

# **Vejledning om patientinddragelse i forskning og udvikling af lægemidler udført af medicinalindustrien**

## **Overordnede principper for patientinddragelse i hele processen med forskning og udvikling af lægemidler**

Det Europæiske Patientakademi (EUPATI) er et fælles europæisk initiativ vedrørende innovative lægemidler (IMI) og omfatter 33 organisationer med partnere fra patientforeninger, universiteter, nonprofitorganisationer og medicinalvirksomheder. I hele EUPATI henviser begrebet "patient" til alle aldersgrupper og alle sygdomme. EUPATI fokuserer ikke på sygdomsspecifikke spørgsmål eller behandlinger, men på processen for udvikling af lægemidler generelt. Indikationsspecifikke oplysninger og aldersspecifikke eller specifikke lægemiddelinterventioner er uden for EUPATI's område og ligger i stedet hos det sundhedsfaglige personale og hos patientforeningerne. Du kan finde flere oplysninger på [eupati.eu/](http://eupati.eu/).

Langt størstedelen af de eksperter, der beskæftiger sig med udvikling og evaluering af lægemidler, er forskere, der arbejder både i den private og den offentlige sektor. Der er

et stadig større behov for at trække på patienternes viden og erfaringer for at forstå, hvad det vil sige at leve med en specifik sygdom, hvordan plejen administreres og den daglige brug af medicin. Dette input hjælper med at forbedre forskning, udvikling og evaluering af nye effektive lægemidler.

Et struktureret samarbejde med patienter i alle aldersgrupper og med alle tilstande, deres repræsentanter og andre interessenter er nødvendigt og muliggør en informationsudveksling og konstruktiv dialog på nationalt og europæisk plan, hvor medicinbrugernes synspunkter kan og bør tages i betragtning. Det er vigtigt at tage højde for, at både sundhedssystemerne, praksisserne og lovgivningen kan være forskellige.

Vi anbefaler et tæt samarbejde og partnerskab mellem de forskellige interessenter, herunder sundhedspersonaleorganisationer, kontraktforskningsorganisationer, patientforeninger og forbrugersammenslutninger\*, den akademiske verden, videnskabelige og akademiske miljøer, lægemiddelmyndigheder, organer til medicinsk teknologivurdering (MTV) og medicinalindustrien. De hidtidige erfaringer viser, at inddragelsen af patienter har ført til øget gennemsigtighed, tillid og gensidig respekt mellem dem og de andre interessenter.

Det er anerkendt, at patienternes bidrag til forskning, udvikling og evaluering af lægemidler beriger kvaliteten af den tilgængelige evidens og de tilgængelige synspunkter.<sup>[1]</sup>

De eksisterende adfærdskodekser for patientinddragelse med forskellige interessenter dækker ikke hele området for forskning og udvikling (F&U) fuldt ud. EUPATI's vejledningsdokumenter tager sigte på at støtte brugen af patientinddragelse i hele processen med forskning og udvikling af lægemidler.

EUPATI har udarbejdet disse vejledningsdokumenter til alle interessenter, der ønsker et samarbejde med patienterne om forskning og udvikling af lægemidler (F&U). Brugerne kan afvige fra denne vejledning alt efter specifikke forhold, national lovgivning eller særlige behov i forbindelse med det enkelte samarbejde. Denne vejledning bør tilpasses til de individuelle krav ud fra den bedste professionelle vurdering.

Der er fire separate vejledningsdokumenter, som dækker patientinddragelse i:

- F&U af lægemidler udført af medicinalindustrien
- Etiske komitéer
- Lægemiddelmyndigheder
- Medicinsk teknologivurdering (MTV).

Hver vejledning indeholder forslag til områder, hvor der i øjeblikket er mulighed for patientinddragelse. Denne skal gennemgås og revideres med jævne mellemrum, så den afspejler udviklingen.

**Denne vejledning dækker patientinddragelse i F&U af lægemidler udført af medicinalindustrien.**

I vejledningen anerkendes følgende værdier, som der arbejdes hen imod gennem indførelsen af de foreslåede arbejdspraksisser (afsnit 7). Værdierne er:

Relevans	Patienterne har viden, perspektiver og erfaringer, som er unikke, og som bidrager til en vigtig evidens, når det gælder forskning og udvikling af lægemidler udført af medicinalindustrien.
----------	---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

Rimelighed	Patienterne har de samme rettigheder til at bidrage til processen med F&U af lægemidler som andre interessenter, og de har adgang til viden og erfaringer, som muliggør en effektiv involvering.
Retfærdighed	Patientinddragelse i F&U af lægemidler bidrager til retfærdighed ved at forsøge at forstå de forskellige behov hos patienter med særlige helbredsproblemer og afveje dem i forhold til industriens krav.
Kapacitetsopbygning	Patientinddragelsesprocesserne nedbryder barrierer for at involvere patienterne i F&U af lægemidler og opbygger patienternes og forskningsorganisationernes samarbejdskapacitet.

Alle vejledninger, der udarbejdes efterfølgende, skal tilpasses til den eksisterende nationale lovgivning for samarbejdet, som det er nævnt i de fire EUPATI-vejledningsdokumenter.

## Ansvarsfraskrivelse

EUPATI har udarbejdet denne vejledning til alle interessenter, der ønsker at samarbejde med patienterne om forskning og udvikling af lægemidler (F&U) i hele lægemidlernes F&U-livscyklus.

Disse vejledningsdokumenter er ikke tænkt som konkrete regler og vil ikke give detaljeret rådgivning trin for trin.

Denne vejledning skal bruges i overensstemmelse med specifikke forhold, national lovgivning eller særlige behov i forbindelse

med det enkelte samarbejde. Denne vejledning bør tilpasses til de individuelle krav ud fra den bedste professionelle vurdering.

Såfremt denne vejledning indeholder rådgivning om juridiske spørgsmål, skal denne rådgivning ikke ses som en endelig juridisk fortolkning, og den træder ikke i stedet for formel juridisk rådgivning. Såfremt formel rådgivning er nødvendig, skal de pågældende interessenter konsultere deres respektive juridiske afdelinger, hvis sådanne forefindes, eller søge juridisk rådgivning fra kompetente kilder.

EUPATI er under ingen omstændigheder ansvarlig for nogen udfald af nogen som helst karakter som følge af denne vejlednings anvendelse.

EUPATI-projektet har modtaget støtte fra fællesforetagendet for initiativet om innovative lægemidler under tilskudsaf-tale nr. 115334. Disse ressourcer består af finansielle bidrag fra Den Europæiske Unions syvende rammeprogram (RP7/2007-2013) og EFPIA-virksomhederne.

# **Introduktion til patientinddragelse i F&U af lægemidler udført af medicinalindustrien**

Vigtigheden og fordelene ved større patientinddragelse i forskning og udvikling af lægemidler (F&U) er almindeligt anerkendt. Mange af medicinalindustriens førende virksomheder har sammen opfordret til, at der gøres en indsats for at indgå et partnerskab med patienterne, når det gælder lægemidlers udvikling og livscyklus[2]. Også patientsamfundet har i mange år opfordret til, at virksomhederne inddrager patienterne i

F&U af lægemidler fra de tidligste stadier.

Hele industrien bevæger sig i retning af et større fokus på patienterne med oprettelsen af Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI), FDA-initiativet Patient-Focused Drug Development (PFDD), Clinical Trials Transformation Initiative (CTTI) og Patient Focused Medicine Development (PFMD) Coalition. I Europa er det EUPATI og andre IMI-projekter, der står i spidsen for indsatsen for en generel udbredelse af patientinddragelse i F&U, så den ikke kun omfatter specifikke indikationer. En større patientinddragelse kan give mange fordele til alle involverede parter, herunder identifikation og forståelse af uopfyldte behov, forskningsprioriteringer, optimering af klinisk forsøgsdesign samt fastlæggelse af resultatmål og endepunkter. Målsætningen for ethvert samarbejde bør være at forbedre F&U af lægemidler ved også at tage højde for patienternes behov og prioriteringer.

Behovet for klar vejledning om patientinddragelse i F&U udført af medicinalindustrien og samarbejdet mellem patienterne og industrien bygger på følgende:

- De eksisterende adfærdskodekser (se bilag 1) indeholder ikke en grundig beskrivelse af patientinddragelse i F&U udført af medicinalindustrien, med undtagelse af nogle mere generelle angivelser, der gælder for samarbejdet.
- Der mangler en overordnet vejledning om et meningsfuldt og etisk samarbejde
- Patienter og patientforeninger bør inddrages på en proaktiv og tværgående måde, navnlig i forbindelse med et lægemiddels tidlige forskningsstadium, udviklingsstadium og stadiet efter godkendelse, og samarbejdet bør ikke begrænses til klinisk udvikling.
- Sproget bør i højere grad gå i retning af patientinddragelse, og den klare standardangivelse bør være, at et samarbejde er tilladt, medmindre det udtrykkeligt er forbudt. Der bør desuden være en

detaljeret aftale om, hvordan aktiviteterne skal udføres.

- Ethvert samarbejde med patienterne skal foretages på en professionel og etisk måde, hvor der ikke gøres reklame (i henhold til lokale bestemmelser).

## Omfang

Denne europæiske vejledning omhandler samarbejdet mellem patienterne og medicinalindustrien i hele lægemidlernes F&U-livscyklus, for så vidt angår lægemidler til mennesker. Denne europæiske vejledning omfatter alle funktioner i F&U udført af medicinalindustrien, hvad angår patientinddragelse i hele lægemidlernes F&U-livscyklus. Dette omfatter aktiviteter inden godkendelsen og efter markedsføringen, hvor patienter og patientgrupper inddrages. . "Patienter" kan være enkelte patienter eller deres omsorgspersoner, eller det kan være repræsentanter for patientforeninger med relevant ekspertise (afsnit 5). Se figur 1, som viser, hvor patienter aktuelt kan blive inddraget. Dette er dog ikke ment som en begrænsning af inddragelsen, og disse muligheder kan ændre sig og blive større med tiden.

Alle aktiviteter skal være i overensstemmelse med den eksisterende EU-lovgivning og nationale lovgivning for medicinalindustrien og dens samarbejde med offentligheden. Desuden skal virksomhederne følge deres egne interne procedurer.

## Definition af "patient"

Begrebet "patient" anvendes ofte som et generelt, upræcist begreb, som ikke afspejler de forskellige typer input og erfaring, der kræves af patienterne, patientrepræsentanterne og patientforeningerne i forskellige samarbejdsprocesser.

For at skabe klarhed omkring terminologien for de potentielle roller i patientinddragelsen, der præsenteres i dette og i andre EUPATI-vejledningsdokumenter, bruger vi begrebet "patient", som dækker følgende definitioner:

- "Enkelte patienter" er personer, der har personlig erfaring med at leve med en sygdom. De kan evt. have teknisk viden om F&U eller de regulatoriske processer, men deres vigtigste rolle er at bidrage med deres subjektive sygdoms- og behandlingserfaring.
- "Omsorgspersoner" er personer, der støtter de enkelte patienter, såsom familiemedlemmer eller betalte eller frivillige hjælpere.
- "Patientrepræsentanter" er personer, som har viden om og erfaring med at støtte en større gruppe patienter, der lever med en specifik sygdom. De kan evt. være tilknyttet en patientforening.
- "Patientforeningsrepræsentanter" er personer, der har mandat til at repræsentere og udtrykke de kollektive synspunkter hos en patientforening om et specifikt spørgsmål eller sygdomsområde.
- "Patienteksperter" har, ud over den sygdomsspecifikke ekspertise, opnået teknisk viden om F&U og/eller regulatoriske forhold gennem uddannelse eller erfaring. Det kan f.eks. være EUPATI Fellows, som er uddannet af EUPATI i alle aspekter af F&U af lægemidler.

Der kan være visse forbehold med hensyn til inddragelsen af enkelte patienter i samarbejdsaktiviteter med interessenterne, fordi deres input vil være subjektivt og modtageligt for kritik. EUPATI opfordrer dog, ligesom lægemiddelmyndighederne, til en retfærdig tilgang, hvor man ikke udelukker de enkelte patienters inddragelse. Det bør overlades til den eller de organisation(er)s skøn, der indleder samarbejdet, at vælge den mest passende patientrepræsentation, dvs. hvilken type patient der egner sig til hvilken aktivitet (se afsnit 7). Hvis en enkelt patient inddrages, foreslås det, at den relevante



patientforening, hvis en sådan forefindes, informeres og/eller høres for at give støtte og/eller rådgivning.

Den inddragede persons type input og mandat bør vedtages i enhver samarbejdsproces inden inddragelsen.

## **Gennemsigtighed**

For at øge gennemsigtigheden i patientinddragelsen inden for F&U af lægemidler udført af medicinalindustrien bør virksomhederne og patientforeningerne, såfremt dette er tilladt, offentliggøre deres samarbejdsaktiviteter hvert år på deres websteder. De enkelte patienters navne og anden beskyttet helbredsinformation må ikke offentliggøres.

På nogle områder kan antallet af personer med erfaring og viden være lille. Denne kendsgerning må ikke hindre en høring, og at man bygger videre på denne viden gennem et parallelt samarbejde med andre interesserede parter (såsom lægemiddelmyndigheder eller andre medicinalvirksomheder). Dette samarbejde bør dog offentliggøres.

## **Foreslåede arbejdspraksisser**

At fremme og etablere langvarige partnerskaber mellem patienter, patientforeninger og industrien er den bedste tilgang til at give alle parterne nogle fordele, og denne tilgang bør fremmes, alt imens man respekterer patienternes/patientforeningernes uafhængighed og andre bestemmelser i eksisterende adfærdskodekser, som giver sig udslag i pålidelige, gennemsigtige driftsprocedurer. Opbygningen af en forbindelse kan ganske vist starte med ad hoc-samarbejde, som opfylder behovene på kort sigt, men de skal ideelt set blive til hyppigere samarbejde, efterhånden som der oprettes partnerskaber.

**En intern tværfunktionel koordination** af patientinddragelsen i hver medicinalvirksomhed ville være meget gavnlig for alle berørte parter og have en klar forbindelsesrolle.

Der bør finde drøftelser sted inden inddragelsen for at sikre et samarbejde, der er til gavn for alle parter, og en tilstrækkelig forberedelse. Specifikke detaljer med hensyn til samarbejdet, herunder omfang, samarbejdstype, ressourcekrav og tidsfrister, skal aftales mellem patienterne, patientrepræsentanterne og industrien, inden samarbejdet begynder, og fastlægges i en skriftlig aftale.

## **Definition af samarbejdet**

Patienterne, patientrepræsentanterne og industrien bør sørge for et meningsfuldt samarbejde ved hjælp af klart definerede processer og foranstaltninger, hvor der er opstillet tidsfrister. Endvidere skal alle deltagere forberede sig til samarbejdet.

Før hvert samarbejde skal parterne aftale følgende (hvis relevant):

- formålet med det projekt, som involverer patienterne og/eller områder af fælles interesse, med henblik på at etablere et aftalt, struktureret samarbejde, der giver alle parter den nødvendige beskyttelse med hensyn til uafhængighed, privatlivets fred, fortrolighed og forventninger (se afsnit 11, skriftlig aftale).
- den inddragede persons type input og mandat
- samarbejdets redskaber og metoder, f.eks. mødetyper og mødehyppighed, grundregler, konfliktløsning og evaluering
- den ønskede patient-/patientpartnerforening, som skal fremme et langvarigt arbejdspartnerskab med sikkerhed for uafhængigheden (inden for omfanget)
- profilen på den type patient(er) eller

patientrepræsentant(er), der skal inddrages, og deres antal

- hvordan outputtet fra aktiviteterne skal bruges, og hvem der ejer outputtet
- hvordan og hvornår den eller de inddragede patient(er) vil blive informeret om resultaterne
- kontraktvilkår og -betingelser, herunder samtykke og kompensation (se afsnit 11, skriftlig aftale)
- andre elementer alt efter det specifikke projekt

## Patientidentifikation/samarbejde

Der er mange måder at identificere patienter på, som skal inddrages i et samarbejde. De vigtigste måder er følgende:

- eksisterende patientforeninger
- EUPATI eller et lignende projekt
- annoncering efter patientdeltagelse
- eksisterende forbindelser med sundhedsudbydere, hospitaler og forskere eller andre organer
- uopfordrede anmodninger, som tidligere er modtaget fra interesserede parter
- eksisterende rådgivende komitéer/grupper (f.eks. EFPIA's tænketank eller EMA's patient- og forbrugerarbejdsgruppe)
- tredjepartsorganer

## Kompensation

Man skal være opmærksom på, at patienter, der er involveret i aktiviteter, ofte gør dette frivilligt enten som enkeltperson eller som medlem af en patientforening. Derfor bør følgende overvejes:

- At kompensere dem for den samlede tid, de har brugt, og deres udgifter.
  - At enhver compensation, der tilbydes, skal være rimelig og passende i forhold til engagementet. Ideelt set skal rejseudgifterne betales direkte af den partner, der står for organisationen, i stedet for at blive refunderet.
- At patientforeningernes omkostninger bør dækkes, når de identificerer eller støtter patienter, som skal inddrages i aktiviteterne (dvs. støttegrupper, uddannelse og forberedelse).
- At hjælpe med at organisere den logistiske del af patientdeltagelsen, herunder rejser og/eller indkvartering.

Kompensation omfatter også indirekte naturalydelser (såsom gratis tjenester fra patientforeningens side) eller enhver anden form for ikkefinansielle naturalydelser, som patienten/patientforeningen modtager (såsom kurser, agenturtjenester og oprettelse af websteder).

Alle parter bør være åbne omkring enhver aftale om kompensation.

## **Skriftlig aftale**

En skriftlig aftale skal som minimum indeholde en klar definition af følgende: en beskrivelse af aktiviteten og dens målsætninger, samarbejdets karakter under aktiviteten, samtykke (hvis relevant), frigivelse, fortrolighed, kompensation, tavshedspligt, overholdelse, erklæring om interessekonflikt og tidsfrister. Samarbejdet kan kun finde sted på grundlag af en skriftlig aftale, der som minimum fastsætter de grundlæggende elementer i samarbejdet (f.eks. reglerne for inddragelsen, overholdelse, intellektuel ejendomsret og finansielle godtgørelser).

Det skal sikres, at skriftlige aftaler er klare, og at de ikke begrænser en hensigtsmæssig vidensdeling.

## **Arrangementer og forplejning**

Samarbejdsmetoden (møder, telefonsamtaler osv.) skal drøftes og aftales mellem parterne, idet nemheden for patienterne/patientforeningerne har førsteprioritet. Hvis samarbejdet kræver personlige møder eller tilrettelæggelsen og afholdelsen af arrangementer, skal disse følge de eksisterende adfærdskodekser og lokal lovgivning, hvad angår et passende sted/placering og niveauet af forplejning.

Når der afholdes arrangementer, skal det tilsigtede patientpublikums evne til at deltage tages i betragtning, og der skal træffes passende foranstaltninger for at sikre tilgængelighed, rejseassistance og adgang til arrangementet.

## **Bilag 1 – Gennemgåede adfærdskodekser**

En række anerkendte adfærdskodekser kan udgøre et vigtigt grundlag for dette vejledningsdokument.

1. The ECAB Protocol (description of and working procedures of ECAB (European Community Advisory Board, scientific working group at EATG, established 1997))
2. Mandate, objectives and rules of procedure for the European Medicines Agency Human Scientific Committees' Working Party with Patients' and Consumers' Organisations (PCWP) (30 May 2013)
3. Minutes of EMA Human Scientific Committees' Working Party with Patients' and Consumers' Organisations (PCWP) meeting with all eligible organisations (31 January 2014)

4. 10 December 2009 EMA Reflection Paper on the Further Involvement of Patients and Consumers in the Agency's Activities
5. EMA leaflet on working with patients and consumers (updated 22/4/2015)
6. EMA framework of interaction (revised 16 October 2014)
7. Recommendations from ECAB meeting held in Bergen, Norway 1997EATG 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 Patient Representative Program
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/>

## [glossary\_exclude]Referencer

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](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. Hoos A, Anderson J, Boutin M, et al. 2015, Partnering with patients in the development and lifecycle of medicines: a call for action. Therapeutic Innovation & Regulatory Science.[/glossary\_exclude]

\*Forbrugerne er anerkendt som interessenter i sundhedsplejedialogen. I EUPATI's virke er der fokus på patienterne frem for forbrugerne, hvilket afspejles i uddannelsesmaterialer og vejledningsdokumenter.

## **Bilag**