

# Vägledande dokument om patientdelaktighet inom regulatoriska processer

Publicerad och tillgänglig för citering: Haerry D, Landgraf C, Warner K, Hunter A, Klingmann I, May M and See W (2018) EUPATI and Patients in Medicines Research and Development: Guidance for Patient Involvement in Regulatory Processes. *Front.Med.*5:230. doi:10.3389/fmed.2018.00230

## Övergripande principer för patientdelaktighet i processen för läkemedelsforskning och -utveckling

Europeiska patientakademin (EUPATI) är ett europaomfattande initiativ för innovativa läkemedel (IMI) som består av 33 organisationer med partner från patientorganisationer, universitet, ideella organisationer och läkemedelsföretag. I EUPATI avser termen "patient" genomgående alla åldersgrupper med olika sjukdomar. EUPATI fokuserar inte på sjukdomsspecifika problem eller behandlingar, utan på läkemedelsutvecklingsprocessen i allmänhet. Indikationsspecifik information och ålders- och läkemedelsspecifika interventioner ligger utanför ramarna för EUPATI och vi hänvisar därför till sjukvårdspersonal och patientorganisationer. Läs mer på [eupati.eu/](http://eupati.eu/).

Det stora flertalet experter som är involverade i utvecklingen

och utvärderingen av läkemedel är forskare i privat och offentlig sektor. Det finns ett ökat behov av att dra nytta av patienters kunskap och erfarenhet för att förstå hur det är att leva med en specifik sjukdom, hur vården administreras och hur läkemedel fungerar i vardagen. Det här underlaget hjälper till att förbättra upptäckten, utvecklingen och utvärderingen av nya, effektiva läkemedel.

En strukturerad interaktion mellan patienter i alla åldersgrupper och med alla tillstånd, deras representanter och andra intressenter är nödvändig, och möjliggör informationsutbyte och konstruktiva dialoger på nationell och europeisk nivå, eftersom åsikter från användare av läkemedel kan och ska övervägas. Det är viktigt att ta hänsyn till att hälso- och sjukvårdssystem, praxis och lagstiftning kan variera.

Vi rekommenderar ett nära samarbete och partnerskap mellan de olika intressenterna, däribland organisationer för vårdpersonal, kontraktsforskningsorganisationer, patient- och konsumentorganisationer\*, den akademiska världen, vetenskapliga och akademiska sällskap, tillsynsmyndigheter, HTA-organ och läkemedelsindustrin. Erfarenheterna hittills visar att patienters delaktighet har ökat transparensen, tilliten och det ömsesidiga förtroendet mellan dem och övriga intressenter.

Det är känt att patienters bidrag till upptäckt, utveckling och utvärdering av läkemedel höjer kvaliteten på evidens och uppfattning.[1]

Befintliga riktlinjer för patientdelaktighet med olika intressenter täcker inte hela spektrumet av forskning och utveckling (FoU). EUPATI:s vägledande dokument är avsedda som hjälp för att integrera patientdelaktighet i hela processen för läkemedelsforskning och -utveckling.

De vägledande dokumenten är inte avsedda att vara preskriptiva

och ger inga steg för steg-instruktioner.

EUPATI har tagit fram de vägledande dokumenten för alla intressenter som vill samverka med patienter om forskning och utveckling av läkemedel (FoU). Användare får frångå dessa vägledande dokument under särskilda omständigheter, enligt nationell lagstiftning eller till följd av unika behov i enskilda fall. Det här vägledande dokumentet ska anpassas till de individuella förutsättningarna efter bästa professionella förmåga.

Det finns fyra separata vägledande dokument om patientdelaktighet inom:

- Läkemedels-FoU ledd av läkemedelsindustrin
- Etikkommittéer
- Tillsynsmyndigheter
- Medicinsk metodutvärdering (HTA).

I varje vägledande dokument finns det förslag på var patienter kan göras delaktiga. Det här vägledande dokumentet ska granskas och revideras regelbundet för att följa utvecklingen.

**Det här vägledande dokumentet beskriver patientdelaktighet inom tillsyn och baseras på det tidigare "Framework for interaction between the European Medicines Agency and patients and consumers and their organisations".**

Följande värden används i det vägledande dokumentet och eftersträvas genom de föreslagna arbetssätten (avsnitt 7). Värdena är:

Relevans	Patienterna har kunskap, perspektiv och erfarenheter som är unika och som bidrar till viktiga aspekter av tillsynen.
----------	--

Jämlikhet	Patienterna har samma rätt att bidra till tillsynen som andra intressenter och besitter kunskap och erfarenheter som gör att de kan delta på effektiva sätt.
Rättvisa	Patientdelaktighet inom tillsyn bidrar till rättvisa eftersom man försöker förstå de olika behoven hos patienter med vissa hälsoproblem, vägda mot de strikta kraven från regulatorisk lagstiftning och riktlinjer.
Legitimitet	Patientdelaktighet underlättar för dem som påverkas av regulatoriska beslut att delta i tillsynen, vilket bidrar till transparens, ansvarstagande och trovärdighet i beslutsprocessen.
Kapacitetsuppbyggnad	Processer för patientdelaktighet försöker undanröja hinder för patientdelaktighet i tillsynen och ökar kapaciteten för att patienter och tillsynsmyndigheter ska kunna arbeta tillsammans.

Alla framtida vägledande dokument ska anpassas till befintlig nationell lagstiftning om samarbete, vilket anges i EUPATI:s fyra vägledande dokument.

## Friskrivning

EUPATI har tagit fram det här vägledande dokumentet för alla intressenter som vill samarbeta med patienter om forskning och utveckling av läkemedel (FoU) under hela FoU-livscykeln för

läkemedel.

De vägledande dokumenten är inte avsedda att vara preskriptiva och ger inga steg för steg-instruktioner. Det här vägledande dokumentet ska användas utifrån särskilda omständigheter, enligt nationell lagstiftning eller till följd av unika behov i enskilda fall. Det här vägledande dokumentet ska anpassas till de individuella förutsättningarna efter bästa professionella förmåga.

Även om det vägledande dokumentet ger råd i juridiska frågor ska det inte ses som någon definitiv juridisk tolkning och ersätter inte formell juridisk rådgivning. Om formell rådgivning krävs ska berörda intressenter kontakta sin juridiska avdelning, om sådan finns, eller söka juridisk rådgivning från kompetenta källor.

EUPATI ansvarar inte för eventuella resultat från användningen av det här vägledande dokumentet.

EUPATI-projektet har fått stöd från det gemensamma företaget för initiativet för innovativa läkemedel enligt bidragsavtal nr 115334, resurser i form av ekonomiska bidrag från EU:s sjunde ramprogram (FP7/2007-2013) och EFPIA-företag.

## Omfattning

Det europeiska vägledande dokumentet beskriver interaktionen mellan patienter och tillsynsmyndigheter avseende läkemedel för människor. "Patienter" kan vara enskilda patienter, deras anhörigvårdare eller representanter från patientorganisationer med relevant expertis (avsnitt 4). Tillsynsmyndigheter omfattar både nationella behöriga myndigheter (nationella tillsynsmyndigheter) och Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA). Patientorganisationer är ideella organisationer med intresse för patientvård där patienter representerar en majoritet av medlemmarna i styrande organ.

Fokus för det vägledande dokumentet är delaktighet, och omfattar inte forskningsinsamling av patientperspektiv (t.ex. ingår inte kvantitativ och kvalitativ systematisk forskning om de psykosociala aspekterna av sjukdomar och behandlingar). Figur 1 visar var patienter kan vara delaktiga för närvarande under FoU-livscykeln för läkemedel. Avsikten med detta är dock inte att begränsa delaktigheten, och möjligheterna kan förändras och bli fler med tiden.

## Begreppet "patient"

Termen "patient" används ofta som en allmän, icke-exakt term som inte återspeglar de olika typerna av insatser och erfarenheter som krävs av patienter, patientrepresentanter och patientorganisationer i olika samarbetsprocesser.

För att tydliggöra terminologin för potentiella roller för patientdelaktighet i det här och andra vägledande dokument från EUPATI, använder vi termen "patient" som täcker följande definitioner:

- "Enskilda patienter" är personer med personlig erfarenhet av att leva med en sjukdom. De kan ha teknisk kunskap om FoU eller regulatoriska processer eller inte, men deras främsta roll är att bidra med sin subjektiva erfarenhet av sjukdomen och behandlingen.
- "Anhörigvårdare" är personer som stöder enskilda patienter, t.ex. familjemedlemmar, men det kan också vara betalda eller ideella stödpersoner.
- "Patientrepresentanter" är personer som har kunskap och erfarenheter av att stödja en större population av patienter med en specifik sjukdom. De kan vara kopplade till en organisation.
- "Representanter från patientorganisationer" är personer med mandat att representera och uttrycka den kollektiva åsikten hos en patientorganisation i en särskild fråga

eller om ett visst sjukdomsområde.

- "Patientexperter" har, utöver sjukdomsspecifik expertis, även teknisk kunskap om FoU och/eller regulatoriska frågor, genom antingen utbildning eller erfarenhet, t.ex. EUPATI-deltagare som har utbildats av EUPATI om läkemedels-FoU.

Det kan finnas reservationer mot att involvera enskilda patienter i samarbeten med intressenter eftersom deras insats är subjektiv och öppen för kritik. Av rättviseskäl, och i likhet med tillsynsmyndigheterna, exkluderar dock inte EUPATI några individer från att engagera sig. Organisationen eller organisationerna som inleder interaktionen ska välja den lämpligaste patientrepresentationen när det gäller en viss patienttyp för en viss aktivitet (se avsnitt 7). Om en enskild patient engageras rekommenderar vi att lämplig patientorganisation, om sådan finns, informeras och/eller konsulteras för att ge stöd och/eller rådgivning.

Den enskilda personens insats och mandat bör, i alla samarbeten, bestämmas på förhand.

## **Logisk grund för vägledningen**

Hur pass delaktiga patienterna är i registrerings- och regelfrågor varierar avsevärt mellan olika länder och regioner i Europa.

EMA har samarbetat med sina intressenter sedan myndigheten bildades 1995. Relationen med intressenterna har utvecklats över tid, och typen och graden av interaktion beror på berörd intressentgrupp och typ av EMA-aktivitet. Patienter och konsumenter ingår som ledamöter i EMA:s styrelse och i vissa av dess vetenskapliga kommittéer.

Fördelen av intressentdelaktighet hos EMA har resulterat i att flera nationella tillsynsmyndigheter har implementerat ett

ramverk för patientdelaktighet på nationell nivå. De flesta nationella tillsynsmyndigheter baserar sin aktivitet på EMA:s erfarenhet. Patienternas delaktighet i EMA bestäms av europeisk lagstiftning [2]. EMA, dess styrelse och olika vetenskapliga kommittéer ansvarar för att utveckla relationen mellan EMA och dess intressenter.

Den europeiska lagstiftningen definierar:

- Direkt samarbete mellan EMA och patient- och konsumentorganisationer genom arbetsgruppen med patient- och konsumentorganisationer (PCWP).
- Ramverket ger tydlig och användbar information till dessa organisationer.
- Särskilda former av interaktion, t.ex. patienter i EMA-styrelsen, kommittén för sällsynta läkemedel (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP), pediatrika kommittén (Paediatric Committee, PDCO), kommittén för avancerade terapier (Committee for Advanced Therapies, CAT), förfaranden för vetenskaplig rådgivning/hjälp med protokoll och i möten med arbetsgruppen för vetenskaplig rådgivning (Scientific Advice Working Party, SAWP) och kommittén för säkerhetsövervakning och riskbedömning av läkemedel (Pharmacovigilance and Risk Assessment Committee, PRAC).
- Dessutom har EMA tagit fram metoder för att samla in patienters synpunkter genom direkt konsultation.

Erfarenheterna fram till idag visar att patienters delaktighet inom EMA har ökat transparensen och tilliten till regulatoriska processer och det ömsesidiga förtroendet mellan tillsynsmyndigheter och gruppen patienter och konsumenter. Erfarenheten bekräftar vikten av att EMA fortsätter att stödja och främja patientdelaktighet i sitt arbete.

Det kan saknas liknande rättsliga bestämmelser på nationell nivå. Om sådana rättsliga bestämmelser saknas utvecklar nationella behöriga myndigheter sina ramverk efter EMA:s



erfarenheter eller på egen hand. Viktiga delar att beakta för sådana ramverk:

- Definiera patientens roll i interaktionen
- Inkludera förslag om att involvera patienter i specifika institutionella processer
- Utarbeta ett utbildningsprogram
- Överväga ett koncept med ersättning för experter som gäller alla intressenter
- Utvärdera interaktionen löpande för ytterligare förbättringar och samarbeta mellan myndigheter med patienter för att etablera och standardisera metoder och praxis.

Alla ramverk måste revideras regelbundet.

## Mål för patientdelaktighet inom läkemedelsreglering

Att effektivisera interaktionen med patienterna och fokusera på områden där ömsesidiga fördelar kan förväntas är två grundläggande principer att tänka på när ramverket implementeras.

Målet bör vara att fortsätta bygga transparens och tillit för patientgrupper genom deras aktiva engagemang (**deltagande-konsultation-information**). För att nå det här målet bör specifika delmål uppfyllas, som t.ex.:

- Stödja tillsynsmyndigheten med verkliga erfarenheter av sjukdomar och hur de hanteras och få information om aktuell användning av läkemedel. Detta bidrar till att förstå värdet, från patienternas synvinkel, av den vetenskapliga evidensen från utvärderingsprocessen för beslutsfattande om nytta/risk.
- Se till att patienter och organisationerna som

- representerar dem hörs, rådfrågas och involveras i processen kring utvecklingen av riktlinjer och planer.
- Förbättra patientorganisationernas förståelse för tillsynsmyndighetens mandat och roll vad gäller utveckling, utvärdering, godkännande, övervakning och tillhandahållande av information om läkemedel.
  - Optimera kommunikationsverktyg (vad gäller innehåll och leverans) för att underlätta och främja information till patientorganisationernas medlemmar (t.ex. att nå enskilda patienter) i syfte att stödja deras roll för en säker och rationell läkemedelsanvändning.
  - Underlätta patienters deltagande i utvärderingen av nytta/risk och relaterade aktiviteter, fånga upp patienters värderingar och preferenser och få tillgång till information om aktuell läkemedelsanvändning och deras behandlingsmiljö, genom ett läkemedels hela livscykel, från tidig utveckling till utvärdering och övervakning på eftermarknaden.

För att nå dessa mål krävs nära samarbete mellan tillsynsmyndigheter, nationella hälsoministerier och andra intressenter, samt aktivt deltagande av och god interaktion med patienter, sjukvårdspersonal och deras representantorganisationer.

## **Föreslagen arbetspraxis (anpassad från EMA:s ramverk för samarbeten)**

Baserat på EMA:s erfarenheter på en europeisk nivå kan patienter delta i tillsynsmyndigheters aktiviteter som:

- **Ledamöter (och suppleanter)** i vissa av tillsynsmyndigheternas (vetenskapliga) kommittéer och arbetsgrupper och, som i EMA:s fall, även styrelsen (som

formellt tillsätts av EU-institutionerna).

- Enskilda **experter**.
- **Representanter från en organisation** som rådfrågas och deltar i diskussioner för att uttrycka organisationens åsikt om en särskild fråga.
- Tillfälliga **observatörer** av vissa aspekter av EMA:s eller tillsynsmyndighetens arbete.

Tillsynsmyndigheter bör upprätta urvalskriterier.

När patienter deltar i tillsynsmyndigheters arbete som individer och inte som representanter för någon organisation bör de deklarerat eventuella jävsförhållanden och följa tillsynsmyndighetens uppförandekod som alla andra experter. Dessutom bör organisationerna som arbetar tillsammans med tillsynsmyndigheten vara helt öppna vad gäller deras aktiviteter och finansiering.

För att nå målen som identifierats i avsnitt 4 är följande sex punkter mycket viktiga:

- **Ett nätverk med patientorganisationer (potentiellt i samarbete med andra tillsynsmyndigheter)**

Nätverket med patientorganisationer gör att tillsynsmyndigheten kan bygga upp enhetliga och målinriktade samarbeten med en bred grupp av organisationer med olika expertis- och intresseområden. Det bör finnas urvalskriterier. Kriterierna ska säkerställa att tillsynsmyndigheten kontaktar de lämpligaste organisationerna som representerar patienter på ett transparent sätt. Kriterierna bör vara harmoniserade inom nätverket.

- **Ett forum för utbyte med patientorganisationer etableras inom tillsynsmyndigheten**

Detta är en plattform för dialog och utbyte med patientorganisationer om relevanta frågor rörande läkemedel för användning på människor och eventuellt

medicintekniska produkter. Via plattformen kan tillsynsmyndigheten informera och få återkoppling och bidrag från patienter i sina olika initiativ. Den omfattar en balanserad representation av de olika typerna av patienter samt organisationer som representerar särskilda och känsliga populationer som inte är välrepresenterade inom läkemedelsutvecklingen, t.ex. äldre och kvinnor. Plattformen ska utgöra ett forum för att identifiera luckor och prioriterade frågor i det övergripande samarbetet.

- **En pool med individuella patienter som fungerar som experter på sina sjukdomar och behandlingar för att underlätta patienternas delaktighet i utvecklingen av och informationen om läkemedel**

Genom att skapa poolen av experter kan tillsynsmyndigheten snabbt och effektivt identifiera patienter som kan involveras i produktrelaterade aktiviteter, granska produktinformation och kommunikationsmaterial.

- **Interaktion inom kommunikation** Detta ger ett värdefullt bidrag för att stödja befintliga strukturer för informationsspridning till allmänheten. Dessutom ger samarbete på detta område förbättrad tillgång till validerad och uppdaterad information till patienter om nyttan och riskerna med läkemedel och bidrar till att förbereda och sprida tydliga budskap om säker och rationell läkemedelsanvändning till allmänheten. Allt informationsmaterial till patienter bör granskas av patientrepresentanter för att förbättra läsbarheten och lämpligheten i språk och innehåll.

- **Ett program med åtgärder för kapacitetsbyggande med fokus på utbildning och att öka medvetenheten om det regulatoriska systemet** För att patienternas bidrag ska vara meningsfullt måste de förstå tillsynsmyndighetens mandat samt den roll som förväntas av dem som patienter

i utvärderingsprocessen. Det bör finnas ett utbildningsprogram. Vissa patientorganisationer eller andra samarbetsprojekt har tagit fram eget utbildningsmaterial för att stärka patienter i sin representativa roll.

- **Ekonomiskt stöd** Ekonomiskt stöd bör ges till patienter som bidrar till tillsynsmyndighetens arbete. Det ska ses som ett erkännande av arbetet de utför samtidigt som det främjar deras oberoende. Patienter bör erkännas som experter och behandlas enligt samma standarder som andra experter, även vad gäller ersättning. Ibland kan patienter behöva ytterligare stöd för att kunna delta.

## Definiera samarbetet

Inför varje samarbete ska (om lämpligt) följande avtalas:

- Syftet med aktiviteten som involverar patienter och/eller gemensamma intresseområden för att etablera en gemensam, strukturerad interaktion som ger alla parter nödvändigt skydd vad gäller oberoende, integritet, sekretess och förväntningar.
- Typ av insats och mandat för den involverade personen
- Verktyg och metoder för interaktion, t.ex. mötesfrekvens, gemensamma regler, konflikthantering, ersättning, utvärdering.
  - Metoden för interaktion (möten, telefonsamtal osv.) ska diskuteras och bestämmas gemensamt, med patientens/patientorganisationens bekvämlighet som främsta prioritet. Om interaktionen kräver fysiska möten eller utveckling och utförande av evenemang, bör dessa följa befintliga uppförandekoder vad gäller lämpliga lokaler/platser och nivån på gästfrihet.
  - Om evenemang organiseras ska möjligheten för eventuell patientpublik beaktas, med lämpliga

åtgärder för tillgänglighet, färdtjänst och tillgång till evenemanget.

- Önskade patienter och patientorganisationer för att främja långsiktiga samarbeten med säkerställt oberoende.
- Profilen på typen av patient(er) eller patientrepresentant(er) som ska involveras samt deras antal.
- Hur resultaten från aktiviteterna kommer att användas
- Hur och när involverade patienter kommer att informeras om resultaten
- Avtalsvillkor, bland annat samtycke och sekretess samt avtal om själva interaktionen (mötestyp, frekvens, ersättning).
- Andra punkter beroende på specifik aktivitet

## **Patientidentifiering/-interaktion**

Det finns många sätt att identifiera patienter som kan delta i ett samarbete. De främsta kanalerna är:

- befintliga patientorganisationer
- EUPATI eller liknande projekt
- annonser om patientdeltagande
- öppen inbjudan
- befintliga kontakter med vårdgivare, sjukhus, forskare och andra myndigheter
- tidigare öppna förfrågningar från intresserade parter
- befintliga rådgivande kommittéer/grupper (t.ex. arbetsgruppen med patient- och konsumentorganisationer (PCWP) i EMA, EFPIA Think Tank)
- Externa myndigheter

# Urvalskriterier

## Patientorganisationer

För att öka transparensen ska organ med patientdelaktighet och patientorganisationer planera och offentliggöra sina samarbeten årligen. Namn på enskilda patienter kan röjas om personen deltar i en generisk rådgivande grupp, men ska annars inte röjas.

Patientorganisationer ska sträva efter att delta aktivt i interaktionen med en tillsynsmyndighet.

Organisationerna ska vara etablerade i en medlemsstat i Europeiska unionen (EU) eller i det Europeiska ekonomiska samarbetsområdet (EES) samt uppfylla följande kriterier:

Legitimitet:	Organisation ska ha registrerade stadgar i en av medlemsstaterna i EU/EES. Om det är en internationell organisation som inte är registrerad i en medlemsstat i EU/EES krävs ytterligare information om fokus på och aktiviteter i EU.
Mål/syfte:	Organisationen eller den enskilda patientexperten ska ha tydligt definierade mål/syften och samtycka till att publicera dessa på tillsynsmyndighetens webbplats.

<p>Aktiviteter:</p>	<p>Organisationen ska ha ett särskilt intresse för medicinska produkter (och eventuellt medicinteknisk utrustning) som ska vara dokumenterat (t.ex. genom en rapport publicerad på organisationens eller den enskilda personens webbplats).</p>
<p>Representation:</p>	<p>Organisationen ska representera patienter i hela EU/EES eller på relevant nationell nivå. Organisationer som redan är registrerade på gemenskapsnivå, t.ex. EU Health Forum och Europarådet, anses lämpliga för att representera patienter eller delta i tillsynsarbetet för läkemedel.</p> <p>Om det saknas europeiska organisationer för en viss sjukdom eller ett visst behandlingsområde kan man låta nationella organisationer delta, även om sådana som omfattar hela Europa är att föredra. Internationella organisationer kan också tillåtas delta om de har ett europeiskt fokus och är etablerade på ett eller flera ställen inom EU/EES.</p>
<p>Struktur:</p>	<p>Organisationen ska ha en styrelse som väljs av medlemmarna och består av patienter, deras anhörigvårdare eller deras valda representanter.</p>



<p>Ansvarsskyldighet och konsultationssätt:</p>	<p>Organisationens uttalanden och åsikter ska spegla medlemmarnas syn och åsikter, och tillfredsställande konsultationer ska hållas med medlemmarna. I synnerhet måste organisationen säkerställa att det finns ett informationsflöde så att dialogen fungerar i båda riktningar: till och från medlemmarna.</p>
---	--

<p>Transparens:</p>	<p>Organisationen ska rapportera till tillsynsmyndigheten varifrån den får offentliga och statliga medel genom att uppge namnet på organen och storleken på bidragen, både i absoluta tal och som procentsats av hela organisationens budget. Eventuella kopplingar till sponsring från företag måste vara tydliga och transparenta. Informationen ska rapporteras årligen till EMA. Paraplyorganisationer ska förse EMA med en lista över sina medlemsorganisationer.</p> <p>Organisationen ska publicera sina registrerade stadgar på sin webbplats, tillsammans med ekonomisk information inklusive varifrån organisationen får offentliga och privata medel samt information om organisationens aktiviteter.</p> <p>Organisationen ska följa en uppförandekod/policy som reglerar dess relation till och oberoende av sponsorerna.</p> <p>Tillsynsmyndigheten utvärderar den ekonomiska informationen utifrån transparenta, på förhand fastställda föreskrifter.</p>
---------------------	--

## Ersättning

Det bör påpekas att patienter som är delaktiga i olika aktiviteter ofta gör det ideellt, antingen som enskild person

eller som medlem i en organisation. Tänk därför på följande:

- ge ersättning för nedlagd tid och utgifter
  - eventuell ersättning som erbjuds ska vara rättvis och skälig för typen av engagemang. Helst ska resekostnader betalas direkt av den organiserande parten istället för att ersättas i efterhand.
- stå för patientorganisationers kostnader för arbetet med att välja ut och stötta patienter som ska delta i aktiviteter (dvs. stödgrupper för patienter, utbildning och förberedelse)
- hjälpa till med logistiken kring patientdelaktigheten, inklusive resor och/eller logi.

I ersättningen ingår även indirekta kostnadsfria fördelar (exempelvis att en patientorganisation tillhandahåller tjänster) eller andra icke-ekonomiska fördelar till patienten/patientorganisationen (exempelvis utbildning, hjälp att skapa webbplatser).

## **Skriftligt avtal**

Ett skriftligt avtal ska vara tydligt och åtminstone omfatta: en beskrivning av aktiviteten och målen med den, typen av samarbete under aktiviteten, samtycke (i tillämpliga fall), publicering, sekretess, ersättning, dataskydd, efterlevnad, deklaration av intressekonflikter och tidsplaner. Samverkan får endast ske i enlighet med ett skriftligt avtal som åtminstone fastställer de grundläggande förutsättningarna för samarbetet (t.ex. regler för åtagandet, efterlevnad, immateriella rättigheter och betalning). Skriftliga avtal ska formuleras noggrant så att de är tydliga och inte hindrar lämplig spridning av kunskap.

# Införande och övervakning

Ett ramverk för patientdelaktighet kan införas stegvis och/eller efter ett pilotprojekt om så är lämpligt. När det har införts så att patienter är delaktiga i både allmänna och produktspecifika frågor och det finns en etablerad pool med organisationer och patienter som enskilda experter och till samtalsforum måste en offentlig årsredovisning om samarbetet upprättas med följande punkter:

- en analys av indikatorer (fastställs beroende på typen av samarbete) för att utvärdera hur användbart samarbetet är
- feedback från patienter och organisationerna de representerar genom riktade undersökningar
- feedback från tillsynsmyndigheten
- en översikt över aktiviteterna där organisationer och patienter har varit delaktiga som enskilda experter
- gärna ett förslag på fortsatt arbete, inklusive en strategi för framtida samarbete med patienter.

## **Bilaga 1 – översikt över patientdelaktighet inom regulatoriska processer – exempel EMA**

## **Bilaga 2 – reviderade**

# arbetsriktlinjer

Ett antal erkända uppförandekoder kan utgöra en viktig grund för det här vägledande dokumentet.

1. ECAB-protokollet (beskrivning av ECAB (European Community Advisory Board, en vetenskaplig arbetsgrupp i EATG, grundad 1997) och dess arbetsrutiner)
2. Mandate, objectives and rules of procedure for the European Medicines Agency Human Scientific Committees' Working Party with Patients' and Consumers' Organisations (PCWP) (30 maj 2013)
3. Protokoll från ett möte med EMA:s arbetsgrupp med patient- och konsumentorganisationer (PCWP) och alla kvalificerade organisationer (31 januari 2014)
4. EMA:s Reflection Paper on the Further Involvement of Patients and Consumers in the Agency's Activities (10 december 2009)
5. EMA:s broschyr Working with patients and consumers (uppdaterad 22 april 2015)
6. EMA:s ramverk för samarbeten (reviderat 16 oktober 2014)
7. Rekommendationer från ECAB-mötet i Bergen, Norge, 1997  
EATG, ECAB, "The impatient Patient - From Anger to Activism"  
A systematic review of the history, working models, relevance and perspectives of the European Community Advisory Board
8. FDA:s program för patientrepresentanter
9. FDA Patient-Focused Drug Development; The Voice of the Patient:A Series of Reports from FDA's Patient-Focused Drug Development Initiative
10. FDA Patient-Focused Drug Development:Enhancing Benefit-Risk Assessment in Regulatory Decision-Making
11. WMA Declaration of Helsinki - Ethical Principles for Medical Research Involving Human Subjects Retrieved 13 July, 2021, from

<https://www.wma.net/policies-post/wma-declaration-of-helsinki-ethical-principles-for-medical-research-involving-human-subjects/>

## Referenser

1. Adapted from the EMA framework. European Medicines Agency (2014)  
EMA/637573/2014. [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2009/12/WC500018013.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2009/12/WC500018013.pdf). Last Accessed 21.11.2016.
2. Regulation (EC) No 726/2004  
[http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg\\_2004\\_726/reg\\_2004\\_726\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg_2004_726/reg_2004_726_en.pdf). Last Accessed 21.11.2016.

\* Konsumenter betraktas som intressenter i vårddialogen. EUPATI:s arbete fokuserar på patienter snarare än konsumenter, vilket återspeglas i utbildningsmaterialet och de vägledande dokumenten.

## Bilagor