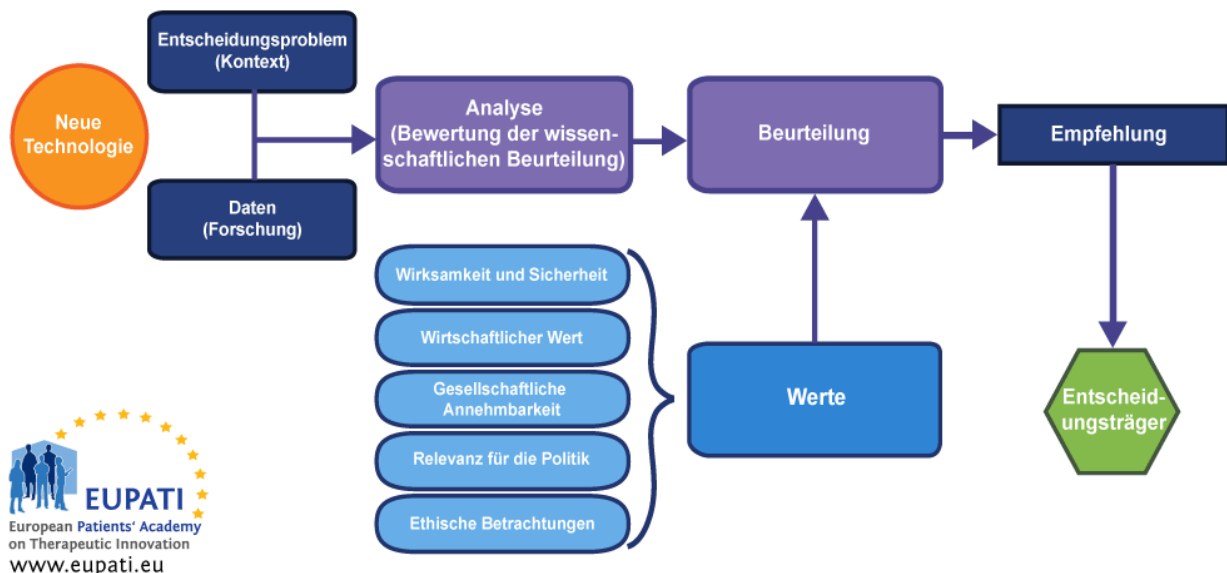


# Patientenbeteiligung am HTA-Entscheidungsfindungsprozess

## Einleitung

Wir können den gesamten HTA-Entscheidungsfindungsprozess wie in Abbildung 1 gezeigt, betrachten. Patienten können in vielfältiger Weise an HTA-Entscheidungen beteiligt werden.

### Erteilung einer HTA-Empfehlung



Vorgehensweise und Überlegungen zur Erteilung einer HTA-Empfehlung für Entscheidungsträger.

## Bereiche der Patientenbeteiligung

### Daten (Forschung)

HTA-Gremien müssen anhand der verfügbaren Informationen (Daten) Entscheidungen über den Mehrwert treffen. Hierbei können die Daten von klinischer Forschung bis hin zu

Patientenerfahrung reichen. Die Bewertung der Daten erfolgt entweder in Form von qualitativen oder quantitativen Forschungsstudien.

Es gibt zahlreiche Möglichkeiten, wie Patienten „Daten“ zur HTA beitragen können, beispielsweise durch:

- Die Entwicklung oder Validierung der Patientenbewertung von Therapiemaßnahmen (PROMs), die Regulierungsbehörden, HTA-Gremien und Pharma-Unternehmen hilft, zu verstehen, was in klinischen Studien gemessen werden soll
- Die Teilnahme an qualitativ hochwertiger Forschung
- Die Erstellung oder das Ausfüllen von Fragebögen für folgende Zwecke:
  - Um Informationen über die Zahl der Patienten, die mit einer bestimmten Erkrankung leben, zu erhalten
  - Um die Erfahrungen der Patienten mit einer Erkrankung zu dokumentieren (zum Beispiel die Anzahl Patienten mit unterschiedlichen Ausprägungen einer Erkrankung)
  - Um die Erfahrungen der Patienten mit aktuellen Behandlungen zu dokumentieren (zum Beispiel die Anzahl Patienten, bei denen bestimmte unerwünschte Ereignisse auftreten, sowie das Verhältnis, in dem diese schwerwiegend sind)
- Präsentation von Patientenerfahrungen und Geschichten an HTA-Gremien - HTA-Institutionen verwenden Informationen aus solchen Präsentationen, um die restlichen Daten zu prüfen. Zum Beispiel, wenn Patienten übereinstimmend berichten, dass eine Erkrankung wegen der Notwendigkeit, eine breite Palette von Medikamenten zu nehmen, belastend ist, prüfen HTA-Gremien alle Daten, um zu sehen, ob ein neues Arzneimittel oder eine neue Art, ein Medikament bereitzustellen, diese Belastung reduzieren kann.
- Bereitstellung von Patientenbeiträgen (zur Beurteilung) für HTA-Institutionen in einem strukturierten Format,

das es dem HTA-Gremium ermöglicht, Auswirkungen über verschiedene Entscheidungskriterien hinweg im Vergleich zu aktuellen Alternativen (wie etwa Gerechtigkeit, Gleichheit, rechtliche, ethische, und psychosoziale Kriterien) zu sehen. Im Idealfall enthalten diese Beiträge Informationen von einem breiten Spektrum von Patienten auf eine strukturierte und unvoreingenommene Art und Weise. Sie können alle der oben genannten Elemente enthalten.

Eine Herausforderung besteht darin, wie Patientenperspektiven in Bezug auf einzelne Attribute einer neuen Technologie erfasst, analysiert und geprüft werden sollen. So ist zum Beispiel möglich, dass der Unterschied zwischen einer intravenösen Verabreichung und einer Tablette einmal täglich zwar für den Patienten von Bedeutung ist, an anderer Stelle in der Wertermittlung jedoch nicht erfasst wird (beispielsweise im Falle der Wertermittlung mithilfe eines auf gewonnenen Lebensjahren basierenden, qualitätsbereinigten Ansatzes). Daher können gut durchgeführte Präferenzstudien – wie etwa Discrete-Choice-Experimente – eine sinnvolle Ergänzung zur Beurteilung der Gesamtwertes sein. Sie können unter Verwendung von Daten aus randomisierten kontrollierten Studien verankert werden und bieten daher die entsprechende wissenschaftliche Strenge im Falle von einfachen Präferenzbekundungen („Ich mag dieses mehr als jenes“), die in einer gut durchgeführten HTA wenig oder kein Gewicht haben.

## **Entscheidungsproblem (Kontext)**

Die Fragen, die es in der Forschung zu behandeln gilt, werden häufig von Ärzten definiert. Allerdings sollten in diesem Stadium Patientenperspektiven in Betracht gezogen werden, um

- sicherzustellen, dass Probleme, die für die Patienten wichtig sind, in der Art und Weise betrachtet werden, wie die Forschung gestaltet ist und Beweise beurteilt werden;

- HTA-Gremien bei der Eingrenzung der Forschungsfragen und der Definition des Entscheidungsproblems zu helfen; **und**
- zur Konsultation herausgegebene Entwürfe einer Empfehlung zu kommentieren, um sicherzustellen, dass die Empfehlungen fair sind.

## **Wissenschaftliche Beurteilung und Analyse**

Wissenschaftliche Beurteilungen sind die methodischen und systematischen Erwägungen, auf denen die Analyse der Daten basiert. Schlechte oder sehr variable Urteile können zu schlechten oder unvorhersehbaren Ergebnissen und möglicherweise schlechten Entscheidungen führen. Patienten und Patientengruppen können:

- sicherstellen, dass ihre lokalen HTA-Gremien über ein Bewertungshandbuch oder Methoden der Beratung (ein Handbuch der Leitlinien für Methoden) verfügen und, falls nicht, solche empfehlen. Dies könnte die Konsistenz in der wissenschaftlichen Analyse und die Verwendung von transparenten und aktuellen, vergleichbaren Ansätzen fördern.
- bei Vorhandensein eines Handbuches oder Leitlinien überprüfen, ob es auch Methoden der Bewertung der patientenbeurteilten Qualitätskriterien und andere Möglichkeiten der Einbeziehung der Patientenperspektiven gibt, oder die Aufnahme dieser Methoden beantragen.
- an von HTA-Gremien veranlassten Konsultationen oder Aktualisierungen von Handbüchern oder Leitlinien beteiligt werden, um sicherzustellen, dass die Prozesse der Einbettung von Patientenperspektive explizit angegeben sind.

## **Wert**

In diesem Zusammenhang bedeutet Wert die Prioritäten des Einzelnen, auf denen die Auslegung von Nachweisen beruhen sollte. Zum Beispiel der Stellenwert der Beseitigung von

bestimmten Ergebnissen oder Erkrankungen im Vergleich zu anderen. Wert kann auch die relative Bedeutung der verschiedenen Faktoren für die Entscheidungsfindung – wie etwa den Einfluss einer neuen Technologie auf Gerechtigkeit und Gleichheit, und ihre rechtlichen, ethischen und psychosozialen Auswirkungen – umfassen.

Patienten oder Patientengruppen können:

- überprüfen, dass ihr örtliches HTA-Gremium über ein wert- bzw. kriterienbasiertes System für die Entscheidungsfindung verfügt. Einige HTA-Gremien wenden konsistente und transparente Rahmenbedingungen an. In den meisten Fällen jedoch gibt es keinen Wertekatalog, oder es wird von den HTA-Gremien einfach erklärt, dass sie die klinische Wirksamkeit und die Wirtschaftlichkeit berücksichtigen. Da Wert den Vergleich der Kosten zur Messung des Vorteils bedeutet, werden in einem klinischen / Wirtschaftlichkeitsrahmen lediglich die klinischen Auswirkungen (gesundheitlichen Folgen) bewertet. Patienten können ein bestimmtes Rahmenwerk fördern oder, falls eines vorhanden ist, für die Aufnahme eines anderen plädieren.
- Überprüfen, ob ihr örtliches HTA-Gremium Vertreter hat, die Patientenbeiträge präsentieren und im Namen einer breiteren Bevölkerungsgruppe (zumal sie die gemeinsamen Bedürfnisse und patientenbezogenen Informationen verstehen) anstatt einer bestimmten Patientengruppe sprechen.
- Beiträge von Patientengruppen heranziehen, um die relative Bedeutung der verschiedenen Kriterien für die Entscheidungsfindung, die es zu berücksichtigen gilt, hervorzuheben (wie etwa gesundheitliche Folgen, Gerechtigkeit, Gleichheit, rechtliche, ethische und psychosoziale Kriterien). Dies kann entweder eine Meinung oder auf empirischer Forschung (wie etwa Umfragen) begründet sein.

## **Empfehlungen (Beurteilungen)**

Empfehlungen sollten mit den berücksichtigten Daten und den enthaltenen Werten im Einklang stehen. Patienten oder Patientengruppen können:

- Überprüfen, ob ihr örtliches HTA-Gremium über einen Mechanismus zur Überprüfung von Empfehlungen und zur Abgabe von Rückmeldungen zu ebendiesen verfügt (oder einen solchen Mechanismus beantragen), um sicherzustellen, dass Empfehlungsprozesse nachvollziehbar und fair sind
- Bei Vorhandensein eines Überprüfungs- und Rückmeldungsmechanismus, Rückmeldungen abgeben und überprüfen, um sicherzustellen, dass Nachweise und Informationen von Patienten berücksichtigt wurden und mit den bereitgestellten Daten und Informationen über Werte im Einklang stehen
- Zusammenfassungen von Empfehlungen kommunizieren, die für die Patienten verständlich sind.

## **Entscheidung**

Entscheidungen sollten mit Empfehlungen in Einklang stehen oder – wenn sie es nicht sind – eine gewisse Begründung für die Abweichungen liefern. Das ist die Phase, in der Patienten von ihrer Rolle als Lieferanten von Nachweisen und Werten zu einer Rolle als Vertreter wechseln können.

Patienten oder Patientengruppen können:

- mit örtlichen Entscheidungsträgern vor einer Empfehlung bezüglich der relativen Bedeutung der Entscheidung zusammenarbeiten und sicherstellen, dass dem HTA-Gremium Informationen zur Verfügung gestellt werden.
- die Zeit zwischen der Abgabe der Empfehlungen und der Umsetzung von Entscheidungen überwachen, um die Rechenschaftspflicht in HTA-Prozessen zu verbessern.

- sich an entsprechenden politischen Prozessen (wie etwa Vertretung) beteiligen, nachdem eine Entscheidung getroffen wurde oder wenn sie ungebührlich verzögert wird.
- sich dafür einsetzen, dass jede weitere empfohlene Forschung gefördert wird und sich an dieser Forschung beteiligen, nachdem eine Entscheidung getroffen wurde.

## **Führung**

Patienten spielen jenseits eines einzelnen HTA-Prozesses eine wichtige Rolle bei der Leitung eines HTA-Gremiums. Zum Beispiel können Patienten zu Bewertungen des HTA-Prozesses oder auch zur Beurteilung von Patientenbeteiligungsprozessen beitragen.

## **Untersuchung der Patientenerfahrungen im HTA-Prozess**

In einigen HTA-Prozessen werden die Patienten gebeten, ihr Leben mit der Erkrankung, und was die Verfügbarkeit einer neuen Behandlung oder eines neuen Arzneimittels bedeuten könnte, zu beschreiben. Diese Patientenerfahrungen vermitteln dem HTA-Gremium viele wichtige Informationen:

- Sie gelten als konkrete „Fälle“. Allerdings stellen Einzelfälle keine besonders starke Form von Beweismitteln dar. HTA-Gremien sind an den Erfahrungen ganzer Bevölkerungsgruppen interessiert, die mittels qualitativer Forschung von Patientengruppen mit der betreffenden Erkrankung besser erfasst werden. Dies ist ein Bereich, den Patientenorganisationen unterstützen können, indem sie auf das breite Spektrum der kollektiven Erfahrungen ihrer Mitgliedschaft zurückgreifen, um dadurch die Aussagen von einzelnen Patienten zu untermauern.
- Sie geben einen vorläufigen Aufschluss darüber, welche

Behandlungsergebnisse von Bedeutung sind. Dies vermittelt eine Vorstellung davon, wie die klinischen Daten verwendet werden und welche Ergebnisse geprüft werden sollten. Es kann auch eine „Wert“-Perspektive geschaffen werden – indem gezeigt wird, welche Ergebnisse am wichtigsten sind und worin ein vertretbarer, „sinnvoller“ Unterschied für die Patienten besteht. Wie gesagt, sind HTA-Institutionen mehr an Gesamtpopulationen interessiert, somit ist eine populationsbasierte Forschung informativer als ein „Einzelfall“. Jedoch können Fälle in Abwesenheit von Forschung als nützlicher Ausgangspunkt dienen und Perspektiven bieten, die nicht an anderer Stelle gefunden werden.

## **Untersuchung von Beiträgen – „Befürwortung“ gegen „Beweis“**

HTA-Prozesse sollen für die Entscheidungsfindung nützlich sein – sie sollten entsprechende Daten und Analysen gekoppelt mit einem fairen und verantwortungsvollen Prozess verwenden, um Empfehlungen abzugeben, auf denen Behörden ihre Entscheidungen (wie etwa die Zurverfügungstellung einer neuen Gesundheitstechnologie für die Patienten, die sie benötigen, und wie dies geschehen soll) stützen können. In diesem Verfahren sind Patientenbeiträge entscheidend, um sicherzustellen, dass der Wert der neuen Technologie für ihr Leben berücksichtigt wird. Die Patienten können die Verfügbarkeit einer Technologie als extrem wichtig für ihr Leben erachten. In diesem Fall spielt die Entscheidung am Ende des HTA-Prozesses eine wichtige Rolle für ihre Gesundheit. Um sicherzustellen, dass ihre Prioritäten berücksichtigt werden, sollten Patienten Entscheidungsträger mit Informationen versorgen, um besser zu erklären, **wie** wichtig eine Entscheidung ist und **warum** sie so wichtig ist. Dies ist, was Entscheidungsträger wissen müssen, um ihre Entscheidungen



basierend auf den verfügbaren Informationen, im Rahmen eines vertretbaren Verfahrens, zu rechtfertigen.

Die Rolle der Patienten sollte darin bestehen, sicherzustellen, dass ein angemessener HTA-Prozess stattfindet. Dazu gehört:

- die Sicherstellung, dass für Analyse und Empfehlungen explizite und transparente Verfahren verwendet werden;
- die Erleichterung der Einbeziehung von Patienten in die Definition der Analyse;
- die Beteiligung an Ausschüssen, die HTA-Empfehlungen abgeben;
- die Zurverfügungstellung von Rückmeldungen während der Empfehlungen und der Analyse; **und**
- das Leisten von Beiträgen in der Form von Perspektiven, die mit den bereits diskutierten Grundsätzen (einschließlich dessen, wie es ist, mit der betreffenden Erkrankung zu leben, was die Grenzen der derzeit verfügbaren Behandlungen und – in einigen Fällen, in denen die Information bei der Beurteilung des Gesamtwertes hilfreich ist – die Präferenzen für spezifische Produkteigenschaften sind) im Einklang stehen.

Bei vielen HTA-Prozessen fehlen diese wichtigen Praktiken, die als „Grundprinzipien“ gelten. Zum Beispiel mangelt es vielen HTA-Ausschüssen an Patientenvertretung – an Personen, die den Prozess verstehen und im Namen der Patienten während der Empfehlungsphase sprechen können.

## **Werte und Qualitätsstandards der Patientenbeteiligung an HTA**

Im Jahr 2014 arbeitete Health Technology Assessment International (HTAi) mit einer Vielzahl von internationalen Akteuren, um Werte und Qualitätsstandards für die

Patientenbeteiligung an HTA zu entwickeln. Diese Werte sind die grundlegenden Prinzipien, die angeben, warum es wichtig ist, die Patienten in HTA einzubeziehen. Die Qualitätsstandards sind praktische Schritte, die HTA-Gremien setzen können, um die wirksame Einbeziehung von Patienten in einer einzelnen HTA und bei der Gestaltung des allgemeinen Verfahrens für eine HTA zu gewährleisten. (Den vollständigen Text können Sie unter HTAi 'Werte und Qualitätsstandards der Patientenbeteiligung an HTA' lesen.)

Die Umsetzung dieser Werte und Qualitätsstandards befindet sich in einem Frühstadium, aber Patientengruppen spielen bei ihrer Verbreitung bei HTA-Gremien und bei der Ausübung von HTAi-Aktivitäten zur Förderung ihrer Nutzung eine wichtige Rolle.

## **Schlussfolgerungen**

HTA verfügt über viele verschiedene Aspekte, zu denen Patienten beitragen können. Die Patientenrolle beginnt, bevor ein neues Arzneimittel entwickelt wird und setzt sich innerhalb der HTA fort, bis HTA-Empfehlungen abgegeben werden. Ein Ausgangspunkt für Patienten oder Patientengruppen ist die Untersuchung der bei ihrem örtlichen HTA-Prozess eingelangten Beiträge und die Beurteilung, ob diese fair und verantwortungsvoll sind.

Letztlich müssen HTA-Institutionen verstehen, wie die Patienten mit einer bestimmten Erkrankung von der neuen Technologie betroffen sein werden. Forschung, die eine große repräsentative Stichprobe von lokalen Patienten und gute Forschungsansätze umfasst, wird für HTA-Institutionen am nützlichsten sein. Nebst der Vermittlung persönlicher Berichte können Patientengruppen auch überlegen, wie sie zu diesen HTA-Prozessen populationsbasierte Forschung am besten entwickeln oder beisteuern können.

# Weitergehende Informationen

- Health Technology Assessment International (2014). 'Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA'. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/interest-groups/pcig/values-and-standards/>
- Health Technology Assessment International (2015). 'FOR PATIENT GROUPS AND INDIVIDUAL PATIENTS'. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/>
- Health Technology Assessment International (2014). *Completing a patient group submission template: Guidance for patient organisations*. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/PCISG-Resource-GuidanceandChecklist-Dec14.pdf>

# Quellenangaben

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.