

# EUPATI Leitlinie für die Beteiligung von Patienten an regulatorischen Prozessen

## Allgemeine Grundsätze der Patientenbeteiligung am gesamten Arzneimittelforschungs- und -entwicklungsprozess

Die Europäische Patientenakademie (EUPATI) ist ein gesamteuropäisches Projekt der Innovative Medicines Initiative (IMI) von 33 Organisationen mit Partnern aus Patientenorganisationen, Universitäten, gemeinnützigen Organisationen und Pharmaunternehmen. EUPATI verwendet den Begriff 'Patient' durchgehend für alle Altersgruppen und Krankheiten. EUPATI befasst sich nicht mit krankheitsspezifischen Themen oder Therapien, sondern mit dem Prozess der Arzneimittelentwicklung im Allgemeinen. Indikationsspezifische Informationen, altersspezifische oder einzelne Arzneimittel betreffende Therapien sind nicht Thema von EUPATI, sondern fallen in die Zuständigkeit der Fachkräfte im Gesundheitswesen und von Patientenorganisationen. Um mehr zu erfahren besuchen Sie [www.eupati.eu](http://www.eupati.eu).

Der Großteil der Experten, die an der Entwicklung und Bewertung von Arzneimitteln beteiligt sind, sind Wissenschaftler, die sowohl im öffentlichen als auch im privaten Sektor arbeiten. Es ist zunehmend nötig auf das Wissen und die Erfahrungen von Patienten zurückzugreifen um zu verstehen, wie es ist mit einer bestimmten Krankheit zu leben, wie die Betreuung abläuft, und Informationen über den täglichen Gebrauch von Arzneimitteln zu gewinnen. All dies hilft, die Entdeckung, Entwicklung und Bewertung neuer, wirksamer Arzneimittel zu verbessern.

Eine strukturierte Interaktion zwischen Patienten aller Altersgruppen und mit unterschiedlichen Krankheiten, deren Vertretern und anderen Akteuren (engl. Stakeholder) ist gefordert; sie ermöglicht den Informationsaustausch und einen konstruktiven Dialog auf nationaler und europäischer Ebene in allen Bereichen wo das Wissen und die Sicht der Nutzer von Arzneimitteln berücksichtigt werden können und sollten. Dabei ist wichtig zu bedenken, dass sowohl Gesundheitssysteme als auch Behandlungspraktiken und Gesetze unterschiedlich sein können.

Wir empfehlen eine enge Zusammenarbeit und Partnerschaft zwischen den verschiedenen Akteuren, wie Organisationen von Angehörigen der Gesundheitsberufe, Auftragsforschungsunternehmen, Patienten- und Verbraucherorganisationen\*, Universitäten, wissenschaftlichen und akademischen Gesellschaften, Zulassungsbehörden, Gremien für Gesundheitstechnologiebewertung (engl. Health Technology Assessment bodies) und der Pharmaindustrie. Die bisherigen Erfahrungen haben gezeigt, dass die Beteiligung von Patienten die Transparenz, das Vertrauen und den gegenseitigen Respekt zwischen ihnen und anderen Akteuren erhöht hat.

Es ist heute allgemein akzeptiert, dass die Mitwirkung von Patienten an der Entdeckung, Entwicklung und Bewertung von Arzneimitteln die Qualität der Ergebnisse und die Meinungsbildung bereichert hat.[1]

In bestehenden Verhaltensregeln (engl. Codes of practice) verschiedener Akteure zur Patientenbeteiligung wird der Bereich Forschung und Entwicklung (F&E) nicht umfassend abgedeckt. Die EUPATI- Leitlinien sollen helfen die Integration der Patientenbeteiligung in allen Bereichen der Arzneimittelforschung- und -entwicklung zu fördern.

Sie sollen nicht als präskriptiv genommen werden und es werden keine detaillierten Schritt für Schritt Anleitungen gegeben.

EUPATI hat die vorliegenden Leitlinien für alle Akteure entwickelt, die mit Patienten in der Arzneimittelforschung und -entwicklung (F&E) zusammenarbeiten wollen. Benutzer der Leitlinien können von diesen abweichen, wenn besondere Umstände, nationale Gesetze oder spezifische Anforderungen einer Interaktion dies erfordern. Die Leitlinien sollten nach bestem professionellem Sachverstand individuellen Anforderungen angepasst werden.

Es gibt vier separate Leitlinien jeweils für eine Patientenbeteiligung in:

- Arzneimittelforschung und -entwicklung der Pharmaindustrie
- Ethikkommissionen

- Regulatorischen Prozessen
- Gesundheitstechnologiebewertung (engl. Health technology assessment (HTA)).

Jede Leitlinie enthält Hinweise auf derzeit bestehende Möglichkeiten für eine Patientenbeteiligung. Die Leitlinien sollten regelmäßig überprüft und aktualisiert werden.

**Die vorliegende Leitlinie gilt für die Beteiligung von Patienten im Zulassungsbereich und greift auf das etablierte Rahmenwerk der Europäischen Arzneimittel-Agentur EMA "Framework for interaction between the European Medicines Agency and patients and consumers and their organisations" („Rahmen für die Interaktion zwischen der europäischen Arzneimittel-Agentur und Patienten und Verbrauchern und deren Organisationen“) zurück.**

Die Leitlinie baut auf folgenden Grundsätzen auf, die durch Anwendung der vorgeschlagenen Arbeitspraktiken umgesetzt werden sollen (Abschnitt 7). Diese Grundsätze sind:

Relevanz	Patienten verfügen über spezifisches Wissen, Erfahrungen und Perspektiven; dies liefert wichtige Beiträge zu wesentlichen Aspekten regulatorischer Aktivitäten.
Fairness	Patienten haben dasselbe Recht wie andere Akteure bei regulatorischen Aktivitäten mitzuwirken; sie haben Zugang zu Wissen und Erfahrungen, die ein effektives Engagement ermöglichen.
Gleichwertigkeit	Patientenbeteiligung an regulatorischen Aktivitäten trägt zur Gleichwertigkeit bei: ein besseres Verständnis der unterschiedlichen Bedürfnisse von Patienten mit speziellen Gesundheitsproblemen hilft, sie mit den strengen Anforderungen der gesetzlichen Regelungen und Leitlinien in Einklang zu bringen.
Legitimität	Patientenbeteiligung erleichtert denjenigen die Teilnahme an den regulatorischen Aktivitäten, die von den Zulassungsentscheidungen betroffen sind, und trägt zur Transparenz, Verantwortlichkeit und Glaubwürdigkeit des Entscheidungsprozesses bei.
Vermittlung von Wissen und Handlungskompetenzen (Know-how) (engl. Capacity building)	Prozesse der Patientenbeteiligung adressieren Hindernisse die einer Patientenbeteiligung an regulatorischen Aktivitäten entgegenstehen; sie erweitern die Handlungskompetenzen für eine Zusammenarbeit zwischen Patienten und Zulassungsbehörden.

Wie in den vier EUPATI Leitlinien ausgeführt, sollte sich jede zukünftige Leitlinie nach bestehenden nationalen Gesetzen zu Interaktionen richten.

## Ausschlussklausel

EUPATI hat diese Leitlinie für alle Akteure entwickelt, die mit Patienten in allen Bereichen der Arzneimittelforschung und -entwicklung (F&E) zusammenarbeiten wollen.

Diese Leitlinien sollen nicht als präskriptiv genommen werden und es werden keine detaillierten Schritt für Schritt Anleitungen gegeben. Der Gebrauch dieser Leitlinie sollte an besondere Umstände, nationale Gesetze oder spezifische Anforderungen einer Interaktion angepasst werden. Die Leitlinien sollten nach bestem professionellem Sachverstand individuellen Anforderungen angepasst werden.

Empfehlungen in dieser Leitlinie zu juristischen Aspekten sind nicht als rechtsverbindlich aufzufassen; sie sind kein Ersatz für eine formale Rechtsberatung. Falls eine formale Rechtsberatung erforderlich wird, sollten die jeweiligen Akteure ihre Rechtsabteilungen, falls vorhanden, zu Rate ziehen, oder Rechtsberatung von kompetenten Stellen einholen.

EUPATI übernimmt keine Haftung oder Gewähr für eine Nutzung dieser Leitlinie und jegliche Ergebnisse oder Schäden, die sich daraus ergeben.

Das EUPATI Projekt erhielt Unterstützung vom Innovative Medicines Initiative Joint Undertaking [Gemeinsames Unternehmen zur Umsetzung der Technologieinitiative für innovative Arzneimittel] unter Förderungsvertrag Nr. 115334, dessen Haushaltsmittel zu gleichen Teilen aus dem 7. Rahmenprogramm [Seventh Framework Programme] der Europäischen Union (FP7/2007-2013) und von EFPIA Firmen stammen.

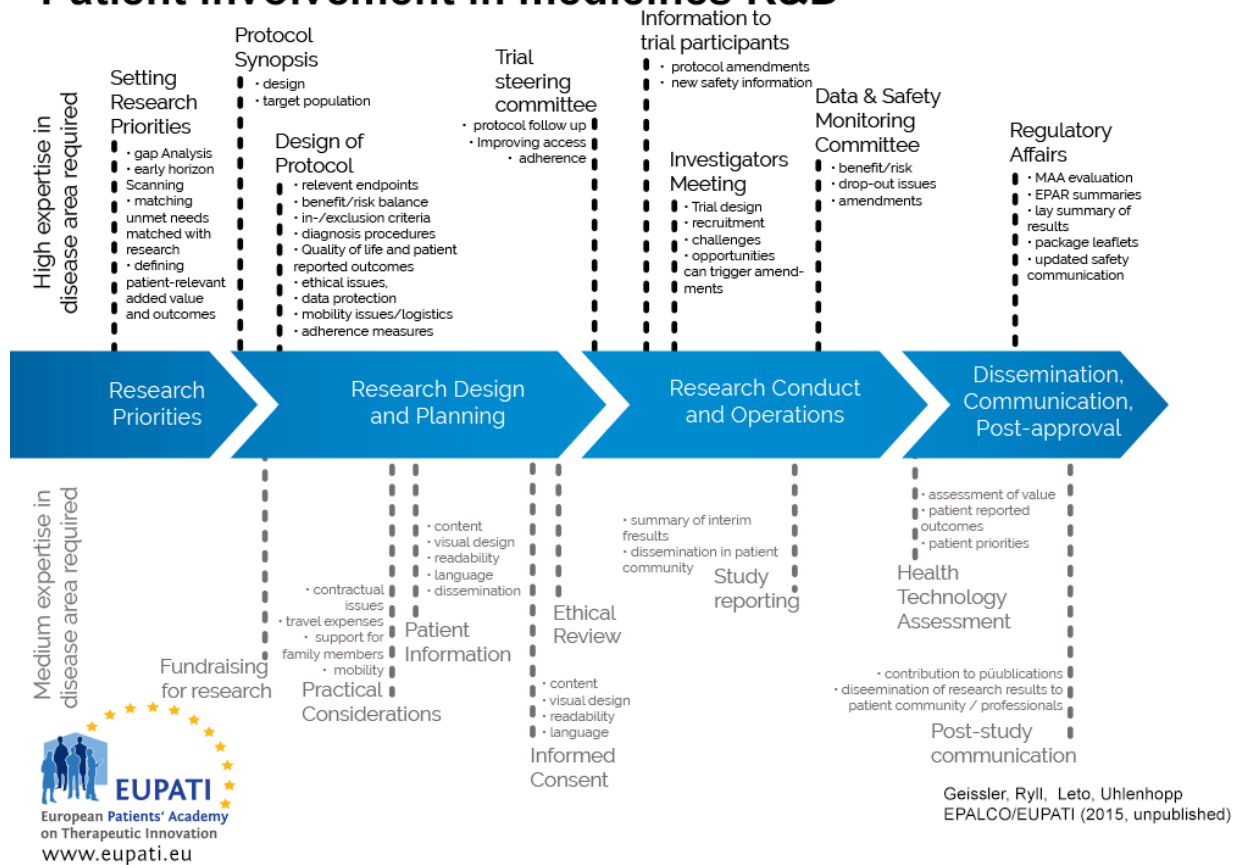
## **Umfang der Leitlinie**

Die vorliegende europäische Leitlinie gilt für die Interaktion von Patienten und Zulassungsbehörden in Bezug auf Humanarzneimittel. „Patienten“ können Einzelpersonen, deren Betreuer, oder Vertreter von Patientenorganisationen mit relevanter Erfahrung sein (Abschnitt 4). „Zulassungsbehörden“ umfasst die nationalen zuständigen Zulassungsbehörden (National Competent Authorities) und die Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA). Patientenorganisationen sind gemeinnützige Organisationen die Patientenbelange zum Thema haben, und in deren Führungsgremien Patienten die Mehrheit der Mitglieder stellen.

Die Leitlinie fokussiert auf die Patientenbeteiligung an regulatorischen Prozessen und behandelt nicht die wissenschaftliche Erfassung von Patientenperspektiven (d.h. quantitative und qualitative Untersuchungen über die psychosoziale Bedeutung von Krankheiten und Behandlungen sind ausgeschlossen). Siehe Abbildung 1, die zeigt, wo sich Patienten derzeit in der Arzneimittelforschung und -entwicklung (F&E) beteiligen können, jedoch nicht eingeschränkt auf diese Bereiche; die Teilnahmemöglichkeiten können sich ändern und neue Gelegenheiten können hinzukommen.

## Patientenbeteiligung in Arzneimittel F&E

### Patient involvement in medicines R&D



## Patientenbeteiligung in Arzneimittel F&E

Patienten können über den gesamten Prozess der Arzneimittel F&E involviert sein. In diesem Diagramm von Geissler, Ryll, Leto und Uhlenhopp werden einige Punkte dargestellt, an denen dies geschieht. Es zeigt auch die notwendige Expertise in einem Krankheitsgebiet, die für unterschiedliche Prozessschritte, wo eine Patientenbeteiligung stattfinden kann, erforderlich ist.

### Definition des Begriffs „Patient“

Der Begriff „Patient“ wird oft allgemein und ungenau verwendet und reflektiert nicht die variierenden Anforderungen an Beiträge und Erfahrungen von Patienten, Patientenvertretern und Patientenorganisationen in unterschiedlichen Kooperationsprozessen.

Zum besseren Verständnis der Terminologie der in in dieser und anderen EUPATI Leitlinien beschriebenen möglichen Rollen der Interaktion mit Patienten - definieren wir den Begriff „Patient“ wie folgt:

- „Individuelle Patienten“ sind Personen, die persönliche Erfahrung mit einer Krankheit haben. Sie haben, oder haben nur wenig, technisches Wissen über F&E oder regulatorische Prozesse; ihre Hauptaufgabe ist es über ihre Erfahrung mit der Krankheit und deren Behandlung zu informieren.

- „Betreuer“ sind Personen, die individuellen Patienten Beistand leisten, z. B. Familienmitglieder oder bezahlte oder ehrenamtliche Helfer.
- „Patientenvertreter“ sind Personen, die Einblicke und Erfahrung in der Zusammenarbeit mit größeren Patientengruppen haben die mit einer bestimmten Krankheit leben. Sie können, müssen aber nicht, mit einer Organisation verbunden sein.
- „Vertreter einer Patientenorganisation“ sind Personen, die das Mandat haben den kollektiven Standpunkt einer Patientenorganisation zu einem bestimmten Thema oder einem Krankheitsgebiet zu vertreten und darzustellen.
- „Patientenexperten“ haben, abgesehen von einer krankheitsspezifischen Expertise, auch das technische Wissen in F&E und/oder regulatorischen Angelegenheiten, durch Ausbildung oder Erfahrung, z. B. EUPATI Fellows; denen von EUPATI das gesamte Spektrum der Arzneimittelforschung und -entwicklung (F&E) in einem extensiven Kurs vermittelt wurde.

Einige Akteure haben vielleicht Bedenken bezüglich der Einbeziehung einzelner Patienten in eine Kollaboration, weil sie annehmen, deren Beiträge seien subjektiv und könnten kritisiert werden. EUPATI demgegenüber, in Einklang mit den Zulassungsbehörden, vertritt das Prinzip der Gleichwertigkeit, indem eine Beteiligung von Einzelpersonen nicht ausgeschlossen wird. Es sollte der Organisation(en), die eine Interaktion initiiert haben, überlassen bleiben die zweckmäßigste Art der Patientenvertretung durch Auswahl des adäquaten Patiententyps für die jeweilige Aktivität zu bestimmen (siehe Abschnitt 7). Es wird empfohlen, dass im Fall der Teilnahme einzelner Patienten die entsprechende Patientenorganisation, falls vorhanden, informiert und/oder konsultiert wird um Unterstützung oder Rat geben zu können.

Vor jeder Beteiligung an einer Kooperation sollte die Art des Beitrags und das Mandat mit der teilnehmenden Person abgestimmt werden.

## Grundlagen für die Leitlinie

Der Umfang der Patientenbeteiligung an regulatorischen Fragen ist in europäischen Ländern und Regionen sehr unterschiedlich.

Die EMA hat seit ihrer Gründung in 1995 mit Akteuren aus ihrem Umfeld zusammengearbeitet. Diese Beziehungen haben sich über Jahre hindurch entwickelt, und Art und Intensität der Interaktion hängen von der betreffenden Akteursgruppe und der Art der EMA Aktivität ab. Der EMA Vorstand (engl. Management Board) und bestimmte wissenschaftlichen Ausschüsse schließen Patienten und Verbraucher als Mitglieder ein.

Der Nutzen der Beteiligung von Akteuren, bestätigt durch die Erfahrungen der EMA, hat dazu geführt, dass mehrere nationale Zulassungsbehörden begonnen haben, einen Rahmen für die Beteiligung von Patienten auf nationaler Ebene zu schaffen. Die meisten nationalen Behörden greifen auf die Erfahrungen der EMA zurück. Patientenbeteiligung an der EMA ist durch europäische Gesetzgebung geregelt [2]. Die EMA, ihr Vorstand und die verschiedenen wissenschaftlichen Ausschüsse sind für die Weiterentwicklung der Beziehungen zwischen der EMA und den Akteuren verantwortlich.

Die europäische Gesetzgebung definiert:

- Direkte Interaktion zwischen der EMA und Patienten- und Verbraucherorganisationen, durch die Arbeitsgruppe für Patienten- und Verbraucher [Patients' and Consumers' Working Party (PCWP)]
- den Rahmen diesen Organisationen klare und nützliche Informationen zu bieten
- Spezifische Formen der Interaktion, z. B. die Mitgliedschaft von Patienten im EMA Vorstand, dem Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden [Committee for Orphan Medicinal Products (COMP)], dem Pädiatrieausschuss [Paediatric Committee (PDCO)], dem Ausschuss für neuartige Therapien [Committee for Advanced Therapies (CAT)], dem Ausschuss für Risikobewertung im Bereich der Pharmakovigilanz [Pharmacovigilance and Risk

Assessment Committee (PRAC)] und die Mitwirkung bei wissenschaftlicher Beratung/Protokoll-Assistenz durch die Arbeitsgruppe für Wissenschaftliche Beratung [Scientific Advice Working Party (SAWP)]

- Darüber hinaus hat die EMA die Möglichkeit eingeführt, durch direkte Beratung die Meinung von Patienten einzuholen.

Die bisherigen Erfahrungen haben gezeigt, dass Patientenbeteiligung an EMA Aktivitäten die Transparenz, das Vertrauen in regulatorische Prozesse und den gegenseitigen Respekt zwischen Zulassungsbehörden, Patientengruppen und Verbrauchern erhöht hat. Diese Erfahrungen bestätigen, dass es für die EMA wichtig ist die Patientenbeiträge in ihrer Arbeit weiterhin zu unterstützen und zu erleichtern.

Ähnliche gesetzliche Regelungen sind auf nationaler Ebene eher nicht vorhanden. Wegen des Fehlens gesetzlicher Regelungen, entwickeln die nationalen Zulassungsbehörden [National Competent Authorities] ihre Rahmenbedingungen entweder basierend auf den EMA-Erfahrungen oder von Grund auf neu. Zu den Schlüsselementen, die in einem solchen Rahmen berücksichtigt werden sollten, gehören:

- Definition der Rolle der Patienten in der Interaktion
- Vorschläge, wie Patienten an spezifischen institutionellen Prozessen teilnehmen können
- Entwicklung eines Trainingsprogramms
- Ein Konzept für die Vergütung/Kostenerstattung von Experten, das für alle Akteure gilt
- Kontinuierliche Überprüfung der Interaktion auf weitere Verbesserungen, und Zusammenarbeit der Zulassungsbehörden mit Patienten, um Methoden und Praktiken festzulegen und zu standardisieren.

Jeder Rahmen muss regelmäßig überprüft werden.

## **Ziele der Patientenbeteiligung an regulatorischen Prozessen**

Zwei grundlegende Prinzipien, die bei der Implementierung des Rahmens für eine Interaktion mit Patienten beachtet werden sollten sind, sich auf Gebiete zu konzentrieren, wo beiderseitiger Nutzen zu erwarten ist und eine möglichst einfache Gestaltung der Interaktion.

Das Ziel sollte die Weiterentwicklung von Transparenz und Vertrauen mit den Patientengruppierungen durch deren aktive Beteiligung (**Teilnahme-Beratung-Information**) sein. Um dieses Ziel zu erreichen, sollten spezifische Zielsetzungen erfüllt werden, wie z. B:

- Unterstützung der Zulassungsbehörden durch direkte Erfahrungen aus der Praxis mit Krankheiten und deren Management, sowie Informationen über die gegenwärtige Verwendung von Arzneimitteln. Dies trägt, während des Bewertungsprozesses zur Entscheidungsfindung über Nutzen und Risiko eines Arzneimittels, dazu bei, den Wert der wissenschaftlichen Daten, wie er von Patienten empfunden wird, zu berücksichtigen.
- Sicherstellen, dass die Patienten und ihre Organisationen bei der Entwicklung von Regeln und Plänen angehört, konsultiert und beteiligt werden;
- Das Verständnis der Patientenorganisationen über den Auftrag und die Rolle der Zulassungsbehörden im Zusammenhang mit der Entwicklung, Bewertung, Zulassung, Überwachung und Bekanntmachung von Informationen über Arzneimittel vergrößern.
- Die Kommunikationsmittel optimieren (Inhalt und Verbreitung), um die Informationskaskade an die Mitglieder der Patientenorganisationen (z.B. um individuelle Patienten zu erreichen) zu vereinfachen, mit dem Ziel, sie bei ihrer Aufgabe der Propagierung einer sicheren und rationellen Anwendung von Arzneimitteln zu unterstützen.
- Erleichterung der Patiententeilnahme an der Nutzen/Risiko Bewertung und verwandten Aktivitäten, um die Werte und Präferenzen der Patienten zu erfassen, und Informationen über die derzeitige Verwendung von

Arzneimitteln und das therapeutische Umfeld, über die gesamte Arzneimittelentwicklung, von der frühen Entwicklung bis zur Sicherheitsüberwachung nach Markteinführung, zu gewinnen.

Um diese Ziele zu erreichen, ist eine enge Zusammenarbeit mit den Zulassungsbehörden, den nationalen Gesundheitsministerien und anderen relevanten Akteuren notwendig, sowie eine aktive Teilnahme und gute Interaktion mit Patienten, Angehörigen der Gesundheitsberufe und deren Vertretungsorganisationen.

## **Empfohlene Arbeitspraktiken (adaptiert aus dem EMA Rahmen für Interaktionen)**

Basierend auf der Erfahrung der EMA auf europäischer Ebene, können Patienten an den Aktivitäten der Zulassungsbehörden wie folgt teilnehmen als:

- **Mitglieder (und Stellvertreter)** einiger (wissenschaftlicher) Ausschüsse oder Arbeitsgruppen der Zulassungsbehörde, und im Fall der EMA, des EMA Vorstands (formell von den EU Institutionen ernannt).
- Individuelle **Experten**.
- **Vertreter einer Organisation**, zur Beratung und Teilnahme an Diskussionen, um den Standpunkt der Organisation zu einem bestimmten Thema zu vertreten.
- Gelegentlich als **Beobachter** bei bestimmten Aspekten der Arbeit der EMA oder der Zulassungsbehörde.

Die Zulassungsbehörden sollten Eignungskriterien festlegen.

Wenn Patienten an regulatorischen Aktivitäten als Einzelpersonen und nicht als Vertreter ihrer Organisation teilnehmen, sollten sie ihre Interessen angeben, und wie alle anderen Experten an den Verhaltenskodex der Zulassungsbehörde gebunden sein. Darüber hinaus sollten die beteiligten Organisationen bezüglich ihrer Aktivitäten und Finanzquellen vollkommen transparent sein.

Um die in Abschnitt 4 genannten Ziele zu erreichen, sollten die folgenden 6 Punkte beachtet werden:

- Ein **Netzwerk von Patientenorganisationen (möglicherweise in Zusammenarbeit mit anderen Zulassungsbehörden)**  
Das **Netzwerk der Patientenorganisationen** ermöglicht es der Zulassungsbehörde einheitliche und gezielte Interaktionen mit einer breiten Gruppe von Organisationen mit einem vielfältigen Spektrum an Erfahrung und Interessen zu entwickeln. Auswahlkriterien sollten beachtet werden. Solche Kriterien sollen sicherstellen, dass die Zulassungsbehörde Kontakt mit den geeignetsten Patientenorganisationen in transparenter Form etabliert. Innerhalb eines Netzwerks sollten die Kriterien harmonisiert werden.
- Ein **Austauschforum mit Patientenorganisationen innerhalb der Zulassungsbehörde(n)**.  
Dies ist eine Plattform für Dialog und Meinungs austausch mit Patientenorganisationen über relevante Fragen zu Humanarzneimitteln und, falls relevant, Medizinprodukten; die Zulassungsbehörde kann auf diese Weise informieren und Feedback und Beiträge von Patienten über verschiedene regulatorische Initiativen erhalten. Sie umfasst eine ausgewogene Balance verschiedener Patiententypen, sowie Organisationen von speziellen und schutzbedürftigen Bevölkerungsgruppen, die wenig in der Arzneimittelentwicklung repräsentiert sind, wie ältere Menschen und Frauen. Es sollte ein Forum sein, sowohl Lücken als auch Prioritäten für Interaktionen zu identifizieren.
- Ein **Pool von individuellen Patienten, die als Experten für ihre Krankheit und deren Behandlung auftreten, um die Beteiligung von Patienten an der Bewertung von Arzneimitteln und Informationen über Arzneimittel zu fördern**.  
Die Schaffung dieser Expertengruppe ermöglicht es der Zulassungsbehörde sehr schnell und effizient Patienten zu identifizieren, die an produktbezogenen Aktivitäten, dem Review von Produktinformationen und von Kommunikationsmaterialien mitwirken können.

- **Interaktion besonders im Bereich der Kommunikation.**

Dies ist ein wertvoller Beitrag zur Unterstützung bestehender Strukturen für die Verbreitung von Informationen an die Öffentlichkeit. Weiterhin fördert die Zusammenarbeit auf diesem Gebiet die Bereitstellung validierter und neuester Informationen an die Patienten über Nutzen und Risiken von Arzneimitteln, und trägt zur Erstellung und Veröffentlichung verständlicher und klarer Mitteilungen für die Öffentlichkeit über den sicheren und rationalen Gebrauch von Arzneimitteln bei. Alles Informationsmaterial für Patienten sollte von Patientenvertretern überprüft werden, um die Verständlichkeit und Angemessenheit der Sprache und des Inhalts zu verbessern.

- **Ein Aktionsprogramm zur Kapazitätsbildung mit einem Fokus auf Training und Erweiterung der Kenntnisse über das Zulassungssystem.**

Damit ihre Teilnahme sinnvoll ist, müssen die Patienten über den Auftrag der Zulassungsbehörde und auch über die vom Patienten erwartete Rolle im Bewertungsprozess gut informiert sein und beides verstehen. Ein Trainingsprogramm sollte verfügbar sein. Einige Patientenorganisationen oder andere kollaborative Projekte haben ihr eigenes Trainingsmaterial entwickelt, um Patienten in die Lage zu versetzen eine akzeptierte Rolle als Interessenvertreter zu übernehmen.

- **Finanzielle Unterstützung.**

Die Patienten sollten finanzielle Unterstützung für ihre Mitarbeit bei regulatorischen Aktivitäten erhalten. Dies wäre eine Anerkennung Ihrer Arbeit, während es gleichzeitig ihre Unabhängigkeit fördert. Patienten sollten als Experten akzeptiert und nach dem gleichen Standard behandelt werden wie andere Experten, auch hinsichtlich der Vergütung. Gelegentlich kann es erforderlich sein, dass Patienten weitere Hilfe benötigen, um sicherzustellen, dass sie teilnehmen können.

## Definition einer Interaktion

Vor jeder Interaktion sollte man gegenseitig Folgendes vereinbaren (wo zutreffend):

- Das Ziel der Aktivität mit Patientenbeteiligung und/oder gemeinsame Interessengebiete als Basis für eine abgesprochene und strukturierte Interaktion, die allen Parteien den notwendigen Schutz bezüglich Unabhängigkeit, Datenschutz, Vertraulichkeit und Erwartungen garantiert.
- Die Art der Beiträge und das Mandat der beteiligten Person
- Die Mittel und Methoden der Interaktion, z. B. die Art und Häufigkeit von Treffen, Grundregeln, Maßnahmen zur Konfliktbereinigung, Aufwandsentschädigung/Vergütung, Bewertung.
  - Die Art der Interaktion (Treffen, Telefonkonferenzen, etc.) sollte diskutiert und beidseitig vereinbart werden; das Hauptaugenmerk sollte auf den Komfort des Patienten/der Patientenorganisation(en) gerichtet sein. Falls die Interaktion persönliche Treffen oder die Vorbereitung und Durchführung von Veranstaltungen erfordert, sollten die bestehenden Verhaltenskodizes und die jeweiligen Gesetze bezüglich eines angemessenen Veranstaltungsorts/Standorts und des Ausmaßes der Gastfreundschaft befolgt werden.
  - Falls Veranstaltungen organisiert werden, sollte darauf geachtet werden, dass die geplante Patientenbeteiligung auch möglich ist; notwendige Maßnahmen bezüglich Erreichbarkeit, Reisehilfe und Barrierefreiheit sollten getroffen werden.
- Erwünschte(r) Patienten / Patientenorganisation zur Förderung langfristiger Arbeitspartnerschaften mit garantierter Unabhängigkeit.
- Das Profil und die Art des(r) beteiligten Patienten oder des(r) Patientenvertreter und ihre Anzahl.
- Verwendung der Ergebnisse



- Wie und wann der/die beteiligte(n) Patient(en) über die Ergebnisse informiert werden
- Vertragsbedingungen einschließlich Einwilligung und Vertraulichkeit wie auch eine Vereinbarung über die Interaktion selbst (Art von Treffen, Häufigkeit, Aufwandsentschädigung/Vergütung).
- Andere Elemente gemäß der spezifischen Aktivität

## Identifizierung von Patienten/- Interaktion

Es gibt viele Möglichkeiten Patienten für eine Interaktion zu identifizieren.

Die wichtigsten Möglichkeiten bieten:

- bestehende Patientenorganisationen
- EUPATI oder ähnliche Projekte
- Ausschreibungen (Gelegenheiten für Patiententeilnahme an...)
- offene Ausschreibung
- bestehende Beziehungen zu Gesundheitspersonal, Krankenhäusern, Forschern und anderen Organisationen
- unaufgeforderte Anfragen von interessierten Parteien
- bestehende Beratungsgremien/Gruppen (z. B. Arbeitsgruppe für Patienten und Verbraucher bei der EMA, EFPIA Think Tank)
- Agenturen

## Eignungskriterien

### Patientenorganisationen

Um die Transparenz der Patientenbeteiligung zu erhöhen, sollten Zulassungsbehörden und Patientenorganisationen planen ihre kollaborativen Aktivitäten jährlich auf ihren Webseiten zu veröffentlichen. Die Namen einzelner Patienten können veröffentlicht werden, wenn der Patient Mitglied eines generischen Beratungsgremiums ist, aber in anderen Fällen sollten sie nicht offengelegt werden.

Patientenorganisationen sollen sich verpflichten eine aktive Rolle in der Interaktion mit Zulassungsbehörden zu übernehmen.

Die Organisationen sollen in einem Mitgliedsstaat der Europäischen Union [European Union] (EU) oder des Europäischen Wirtschaftsraums [European Economic Area (EEA)] etabliert sein und die folgenden Kriterien erfüllen:

Legitimität:	Die Organisation soll Statuten haben, die in einem Mitgliedsstaat der EU/EEA registriert sind. Wenn es sich um eine internationale Organisation handelt, die nicht in einem Mitgliedsstaat der EU/EEA registriert ist, müssen Informationen vorgelegt werden, die zeigen, dass der Fokus auf die EU und deren Aktivitäten gerichtet ist.
Mission/Zielsetzungen:	Die Organisation oder der individuelle Patientenexperte soll ihre/seine Mission/Zielsetzungen klar definieren und sollte zustimmen, dass sie auf der Webseite der Zulassungsbehörden veröffentlicht wird/werden.

Aktivitäten:	Die Organisation soll als Bestandteil ihrer Aktivitäten ein spezielles Interesse an Arzneimitteln (und wo relevant, Medizinprodukten) haben; dies sollte dokumentiert sein (z. B. in einem Bericht auf der Webseite der Organisation oder der Einzelperson).
Repräsentativität:	<p>Die Organisation soll Patienten in der gesamten EU/EEA oder auf relevanter nationaler Ebene repräsentieren. Organisationen, die bereits auf Community Ebene registriert sind, z. B. im EU Gesundheitsforum [Health Forum], dem Europäischen Rat [Council of Europe], werden als Organisationen eingestuft, die Patienten ausreichend repräsentieren oder an regulatorischen Aktivitäten zu Arzneimitteln teilnehmen können.</p> <p>Falls es keine europäischen Organisationen für eine spezifische Krankheit oder ein Therapiegebiet gibt, kann die Beteiligung nationaler Organisationen erwogen werden, obwohl europaweiten Organisationen der Vorrang gegeben wird. Internationale Organisationen können auch geeignet sein, wenn sie einen Fokus auf Europa und die entsprechende Repräsentation haben, einschließlich Büro/s in der EU/EEA.</p>
Struktur:	Die Organisation sollte Leitungsorgane haben, die von den Mitgliedern gewählt werden, welche Patienten, deren Betreuer, oder ihre gewählten Vertreter sein sollen.
Verantwortlichkeit und Beratungsmodalitäten:	Erklärungen und Meinungen der Organisation sollten die Ansichten und Meinungen ihrer Mitglieder reflektieren, und ausreichende Beratungsverfahren mit diesen Mitgliedern sollten vorhanden sein. Vor allem sollte die Organisation sicherstellen, dass es einen angemessenen Informationsfluss gibt, um den Dialog zu ermöglichen: von und zu ihren Mitgliedern.
Transparenz:	<p>Die Organisation sollte die Herkunft ihrer öffentlichen und privaten Finanzmittel der Zulassungsbehörde vorlegen, und die Namen der Institutionen und deren individuelle finanzielle Beiträge sowohl in absoluten Zahlen als auch als Gesamtprozentsatz des Budgets der Organisation angeben. Jede Beziehung mit Unternehmenssponsoren sollte klar und transparent sein. Diese Information wird jährlich an die Agentur (EMA) weitergeleitet.</p> <p>Im Fall von Dachorganisationen, sollte die Liste der Mitgliedsverbände der Agentur (EMA) zur Verfügung gestellt werden.</p> <p>Die Organisation soll auf ihrer Webseite die registrierten Statuten veröffentlichen zusammen mit finanziellen Informationen, einschließlich der Herkunft der öffentlichen und privaten Finanzmittel, und Informationen über ihre Aktivitäten.</p> <p>Die Organisation soll eine(n) Verhaltenskodex/Richtlinie befolgen, der/die die Beziehungen mit und die Unabhängigkeit von den Sponsoren regelt.</p> <p>Die Zulassungsbehörde wird die Finanzinformation überprüfen, gemäß transparenter, vorab festgelegter Regeln.</p>

## Aufwandsentschädigung

Es sollte bedacht werden, dass die an den Aktivitäten beteiligten Patienten sich oft ehrenamtlich entweder als Einzelpersonen oder auch als Mitglieder von Organisation betätigen. Es ist daher auch Folgendes zu berücksichtigen:

- Die Teilnehmer sollten für ihre gesamte aufgewendete Zeit und Auslagen entschädigt werden.
  - Jede Aufwandsentschädigung sollte fair sein und sich nach der Art der Tätigkeit richten. Im Idealfall sollten die Reisekosten direkt von der Organisation, die die Beteiligung fördert, gezahlt anstatt rückerstattet werden.
- Die Kosten für die Patientenorganisationen zu übernehmen, wenn diese Patienten für die Teilnahme an Aktivitäten identifizieren oder sponsern (z. B. Peer-Gruppen, Training und Vorbereitung).
- Logistische Unterstützung für eine Patiententeilnahme, einschließlich Reise- und/oder Unterbringungskosten, sollte angeboten werden.

Unter Aufwandsentschädigung fallen auch indirekte Sachleistungen (z. B. eine Patientenorganisation bietet Dienstleistungen kostenlos an) oder andere nicht-finanzielle Leistungen für Patienten/Patientenorganisationen (z. B. Trainingsveranstaltungen, Einrichtung von Webseiten).

### **Schriftliche Vereinbarung**

Eine schriftliche Vereinbarung sollte mindestens Folgendes klar definieren: Beschreibung der Aktivität und ihrer Ziele, Art der Interaktion während der Aktivität, Zustimmung (falls zutreffend), Freigabe, Vertraulichkeit, Vergütung, Datenschutz, Compliance, Erklärung von Interessenkonflikten, Zeitpläne. Die Interaktion darf nur auf Grundlage einer schriftlichen Vereinbarung stattfinden, die zumindest die wesentlichen Elemente der Zusammenarbeit enthält, wie z. B. Einsatzregeln ("rules of engagement"), Compliance, geistiges Eigentum, finanzielle Leistungen. Es sollte darauf geachtet werden, dass die schriftlichen Vereinbarungen eindeutig sind und einen angemessenen Wissensaustausch ("knowledge sharing") nicht beschränken.

### **Implementierung und Überwachung**

Ein Rahmen für eine Patientenbeteiligung kann stufenweise und/oder gegebenenfalls nach einer Pilotphase eingeführt werden. Nach der vollen Implementierung, wenn Patienten sowohl an allgemeinen wie auch an Produkt-spezifischen Fragen beteiligt sind, und eine Gruppe von Organisationen und Patienten (als individuelle) Patientenexperten wie auch Foren für Interaktionen bestehen, sollte ein öffentlicher jährlicher Bericht über Interaktionen verfasst werden, einschließlich:

- einer Analyse von Indikatoren (definiert für die Art der Interaktion) zur Beurteilung der Nützlichkeit der Interaktion
- Feedback von Patienten und ihrer Vertreter-Organisationen durch gezielte Umfragen
- Feedback von der Zulassungsbehörde
- eines Überblicks über Aktivitäten, an denen Organisationen und Patienten als individuelle Experten beteiligt waren
- eines Plans für zukünftige Aktivitäten, einschließlich einer Strategie für zukünftige Patientenbeteiligung.

### **Appendix 1 – „Roadmap“ für die Patientenbeteiligung an regulatorischen Prozessen – Beispiel EMA**

#### ***Einfügen Roadmap***

## **Appendix 2 – Verhaltenskodizes**

Eine Anzahl anerkannter Kodizes wurden als Ausgangsmaterial für diese Leitlinie herangezogen.

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 1997 EATG 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  
<http://www.wma.net/en/30publications/10policies/b3/index.html>

## **Quellenangaben**

1. Adapted from the EMA framework. European Medicines Agency (2014) EMA/637573/2014.  
[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Other/2009/12/WC500018013.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Other/2009/12/WC500018013.pdf). Last Accessed 21.11.2016.
  2. Regulation (EC) No 726/2004 [http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg\\_2004\\_726/reg\\_2004\\_726\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg_2004_726/reg_2004_726_en.pdf). Last Accessed 21.11.2016.
- \* Verbraucher sind als Akteure im Gesundheitsdialog anerkannt. EUPATI fokussiert auf Patienten und nicht auf Verbraucher; dies spiegelt sich in den Schulungsmaterialien und Leitlinien.