Coinvolgimento dei pazienti nel processo decisionale della HTA

Introduzione

Possiamo considerare l’intero processo decisionale della HTA quello mostrato nella Figura 1. I pazienti possono essere coinvolti nelle decisioni di HTA in molti modi differenti.

Aree di coinvolgimento dei pazienti

Dati (ricerca)

Gli organismi di HTA devono fornire giudizi riguardo al valore aggiunto considerando l'informazione disponibile (dati). I dati in questo contesto possono andare dalla ricerca clinica alle esperienze dei pazienti. Le valutazioni dei dati si tengono sotto forma di studi di ricerca qualitativi o quantitativi.

Vi sono numerosi modi in cui i pazienti possono contribuire a fornire "dati" per la HTA, ad esempio tramite:

- lo sviluppo e la convalida di misure degli esiti riportati dai pazienti (patient-reported outcome measures, PROMs), aiutando i le autorità di regolamentazione, gli organismi di HTA e le aziende farmaceutiche a comprendere che cosa deve essere misurato durante gli studi clinici;
- la partecipazione a ricerche di elevata qualità;
- lo sviluppo e il completamento d'indagini per:
    - ottenere informazioni circa il numero di pazienti

che vivono con una malattia;
    - documentare le esperienze dei pazienti con una malattia (ad esempio, il numero di pazienti con differenti forme di una malattia);
    - documentare le esperienze dei pazienti con trattamenti attuali (ad esempio, il numero di pazienti che manifestano certi eventi avversi e la quota che valuta questi come estremi).
- la presentazione di esperienze e storie dei pazienti agli organismi di HTA, i quali utilizzano le informazioni provenienti da tali presentazioni per esaminare il resto dei dati; Ad esempio, se i pazienti riportano in modo costante che avere una malattia è pesante a causa della necessità di assumere una vasta gamma di farmaci, gli organismi di HTA osserveranno se un nuovo medicinale o un nuovo modo di somministrare un farmaco riducano questo carico;
- la trasmissione di presentazioni di pazienti (per la valutazione) agli organismi di HTA, utilizzando un formato strutturato che permetta all'organismo di HTA di vedere l'impatto nell'ambito di vari criteri decisionali a confronto con alternative attuali (come equità, uguaglianza, criteri legali, etici e psicosociali). Le presentazioni idealmente cercano di presentare informazioni da una vasta gamma di pazienti in modo strutturato o imparziale. Possono includere tutti gli elementi sopra riportati.

Una sfida è come raccogliere, analizzare e considerare le prospettive dei pazienti riguardo a singoli attributi di una nuova tecnologia. Ad esempio, la differenza tra una somministrazione endovenosa e una compressa una volta al giorno può essere significativa per il pazienti ma non essere registrata altrove in una valutazione del valore (ad esempio, tramite l'utilizzo di un approccio legato agli anni di vita guadagnati aggiustati per la qualità). Perciò, studi ben condotti sulle preferenze, come gli esperimenti di scelta

discreta, possono essere un'aggiunta utile per la valutazione del valore globale. Possono essere ancorati utilizzando dati provenienti da studi controllati randomizzati e quindi dare un rigore scientifico appropriato a quelli che altrimenti potrebbero essere considerate affermazioni di preferenza ("Mi piace questo più di quello") che hanno poco o nessun peso in una HTA ben eseguita.

Problema decisionale (contesto)

Le domande che nella ricerca devono essere soddisfatte vengono spesso definite dal personale clinico. Tuttavia, a questo livello devono essere considerati i punti di vista dei pazienti, al fine di:

- garantire che i problemi che sono importanti per i pazienti siano considerati nel modo in cui la ricerca è ideata e le evidenze vengono giudicate:
- contribuire all'esame delle domande della ricerca e a definire il problema decisionale per gli organismi di HTA **e**
- fare commenti su bozze di raccomandazioni emesse per la consultazione al fine di garantire che le raccomandazioni siano imparziali.

Giudizio e analisi scientifici

I giudizi scientifici sono quelle considerazioni metodiche e sistematiche su cui è basata l'analisi dei dati. Giudizi scarsi o altamente variabili possono condurre a riscontri scarsi o imprevedibili e potenzialmente a un processo decisionale di cattiva qualità. I pazienti e i gruppi di pazienti possono:

- verificare che il proprio organismo di HTA locale disponga di un manuale di valutazione o di una guida ai metodi e, in caso contrario, raccomandarne uno. Ciò potrebbe incoraggiare l'uniformità nell'analisi

scientifica e l'utilizzo di approcci tra i più moderni, trasparenti e comparabili;
- se esiste un manuale o una guida all'utilizzo, controllare se esistono anche metodi di valutazione delle misure degli esiti riportati dai pazienti e altri modi di integrare il punto di vista dei pazienti oppure chiedere che questi siano inclusi;
- essere coinvolti nelle consultazioni o in aggiornamenti di manuali o guide all'utilizzo originati da organismi di HTA al fine di assicurare che siano esplicitamente citati i processi per l'inclusione dei punti di vista dei pazienti.

Valore

In tale contesto, valore significa le priorità apportate dagli individui sulle quali deve fondarsi l'interpretazione delle evidenze. Ad esempio, quanto è importante eliminare certi esiti o certe malattie rispetto ad altri? Il valore può anche includere l'importanza specifica di vari fattori per il processo decisionale, come l'effetto di una nuova tecnologia sull'equità e sull'uguaglianza e le sue implicazioni legali, etiche e psicosociali.

I pazienti o i gruppi di pazienti possono:

- verificare che il proprio organismo di HTA locale disponga per il processo decisionale di uno schema di lavoro basato su un valore o su criteri. Alcuni organismi di HTA applicano schemi uniformi e trasparenti. Nella maggioranza dei casi, non esistono schemi di valore o gli organismi di HTA affermano semplicemente di prendere in considerazione l'efficacia clinica e il rapporto costo-efficacia. Poiché il valore consiste nel comparare i costi a misure di beneficio, uno schema dell'efficacia clinica/rapporto costo-efficacia valuta solamente gli effetti clinici (gli esiti sanitari). I pazienti possono promuovere uno

schema o, se ne esiste uno, fare pressione per l'inclusione.
- verificare che il proprio organismo di HTA locale includa rappresentanti che presentino le richieste dei pazienti e che parlino per conto di una più vasta gamma di cittadini (comprendendo i bisogni comuni e le informazioni relative ai pazienti) e non di un gruppo di pazienti specifico.
- utilizzare le richieste dei gruppi di pazienti per evidenziare l'importanza specifica dei vari criteri decisionali che devono essere presi in considerazione (come gli esiti sanitari, l'equità, l'uguaglianza e quelli legali, etici e psicosociali). Può trattarsi di un'opinione o basarsi su una ricerca empirica (come le indagini).

Raccomandazioni (stime)

Le raccomandazioni devono essere coerenti con i dati presi in considerazione e i valori integrati. I pazienti o i gruppi di pazienti possono:

- verificare che il proprio organismo di HTA locale disponga di un meccanismo per revisionare o fornire un feedback sulle raccomandazioni (o richiederne uno) al fine di assicurare che le procedure per le raccomandazioni siano responsabili e imparziali;
- se esiste un meccanismo per la revisione o il feedback, effettuare una revisione o fornire un feedback riguardo alle raccomandazioni per garantire che siano state prese in considerazione le evidenze e le informazioni dei pazienti e che siano stati forniti dati e informazioni uniformi sui valori;
- comunicare riassunti riguardanti le raccomandazioni che possano essere compresi dai pazienti.

Decisione

Le decisioni devono essere coerenti con le raccomandazioni oppure - se non lo sono - devono fornire alcune giustificazioni sul motivo per cui vi sono differenze. È in questa fase che i pazienti possono passare dal ruolo di fornitori di evidenze e valori al ruolo di difensori dei diritti.

I pazienti o i gruppi di pazienti possono:

- interagire con i decisori locali prima di una raccomandazione riguardo all'importanza specifica della decisione e garantire che le informazioni vengano fornite all'organismo di HTA;
- monitorare i tempi tra il momento in cui vengono ideate le raccomandazioni e quello in cui vengono attuate le decisioni come mezzo per migliorare la responsabilizzazione nei processi di HTA;
- impegnarsi in processi politici appropriati (come la difesa dei diritti) dopo che una decisione viene presa o la stessa viene indebitamente ritardata;
- esortare che sia finanziata qualsiasi ulteriore ricerca raccomandata e partecipare a quella ricerca dopo che una decisione viene presa.

Governance

Al di là del processo per una singola HTA, i pazienti hanno ruoli importanti da assumere nella governance di un organismo di HTA. Ad esempio, i pazienti possono contribuire a revisionare i processi di HTA o a fornire aiuto nella valutazione dei processi di coinvolgimento dei pazienti.

Analisi delle esperienze dei

pazienti nel processo di HTA

In alcuni processi di HTA, ai pazienti viene chiesto di descrivere com'è vivere con una malattia e cosa potrebbe voler dire disporre di un nuovo trattamento o di un nuovo farmaco. Tali esperienze di pazienti trasmettono diverse informazioni importanti all'organismo di HTA:

- Vengono considerate un "caso" del mondo reale. Tuttavia, i casi individuali non sono tipologie particolarmente forti di evidenza. Gli organismi di HTA sono interessati all'esperienza di intere popolazioni, la quale è meglio registrata dalla ricerca qualitativa di gruppi di pazienti con la malattia in questione. Si tratta di un ambito che può essere supportato da organizzazioni di pazienti che possono trarre informazioni dalle esperienze collettive dei propri membri allo scopo di integrare ogni testimonianza di singoli pazienti.
- Forniscono un'indicazione preliminare di quali esiti sono rilevanti. Ciò può dare un'idea di come i dati clinici saranno utilizzati e di quali esiti devono essere esaminati. Può anche creare una prospettiva "di valore", che indichi quali esiti sono più importanti e quale sia per i pazienti una differenza "significativa" accettabile. Di nuovo, gli organismi di HTA sono più interessati a popolazioni intere e la ricerca basata sulle popolazioni sarà più informativa che un "caso" individuale. Tuttavia, se mancano ricerche, i casi possono servire come un punto d'inizio utile, e possono fornire prospettive non individuate altrove.

Analisi dell'input: "difesa dei diritti" versus "evidenze"

I processi di HTA hanno come scopo essere di beneficio per il processo decisionale: devono utilizzare dati e analisi

adeguate, accompagnate da un processo imparziale e responsabile, al fine di produrre raccomandazioni in base alle quali le autorità possono basare le loro decisioni (come rendere disponibile una nuova tecnologia sanitaria ai pazienti che ne hanno bisogno e il metodo di attuazione di tale operazione). In tale processo, gli input dei pazienti sono cruciali per garantire che venga preso in considerazione il valore della nuova tecnologia per la loro vita. I pazienti possono considerare estremamente importante per la loro esistenza rendere disponibile quella tecnologia. In tal caso, la decisione che arriva al termine del processo di HTA può avere un ruolo considerevole per la loro salute. Allo scopo di garantire che le loro priorità vengano prese in considerazione, i pazienti devono fornire informazioni ai decisori per meglio chiarire **quanto** è importante una decisione e **perché** è così importante. Questo è ciò che i decisori devono sapere per giustificare le proprie decisioni, sulla base delle informazioni disponibili, tramite un processo che sia accettabile.

Il ruolo dei pazienti deve essere quello di accertarsi che venga messo in atto un processo di HTA adeguato. Ciò include:

- assicurare che vengano utilizzati processi chiari e trasparenti per l'analisi e la raccomandazione;
- facilitare il coinvolgimento dei pazienti nella definizione dell'analisi;
- prendere parte a comitati che redigono raccomandazioni di HTA;
- fornire feedback durante le raccomandazioni e l'analisi **e**
- dare un contributo personale con i propri punti di vista, in modo coerente con i principi già discussi (tra cui com'è vivere con il disturbo in questione, quali sono le limitazioni dei trattamenti attualmente disponibili e, in alcuni casi in cui è probabile che le informazioni siano di beneficio nel valutare il valore

globale, preferenze per specifici attributi del prodotto).

Molti processi di HTA sono mancanti nell'ambito di queste importanze pratiche, considerate principi "chiave". Ad esempio, molti comitati di HTA non dispongono di rappresentanti di pazienti, qualcuno che comprenda il processo e possa parlare per conto dei pazienti durante la fase di raccomandazione.

Valori e standard qualitativi per il coinvolgimento dei pazienti nell'HTA

Nel 2014, Health Technology Assessment International (HTAi) ha lavorato con una vasta gamma di parti interessate a livello internazionale al fine di sviluppare valori e standard qualitativi per il coinvolgimento dei pazienti nell'HTA. Tali valori sono i principi fondanti che indicano perché è importante coinvolgere i pazienti nell'HTA. Gli standard qualitativi sono passi pratici che gli organismi di HTA possono intraprendere per assicurare un efficace coinvolgimento dei pazienti in una singola HTA e nel modellare in generale il processo di una HTA. (Per il testo completo, vedere HTAi "Valori e standard qualitativi per il coinvolgimento dei pazienti nell'HTA").

L'implementazione di tali valori e standard qualitativi è in una fase iniziale, ma i gruppi di pazienti hanno un ruolo importante da assumere nella loro promozione, assieme agli organismi di HTA, e nell'impegno in attività di HTAi che hanno come scopo incoraggiare il loro utilizzo.

Conclusioni

Vi sono molti differenti aspetti della HTA in cui i pazienti

possono dare il proprio contributo. Il ruolo del paziente inizia prima che un nuovo farmaco sia sviluppato e può continuare nell'ambito della HTA e dopo che sono state date le raccomandazioni di HTA. Un punto di partenza per qualsiasi paziente o gruppo di pazienti è di esaminare gli input al loro processo di HTA locale e di valutare se è imparziale e responsabile.

Alla fine, gli organismi di HTA devono comprendere in che modo tutti i pazienti con un certo disturbo saranno influenzati da una nuova tecnologia. La ricerca che coinvolge un ampio campione di rappresentanti di pazienti locali e utilizza buoni approcci di ricerca risulterà la più utile per gli organismi di HTA. Al di là di comunicare resoconti personali, i gruppi di pazienti per tali processi di HTA possono anche prendere in considerazione come poter meglio sviluppare o fornire ricerche che si basino su popolazioni.

[glossary_exclude]Ulteriori risorse

- 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]

Riferimenti bibliografici

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.