



Open Access Full Text Article

EDITORIAL

Editorial: Recent developments and future directions in the use of patient preference research

[Éditorial : Développements récents et orientations futures dans l'utilisation de la recherche sur les préférences des patients]

Kevin Marsh¹

¹Patient-Centered Research, Evidera

Correspondence:

Kevin Marsh, Executive Director, Patient-Centered Research, Evidera, The Ark, 201 Talgarth Road, Hammersmith, London, W6 8BJ, United Kingdom

Email:

Kevin.Marsh@evidera.com

Article received:

25 January 2019

Article accepted:

7 February 2019

Editorial: As a practitioner of multi-criteria decision analysis and preference research, 5 years ago I was set the task of determining how this group of methods could better support healthcare decision making. It was initially assumed that the focus should be on supporting reimbursement decisions, either by helping to structure the decisions of assessment committees, or by eliciting and modelling general population preferences for a broader set of decision criteria. It soon became clear that it would be in the use of patient preferences to support benefit-risk assessment and approval decisions that our skills would be put to work. Until then, much of our patient preference work had been motivated by the desire to influence post-launch decisions, such as prescription decisions. In the last 3 years, we have seen more and more sponsors incorporate patient preference studies into their regulatory submissions, and start establishing standard operating procedures to support such research. As we see the Innovative Medicines Initiative's PREFER project report its findings, the 21st Century Cures Act being implemented in the United States, and the European Medicines Agency conclude its consultation on regulatory science in 2025, the signs are that this trend will only continue.

Alongside these developments in regulatory science, we see more and more innovation aimed at incorporating patient preferences into reimbursement decisions. To date this has taken the form of demonstrating unmet need – with the exception of Institute for Quality and Efficiency in Healthcare's guidance that patients' preference should be the basis for constructing an aggregate benefit function in economic evaluation. However, our own projects, as well as pilot work at reimbursement agencies in Denmark, England and Wales, France, and Sweden point to greater innovation to come in the use of patient preferences in reimbursement decisions. Most expect this to take the form of patient preference data as supplementary evidence to existing method, such as articulating uncertainties in the quality adjusted life year estimates. To progress further, work is required to make a normative case for placing the patient at the centre of reimbursement decisions. Either way, these developments hold out the prospect of greater alignment of the use of patient preference across regulatory and reimbursement decisions.

Looking further forward still, work by the Centre for Devices and Radiological Health at the Food a Drug Administration points us to the potential of using patient preferences to weight type I and type II errors in powering trials, allowing us to better optimize trial design. The costs of delivering trials points to the potential for patients' preferences to improve trial optimization tools, by improving the algorithms that predict how the attributes of trial designs impact patients' willingness to participate. And, as we see more interest in shared decision making, the holy grail for those interested in bringing preference data to bare on health decisions is the prospect of capturing and using individual patient preferences at the point of prescription decisions.

It has been an invigorating 5 years. The next 5 are shaping up to be very busy.

©2019 Marsh, publisher and licensee CybelePress.com. This is an Open Access article, allowing unrestricted non-commercial use, provided the original work is properly cited.

Éditorial : En tant que praticien en analyse de décision multicritères et chercheur sur les préférences, j'ai eu pour mission il y a 5 ans de déterminer comment ce groupe de méthodes pouvait mieux soutenir la prise de décision en matière de soins de santé. Nous avons initialement supposé que notre objectif devrait être

d'appuyer les décisions de remboursement, soit en aidant à structurer les décisions des comités d'évaluation, soit en élicitant et en modélisant les préférences de la population générale pour un ensemble plus large de critères de décision. Il est rapidement devenu évident que nos compétences seraient mises à profit en utilisant les préférences des patients pour appuyer l'évaluation avantages-risques et les décisions d'approbation. Jusque-là, une grande partie de notre travail axé sur les préférences des patients avait été motivé par le désir d'influencer les décisions post-lancement, telles que les décisions en matière de prescription. Au cours des trois dernières années, de plus en plus de sponsors ont incorporé des études de préférences de patients dans leurs soumissions réglementaires et ont commencé à établir des procédures opératoires standard pour soutenir de telles recherches. À la lecture du rapport du projet PREFER de l'Initiative sur les médicaments innovants, la Loi sur les traitements du 21^{ème} siècle en cours d'application aux États-Unis et l'Agence européenne des médicaments concluant sa consultation sur la science réglementaire en 2025, il semble que cette tendance ne fera que se poursuivre.

Parallèlement à cette évolution du domaine réglementaire, nous observons de plus en plus d'innovations visant à intégrer les préférences des patients dans les décisions de remboursement. À ce jour, cela a pris la forme de la démonstration d'un besoin non satisfait - à l'exception des recommandations de l'Institute for Quality and Efficiency in Healthcare, selon lesquelles la préférence des patients devrait être à la base de la construction d'une fonction de bénéfice global dans l'évaluation économique. Cependant, nos propres projets, ainsi que les travaux pilotes menés dans des

agences de remboursement au Danemark, en Angleterre et Pays de Galles, en France et en Suède, indiquent un accroissement de l'innovation dans l'utilisation des préférences des patients dans les décisions de remboursement. On s'attend à ce que cela prenne la forme de données sur les préférences des patients en tant que preuves supplémentaires aux méthodes existantes, telles que l'articulation des incertitudes dans les estimations des années de vie ajustées par la qualité. Pour progresser davantage, il est nécessaire d'établir un argumentaire normatif plaçant le patient au centre des décisions de remboursement. Par ailleurs, ces évolutions ouvrent la perspective d'un meilleur alignement de l'utilisation des préférences des patients entre les décisions réglementaires et de remboursement.

À l'avenir, les travaux du Centre for Devices and Radiological Health à la Food and Drug Administration nous montrent qu'il est possible d'utiliser les préférences des patients pour pondérer les erreurs de type I et de type II dans les essais, ce qui permet d'optimiser la conception des essais. Le coût de la réalisation des essais montre que les préférences des patients ont le potentiel d'améliorer les outils d'optimisation des essais, en améliorant les algorithmes permettant de prédire l'incidence des caractéristiques des plans d'essai sur la volonté des patients de participer. Alors que nous constatons un intérêt de plus en plus marqué pour la prise de décision partagée, le Saint-Graal pour ceux qui sont intéressés à intégrer des données de préférence dans des décisions de santé, est la possibilité de capturer et d'utiliser les préférences de chaque patient au moment de la décision de prescription.

Ces 5 dernières années ont été revigorantes et les 5 prochaines s'annoncent très occupées.