbf{x}^m)$$

1. Vincent Vandewalle et al. "Estimating the number of usability problems affecting medical devices : modelling the discovery matrix". In : *BMC Medical Research Methodology* (2020).

Modélisation de la matrice de découverte (2/2)

Probabilités de découverte hétérogènes issues d'une loi logit-normale

- ▶ $\text{logit}(p_k) | \mu, \sigma, m \sim \mathcal{N}(\mu, \sigma), \forall k \in \{1, \dots, m\}$
- ▶ $P(\mathbf{x}^m | \mu, \sigma) = \int_0^1 \dots \int_0^1 [P(\mathbf{x}^m | p_1, \dots, p_m) \prod_{k=1}^m f(p_k | \mu, \sigma)] dp_1 \dots dp_m$

Lois a priori

- ▶ $P(\mu, \sigma, m) = P(\mu)P(\sigma)P(m)$
- ▶ $P(m) = \frac{1}{M}, \forall m \in \{1, \dots, M\}$
- ▶ $\mu \sim \mathcal{N}(0; A)$
- ▶ $\sigma^2 \sim \text{inv} - \chi^2_\nu$

Vraisemblance intégrée (MCMC + bridgesampling)

$$P(\mathbf{x}^m) = \int_0^{+\infty} \int_{-\infty}^{+\infty} P(\mathbf{x}^m | \mu, \sigma) P(\mu) P(\sigma) d\mu d\sigma \Rightarrow P(\mathbf{d} | m) \propto A_m^i \times P(\mathbf{x}^m)$$

Distribution a posteriori du nombre de problèmes

$$P(m | \mathbf{d}) = \frac{P(m) \times P(\mathbf{d} | m)}{\sum_{m'=1}^M P(m') \times P(\mathbf{d} | m')}$$

Nombre de problèmes détectés chez les utilisateurs finaux

Les problèmes mentionnés dans la liste des effets indésirables ne peuvent pas donner lieu à un remboursement du dispositif.

Seuls des défauts non critiques sont considérés par la suite.

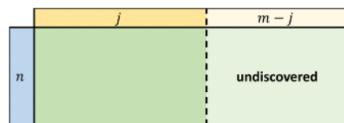
Nombre d'utilisateurs (y) rencontrant au moins un nouveau problème parmi les N utilisateurs finaux

On s'intéresse à la distribution $y|\mathbf{d}$

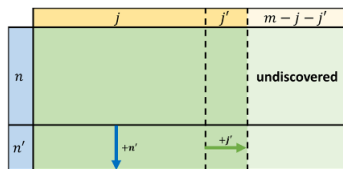
- ▶ Tirage de $m|\mathbf{d}$ et $p_1, \dots, p_m|\mathbf{d}, m$ (MCMC)
 - ▶ Tirage de $y|m, p_1, \dots, p_m, \mathbf{d} \sim \mathcal{B}\left(N, 1 - \prod_{k=j+1}^m (1 - p_k)\right)$
- ⇒ approximation de $\mathbb{E}[y|\mathbf{d}]$: nombre moyen d'utilisateurs touchés par au moins un problème sachant la matrice de découverte \mathbf{d} .

Nombre de sujets nécessaires (1/2)

Apport de n' nouveaux utilisateurs avant la mise sur le marché



\mathbf{d}_n : matrice de découverte initiale



$\mathbf{d}_{n+n'}$: matrice de découverte augmentée par n' nouveaux utilisateurs hypothétiques

Permet de réduire le nombre d'utilisateurs rencontrant des problèmes non encore découverts

$$\mathbb{E}[y|\mathbf{d}_n] - \mathbb{E}[\mathbb{E}[y|\mathbf{d}_{n+n'}]|\mathbf{d}_n] \geq 0$$

Recherche d'un compromis entre le gain espéré et le coût de conduire n' tests supplémentaires

$$n'^* = \operatorname{argmax}_{n'} c_{pb} \times (\mathbb{E}[y|\mathbf{d}_n] - \mathbb{E}[\mathbb{E}[y|\mathbf{d}_{n+n'}]|\mathbf{d}_n]) - c_{test} \times n'$$

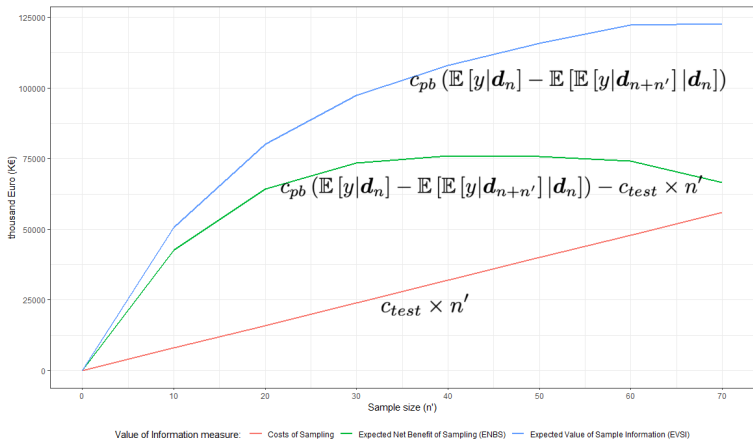
Nombre de sujets nécessaires (2/2)

Approximation MCMC de $\mathbb{E} [\mathbb{E} [y | \mathbf{d}_{n+n'}] | \mathbf{d}_n]$

- ▶ Tirage de $\mathbf{d}_{n+n'} | \mathbf{d}_n$
- ▶ Tirage de $m | \mathbf{d}_{n+n'}$ et $p_1, \dots, p_m | \mathbf{d}_{n+n'}, m$
- ▶ Tirage de $y | m, p_1, \dots, p_m, \mathbf{d}_{n+n'}$

Problème : tirage très coûteux (un MCMC pour chaque nouvelle matrice augmentée $\mathbf{d}_{n+n'}$ générée), approximations possibles.

Exemple sur un dispositif après 40 tests d'utilisabilité



Approche implémentée sous forme du package R `useval` bientôt disponible. Recours aux packages `rstan` et `bridgesampling`.

Conclusion et perspectives

Conclusion

- ▶ Modélisation de la matrice de découverte dans son ensemble
- ▶ Prise en compte de probabilités de découverte hétérogènes
- ▶ Approche bayésienne permettant de tenir compte de l'incertitude sur les paramètres, et d'étudier le gain attendu si de nouveaux tests étaient menés

Perspectives

- ▶ Possibilités de prendre en compte différents types de criticité
- ▶ Intégrer de l'hétérogénéité en lignes et en colonnes sur les probabilités de découverte