

# Patientdelaktighet i HTA-beslutsprocessen

## Inledning

Vi kan beakta hela beslutsprocessen för medicinsk metodutvärdering (HTA) som visas i figur 1. Patienter kan delta i HTA-beslut på många olika sätt.

## Områden för patientdelaktighet

### Data (forskning)

HTA-organ behöver göra bedömningar av mervärdet mot bakgrund av den tillgängliga informationen (data). Data i det här sammanhanget kan rymma allt från klinisk forskning till patientupplevelser. Utvärdering av data sker i form av kvalitativa eller kvantitativa forskningsstudier.

Det finns många sätt på vilka patienter kan bidra med "data" till HTA, till exempel genom att

- utveckla eller validera patientrapporterade utfallsmått (PROM), hjälpa tillsynsmyndigheter, HTA-organ och läkemedelsföretag att förstå vad som bör mätas under kliniska prövningar
- delta i högkvalitativ forskning
- utveckla eller genomföra enkäter för att
  - få information om antalet patienter som lever med en sjukdom
  - dokumentera patienters upplevelser av en sjukdom (till exempel antalet patienter med olika former av en sjukdom)
  - dokumentera patienters upplevelser av aktuella

behandlinger (till exempel antalet patienter som upplever vissa incidenter och hur stor andel som skattar dem som extrema)

- presentera patienters upplevelser och berättelser för HTA-organ – HTA-organ använder information från sådana presentationer för att undersöka övriga data. Om patienterna till exempel genomgående rapporterar att det är besvärligt att ha en sjukdom på grund av att de behöver ta många olika läkemedel granskar HTA-organen alla data för att undersöka om ett nytt läkemedel, eller ett nytt sätt att tillföra ett läkemedel, kan underlätta för patienterna.
- lämna in material från patienter till HTA-organ (för bedömning) i ett strukturerat format så att HTA-organet kan se påverkan utifrån olika beslutskriterier jämfört med aktuella alternativ (till exempel rättvisa, jämlikhet, rättsliga, etiska, psykosociala). Under idealiska förhållanden presenteras information från ett stort antal patienter på ett strukturerat och objektiva sätt i materialet. Det kan innefatta alla delar som anges ovan.

En utmaning är hur man ska kunna samla in, analysera och ta hänsyn till patienternas perspektiv på enskilda aspekter av en ny metod. Exempelvis kan skillnaden mellan intravenös tillförsel och en daglig tablett vara betydande för patienten utan att detta fångas upp någonstans i värdebedömningen (till exempel om värdebedömningen sker genom beräkning av antalet kvalitetsjusterade levnadsår). Därför kan väl genomförda preferensstudier – till exempel försök med olika svarsalternativ – vara ett användbart tillägg till bedömningen av det totala värdet. De kan förankras med hjälp av data från de randomiserade kontrollerade prövningarna och därför ge tillbörlig vetenskaplig stringens till vad som annars skulle kunna uppfattas som enkla påståenden om preferens ("jag föredrar det här före det där"), som har liten eller ingen betydelse i väl genomförda HTA-utvärderingar.

## Beslutsproblem (kontext)

Frågorna som behandlas i forskning definieras ofta av kliniker. Man borde dock ta hänsyn till patienternas perspektiv i detta stadium, för att

- säkerställa att de frågor som är viktiga för patienterna beaktas när det gäller forskningens utformning och bedömning av bevisen
- få hjälp med att bestämma forskningsfrågornas omfattning och definiera beslutsproblemet för HTA-organen
- få hjälp med att kommentera utkast till rekommendationer för att försäkra sig om att de är rimliga.

## Vetenskaplig bedömning och analys

Vetenskapliga bedömningar är de metodiska och systematiska överväganden som ligger till grund för dataanalysen. Dåliga eller kraftigt varierande bedömningar kan leda till dåliga eller oförutsägbara fynd och potentiellt dåligt beslutsfattande. Patienter och patientgrupper kan göra följande:

- Kontrollera om deras lokala HTA-organ har en utvärderingshandbok eller metodhandledning (en handbok med vägledning om metoder) och om så inte är fallet, rekommendera en sådan. Detta kan främja enhetlighet vid vetenskaplig analys och användning av transparenta och aktuella jämförbara metoder.
- Om en handbok eller metodhandledning finns, kontrollera om det även finns metoder för bedömning av patientrapporterade utfallsmått och andra sätt att innefatta patientperspektivet eller i annat fall begära att det tas med.
- Delta i konsultationer om eller uppdateringar av handböcker eller metodhandledningar som initieras av HTA-organ för att försäkra sig om att de innehåller uttrycklig information om metoder för att få med

patientperspektivet.

## Värde

I den här kontexten innebär värde de prioriteringar som individer anger, vilka ska ligga till grund för tolkningen av bevis. Till exempel hur viktigt det är att eliminera vissa utfall eller sjukdomar i förhållande till andra. Värde kan också innefatta den relativa betydelsen av olika faktorer för beslutsfattande, till exempel effekten av en ny metod på rättvisa och jämlikhet samt dess rättsliga, etiska och psykosociala konsekvenser.

Patienter eller patientgrupper kan göra följande:

- Kontrollera att deras lokala HTA-organ har ett värde- eller kriteriebaserat ramverk för beslutsfattande. Vissa HTA-organ använder konsekventa och transparenta ramverk. I de flesta fall finns dock inga värderamverk, eller HTA-organen förklarar helt enkelt att de ägnar sin uppmärksamhet åt klinisk effektivitet och kostnadseffektivitet. Eftersom värde innebär att jämföra kostnaderna med graden av nytta värdesätts bara kliniska effekter (hälsoutfall) i ett ramverk för klinisk effektivitet/kostnadseffektivitet. Patienter kan utarbeta ett ramverk eller verka för att ett befintligt ramverk tillämpas.
- Kontrollera att deras lokala HTA-organ har representanter som presenterar material från patienter och företräder flera medborgargrupper (genom kunskaper om gemensamma behov och patientrelaterad information) och inte bara en specifik patientgrupp.
- Använda material från patientgrupper för att belysa den relativa betydelsen av de olika beslutskriterier som bör beaktas (till exempel hälsoutfall, rättvisa, jämlikhet, rättsliga, etiska, psykosociala). Detta kan antingen vara en åsikt eller baseras på empirisk forskning (till exempel enkäter).

## Rekommendationer (utvärderingar)

Rekommendationerna ska stämma överens med beaktade data och innefattade värden. Patienter eller patientgrupper kan göra följande:

- Kontrollera att deras lokala HTA-organ har en mekanism för att granska och ge återkoppling på rekommendationer (eller begära en sådan) för att se till att tillvägagångssätt för rekommendationer är ansvarsfulla och rättvisa.
- Om det finns en mekanism för granskning och återkoppling: granska och ge återkoppling på rekommendationer för att försäkra sig om att hänsyn tagits till bevis och information från patienter och att de överensstämmer med de data och den information om värden som har lämnats in.
- Sammanfatta rekommendationer så att de blir begripliga för patienter.

## Beslut

Besluten ska stämma överens med rekommendationerna eller – om så inte är fallet – innehålla förklaringar till varför det finns skillnader. Det är i detta skede som patienterna kan byta roll från att tillhandahålla bevis och värden till att vara patientrepresentanter.

Patienter eller patientgrupper kan göra följande:

- Samverka med lokala beslutsfattare inför en rekommendation angående beslutets relativa betydelse och se till att information lämnas till HTA-organet.
- Övervaka hur lång tid det tar från det att rekommendationer ges tills beslut verkställs som ett sätt att förbättra ansvarstagandet vid HTA-processer.
- Engagera sig i lämpliga politiska processer (till exempel som patientrepresentant) när ett beslut har

fattats eller i onödan försenats.

- Arbeta för finansiering av ytterligare forskning som rekommenderas och delta i denna forskning när ett beslut har fattats.

## Ledning

Utanför processen för en enskild HTA-utvärdering har patienterna viktiga roller att spela när det gäller ledningen av ett HTA-organ. Patienter kan till exempel medverka vid granskningar av HTA-processen eller vara till stor hjälp vid utvärdering av processer för patientdelaktighet.

## Undersöka patientupplevelser i HTA-processen

I vissa HTA-processer ombeds patienterna beskriva vad det innebär att leva med en sjukdom och vad det skulle kunna betyda att få en ny behandling eller ett nytt läkemedel. Dessa patientupplevelser tillför flera viktiga typer av information till HTA-organet:

- De betraktas som verkliga fall. Enskilda fall utgör dock inte någon särskilt stark form av bevisning. HTA-organ är intresserade av erfarenheter från hela populationer, som lättare kan fångas upp med hjälp av kvalitativ forskning av patientgrupper som har den aktuella sjukdomen. Detta är ett område där patientorganisationer kan hjälpa till, eftersom de kan använda bredden av sina medlemmars kollektiva erfarenheter som ett komplement till vittnesmål av enskilda patienter.
- De ger en preliminär indikation om vilka utfall som är viktiga. Detta kan ge en uppfattning om hur kliniska data ska användas och vilka utfall som ska undersökas. Det kan också skapa ett perspektiv på "värde" genom att peka på vilka utfall som är viktigast och vad en acceptabel "meningsfull" skillnad innebär för patienterna. Återigen

är HTA-organ mer intresserade av hela populationer, och populationsbaserad forskning ger mer information än ett enskilt fall. När forskning saknas kan dock fallen fungera som en användbar startpunkt och ge perspektiv som inte finns någon annanstans.

## Undersöka synpunkter – påverkan eller bevis

HTA-processer är avsedda att vara till hjälp för beslutsfattande – lämpliga data och analys ska användas i kombination med en rättvis och ansvarsfull process för att ta fram rekommendationer som myndigheter kan använda som grund för sina beslut (till exempel att göra en ny medicinsk metod tillgänglig för patienter som behöver den och hur detta ska göras). I denna process är synpunkter från patienter avgörande för att säkerställa att hänsyn tas till den nya metodens värde för deras livssituation. Patienterna kanske anser att det är ytterst viktigt för deras livssituation att den nya metoden finns tillgänglig. I detta fall kan beslutet som fattas i slutet av HTA-processen ha stor betydelse för deras hälsa. För att säkerställa att hänsyn tas till patienternas prioriteringar bör de lämna information till beslutsfattarna där de bättre förklarar **hur** viktigt ett beslut är och **varför** det är så viktigt. Detta är vad beslutsfattarna behöver känna till för att motivera sina beslut baserat på tillgänglig information under en hållbar process.

Patienternas roll bör vara att se till att en korrekt HTA-process genomförs. Detta innefattar att

- säkerställa att tydliga och transparenta processer används för analys och rekommendationer
- underlätta patientdelaktighet när analysen definieras
- delta i kommittéer som utformar HTA-rekommendationer
- ge återkoppling på rekommendationer och analys
- bidra med sitt perspektiv i enlighet med de principer

som redan diskuterats (bland annat vad det innebär att leva med den aktuella sjukdomen, vilka begränsningarna med de befintliga behandlingarna är och – i vissa fall när informationen kan vara användbar för bedömning av det övergripande värdet – preferenser för specifika aspekter av en produkt).

Många HTA-processer saknar dessa viktiga komponenter, vilka betraktas som grundläggande principer. Exempelvis är många HTA-kommittéer utan patientrepresentation – någon som förstår processen och kan föra patienternas talan under rekommendationsfasen.

## **Värden och kvalitetsstandarder för patientdelaktighet vid HTA**

Under 2014 samarbetade Health Technology Assessment International (HTAi) med ett stort antal intressenter internationellt för att utveckla värden och kvalitetsstandarder för patientdelaktighet vid HTA. Dessa värden är de underliggande principerna som anger varför det är viktigt att låta patienter delta vid HTA. Kvalitetsstandarderna är praktiska åtgärder som HTA-organ kan vidta för att säkerställa effektiv patientdelaktighet vid en enskild HTA-utvärdering och vid utformning av den allmänna processen för en HTA-utvärdering. (Den fullständiga texten finns i "Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA" från HTAi.)

Implementeringen av dessa värden och kvalitetsstandarder befinner sig på ett tidigt stadium, men patientgrupper har en viktig roll att spela när det gäller att förmå HTA-organ att tillämpa dem och delta i HTAi-aktiviteter för att främja användningen av dem.



# Slutsatser

Det finns många olika aspekter av HTA där patienter kan bidra. Patientens roll börjar innan ett nytt läkemedel utvecklas och kan fortsätta vid HTA-utvärderingen och efter att HTA-rekommendationer har utformats. En startpunkt för varje patient eller patientgrupp är att undersöka synpunkterna på den lokala HTA-processen och bedöma om den är rättvis och ansvarsfull.

I sista hand måste HTA-organen förstå hur alla patienter med en viss sjukdom kommer att påverkas av en ny metod. Forskning som innefattar ett större representativt urval av lokala patienter och använder bra forskningsmetoder är ytterst användbar för HTA-organ. Utöver att lämna personliga redogörelser kan patientgrupper även fundera på hur de bäst kan utveckla eller tillhandahålla populationsbaserad forskning till dessa HTA-processer.

## [glossary\_exclude]Ytterligare resurser

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

## Referenser

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

## Bilagor

A2-6.09-v1.1