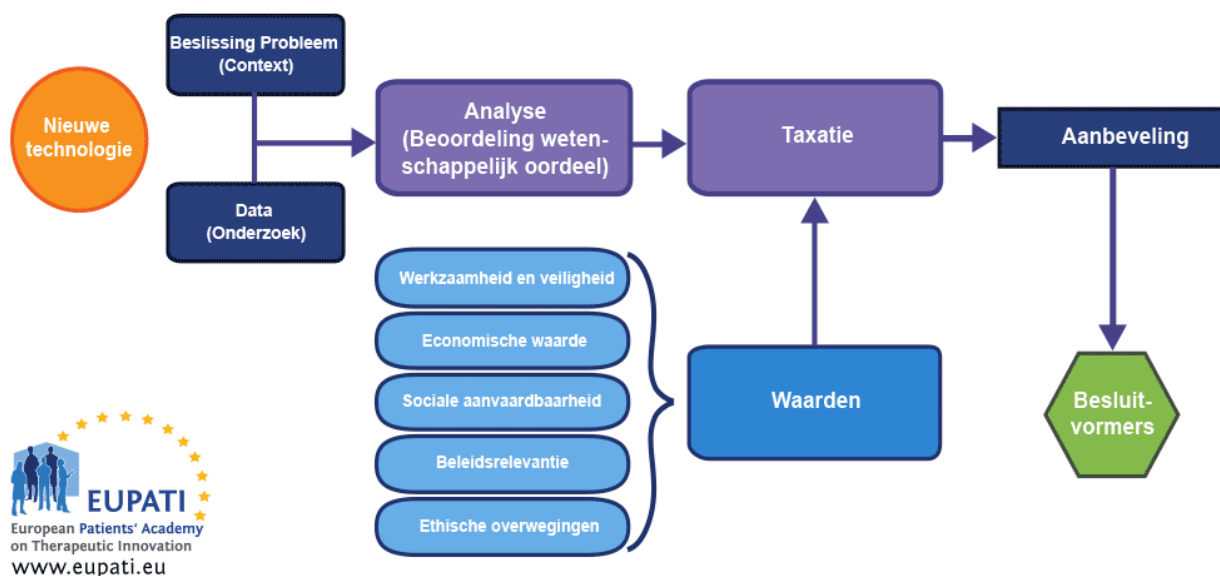


# Betrokkenheid van patiënten bij het HTA-besluitvormingsproces

## Inleiding

We kunnen kijken naar het volledige HTA-besluitvormingsproces zoals afgebeeld in figuur 1. Patiënten kunnen op verschillende manieren worden betrokken bij HTA-beslissingen.

### Komen tot een HTA-aanbeveling



Het proces en de overwegingen van de totstandkoming van een HTA-aanbeveling voor besluitvormers.

## Onderwerpen voor samenwerking met patiënten

# Gegevens/data (wetenschappelijk onderzoek)

HTA-instanties geven een oordeel over de toegevoegde waarde aan de hand van de beschikbare informatie (gegevens). De gegevens kunnen in deze context variëren van klinisch onderzoek tot patiëntervaringen. Beoordelingen van gegevens worden uitgevoerd door kwalitatief of kwantitatief onderzoek.

Er zijn vele manieren waarop patiënten 'gegevens' kunnen aanleveren voor HTA, bijvoorbeeld door:

- - Ontwikkeling of validering van door patiënten gemelde uitkomstmaten ('patient-reported outcome measures'; PROM's). Deze PROM's worden gebruikt om toezichhoudende instanties, HTA-instanties en farmaceutische bedrijven te helpen inzien wat er tijdens klinische onderzoeken zou moeten worden gemeten.
- - Deelnemen aan kwalitatief hoogstaand wetenschappelijk onderzoek
- - Ontwikkelen of invullen van enquêtes om:
  - -- Informatie te verkrijgen over het aantal patiënten met een aandoening
  - -- Ervaringen van patiënten met een aandoening vast te leggen (bijvoorbeeld het aantal patiënten met verschillende vormen van een aandoening)
  - -- Ervaringen van patiënten met huidige behandelingen vast te leggen (bijvoorbeeld het aantal patiënten bij wie zich bepaalde bijwerkingen voordoen en het deel dat deze als extreem beoordeelt)
- - Ervaringen en verhalen van patiënten te presenteren aan HTA-instanties – HTA-instanties gebruiken informatie van dergelijke presentaties om de overige gegevens te onderzoeken. Bijvoorbeeld als patiënten consequent melden dat lijden aan een ziekte een last is omdat er allerlei verschillende geneesmiddelen moeten worden

ingenomen. De HTA-instanties kunnen dan alle gegevens bekijken om na te gaan of een nieuw geneesmiddel, of een nieuwe manier om een geneesmiddel toe te dienen, deze last zal verminderen.

- Het geven van informatie en opmerkingen door patiënten (voor beoordeling) aan HTA-instanties gebeurt meestal via een gestructureerd formaat. De HTA-instantie kan dan makkelijker de impact zien op de diverse beslissingscriteria in relatie tot huidige alternatieven (zoals rechtvaardigheid en gelijkheid, en juridische, ethische, psychosociale aspecten). De informatie en opmerkingen bieden in het ideale geval informatie over sterk uiteenlopende patiënttypes op een gestructureerde en niet-vertekende manier. Aanvragen kunnen alle bovengenoemde elementen omvatten.

Een uitdaging is hoe het oordeel van patiënten over afzonderlijke kenmerken van een nieuwe technologie kan worden verzameld, geanalyseerd en meegewogen. Zo kan bijvoorbeeld het verschil tussen een intraveneuze toediening en een tablet eenmaal per dag belangrijk zijn voor de patiënt maar niet worden meegenomen in andere onderdelen van de waardebeoordeling (bijvoorbeeld bij beoordeling van de waarde aan de hand van een benadering gebaseerd op voor kwaliteit gecorrigeerde levensjaren (QALY's)). Daarom kunnen goed uitgevoerde onderzoeken naar voorkeuren (preferenties) – zoals afzonderlijke keuze-experimenten – een zinvolle toevoeging zijn aan de beoordeling van de algehele waarde. Ze kunnen worden verankerd door gegevens van gerandomiseerde gecontroleerde onderzoeken te gebruiken en zo de juiste wetenschappelijke nauwkeurigheid verlenen aan wat anders zou kunnen worden gezien als eenvoudige uitspraken over voorkeur ('ik vind dit beter dan dat') die weinig of geen gewicht hebben bij goed uitgevoerde HTA.

## **Beslissingsprobleem (context)**

De vragen die in onderzoek worden meegenomen, worden vaak door artsen gedefinieerd. In deze fase moet echter rekening worden gehouden met het patiëntenperspectief om:

- - ervoor te zorgen dat bij het opzetten van het onderzoek wordt gekeken naar kwesties die voor patiënten belangrijk zijn en hoe het bewijs wordt beoordeeld;
- - de reikwijdte en het detailleringsniveau van de onderzoeksvragen te helpen vaststellen en het beslissingsprobleem voor de HTA-instanties te definiëren **en**
- - de conceptaanbevelingen gepubliceerd voor raadpleging te voorzien van opmerkingen om te garanderen dat de aanbevelingen eerlijk zijn.

## **Wetenschappelijk beoordeling en analyse**

Wetenschappelijke beoordelingen zijn de methodische en systematische overwegingen waarop de analyse van gegevens wordt gebaseerd. Slechte of sterk van elkaar verschillende beoordelingen kunnen leiden tot slechte of onvoorspelbare bevindingen en mogelijk tot slechte besluitvorming. Patiënten en patiëntgroepen kunnen:

- - Controleren of hun lokale HTA-instantie beschikt over een evaluatiehandleiding of methodiekrichtlijn (een leidraad voor methoden) en zo niet, er een aanbevelen. Dit kan samenhang tussen de wetenschappelijke analyse en het gebruik van transparante en up-to-date vergelijkbare benaderingen bevorderen.
- - Als er een handleiding of methodiekrichtlijn bestaat, controleren of er ook methoden bestaan voor beoordeling van door de patiënt gemelde uitkomstmaten (PRO's). Nagaan of er andere manieren voor opnemen van het patiëntperspectief bestaan, of vragen of deze kunnen worden meegenomen.

- - Betrokken worden bij raadplegingen of updates van handleidingen of methodiekrichtlijnen geïnitieerd door HTA-instanties om te zorgen dat processen voor vastleggen van patiëntperspectieven uitdrukkelijk worden verankerd.

## Waarde

In deze context staat 'waarde' voor de prioriteiten van individuen die de basis zouden moeten vormen voor de interpretatie van het bewijs. Bijvoorbeeld: hoe belangrijk is het bepaalde uitkomsten of ziekten ten opzichte van andere te elimineren? Waarde kan ook het relatieve belang omvatten van diverse factoren voor het nemen van beslissingen, zoals: wat is het effect van een nieuwe technologie op rechtvaardigheid en gelijkheid, en wat zijn de juridische, ethische en psychosociale implicaties ervan.

Patiënten of patiëntgroepen kunnen:

- - Controleren of hun lokale HTA-instantie een op waarde of een op criteria gebaseerd raamwerk hanteert voor het nemen van beslissingen. Sommige HTA-instanties hanteren consistente en transparante kaders. In de meeste gevallen bestaan er geen kaders voor 'waarde' of verklaren de HTA-instanties simpelweg dat ze rekening houden met klinische- en kosteneffectiviteit. Aangezien 'waarde' staat voor het vergelijken van kosten met meting van voordeel, geeft een klinisch-/kosteneffectiviteitskader alleen een schatting van klinische effecten (gezondheidsuitkomsten). Patiënten kunnen een raamwerk aanbevelen of, als er een bestaat, ervoor pleiten dat het wordt opgenomen.
- - Controleren of hun lokale HTA-instantie vertegenwoordigers heeft die namens patiënten reacties indienen en optreden namens een grotere groep mensen (door inzicht te hebben in algemene behoeften en aan patiënten gerelateerde informatie) en niet namens een

specifieke patiëntengroep.

- - De reacties van patiëntengroepen gebruiken om het relatieve belang van de diverse beslissingscriteria te benadrukken waarmee rekening moet worden gehouden (zoals gezondheidsuitkomsten, rechtvaardigheid, gelijkheid en juridische, ethische, psychosociale aspecten). Dit kan een mening zijn of gebaseerd zijn op empirisch onderzoek (zoals enquêtes).

## **Aanbevelingen (inschattingen of waarderungen)**

De aanbevelingen zouden overeen moeten komen met de in de beoordeling meegenomen gegevens en de ingebouwde waarden. Patiënten of patiëntgroepen kunnen:

- - Controleren of hun lokale HTA-instantie een procedure heeft om aanbevelingen te beoordelen en feedback te geven op aanbevelingen (of erom vragen), om er voor te zorgen dat aanbevelingsprocedures verantwoord en eerlijk verlopen;
- - Als er een procedure voor beoordeling en feedback bestaat, geef dan aanbevelingen en feedback om te garanderen dat er rekening werd gehouden met bewijs en informatie van patiënten. Kijk of de aanbevelingen overeenkomen met gegevens en de waarden die zijn meegenomen in het aanbevelingsproces;
- - Deel samenvattingen van aanbevelingen die voor patiënten begrijpelijk zijn.

## **Beslissing**

Beslissingen moeten overeenkomen met aanbevelingen. Als dat niet zo is dan moeten ze op zijn minst de verschillen enigszins verantwoorden. In deze fase kunnen patiënten overschakelen van hun rol als leverancier van bewijs en waarden naar hun rol als belangenbehartiger.

Patiënten of patiëntgroepen kunnen:

- - Vóór er een aanbeveling wordt gedaan, een dialoog aangaan met lokale beleidsmakers over het relatieve belang van de beslissing en ervoor zorgen dat er informatie aan de HTA-instantie wordt verstrekt.
- - De tijd tussen de aanbevelingen en de genomen beslissingen in de gaten houden als middel om de verantwoording bij HTA-processen te verbeteren.
- - Deelnemen aan de relevante politieke processen (zoals belangenbehartiging) nadat er een besluit is genomen of op onrechtmatige wijze wordt vertraagd.
- - Pleiten voor financiering van eventueel verder onderzoek dat wordt aanbevolen en aan dat onderzoek deelnemen nadat er een besluit is genomen.

## **Bestuur**

Naast betrokkenheid bij het proces van één HTA hebben patiënten een belangrijke rol te vervullen bij het bestuur van een HTA-instantie. Zo kunnen patiënten bijdragen aan de beoordelingen van de HTA-procedure of zelfs helpen bij de evaluatie van de procedure hoe met patiënten wordt samengewerkt.

## **Onderzoeken van patiëntervaringen bij het HTA-proces**

Bij sommige HTA-processen wordt aan patiënten gevraagd te beschrijven hoe zij het leven met een ziekte ervaren en wat een nieuwe behandeling of geneesmiddel zou kunnen betekenen. Deze patiëntervaringen leveren belangrijke informatie op voor de HTA-instantie:

- - Ze worden beschouwd als een voorbeeld uit de dagelijkse praktijk. Individuele gevallen zijn echter geen bijzonder sterke vorm van bewijs. HTA-instanties

zijn geïnteresseerd in de ervaring van gehele populaties, die verzameld zijn via kwalitatief onderzoek bij groepen patiënten met de betreffende ziekte. Dit is een onderwerp waar patiëntenorganisaties ondersteuning kunnen bieden door te putten uit de brede collectieve ervaringen van hun leden als aanvulling op de verklaring van een individuele patiënt.

- - Ze geven een voorlopige indicatie welke uitkomsten belangrijk zijn. Dit kan een idee geven van hoe de klinische gegevens zullen worden gebruikt en welke uitkomsten er moeten worden onderzocht. Het kan ook een 'waardeperspectief' creëren – aangeven welke uitkomsten het belangrijkste zijn en wat een aanvaardbaar 'betekenisvol' verschil is voor patiënten. Nogmaals, HTA-instanties zijn meer geïnteresseerd in gehele populaties en op populaties gebaseerd onderzoek is informatiever dan een individueel 'geval'. Bij ontbreken van onderzoek kunnen voorbeelden echter dienen als een bruikbaar uitgangspunt en kunnen ze perspectieven bieden die nergens anders te vinden zijn.

## **Beoordeling van input – 'belangenbehartiging' versus 'bewijs'**

HTA-processen zijn bedoeld voor ondersteuning van besluitvorming. Er moet gebruik worden gemaakt van de juiste gegevens en analyse gekoppeld aan een eerlijk en verantwoord proces om te komen tot aanbevelingen waarop autoriteiten hun beslissingen kunnen baseren (zoals een nieuwe gezondheidstechnologie beschikbaar maken voor patiënten die deze nodig hebben en de manier waarop dat gebeurt). Bij dit proces is input van patiënten essentieel om te zorgen dat er rekening wordt gehouden met de waarde van de nieuwe technologie voor hun leven. Voor patiënten kan het uitermate



belangrijk zijn om te kunnen beschikken over de technologie. In dit geval kan de beslissing die aan het eind van het HTA-proces wordt genomen, een belangrijke rol bij hun gezondheid spelen. Om te zorgen dat met hun prioriteiten rekening wordt gehouden, moeten patiënten aan besluitvormers informatie verschaffen om beter uit te leggen **hoe** belangrijk een beslissing is en **waarom** deze zo belangrijk is. Dit moeten besluitvormers weten om hun besluiten op basis van beschikbare informatie te rechtvaardigen aan de hand van een verdedigbaar proces.

De rol van patiënten zou moeten zijn om ervoor te zorgen dat er een juist HTA-proces wordt gevolgd. Dit omvat:

- - Ervoor zorgen dat er duidelijke en transparante procedures worden gevolgd voor analyse en aanbeveling;
- - Facilitering van de betrokkenheid van patiënten bij definiëring van de analyse;
- - Zitting nemen in comités die de HTA-aanbevelingen opstellen;
- - Feedback geven tijdens aanbevelingen en analyses; **en**
- - Vanuit hun perspectieven een bijdrage leveren die overeenkomt met de principes die al zijn besproken (zoals hoe het is om met de aandoening te leven, wat de beperkingen zijn van de behandelingen die nu beschikbaar zijn en – in de gevallen waarin de informatie waarschijnlijk nuttig is bij het beoordelen van de algehele waarde – de voorkeuren voor specifieke producteigenschappen).

Veel HTA-processen schieten tekort ten aanzien van deze belangrijke punten, die als 'kernprincipes' worden beschouwd. In veel HTA-comités is bijvoorbeeld geen patiëntvertegenwoordiger opgenomen – iemand die het proces begrijpt en kan optreden als woordvoerder van patiënten tijdens de aanbevelingsfase.

# Waarden en kwaliteitsstandaarden voor samenwerking met patiënten in HTA

In 2014 werkte Health Technology Assessment International (HTAi) op internationaal niveau samen met allerlei verschillende belanghebbenden om waarden en kwaliteitsstandaarden te ontwikkelen voor samenwerking met patiënten bij HTA. Deze waarden vormen de fundamenten waarom het belangrijk is patiënten te betrekken bij HTA. De kwaliteitsstandaarden zijn praktische stappen die HTA-instanties kunnen nemen om effectieve samenwerking met patiënten bij een individuele HTA te garanderen en bij het vormgeven van het algemene proces voor een HTA. (Raadpleeg voor de volledige tekst 'Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA' van HTAi)

De implementatie van deze waarden en kwaliteitsstandaarden is in een vroeg stadium. Patiëntengroepen hebben een belangrijke rol bij het promoten hiervan bij HTA-instanties en moeten betrokken zijn bij HTAi-activiteiten om het gebruik ervan te stimuleren.

## Conclusies

Patiënten kunnen aan veel verschillende aspecten van HTA bijdragen. De rol van de patiënt begint voordat een nieuw geneesmiddel wordt ontwikkeld en kan worden gecontinueerd tijdens HTA en nadat er HTA-aanbevelingen zijn opgesteld. Een startpunt voor een patiënt of patiëntengroep is om de bijdrage aan hun lokale HTA-proces te onderzoeken en beoordelen of deze eerlijk en verantwoord is.

Uiteindelijk moeten HTA-instanties begrijpen hoe alle patiënten met een aandoening door een nieuwe technologie worden beïnvloed. Voor HTA-instanties is onderzoek met een

grote representatieve steekproef van lokale patiënten en toepassing van goede wetenschappelijke benaderingen het meest zinvol. Patiëntengroepen kunnen niet alleen bijdragen met persoonlijke verhalen maar ook nadenken over hoe ze het best op populaties gebaseerd onderzoek kunnen ontwikkelen of met dergelijk onderzoek kunnen bijdragen aan deze HTA-processen

## [glossary\_exclude]Overige informatiebronnen

- Health Technology Assessment International (2014). 'Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA'. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/interest-groups/pcig/values-and-standards/>
- Health Technology Assessment International (2015). 'FOR PATIENT GROUPS AND INDIVIDUAL PATIENTS'. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/>
- Health Technology Assessment International (2014). *Completing a patient group submission template: Guidance for patient organisations*. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/PCISG-Resource-GuidanceandChecklist-Dec14.pdf>[/glossary\_exclude]

## Referenties

1. Eddy, D.M. (1990) 'Clinical decision making: from theory to practice. Anatomy of a decision.' *Journal of the American Medical Association*, 263(2), 441-3.