Zaangażowanie pacjentów w proces podejmowania decyzji dotyczącej HTA

Wprowadzenie

Możemy rozważyć cały proces podejmowania decyzji dotyczącej HTA, jak przedstawiono na Ilustracji 1. Zaangażowanie pacjentów w proces decyzyjny HTA może mieć różny charakter.

Obszary zaangażowania pacjentów

Dane (badania naukowe)

Organy ds. HTA muszą oceniać wartość dodaną na podstawie dostępnych informacji (dane). Dane w tym kontekście mogą obejmować zakres od badań klinicznych do doświadczeń pacjentów. Oceny danych będą sporządzane w postaci badań ilościowych lub jakościowych.

Pacjenci mogą wieloma sposobami dostarczać „dane” do HTA, na przykład:

- Opracowując lub weryfikując pomiary wyników świadczonych usług medycznych na podstawie opinii pacjentów (PROM), pomagając organom regulacyjnym, organom ds. HTA i firmom farmaceutycznym zrozumieć, co należy mierzyć podczas badań klinicznych
- Uczestnicząc w badaniach wysokiej jakości
- Opracowując lub wypełniając ankiety:
    - Służące do uzyskania informacji o liczbie pacjentów cierpiących na daną chorobę
    - Służące do dokumentowania doświadczeń pacjentów

cierpiących na daną chorobę (na przykład liczba pacjentów z różnymi postaciami choroby)
    - Służące do dokumentowania doświadczeń pacjentów z aktualnymi terapiami (na przykład liczba pacjentów doświadczających pewnych zdarzeń niepożądanych i odsetek pozwalający ocenić te zdarzenia jako ekstremalne)
- Przedstawiając doświadczenia i historie pacjentów organom ds. HTA, które korzystają z tych informacji, aby zbadać pozostałe dane. Na przykład, jeśli pacjent konsekwentnie zgłasza, że dana choroba jest uciążliwa ze względu na konieczność przyjmowania wielu leków, organy ds. HTA będą analizować wszystkie dane, aby ustalić, czy nowy lek lub nowy sposób podawania leku zmniejszy tę uciążliwość.
- Składając wnioski pacjentów (w celu dokonania oceny), korzystając w tym celu z formatu o ustalonej strukturze, które dostarczają organom ds. HTA informacji o wpływie na różne kryteria decyzyjne (np. równość, równouprawnienie, kwestie prawne, etyczne, psychospołeczne) w porównaniu z bieżącymi alternatywami. W idealnej sytuacji wnioski mają na celu przedstawienie informacji od szerokiej grupy pacjentów w sposób uporządkowany i bezstronny. Wnioski mogą zawierać wszystkie powyższe elementy.

Jednym z problemów jest sposób gromadzenia, analizowania i uwzględniania punktów widzenia pacjentów na poszczególne atrybuty nowej technologii. Różnica między podawaniem dożylnym i tabletką przyjmowaną raz dziennie może być znacząca dla pacjenta, ale nieuchwycona w ocenie wartości (na przykład, jeśli ocenianą wartością jest dodatkowy rok życia skorygowany o jakość). Dlatego dobrze przeprowadzone badanie preferencji – takie jak konieczność wyboru spośród ściśle określonych opcji – może być przydatnym dodatkiem do oceny ogólnej wartości. Może zostać przeprowadzone w oparciu o dane z randomizowanych badań klinicznych z grupą kontrolną, a tym samym zapewnić

właściwą precyzję naukową stwierdzeniom, które w innym wypadku mogą zostać uznane za wyrażanie preferencji („to podoba mi się bardziej niż tamto”), które ma niewielkie lub żadne znaczenie w dobrze przeprowadzonej ocenie HTA.

Problem decyzyjny (kontekst)

Pytania, na które odpowiedzi mają dostarczyć badania, są często formułowane przez lekarzy. Jednak na tym etapie należy wziąć pod uwagę perspektywy pacjentów, aby:

- zapewnić, że problemy ważne dla pacjentów są uwzględniane w sposobie opracowania badania i oceniania dowodów;
- pomagać w określeniu zakresu pytań badawczych i definiowaniu problemu decyzyjnego dla organów ds. HTA; **oraz**
- skomentować wstępne zalecenia przedstawione do konsultacji w celu zapewnienia, że zalecenia te są uczciwe.

Ocena naukowa i analiza

Oceny naukowe są to metodyczne i systemowe rozważania, na których opiera się analiza danych. Słabe lub wysoce zmienne oceny mogą prowadzić do złych lub nieprzewidywalnych wyników i potencjalnie złych decyzji. Pacjenci i grupy pacjentów mogą:

- Sprawdzić, czy ich lokalny organ ds. HTA korzysta z podręcznika oceny lub wskazówek metodycznych (podręcznik ze wskazówkami dotyczącymi metod), a jeśli nie, polecić jakiś. W ten sposób propaguje się spójność analizy naukowej i używanie przejrzystych oraz aktualnych porównywalnych podejść.
- Jeśli istnieje podręcznik lub wskazówki metodyczne, sprawdzić, czy istnieją także metody pomiarów wyników na podstawie opinii pacjentów i inne sposoby wykorzystywania perspektywy pacjentów lub poprosić o ich

uwzględnienie.
- Angażować się w konsultacje lub aktualizacje podręczników lub wskazówek metodycznych inicjowane przez organy ds. HTA, aby zapewnić, że procesy mające na celu uwzględnienie perspektyw pacjentów zostały jasno przedstawione.

Wartość

W tym kontekście wartość oznacza zgłaszane przez poszczególne osoby priorytety, na których powinna się opierać interpretacja dowodów. Na przykład, jak ważne jest wyeliminowanie pewnych wyników lub chorób w odniesieniu do innych? Wartość może także obejmować względne znaczenie różnych czynników dla podejmowania decyzji, na przykład wpływ nowej technologii na równość i równouprawnienie, a także jej prawne, etyczne i psychospołeczne implikacje.

Pacjenci lub grupy pacjentów mogą:

- Sprawdzać, czy ich lokalny organ ds. HTA posiada oparty na kryteriach schemat podejmowania decyzji. Niektóre organy ds. HTA stosują spójne i przejrzyste schematy oceny. W większości wypadków schematy oceniające wartość nie istnieją lub organy ds. HTA po prostu stwierdzają, że rozważają skuteczność kliniczną i efektywność kosztową. Ponieważ wartość wynika z porównania kosztów z uzyskaną korzyścią, ocena relacji efektywności klinicznej/kosztowej dotyczy wyłącznie efektów klinicznych (związanych ze zdrowiem). Pacjenci mogą promować schemat oceniania lub jeśli jakiś istnieje, dążyć do jego uwzględnienia.
- Sprawdzać, czy ich lokalny organ ds. HTA ma przedstawicieli składających wnioski pacjentów i wypowiadających się w imieniu szerszej grupy obywateli (dzięki znajomości wspólnych potrzeb i informacji związanych z pacjentami), a nie konkretnej grupy pacjentów.

- Składać wnioski grup pacjentów, aby podkreślić względne znaczenie różnych kryteriów decyzyjnych, które powinny zostać uwzględnione (takich jak wyniki dotyczące zdrowia, równość, równouprawnienie, kwestie prawne, etyczne i psychospołeczne. Wnioski mogą być opiniami lub opierać się na badaniach empirycznych (takich jak ankiety).

Zalecenia (weryfikacja)

Zalecenia powinny być spójne z rozpatrywanymi danymi i uwzględnionymi wartościami. Pacjenci lub grupy pacjentów mogą:

- Sprawdzać, czy ich lokalne organy ds. HTA mają mechanizmy sprawdzania i opiniowania rekomendacji (lub prosić o ich zastosowanie), aby zapewnić, że procedury formułowania rekomendacji są odpowiedzialne i uczciwe.
- Jeśli mechanizm sprawdzania i opiniowania istnieje, wykorzystywać go, aby zapewnić, że dowody i informacje pochodzące od pacjentów zostały uwzględnione i są spójne z dostarczonym danymi i informacjami na temat wartości
- Przekazywać zrozumiałe dla pacjentów podsumowania rekomendacji.

Decyzja

Decyzje powinny być zgodne z rekomendacjami, a jeśli nie są, powinny być opatrzone wyjaśnieniami przyczyn różnic. W tej fazie pacjenci mogą zmieniać dotychczasową rolę dostarczycieli dowodów i wartości na rolę rzeczników.

Pacjenci lub grupy pacjentów mogą:

- Komunikować się z lokalnymi organami decyzyjnymi przed przedstawieniem przez nie rekomendacji dotyczącej względnego znaczenia decyzji i zapewniać, że informacje zostały przedstawione organowi ds. HTA.
- Monitorować okres pomiędzy sporządzeniem rekomendacji i

podjęciem decyzji w celu poprawy odpowiedzialności w procesach HTA.
- Angażować się w odpowiednie procesy polityczne (takie jak rzecznictwo) po podjęciu decyzji lub jej nadmiernym opóźnieniu.
- Opowiadać się za sfinansowaniem wszelkich dalszych zalecanych badań i uczestniczyć w nich po podjęciu decyzji.

Nadzorowanie

Poza procesami dotyczącymi poszczególnych ocen HTA pacjenci mają do odegrania ważną rolę w nadzorowaniu organu HTA. Na przykład pacjenci mogą włączać się do oceniania procesu HTA lub istotnie pomagać w ocenie procesów włączania pacjentów.

Badanie doświadczeń pacjentów w procesie HTA

W niektórych procesach HTA pacjenci są proszeni o opisanie, jak wygląda życie z daną chorobą i jakie znaczenie mogłoby mieć wprowadzenie nowego leczenia lub leku. Takie doświadczenia pacjentów stanowią ważne informacje dla organu HTA:

- Są traktowane jako rzeczywiste „przypadki”. Jednak pojedyncze przypadki nie stanowią szczególnie silnych dowodów. Organy HTA są zainteresowane doświadczeniami całych populacji, a te lepiej uzyskiwać za pomocą badań jakościowych grup pacjentów cierpiących na daną chorobę. Jest to obszar, który mogą wspomagać organizacje pacjenckie czerpiące z bogactwa wspólnych doświadczeń członków, aby uzupełniać przekazy od indywidualnych pacjentów.
- Pacjenci dostarczają wstępnych wskazówek dotyczących znaczenia wyników. Może to pozwolić określić sposób korzystania z danych klinicznych i wskazać wyniki, które

należałoby zbadać. Jest to także z perspektywy „wartości” – wskazywanie, które wyniki są najważniejsze i co oznacza akceptowalna „sensowna” różnica dla pacjentów. Ponownie, organy HTA są bardziej zainteresowane całymi populacjami i badaniami obejmującymi całe populacje niż indywidualnymi „przypadkami”. Jednak w razie braku badań indywidualne przypadki mogą stanowić użyteczny punkt wyjścia i dostarczać perspektyw niedostępnych w inny sposób.

Badanie danych wejściowych – „rzecznictwo” a „dowód”

Celem procesów HTA jest pomoc dla decydentów – powinny być w nich użyte właściwe dane i analizy w połączeniu z uczciwymi i odpowiedzialnymi procesami, aby stworzyć rekomendacje, na których podstawie władze podejmą decyzje (takie jak udostępnienie nowej technologii medycznej pacjentom, którym jest potrzebna, i sposób, w jaki zostanie to przeprowadzone). W tym procesie dane pochodzące od pacjentów mają kluczowe znaczenie dla zapewnienia, że brana jest pod uwagę wartość nowej technologii dla życia chorych. Pacjenci mogą uznać, że dostępność danej technologii ma ogromne znaczenie dla ich życia. W takim wypadku decyzja wieńcząca proces HTA może mieć wielkie znaczenie dla ich zdrowia. Aby zapewnić, że priorytety pacjentów są brane pod uwagę, pacjenci powinni dostarczać decydentom informacji, aby lepiej wyjaśnić, **jak** ważna jest decyzja i **dlaczego** jest tak ważna. Decydenci muszą to wiedzieć, aby uzasadniać swoje decyzje na podstawie dostępnych informacji za pomocą dających się obronić procesów.

Rolą pacjentów powinno być zapewnienie, że wdrożono odpowiedni proces HTA. Obejmuje to:

- zapewnienie, że do celów analiz i rekomendacji są stosowane precyzyjne i przejrzyste procesy;
- ułatwianie zaangażowania pacjentów w definiowanie

analiz;
- uczestnictwo w komisjach sporządzających rekomendacje HTA;
- dostarczanie informacji zwrotnych na etapie rekomendowania i analizowania; **oraz**
- przedstawianie własnych perspektyw spójnych z wcześniej omówionymi zasadami (włącznie z tym, czym jest życie z daną chorobą, jakim ograniczeniom podlegają obecnie stosowane terapie oraz – w wypadkach, w których informacje prawdopodobnie pomogę w ocenie wartości ogólnej – określanie preferencji dotyczących konkretnych cech produktu).

W wielu procesach HTA brakuje tych ważnych praktyk uznawanych za „kluczowe" zasady. Na przykład w wielu komisjach ds. HTA nie ma przedstawicieli pacjentów – osób, które rozumieją proces i mogą wypowiadać się w imieniu pacjentów w fazie rekomendacji.

Wartości i standardy jakości dotyczące zaangażowania pacjentów w procesy HTA

W 2014 r. międzynarodowa sieć oceny technologii medycznych (HTAi) pracowała, wraz z szerokim międzynarodowym gronem stron zainteresowanych, nad stworzeniem standardów jakości dotyczących zaangażowania pacjentów w procesy HTA. Te wartości leżą u podstaw zasad wskazujących znaczenie zaangażowania pacjentów w HTA. Standardy jakości to praktyczne kroki, które organy HTA mogą podjąć, aby zapewnić skuteczne zaangażowanie pacjentów w poszczególne oceny HTA i kształtowanie ogólnego procesu HTA. (Z pełnym tekstem można się zapoznać na stronie HTAi: Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA (w jęz. angielskim)

Wdrażanie tych wartości i standardów jakości pozostaje na

wczesnym etapie, ale grupy pacjentów mają do odegrania ważną rolę w promowaniu ich razem z organami HTA i angażowania się w działania HTAi, aby zachęcać do korzystania z nich.

Wnioski

Pacjenci mogą wnieść swój wkład w wielu obszarach HTA. Rola pacjentów rozpoczyna się, zanim nowy lek zostanie opracowany i może być realizowana w ramach HTA oraz po sporządzeniu rekomendacji przez organ HTA. Punktem wyjścia dla każdego pacjenta lub grupy pacjentów jest zbadanie wkładu do procesów lokalnego organu HTA i ocena, czy proces jest uczciwy i odpowiedzialny.

Ostatecznie organy HTA muszą zrozumieć, jak nowa technologia wpłynie na wszystkich pacjentów cierpiących na daną chorobę. Najbardziej przydatne dla organów HTA będą badania obejmujące dużą, reprezentatywną próbę lokalnych pacjentów, prowadzone dobrymi metodami. Oprócz przekazywania osobistych relacji, grupy pacjentów mogą także zastanowić się, jak najlepiej opracować lub dołączyć do analizy HTA badania obejmujące populację.

[glossary_exclude]Inne materiały i zasoby

- 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[/glossary_exclude]

Piśmiennictwo

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.

A2-6.09-v1.1