

SUMMER SCHOOL PER LEADER CIVICI

sull'**Health Technology Assessment (HTA)**

Il MODULO

27-29 SETTEMBRE 2012

L'HTA in pratica.

Linee guida per i piani di sviluppo

Con la collaborazione e il sostegno di



Overview delle esperienze internazionali di coinvolgimento dei cittadini in HTA

Teresa Petrangolini -
Cittadinanzattiva

Oggetto della presentazione:

Come un numero di paesi sviluppati si sono mossi per coinvolgere i pazienti e le comunità nello sviluppo di politiche sanitarie in area farmaceutica e negli “appraisal” relativi ai nuovi prodotti

(Deloitte, *Enhancing consumer involvement in medicines HTA*, 2009)

Fasi chiave dell'HTA

- **Horizon scanning:** riconoscimento e nell'identificazione di quelle tecnologie sanitarie in fase di sviluppo e nella valutazione, spesso su base prospettica o previsionale, del loro possibile impatto sul Servizio Sanitario Nazionale in termini clinici e gestionali

Fasi chiave dell'HTA

- **vero e proprio processo di valutazione**
(priority setting, assessment, appraisal, raccomandazioni, rimborso)
- **post- marketing, implementazione, revisioni, sorveglianza**

Familiarizzare con un **glossario**:

http://www.htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/PatientInvolvement/Glossary/HTAiPatientAndConsumerGlossaryOctober2009_01.pdf

Valori chiave dell'HTA

Table 2.1 Key principles derived from Drummond et al (2009) and the Department of Health Discussion Paper (2009)

Key principles	Description
Independent	HTA process should be conducted independently of the body that ultimately will be responsible for adopting, paying and implementing the HTA decision
Transparent	The process by which recommendations and decisions are made must be transparent. There should be public disclosure of HTA advisory committee appraisals, advice and recommendations and subsequent reimbursement decisions
Incorporates multidisciplinary stakeholder input including the views of consumers and citizens	HTA appraisals should be based upon research evidence as well as informed by contemporary clinical practice and societal value. HTA should incorporate wide, multidisciplinary stakeholder input while remaining consistent and credible. HTA should also adopt a broader societal perspective to optimise efficiency and societal benefit and avoid potentially distorted clinical decisions and health policies resulting from adoption of narrower perspectives
Clear, consistent and efficient framework for analysis	Development and consistent implementation of rigorous analytical methods. A clear explanation of these processes should be publicly available.
Informed by best available evidence and aligned with contemporary clinical practice	HTAs require use of data from a range of studies, integration of both endpoint and validated surrogate data and assessment of the incremental impact of and trade-offs among multiple clinical, economic and social outcomes in clinically relevant populations. HTA appraisals should have regard to all relevant comparators that are used interdependently within a clinical mode of care.

Quadro della partecipazione

<i>HTA phase</i>	<i>Perspective</i>	<i>Rationale for consumer involvement</i>	<i>Australia</i>	<i>England</i>	<i>Scotland</i>	<i>Canada*</i>	<i>France</i>	<i>Germany</i>
<i>Policy development</i>	Community	Priorities/moral/ethical aspects	x	✓✓	x	✓	x	x
	Consumer	Areas of need	x	✓	x	x	x	x
<i>Horizon scanning</i>	Community	Priorities/moral/ethical aspects	x	x	x	x	x	x
	Consumer	Areas of need	x	x	x	x	x	x
<i>Product appraisal and reimbursement</i>	Community	Value judgments pertaining to rationing/affordability	✓	✓✓	✓	✓✓	x	✓
	Consumer	Not all benefits captured by QALYs	✓	✓✓	✓✓	✓	x	x
<i>Monitoring and review</i>	Community	Measure of values, have values/norms changed?	x	x	x	x	x	x
	Consumer	Effectiveness assessments (i.e., in addition to safety evaluations)	x	x	x	x	x	x

*Note there is significant variation between Federal and Provincial governments in Canada. CADTH, the Federal HTA authority in Canada, currently only incorporates patient perspectives during product appraisals. Other Provincial HTA authorities have implemented further mechanisms for community involvement, as reflected in the above table, although this varies significantly by Province.

- nessun coinvolgimento
- coinvolgimento

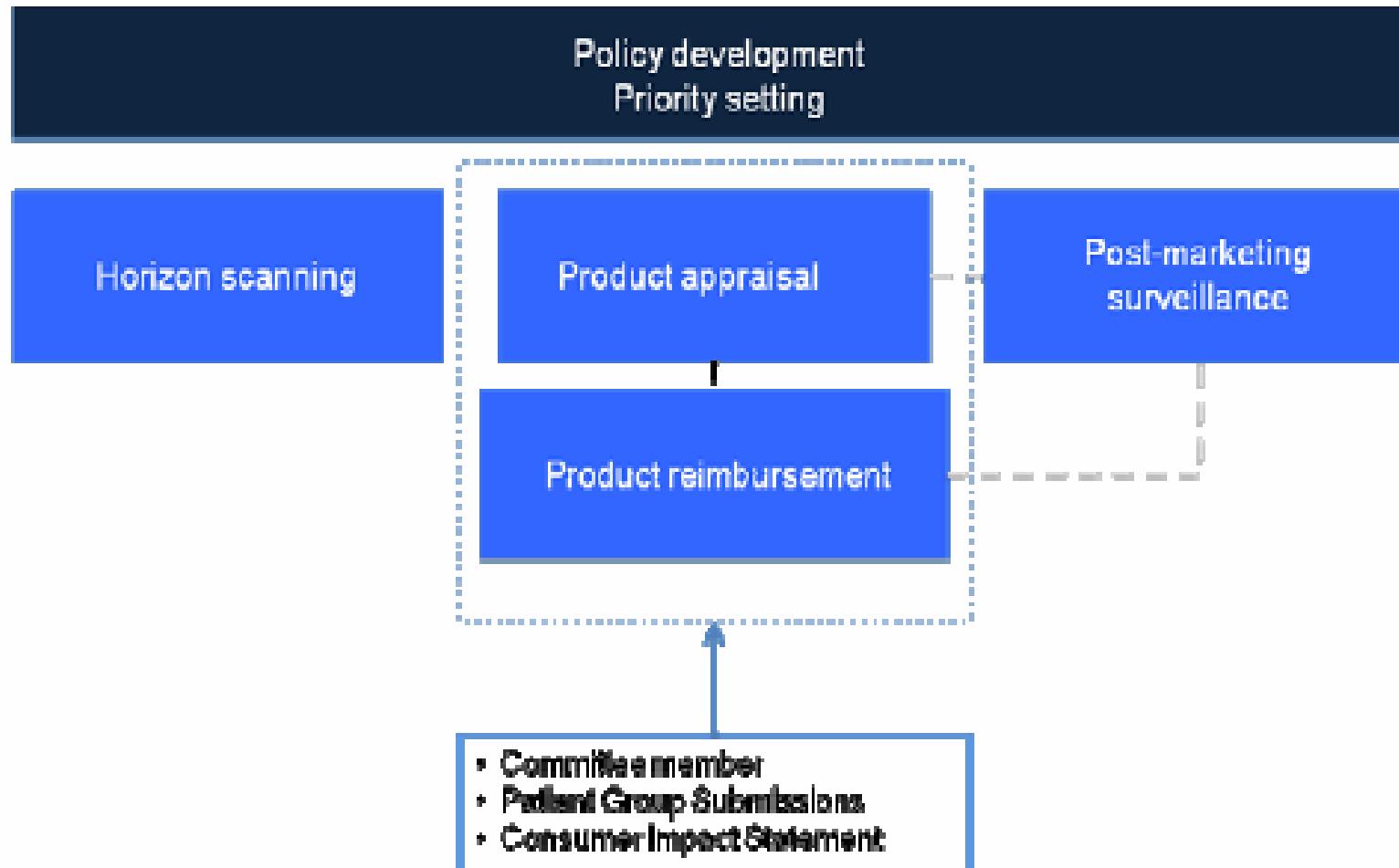
Sono possibili due tipi di coinvolgimento:

- come consumatori/pazienti
- come cittadini/comunità/società

AUSTRALIA

Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS):
accesso alle medicine di provato costo-efficacia, aiuta il Governo a decidere cosa pagare e cosa no

Figure 4.1 Consumer and community involvement in PBS



- **Committee member:** presenza dei consumatori/pazienti nel PBS Advisory Committee
- **Patient Group Submission:** presentazione delle evidenze con un tempo di 4/6 settimane con commenti sui nuovi farmaci da valutare, sui cambiamenti, sulle rivalutazioni
- **Consumer Impact Statements:** sono stati sperimentati documenti per produrre informazioni sulle condizioni vissute per una certa malattia, senza un riferimento preciso ad un farmaco

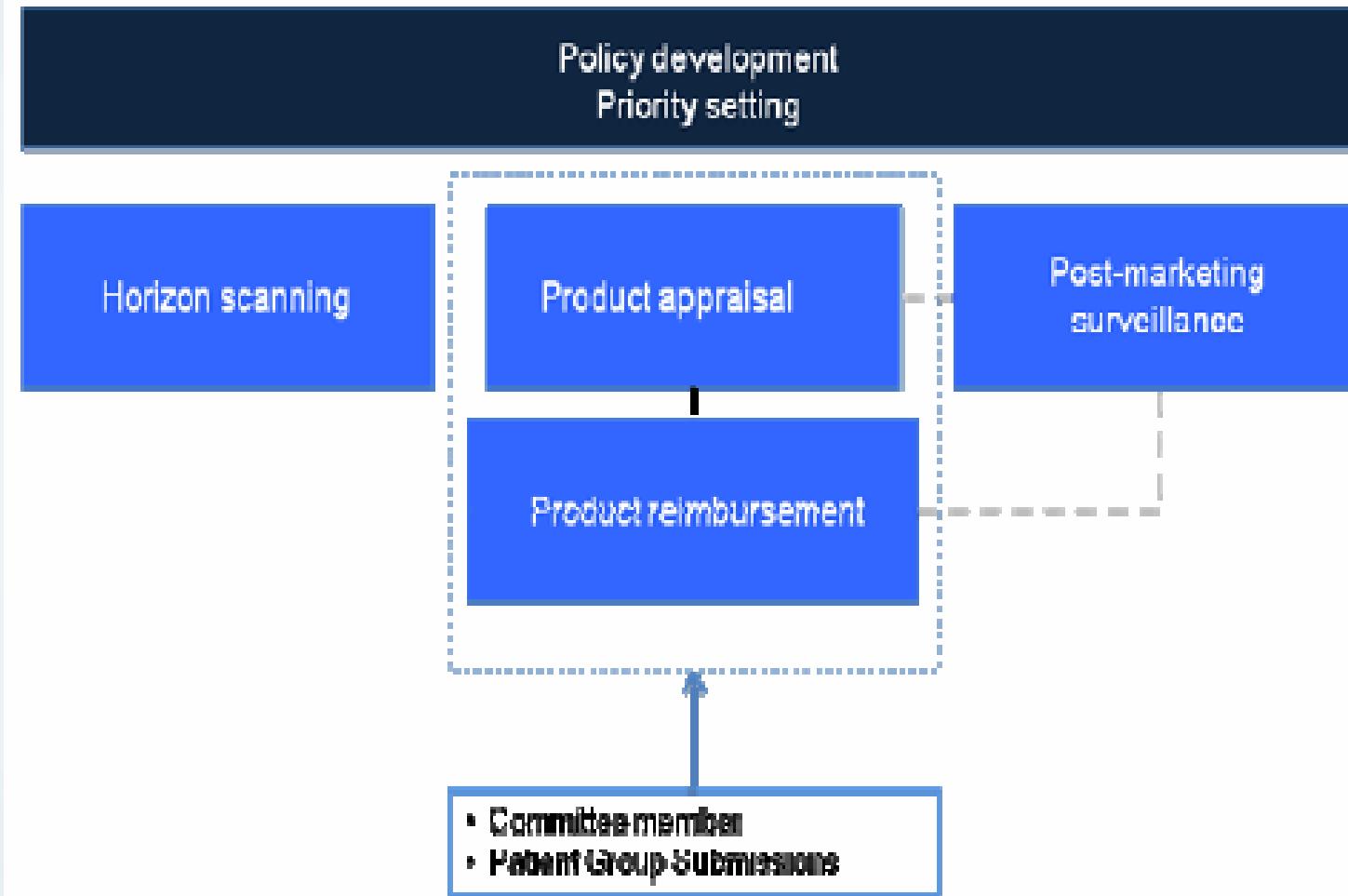
Considerazioni sull'impatto

- La trasparenza è essenziale: i consumatori devono sapere come le loro informazioni vengono integrate nel processo
- il procedimento di “submission” deve essere più accessibile (ex. website inaccessibili)
- grandi e potenti associazioni versus piccoli gruppi esclusi
- necessità di valutare insieme le tecnologie sanitarie per determinate patologie (farmaci e dispositivi)

SCOZIA

Scottish Medicines Consortium (SMC):
valuta i nuovi farmaci e la loro costo efficacia
per l'uso in Scozia

Figure 4.2 Consumer and community involvement in SMC



- **Committee members** (Community involvement): sono previsti tre membri “laici” che garantiscano una visione, appunto, “laica” nei processi di valutazione. Vengono scelti mediante avvisi pubblici, valutazione dei cv, colloqui. I candidati non devono essere professionisti della sanità ma devono comunque possedere un background di esperienza sul servizio sanitario.

- **Patient group submission** (consumer involvement): al fine di poter presentare evidenze le associazioni dei pazienti vengono forniti dal Segretariato di SMC di un “Summary of information for Patients”.

Le questioni sulle quali rispondere sono:

- Che cosa significa soffrire di quella malattia
- i vantaggi e gli svantaggi delle attuali medicine
- i benefici potenziali e l'impatto delle nuove medicine per la propria vita

Il Public and Patient involvement Group (un sub comitato del SMC) presenta un resoconto delle varie *submissions* al SMC Committee meetings. Esso ha anche il compito di:

- promuovere la conoscenza del SMC presso i cittadini;
- assicurare che le prospettive dei pazienti abbiano sempre un ruolo centrale negli assessment;
- fare raccomandazioni al SMC per lo sviluppo di tutte le opportunità per il coinvolgimento civico.

Considerazioni sull'impatto

- Il coinvolgimento dei consumatori/pazienti ha avuto un impatto nei processi decisionali.

Esempio

Nuovo farmaco orale che combina varie pillole in una. Non si riteneva che le evidenze fossero sufficienti per giustificare l'aumento dei costi. Il Patient interest group ha avviato una submission. I pazienti hanno dimostrato che nella malattia in esame si soffre di xerostomia (bocca asciutta) e che quindi una pillola sola riduceva molto il disagio. Questa visione ha influenzato la decisione di rendere accessibile questo nuovo prodotto.

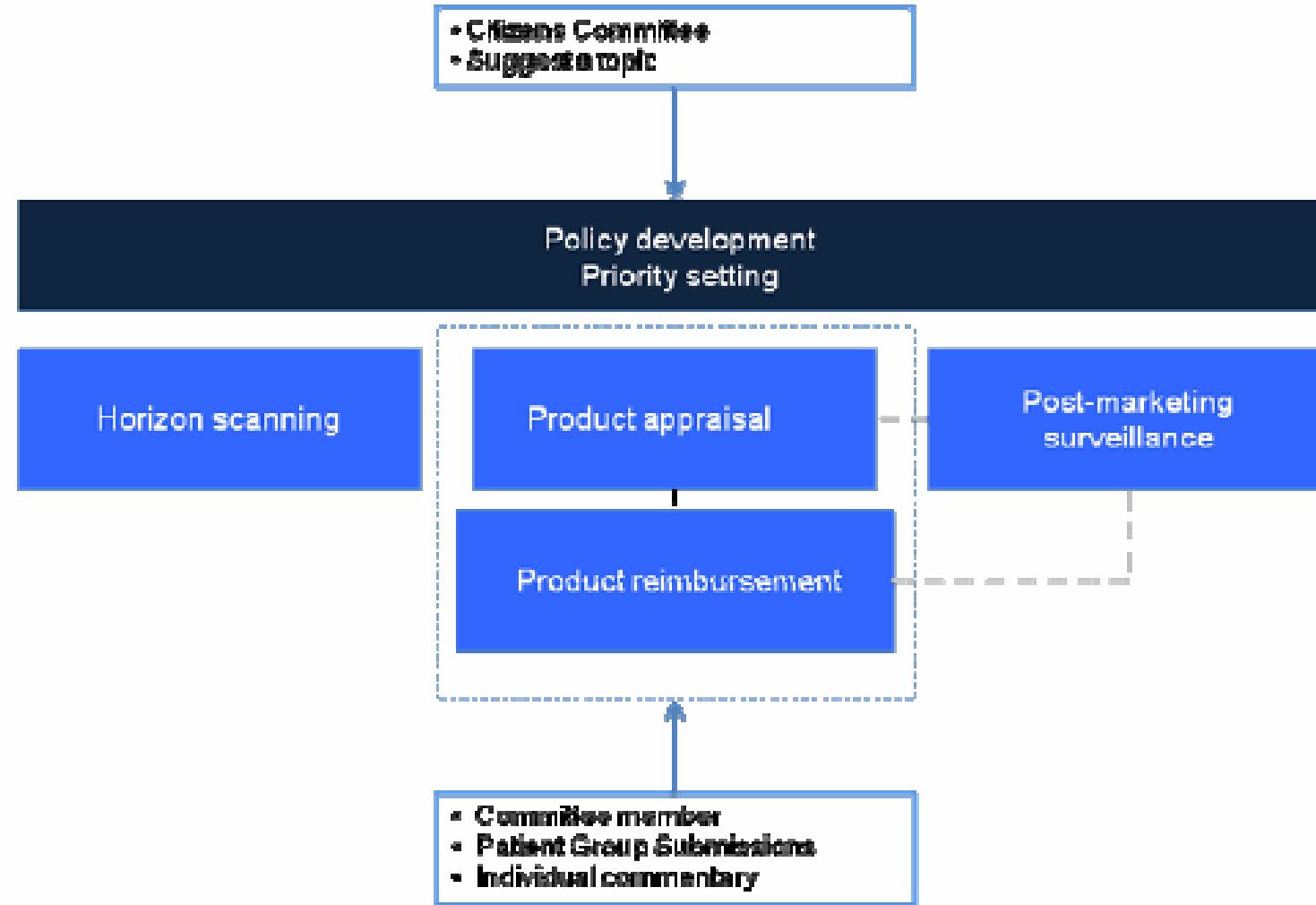
- il coinvolgimento dei pazienti è variabile e dipende dalla capacità organizzativa e di risorse delle associazioni civiche
- è importante l'educazione per ridurre le barriere e aumentare la consapevolezza del ruolo del SMC , che infatti organizza incontri presso la comunità e cerca di migliorare l'accessibilità al sito
- si realizza un continuo monitoraggio delle performance del SMC per la facilitare la partecipazione e studiare nuovi meccanismi di coinvolgimento
- Conflitti di interesse: rapporto associazioni dei pazienti/sponsor aziendali. SMC cerca di finanziare direttamente le submission dei pazienti, ma se non è possibile per mancanza di fondi il conflitto deve essere dichiarato e comunque ogni submission viene ascoltata, con una discrezionalità nella valutazione delle fonti.

- i membri “laici” del Committee non sono considerati “rappresentanti” della popolazione, sia per il modo in cui sono selezionati, sia perché sono solo tre.
- Il momento della presentazione delle submission e delle consultazioni è importante perché determina il peso che questi input avranno nella valutazione. Adesso vengono presentate nello stesso momento delle evidenze prodotte dal New Drug Ammittee e non dopo o per ultime.

REGNO UNITO

NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence)

Figure 4.3 Consumer and community involvement in NICE



- Esiste una **Patient Involvement Unit** deputata allo scopo
- **Citizens Council** (community involvement): portare il punto di vista dei cittadini nel decision making del NICE per la promozione della salute, per la prevenzione e per il trattamento delle malattie. E' composto da 30 persone e indirizza verso nuove sfide, nuovi valori, priorità nella allocazione delle risorse. Le loro deliberazioni vengono trasmesse a tutti i comitati del NICE

- **Suggerisci un argomento.** Spesso le linee guida del NICE derivano da fonti di richiesta che riguardano vari soggetti, tra cui i consumatori e la comunità
- **Committee members.** Ogni comitato prevede la presenza di due membri della comunità che abbiano avuto una esperienza personale con il servizio. Non devono avere esperienza sul prodotto di cui si parla, ma devono portare il loro punto di vista come utenti dei servizi. Sono reclutati generalmente tra le organizzazioni dei pazienti nazionali mediante web e stampa. Sono rimborsati per il giorno della riunione e per la spese.

- Input da parte delle associazioni (Patient interest group input). Ci si può registrare come stakeholder per questioni specifiche. Possono elaborare i quesiti, commentare le ricerch, e inviare raccomandazioni. Possono nominare un esperto che partecipi ai meeting.
- Coinvolgimento individuale. Ogni persona può mandare commenti sui draft delle linee guida tramite website.

Considerazioni sull'impatto

- Forte impatto sul decision making e presenza di attività di revisione dell'efficacia di questa politica

Esempio

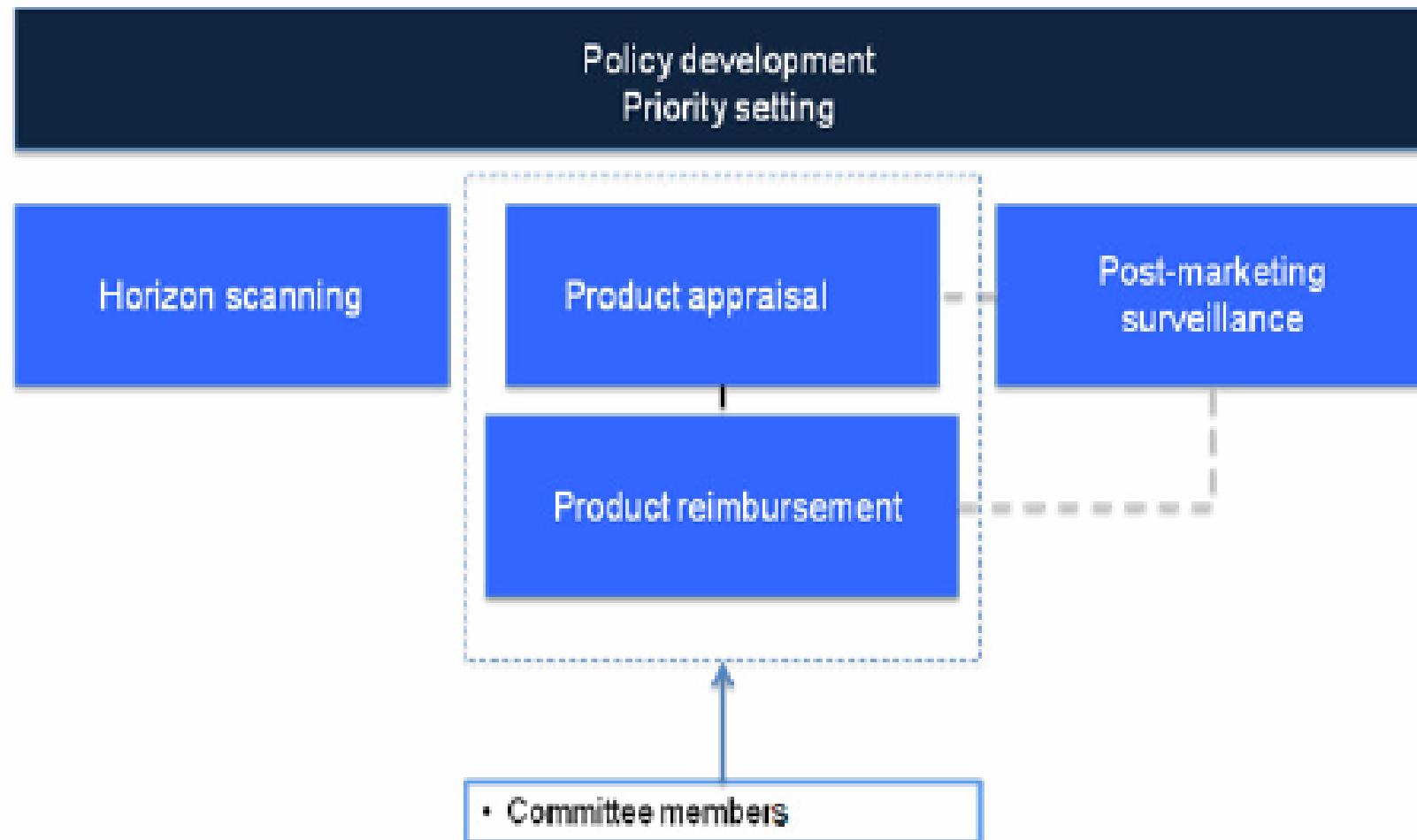
- Dialisi domiciliare per persone ad uno stadio terminale di malattia renale. Con grande sorpresa dei clinici molti pazienti hanno indicato la preferenza per la dialisi non domiciliare per avere una separazione fisica del trattamento rispetto all'abitazione. Anche se questo trattamento aveva un buon rapporto costo efficacia il NICE ha deciso di far decidere la preferenza al paziente.
- Altri esempi indicano l'influenza circa il peso da attribuire all'età del paziente nelle linee guida circa i trattamenti da raccomandare. "Social Value Judgements – Principles for the development of NICE guidance".
- Farmaco per la pelle. I pazienti propongono un uso solo per viso e mani e non essenziale per tutto il corpo, come indicato dai clinici. Risparmio per la collettività

- Il Citizens councils serve per avere una più ampia e rappresentativa visione rispetto ai membri “laici” che siedono nei comitati. Dei 30 membri, 10 ruotano in modo randomizzato e 20 sono fissi per mantenere la coesione.
- I membri “laici” dei comitati funzionano meglio durante le sessioni private rispetto a quelle pubbliche, perché è più facile rappresentare il proprio punto di vista nel Committee rispetto a doverlo esporre ad un pubblico più vasto
- Conflitto di interessi: i membri non possono votare se hanno avuto un incentivo relativo al prodotto considerato. Vale anche per la famiglia. Questo è fondamentale per l'integrità del processo
- Non c'è coinvolgimento nella sorveglianza post marketing, ma ci si sta pensando per garantire un monitoraggio non solo clinico ma dei comportamenti.

CANADA

CADTH (Canadian Agency for Drugs and Technology in Health) ma con un sistema fortemente federale
CDR (Common Drug review)

Figure 4.4 Consumer and community involvement in CDR



Livello nazionale

- **Committee members.** Due membri “laici” che hanno il compito di rappresentare il punto di vista sociale e “pubblico”. Votano, non hanno un ruolo distinto ma si adattano alla situazione in cui si trovano.
- Si sta pensando di includere la raccolta di **evidenze dei pazienti** nel processo di assessment. Si deve però capire come incorporarle nel processo decisionale.

Considerazioni sull'impatto

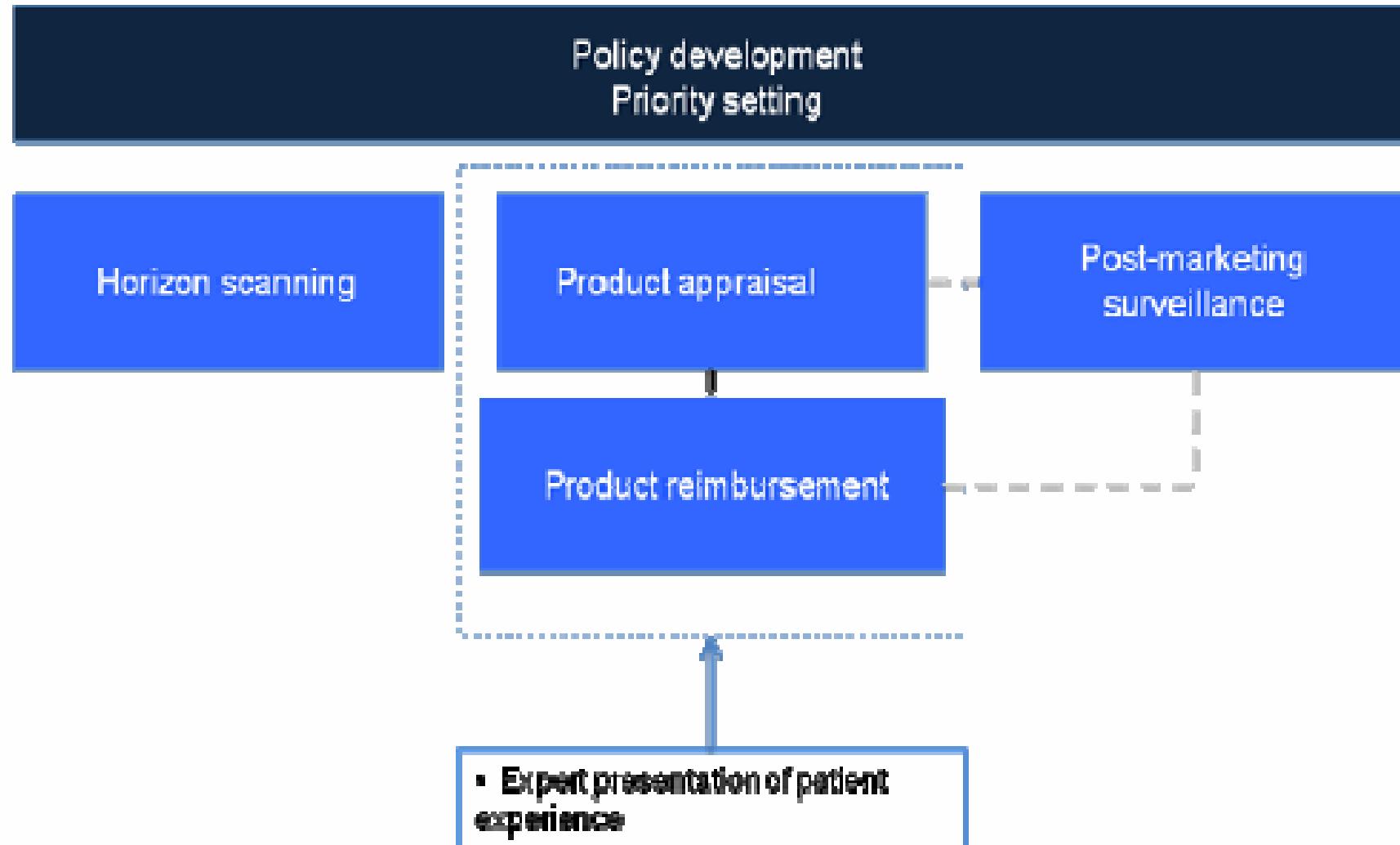
- In Canada le decisioni finali sul rimborso vengono prese dalle Province, che hanno tutte un approccio HTA ma non “patients evidence”.
- E' necessario assegnare un ruolo esplicito ai membri “laici” del Comitato per incoraggiare la partecipazione, per esempio dando loro il compito di sintetizzare e rappresentare gli interessi dei pazienti.
- Necessità di un cambiamento culturale in un mondo dominato dalle sole evidenze scientifiche: il valore delle evidenze più “soft”

- Necessità di un training che permetta ai membri “laici” e ai pazienti di intervenire e soprattutto di votare sulla base delle conoscenze
- Nonostante la limitata partecipazione le associazioni forti hanno un peso che non viene assicurato a quelle meno visibili
- E’ necessario articolare il meccanismo di trasmissione di input sulle specifiche malattia all’interno dell’organizzazione del CDR
- Una maggiore sorveglianza post marketing può essere realizzata con un forte coinvolgimento dei consumatori : “progressive listing arrangements”

FRANCIA

HAS (Haute Autorité de Santé)
Transparency Committee

Figure 4.5 Consumer and community involvement in Transparency Commission



- La Commissione per la Trasparenza prende in considerazione il punto di vista dei pazienti sia nel SMR (Service Médical Rendu) che classifica i prodotti per il rimborso che nel ASMR (Amelioration du Service Medical Rendu) che determina i prezzi, ma in modo indiretto con esperti.
- **Presentazione da parte degli esperti del punto di vista dei pazienti**

Considerazioni sull'impatto

- Ci sono molti problemi e paure per bias (faziosità, essere di parte, influenzabili) e rappresentanze ineguali
 - Prevalenza di una malattia e di un gruppo rispetto ad un altro
 - conflitti di interesse e dipendenza dagli sponsor
-

Allarme: c'è un evidente rifiuto di procedere nel coinvolgimento dei pazienti

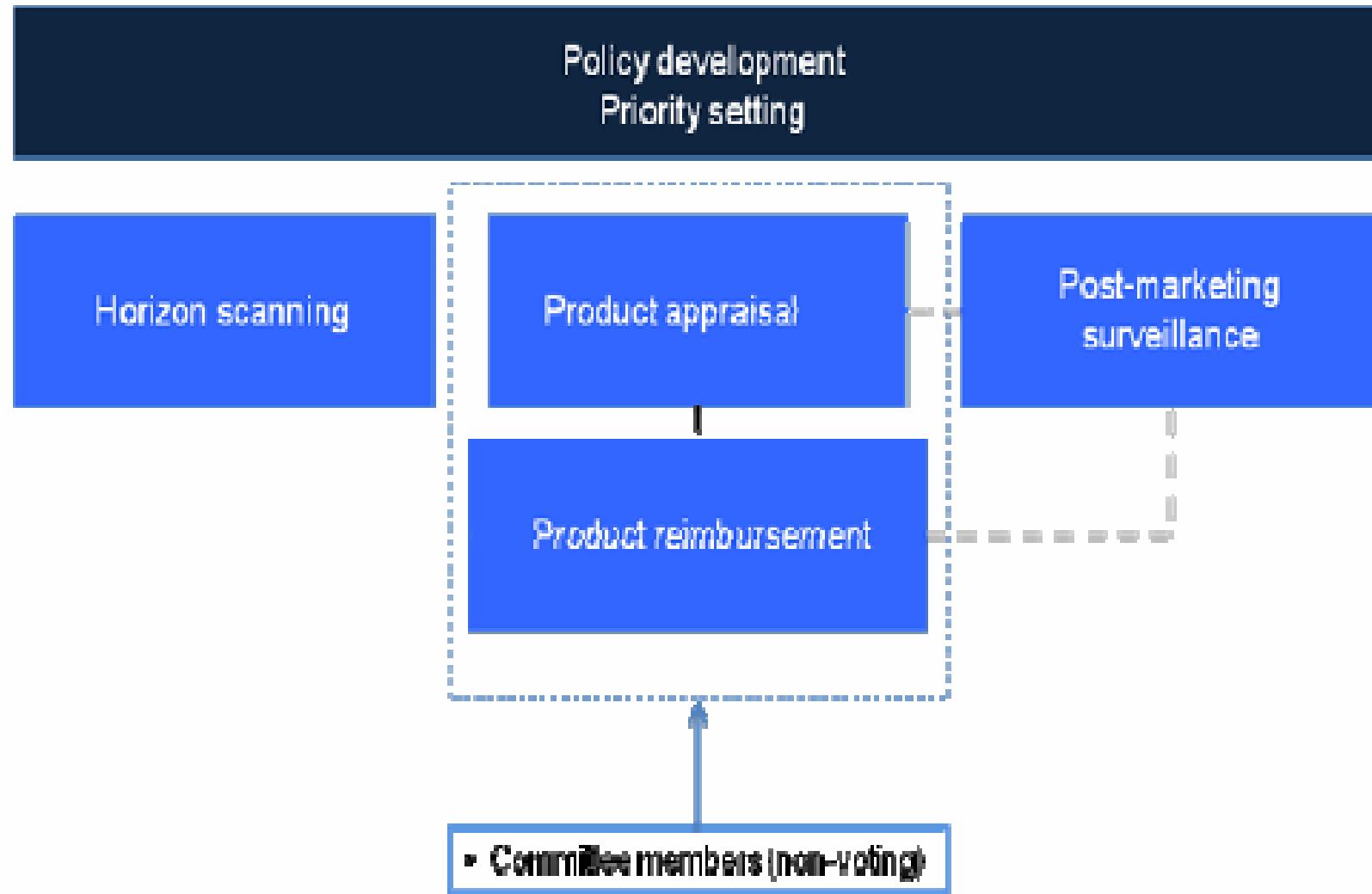
Pazienti versus esperti

GERMANIA

Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA)

IQWiG (medical efficiency, quality and effectiveness)

Figure 4.6 Consumer and community involvement in G-BA and IQWiG



- **Committee members G-BA.** Possono intervenire nel processo ma non possono votare
- **Coinvolgimento di organizzazioni di pazienti** e di cittadini agli step di valutazione del IQWiG

Considerazioni sull'impatto

- Integrare il punto di vista dei consumatori richiede un cambiamento culturale profondo
- i membri della comunità che sono coinvolti dovrebbero cambiare periodicamente. Generalmente essi vengono nominati con una lista predefinita di individui ed organizzazioni. Serve più rappresentatività e credibilità

Considerazioni generali

- Il punto di vista dei cittadini **aggiunge valore** e nuove evidenze. In alcuni casi le evidenze dei pazienti aggiungono valori che erano stati “catturati” dal QALY e hanno influenzato le decisioni finali
- la prospettiva appropriata del coinvolgimento deve prevedere sia la **community che i fruitori diretti**

Table 4.2 Factors which influence the perceptions of consumers and community members

Influencing Factors	Consumer	Community Member
Experience with disease related to drug in question	✓	✗
Experience with healthcare more generally	✓	✓
Personal values and beliefs	✓	✓
Has an understanding of societal values	✓	✓
Will experience direct impact of HTA outcome	✓	✗
Will experience indirect impact of HTA outcome. For example, through reallocation of resources	Potentially	Potentially

Table 4.3 The information which consumers and community members can provide at each stage of HTA

	Experience with relevant disease	General experience with healthcare	Personal values and beliefs	Understanding of societal values	Direct impact of HTA outcome	Indirect Impact of HTA outcome	Consumer/ community input
Policy development/priority setting	x	✓	x	✓	x	x	Community
Horizon scanning	x	x	x	✓	x	x	-
Product appraisal and reimbursement	✓	✓	x	✓	✓	✓	Consumer/ Community
Monitoring and review	✓	x	x	x	✓	x	Consumer

- le evidenze civiche devono essere considerate **alla stessa stregua** di quelle cliniche o economiche sul prodotto
- la rappresentanza dei pazienti e della comunità è essenziale e richiede l'esistenza di **gruppi dotati di risorse che facilitino** e riducano le barriere per i partecipanti

- Sono indispensabili attività **di training e di supporto** per le rappresentanze civiche per garantirne la preparazione e l'indipendenza dai possibili sponsor
- il processo di coinvolgimento e i suoi outcomes devono **essere trasparenti** per essere credibili

- Il **“timing”** delle evidenze è fondamentale per rendere significativo il lavoro dei cittadini. Se sono solo un addendum alla fine del processo non servono a niente
- **Ineguale rappresentanza** dei diversi gruppi di pazienti, per risorse, per tipo di malattia, per età

- le barriere alla partecipazione

1. Le asimmetrie informative. E' necessario lavorare per ridurre la distanza tra le valutazioni di alto contenuto tecnico e la presenza di *non professional* nel processo. Esempio della Scozia: workshops di SMC per aggiornare le associazioni e aiutarle nella produzione di input

Canada: sono le associazioni a fare la formazione

Stesse attività nel NICE

2. Spese di viaggio e risorse. Servono risorse per partecipare alle riunioni, per preparare le submissions, ecc. Ad esempio il NICE paga la giornata di lavoro perso

- La gestione dei **conflitti di interesse**. Possono esserci sia per motivi finanziari, sia per motivi non finanziari, per esempio il passaggio di documentazione tra associazioni e aziende. Esempi di SMC e del NICE
- La **trasparenza e l'accountability**. Un processo trasparente deve includere:
 - Il priority setting costruito mediante una pluralità di fonti
 - I criteri per le decisioni. Il NICE ha comunque una chiarezza nei criteri seppur criticati
 - Un processo aperto in tutte le sue fasi
 - Pubblicazione dei risultati

- Necessità **di monitorare, rivedere, integrare le modalità di partecipazione**
- La nuova opportunità di intervenire nel **post marketing** (monitoraggio e revisioni). Utilizzare l'esperienza dei pazienti con i prodotti, per misurare i comportamenti, la compliance, le distorsioni.

Conclusioni per noi

1. Affermare il principio e la necessità di includere i cittadini nel processo di HTA (posizionamento politico)



CARTA DI ROMA?

Conclusioni per noi

2. Trarre indicazioni di principio e di metodo
per costruire il Citizen and Patient
Involvement in Italia



**LINEE GUIDA E PIANO DI
SVILUPPO**

Grazie e buon lavoro!