Orientamento per il coinvolgimento dei pazienti in HTA

Principi sovrastanti al coinvolgimento dei pazienti nell'intero processo di ricerca e sviluppo dei farmaci

L'Accademia europea dei pazienti (EUPATI) è un progetto dell'Iniziativa paneuropea per i farmaci innovativi (Innovative Medicines Initiative, IMI) composto da 33 organizzazioni con partner che vanno da organizzazioni dei pazienti, università, organizzazioni no-profit ad aziende farmaceutiche. In EUPATI il termine "paziente" si riferisce a tutti i gruppi demografici in tutti i disturbi. EUPATI non si concentra su problemi o terapie specifici per una malattia, ma sul processo di sviluppo dei farmaci in generale. Informazioni relative a indicazioni, età o a trattamenti specifici con farmaci vanno al di là degli obiettivi di EUPATI e sono di competenza degli operatori sanitari nonché delle organizzazioni dei pazienti. Per approfondire visita eupati.eu/.

La grande maggioranza degli esperti coinvolti nello sviluppo e nella valutazione dei farmaci sono scienziati che lavorano sia nel settore privato che pubblico. Vi è un bisogno crescente di attingere alle conoscenze e alle esperienze dei pazienti al

fine di comprendere cosa significa vivere con un particolare disturbo, in che modo la terapia viene somministrata e l'uso quotidiano dei farmaci. Queste opinioni contribuiscono a migliorare la scoperta, lo sviluppo e la valutazione di nuovi farmaci efficaci.

L'interazione strutturata con pazienti di tutti i gruppi di età e condizioni, i loro rappresentanti e altre parti in causa è necessaria e consente lo scambio d'informazioni e un dialogo costruttivo a livello nazionale ed europeo dove i punti di vista degli utilizzatori dei farmaci possono e devono essere presi in considerazione. È importante prendere in considerazione che i sistemi sanitari nonché le pratiche e le normative possono differire.

Raccomandiamo la cooperazione e la partnership stretta tra le varie parti in causa incluse le organizzazioni degli operatori sanitari, organizzazioni di ricerca a contratto, organizzazioni di pazienti e di consumatori*, accademia, società scientifiche e accademiche, enti di regolamentazione, organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (health technology assessment, HTA) e l'industria farmaceutica. L'esperienza ad oggi dimostra che il coinvolgimento dei pazienti ha avuto come esito una maggiore trasparenza, fiducia e rispetto reciproco tra loro e altri portatori d'interesse. È riconosciuto che il contributo dei pazienti alla scoperta, sviluppo e valutazione dei farmaci arricchisca la qualità delle evidenze e delle opinioni disponibili.[1]

I codici esistenti di comportamento per il coinvolgimento dei pazienti con le varie parti in causa non coprono in modo esaustivo l'intera portata della ricerca e dello sviluppo (research and development, R&D). I documenti di orientamento di EUPATI hanno lo scopo di supportare l'integrazione del coinvolgimento dei pazienti nell'intero processo di ricerca e sviluppo dei farmaci.

Questi documenti di orientamento non hanno come fine di essere

prescrittivi e non daranno suggerimenti dettagliati passo passo.

EUPATI ha sviluppato questi documenti di orientamento per tutte le parti in causa che hanno come obiettivo quello di interagire coi pazienti nella ricerca e nello sviluppo dei farmaci (R&D). Gli utenti possono deviare da tale orientamento secondo specifiche circostanze, normative nazionali o le necessità esclusive di ciascuna interazione. Quest'orientamento deve essere adattato a requisiti individuali utilizzando il miglior giudizio professionale.

Vi sono quattro diversi documenti di orientamento che si occupano del coinvolgimento dei pazienti nei seguenti campi:

- R&D dei farmaci condotto dall'industria farmaceutica
- Comitati etici
- Autorità di regolamentazione
- Valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA)

Ciascun orientamento suggerisce aree in cui al momento vi sono opportunità per il coinvolgimento dei pazienti. Quest'orientamento deve essere periodicamente rivisto e revisionato per rifletterne l'evoluzione.

Quest'orientamento si occupa del coinvolgimento dei pazienti nella valutazione delle tecnologie sanitarie (health technology assessment, HTA).

Tutto l'orientamento successivamente sviluppato deve essere allineato alla normativa nazionale esistente che si occupa delle interazioni come dichiarato nei quattro documenti di orientamento di EUPATI

Dichiarazione di limitazione

di responsabilità

EUPATI ha sviluppato questo documento di orientamento per tutte le parti in causa che hanno come obiettivo quello di interagire coi pazienti nella ricerca e nello sviluppo dei farmaci (R&D) in tutto il ciclo di vita di R&D dei farmaci.

Questi documenti di orientamento non hanno come fine di essere prescrittivi e non daranno suggerimenti dettagliati passo passo. Tale orientamento deve essere utilizzato secondo specifiche circostanze, normative nazionali o le necessità esclusive di ciascuna interazione. Quest'orientamento deve essere adattato a requisiti individuali utilizzando il miglior giudizio professionale.

Dove questo orientamento offre consigli su problemi legali, non è offerto come definitiva interpretazione legale e non è sostitutivo di una consulenza legale formale. Se è necessaria una consulenza formale, le parti interessate devono consultare il rispettivo dipartimento di affari legali se disponibile o ricercare consulenza legale da parte di fonti competenti.

EUPATI non sarà in alcun caso responsabile di eventuali risultati di qualsiasi natura originati dall'uso di tale orientamento.

Il progetto dell'Accademia Europea dei pazienti per l'innovazione terapeutica (EUPATI) ha ricevuto supporto dall'Impresa congiunta dell'Iniziativa in materia di medicinali innovativi secondo l'accordo n° 115334, le cui risorse sono costituite da contributi finanziari da parte del Settimo programma quadro dell'Unione Europea (FP7/2007-2013) e delle aziende della Federazione europea delle associazioni dell'industria farmaceutica (European Federation of Pharmaceutical Industry Associations, EFPIA).

Scopo

Quest’orientamento europeo si occupa delle interazioni tra organismi di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) e pazienti in relazione ai farmaci per uso umano. . I “pazienti” possono essere pazienti singoli o i loro prestatori di cure, o rappresentanti provenienti da organizzazione dei pazienti con esperienze importanti (sezione 4).

I processi di HTA sono applicati a trattamenti diversi dai farmaci, ma non sono il fulcro di questo orientamento, in linea con le competenze di EUPATI. La Figura 1 indica le fasi in cui i pazienti possono essere coinvolti attualmente in tutto il ciclo di ricerca e sviluppo (research and development, R&D) dei farmaci; tuttavia, ciò non significa un limite al coinvolgimento, e le opportunità possono cambiare e aumentare nel corso del tempo.

L’orientamento si focalizza sulla partecipazione ai processi di HTA ed esclude la raccolta scientifica di prospettive dei pazienti (vale a dire, esclude la ricerca quantitativa e qualitativa sulle prospettive, esperienze e preferenze dei pazienti).

L’orientamento raccoglie gli outcome di diverse ricerche e i processi di costruzione del consenso condotti da una varietà di organizzazioni nazionali e internazionali. Si basa inoltre su esempi di buone pratiche provenienti da singole agenzie di HTA. Si fa riferimento a tali fonti mano a mano che vengono menzionate nell’orientamento.

Definizione di "paziente"

Il termine "paziente" viene spesso utilizzato come termine generale, impreciso, che non riflette i diversi tipi di input ed esperienze richieste da pazienti, difensori dei pazienti e

organizzazioni dei pazienti in diversi processi collaborativi.

Al fine di chiarire la terminologia per ruoli potenziali dell'interazione dei pazienti presentati in questi e altri documenti di orientamento di EUPATI, utilizziamo il termine "paziente" per coprire le seguenti definizioni:

- I "pazienti singoli" sono persone con esperienza personale di vita con una malattia. Possono o non possono possedere conoscenze tecniche riguardo a R&D o ai processi di regolamentazione, ma il loro ruolo principale è di contribuire con l'esperienza soggettiva personale della malattia e del trattamento.
- I "prestatori di cure" sono persone che assistono pazienti singoli, come familiari nonché aiutanti volontari o pagati.
- I "difensori dei pazienti " sono persone che hanno osservazioni ed esperienza in relazione al supporto di una più grande popolazione di pazienti che vivono con una malattia specifica. Possono o non possono essere affiliati a un'organizzazione.
- I "rappresentanti di organizzazioni dei pazienti" sono persone autorizzate a rappresentare ed esprimere punti di vista collettivi di un'organizzazione di pazienti su un problema o su un'area patologica specifica.
- I "pazienti esperti", oltre ad avere competenze su una specifica malattia, hanno le conoscenze tecniche in R&D e/o affari normativi tramite formazione o esperienze, ad esempio membri di EUPATI che sono stati formati da EUPATI sull'intero spettro di R&D dei farmaci.

Possono esservi riserve sul coinvolgimento di singoli pazienti in attività di collaborazione con portatori d'interesse per il motivo che il loro input è soggettivo e aperto a critica. Tuttavia, EUPATI, in linea con gli enti di regolamentazione, istilla il valore dell'equità non escludendo il coinvolgimento di singoli. È necessario che venga lasciato alla discrezione dell'organizzazione/delle organizzazioni che avviano

l'interazione la scelta della rappresentanza più adeguata di pazienti nei termini di quale tipo di paziente e per quale attività (vedere sezione 7.1). Dove un paziente singolo sarà impegnato, si suggerisce che le relative organizzazioni dei pazienti, dove ne esiste una, siano informate e/o consultate al fine di fornire supporto e/o consiglio.

Il tipo di input e mandato della persona interessata deve essere concordato in eventuali processi collaborativi precedenti il coinvolgimento.

Base logica per l'orientamento

HTA significa **Valutazione delle tecnologie sanitarie**. Il fine principale dell'HTA è di informare le prese di decisione da parte dei legislatori che si occupano di sanità. Si tratta di un processo sistematico che prende in considerazione le tecnologie sanitarie (come i farmaci o i dispositivi medici) e può comprendere una verifica dei seguenti elementi:

- Efficacia clinica (l'efficacia di un farmaco del sistema sanitario locale a confronto con l'attuale migliore standard terapeutico)
- Rapporto costi-efficacia (costi e benefici a lungo termine di un farmaco a confronto con il migliore standard terapeutico)
- Impatti sociali ed etici sul sistema sanitario e sulle vite dei singoli pazienti.

Il processo fornisce raccomandazioni sulla necessità di utilizzo di una tecnologia sanitaria, e in caso affermativo, come utilizzarla nel migliore dei modi e quali pazienti hanno la maggiore probabilità di ottenere da essa dei benefici. Le valutazioni variano, ma la maggioranza di esse esamina i benefici e i rischi sanitari dell'utilizzo della tecnologia.

Possono inoltre esaminare i costi e qualsiasi altro impatto più diffuso la tecnologia possa avere su una popolazione o su una società.[2]

L'HTA valuta le evidenze a livello internazionale ma le applica all'ambiente locale di assistenza sanitaria al fine di comprendere il valore aggiunto di un nuovo farmaco in quel sistema sanitario. Le HTA sono condotte a livello nazionale, regionale oppure ospedaliero.

L'importanza del **coinvolgimento dei pazienti** in HTA sta diventando ampiamente riconosciuto. I pazienti sono interessati direttamente dalle decisioni di HTA: sono portatori d'interesse e hanno un "diritto democratico" a essere coinvolti.[3] L'HTA può essere considerata un ponte tra le evidenze scientifiche e le decisioni[4] e di conseguenza vi sono motivi sia scientifici che democratici che supportano il coinvolgimento efficace dei pazienti nell'HTA.

I pazienti possono fornire informazioni e osservazioni circa l'impatto del loro disturbo e dei loro trattamenti sulle loro vite quotidiane non disponibili altrove. I pazienti si trovano in una posizione unica per descrivere gli outcome che importano loro, per superare supposizioni circa i desideri relativi alla propria salute e per informare i processi di HTA riguardo a potenziali effetti positivi o negativi di tecnologie nuove ed esistenti sulla loro salute e sulla loro capacità di vivere e lavorare.

Introduzione

La portata del coinvolgimento dei pazienti in HTA varia in modo considerevole tra paesi e regioni in Europa. Di solito, l'HTA si focalizza ancora su evidenze quantitative con l'obiettivo di definire l'efficacia clinica e/o il rapporto costi/efficacia, sebbene vi siano esempi di supporto attivo di pazienti. [5][6][7]

Anche la portata e la natura del supporto per i pazienti fornito dagli organismi di HTA, al fine ottimizzare il coinvolgimento dei pazienti nei loro processi, variano moltissimo.[2][6][8]

Il coinvolgimento dei pazienti in HTA è definito a livello nazionale e regionale e non è soggetto ad alcuna normativa europea.

Gli organismi di HTA e le organizzazioni dei pazienti hanno segnalato un impatto positivo del coinvolgimento dei pazienti sui processi e/o gli outcome di HTA. Sebbene una ricerca sistematica sull'impatto di diversi approcci di coinvolgimento dei pazienti sia scarsa[7][9][10] quei studi relativi a casi che sono a disposizione rendono esplicito l'impatto del coinvolgimento dei pazienti. Organismi come Health Technology Assessment international (HTAi) e la Società internazionale per la farmacoeconomia e la ricerca degli outcome (International Society for Pharameconomics and Outcomes Research, ISPOR) stanno lavorando allo sviluppo di una base di evidenze e forniscono inventari di materiali per il coinvolgimento dei pazienti.[11][12]

L'HTA Core Model® (versione 3.0), prodotto da EUnetHTA[13] (una rete di organizzazioni, agenzie regionali e organizzazioni no profit di nomina governativa che producono od offrono contributi in relazione all'HTA in Europa), fornisce linee guida tecniche dettagliate per agenzie di HTA, che delineano i tipi e le fonti di evidenze necessari per l'HTA. I pazienti sono inclusi come fonti potenziali di evidenze. L'HTA Core Model® è mirato a professionisti con esperienza di HTA e l'argomento più ampio del coinvolgimento dei pazienti in processi di HTA è fuori dal suo ambito.

Vi è quindi bisogno di un orientamento ampio a livello europeo sull'interazione dei pazienti in HTA al fine di promuovere buone pratiche e di fare da complemento al lavoro di EUnetHTA.

Obiettivi dell'orientamento

I seguenti valori sono riconosciuti nell'orientamento e hanno lavorato in direzione dell'adozione delle pratiche di lavoro suggerite (sezione 7). I valori esposti nella tabella sotto sono il risultato di un esercizio di costruzione del consenso da parte di HTAi. Organizzazioni dei pazienti, università, agenzie di HTA e industria hanno contribuito all'esercizio, che ha ricevuto opinioni da parte di 150 rispondenti in 39 paesi.[14]

I valori sono i seguenti:

Importanza	I pazienti dispongono di conoscenze, prospettive ed esperienze che sono uniche e contribuiscono a evidenze fondamentali per l'HTA.
Imparzialità	I pazienti hanno gli stessi diritti nel contribuire al processo di HTA delle altre parti in causa e hanno accesso a processi che permettono un coinvolgimento efficace.
Equità	Il coinvolgimento dei pazienti nell'HTA contribuisce all'equità tramite la ricerca della comprensione dei diversi bisogni dei pazienti con particolari problemi sanitari, in equilibrio rispetto ai severi requisiti di un sistema sanitario che cerca di distribuire le risorse in modo equo tra tutti gli utenti.

Legittimità	Il coinvolgimento dei pazienti facilita coloro che sono interessati da raccomandazioni/decisioni nell'ambito dell'HTA, al fine di partecipare alle attività di regolamentazione, contribuendo alla trasparenza, responsabilità e credibilità del processo decisionale.
Costruzione di competenze	I processi di coinvolgimento dei pazienti affrontano gli ostacoli al coinvolgimento dei pazienti nell'HTA e costruiscono la capacità di collaborazione tra le organizzazioni dei pazienti e quelle che si occupano di HTA.

Pratiche di lavoro suggerite

I metodi di lavoro consigliati **per le agenzie di HTA e le organizzazioni dei pazienti** in questa sezione provengono da diverse fonti. Le fonti primarie sono l'insieme di standard qualitativi provenienti dall'esercizio sulla costruzione del consenso dell'HTAi, revisioni di singole agenzie di HTA e l'indagine dell'EPF sul coinvolgimento dei pazienti in HTA in Europa.[13][15][16][17][18][19][20] Specifiche attività di coinvolgimento dei pazienti impiegate o pianificate da agenzie di HTA sono esposte nella sezione 8 "Attività suggerite di coinvolgimento dei pazienti".

Per organismi di HTA che sono nuovi al coinvolgimento dei pazienti, un approccio graduale all'introduzione di nuovi metodi e attività di lavoro può essere quello più efficace. L'impostazione delle priorità in relazione a specifici metodi e attività di lavoro deve essere decisa dai singoli organismi di HTA con i pazienti e altri portatori d'interessi.

Al fine di ottenere gli obiettivi individuati secondo la sezione 6, è necessario che gli organismi di HTA prendano in considerazione i seguenti aspetti:

- è necessario avere una strategia che delinei i processi e le responsabilità per coloro che lavorano in HTA e che presiedono ai comitati di HTA, al fine di coinvolgere in modo efficace i pazienti;
- è necessario individuare risorse adeguate al fine di garantire e supportare un coinvolgimento efficace dei pazienti nell'HTA;
- i partecipanti all'HTA (inclusi ricercatori, staff, revisori di HTA e membri di comitati) devono ricevere formazione circa un adeguato coinvolgimento dei pazienti e la considerazione delle prospettive dei pazienti in tutto il processo di HTA;
- ai pazienti deve essere data l'opportunità di ricevere tutoraggio e formazione affinché possano contribuire all'HTA nel modo più efficace;
- i processi di coinvolgimento dei pazienti nell'HTA devono essere meditati e verificati regolarmente, prendendo in considerazione le esperienze di tutti coloro che sono coinvolti, con l'obiettivo di migliorare costantemente i processi;
- è necessario lavorare per uniformare parti in causa interne ed esterne riguardo agli obiettivi dei processi di input dei pazienti.[18]
- è necessario possedere strategie proattive di comunicazione al fine di raggiungere, informare e consentire con efficacia a una vasta gamma di pazienti di partecipare pienamente a ciascuna HTA, tra cui la comunicazione pubblica dei criteri e dei processi da loro utilizzati per prendere decisioni;
- è necessario che ciascuna HTA stabilisca tempistiche definite con una notifica anticipata delle scadenze, affinché sia ottenuto un input adeguato da parte di una vasta gamma di pazienti;

- per ciascuna HTA, è necessario identificare il membro del personale il cui ruolo è di supportare i pazienti a contribuire efficacemente all'HTA;
- in ogni HTA, è necessario documentare le prospettive e le esperienze dei pazienti ed è necessario segnalare l'influenza dei contributi e delle decisioni dei pazienti;
- è necessario fornire un feedback ai pazienti che hanno contribuito all'HTA, al fine di condividere quali contributi sono stati più utili e offrire suggerimenti per aiutarli nel loro coinvolgimento futuro;
- è necessario che ciascuna HTA utilizzi un linguaggio accessibile nei documenti e negli altri materiali rivolti ai pazienti coinvolti; [16]
- è necessario fornire ai pazienti l'opportunità di partecipare in modo diverso rispetto alle richieste relative◊ a specifiche HTA.[18]
- è necessario sviluppare un quadro di riferimento per integrare in modo sistematico l'opinione dei pazienti nelle HTA; [18]
- è necessario rendere i sistemi di presentazione scritta di facile uso ed è necessario offrire un supporto adeguato a individui che compilano le presentazioni. [16]

Al fine di ottenere gli obiettivi individuati secondo la sezione 6, è necessario che le organizzazioni di pazienti prendano in considerazione i seguenti aspetti:

- garantire che coloro che parlano per conto altrui siano formati sulla natura dell'HTA, sia nel suo ruolo nell'allocazione delle risorse sanitarie che negli aspetti scientifici e relativi al rapporto costi-efficacia;
- dove le attività di coinvolgimento dei pazienti sono assenti o poche, approcciare le agenzie di HTA in modo

proattivo e suggerire come è possibile ottenere il coinvolgimento dei pazienti mediante proposte chiare;
- comprendere i processi di HTA; tenere incontri con il personale che si occupa di HTA, seguire linee guida e scadenze, utilizzare glossari se disponibili;
- apprendere dall'esperienza di altre organizzazioni di pazienti e collaborare con loro;
- rimanere trasparenti: dichiarare (pubblicare) e diversificare il proprio supporto finanziario e disporre di un quadro di riferimento chiaro ed esplicito per la cooperazione con l'industria.

Attività suggerite di coinvolgimento dei pazienti

Le attività suggerite delineate in questa sezione sono esempi di meccanismi specifici per il coinvolgimento dei pazienti. Vengono già praticati (o pianificati) tutti da uno o più organismi di HTA. Si basano su pubblicazioni di HTAi, del Forum europeo dei pazienti (European Patients' Forum, EPF), della Rete internazionale delle agenzie per la valutazione delle tecnologie sanitarie (International Network of Agencies for Health Technology Assessment, INAHTA), singole agenzie di HTA e revisioni accademiche. [5[6][7][16][17][18][21]

Il testo seguente utilizza il termine "paziente" per fare riferimento a diverse categorie definite nella sezione 4.

Processo generale di HTA

Mirate alle organizzazioni di HTA, le attività elencate di seguito aiuteranno ad applicare in generale i metodi raccomandati di lavoro per il processo di HTA. L'elenco non ha il fine di essere esaustivo ma di fornire idee iniziali.

Raggio d'azione ed educazione

- Produrre materiali di orientamento sui differenti ruoli che i pazienti possono assumere entro i processi di HTA.
- Disporre di un singolo referente per problemi relativi al coinvolgimento dei pazienti.
- Offrire presentazioni e workshop di formazione per rappresentanti di organizzazioni di pazienti, riguardo all'HTA e al coinvolgimento dei pazienti.
- Eseguire valutazioni e comunicare circa l'impatto che i pazienti hanno avuto per dimostrare che possono fare la differenza.
- Tenere incontri pubblici sull'HTA per quanto possibile.
- Fornire un glossario su termini specifici di HTA nelle lingue principali.
- Pubblicizzare le HTA future tra cui realizzare allerte mediante regolari bollettini e **invitare attivamente le organizzazioni di pazienti** a partecipare.
- Sostenere lo sviluppo di gruppi di pari di supporto per pazienti coinvolti con singoli organismi di HTA.

Maggiore coinvolgimento

- Includere pazienti quando si effettuano consulenze su variazioni potenzialmente significative dei processi di HTA.
- Durante lo sviluppo di processi di HTA, considerare l'utilizzo di approcci partecipativi, come una Giuria di cittadini[22] o i metodi di conferenza sul consenso.
- Includere pazienti esperti come **membri laici o in aggiunta a membri laici di comitati di HTA,** non solo come collaboratori di specifiche HTA. Dare a questi membri pieni diritti di voto.

Per singole HTA

Le attività elencate di seguito sono rivolte di nuovo a organizzazioni di HTA, al fine di aiutare ad applicare i metodi operativi raccomandati per le singole HTA. L'elenco non ha il fine di essere esaustivo ma di fornire idee iniziali.

Identificazione e impostazione delle priorità riguardo a quali tecnologie valutare.

- Sviluppare un sistema grazie al quale i pazienti selezionino delle tecnologie per l'HTA.

Eseguire un lavoro di scoping (sviluppo di un quadro di riferimento per una HTA singola).

- Consultare organizzazioni di pazienti sulla bozza dello studio utilizzando modelli per le **presentazioni scritte**.
- Invitare le organizzazioni dei pazienti a **incontri di consultazione** orale con l'obiettivo di partecipare a discussioni sulla portata dell'HTA.

Valutazione e sviluppo di raccomandazioni/linee guida.

- Invitare **organizzazioni dei pazienti a nominare pazienti ed esperti clinici** con l'obiettivo di seguire gli incontri di un comitato che si occupa di HTA.
- Sollecitare **presentazioni scritte** da parte di pazienti/prestatori di cure singoli e organizzazioni di pazienti con l'obiettivo di creare parte della base di

evidenze presa in considerazione dal comitato.
- Fornire modelli, documenti di orientamento e supporto telefonico per coloro che compilano le presentazioni scritte e che si preparano ad agire come pazienti esperti in occasione degli incontri.
- Sollecitare presentazioni orali da parte di pazienti/prestatori di cure singoli presso gli incontri del comitato, vale a dire, **testimonianze personali**.
- Fornire riassunti di facile lettura della documentazione inviata prima delle singole HTA.
- Dare libero accesso ai pazienti a qualsiasi pubblicazione originale facente parte delle evidenze di HTA.
- Sviluppare un **questionario in uscita** per i pazienti che seguono gli incontri, da emettere dopo ogni HTA, e inserire i risultati nella verifica globale del coinvolgimento dei pazienti.

Verifica e divulgazione degli outcome di HTA

- **Redigere un sommario relativo all'input dei pazienti** nei documenti sugli outcome di HTA, e come è stato utilizzato nell'ottenere la raccomandazione finale. Quando non sono vengono inclusi suggerimenti da parte dei pazienti nella raccomandazione finale, fornire una giustificazione scritta adeguatamente giustificata.
- Fornire versioni in **linguaggio comune** dei documenti relativi agli outcome di HTA.
- Sollecitare un commento scritto sulle **bozze di outcome di HTA** da parte di pazienti che partecipano all'HTA, e da altri che non hanno potuto partecipare (ad esempio per motivi di salute).
- Sviluppare e disseminare un sistema definito grazie al quale i pazienti possano fare appello alle decisioni di HTA.

- Coinvolgere i pazienti nella revisione dei processi di coinvolgimento dei pazienti.

Compenso

È necessario riconoscere che in molte situazioni i pazienti coinvolti nelle attività lo fanno volontariamente come singoli ma anche come membri di un'organizzazione. È necessario quindi considerare:

- un compenso per il tempo totale investito più le spese;
    - eventuali compensi offerti devono essere giusti e adeguati per il tipo di impegno. Idealmente i costi di viaggio dovrebbero essere pagati direttamente dal partner organizzatore, piuttosto che essere rimborsati;
- la copertura dei costi incorsi dalle organizzazioni dei pazienti nell'identificazione o nel supporto dei pazienti per il coinvolgimento in attività (ad es. gruppi di supporto, formazione e preparazione);
- aiuto nell'organizzazione della logistica della partecipazione dei pazienti, inclusi spostamenti e/o sistemazione.

Il compenso comprende anche benefici indiretti (come la fornitura di servizi gratuiti da parte di un'organizzazione di pazienti) o qualsiasi altro beneficio non finanziario fornito al paziente/all'organizzazione dei pazienti (come sessioni di formazione, servizi di agenzia, la realizzazione di siti web).

Tutte le parti devono essere trasparenti circa eventuali disposizioni relative ai compensi.

Accordo scritto

Un accordo scritto deve definire chiaramente almeno i seguenti aspetti: una descrizione dell'attività e dei suoi obiettivi, la natura dell'interazione durante l'attività, il consenso (se pertinente), la pubblicazione, la riservatezza, il compenso, la riservatezza dei dati, la compliance, la dichiarazione dei diritti di interesse, le linee guida. L'interazione può procedere solamente sulla base di un accordo scritto che come minimo dichiari precisamente gli elementi di base della collaborazione (ad es. le regole riguardanti il coinvolgimento, la compliance, la proprietà intellettuale, i compensi finanziari).

È necessario porre attenzione in modo che gli accordi scritti siano chiari e non limitino la condivisione appropriata delle conoscenze.

Appendice 1 Risorse

Risorse a livello internazionale e nazionale per le agenzie di HTA e i pazienti

Internazionale			
Autore	**Risorsa**	**Data**	**Note**
Raccomandazioni			
HTAi	Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA https://htai.org/interest-groups/pcig/values-and-standards/	2014	Outcome del progetto internazionale di costruzione del consenso della durata di 18 mesi.
EPF	Coinvolgimento del paziente nel processo di HTA in Europa. Risultati dell'indagine dell'EPF. http://www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/hta-epf-final-report2013.pdf	2013	Comprende raccomandazioni per gli organismi di HTA e le organizzazioni di pazienti.
Esempi di buona pratica			
HTAi	Good Practice Examples of Patient and Public Involvement in Health Technology Assessment http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/EffectiveInvolvement/Good_Practice_Examples_Feb_2015.pdf	2014	Sommario degli approcci assunti dagli organismi di HTA, compresi diversi paesi/regioni dell'UE. Comprende alcune indicazioni e suggerimenti per altri.
Modelli relativi al paziente			
HTAi	Patient group submission template for HTA of medicines Follow link from: https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/	2014	Comprende un breve orientamento per gruppi di pazienti.
Internazionale			
Autore	**Risorsa**	**Data**	**Note**
Modelli relativi al paziente cont.			
	Patient group submission template for HTA of health interventions (not medicines) Follow link from: http://www.htai.org/interest-groups/patient-and-citizen-involvement/resources/for-patients-and-patient-groups.html	2015	Comprende un breve orientamento per gruppi di pazienti.
	Completing a patient group submission template: guidance for patient organisations. http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/v2_files/Resource/PCISG-Resource-GuidanceandChecklist-Dec14.pdf	2015	Affinché gli organismi di HTA si adattino ai loro bisogni e a quelli della loro comunità.
Educazione mirata ai pazienti			

EUPATI	EUPATI Patient Expert Training Course Toolbox for education in medicines development. https://eupati.eu/	2015	Il corso di formazione arruola nuovi apprendisti ogni settembre/ottobre. Il corso di formazione e il toolbox online comprendono materiale educativo di HTA per pazienti e rappresentanti dei pazienti.
EURORDIS	Webcasts and slide presentations from annual summer school: http://www.eurordis.org/training-resources		Comprende una sessione sull'HTA.
HTAi	Introducing HTA to patients and patient organisations. www.htai.org/webinars/pcisg-intro-hta/	2013	Presentazione in video e slide.
HEE	Understanding health technology assessment. http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/EffectiveInvolvement/HEEGuideToHTAforPatientsEnglish.pdf	2008	Opuscolo disponibile in inglese, spagnolo, cinese mandarino, italiano, polacco, svedese, greco
Internazionale			
Autore	**Risorsa**	**Data**	**Note**
Educazione mirata ad altri portatori d'interesse (non pazienti)			
EUnetHTA	Training for stakeholders. http://www.eunethta.eu/events		Questo web link comprende informazioni appena diventano disponibili.
ISPOR	HTA training programme: https://www.ispor.org/conferences-education/education-training		
ISPOR	Regional Chapters' activities: http://www.ispor.org/RegionalChapters		La maggioranza dei capitoli di ISPOR è nazionale. I capitoli forniscono una gamma di opportunità di formazione ed educazione.
Informazioni di contatto per organismi di HTA			
HTAi	List of HTA bodies worldwide: http://vortal.htai.org/?q=about/producers_and_networks		
INAHTA	Contact information for HTA bodies worldwide: http://www.inahta.org/members/members_list/		
Glossari			
INAHTA/ HTAi	Glossary of HTA terms: http://www.HTAglossary.net		Glossario basato sul web disponibile in inglese, francese, spagnolo e tedesco. Aggiornato periodicamente. http://htaglossary.net/HomePage
HTAi	HTAi consumer and patient glossary: http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/v2_files/Resource/PCISG-Resource-ENGLISH-PatientandConsumerGlossary-Oct09.pdf http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/v2_files/Resource/PCISG-Resource-GREEK-PatientandConsumerGlossary-Oct09.pdf	2009	Glossario (pdf). Disponibile in inglese e greco.
Internazionale			
Autore	**Risorsa**	**Data**	**Note**
Indagini			
EPF	Coinvolgimento del paziente nel processo di HTA in Europa. An interim report on EPF's survey with HTA agencies in Europe. http://www.eu-patient.eu/News/News-Archive/Patient-involvement-in-health-technology-assessment-in-Europe---An-interim-report-on-EPF-survey-with-HTA-Agencies/	2011	
EPF	Coinvolgimento del paziente nel processo di HTA in Europa. An interim report on EPF's survey with decision makers in Europe. http://www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/report-hta-survey_decision-makers_final.pdf	2011	
EPF	Coinvolgimento del paziente nel processo di HTA in Europa. An interim report on EPF's survey with patient organisations across Europe. http://www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/epf-report_hta-survey_po.pdf	2011	
INAHTA	Involvement of consumers in the HTA activities of INAHTA members. http://www.inahta.org/wp-content/uploads/2014/04/INAHTA_Survey_Consumer-Involvement_2011.pdf	2011	Confronto di indagini ripetute delle agenzie di HTA nel 2005 e nel 2010.
Rapporti dell'industria			
Deloitte / Eli Lilly	Migliorare il coinvolgimento dei consumatori nella valutazione delle tecnologie sanitarie.	2009	
Modelli e guide regionali, disponibili online (Europa)			
Organismo	**URL o titolo del documento**	**Note**	
INVOLVE (UK)	Payment and recognition for public involvement. http://www.invo.org.uk/resource-centre/payment-and-recognition-for-public-involvement/	Redatto per il coinvolgimento dei pazienti nella ricerca generale, ma contiene alcuni punti riguardo al pagamento e al riconoscimento in generale.	
IQTIG (Germany)	http://www.iqtig.de	Testo normativo e linee guida per la partecipazione dei pazienti in HTA.	
NICE (England)	http://www.nice.org.uk/about/nice-communities/public-involvement/develop-NICE-guidance	Set completo di modelli, fogli informativi e guide per pazienti/prestatori di cure e organizzazioni di pazienti.	
NICE (England)	Confidentiality agreement for stakeholders taking part in HTAs. https://www.nice.org.uk/get-involved/stakeholder-registration/confidentiality-agreement		
SMC (Scotland)	http://www.scottishmedicines.org.uk/Public_Involvement/	Orientamento esaustivo, video educativi. Modulo di registrazione del gruppo di pazienti partner e Modulo di presentazione del gruppo di pazienti.	
Valutazioni di organismi individuali di HTA			
Organismo	**URL o titolo del documento**	**Note**	
CADTH (Canada)	CADTH Patient Input Process Review. Findings and Recommendations https://www.cadth.ca/sites/default/files/pdf/2012_SECOR_Patient-Input-Review_e.pdf	Verifica pubblicata 2012.	
NICE (England)	Technology Appraisal Patient Expert Survey 2012 Report http://www.nice.org.uk/media/default/About/NICE-Communities/Public-involvement/Public-involvement-programme/Patient-expert-TA-report-final-1.pdf	Indagine sul coinvolgimento dei pazienti nelle HTA di NICE.	
Valutazioni di organismi individuali di HTA			

SMC (Scotland)	2014 Review of SMC Public Involvement https://www.scottishmedicines.org.uk/Public_Involvement/Our_commitment_to_continuous_improvement The Scottish Medicines Consortium and public attitudes to the provision of medicines for the NHS in Scotland. 2015 http://www.scottishhealthcouncil.org/publications/gathering_public_views/idoc.ashx?docid=0b031cb1-17b4-482b-9f51-fd118e3cf541&version=-1	
Studi relativi a casi di coinvolgimento dei pazienti		
Organismo	**Titolo del documento**	**Note**
NICE (England) / SMC (Scotland)	Patient involvement in NICE technology appraisals.	Da Amis L. in "Patients, the public, and priorities in healthcare". Edito da Peter Littlejohns e Michael Rawlins. Oxford: Radcliffe. 2009.

Appendice 2 Abbreviazioni

AOTM Agency for Health Technology Assessment (Poland)

AQuAS Agency for Health Quality and Assessment of Catalonia

CEDIT Hospital based Health Technology Assessment Agency (Paris, France)

EPF European Patients Forum

EUnetHTA European network for Health Technology Assessment

EUPATI European Patients' Academy on Therapeutic Innovation

FOPH Federal Office of Public Health (Switzerland)

GBA Federal Joint Committee (Germany)

HTA Health Technology Assessment

HTAi Health Technology Assessment international

IQTIG Institute for Quality Assurance and Transparency in Healthcare (Germany)

ISPOR International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research

IQWiG German Institute of Quality and Efficiency

in Healthcare

ISPOR International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research

NICE National Institute for Health and Care Excellence (England)

Osteba Basque Office for Health Technology Assessment

SBU Swedish Council for Technology Assessment

SMC Scottish Medicines Consortium

[glossary_exclude]Riferimenti bibliografici

1. Adapted from the EMA framework. European Medicines Agency (2022). *EMA/649909/2021 Adopted.* https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/engagement-framework-european-medicines-agency-and-patients-consumers-and-their-organisations_en.pdf. Last Accessed 12 February 2024.
2. HTAi (2015) “Completing a patient group submission template: guidance for patient organisations”. https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/. Last Accessed 4 July 2021.
3. HTAi (2010) “Patients’ perspectives in health technology assessment: A route to robust evidence and fair deliberation.” International Journal of Technology Assessment in Health Care.
4. Gauvin F-P et al. (2010) ”It all depends”: Conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies”. Social Science and Medicine.
5. HTAi (2010) “Patients’ perspectives in health

technology assessment: A route to robust evidence and fair deliberation.” International Journal of Technology Assessment in Health Care.
6. EPF (2013) “Patient Involvement in Health Technology Assessment in Europe. Results of the EPF Survey.” http://www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/hta-epf-final-report2013.pdf. Last Accessed 21.11.2016.
7. INAHTA (2011) “Involvement of consumers in the HTA activities of INAHTA members. Report on a survey.”. http://www.inahta.org/wp-content/uploads/2014/04/INAHTA_Survey_Consumer-Involvement_2011.pdf. Last Accessed 21.11.2016.
8. HTAi (2014) “Good practice examples of Patient and Public Involvement in Health Technology Assessment.” https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/Good_Practice_Examples_Feb_2015.pdf. Last Accessed 4 July 2021..
9. Menon D, Stafinski T. (2011) “Role of patient and public participation in health technology assessment and coverage decisions.” Expert review pharmacoeconomics and outcomes research.
10. Gagnon M-P et al. (2014) “Involving patients in the early stages of health technology assessment (HTA): a study protocol.” BMC Health Services Research.
11. https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/Good_Practice_Examples_Feb_2015.pdf. Last Accessed 4 July 2021.
12. http://www.ispor.org/sigs/PatientCentered/PC_EngagementInResearch.aspx. Last Accessed 17.03.2024.
13. EUnetHTA Joint Action 2, Work Package 8. HTA Core Model ® version 3.0 (Pdf); 2015. Available from http://www.corehta.info/BrowseModel.aspx. Last Accessed 17.03.2024.
14. HTAi (2014) “Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA.” http://www.htai.org/interest-groups/patient-and-citizen-involvement/pcig-home/values-and-standards.html. Last Accessed 21.11.2016.
15. EPF (2013) “Patient Involvement in Health Technology

Assessment in Europe. Results of the EPF survey." http://www.eu-patient.eu/globalassets/projects/hta/hta-epf-final-report2013.pdf. Last Accessed 21.11.2016.
16. NICE (2014) "Technology Appraisal Patient Expert Survey 2012 Report." https://www.nice.org.uk/media/default/About/NICE-Communities/Public-involvement/Public-involvement-programme/Patient-expert-TA-report-final-1.pdf. Last Accessed 21.11.2016.
17. SMC & Scottish Health Council (2015) "The Scottish Medicines Consortium and public attitudes to the provision of medicines for the NHS in Scotland". http://www.scottishhealthcouncil.org/publications/gathering_public_views/idoc.ashx?docid=0b031cb1-17b4-482b-9f51-fd118e3cf541&version=-1. Last Accessed 21.11.2016.
18. SECOR (2012) "CADTH Patient Input Process Review." https://www.cadth.ca/sites/default/files/pdf/2012_SECOR_Patient-Input-Review_e.pdf. Last Accessed 21.11.2016.
19. Australian Government Department of Health and Ageing (2009) "Review of health technology assessment in Australia." http://www.health.gov.au/internet/main/publishing.nsf/Content/AF68234CE9EB8A78CA257BF00018CBEB/$File/hta-review-report.pdf. Last Accessed 21.11.2016.
20. Messina J, Grainger DL. (2012) "A pilot study to identify areas for further improvements in patient and public involvement in health technology assessments for medicines. " The Patient.
21. Citizen's Jury method is explained at The University of Manchester. (2012) http://www.methods.manchester.ac.uk/medialibrary/docs/citizensjuries.pdf, Last Accessed 21.11.2016.[/glossary_exclude]

*I consumatori sono riconosciuti come portatori di interesse all'interno del dibattito sanitario. L'obiettivo di Eupati si concentra sui pazienti piuttosto che sui consumatori come si

evince dal materiale educazionale e dai documenti di orientamento.

Allegati